

# 第6回新たな難治性疾患対策の在り方検討チーム

日 時：平成24年8月29日

17：00～18：00

場 所：省 議 室

## 議 事 次 第

### 1. 開 会

### 2. 議 事

- (1) 難病対策委員会の中間報告について
- (2) 難病の患者団体との意見交換会について
- (3) 今後の関係各部署の取組について

### 3. 閉会

#### < 配付資料 >

- 資料 1 「今後の難病対策の在り方（中間報告）」の概要
- 資料 2 「今後の難病対策の在り方（中間報告）」の全文
- 資料 3 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会の開催実績
- 資料 4 難病対策に関する意見交換会の概要
- 資料 5 今後の関係各部署の取組について
- 参考資料 「今後の難病対策の在り方（中間報告）」に係る参考資料

## 「今後の難病対策の在り方（中間報告）」の概要

（平成24年8月16日厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会）

### 1. 難病対策の必要性と理念

- 難病の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指す。また、患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えることを目指す。

### 2. 「難病」の定義、範囲の在り方

- 総合的な難病対策の外縁となる「難病」の定義については、「難病対策要綱」をも参考にしつつ、できるだけ幅広くとらえるべきである。一方で、個別施策の対象となる疾病の範囲については、広く国民の理解を得られるよう、それぞれの施策の趣旨・目的等も踏まえ、比較的可成りまれな疾病を基本に選定すべきである。

### 3. 医療費助成の在り方

- ① 対象疾患の在り方
  - 対象疾患については、4要素（①症例が比較的少ないために全国的な規模で研究を行わなければ対策が進まない、②原因不明、③効果的な治療法未確立、④生活面への長期にわたる支障）を基本的に踏襲することが適当。
  - 対象疾患の範囲の拡大を含めた見直しにあたっては、より公平に対象疾患を選定する必要がある。一方で、効果的な治療方法が確立するなどした対象疾患については、引き続き対象疾患とするかどうか定期的に見直すことも必要。
  - 対象患者の範囲については、重症度等の基準を設定することが必要。
  - 対象疾患の具体的な範囲については、研究班の調査結果等も参考に、今後更に検討する。
- ② 対象患者の認定等の在り方
  - 自治体の指定を受けた専門医の診断を要件とし、緊急時を除き、指定医療機関で受診した場合に医療費助成を行う必要。
  - 治療の適正化を行うため、治療ガイドラインを策定し、周知することが必要。
  - 患者データの精度向上や有効活用の観点から、現行の調査票の内容及びデータの収集方法の見直しが必要。
- ③ 給付水準の在り方

- 難病の特性を踏まえつつ他制度との均衡を図るとともに、施策の安定性を確保し、国民の理解を得られるよう、給付水準の見直しを検討する必要。(入院時の食事・生活に係る自己負担等)

#### 4. 福祉サービスの在り方

- 障害者総合支援法の対象疾患の範囲については、研究班の調査結果の他、新たな難病対策における医療費助成の対象疾患の範囲も参考にしつつ、検討。
- 障害程度区分の認定に当たっては、難病ごとの特性についてきめ細かく配慮する必要。

#### 5. 難病相談・支援センターの在り方

- 患者を適切なサービスに結びつけていくため、特に、医療機関、保健所、就労支援機関、子どもの相談支援機関等との連携の強化を図る必要。
- どの都道府県においても基本的な機能を果たせるよう、必要な体制を確保する必要。
- 同じ病気の人々の経験を聞く(ピアサポート)など、患者の視点に立った相談・支援が行われるよう留意することが必要。
- 各都道府県の難病相談・支援センターの中心的な機能を担うセンターの在り方について検討。

#### 6. 難病手帳(カード)(仮称)の在り方

- 目的、効果、事務負担等を他制度の例も参考にしつつ、今後更に検討。

#### 7. 難病研究の在り方

- 臨床調査研究分野と研究奨励分野の区別を根本的に見直すべき。
- 診断基準の作成や病態解明等に加え、治療法開発、創薬の研究を重点的に目指すべき。
- 患者が治験などの研究に参加しやすくなる仕組みが必要であり、研究の成果を患者等にわかりやすく伝えることが必要。
- 関係各省、関係者が一体となる研究の総合戦略が必要であり、難病研究について国際協力を進めることが必要。

#### 8. 難病医療の質の向上のための医療・看護・介護・福祉サービスの提供体制の在り方

- 診断がつかない等の困難を克服するため、指定医療機関の中から、高い専門性を有する「新・難病医療拠点病院(仮称)」を整備するこ

とが必要。

- 地域で医療、介護サービスが受けられるよう、指定医療機関の中から、「難病医療地域基幹病院（仮称）」を整備する必要。
- 「難病医療地域基幹病院（仮称）」に、難病患者の受け入れ・退院調整を行う「難病医療コーディネーター（仮称）」を置くことも有用。
- 難病患者に対する地域の支援体制を整備するため、保健所を中心とした「難病対策地域協議会（仮称）」を設置することについて検討。
- 極めて希少な疾患について高度専門的な対応を行うセンター（難病治療研究センター（仮称））の在り方について検討。

## 9. 就労支援の在り方

- 難病に関する知識（通院への配慮等）や既存の支援策（助成金等）の普及啓発が重要。
- 既存の支援策の充実や、難病相談・支援センターと就労支援機関等との連携体制の強化を行うべき。

## 10. 難病を持つ子どもへの支援の在り方

- 難病相談・支援センターにおいて、子どもの相談支援機関等と連携し、難病の子どもや保護者の相談に引き続き対応すべき。
- 治療研究において、小児の難病の研究も引き続き行うべき。
- 小児期の担当医師と成人疾患を担当する医師との連携を図るべき。
- 総合的な難病対策の在り方の検討に当たっては、小児期の難病患者の特性にも配慮するとともに、教育支援、就労支援を含む総合的な自立支援についても検討を行う必要。

### 11. 小児慢性特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患している者が成人移行（トランジション）する場合の支援の在り方

- 患者は小児から成人にかけて継続して治療が必要となる場合もあることから、切れ目のない支援の在り方を検討すべき。
- 医療従事者に対する研修等を行うとともに、小児期からの担当医師等との連携を促進する必要。
- 総合的な難病対策の在り方の検討に当たっては、小児期から難病に罹患している者については、小児期に長期の療養生活を余儀なくされてきたなどの特性にも配慮するとともに、教育支援、就労支援を含む総合的な自立支援についても検討を行う必要。

## 今後の難病対策の在り方（中間報告）

平成 24 年 8 月 16 日

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

## はじめに

我が国の難病対策は、昭和 47 年に策定された「難病対策要綱」を踏まえ、①「調査研究の推進」、②「医療機関の整備」、③「医療費の自己負担の軽減」の三点を柱として進められ、平成元年度に④「地域保健医療の推進」が加えられ、また、平成 8 年度に「地域保健医療の推進」が「地域における保健医療福祉の充実・連携」とされ、⑤「QOLの向上を目指した福祉施策の推進」が加えられた。現在、この 5 本の柱に基づき、各種の事業を推進している。

その結果、難病の実態把握や治療法の開発、難病医療の水準の向上、患者の療養環境の改善及び難病に関する社会的認識の促進に一定の成果をあげてきた。

しかしながら、医療の進歩や患者及びその家族のニーズの多様化、社会・経済状況の変化に伴い、原因の解明すら未確立の疾患でも研究事業や医療費助成の対象に選定されていないものがあることなど難病の疾患間で不公平感があることや、難病に対する普及啓発が不十分なこと等により国民の理解が必ずしも十分でないこと、難病患者の長期にわたる療養と社会生活を支える総合的な対策が不十分であることなど様々な課題が指摘されており、難病対策の見直しが強く求められている状況にある。

そのため、本委員会は、今後の難病対策の在り方について昨年 9 月より審議を行い、12 月には「今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）」を取りまとめた。この中間的な整理においては、「希少・難治性疾患の患者・家族を我が国の社会が包含し、支援していくことが、これからの成熟した我が国の社会にとってふさわしい」ことを基本的な認識とした。

この中間的な整理を基に、その後も、「社会保障・税一体改革大綱」（平成 24 年 2 月 17 日閣議決定）や難病研究・医療ワーキンググループ及び難病在宅看護・介護等ワーキンググループにおける検討状況の報告も踏まえ、「難病対策の必要性と理念」、「難病」の定義、範囲の在り方、「医療費助成の在り方」、「福祉サービスの在り方」、「難病相談・支援センターの在り方」、「難病手帳（カード）（仮称）の在り方」、「難病研究の在り方」、「難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方」、「就労支援の在り方」、「難病を持つ子どもへの支援の在り方」、「小児慢性特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患している者が成人移行（トランジシ

ョン)する場合の支援の在り方」の各々の項目について議論を行い、論点・課題の整理を行った。

今般、これまでの検討結果を「今後の難病対策の在り方(中間報告)」として取りまとめたので報告する。

## 1. 難病対策の必要性と理念

- いわゆる難病は、まれではあるが国民の中に一定の割合で発症する可能性のあるものである。難病患者は、治療方法が確立していない疾患に罹患し、往々にして生涯にわたる長期間の療養を必要とすることから、生活面における制約や経済的な負担が大きい。また、病名や病態が知られていないために、社会の理解が進んでおらず、就業など社会生活への参加が進みにくい状態にある。
- このため、難病対策の見直しに当たっては、難病の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指す。また、患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えることを目指し、中間的な整理で示した「今後の難病対策の見直しの方向性」を踏まえ、時代に合った新たな難病対策の構築を目指す。

## 2. 「難病」の定義、範囲の在り方

- 総合的な難病対策の外縁となる「難病」の定義については、「難病対策要綱」(昭和47年10月厚生省)をも参考にしつつ、できるだけ幅広くとらえるべきである。一方で、個別施策の対象となる疾病の範囲については、広く国民の理解を得られるよう、それぞれの施策の趣旨・目的等も踏まえ、比較的まれな疾病を基本に選定すべきである。
- 今後、「難病」の定義については、個別施策の対象となる疾病の範囲の議論を深めつつ、引き続き検討する。

## 3. 医療費助成の在り方

### (1) 基本的な考え方

- 現行の「特定疾患治療研究事業」は、患者の医療費負担の軽減という福祉的な面を持つものの、その主たる目的は、難治性の疾患を克服するための治療研究の推進にある。
- しかしながら、本施策については、患者等からは、福祉的施策ととらえられている現状もあり、できるだけ安定的な仕組みとすることが必要との指摘もなされている。このような観点から、今後、福祉的な面をどのよう

に位置づけるか、また、そのための財源をどう確保していくかを含め、本施策の在り方について検討する必要がある。

- なお、検討に当たっては、がんなど他の慢性疾患との関係等を含め、改めて本施策の趣旨・目的を整理し、公平性の観点から、広く国民の理解が得られるものとする必要がある。

## (2) 基本的な枠組み

### ① 対象疾患の在り方

- 医療費助成の対象疾患については、「今後の難病対策の在り方について（中間報告）」（平成14年8月23日厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会）においてまとめられた、①症例が比較的少ないために全国的な規模で研究を行わなければ対策が進まない、②原因不明、③効果的な治療法未確立、④生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）の4要素を基本的には踏襲することが適当である。
- 対象疾患の範囲の拡大を含めた見直しにあたっては、より公平に対象疾患を選定する必要がある。一方で、効果的な治療方法が確立するなど治療成績等の面で状況の変化が生じた対象疾患については、引き続き対象疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価し、見直していくことも必要である。
- このため、対象疾患の選定及び見直し方法について具体的に検討し、広く国民の理解を得られる公平な仕組みとすることが必要である。その際、同じような性格の疾患にもかかわらず、疾患名の違いにより対象疾患の選定に差が生じることがないようにする必要がある。
- また、対象患者の範囲については、重症度等の基準を設定することが必要であり、具体的な基準の内容について検討する必要がある。
- 対象疾患の具体的な範囲については、現在、難治性疾患克服研究事業「今後の難病対策のあり方に関する研究班」において調査・分析を行っており、その結果等も参考に、今後更に検討する。

### ② 対象患者の認定等の在り方

- 医療費助成の対象疾患に罹患しているかどうかについては、専門医が診断基準に基づき的確に診断すべきであり、自治体の指定を受けた専門医の診断を要件とすることが必要である。また、良質かつ適切な医療を受けられるようにするため、緊急時を除き、自治体の指定を受けた医療機関で受診した場合に医療費助成を行うこととする必要がある。

この場合、病気の診断や治療の質等の担保と患者の利用のしやすさとの両立をどのように図るかについて留意する必要がある。

- 科学的根拠に基づく治療の適正化を行うため、疾患ごとの治療ガイドラインを策定し、周知徹底することが必要である。

その際、様々な新しい治療の試みを縛ってしまわないような配慮も必要である。

- 医療費助成の対象となる医療の範囲については、対象疾患及び対象疾患に付随して発現する傷病に対する医療に限定し、対象疾患に関係しない医療は対象外とする必要がある。
- 医療費助成を受ける前提として、本施策の目的である治療法の開発研究等に役立てるため、引き続き患者データの提供が行われるようにする必要がある。

この場合、精度の向上や有効活用の観点から、現行の臨床調査個人票の内容及びデータ収集の方法については見直しを行う必要がある。

なお、収集される患者データは災害時の対応等にも役立て得る正確なものとするべきとの意見があった。

- 医療費助成の認定手続きができるだけ患者や医療関係者、自治体の負担とならないよう検討する。
- ③ 給付水準の在り方

- 難病の特性を踏まえつつ他制度との均衡を図るとともに、施策の安定性を確保し、国民の理解を得られるよう、給付水準（公費で負担される額）の見直しを検討する必要がある。

<主な検討事項>

- ・ 入院時の食事及び生活に係る自己負担
- ・ 薬局での保険調剤に係る自己負担
- ・ 対象患者が負担する一部負担額（重症度基準、高額所得者、重症患者の取扱い等）

#### 4. 福祉サービスの在り方

- 「障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律」（以下「障害者総合支援法」という。）において、治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病であって政令で定めるものによる障害の程度が厚生労働大臣が定める程度である者も、障害児・者の範囲に加えられたことから、平成25年4月以降、障害者総合支援法に基づく障害福祉サービスに係る給付対象となる。

