

厚生科学審議会疾病対策部会第33回難病対策委員会

議事次第

平成25年10月18日

10:00～12:00

場所：航空会館大ホール（7F）

1. 開会

2. 議事

- (1) 医療費助成の仕組みの構築について
- (2) 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上について
- (3) その他

3. 閉会

<配付資料>

- 資料1 医療費助成の仕組みの構築について
- 資料2 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上について

医療費助成の仕組みの構築について

平成25年10月18日

患者負担の在り方について

「難病対策の改革について(提言)」における患者負担に関する留意事項

難病対策委員会における「難病対策の改革について(提言)」では、医療費助成について、「広く国民の理解を得られる公平かつ安定的な仕組み」となるようにすることとされている。

- ・ 対象患者は、対象疾患に罹患している者のうち、症状の程度が重症度分類等で一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障がある者とする。
- ・ 対象疾患の拡大を含めた見直しに当たっては、一方で適切な患者負担の在り方も併せて検討することとし、制度の安定性・持続可能性を確保するものとする。
- ・ 難病の特性を踏まえつつ、病気がちであったり、費用が高額な治療を長期にわたり継続しなければならない患者(高齢者、障害者等)を対象とする他制度の給付との均衡を図る。対象患者が負担する一部負担額については、低所得者に配慮しつつ、所得等に応じて月額限度額を設定する。
 - ① 一部負担額が0円となる重症患者の特例を見直し、すべての者について、所得等に応じて一定の自己負担を求めること。
 - ② 入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担については、患者負担とするとともに、薬局での保険調剤に係る自己負担については、月額限度額に含めること。

患者負担の在り方に関する基本的な考え方について

新たな難病の医療費助成制度について、以下のように考えてはどうか。

- 難病患者への新たな医療費助成の患者負担については、医療保険制度における高齢者の負担の在り方を参考に、難病の特性を考慮して、所得に応じて負担限度額等を設定する。

ただし、既認定者の取扱いについては、これまでの給付水準を考慮し、別途の対応を考えることとする。

- 所得については、対象者が拡大されること、生計中心者の判断が困難になっていること等を踏まえて、医療保険と同様に世帯単位で把握することとする。

- 医療費助成の対象は、症状の程度が重症度分類等で一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障がある者とする。

ただし、症状の程度が上記に該当しない軽症の場合であっても、高額な医療を受けている者については、医療費助成の対象とする。

- ※ 他制度と同様、入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担については、患者負担とするとともに、薬局での保険調剤に係る自己負担については、月額限度額に含めることとする。

難病に係る新たな医療費助成による自己負担限度額の変化(新規認定者)

高額療養費制度(現行・70歳未満)	
自己負担割合: 3割	
階層区分	外来+入院
生活保護	-
低所得 市町村民税非課税	35,400円 [多数該当24,600円]
一般所得 ~年収約770万	80,100円 + (医療費 - 267,000円) × 1% [多数該当44,400円]
上位所得 年収約770万~	150,000円 + (医療費 - 500,000円) × 1% [多数該当83,400円]



原則(新規認定者)		
自己負担割合: 2割		
	階層区分	外来+入院
I	生活保護	0円
II	市町村民税非課税	8,000円
III	年収の目安 ~約370万	12,000円
IV	年収の目安 約370万~	44,400円

例: 年間所得280万円で、毎月500,000円の医療費(総額)を要する難病患者の医療費(自己負担分)

従来: 82,430円(1~3か月目)、44,400円(4か月目~) ⇒ 新制度: 12,000円(1か月目~)

難病に係る新たな医療費助成の制度案(たたき台)

- 自己負担の割合について
 - ・ 現行の3割から2割に引き下げ。
- 自己負担の限度額について
 - ・ 高額療養費制度(医療保険)における高齢者の外来の限度額を参考とし、所得に応じて設定。
 - ・ 症状が変動し入退院を繰り返す等の難病の特性に配慮し、外来・入院の区別を設定しない。
 - ・ 受診した複数の医療機関等の自己負担(※)をすべて合算した上で自己負担限度額を適用する。
※ なお、薬局での保険調剤及び医療保険における訪問看護ステーションが行う訪問看護を含む。
- 助成の対象は、症状の程度が一定以上の者。なお、症状の程度が左記に該当しない軽症の場合であっても、高額な医療を要する者を対象に含める。
- 既認定者の取扱いは、別途検討。

☆新たな医療費助成における自己負担限度額(月額)

(単位:円)

階層区分	年収の目安 (夫婦2人世帯)	自己負担限度額 (患者負担割合:2割、外来+入院)	
		原則(新規認定者)	経過措置(既認定者)
I	生活保護	0	0
II	市町村民税非課税	8,000	既認定者の取扱いについては、低所得者に配慮しつつ、別途検討 【経過措置】 概ね3年間
III	～約370万	12,000	
IV	約370万～	44,400	

※ 医療保険における高額療養費制度の見直しに関する検討状況を踏まえ、変更の可能性あり。

難病医療費助成、医療保険、自立支援医療(更生医療)に係る医療の範囲について

	現行の難病医療費助成 (特定疾患治療研究事業)	高齢者の医療保険における 高額療養費制度	自立支援医療 (更生医療)
目的	<ul style="list-style-type: none"> ・特定疾患に関する医療の確立、普及 ・難病患者の医療費の負担軽減 	<ul style="list-style-type: none"> ・家計に対する医療費の自己負担が過重なものとならないようにすること 	<ul style="list-style-type: none"> ・身体の障害を除去・軽減するための医療について、医療費の自己負担額を軽減
対象者	<ul style="list-style-type: none"> ・特定疾患治療研究事業の対象疾患(56疾患)に罹患している者 	<ul style="list-style-type: none"> ・医療保険加入者 	<ul style="list-style-type: none"> ・身体障害者手帳所持者で、その障害を除去・軽減する手術等の治療により確実に効果が期待できる者(18歳以上)
対象となる医療の範囲	<ul style="list-style-type: none"> ・対象疾患及び疾患に付随して発現する傷病に対する医療 	<ul style="list-style-type: none"> ・疾病又は負傷に対する医療(保険適用となっている医療) 	<ul style="list-style-type: none"> ・障害を除去・軽減するために確実な治療の効果が期待できる医療に限る
備考	<ul style="list-style-type: none"> ○ 対象疾患は、治療方法が確立していないため、当該疾患に対する治療は、対症療法を含む広い範囲が助成の対象 ○ 対象疾患に係る合併症や治療による副作用に対する医療も助成の対象 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 高額療養費制度の特徴 <ul style="list-style-type: none"> ・ 所得や年齢に応じて月ごとの自己負担限度額を設定し、負担を軽減 ・ 高齢者は若年者と比べて医療費が高く、受診頻度も高いため、70歳以上の者について、月ごとの自己負担限度額を引き下げ、負担を軽減。 ・ 継続的にかかる高額な負担を軽減(多数回該当) ※ 高額療養費制度については、現在見直しを検討中。 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 対象となる治療の例 <ul style="list-style-type: none"> ・ 肢体不自由 → 人工関節置換術 ・ 視覚障害 → 水晶体摘出術 ・ 心臓機能障害 → ペースメーカー埋込術 等 (「重度かつ継続(費用が高額な治療を長期間にわたり継続しなければならない者の場合)」の対象範囲の例) <ul style="list-style-type: none"> ・ 腎臓機能障害 → 人工透析療法 ・ 心臓機能障害 → 心臓移植術後の抗免疫療法 ・ HIVによる免疫機能障害 → 抗HIV療法 等

現行の医療費助成制度における自己負担限度額

階 層 区 分			対象者別の一部自己負担の月額限度額		
			入院	外来等	生計中心者が患者本人の場合
A	生計中心者の市町村民税が非課税の場合	収入の目安 156万円以下	0円	0円	0円
B	生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	156～163万円	4,500円	2,250円	対象患者が生計中心者であるときは、左欄により算出した額の1/2に該当する額をもって自己負担限度額とする。
C	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,000円以下の場合	163～183万円	6,900円	3,450円	
D	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,001円以上15,000円以下の場合	183～220万円	8,500円	4,250円	
E	生計中心者の前年の所得税課税年額が15,001円以上40,000円以下の場合	220～303万円	11,000円	5,500円	
F	生計中心者の前年の所得税課税年額が40,001円以上70,000円以下の場合	303～402万円	18,700円	9,350円	
G	生計中心者の前年の所得税課税年額が70,001円以上の場合	402万円以上	23,100円	11,550円	
重症患者認定			0円	0円	0円