なお、児童福祉法上の障害児通所支援及び障害児入所支援についても同様の取扱いとなる。



- 障害者総合支援法の「治療方法が確立していない疾病」であって「政令で定めるもの」の疾病の具体的な範囲については、現在、難治性疾患克服研究事業「今後の難病対策のあり方に関する研究班」において調査・分析を行っており、その結果等の他、新たな難病対策における医療費助成の対象疾患の範囲も参考にしつつ、障害者総合支援法の施行に向け、検討する。
- 障害程度区分の認定に当たっては、難病ごとの特性（病状の変化や進行等）についてきめ細かく配慮する必要がある。

## 5. 難病相談・支援センターの在り方

- 難病相談・支援センターは、すべての難病を幅広くカバーし、あらゆる相談に自ら対応するばかりではなく、医療、福祉、行政など様々な機関と連携し、患者を適切なサービスに結びつけていく役割を担う必要がある。特に、医療機関、保健所、就労支援機関、子どもの相談支援機関等との連携の強化を図る必要がある。
- 難病相談・支援センターは、引き続き都道府県ごとに設置することとし、その運営は地域の実情に合わせて委託できることとするが、どの都道府県においても基本的な機能を果たせるような体制を確保する必要がある。
- 難病相談・支援センターの質の向上のため、職員の研修等を充実させるとともに、全国の難病相談・支援センターが連携し、互いに支援しあうことも必要である。
- 同じ病気の人との経験を聞く（ピアサポート）など患者の視点に立った相談・支援が行われるよう留意することが必要であり、そのためにも、患者間の相互支援の取組や相談・支援を担う人材の育成が重要である。
- 各都道府県の難病相談・支援センターの中心的な機能を担うセンターの在り方について検討する。

## 6. 難病手帳（カード）（仮称）の在り方

- 昨年の障害者基本法改正により、障害者の定義が見直され、「身体障害、知的障害、精神障害（発達障害を含む。）その他の心身の機能の障害（以下「障害」と総称する。）がある者であつて、障害及び社会的障壁により継続的に日常生活又は社会生活に相当な制限を受ける状態にあるもの」とされ、難病に起因する障害についても「その他の心身の機能の障害」に含まれると解されている。
- 身体障害、知的障害及び精神障害については、既に手帳制度が設けられているところ、難病手帳（カード）（仮称）の在り方については、その目的、効果、事務負担等を他制度の例も参考にしつつ、今後更に検討する。

## 7. 難病研究の在り方

### (1) 難病研究の対象

- 難病研究の対象については、引き続き、診断基準が確立されていないものも含め対象とすべきである。
- 現行の130疾患を指定し研究対象とする「臨床調査研究分野」とそれ以外の希少難治性疾患を研究対象とする「研究奨励分野」の区分けについては、総合的な難病対策を構築する際に根本的に見直すべきである。

### (2) 難病研究の重点化

- 診断基準の作成や病態解明等に加え、研究の最終目標として、治療法開発、創薬を重点的に目指すべきであり、特に医師主導治験を行う創薬実用化研究を推進する必要がある。
- 製薬企業等が難病の治療薬の開発に積極的に参加しやすくなるための環境整備が必要である。

### (3) 患者の参加と研究成果の還元

- 難病患者が治験を含めた研究に参加しやすくなるような仕組みが必要である。
- 研究の進捗状況や成果を患者、国民にわかりやすく伝えることが必要である。

### (4) 総合的な難病研究の実施と国際協力の推進

- 関係各省、関係者が一体となった難病研究開発の総合戦略が必要である。
- 難病の病態解明、治療方法の開発、創薬研究を促進するため、欧米をはじめとした国際協力を進めることが必要である。また、患者団体間の国際連携も重要である。

## 8. 難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方

### (1) 「新・難病医療拠点病院（仮称）」の整備

- どこに行っても診断がつかない、治療経験のある医師が見つからない等の難病患者が医療を受ける上での困難を克服するため、都道府県は、現在の難病医療拠点病院をさらに発展させ、医療費助成のために指定された医療機関の中から、難病の診断・治療に関して高い専門性と経験を有する拠点的な医療機関（新・難病医療拠点病院（仮称））を整備することが必要である。（医療費助成は必ずしも「新・難病医療拠点病院（仮称）」での診断・治療に限定するものではない。）
- 「新・難病医療拠点病院（仮称）」には、概ねすべての疾患領域に対応し得る「総合型（仮称）」と特定の疾患群について専門性の高い「特定領

域型（仮称）」を含める必要がある。

(2) 難病患者の長期にわたる治療・療養を支える体制（環境）の整備

- 様々な病態やステージにある難病患者に対し、長期にわたり適切な外来・入院医療を提供するためには、「新・難病医療拠点病院（仮称）」等の一部の限定された医療機関だけでなく、地域の様々な専門性・役割を持つ医療費助成のために指定された医療機関が連携し、難病医療を担う必要がある。また、連携を促進する手段として、例えば、連携パスのような仕組みを構築することも有用である。
- 難病患者が地域で包括的な医療、看護、介護サービスを受けることができるよう、都道府県は、現在の難病医療拠点病院や難病医療協力病院をさらに発展させ、医療費助成のために指定された医療機関の中から、地域の実情を踏まえつつ、概ね二次医療圏に1か所程度「難病医療地域基幹病院（仮称）」を整備し、「新・難病医療拠点病院（仮称）」や地域の様々な医療機関と連携し、地域で難病医療・福祉サービスを提供する人材の育成や入院・療養施設の確保を進める必要がある。
- 現在の難病医療専門員をさらに発展させ、「難病医療地域基幹病院（仮称）」等に、在宅難病患者の地域の医療機関等での受け入れ調整や入院患者の退院調整等を行う難病医療コーディネーター（仮称）を置くことも有用と考えられる。
- 地域で生活する難病患者が安心して療養できるよう、地域の診療医、看護、介護、福祉サービスの担い手の量及び質を高めるとともに、関係機関のネットワークを充実させる必要がある。このため、地域の特性を把握し、難病患者に対する支援体制を整備するため、現在の地域の取組をさらに発展させ、保健所を中心とした「難病対策地域協議会（仮称）」を設置することについて検討する。
- 特に極めて希少な疾患については、全国的にも患者数が数名という場合もあり、これら希少疾患に対し高度専門的な対応ができるセンター（難病治療研究センター（仮称））の在り方について検討する。
- 難病医療・福祉サービスの地域間格差を是正するため、医療福祉従事者の教育研修、患者・家族を含む関係者間のネットワークによる情報共有、助言・協力等を促進する必要がある。
- 難病患者・家族が地域で安心して生活し続けることができるよう、難病の在宅医療・看護・介護の在り方について、当事者も参画の上、引き続き、研究・検討する。さらに、コミュニケーション支援、災害対策、レスパイトの場の確保、在宅療養の安全確保等、難病患者の特殊性に配慮した支援についても考える必要がある。

## 9. 就労支援の在り方

- 難病患者の就職・復職や就職後の雇用管理については、まずは、難病に関する知識（通院への配慮等）や既存の支援策（難治性疾患患者雇用開発助成金（注）等）の普及啓発が重要であり、事業主や関係機関への周知が必要である。
- 加えて、既存の支援策の充実や難病相談・支援センターと就労支援機関等の関係機関との連携体制の強化を行うべきである。

また、民間の職業紹介事業者等の活用について検討すべきとの意見があった。

（注）難病のある人の雇用を促進し、職業生活上の課題を把握するため、難病のある人をハローワークの職業紹介により常用労働者として雇い入れ、雇用管理に関する事項を把握・報告する事業主に対する助成を行うもので、平成21年度に創設。

## 10. 難病を持つ子どもへの支援の在り方

- 難病相談・支援センターにおいて、子どもの相談支援機関や小児の難病に対応できる医療機関等と連携しつつ、難病の子どもや保護者の相談（学校との連携、社会性の育成等を含む）に引き続き対応すべきである。
- 治療研究において、小児の難病の研究も引き続き行うべきである。また、極めて希少な疾患に高度専門的な対応ができるセンターの検討に際して、小児の極めて希少な難病についても考慮すべきである。
- 「新・難病医療拠点病院（仮称）」の「特定領域型（仮称）」に小児の難病に対応できる医療機関を含めるとともに、「総合型（仮称）」において小児の難病への対応及び必要に応じて小児期の担当医師と成人疾患を担当する医師との連携を図るべきである。また、連携を促進する手段として、例えば、連携パスのような仕組みを構築することも有用である。
- 総合的な難病対策の在り方の検討に当たっては、小児期の難病患者の特性にも配慮するとともに、教育支援、就労支援を含む総合的な自立支援についても検討を行う必要がある。

## 11. 小児慢性特定疾患治療研究事業（注）の対象者等小児期から難病に罹患している者が成人移行（トランジション）する場合の支援の在り方

- 患者は小児から成人にかけて継続して治療が必要となる場合もあることから、切れ目のない支援の在り方を検討すべきである。
- 小児期に発症する難病の成人後の医療・ケアに携わる医療従事者に対する研修等を行うとともに、小児期からの担当医師等との連携を促進する必要がある。

- 総合的な難病対策の在り方の検討に当たっては、小児慢性特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患している者については、小児期に長期の療養生活を余儀なくされてきたなどの特性にも配慮するとともに、教育支援、就労支援を含む総合的な自立支援についても検討を行う必要がある。
- (注)「治療が長期間にわたり、医療費の負担も高額となり、これを放置することは児童の健全な育成を阻害することとなる」疾患を対象として、医療保険の自己負担分を公費で助成している。対象年齢は18歳未満であるが、18歳になるまでに認定を受けており、引き続き治療が必要と認められる人については、20歳未満まで延長されている。

## おわりに

本委員会は、総合的な難病対策の在り方について審議を行い、本中間報告をとりまとめた。

本委員会の中間報告に対して、関係各方面からの積極的な御意見を期待するとともに、本委員会としても、総合的な難病対策の構築を目指し、さらに専門的な立場から検討を続けていきたい。

なお、行政関係者におかれては、この中間報告に記載された事項のうち、法制化の要否の検討が必要なものについては、早急に検討作業に取り組んでいただくよう要請する。

今後、本委員会としては、これまでの審議経過を踏まえ、厚生科学審議会疾病対策部会へ報告を行い、さらに事務局より今後の検討課題及びその手順について整理を得た上で検討を進め、本委員会としての最終報告を厚生科学審議会疾病対策部会に提出することとしたい。

## 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会の開催実績

- 第 1 回 平成 13 年 9 月 19 日 難病対策委員会の設置について、難病対策の概要について
- 第 2 回 平成 13 年 11 月 15 日 難病対策の概要(過去の委員会等の報告内容及び対応状況)
- 第 3 回 平成 13 年 12 月 7 日 特定疾患治療研究事業対象疾患の現状に関するヒアリング
- 第 4 回 平成 14 年 1 月 21 日 特定疾患治療研究事業対象疾患の現状に関するヒアリング
- 第 5 回 平成 14 年 3 月 15 日 論点の整理と討論
- 第 6 回 平成 14 年 5 月 23 日 今後の難病対策の在り方についての中間報告(素案)
- 第 7 回 平成 14 年 7 月 31 日 今後の難病対策の在り方について(中間報告)(案)について
- 第 8 回 平成 21 年 2 月 10 日 平成21年度における難病対策関連予算について
- 第 9 回 平成 21 年 7 月 30 日 難病対策について
- 第 10 回 平成 22 年 2 月 15 日 今後の難病対策(平成22年度難病対策予算・研究費等)
- 第 11 回 平成 22 年 5 月 10 日 今後の難病対策について
- 第 12 回 平成 22 年 8 月 30 日 今後の難病対策について
- .....
- 第 13 回 平成 23 年 9 月 13 日 難治性疾患対策の現状について
- 第 14 回 平成 23 年 9 月 27 日 今後の難治性疾患対策の在り方について
- 第 15 回 平成 23 年 10 月 19 日 これまでの委員会の議論の論点整理、難治性疾患の定義
- 第 16 回 平成 23 年 11 月 10 日 関係者ヒアリング(NPO、難病支援センター、患者団体、研究者)
- 第 17 回 平成 23 年 11 月 14 日 関係者ヒアリング(患者団体、研究者等)、論点整理の修正
- 第 18 回 平成 23 年 12 月 1 日 中間的な整理、関係者ヒアリング(障害者雇用対策課)
- 第 19 回 平成 24 年 1 月 17 日 平成24年度難病対策予算、在宅看護・介護等の在り方等
- 第 20 回 平成 24 年 2 月 9 日 障害福祉施策のこれまでの検討状況、WGの設置  
(2月から6月にかけて難病研究・医療WGと難病在宅看護・介護等WGをそれぞれ3回ずつ開催)
- 第 21 回 平成 24 年 7 月 3 日 WGの検討状況の報告
- 第 22 回 平成 24 年 7 月 17 日 難病手帳(仮称)の在り方、今後の難病対策の在り方(論点整理)
- 第 23 回 平成 24 年 8 月 16 日 難病を持つ子どもへの支援の在り方、中間報告の取りまとめ

## 難病対策に関する意見交換会の概要

日時：平成24年8月18日（土）13：00～17：45

場所：（社）全国社会保険協会連合会研修センター

参加者：難病患者団体等50団体の方々（別紙）

※厚生労働省 辻副大臣、外山健康局長、松岡総務課長、山本疾病対策課長、泉母子保健課長 他

概要：全国の難病患者団体の方が参加し、日常生活において難病患者が抱える困難さや、医療や介護・福祉サービス等に関する厚生労働省への要望などについて意見交換を実施。

## 主なご意見

- 難病対策全般について
  - ・ 難病患者の実態を踏まえたうえで、難病患者が安心して暮らせるような医療や福祉等総合的な対策を行ってほしい。
  - ・ 制度設計において、患者等当事者を排除しないでほしい。
  - ・ 難病に関する普及啓発を推進し、難病の認知度を上げ、働きにくさやいじめ・差別を解消してほしい。
  - ・ 患者会を社会資源として活用できるような体制づくりをしてほしい。
  - ・ 難病を患う親の育児を支援する仕組みがほしい。
- 「難病」の定義、範囲の在り方について
  - ・ 要件を満たす疾患は全ての難病の範囲となるようにすべき。
  - ・ 研究と福祉は分けて考えるべき。
- 医療費助成の在り方について
  - ・ 対象疾患の範囲について、公平、公正に選定すべき。
  - ・ 患者数が増えたからといって、対象から外さないでほしい。
  - ・ （現行の医療費助成の対象外の疾患について）医療費助成を行ってほしい。
  - ・ 医療費だけでなく、通院等の際に必要な交通費の助成も行ってほしい。
- 福祉サービスの在り方について
  - ・ 障害・疾患別に福祉サービスのメニューを決めるのではなく、患者個々の状況に応じて必要なサービスが提供されるような仕組みにしてほしい。
  - ・ 制度の谷間になる人が出ないような仕組みを考えてほしい。
  - ・ 難病患者に特化したケア（グループ）ホームを整備してほしい。
- 難病相談・支援センターの在り方について
  - ・ 現行の難病相談・支援センターの均一化、レベルアップを図るため、全国難病相談・支援センターを設置してほしい。
  - ・ 人員体制の強化・拡充を図ってほしい。

- 難病手帳（カード）（仮称）の在り方について
  - ・ 難病患者への福祉・就労支援策を充実するため、難病手帳を実現してほしい。
  - ・ 身体障害者手帳と同等の難病手帳を作してほしい。
  - ・ 新たな谷間をつくるような手帳制度はつくるべきでない。
- 難病研究の在り方について
  - ・ 治療方法の確立に向け、治療研究が継続されるよう安定的に研究費を助成していただきたい。
  - ・ 少数例でも治療法確立が見込める疾患については、積極的に研究支援してほしい。
  - ・ 治験など、早く結果が出るようにしてほしい。
- 難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方について
  - ・ 専門医を計画的に養成するとともに、医療関係者や医学生に対して難病に関する知識を普及させてほしい。
  - ・ 全国どこでも、安心して入院・治療できる環境を整備してほしい。
  - ・ 遺伝子診断を充実させ、またその相談支援を拡充してほしい。
- 就労支援の在り方について
  - ・ 障害者手帳の有無にかかわらず、難病患者を障害者の法定雇用率の対象に加えてほしい。
  - ・ 難病患者に関する助成金の対象範囲を拡大してほしい。
  - ・ 通院への配慮や休暇制度など、難病に罹患していても働ける環境をつくってほしい。
- 難病を持つ子どもへの支援の在り方、小児慢性疾患特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患している者が成人移行する場合の支援の在り方について
  - ・ 成人になると医療費助成等の支援が受けられなくなる問題を解消してほしい。
  - ・ 難病の子どもをもつ親、家族への支援を充実させてほしい。
- 障害者施策全般関係
  - ・ 障害者手帳の交付基準や等級認定基準について、医学モデルではなく、社会モデルに基づく患者の実態に見合った制度へ改善してほしい。
  - ・ 障害者手帳の交付基準や等級認定基準について、患者目線で緩和、見直してほしい。
- 医療保険制度関係
  - ・ 高額療養費制度などの見直しが必要。
  - ・ 高額療養費の所得区分は本人所得のみで判定してほしい。
  - ・ 先進的な治療薬等について、早期に承認・保険適用してほしい。
- 薬事関係
  - ・ 外国で品質、有効性、安全性の確認がなされている薬が早期承認されるようにしてほしい。
  - ・ 希少疾病用医薬品や希少疾病用医療機器の開発を支援してほしい。



## 「難病対策に関する意見交換会」参加団体等一覧

別紙

NO	患者団体名	主な疾患名	加入患者数
1	RSD山口はるかさんを支える会	複合性局所疼痛症候群(CRPS(RSD、カウザルギー))	連携患者等数150名程
2	アイザックス症候群りんごの会	アイザックス症候群	会員23名(うち患者本人17名 2012年7月現在)
3	IBDネットワーク	潰瘍性大腸炎、クローン病	3100名
4	岩手県難病・疾病団体協議会		4000名
5	ウエルナー症候群患者家族の会	ウエルナー症候群	13名
6	SJS患者会	スティーブンス・ジョンソン症候群、中毒性表皮壊死症	130名
7	S.D.C.P～発声障害患者会	けいれん性発声障害を主とする発声障害	513名
8	大阪難病連事務局	1型糖尿病	300名
9	下垂体患者の会	下垂体機能障害	300名
10	公益財団法人がんの子どもを守る会	白血病、脳腫瘍等	約1900名
11	特定非営利活動法人 希少難病患者支援事務局 SORD-ソルド	難治性疾患克服研究事業対象外疾患	560名(登録患者)
12	NPO法人「筋痛性脳脊髄炎の会」	筋痛性脳脊髄炎/慢性疲労症候群	200名弱
13	glut1異常症患者会	グルコーストランスポーター1(glut-1)欠損症(異常症)	23名
14	血管腫・血管奇形の患者会	血管腫・血管奇形	114名(8月9日現在)
15	混合型血管奇形型の難病指定を求めめる会	混合型血管奇形	95名
16	再発性多発軟骨炎患者支援の会	再発性多発軟骨炎	54名
17	小児神経伝達物質病家族会	AADC欠損症、SSADH欠損症、TH欠損症 他	4名
18	スモンの会全国連絡協議会	スモン	600名
19	NPO法人線維筋痛症友の会	線維筋痛症	2400名
20	全国膠原病友の会	全身性エリテマトーデス、強皮症、皮膚筋炎、多発性筋炎、混合性結合組織病、大動脈炎症候群、結節性多発動脈炎、悪性関節リウマチ、成人スティル病、再発性多発軟骨炎、シェーグレン症候群、関節リウマチ、ウェゲナー肉芽腫症、アレルギー性肉芽腫性血管炎、側頭動脈炎、リウマチ性多発筋痛症、若年性特発性関節炎、小児膠原病など	5000名
21	一般社団法人全国心臓病の子どもを守る会	心疾患	4500世帯
22	全国脊髄損傷後疼痛患者の会	脊髄障害性疼痛症候群、脊髄損傷による中枢性神経障害性疼痛	35名
23	全国脊柱靭帯骨化症患者家族連絡協議会	脊柱靭帯骨化症	1160名

24	全国多発性硬化症友の会	多発性硬化症	550名
25	全国HAM患者友の会「アトムの会」	HTLV-1関連脊髄症(HAM)	350名
26	一般社団法人全国パーキンソン病友の会	パーキンソン病	8000名
27	竹の子の会 プラダー・ウィリー症候群児・者親の会	プラダー・ウィリー症候群	584名
28	多発性嚢胞腎財団日本支部	多発性嚢胞腎	207名
29	胆道閉鎖症の子どもを守る会	胆道閉鎖症	1100名
30	中枢性尿崩症(CDI)の会	中枢性尿崩症	85名
31	特定非営利活動法人東京難病団体連絡協議会	膠原病、ALS、多発性硬化症、筋無力症、ベーチェット病、脊柱靭帯骨化症、網膜色素変性症など	11,000名
32	特定非営利活動法人難病の子ども支援全国ネットワーク		900名
33	難病をもつ人の地域自立生活を確立する会	腎臓病、全身性エリテマトーデス、1型糖尿病、癌	50名
34	特定非営利活動法人日本IDDMネットワーク	1型糖尿病	約2500名
35	日本ALS協会	ALS(筋萎縮性側索硬化症)	5346名(会員数) 2055名(患者・家族)
36	日本肝臓病患者団体協議会	肝臓病全般(ウイルス性肝炎、自己免疫性肝疾患、代謝性肝疾患等)	8500名(31県63地域団体、他に2疾病団体)
37	一般社団法人日本難病・疾病団体協議会		約30万人
38	NPO法人日本プラダー・ウィリー症候群(PWS)協会	プラダー・ウィリー症候群(PWS)	111名
39	特定非営利活動法人日本マルファン協会	マルファン症候群 類似疾患	101名
40	日本網膜色素変性症協会	網膜色素変性症	約4000名
41	公益社団法人日本リウマチ友の会	関節リウマチ	約18000名
42	社会福祉法人はばたき福祉事業団	HIV、血友病、C型肝炎	420名
43	NPO法人PIDつばさの会	原発性免疫不全症	約120家族
44	PADM遠位型ミオパチー患者会	遠位型ミオパチー	132名 (2012年6月末時点)
45	PKDの会	多発性嚢胞腎	180名
46	フリースペース彩～内部障害・難病当事者ネットワーク～	先天性ミオパチー、筋痛性脳脊髄炎(慢性疲労症候群)、サルコイドーシス、ミオトニー症候群、全身性エリテマトーデス etc	30名
47	財団法人北海道難病連	IBD、パーキンソン病、リウマチ、ALS等 32団体	1万家族
48	宮崎県難病団体連絡協議会	パーキンソン、腎臓、ALS 他	約2000名
49	もやもや病の患者と家族の会	モヤモヤ病(ウイルス動脈輪閉塞症)	1200名
50	和歌山県難病団体連絡協議会所属 近畿つぼみの会和歌山県支部(小児期発症インスリン依存型糖尿病患者家族の会)		23名

※団体順は、法人格を除いた50音

# 今後の関係各部署の取組について

1. 障害保健福祉部提出資料……………P.1
2. 雇用均等・児童家庭局提出資料……………P.4
3. 高齢・障害者雇用対策部提出資料…P.7
4. 医政局・医薬食品局提出資料……………P.11

# 1. 障害保健福祉部提出資料

# 地域社会における共生の実現に向けて 新たな障害保健福祉施策を講ずるための関係法律の整備に関する法律の概要

(平成24年6月20日 成立、同6月27日 公布)

障がい者制度改革推進本部等における検討を踏まえて、地域社会における共生の実現に向けて、障害福祉サービスの充実等障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するため、新たな障害保健福祉施策を講ずるものとする。

## 1. 題名

「障害者自立支援法」を「障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律(障害者総合支援法)」とする。

## 2. 基本理念

法に基づく日常生活・社会生活の支援が、共生社会を実現するため、社会参加の機会の確保及び地域社会における共生、社会的障壁の除去に資するよう、総合的かつ計画的に行われることを法律の基本理念として新たに掲げる。

## 3. 障害者の範囲(障害児の範囲も同様に対応。)

「制度の谷間」を埋めるべく、障害者の範囲に難病等を加える。

## 4. 障害支援区分の創設

「障害程度区分」について、障害の多様な特性その他の心身の状態に応じて必要とされる標準的な支援の度合いを総合的に示す「障害支援区分」に改める。

※ 障害支援区分の認定が知的障害者・精神障害者の特性に応じて行われるよう、区分の制定に当たっては適切な配慮等を行う。

## 5. 障害者に対する支援

- ① 重度訪問介護の対象拡大(重度の肢体不自由者等であって常時介護を要する障害者として厚生労働省令で定めるものとする)
- ② 共同生活介護(ケアホーム)の共同生活援助(グループホーム)への一元化
- ③ 地域移行支援の対象拡大(地域における生活に移行するため重点的な支援を必要とする者であって厚生労働省令で定めるものを加える)
- ④ 地域生活支援事業の追加(障害者に対する理解を深めるための研修や啓発を行う事業、意思疎通支援を行う者を養成する事業等)

## 6. サービス基盤の計画的整備

- ① 障害福祉サービス等の提供体制の確保に係る目標に関する事項及び地域生活支援事業の実施に関する事項についての障害福祉計画の策定
- ② 基本指針・障害福祉計画に関する定期的な検証と見直しを法定化
- ③ 市町村は障害福祉計画を作成するに当たって、障害者等のニーズ把握等を行うことを努力義務化
- ④ 自立支援協議会の名称について、地域の実情に応じて定められるよう弾力化するとともに、当事者や家族の参画を明確化

平成25年4月1日(ただし、4. 及び5. ①～③については、平成26年4月1日)

- ① 常時介護を要する障害者等に対する支援、障害者等の移動の支援、障害者の就労の支援その他の障害福祉サービスの在り方
  - ② 障害支援区分の認定を含めた支給決定の在り方
  - ③ 障害者の意思決定支援の在り方、障害福祉サービスの利用の観点からの成年後見制度の利用促進の在り方
  - ④ 手話通訳等を行う者の派遣その他の聴覚、言語機能、音声機能その他の障害のため意思疎通を図ることに支障がある障害者等に対する支援の在り方
  - ⑤ 精神障害者及び高齢の障害者に対する支援の在り方
- ※上記の検討に当たっては、障害者やその家族その他の関係者の意見を反映させる措置を講ずる。

# 障害者の範囲の見直し

- 制度の谷間のない支援を提供する観点から、障害者の定義に新たに難病等（治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病であって政令で定めるものによる障害の程度が厚生労働大臣が定める程度である者）を追加し、障害福祉サービス等の対象とする。【平成25年4月1日施行】

難病患者等で、症状の変動などにより、身体障害者手帳の取得ができないが一定の障害がある方々に対して、障害福祉サービスを提供できるようになる。

これまで補助金事業として一部の市町村での実施であったが、全市町村において提供可能になる。受けられるサービスが、ホームヘルプサービス、短期入所、日常生活用具給付だけでなく、新法に定める障害福祉サービスに広がる。

## 《現状》

- ★ 障害者自立支援法における支援の対象者は、以下のとおり。
  - ・ 身体障害者福祉法第4条に規定する身体障害者
  - ・ 知的障害者福祉法にいう知的障害者
  - ・ 精神保健及び精神障害者福祉に関する法律第5条に規定する精神障害者（発達障害者を含み、知的障害者を除く。）
- ★ 身体障害者の定義 永続し、かつ一定以上の障害があるものを対象  
身体障害者の範囲 身体障害者福祉法別表に限定列举  
⇒症状が変動しやすいなどにより難病患者等が障害福祉サービスの支援の対象外となる場合がある。
- ★ 難病患者等居宅生活支援事業（ホームヘルプサービス、短期入所、日常生活用具給付）  
事業を実施する市町村に対し、国が費用の一部を補助(平成24年度予算:2億円、健康局予算事業)  
難治性疾患克服研究事業の対象である130疾患と関節リウマチの患者を対象

- ◎ 対象となる者の範囲については、政令で定めることとしており、厚生科学審議会難病対策委員会での議論等を踏まえ、施行（平成25年4月1日）に向けて検討する。

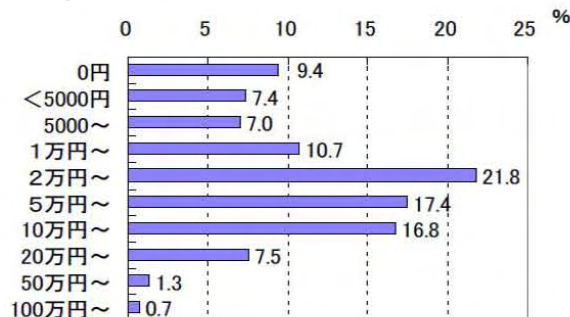
## 2. 雇用均等・児童家庭局提出資料

# 小児慢性特定疾患治療研究事業の患者のニーズと医療費負担等の実態調査

(出典)平成23年度厚生労働科学研究費補助金(成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業)「小児慢性特定疾患のキャリアオーバー患者の実態とニーズに関する研究」