- 備考：1. 「市町村民税が非課税の場合」とは、当該年度（7月1日から翌年の6月30日をいう。）において市町村民税が課税されていない（地方税法第323条により免除されている場合を含む。）場合をいう。
2. 10円未満の端数が生じた場合は、切り捨てるものとする。
3. 災害等により、前年度と当該年度との所得に著しい変動があった場合には、その状況等を勘案して実情に即した弾力性のある取扱いをして差し支えない。
4. 同一生計内に2人以上の対象患者がいる場合の2人目以降の者については、上記の表に定める額の1/10に該当する額をもって自己負担限度額とする。
5. 上記の自己負担限度額は入院時の食事療養費を含む（標準負担額：所得に応じ1食あたり100円～260円）。
6. 収入は、夫婦のみの世帯をモデルとした場合の目安の値。

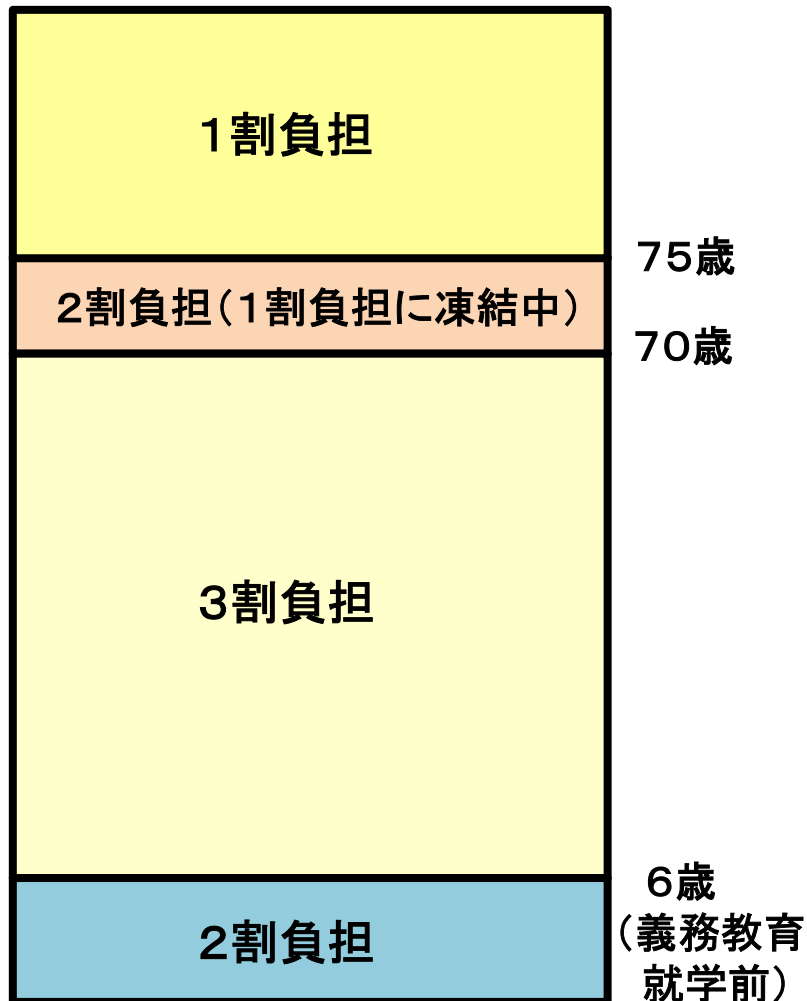
特定疾患医療受給者証の所持者数(所得区分別患者数)

階層区分		構成人数	構成割合
A	生計中心者の市町村民税が非課税の場合	186,421人	23.8%
B	生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	115,504人	14.7%
C	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,000円以下の場合	19,236人	2.5%
D	生計中心者の前年の所得課税年額が5,001円以上15,000円以下の場合	36,399人	4.6%
E	生計中心者の前年の所得課税年額が15,001円以上40,000円以下の場合	88,076人	11.2%
F	生計中心者の前年の所得税課税年額が40,001円以上70,000円以下の場合	75,059人	9.6%
G	生計中心者の前年の所得税課税年額が70,001円以上の場合	181,762人	23.2%
重症患者認定		81,418人	10.4%
合計		783,875人	

※平成23年度実績報告書より

医療保険における患者負担

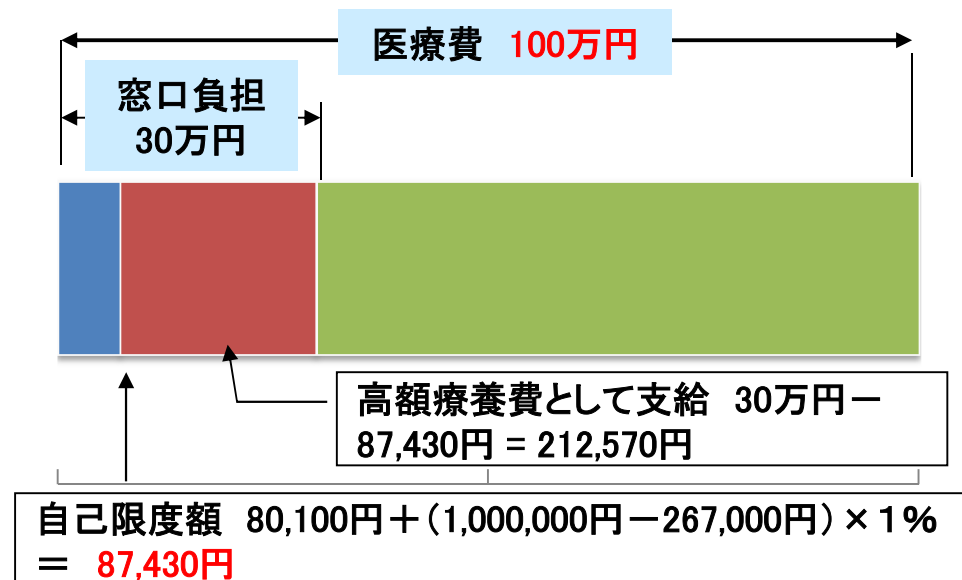
【医療費の患者負担割合】



○高額療養費制度

家計に対する医療費の自己負担が過重なものとならないよう、月ごとの自己負担限度額を超えた場合に、その超えた金額を支給する制度。

<一般的な例 被用者本人(3割負担)のケース>



(注) 自己負担限度額は、被保険者の所得に応じ、一般・上位所得者・低所得者に分かれる。

高額療養費の自己負担限度額

[70歳未満]

〈 〉は多数該当（過去12カ月に3回以上高額療養費の支給を受け4回目に該当）の場合

	要件	自己負担限度額（1月当たり）
上位所得者	[被用者保険] 標準報酬月額（※1）53万円以上 [国保] 世帯の年間所得（旧ただし書き所得（※2））が600万円超	150,000円＋（医療費－500,000円）×1% 〈多数該当 83,400円〉
一般	上位所得者、低所得者以外	80,100円＋（医療費－267,000円）×1% 〈多数該当 44,400円〉
低所得者	[被用者保険] 被保険者が市町村民税非課税 [国保] 世帯主及び世帯の被保険者全員が市町村民税非課税等	35,400円 〈多数該当 24,600円〉

[70歳以上]

		要件	外来 (個人ごと)	自己負担限度額（1月当たり）
現役並み 所得者		[後期・国保] 課税所得145万円以上（※3） [被用者保険] 標準報酬月額28万円以上（※3）	44,400円	80,100円＋（医療費－267,000円）×1% 〈多数該当44,400円〉
一般		現役並み所得者、低所得者Ⅰ・Ⅱに該当しない者	12,000円	44,400円
低 所 得 者	Ⅱ	[後期] 世帯員全員が市町村民税非課税 [国保] 世帯主及び世帯の被保険者全員が市町村民税非課税 [被用者保険] 被保険者が市町村民税非課税 等	8,000円	24,600円
	Ⅰ	[後期] 世帯員全員の所得が一定以下（※4） [国保] 世帯主及び世帯の被保険者全員の所得が一定以下（※4） [被用者保険] 被保険者及び被扶養者の所得が一定以下（※4）等		15,000円

※1 「標準報酬月額」：4月から6月の給料・超勤手当・家族手当等の報酬の平均月額をあらかじめ決められた等級別の報酬月額に当てはめるもの。決定した標準報酬月額は、その年の9月から翌年8月まで使用する。

※2 「旧ただし書き所得」：収入総額から必要経費、給与所得控除、公的年金等控除等を差し引いたものである総所得金額から、基礎控除（33万円）をさらに差し引いたもの

※3 70歳以上の高齢者が複数いる世帯の場合、収入の合計額が520万円未満（70歳以上の高齢者が一人の場合、383万円未満）を除く。

※4 地方税法の規定による市町村民税に係る所得（退職所得を除く）がない場合（年金収入のみの場合、年金受給額80万円以下）

障害に係る自立支援医療における利用者負担の基本的な枠組み

- ① 利用者負担が過大なものにならないよう、所得に応じて1月当たりの負担額を設定。(これに満たない場合は1割)
 ② 費用が高額な治療を長期にわたり継続しなければならない(重度かつ継続)者、育成医療の中間所得層については、更に軽減措置を実施。

所得区分	更生医療・ 精神通院医療	育成医療	重度かつ継続	
一定所得以上	対象外	対象外	20,000円	市町村民税235,000円以上
中間所得	医療保険の高額療養費 ※精神通院の殆どは重度かつ継続	10,000円	10,000円	市町村民税 235,000円未満
		5,000円	5,000円	
低所得2	5,000円	5,000円	5,000円	市町村民税非課税 (本人収入が800,001円以上)
低所得1	2,500円	2,500円	2,500円	市町村民税非課税 (本人収入が800,000円以下)
生活保護	0円	0円	0円	生活保護世帯

○「重度かつ継続」の範囲

・疾病、症状等から対象となる者

[更生・育成] 腎臓機能・小腸機能・免疫機能・心臓機能障害(心臓移植後の抗免疫療法に限る)・肝臓の機能障害(肝臓移植後の抗免疫療法に限る)の者

[精神通院] ①統合失調症、躁うつ病・うつ病、てんかん、認知症等の脳機能障害、薬物関連障害(依存症等)の者

②精神医療に一定以上の経験を有する医師が判断した者

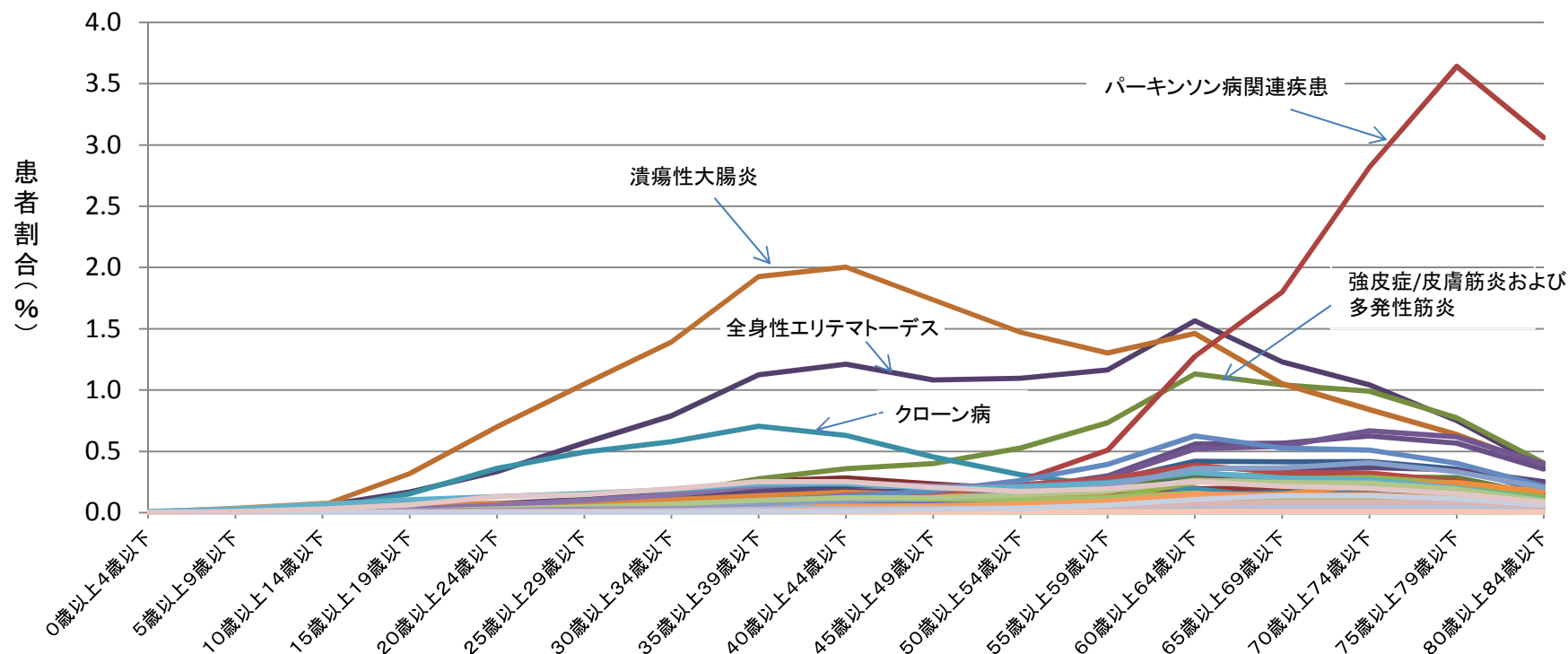
・疾病等に関わらず、高額な費用負担が継続することから対象となる者

[更生・育成・精神通院] 医療保険の多数該当の者

※ 自立支援医療は、障害者等の心身の障害の状態の除去・軽減を図ることを目的とし、治療効果が期待される医療を給付対象としている。

特定疾患治療研究事業の対象疾患(56疾患)患者の年齢階層別割合

- 特定疾患治療費研究事業の対象疾患の患者は、年齢階層に関係なく各年齢層に広く分布しているが、個々の疾患により分布に特徴があるものもある。



ベーチェット病	多発性硬化症	重症筋無力症	全身性エリテマトーデス
スモン	再生不良性貧血	サルコイドーシス	筋萎縮性側索硬化症
強皮症/皮膚筋炎および多発性筋炎	特発性血小板減少性紫斑病	結節性動脈周囲炎	潰瘍性大腸炎
大動脈炎症候群	ビュルガー病	天疱瘡	脊髄小脳変性症
クローン病	難治性の肝炎のうち劇症肝炎	悪性関節リウマチ	パーキンソン病関連疾患
アミロイドーシス	後縦靭帯骨化症	ハンチントン病	モヤモヤ病
ウェゲナー肉芽腫症	特発性拡張型心筋症	多系統萎縮症	表皮水疱症
膿疱性乾癬	広範脊柱管狭窄症	原発性胆汁性肝硬変	重症急性膵炎
特発性大腿骨頭壊死症	混合性結合組織病	原発性免疫不全症候群	特発性間質性肺炎
網膜色素変性症	プリオン病	肺動脈性肺高血圧症	神経線維腫症
亜急性硬化性全脳炎	バッド・キアリ症候群	慢性血栓塞栓性肺高血圧症	ライソゾーム病
副腎白質ジストロフィー	家族性高コレステロール血症	脊髄性筋萎縮症	球脊髄性筋萎縮症
慢性炎症性脱髄性多発神経炎	肥大型心筋症	拘束性心筋症	ミトコンドリア病
リンパ脈管筋腫症	重症多形滲出性紅斑	黄色靭帯骨化症	間脳下垂体機能障害