## 全国640施設の20歳以上移行者6,356人のうち、839人の患者又は家族のアンケート結果

### ①医療費自己負担の分布(年額)



中央値 36,000円

9.5%が200,000円以上

### ②医療費助成受給状況

医療費助成の受給 (n=839)

受給していない 495人 (59%)

受給している 227人 (27%)

わからない・不明 117人 (14%)

受給していない (n=495)

疾患が助成制度の対象外 294人 (60%)

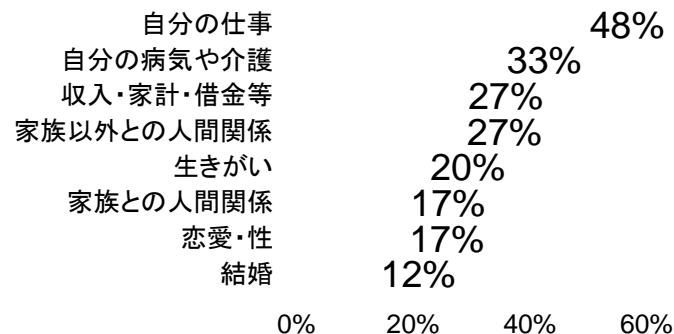
助成制度対象疾患ではあるが  
軽症、所得制限により対象外 56人 (11%)

受給している (n=227)

難病(特定疾患) 124人 (55%)

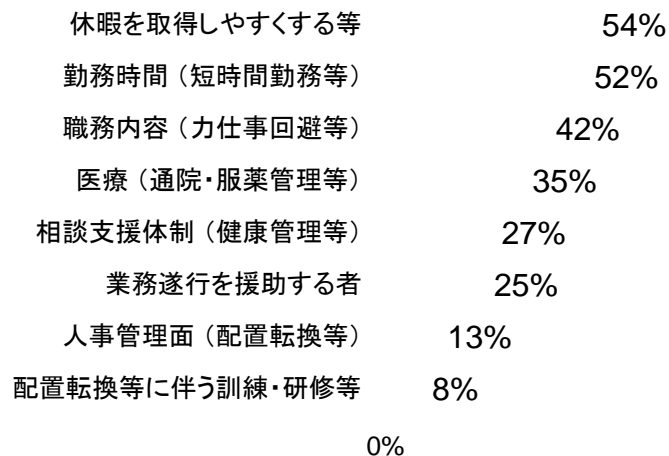
自立支援医療(更正医療) 20人 (9%)

### ③ストレスや悩みの原因



約半数が仕事の悩みを抱えている

### ④症状悪化又は職場での疾患への理解配慮がなかったために退職した方のうち雇用先にしてほしかった配慮



### ⑤就労状況

不明	3%
仕事なし	43%
仕事あり	54%

### ⑥未就労者の状況

仕事をしていない理由 (n=359)

働く必要なし(学生、主婦等) 145人 (40%)

症状が重く就労は困難又は症状により求職活動に取り組めない 79人 (22%)

求職活動したが就職不可 39人 (11%)

求職活動支援制度の利用 (n=39)

利用した 10人 (26%)

利用していない 24人 (62%)

求職活動支援を利用しない理由 (n=24)

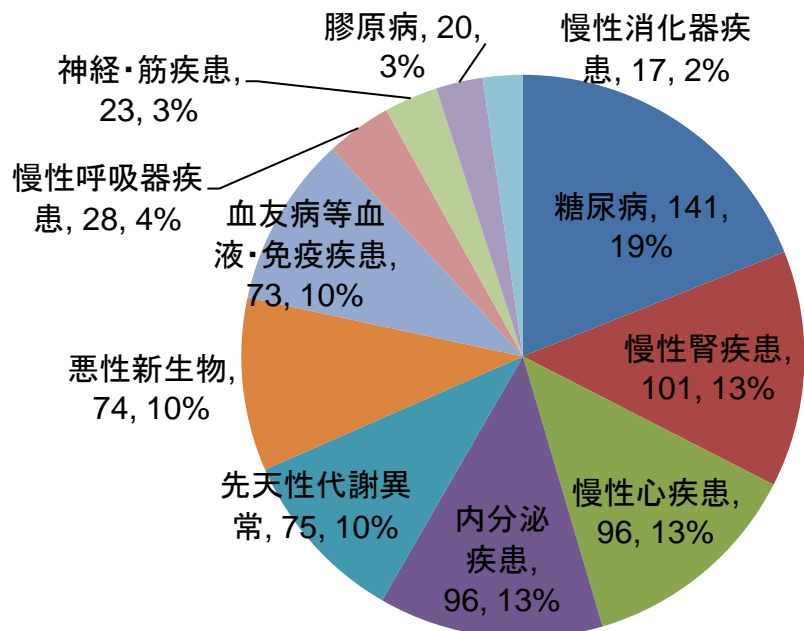
利用の対象とならない 6人 (25%)

利用する必要がない 6人 (25%)

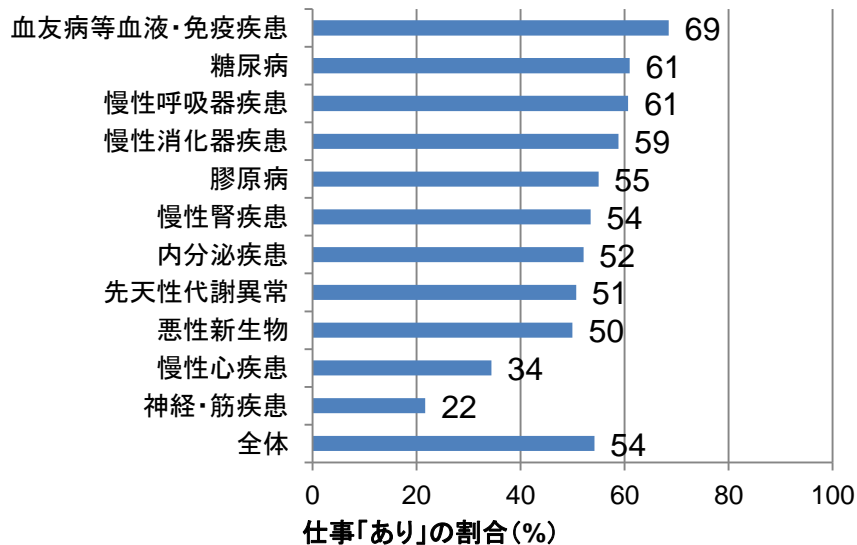
必要とする求職活動支援がない 1人 (4%)



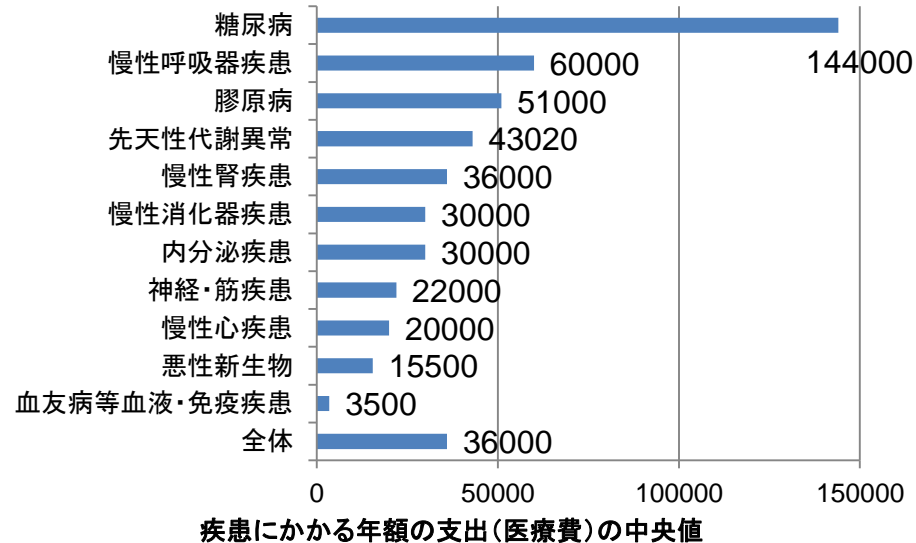
### ⑦疾患群別の患者数、割合



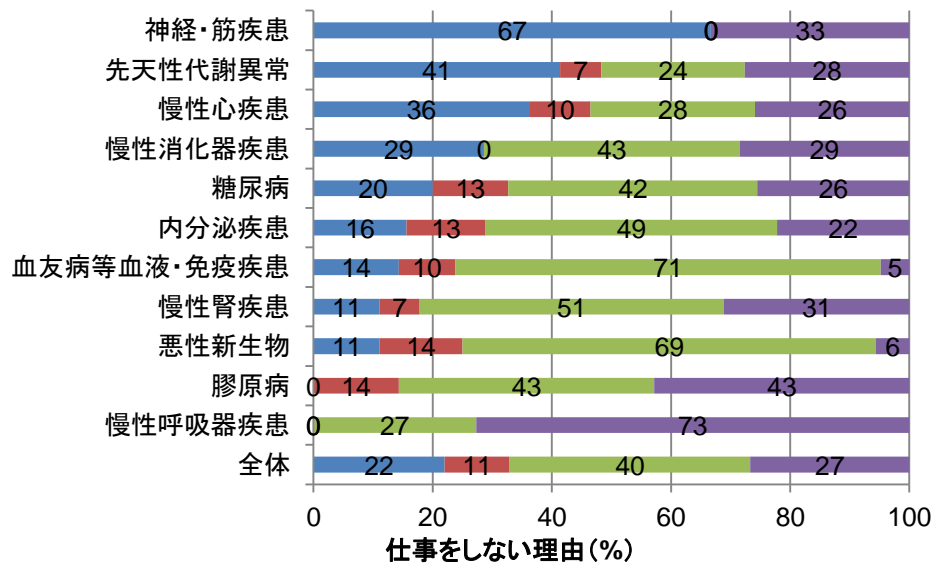
### ⑧疾患群別の就労状況



### ⑨疾患群別の医療費の年額支出(中央値)



### ⑩疾患群別にみた、仕事をしない理由



### 3. 高齡・障害者雇用対策部提出資料

# 難病がある人の雇用支援施策

## ◎難病がある人を対象とした支援施策

### (1) 難治性疾患患者雇用開発助成金

難病のある人を雇用し、適切な雇用管理等を行った事業主に対する助成を行うことにより、難病のある人の就労を支援するとともに、その雇用管理上の課題等の把握を行う。

〔平成23年度支給件数 236件／雇入れ件数 239人〕

## ◎難病がある人が利用できる支援施策

### (1) ハローワークにおける職業相談・職業紹介

ハローワークが中心となって、地域の福祉施設、特別支援学校等の関係機関と連携した「障害者就労支援チーム」を編成し、就職から職場定着まで一貫して支援を行う「チーム支援」を推進する。

### (2) 障害者就業・生活支援センター事業の拡充

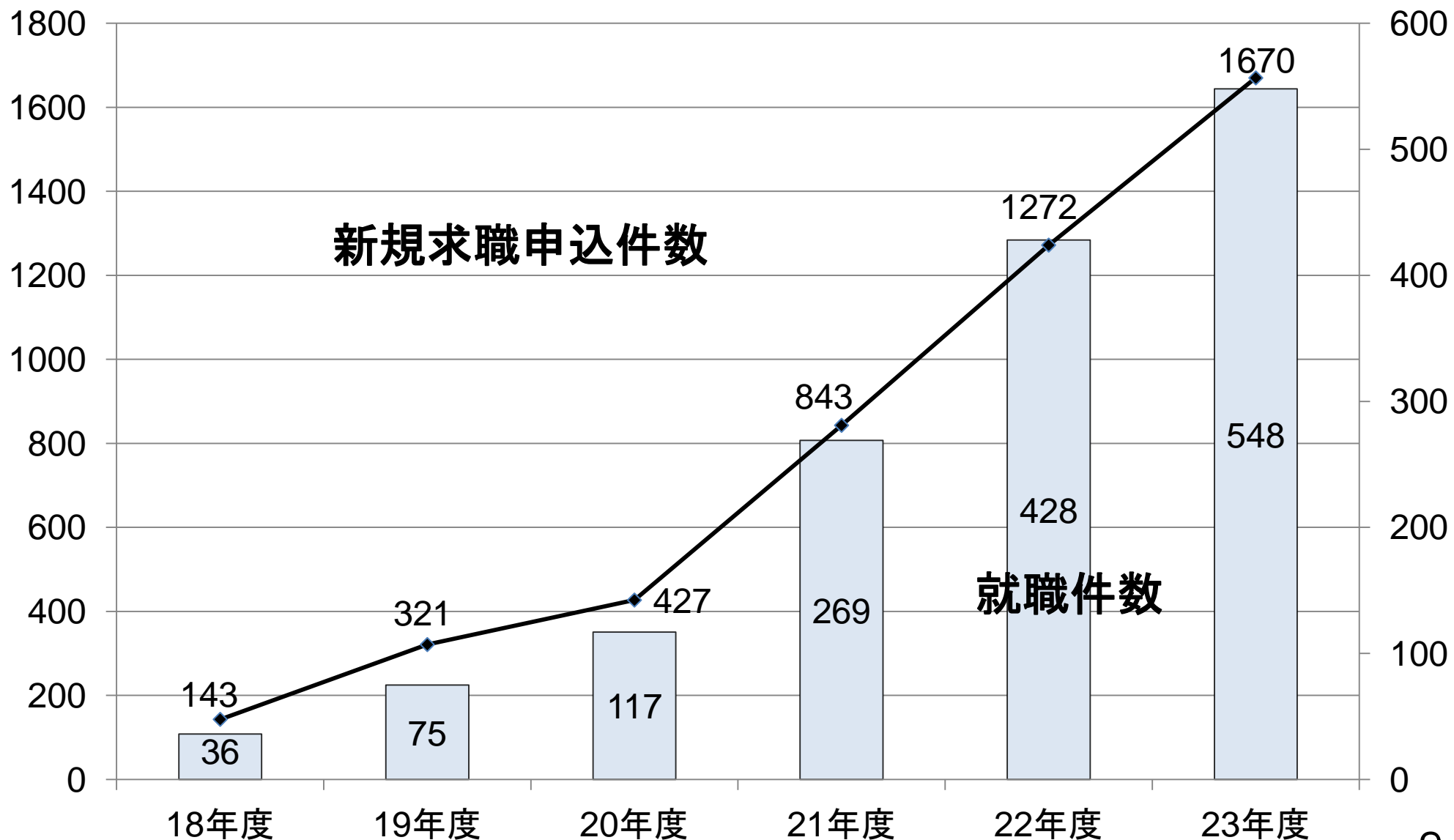
障害者の身近な地域において就業面及び生活面の一体的な相談・支援を行う「障害者就業・生活支援センター」について、全障害保健福祉圏域（現在361圏域）への設置に向け、設置箇所数の拡充等を図る。

（設置箇所数 327センター（315センター（平成24年5月現在））

### (3) 障害者試行雇用（トライアル雇用）事業の推進

事業主に障害者雇用のきっかけを提供するとともに、障害者に実践的な能力を取得させて常用雇用へ移行するため、短期間の試行雇用（トライアル雇用）を実施する。（対象者 9,200人）

# ハローワークにおける難病患者の職業紹介状況



# 難治性疾患患者雇用開発助成金

## 1 趣旨

いわゆる難病のある人は、その疾病の特性により、就職・職場定着の面で様々な制限・困難に直面しているが、事業主においては、難病のある人の雇用経験が少ないことや、難病のある人について職務遂行上障害となる症状等が明確になっていないことなどから、適切な雇用管理を行うことが困難な状況にある。

このため、難病のある人を新たに雇用し、雇用管理に関する事項を把握・報告する事業主に対する助成を試行的に行い、難病のある人の雇用を促進し職業生活上の課題を把握する。



## 2 内容

### (1) 対象事業主

難病のある人※1を、継続して雇用する労働者として新たに雇い入れる事業主

### (2) 支給金額

50万円(中小企業の場合 135万円)※2

### (3) 雇用管理に関する事項の把握・報告

事業主は、対象労働者に関する勤務状況、配慮した事項その他雇用管理に関する事項を把握・報告

※1 特定疾患(56疾患)か否か、重症度等を問わず、モデル的に難治性疾患克服研究事業(臨床調査研究分野)の対象疾患(平成22年4月現在で130疾患)を対象とする。

また、筋ジストロフィーを含む。

※2 特定求職者雇用開発助成金と同様、雇入れ後6ヶ月経過ごとに2回(中小企業の場合は3回)に分けて支給する。

## 4. 医政局・医薬食品局提出資料

# 臨床研究・治験活性化5か年計画2012の概要(1)

文部科学省・厚生労働省 平成24年3月30日策定

## 1. 9年間の活性化計画を踏まえた更なる飛躍と自立

これまでの取組の成果を踏まえ、人材育成に取り組むとともに、より良い治験環境・治験実施体制を構築する

### (1) 症例集積性の向上

共同IRB\*の活用やネットワーク事務局の機能強化等による治験ネットワークの促進

### (2) 治験手続きの効率化

「治験等の効率化に関する報告書」に記載された方策の徹底

### (3) 医師等の人材育成及び確保

CRC\*、IRB委員等を対象とした研修の継続的な実施  
臨床研究・治験に精通する医師やその他の医療関係職種の育成

### (4) 国民・患者への普及啓発

臨床研究・治験の意義に関する普及啓発

### (5) コストの適正化

出来高払い制度の徹底と治験のコストの適正化についての検討

### (6) IT技術の更なる活用 等

IRB等の業務のIT化 等

\* IRB: 治験審査委員会 (Institutional Review Board)    CRC: 臨床研究コーディネーター (Clinical Research Coordinator)

注) 本計画では、今後2～3年以内に達成すべき事項を「短期的に目指すこと」、今後5年以内に達成、又は検討に着手すべき事項を「中・長期的に目指すこと」と整理している

## 2. 日本発の革新的な医薬品、医療機器等創出に向けた取組 (イノベーション)

### (1)臨床研究・治験の実施体制の整備

- ・質の高い臨床研究等を実施する拠点の整備(橋渡し研究支援拠点、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院、日本主導型グローバル臨床研究拠点)

### (2)臨床研究における倫理性及び質の向上

- ・「臨床研究に関する倫理指針」について、その他の指針との関係を整理
- ・倫理指針において、被験者保護に加えて臨床研究の質についても規定するよう検討
- ・倫理審査委員会の認定制度の導入等により、倫理審査委員会の審査の質の向上を推進

### (3)開発が進みにくい分野への取組の強化等

- ・小児疾患、希少・難治性疾患、医療機器、先端医療への取組等
- ・質の高い臨床研究に対する研究費等の優先的配分

### (4)大規模災害が発生した際の迅速な対応

- ・災害発生時の被験者の安全やデータの信頼性の確保



医療上の必要性が高いにも関わらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品・医療機器の開発を支援する。

## オーファンドラッグ・デバイスの指定要件

対象者数が国内において5万人に達しないこと

代替する適切な医薬品・医療機器又は治療方法がないこと、又は既存の医薬品・医療機器と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること

対象疾病に対して、当該医薬品・医療機器を使用する根拠があり、開発計画が妥当であること

これらの条件を  
満たす医薬品・  
医療機器を指定  
(薬事法第77条の2)

総審査期間の中央値  
(平成23年度PMDA目標)

新医薬品（優先品目）9ヵ月（通常品目は12ヵ月）  
新医療機器（優先品目）は15ヵ月（通常品目は20ヵ月）

医薬品においては通常8年を10年、医療機器においては通常4年を7年に延長。

※再審査期間：先発品がこの期間中である場合は、後発品であっても承認申請の際に、先発品と同様の資料が必要。  
(→その結果、この期間は先発品の開発企業のみが市場供給を行う場合が多い。)

指定から承認申請までに必要な試験研究に要する直接経費の2分の1に相当する額を上限。

助成金を除くオーファンドラッグ等の試験研究費総額の12%が税控除の対象。

# 「今後の難病対策の在り方(中間報告)」に係る参考資料 目次

「はじめに」関係	
・難病対策の検討状況について	1
・今後の難病対策の検討に当たって(中間的な整理)	4
・社会保障・税一体改革大綱(難病関係部分)	7
「難病対策の必要性と理念」関係	
・社会保障・税一体改革大綱(社会保障改革の基本的考え方の部分)	8
「「難病」の定義、範囲の在り方」関係	
・難病・特定疾患の定義について	9
・日・米・欧における難病及び希少疾患の定義と規定	13
「医療費助成の在り方」関係	
・「今後の難病対策のあり方に関する研究」の概要	14
「福祉サービスの在り方」関係	
・地域社会における共生の実現に向けて新たな障害保健福祉施策を講ずるための関係法律の整備に関する法律の新旧対照条文	15
「難病手帳(カード)(仮称)の在り方」関係	
・他制度における手帳の例	17
「難病研究の在り方」関係	
・医療イノベーション5か年戦略(抄)	19
「難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方」関係	
・現行の難病医療連絡協議会・難病医療拠点病院・難病医療協力病院の概要	21
「就労支援の在り方」関係	
・難病がある人への雇用支援施策	23
「難病を持つ子どもへの支援の在り方、小児慢性特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患している者が成人移行(トランジション)する場合の支援の在り方」関係	
・小児慢性特定疾患治療研究事業の概要	25
・特定疾患治療研究事業と小児慢性特定疾患治療研究事業の関係	26
その他	
・平成24年度 主な難病対策に関する予算	27
・平成24年度以降の子どものための手当等の取扱いについて(抄)	28

# 難病対策の検討状況について

平成24年8月現在

## 新たな難治性疾患対策の在り方検討チーム

### 1. 設置趣旨

難治性疾患対策について、医療、研究、福祉、就労・雇用支援施策等制度横断的な検討が必要な事項について検討を行うため、厚生労働省に「新たな難治性疾患対策の在り方検討チーム」(以下「検討チーム」という。)を設置。

### 2. 構成

座長 辻副大臣  
副座長 藤田政務官、津田政務官  
メンバー 大臣官房技術総括審議官  
医政局長  
健康局長  
医薬食品局長  
高齢・障害者雇用対策部長  
雇用均等・児童家庭局長  
障害保健福祉部長  
老健局長  
保険局長

### 3. 開催実績及び開催予定

第1回会合 平成22年4月27日

・検討チームの設置、今後の難治性疾患対策について

第2回会合 平成22年11月11日

・新たな難治性疾患対策の在り方、審議会の検討状況

第3回会合 平成23年7月28日

・今後の難治性疾患の医療費助成・研究事業の在り方

第4回会合 平成23年11月1日

・難病対策委員会の検討状況、今後の方針

第5回会合 平成23年12月2日

・難病対策委員会における中間的な整理の報告

# 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

## 1. 設置趣旨

難病対策に関する専門的事項について調査審議するために平成13年9月に設置。難病対策については、昭和47年より特定疾患治療研究事業を中心に難病に対する医療の給付と研究を進めてきており、それらを含め、難病対策全般について検討を実施。

## 2. 構成

◎は委員長、○は副委員長

伊藤 たてお	日本難病・疾病団体協議会代表理事
小幡 純子	上智大学法科大学院教授
◎金澤 一郎	国際医療福祉大学大学院 院長
葛原 茂樹	鈴鹿医療科学大学教授
小池 将文	川崎医療福祉大学教授
水田 祥代	九州大学名誉教授・福岡歯科大学常務理事
広井 良典	千葉大学法経学教授
○福永 秀敏	(独)国立病院機構南九州病院長
本田 彰子	東京医科歯科大学大学院保健衛生学研究科教授
本田 麻由美	読売新聞東京本社記者
本間 俊典	あせび会(希少難病者全国連合会)監事
益子 まり	川崎市宮前区役所保健福祉センター所長
眞鍋 馨	長野県健康福祉部長
道永 麻里	(社)日本医師会常任理事
山本 一彦	東京大学大学院医学系研究科教授

## 3. 開催実績

- 第13回難病対策委員会 平成23年9月13日  
・難治性疾患対策の現状について
- 第14回難病対策委員会 平成23年9月27日  
・今後の難治性疾患対策の在り方について
- 第15回難病対策委員会 平成23年10月19日  
・これまでの委員会の議論の論点整理、難治性疾患の定義について
- 第16回難病対策委員会 平成23年11月10日  
・関係者ヒアリング(NPO、難病支援センター、患者団体、研究者)
- 第17回難病対策委員会 平成23年11月14日  
・関係者ヒアリング(患者団体、研究者等)、論点整理の修正
- 第18回難病対策委員会 平成23年12月1日  
・中間的な整理、関係者ヒアリング(障害者雇用対策課)、論点整理の修正
- 第19回難病対策委員会 平成24年1月7日  
・平成24年度難病対策予算、在宅看護・介護等の在り方等
- 第20回難病対策委員会 平成24年2月9日  
・障害福祉施策のこれまでの検討状況、WGの設置
- 第21回難病対策委員会 平成24年7月3日  
・ワーキンググループの検討状況の報告
- 第22回難病対策委員会 平成24年7月17日  
・難病手帳(仮称)の在り方、今後の難病対策の在り方(論点整理)
- 第23回難病対策委員会 平成24年8月16日  
・難病を持つ子どもへの支援の在り方、中間報告の取りまとめ

## 難病対策に係るワーキンググループ (WG)

### 1. 設置趣旨

難病対策に係る医療費助成、治療研究の推進、医療体制の整備、在宅生活支援等の総合的・包括的な施策の実施や支援の仕組みの検討を進めるにあたり、効果的な検討資料の作成等をするため、厚生労働省健康局長の主催によりワーキンググループ(以下「WG」という。)を設置。

### 2. 設置するWG

#### (1) 難病研究・医療WG

希少・難治性疾患の定義、難病治療研究の推進、医療体制の整備

#### (2) 難病在宅看護・介護等WG

難病患者の在宅生活支援等の総合的な施策の実施や支援体制の構築

### 3. 構成 ◎は座長

#### (1) 難病研究・医療WG

伊藤 建雄 日本難病・疾病団体協議会代表理事

◎葛原 茂樹 鈴鹿医療科学大学教授

千葉 勉 京都大学消化器内科教授

福島 雅典 先端医療振興財団 臨床研究情報センター長

本間 俊典 あせび(希少難病者全国連合会) 監事

山本 一彦 東京大学大学院医学系研究科教授

#### (2) 難病在宅看護・介護等WG

伊藤 建雄 日本難病・疾病団体協議会代表理事

小倉 朗子 財団法人東京都医学総合研究所 研究員

川尻 洋美 群馬県難病相談支援センター相談支援員

春名由一郎 (独)高年齢・障害・求職者雇用支援機構障害者職業総合センター  
上席研究員

◎福永 秀敏 (独)国立病院機構南九州病院長

本間 俊典 あせび(希少難病者全国連合会) 監事

### 4. 開催実績

第1回難病研究・医療WG 平成24年3月1日

・難病医療体制の現状と課題、難病研究の現状と課題

第2回難病研究・医療WG 平成24年5月18日

・難病の定義、範囲、医療費助成、難病医療提供体制、研究

第3回難病研究・医療WG 平成24年6月18日

・難病の定義・範囲、医療費助成、難病医療提供体制、研究、小慢事業のトランジション

第1回難病在宅看護・介護等WG 平成24年2月24日

・難病在宅看護・介護の現状と課題、難病相談・支援の現状と課題、患者団体支援、  
就労支援の現状と課題

第2回難病在宅看護・介護等WG 平成24年5月29日

・在宅看護・介護・福祉、難病相談・支援センター、難病手帳(仮称)、就労支援

第3回難病在宅看護・介護等WG 平成24年6月15日

・在宅看護・介護・福祉、難病相談・支援センター、難病手帳(仮称)、就労支援

## 今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）

平成23年12月1日

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

### 1. 難病に対する基本的な認識

- 希少・難治性疾患は遺伝子レベルの変異が一因であるものが少なくなく、人類の多様性の中で、一定の割合発生することが必然。
- その確率は非常に低いものの、国民の誰にでも発症しうる可能性がある。
- たまたま罹患した患者は重篤かつ慢性の症状に苦しみ、治療法が未確立のため、患者・家族の医療費負担は長期かつ極めて重い。
- また、希少性故に、社会一般の理解が得られにくい上に、医療現場においても専門的医療機関を探すことに困難を来すなどの問題がある。
- 一方、国や地方公共団体の財政は厳しさを増しており、制度の安定性を確保することが重要になってきている。
- また、本年6月に取りまとめられた社会保障・税一体改革成案においては、難病医療費の支援のあり方を検討する旨が盛り込まれている。
- こうした中であっては、
  - ① 難病の治療研究を推進し、治療法の早期確立を目指すこと、
  - ② 医療費助成を広く国民の理解を得られる公平・公正な仕組みとすること、
  - ③ 医療体制の整備、国民への普及啓発、福祉サービスの充実、就労支援等、総合的・包括的な施策を講じることにより、従来の弱者対策の概念を超え、希少・難治性疾患の患者・家族を我が国の社会が包含し、支援していくことが、これからの成熟した我が国の社会にとってふさわしい。