(出典) 平成25年度 厚生労働科学研究費補助金(難治性疾患克服研究事業)研究班「今後の難病対策のあり方に関する研究」(調べ)

難病患者の一月あたりの医療費負担額の分布について

○ 難病患者が医療費助成を受けないと仮定した場合に医療機関の窓口で一月に支払う自己負担額の分布。

※ 表の区分は医療保険における70歳以上の高額療養費制度に係る外来の負担上限額を参照。

自己負担額	患者分布	患者分布	
		うち70歳未満	うち70歳以上
～8,000円	51.1%	25.0%	26.1%
8,001円～12,000円	13.5%	9.6%	4.0%
12,001円～44,400円	25.0%	22.2%	2.8%
44,401円～	10.4%	8.4%	2.0%
合計	100%	65.1%	34.9%

1) 医療費の自己負担割合は、70歳未満の者は3割、70歳以上の者は1割として単純に集計したものであり、所得状況は考慮していない。

2) 窓口で支払う医療費については、入院医療費(食事療養・生活療養を除く)、外来医療費、調剤費を合算して計上している。

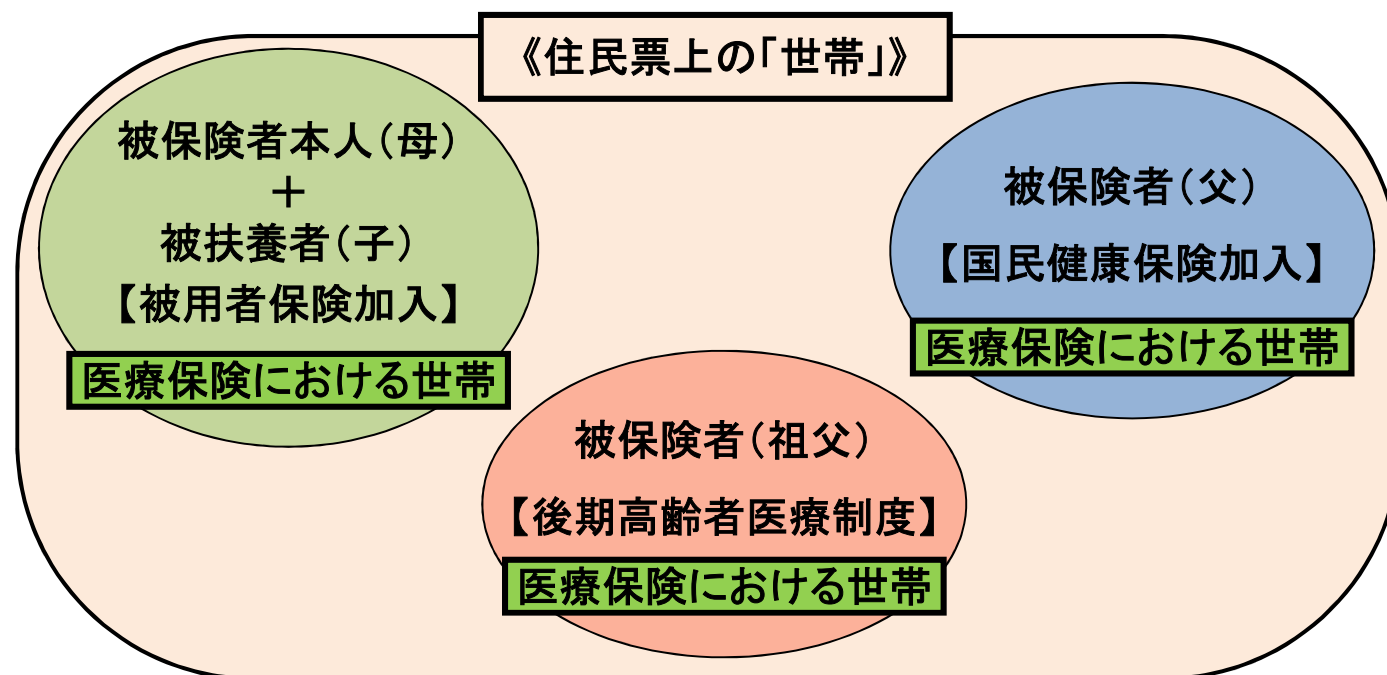
医療保険における世帯の取扱い

○ 被用者保険

- ・ 被保険者及びその被扶養者を一つの加入単位とする。
- ・ 被扶養者は被保険者の申告に基づいて決定される。その際、被扶養者となる者が被保険者の直系尊属、配偶者、子、孫及び弟妹であれば、住民票上の同一の世帯に属しているかを問わない。
- ・ 年収が130万円以上（60歳以上の場合は年収180万円以上）の者は、被扶養者となることはできず、その者は別の単位として医療保険に加入する。

○ 国民健康保険

- ・ 各市区町村が運営
- ・ 保険料は、世帯内の加入者数及び所得等に応じて決まる。
- ・ 保険料の納付義務者は、住民票上の世帯主となる。



○ 医療保険における世帯を単位にした場合、住民票上の「世帯」と対象者が異なる。

○ 左の図では、祖父・父・母・子の4人が住民票上の同一「世帯」となるが、医療保険を単位にした世帯の場合、同一世帯になるのは母と子のみ。

その他の患者負担の仕組みについて

- 介護保険における医療系サービスの性格、一般の高齢者は医療費に加えて介護保険の一部を負担していることを踏まえ、介護保険法の規定どおり負担することとしてはどうか。

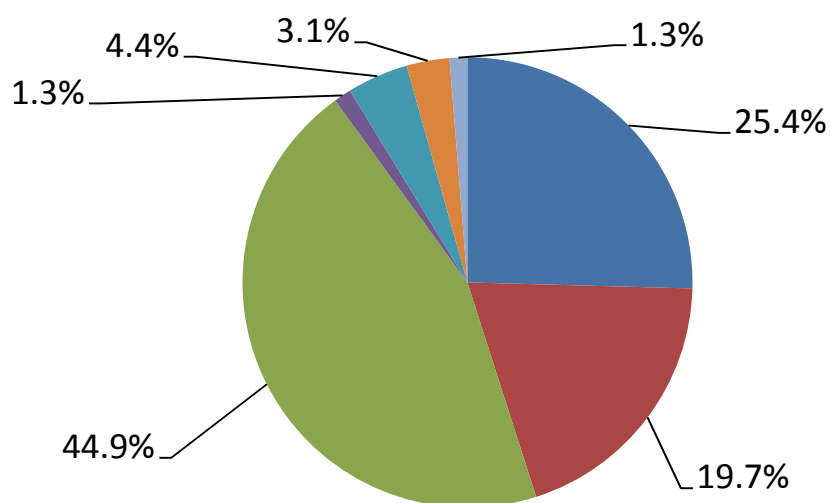
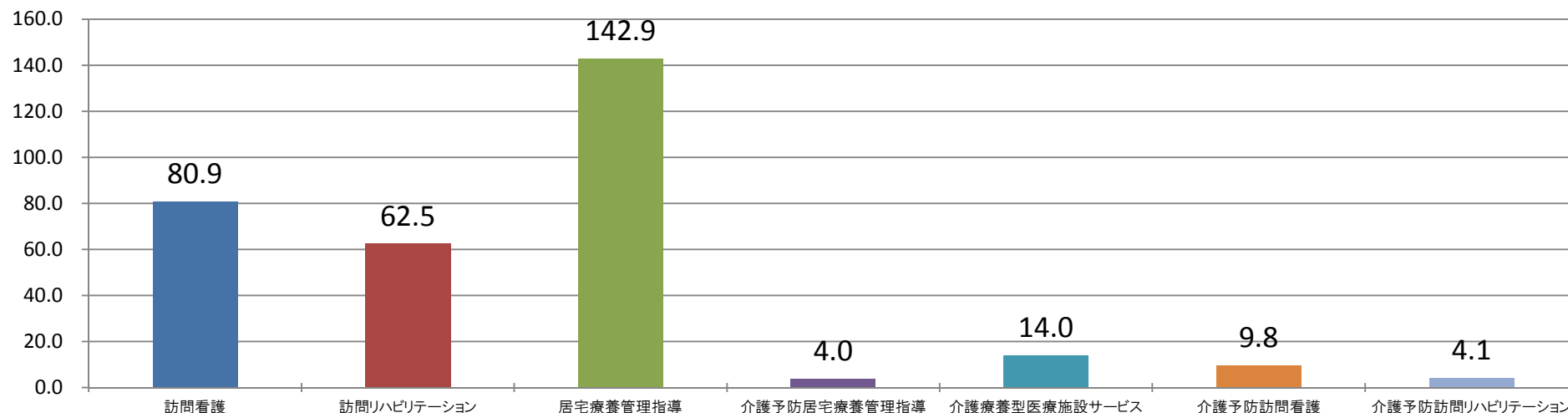
【介護保険法の規定による医療系サービス】
 (現行の難病の医療費助成対象となっているものの例)