## 2. 現在の難病対策の課題について

- ① 医療費助成・研究事業の対象疾患が限られており、不公平感がある。
- ② 医療費助成について、医師が患者のためを思い診断が甘くなる傾向があることが指摘されているほか、対象疾患追加の選定過程が不明確であるなど、事業の公正性に問題がある。
- ③ 医療保険制度に上乗せされる他の公費負担医療制度との均衡が図られているかどうか検討が必要。
- ④ 医療費助成については、毎年総事業費が増加し、長年にわたり都道府県的大幅な超過負担が続いており、不安定な制度となっていることから、早急に超過負担を解消することが求められている。
- ⑤ 治療研究の推進、医療体制の整備、国民への普及啓発、福祉サービスの充実、就労支援等、総合的・包括的な施策が求められている。
- ⑥ 事業の根幹について、希少・難治性疾患対策の基本となる法整備も視野に入れて、検討する必要がある。

## 3. 今後の難病対策の見直しに当たってのポイント

### ①公平性の確保

希少・難治性疾患の患者を、公平に対策の対象とする。

### ②公正性の確保

対策の実施にあたっては、透明性を確保し、認定の適正化を行うなど公正性を確保する。

### ③他制度との均衡の確保

制度の設計にあたっては、他制度との均衡を図る。

### ④制度安定性の確保

将来にわたって安定的な制度とする。

### ⑤総合的・包括的な施策の実施

治療法の早期確立のための治療研究の推進、医療体制の整備、国民全体の理解を深めるための普及啓発、福祉サービスの充実、就労支援等を始めとした総合的・包括的な施策を実施する。

### ⑥法制化の検討

希少・難治性疾患対策の基本となる法整備も視野に入れて、実効的な難病対策を実現できるよう、検討を進める。

#### 4. 今後の難病対策の見直しの方向性

ごくまれではあるが国民の中に一定の割合で発症する可能性のある難病について、患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えることを目指す。

このため、

- 医療費助成について、事業の公正性、他制度との均衡、制度の安定性の確保の観点に立ち、法制化も視野に入れ、希少・難治性疾患を幅広く公平に助成の対象とすることを検討する。
- また、希少・難治性疾患の特性を踏まえ、治療研究の推進、医療体制の整備、国民への普及啓発、福祉サービスの充実、就労支援等を始めとした総合的・包括的な施策の実施や支援の仕組みを検討する。

以上



## 社会保障・税一体改革大綱（難病関係部分）

[平成24年2月17日閣議決定]

### 第1部 社会保障改革

#### 第3章 具体的改革内容(改革項目と工程)

##### 3. 医療・介護等②

###### (12) 難病対策

- (3)の長期高額医療の高額療養費の見直しのほか、難病患者の長期かつ重度の精神的・身体的・経済的負担を社会全体で支えるため、医療費助成について、法制化も視野に入れ、助成対象の希少・難治性疾患の範囲の拡大を含め、より公平・安定的な支援の仕組みの構築を目指す。

また、治療研究、医療体制、福祉サービス、就労支援等の総合的な施策の実施や支援の仕組みの構築を目指す。

☆ 引き続き検討する。

## 社会保障・税一体改革大綱（社会保障改革の基本的考え方の部分）

[平成24年2月17日閣議決定]

### 第1部 社会保障改革

#### 第1章 社会保障改革の基本的考え方

##### （目指すべき社会・社会保障制度）

社会保障改革で目指すべき社会は、制度が出産・子育てを含めた生き方や働き方に中立的で選択できる社会、雇用などを通じて参加が保障され、誰もが居場所のある共生の社会、「分厚い中間層」が支える大きな格差のない社会、子どもが家族や社会と関わり良質な環境の中でしっかりと育つ社会、支援を必要とする人の立場に立った包括的な支援体制の構築により、地域で尊厳を持って生きられるような医療・介護の体制が実現した社会である。

## 難病・特定疾患の定義について

### I 難病対策要綱（昭和47年10月）〈抜粋〉

いわゆる難病については、従来これを統一的な施策の対策としてとりあげていなかったが、難病患者のおかれている状況にかんがみ、総合的な難病対策を実施するものとする。

難病対策として取り上げるべき疾病の範囲についてはいろいろな考え方があるが、次のように整理する。

- (1) 原因不明、治療方法未確立であり、かつ、後遺症を残すおそれが少なくない疾病  
(例：ベーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス)
- (2) 経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家庭の負担が重く、また精神的にも負担の大きい疾病（例：小児がん、小児慢性腎炎、ネフローゼ、小児ぜんそく、進行性筋ジストロフィー、腎不全（人工透析対象者）、小児異常行動、重症心身障害児）

対策の進め方としては、次の三点を柱として考え、このほか福祉サービスの面にも配慮していくこととする。

- 1) 調査研究の推進
- 2) 医療施設の整備
- 3) 医療費の自己負担の解消

なお、ねたきり老人、がんなど、すでに別個の対策の体系が存するものについては、この対策から、除外する。

(※) 昭和47年 ○スモン、○ベーチェット病、○重症筋無力症、○全身性エリテマトーデス、サルコイドーシス、再生不良性貧血、多発性硬化症、難治性肝炎 からスタート  
(○は医療費助成の対象) ※昭和49年の受給者数（対象10疾患）は17,595人

### II 公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会最終報告

(平成7年12月27日) 〈抜粋〉

#### 2 今後の特定疾患対策の基本的方向

- (1) 特定疾患対策の重点的かつ効果的な施策の充実と推進を図るため、①希少性、②原因不明、③効果的な治療方法未確立、④生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）、という4要素に基づき対象疾患として取り上げる範囲を明確にすることが必要である。

### Ⅲ 特定疾患対策懇談会・特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会 報告（平成9年3月19日）〈抜粋〉

#### 調査研究事業対策疾患の選定基準

① 希少性

患者数が有病率から見て概ね5万人未満の疾患とする。

② 原因不明

原因又は発症機序（メカニズム）が未解明の疾患とする。

③ 効果的な治療方法未確立

完治に至らないまでも進行を阻止し、又は発症を予防し得る手法が確立されていない疾患とする。

④ 生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）

日常生活に支障があり、いずれは予後不良となる疾患或いは生涯にわたり療養を必要とする疾患とする。

⑤ その他

がん、脳卒中、心臓病、進行性筋ジストロフィー、重症心身障害、精神疾患などのように別に組織的な研究が行われているものについては、効率的な研究投資の観点から従来のおり本調査研究事業から除くべきである。

#### IV 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・今後の難病対策の在り方について（中間報告）（平成14年8月23日）〈抜粋〉

##### 3. 今後の治療研究事業の在り方について（費用負担を含む）

###### （1）事業の性格について

治療研究事業は、医療費助成を行うことできわめて患者数の少ない疾患について多くの症例を得ることが可能となり、対策研究事業と相まって研究の推進に非常に効果的であったという指摘がある一方で、本事業の対象疾患と同様に経済的、精神的な負担を抱えるがん等の対象外の疾患に罹患している患者からは不公平感がぬぐえないという指摘もある。

医療については、国民皆保険の下、原則全国民を対象として疾病の区別なく一定の負担と給付を行う公的医療保険制度が整えられている。また、医療保険制度においては、さらに高額療養費制度など経済的負担の軽減を図る施策も設けられている。医療費の公費負担を行う制度は、特定の政策的目的のために医療保険制度に上乘せを行うものであり、例えば福祉施策としての「生活保護における医療扶助」「更生医療」「療育医療」「育成医療」などが挙げられる。

これに対し「治療研究事業」は、患者の医療費負担の軽減という福祉的な側面を持つものの、その主たる目的は難治性の疾患を克服するための研究体制の整備にある。「2. 今後の特定疾患研究の在り方について」に示したように、特定疾患の治療成績は年々向上しているものの、未だに研究推進の必要性を残していることや、新たな難治性疾患に対して同様な対応を行う必要があることを踏まえれば、治療研究事業は、今後も研究事業としての性格を維持した上で、事業の性格付けを行うことが適当であるが、特定疾患を対象に医療費の公費負担を行う事業としての考え方も明確に整理する必要がある。併せて、前述の研究の在り方でも示したように、研究事業として明確な目標の設定を行うとともに事業評価も行っていくことが必要である。

なお、治療研究事業における診断については、対象疾患の性質に鑑み、一定の高度な医療技術を擁する医療機関において行われる事が望ましいという意見があったので附記する。

##### 4. 今後の特定疾患の定義と治療研究事業対象疾患の選定の考え方

###### （1）特定疾患の定義について

現在、特定疾患については、①症例が比較的少ないために全国的な規模で研究が行わなければならない、②原因不明、③効果的な治療法未確立、④生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）の4要素を満たす疾患の中から、原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、健康局長の私的諮問機関である特定疾患対策懇談会における専門的な意見を踏まえて決定されており、神経、筋、血液、循環器、消化器、呼吸器、腎、皮膚、骨・運動器、感覚器などほとんどの医学の領域が網羅されている。

平成14年7月現在、特定疾患としては、厚生労働科学研究の一分野である対策研究事業において118の対象疾患が選定され、約60の研究班において病態の解明や治療法の開発に関する研究が行われている。さらに、これらの特定疾患の中で、診断基準が一応確立している疾患の中から原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、特定疾患対策懇談会の意見を踏まえて、45疾患が順次選定され、研究とともに患者の医療費の負担軽減を行っている。

なお、がん、脳卒中、虚血性心疾患、進行性筋ジストロフィー、重症心身障害、精神心疾患などのように既に組織的な研究が行われているものについては、研究への効率的な投資の観点から本事業の対象から除外されている。

これまで、患者数が少ないために研究体制の構築が困難な難治性疾患に重点化した特定疾患対策が、疾患の原因究明や治療法開発に貢献してきたことは評価に値するものであり、今後の難病対策を考える上でも、難治性疾患の原因解明や治療法の開発に関する施策に関しては、上記①～④の要件を基本とすることが適当である。

なお、難病特別対策推進事業や難病患者等居宅生活支援事業等の施策については、他の施策の対象となりにくい難治性疾患への福祉的事業という性格を勘案し、今後も引き続き特定疾患を中心に対象疾患を選定することが適当である。

また、「希少性」の要件については、平成9年3月に出された「特定疾患対策懇談会特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会報告」において、国内の患者数が概ね5万人未満を目安とすることが適当という考え方が示されているが、重点的・効率的な研究への投資の観点から引き続きこれを基本として対象疾患の選定を行うことが適当である。

なお、対象となった後で患者数が5万人を上回った疾患や、特定疾患に指定された当時と比較して治療成績等の面で大きく状況が変化したと考えられる疾患については、当該疾患に対する治療成績をはじめ患者の療養環境の改善等総合的な観点から、引き続き特定疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価を行うことについて検討する必要がある。

# 日・米・欧における難病及び希少疾患の定義と規定

	日 本	米 国	欧 州
呼称	難病	希少疾患 (Rare Disease)	希少疾患 (Rare Disease)
定義	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 希少性 約42人/10万人未満 (患者数が概ね5万人未満※<sup>1</sup>)</li> <li>・ 原因不明</li> <li>・ 効果的な治療法が未確立</li> <li>・ 生活面への長期にわたる支障 (長期療養を必要とする)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 希少性 65人/10万人未満 (患者数が20万人 未満) ※日本に当てはめると7.7万人</li> <li>・ 有効な治療法が未確立</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 希少性 50人/10万人以下 (患者数が5/1万人以下) ※日本に当てはめると6.0万人</li> <li>・ 有効な治療法が未確立</li> <li>・ 生活に重大な困難を及ぼす、非常に重症な状態</li> </ul>
関連法規	難病対策要綱 (1972) 薬事法等の改正※ <sup>2</sup> (1993)	希少疾患対策法 Rare Diseases Act of 2002 (2002) 希少疾病医薬品法Orphan Drug Act (1983)	欧州連合理事会勧告 (2009) 欧州希少医薬品規制 Orphan Medicinal Product Regulation (1999)

注1) 薬事法第77条の2において希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器と指定する要件として、「対象者の上限を5万人」とされている。

注2) 希少疾病用医薬品の研究開発促進を目的とした薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究新興基金法の改正

平成22年5月10日 第11回難病対策委員会 資料2 より引用改編  
「今後の難病対策のあり方に関する研究」研究代表者 国立保健医療科学院 林 謙治

# 「今後の難病対策のあり方に関する研究」の概要

## 1. 研究課題名

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患等克服研究事業 指定研究分野）

今後の難病対策のあり方に関する研究（平成 22～24 年度）

## 2. 研究目的及び研究体制等

### （1）研究目的

本研究は、わが国及び諸外国における「過去」の難病対策の動向や成果を分析し、「現在」の難病対策の基盤となる研究開発環境を整備するための方法論を開発し、「将来」の難病対策のあり方を検討することによって、今後の難病対策を推進する上で行政が抱える様々な課題に対して政策的提言を行うことを目的とする。

### （2）研究代表者

松谷 有希雄 国立保健医療科学院 院長

### （3）主な研究内容

- ①希少・難治性疾患登録システムの開発
- ②希少・難治性疾患に関するデータの活用方法の検討
- ③希少・難治性疾患拠点病院のあり方に関する検討
- ④希少・難治性疾患の類型化に関する検討
- ⑤希少・難治性疾患に関する技術評価の方法論の開発
- ⑥国際共同研究・国際連携の推進方策の検討
- ⑦希少・難治性疾患研究の活性化の方策の検討