サービス種類	サービス内容	現行の難病の医療費助成における取扱
訪問看護	通院が困難な利用者に対して、その者の居宅において、主治医の指示に基づき、看護師等により行われる療養上の世話又は必要な診療の補助を行うサービス	全額公費負担
訪問リハビリテーション	通院が困難な利用者に対して、理学療法士等が、医師の指示に基づき、居宅を訪問してリハビリテーションを行うサービス	医療機関ごとに自己負担限度額を適用する
居宅療養管理指導	通院が困難な利用者に対して、医師や歯科医師等が居宅を訪問し、療養上の管理及び指導を行うサービス	
介護療養施設サービス	介護療養型医療施設の療養病床等に入院する要介護者に対して、施設サービス計画に基づいて行われる療養上の管理、看護、医学的管理の下における介護その他の世話及び機能訓練その他必要な医療	

※この他に介護予防訪問看護、介護予防訪問リハビリテーション、介護予防居宅療養管理指導が難病の医療費助成対象となっている。15

現行の難病に係る医療費助成の受給者における介護保険サービスの利用状況について(受給者千人当たりの利用延件数/年)

(単位:件)



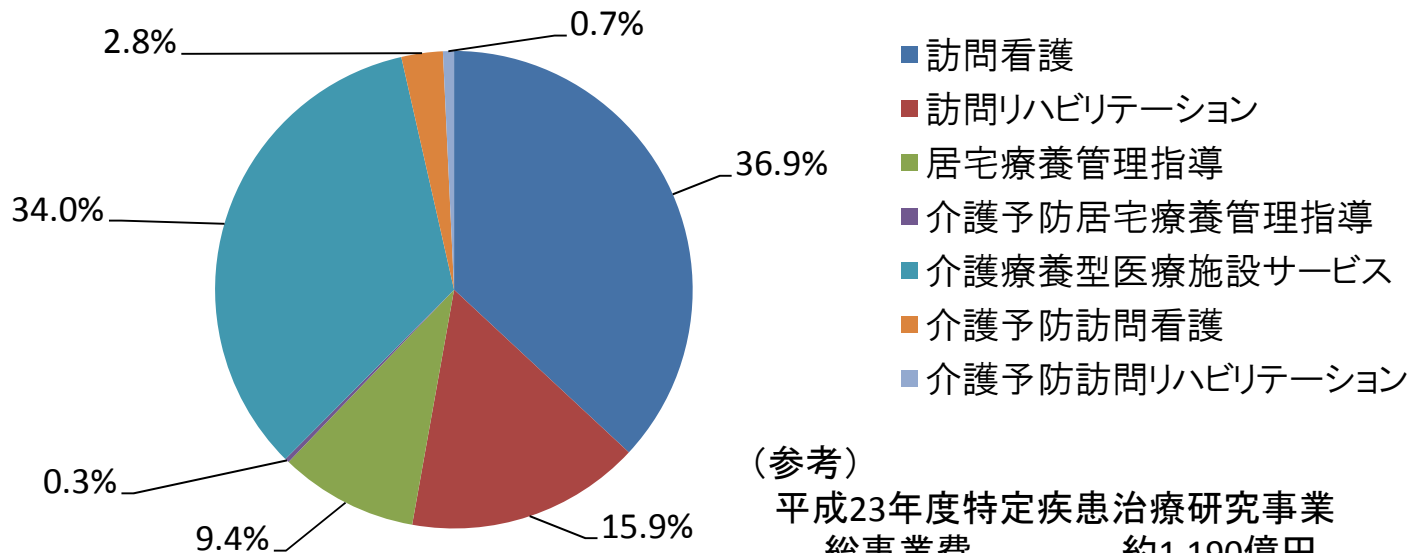
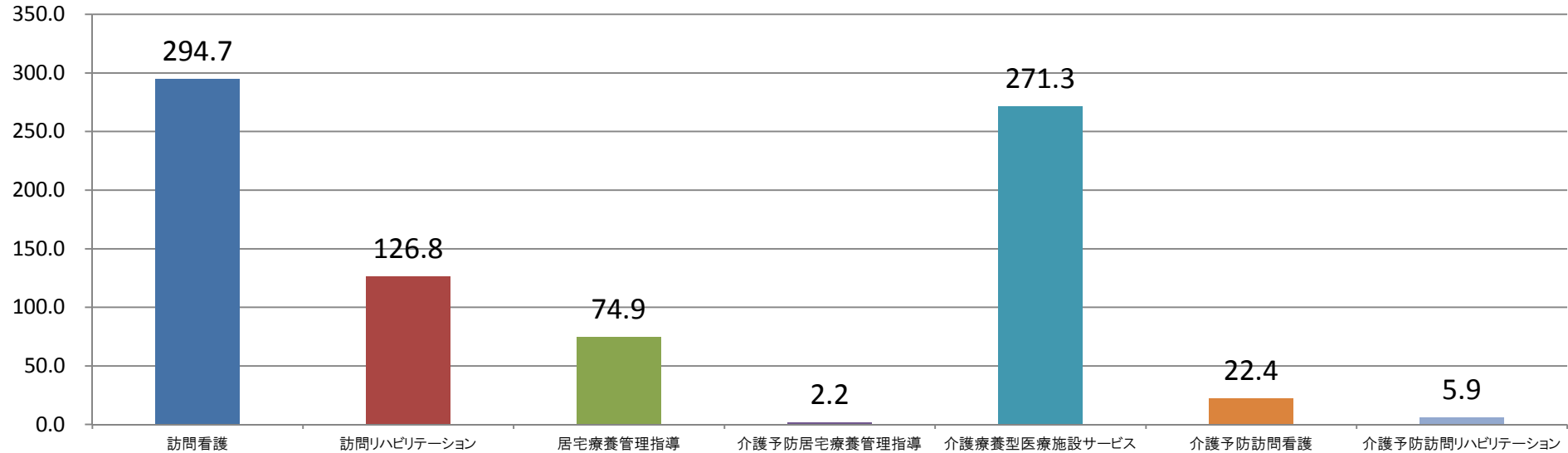
(注) それぞれのサービスの単位は件数であり、1人で複数のサービスを利用する場合にはその件数が各サービスでカウントされている。

- 訪問看護
- 訪問リハビリテーション
- 居宅療養管理指導
- 介護予防居宅療養管理指導
- 介護療養型医療施設サービス
- 介護予防訪問看護
- 介護予防訪問リハビリテーション

※件数は平成24年度実績より(37府県分)、受給者数は平成23年度実績より

現行の難病に係る医療費助成の受給者における 介護保険サービスの利用状況について(公費負担額/年)

(単位:百万円)



(参考)