地域社会における共生の実現に向けて新たな障害保健福祉施策を講ずるための関係法律の整備に関する法律  
新旧対照条文

○ 障害者自立支援法（平成十七年法律第二百二十三号）新旧対照表（抄）（平成二十五年四月一日施行）

（傍線部分は改正部分）

改 正 案	現 行
<p>障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律</p> <p>（定義）</p> <p>第四条 この法律において「障害者」とは、身体障害者福祉法第四条に規定する身体障害者、知的障害者福祉法にいう知的障害者のうち十八歳以上である者及び精神保健及び精神障害者福祉に関する法律第五条に規定する精神障害者（発達障害者支援法（平成十六年法律第六十七号）第二条第二項に規定する発達障害者を含み、知的障害者福祉法にいう知的障害者を除く。以下「精神障害者」という。）のうち十八歳以上である者並びに治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病であつて政令で定めるものによる障害の程度が厚生労働大臣が定める程度である者であつて十八歳以上であるものをいう。</p> <p>234 (略)</p>	<p>障害者自立支援法</p> <p>（定義）</p> <p>第四条 この法律において「障害者」とは、身体障害者福祉法第四条に規定する身体障害者、知的障害者福祉法にいう知的障害者のうち十八歳以上である者及び精神保健及び精神障害者福祉に関する法律第五条に規定する精神障害者（発達障害者支援法（平成十六年法律第六十七号）第二条第二項に規定する発達障害者を含み、知的障害者福祉法にいう知的障害者を除く。以下「精神障害者」という。）のうち十八歳以上である者をいう。</p> <p>234 (略)</p>

（傍線部分は改正部分）

改正案	現行
<p>第四条（略）</p> <p>2 この法律で、障害児とは、身体に障害のある児童、知的障害のある児童、精神に障害のある児童（発達障害者支援法（平成十六年法律第百六十七号）第二条第二項に規定する発達障害児を含む。）又は治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病であつて障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律（平成十七年法律第百二十三号）第四条第一項の政令で定めるものによる障害の程度が同項の厚生労働大臣が定める程度である児童をいう。</p>	<p>第四条（略）</p> <p>2 この法律で、障害児とは、身体に障害のある児童、知的障害のある児童又は精神に障害のある児童（発達障害者支援法（平成十六年法律第百六十七号）第二条第二項に規定する発達障害児を含む。）をいう。</p>

## 他制度における手帳の例

名称	身体障害者手帳	療育手帳	精神障害者保健福祉手帳
根拠規定	身体障害者福祉法第15条	「療育手帳制度について」(厚生事務次官通知)	精神保健及び精神障害者福祉に関する法律第45条
目的	身体に障害のある方に身体障害者手帳を交付することにより、自立と社会経済活動への参加を促進し、福祉の増進を図ること	知的障害児(者)に対して一貫した指導・相談を行うとともに、これらの者に対する各種の援助措置を受け易くするため、知的障害児(者)に手帳を交付し、もって知的障害児(者)の福祉の増進に資すること	一定の精神障害の状態にあることを認定して交付することにより、手帳の交付を受けた者に対し、各方面の協力により各種の支援策が講じられることを促進し、精神障害者の社会復帰の促進と自立と社会参加の促進を図ること
交付者	都道府県知事、指定都市市長、中核市市長	都道府県知事、指定都市市長	都道府県知事、指定都市市長
対象者	<p>【身体障害者福祉法施行規則別表第5号 身体障害者障害程度等級表】</p> <p>次の障害について、障害程度等級が1～6級であると認められる者(7級の障害は、単独では交付対象とはならないが、7級の障害が2つ以上重複する場合又は7級の障害が6級以上の障害と重複する場合は、対象となる)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・視覚障害</li> <li>・聴覚又は平衡機能の障害</li> <li>・音声機能、言語機能又はそしゃく機能の障害</li> <li>・肢体不自由</li> <li>・心臓、じん臓又は呼吸器の機能の障害</li> <li>・ぼうこう又は直腸の機能の障害</li> <li>・小腸の機能の障害</li> <li>・ヒト免疫不全ウイルスによる免疫の機能の障害</li> <li>・肝臓の機能の障害</li> </ul>	<p>【療育手帳制度の実施について(児童家庭局長通知)】</p> <p>児童相談所又は知的障害者更生相談所において知的障害であると判定された者</p> <p>&lt;障害の程度及び判定基準&gt;                      重度(A)とそれ以外(B)に区分</p> <p>重度(A)の基準                      ①知能指数が概ね35以下であって、次のいずれかに該当する者                      ・食事、着脱衣、排便及び洗面等日常生活の介助を必要とする                      ・異食、興奮などの問題行動を有する                      ②知能指数が概ね50以下であって、盲、ろうあ、肢体不自由等を有する者</p> <p>それ以外(B)の基準                      重度(A)のもの以外</p>	<p>【精神保健及び精神障害者福祉に関する法律施行令第6条第3項】</p> <p>次の精神障害の状態にあると認められる者</p> <p>1級：日常生活の用を弁ずることを不能ならしめる程度のもの                      2級：日常生活が著しい制限を受けるか、又は日常生活に著しい制限を加えることを必要とする程度のもの                      3級：日常生活若しくは社会生活が制限を受けるか、又は日常生活若しくは社会生活に制限を加えることを必要とする程度のもの</p> <p>※精神疾患の種類：統合失調症、気分(感情)障害、非定型精神病、てんかん、中毒精神病、器質性精神障害(高次脳機能障害を含む)、発達障害、その他の精神疾患</p>
申請手続	<p>①申請者が、都道府県知事・指定都市市長・中核市市長に申請書を提出(福祉事務所又は町村を經由)                      ※指定医師の診断書・意見書を添付                      ※写真を添付</p> <p>②各都道府県・指定都市・中核市において審査                      ※申請を却下する場合は、地方社会福祉審議会に諮問</p> <p>③都道府県知事・指定都市市長・中核市市長が交付を決定</p>	<p>①申請者が都道府県知事・指定都市市長に申請書を提出(福祉事務所を經由)                      ※写真を添付</p> <p>②都道府県・指定都市に設置された児童相談所又は知的障害者更生相談所において判定</p> <p>③都道府県知事・指定都市市長が交付を決定</p>	<p>①申請者が都道府県知事・指定都市市長に申請書を提出(都道府県知事の場合は、市区町村を經由)                      ※医師の診断書をもって申請する場合は、精神保健指定医その他精神障害の診断又は治療に従事する医師の診断書を添付                      ※公的年金制度における障害年金を受給している場合は、現に受けていることを確認できる書類                      ※写真を添付</p> <p>②各都道府県・指定都市に設置された精神保健福祉センターにおいて審査</p> <p>③都道府県知事・指定都市市長が交付を決定</p>

## 他制度における手帳の例

名称	身体障害者手帳	療育手帳	精神障害者保健福祉手帳
<p>効果 ※一部を除き、法的根拠に基づいてのものではない</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・障害程度区分に応じた障害福祉サービス</li> <li>・税制上の優遇措置</li> <li>・障害者雇用率制度(事業主の義務)</li> <li>・公共施設利用料の減免</li> <li>・民間サービスの割引</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・障害程度区分に応じた障害福祉サービス</li> <li>・税制上の優遇措置</li> <li>・障害者雇用率制度(事業主の義務)</li> <li>・公共施設利用料の減免</li> <li>・民間サービスの割引</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・障害程度区分に応じた障害福祉サービス</li> <li>・税制上の優遇措置</li> <li>・障害者雇用率制度(事業主の義務ではないが、事業主が任意に雇用した場合は雇用率に加算される)</li> <li>・公共施設利用料の減免(一部自治体除く)</li> <li>・民間サービスの割引(一部除く)</li> </ul>
<p>等級による効果の違い(主な例)</p>	<p>○所得税控除額</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・1・2級:一人当たり40万円</li> <li>・3～6級:一人当たり27万円</li> </ul> <p>○自動車税・軽自動車税・自動車取得税の減免等 自治体により要件・減免額が異なるが、等級により要件を設定している。</p> <p>○鉄道運賃 身体障害者手帳の「旅客鉄道株式会社旅客運賃減額」欄の記載に応じ、割引が適用される。 ・第1種(障害区分によって異なるが、主に、等級が1～3級):障害者本人とその介護者が半額割引 ・第2種(第1種以外):障害者本人が半額割引 ※乗車券の種類に応じ、割引対象者は異なる</p> <p>○航空旅客運賃 身体障害者手帳の「旅客鉄道株式会社旅客運賃減額」欄の記載に応じ、割引が適用される。 ・第1種(障害区分によって異なるが、主に、等級が1～3級):障害者本人とその介護者が割引 ・第2種(第1種以外):満12歳以上の障害者本人が割引 ※割引額は航空会社や路線によって異なる</p> <p>○NHK受信料 1・2級:半額免除(視覚、聴覚障害者であれば等級に因らず半額免除) ※世帯所得等に応じ、その他免除措置あり</p>	<p>○所得税控除額</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・重度(A):一人当たり40万円</li> <li>・それ以外(B):一人当たり27万円</li> </ul> <p>○自動車税・軽自動車税・自動車取得税の減免等 自治体により要件・減免額が異なるが、等級により要件を設定している。</p> <p>○鉄道運賃 療育手帳の「旅客鉄道株式会社旅客運賃減額」欄の記載に応じ、割引が適用される。 ・第1種(重度(A)):障害者本人とその介護者が半額割引 ・第2種(それ以外(B)):障害者本人が半額割引 ※乗車券の種類に応じ、割引対象者は異なる</p> <p>○航空旅客運賃 身体障害者手帳の「旅客鉄道株式会社旅客運賃減額」欄の記載に応じ、割引が適用される。 ・第1種(重度(A)):満12歳以上の障害者本人とその介護者が、普通大人片道運賃の25%相当分割引 ・第2種(それ以外(B)):満12歳以上の障害者本人が、普通大人片道運賃の25%相当分割引 ※割引額は航空会社や路線によって異なる</p> <p>○NHK受信料 重度(A):半額免除 ※世帯所得等に応じ、その他免除措置あり</p>	<p>○所得税控除額</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・1級:一人当たり40万円</li> <li>・2・3級:一人当たり27万円</li> </ul> <p>○自動車税・軽自動車税・自動車取得税の減免等 自治体により要件・減免額が異なるが、等級により要件を設定している。</p> <p>○NHK受信料 1級:半額免除 ※世帯所得等に応じ、その他免除措置あり</p>
<p>交付者数</p>	<p>約511万人 【平成22年度福祉行政報告例】</p>	<p>約83万人 【平成22年度福祉行政報告例】</p>	<p>約59万人 【平成22年度衛生行政報告例】</p>

# 医療イノベーション5か年戦略（抄）

平成24年6月6日 医療イノベーション会議

## Ⅲ 分野別戦略と推進方策

### Ⅲ-1 革新的医薬品・医療機器の創出

#### Ⅲ-1-1 研究開発の推進と重点化

##### 3. がん領域等研究開発の重点領域

(1) 医薬品・医療機器分野の中で選択と集中を不断に行い、以下の領域を重点的に推進する。

① がん、難病・希少疾病、肝炎、感染症、糖尿病、脳心血管疾患、精神神経疾患、小児疾患等

② 最先端の技術（再生医療、個別化医療、バイオ医薬品等）

(2) (1) の重点領域については、以下のように研究開発を進める。

① がん、難病・希少疾病、肝炎、感染症、糖尿病、脳心血管疾患、精神神経疾患、小児疾患等

#### イ その他の疾患領域

Ⅲ-1-3の創薬支援ネットワークを活用しつつ、難病や肝炎等の希少性、難治性疾患等に対する革新的な実用化研究を推進し、5年以内に患者に希望をもたらす新規治療法等を提供することを目標とする。また、インフルエンザ等の感染症に対する次世代ワクチンやエイズ予防ワクチンの研究開発を推進し、5年以内に実用化に向けた治験等の促進を目指す。その一環として、以下の具体的な取組を進める。

i 難病・希少疾病、小児疾患のための医薬品・医療機器開発のための臨床研究・医師主導治験等（毎年度実施する。：厚生労働省）

### Ⅲ－１－４ 臨床研究・治験環境の整備

#### 1. 質の高い臨床研究の実施体制の整備（臨床研究中核病院など）と臨床研究の適正な実施ルールの推進

- (1) 国際水準の臨床研究や難病、小児領域等の医師主導治験の実施体制を有するとともに、複数病院からなる大規模ネットワークの中核として、窓口の一元化等を図り、多施設共同研究の支援を含めたいわゆる ARO (Academic Research Organization) 機能を併せ持ち、高度かつ先進的な臨床研究を中心となって行う臨床研究中核病院を整備する。併せて、新規医薬品・医療機器について、世界に先駆けてヒトに初めて投与・使用する試験や開発早期に安全性、有効性を少数の対象で確認する試験等を行う早期・探索的臨床試験拠点を整備するため、5か所の医療機関に対して引き続き助成を行う。(平成25年度までに15か所程度整備する。：厚生労働省)

#### Ⅲ－１－１０ 希少疾病や難病などのアンメットメディカルニーズへの対応

- 希少疾病用医薬品・医療機器の開発を支援するため、独立行政法人医薬基盤研究所による指導・助言体制や指定制度・助成金の充実・強化を行う。希少疾病用医薬品・医療機器の開発に対する支援について、患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器の指定制度・助成金や専門的な指導・助言体制の充実・強化を行う。(平成24年度から実施する。：厚生労働省)

### Ⅲ－２ 世界最先端の医療実現

#### Ⅲ－２－１ 再生医療

##### Ⅲ－２－１－１ 研究資金の重点化

#### 3. iPS細胞等を活用した難病治療法や創薬等に係る研究

- (2) これまで治療法の無かった難病を克服するため、患者由来の iPS 細胞を用いた希少疾患・難病の原因解析や創薬等に係る研究を推進する。(毎年度実施する。：文部科学省、厚生労働省)

## 現行の難病医療連絡協議会・難病医療拠点病院・難病医療協力病院の概要

### ○位置づけ：

難病特別対策推進事業実施要綱における「重症難病患者入院施設確保事業」の一環として、都道府県内の難病医療体制の一翼を担うもの。

### ※重症難病患者入院施設確保事業の概要

入院治療が必要となった重症難病患者（病状の悪化等の理由により、居宅での療養が極めて困難な状況となった難病患者をいう。）に対し、適時に適切な入院施設の確保等が行えるよう、地域の医療機関の連携による難病医療体制の整備を図るもの。

### ○役割：

#### （連絡協議会）

- ・ 難病医療の確保に関する関係機関との連絡調整を行うこと。
- ・ 患者等からの各種相談（診療、医療費、在宅ケア、心理ケア等）に応じるとともに、必要に応じて保健所への適切な紹介や支援要請を行うこと。
- ・ 患者等からの要請に応じて拠点病院及び協力病院へ入院患者の紹介を行うなど、難病医療確保のための連絡調整を行うこと。
- ・ 拠点病院及び協力病院等の医療従事者向けに難病研修会を開催すること。

#### （拠点病院）

- ・ 連絡協議会が行う医療従事者向け難病研修会開催など難病医療確保のための各種事業への協力を行うこと。
- ・ 協力病院等からの要請に応じて、高度の医療を要する患者の受け入れを行うこと。
- ・ 協力病院等の地域の医療機関、難病患者を受け入れている福祉施設等からの要請に応じて、医学的な指導・助言を行うこと。

#### （協力病院）

- ・ 拠点病院等からの要請に応じて、患者の受け入れを行うこと。
- ・ 地域において難病患者を受け入れている福祉施設等からの要請に応じて、医学的な指導・助言を行うとともに、患者の受け入れを行うこと。

○設置方針：

- ・拠点病院、協力病院、保健所、関係市区町村等の関係者により連絡協議会を設置  
（実際には概ね各都道府県に1か所ずつ）【全国で45か所】
- ・概ね二次医療圏ごとに1か所ずつの難病医療協力病院【全国で1,388か所】
- ・そのうち原則として1か所を難病医療拠点病院に指定【全国で111か所】



# 難病がある人の雇用支援施策

## ◎難病がある人を対象とした支援施策

### (1) 難治性疾患患者雇用開発助成金 (平成21年度から実施)

難病のある人の雇用を促進し職業生活上の課題を把握するため、難病のある人をハローワークの職業紹介により常用労働者として雇い入れ、雇用管理に関する事項を把握・報告する事業主に対する助成を試行的に行う。

### (2) 難病者の雇用管理に関する情報提供の実施 (平成23年度から実施)

「難病のある人の雇用管理の課題と雇用支援のあり方に関する研究」(平成21～22年度)の研究成果を踏まえ、難病のある人の就労の現状等に関するリーフレットを作成し、企業での雇用管理や地域での就労支援のポイント等について情報提供を行う。

※(独)高齢・障害・求職者雇用支援機構交付金

### (3) 難病患者就労支援事業 (平成19年度から実施)

障害者の就労支援策を参考に都道府県及び難病相談・支援センターが中心となって、難病患者への就労支援事業を実施・評価することとし、国はその実施状況を各都道府県に還元し、各都道府県独自での取り組みを促進する。

(担当：健康局疾病対策課)

## ◎難病がある人が利用できる支援施策

### (1) ハローワークにおける職業相談・職業紹介

個々の障害者に応じた、きめ細かな職業相談を実施するとともに、福祉・教育等関係機関と連携した「チーム支援」による就職の準備段階から職場定着までの一貫した支援を実施する。

併せて、ハローワークとの連携の上、地域障害者職業センターにおいて、職業評価、職業準備支援、職場適応支援等の専門的な各種職業リハビリテーションを実施する。

### (2) 障害者試行雇用(トライアル雇用)事業

障害者に関する知識や雇用経験がない事業所が、障害者を短期の試行雇用(トライアル雇用)の形で受け入れることにより、障害者雇用に取り組むきっかけをつくり、常用雇用への移行を目指す。

### (3) 職場適応援助者(ジョブコーチ)支援事業

障害者が職場に適応できるよう、地域障害者職業センター等に配置されているジョブコーチが職場に出向いて直接的・専門的支援を行うとともに、事業主や職場の従業員に対しても助言を行い、必要に応じて職務や職場環境の改善を提案する。

### (4) 障害者就業・生活支援センター事業

雇用、保健、福祉、教育等の地域の関係機関の連携の拠点となり、障害者の身近な地域において、就業面及び生活面にわたる一体的な支援を実施する。

(平成24年4月1日現在：315か所)

# 難治性疾患患者雇用開発助成金

## 1 趣旨

いわゆる難病のある人は、その疾病の特性により、就職・職場定着の面で様々な制限・困難に直面しているが、事業主においては、難病のある人の雇用経験が少ないことや、難病のある人について職務遂行上障害となる症状等が明確になっていないことなどから、適切な雇用管理を行うことが困難な状況にある。

このため、難病のある人を新たに雇用し、雇用管理に関する事項を把握・報告する事業主に対する助成を試行的に行い、難病のある人の雇用を促進し職業生活上の課題を把握する。



## 2 内容

### (1) 対象事業主

難病のある人※1を、継続して雇用する労働者として新たに雇い入れる事業主

### (2) 支給金額

50万円(中小企業の場合 135万円)※2

### (3) 雇用管理に関する事項の把握・報告

事業主は、対象労働者に関する勤務状況、配慮した事項その他雇用管理に関する事項を把握・報告

※1 特定疾患(56疾患)か否か、重症度等を問わず、モデル的に難治性疾患克服研究事業(臨床調査研究分野)の対象疾患(平成22年4月現在で130疾患)を対象とする。

また、筋ジストロフィーを含む。

※2 特定求職者雇用開発助成金と同様、雇入れ後6ヶ月経過ごとに2回(中小企業の場合は3回)に分けて支給する。

# 小児慢性特定疾患治療研究事業の概要

- 小児慢性疾患のうち、小児がんなど特定の疾患については、その治療が長期間にわたり、医療費の負担も高額となる。このため、児童の健全育成を目的として、その治療の確立と普及を図り、併せて患者家庭の医療費の負担軽減にも資するため、医療費の自己負担分を補助する制度。

## 事業の概要

- 対象年齢 18歳未満の児童（ただし、18歳到達時点において本事業の対象になっており、かつ、18歳到達後も引き続き治療が必要と認められる場合には、20歳未満の者を含む。）
- 補助根拠 児童福祉法第21条の5、第53条の2
- 実施主体 都道府県・指定都市・中核市
- 補助率 1/2（負担割合：国1/2、都道府県・指定都市・中核市1/2）
- 自己負担 保護者の所得に応じて、治療に要した費用について一部自己負担がある。ただし、重症患者に認定された場合は自己負担はなし。

## 沿革

- 昭和43年度から計上
- 昭和49年度 整理統合し4疾患を新たに加え、9疾患群からなる現行制度を創設。
- 平成2年度 新たに神経・筋疾患を加え、10疾患群とする。
- 平成14年度 「小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会」の報告書とりまとめ。
- 平成17年度 児童福祉法に基づく法律補助事業として実施するとともに、慢性消化器疾患群を追加し11疾患群とする。また、日常生活用具給付事業などの福祉サービスも実施。



## 対象疾患

- ① 悪性新生物
- ② 慢性腎疾患
- ③ 慢性呼吸器疾患
- ④ 慢性心疾患
- ⑤ 内分泌疾患
- ⑥ 膠原病
- ⑦ 糖尿病
- ⑧ 先天性代謝異常
- ⑨ 血友病等血液・免疫疾患
- ⑩ 神経・筋疾患
- ⑪ 慢性消化器疾患

11疾患群(514疾患)

※H22年度給付人数  
108,790人

※H22年度総事業費  
251億円

すべて  
入院・通院  
ともに対象

# 特定疾患治療研究事業と小児慢性特定疾患治療研究事業の関係

小児慢性特定疾患 514疾患, 10.9万人 (給付人員)

難病(医療費助成あり) 56疾患のうち19歳以下の患者 1.2万人(総数の1.8%)

小児慢性特定疾患で登録数の多い疾患

\*難病で患者数の多い主な疾患

\*難病で小慢と重複する疾患  
15疾患, 1832人 (小慢登録は15,240人)

【0～9歳】	1,699人
・モヤモヤ病	377人
・特発性血小板減少性紫斑病	226人
・重症筋無力症	163人
・再生不良性貧血	130人
・強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎	105人

【10～19歳】	10,850人
・潰瘍性大腸炎	2,906人
・モヤモヤ病	1,361人
・クローン病	1,355人
・全身性エリテマトーデス	1,156人
・特発性血小板減少性紫斑病	626人

\*平成22年度 衛生行政報告例 第67表  
特定疾患(難病)医療受給者証所持者数より抜粋

	( )内は小慢登録人数
・特発性血小板減少性紫斑病	852人(571人)
・間脳下垂体機能障害 (7疾患)	311人(12,747人)
・原発性免疫不全症候群	256人(754人)
・特発性拡張型心筋症	108人(71人)
・表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型)	108人 (致死性表皮水疱症2人)
・肺動脈性肺高血圧症	68人(149人)
・ライソゾーム病	50人(311人)
・ミトコンドリア病	27人(188人)
・肥大型心筋症	20人(272人)
・亜急性硬化性全脳炎	14人(23人)
・副腎白質ジストロフィー	8人(66人)
・バッド・キアリ症候群	4人(門脈圧亢進症41人)
・重症多形滲出性紅斑 (急性期)	4人(19人)
・拘束型心筋症	2人(16人)
・家族性高コレステロール血症 (ホモ接合体)	0人(10人)

・成長ホルモン分泌不全性 低身長症	11,783人 (難病「間脳下垂体機能障害」と重複)
・クレチン症	5493人
・1型糖尿病	4712人
・白血病	4526人
・甲状腺機能亢進症	3473人
・ウエスト症候群	2446人
・ネフローゼ症候群	2304人
・ファロー四徴症	2046人
・胆道閉鎖症	2019人
・心室中隔欠損症	1976人

平成23年度 小児慢性特定疾患の登録・  
管理・解析・情報提供に関する研究より  
抜粋

# 平成24年度 主な難病対策に関する予算

- 難治性疾患克服研究事業等 100億円(100億円)  
難病の診断・治療法の開発を促進するため、難病に関する調査・研究や「健康長寿社会実現のためのライフ・イノベーションプロジェクト」を引き続き推進するとともに、国際ネットワークへの参加等を通じて、疾病対策の国際的連携の構築を図る。
- 特定疾患治療研究事業 350億円(280億円)  
原因が不明であって、治療法が確立していない特定疾患に関する医療の確立、普及を図るとともに、患者の医療費の負担軽減を図る。
- 難病相談・支援センター事業 166百万円(166百万円)  
難病患者のもつ様々なニーズに対応したきめ細かな相談支援が行えるよう、都道府県毎の活動拠点となる「難病相談・支援センター」を設置し、地域における難病患者支援対策を一層推進する。
- 重症難病患者入院施設確保事業 154百万円(154百万円)  
都道府県毎に難病医療連絡協議会、難病医療拠点病院・協力病院を設置し、入院治療が必要となった重症難病患者に対する適切な入院施設の確保等を行う事業に加え、在宅療養中の重症難病患者のレスパイト入院のための病床を確保するための事業を行うことにより、病院医療体制の整備を図る。
- 難病患者等居宅生活支援事業 207百万円(207百万円)  
地域における難病患者等の日常生活を支援することにより、難病患者等の自立と社会参加を促進する。
- 難病患者サポート事業 20百万円(20百万円)  
患者・患者家族の療養や生活上の不安、ストレスを解消するため、患者団体等を対象にサポート事業を実施し、難病患者支援策の充実を図る。
- 難病患者の在宅医療・介護の充実強化学業(新規) 45百万円(0百万円)  
在宅医療・介護を必要とする難病患者が安心・安全な生活を営めるよう、在宅難病患者の日常生活支援の強化のため、医療・介護従事者研修の実施や災害時の緊急対応に備え、重症神経難病患者の受入機関確保のための全国専門医療機関ネットワークの構築等を通じて、包括的な支援体制の充実・強化を図る。

計 458億円(388億円)

(参考) 年少扶養控除の廃止等による地方財政の増収分の対応の一部を特定疾患治療研究事業の地方の超過負担の財源として活用(平成24年度暫定的対応) 269億円(※) ※難病対策として予算(案)に計上しているものではない。

平成24年度以降の子どものための手当等の取扱いについて(抄)

2. 平成22年度税制改正による所得税・住民税の年少扶養控除の廃止及び特定扶養控除の縮減((1)及び(3)において「年少扶養控除の廃止等」という。)による地方財政の増収分については、平成21年12月23日付け4大臣合意における「最終的には子ども手当の財源として活用することが、国民に負担増をお願いする趣旨に合致する。また、児童手当の地方負担分についても、国、地方の負担調整を図る必要がある。」との趣旨及び平成22年12月20日付け5大臣合意において「子ども手当及びこれに関連する現物サービスに係る国と地方の役割分担及び経費負担のあり方」を幅広く検討するとされている趣旨を踏まえ、1. (3)に掲げる費用負担による子どものための手当の負担として充てる(24年度:1,087億円)ことに加え、次のとおり国と地方の負担調整等を行う。

(1)平成24年度の取扱い

①平成22年度の子ども手当の創設に伴う負担の増大に対応する地方特例交付金(所要額:1,353億円)について、子ども手当から子どものための手当への制度改正に伴い、整理する。

②平成24年度税制改正における環境性能に優れた自動車の取得に係る自動車取得税の減免措置の継続に伴い必要となる市町村の自動車取得税交付金の減収の一部を補填するための地方特例交付金(所要額:500億円)の措置を国費から地方財政の増収分に振り替える。

③地方の自由度の拡大に併せ、以下の国庫補助負担金の一般財源化等を実施する。(1,841億円)

・子育て支援交付金(次世代育成支援対策推進事業の一部、地方独自の子育て支援推進事業及び子育て支援環境整備事業に限る。)(93億円)

・地域子育て創生事業(地方独自の事業への補助。平成24年度からは、地方財政の増収分で対応する。)(124億円)

・子ども手当事務取扱交付金(98億円)

・国民健康保険都道府県調整交付金(1,526億円)

・これらの措置による地方の事業の内容については、地方の裁量を尊重するため、国は、法令上の基準を新たに設けないこととする。

④平成24年度における暫定的対応として、年少扶養控除の廃止等による地方財政の増収分の一部を特定疾患治療研究事業の地方の超過負担の財源として活用する。(269億円)

(2)特定疾患治療研究事業に係る地方の超過負担については、その解消に平成24年度予算から取り組み、早期の解消を目指す。

(3)平成25年度以降の取扱い

年少扶養控除の廃止等による地方増収であることに鑑み、平成25年度に平年度化する地方財政の追加増収分及び2. (1)④の暫定対応分は、平成24年度増収分に係る対応に代えて、基金設置による国庫補助事業の財源に代わる恒久的な財源として、子育て分野の現物サービスに活用することとし、その具体的内容は今後検討する。

(4)子ども・子育て新システムについては、「社会保障・税一体改革成案」(平成23年6月30日政府・与党社会保障改革本部決定)において、税制抜本改革以外の財源を含めて1兆円超程度の措置を今後検討するとされており、財源確保のために最大限努力を行う。

平成23年12月20日

内閣官房長官  
総務大臣  
財務大臣  
厚生労働大臣

大臣折衝の結果、上記のとおり合意したことを確認する。

民主党政調査会長