平成23年度特定疾患治療研究事業

総事業費 約1,190億円

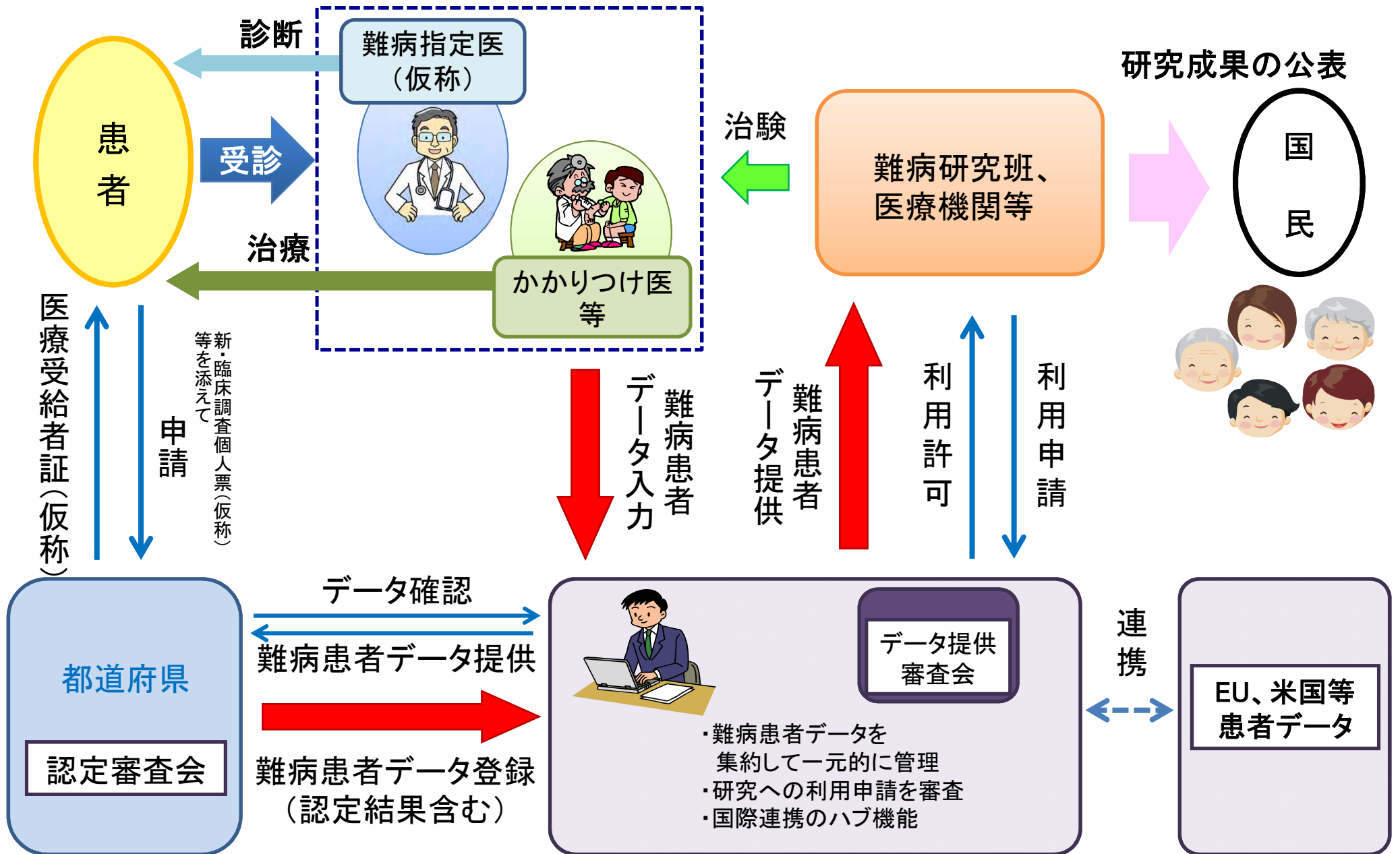
うち介護保険分 約9.8億円(総事業費の約0.8%)

※平成24年度実績より(37府県分)

効果的な治療方法の開発と医療の 質の向上について

平成25年10月18日

難病患者データの精度の向上と有効活用(新たな仕組みの全体イメージ)



① 難病患者データの精度の向上について

<論点>

○ 難病患者のデータ登録の位置づけについてどのように考えるか。

- 難病患者のデータ登録の目的について、症例が比較的少ない疾患に対し、転帰を把握するとともに、一定の症例を確保し、研究事業に結びつけることとしてはどうか。

なお、本データ登録は1年に1度行われるものであり、以下のような目的で用いられることが想定される。

- ・疾患の疫学研究(患者基本情報の分析等)
 - ・診断基準やガイドラインの作成(患者の自然歴等に着目した実態把握や治療方法分析)
 - ・創薬研究(自然歴等を参考に、研究対象とする患者の分析等)
- 治験などの個別のプロトコール(研究計画)に基づいた詳細な検査項目等は、本データも活用しながら研究班ごとに必要に応じて収集する等、目的や方法を区別して考えるべきではないか。

＜論点＞

○ 精度の高いデータを登録するに当たって、難病指定医(仮称)の役割をどのように考えるか。

- 難病指定医(仮称)の役割は、難病の医療費助成の対象となる患者を正しく診断することとしてはどうか。
- 難病指定医(仮称)は、難病医療に関し専門性を有する医師※であることを指定の要件とし、都道府県が指定することとしてはどうか。
※ 専門学会に所属し専門医を取得している医師、または専門学会、日本医師会(地域医師会)、新・難病医療拠点病院等で実施する一定の基準を満たした研修を受講した医師等
- 新たに医療費助成を申請する際に添付する新・臨床調査個人票[新規](仮称)については、早期に正しく診断することが重要なことから、難病指定医(仮称)が発行することとしてはどうか。
- 医療受給者証(仮称)の更新を申請する際に添付する新・臨床調査個人票[更新](仮称)については、難病指定医(仮称)もしくは、難病指定医(仮称)と連携したかかりつけ医等が発行することとしてはどうか。
- データ登録の負担をできる限り軽減するよう努めてはどうか。

<論点>

- 対象疾患に罹患していても、医療費助成の対象にならない患者のデータ収集の在り方についてどのように考えるか。
- 患者データ登録システムで、医療費助成の対象疾患に罹患しているものの、医療費助成の対象とならない患者のデータも登録できることとしてはどうか。
- 一度も医療費助成の対象となることがない患者のうち、データ登録を行った者に対し、当該疾患に罹患していることの証明書を難病指定医(仮称)が発行することを検討してはどうか。
- 証明書については、単に診断書という性格に留まらず、難病患者の不安を軽減することなどを目的として適切な情報を提供できるようなものとしてはどうか。
- 具体的には、診断名に加え、医療費助成制度の概要や軽症のうちから活用できる制度の説明、保健所や難病相談・支援センター及び難病情報センター等で得られるサービスの概要とその連絡先などについて記載してはどうか。

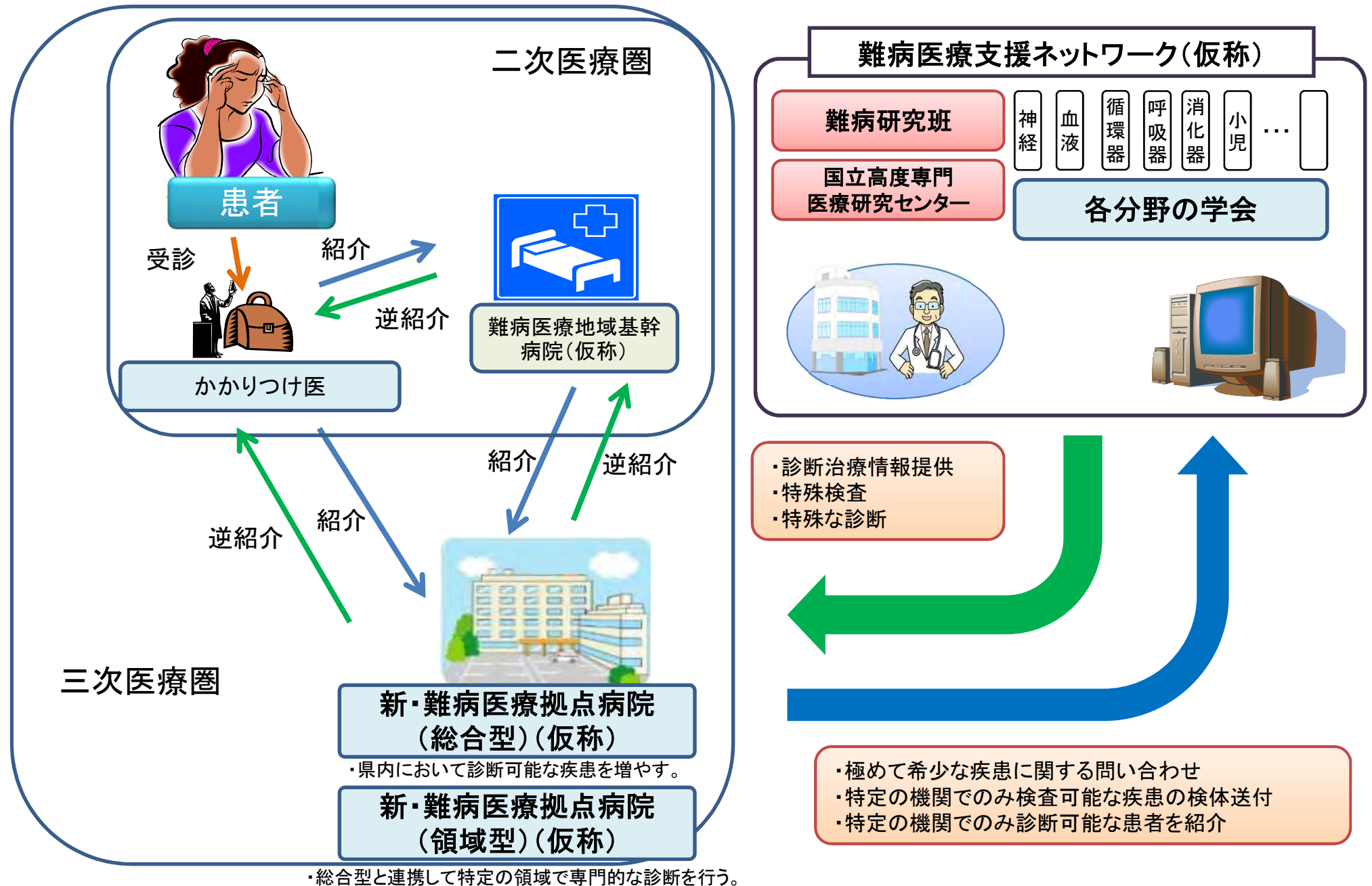
② 医療の質の向上及び医療体制の整備について

<論点>

○ 極めて希少な疾患を診断するための医療提供体制はどうあるべきか。

- どこに行っても診断が見つからない、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ための困難に対応するため、高い専門性と経験を有する病院を「新・難病医療拠点病院(総合型)(仮称)」として、都道府県が三次医療圏ごとに原則1か所以上指定する。
- 神経難病等の特定分野の疾病に対してより専門的な医療を提供することができる医療機関を「新・難病医療拠点病院(領域型)(仮称)」として都道府県が適切な数を指定する。
- 「新・難病医療拠点病院(総合型)(仮称)」においては、なるべく多くの疾患の診断が可能となるべく体制を整備するよう努めるとともに、それでも十分な診断が見つからない疾患について、「新・難病医療拠点病院(領域型)(仮称)」及び難病医療支援ネットワーク(仮称)を活用して、早期に確実な診断を行えるようにしてはどうか。
- 難病医療支援ネットワーク(仮称)では、国立高度専門医療研究センターや難病研究班がそれぞれの分野の学会と連携し、全国規模で、より専門性の高い施設への検査依頼や患者の紹介等を通じ、正しい診断ができる体制を整備してはどうか。

患者から見た新たな医療提供体制のイメージ(診断が困難な場合)



② 医療の質の向上及び医療体制の整備について

<論点>

○ 患者のアクセスも考慮し、難病の日常的な診療体制はどうあるべきか。

- 難病指定医(仮称)の役割は正しく診断を行うことであることから、患者のアクセスも考慮し、難病治療を含む日常的な診療は、従来どおり、難病指定医(仮称)以外のかかりつけ医等でも行えることとしてはどうか。
- 難病患者は高頻度に入院治療が必要になるという特性を考慮して、都道府県が難病医療地域基幹病院(仮称)を二次医療圏に概ね1か所程度指定し、かかりつけ医等と連携して、入院医療の確保等を行ってはどうか。
- 長期にわたって在宅での療養が必要な難病患者やその家族が、安心して療養を行えるよう、家族等の介護者の休息(レスパイト)等の理由により一時的に在宅で介護等を受けることが困難になった場合に一時入院することが可能な病床を確保する事業について継続させることが必要ではないか。

③ 治療方法の開発に向けた難病研究の推進について

<論点>

- 難病対策において研究の対象とする疾患についてどのように考えるか。
 - ・医療費助成の対象疾患との関係についてどのように考えるか

- 研究の対象とする疾患の範囲については、医療費助成の対象よりも広くとらえてはどうか。特に、まだ実態の解明が行われておらず疾患概念が確立されていない疾患についても研究を行う必要があるのではないか。

研究対象疾患と医療費助成対象疾患の関係(イメージ)

一般的なイメージの難病

※ 「治りにくい病気」と考えられている疾患を概念的に含む

研究対象疾患

※ おおむね4要素*を満たし、実態も含めて研究が必要とされる疾患。診断基準が不明確な疾患を含む。

研究の成果をもとに、第三者委員会で定期的に対象疾患の見直しを行う。

医療費助成対象疾患

※ 4要素*を満たし、客観的指標**に基づく一定の診断基準が確立されている疾患

* ①症例が比較的少ない②原因不明③効果的な治療方法の未確立④生活面への長期にわたる支障

** 客観的診断指標とは、遺伝子診断や画像診断の他、医学的に他覚的所見として判断されるものを含む。

＜論点＞

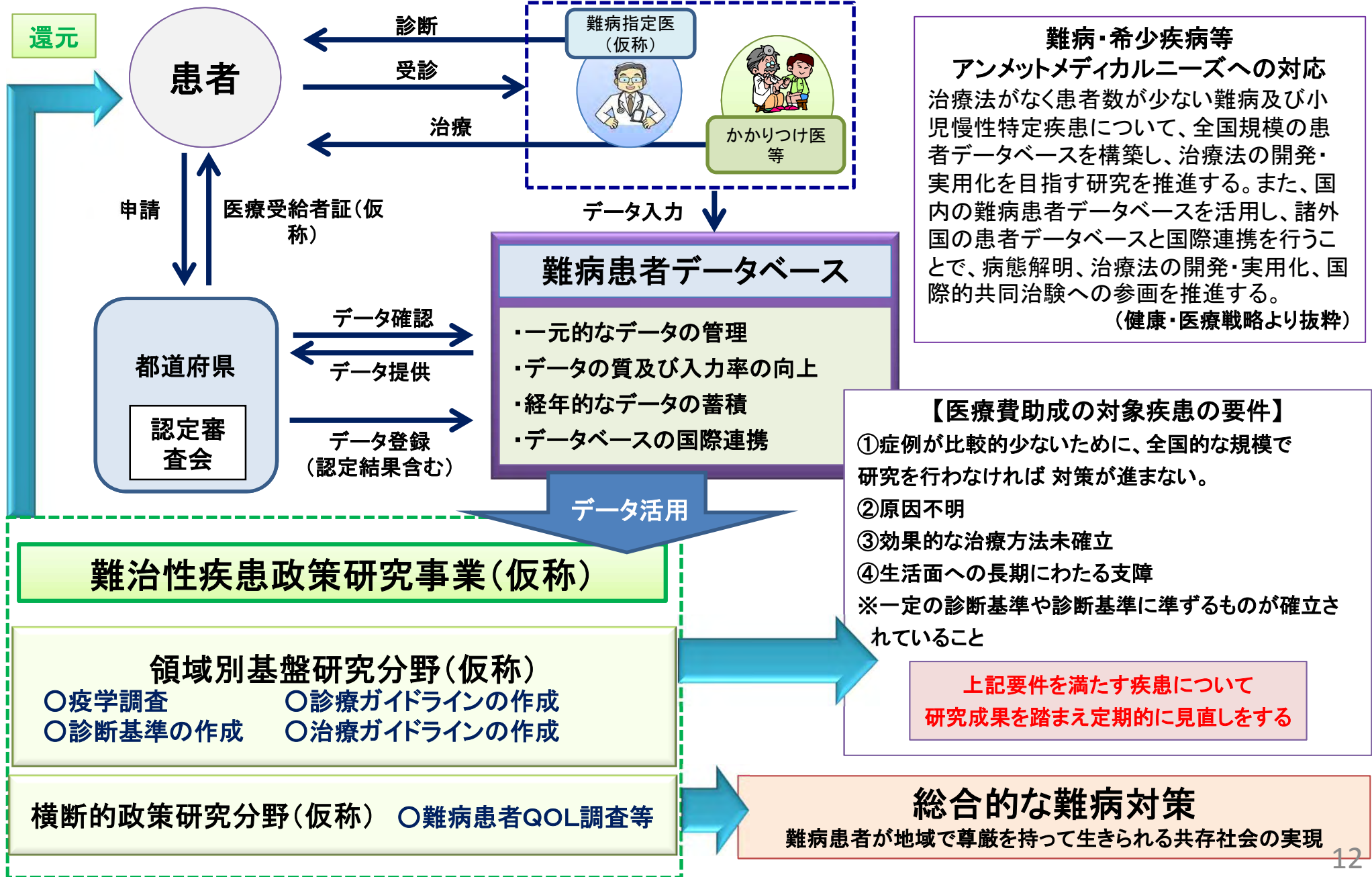
- 難病対策における研究の位置づけについてどのように考えるのか。
 - 医薬品、医療機器等を開発して実用化につなげる研究
 - 疾患の原因究明、病態解明を行う研究
 - 診療の標準化のためのガイドラインを作成する研究
 - 診断基準が確立されていない疾患を対象として実態を明らかにする研究
 - 疾患横断的に取り組む研究

- 難病の病態解明を行い、医薬品、医療機器等の開発につなげるための研究をさらに推進すべきではないか。
- 難病研究で確立された診断基準を、医療費助成の対象疾患で用いる認定基準として活用してはどうか。また診療ガイドラインは、医療費助成の対象となる医療の範囲についての目安としてはどうか。
- 診療ガイドラインは、妥当性の高い手順で作成することを求めているかどうか。具体的には現時点ではMinds(※)の「診療ガイドラインの作成の手引き」に基づいたものを作成することを求めているかどうか。
- 疾患概念が確立されていない疾患を対象にした分野を設け、研究を進めてはどうか。
- 研究内容については、最新の情報を知りたいという患者や一般国民の要望もあることから、研究班は医療従事者以外が理解できるよう、平易な言葉で最新情報を提供することとしてはどうか。

※ 厚生労働省EBM(根拠に基づく医療)普及推進事業として公益財団法人日本医療機能評価機構に委託している事業において作成された手引き

※※ 現在、ガイドラインについては、「今後の難病対策のあり方に関する研究」班(研究代表者:松谷有希雄、分担研究者:千葉勉、五十嵐隆)で調査・分析を行っている。

難治性疾患政策研究事業(仮称)(難病研究のうち直接政策に反映させることが必要な分野)



難病の新規治療薬・医療器機開発に向けた取組

新たな相談領域
(薬事戦略相談)
平成23年から実施



治験相談
(現在実施中)



基礎研究

シーズ探索
開発初期段階

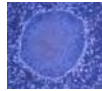
非臨床試験／治験実施に向けた
シーズの改善・改良・評価法確立

治験

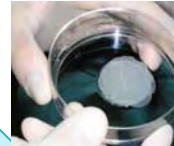
承認申請

難治性疾患実用化研究事業(仮称)により支援

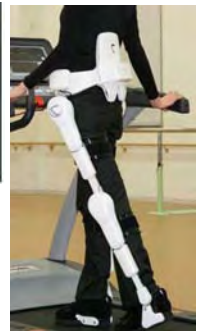
例: 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究



例: 小児拡張型心筋症に対する骨格筋芽細胞シートを用いた再生治療



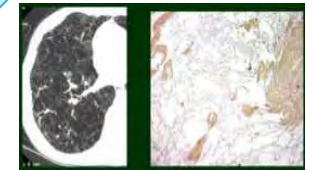
例: ALSに対するHGF髄腔内投与
例: 神経・筋難病疾患に対する下肢装着型補助ロボット(HAL-HN01)



例: リンパ脈管筋腫症に対するシロリムス内服



連携

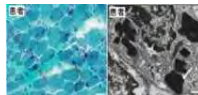


横断研究分野(仮称)

希少・難治性疾患(難病)に対する遺伝子診断

例

- 先天性ミオパチーの疾患責任遺伝子KLHL40の発見
- 多系統萎縮症の原因遺伝子COQ2の発見
- 遺伝性小児血液疾患診断システムの構築



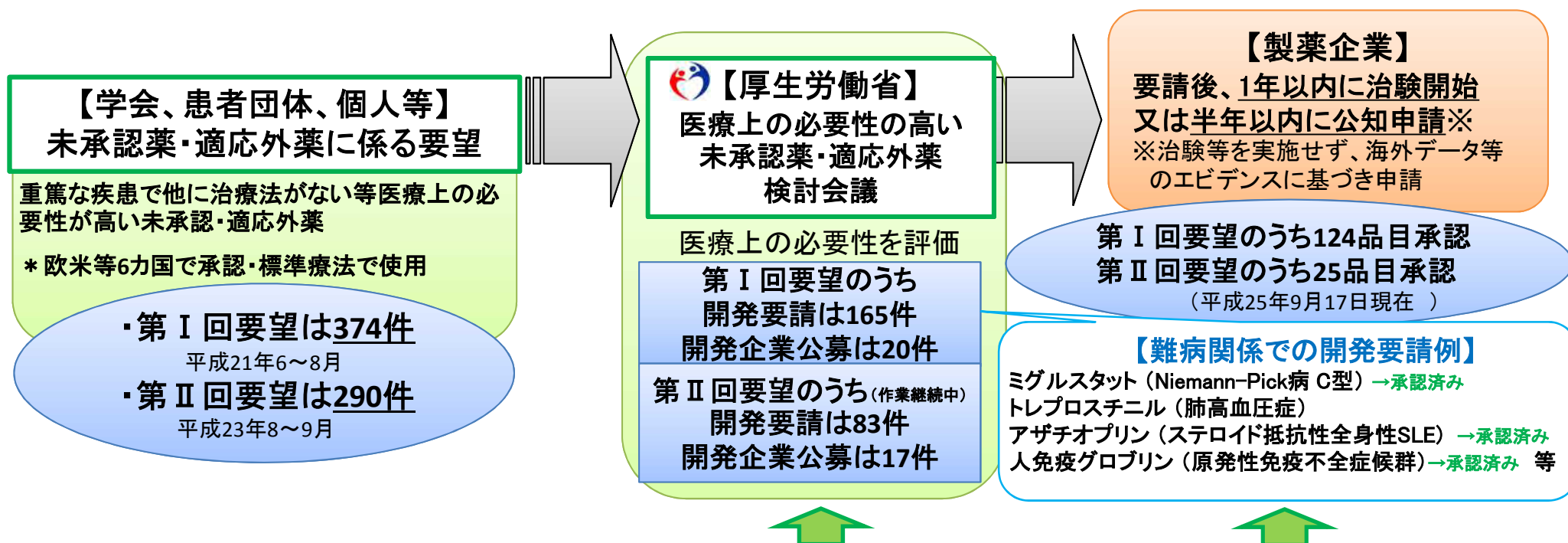
難病患者データベース

難病について全国規模の患者データベースを構築し
治療方法の開発・実用化を目指す研究を推進
(一元的なデータの管理・データの質及び入力率の向上・
経年的なデータの蓄積・データベースの国際連携)

難病の未承認薬・適応外薬の承認に向けた取組

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬について

欧米等では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応（以下「未承認薬・適応外薬」）については、これまでに計2回の開発要望を募集しており、その結果について「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において、医療上の必要性を評価するとともに、承認申請のために実施が必要な試験の妥当性や公知申請への該当性を確認すること等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発を促している。



新薬創出・適応外薬解消等促進加算（薬価の加算 H22.4より試行継続中）

革新的な新薬の創出や適応外薬の開発等を目的に、後発品のない新薬で値引率の小さいものに一定率までの加算を行う。

加算の条件として、厚生労働省が開発要請する適応外薬の開発等を実行する。