

# 厚生科学審議会疾病対策部会第30回難病対策委員会

## 議事次第

平成25年9月3日

14:00～16:00

場所：専用第18～20会議室（17階）

### 1. 開 会

### 2. 議 事

- (1) 難病対策の改革に係る検討状況及び難病対策委員会の進め方について
- (2) 今後の難病対策の改革を進める上での論点について
- (3) その他

### 3. 閉 会

#### < 配付資料 >

- |      |                         |
|------|-------------------------|
| 資料 1 | 難病対策の改革に係る検討状況について      |
| 資料 2 | 難病対策委員会の進め方（案）          |
| 資料 3 | 今後の難病対策の改革を進める上での論点について |

# 難病対策の改革に係る 検討状況について

# 難病対策の改革について(提言)

平成25年1月25日 厚生科学審議会 疾病対策部会 難病対策委員会  
(平成25年1月31日に疾病対策部会です承)

## 改革の基本理念

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。

## 改革の4つの原則

- (1) 難病の効果的な治療方法を見つけるための治療研究の推進に資すること。
- (2) 他制度との均衡を図りつつ、難病の特性に配慮すること。
- (3) 官民が協力して社会全体として難病患者に対する必要な支援が公平かつ公正に行われること。
- (4) 将来にわたって持続可能で安定的な仕組みとすること。

## 改革の3つの柱

### 第1 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

- ・ 治療方法の開発に向けた難病研究の推進(新たな研究分野の枠組み)
- ・ 難病患者データの精度の向上と有効活用、国際協力の推進  
(全国的な難病患者データの登録など)
- ・ 医療の質の向上  
(治療ガイドラインの作成・周知など)
- ・ 医療体制の整備  
(新・難病医療拠点病院(仮称)、難病医療地域基幹病院(仮称)の指定など)

### 第2 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

- ・ 患者データを収集し研究を推進する目的に加え、医療費の負担が大きい患者を支援する目的を併せ持つ医療費助成を実施
- ・ 医療費助成の対象疾患の見直し
- ・ 対象患者の認定基準の見直し  
(症状の程度が重症度分類等で一定以上等で、日常生活又は社会生活に支障あり)
- ・ 難病指定医(仮称)による診断
- ・ 指定難病医療機関(仮称)による治療
- ・ 患者負担の見直し  
(重症患者の特例の見直し、入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担の導入など)

### 第3 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

- ・ 難病に関する普及啓発
- ・ 日常生活における相談・支援の充実  
(難病相談・支援センターの機能強化など)
- ・ 福祉サービスの充実  
(障害福祉サービスの利用)
- ・ 就労支援の充実  
(ハローワークと難病相談・支援センターの連携強化など)
- ・ 難病を持つ子ども等への支援の在り方

## 難病対策の課題

- ・ 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(疾患間の不公平)。
- ・ 医療費助成に係る都道府県の超過負担が生じている。
- ・ 難病に関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不十分。
- ・ 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。

(参考1)平成25年度における年少扶養控除等の見直しによる地方財政の追加増収分等の取扱い等について(平成25年1月27日)

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(以下「年少扶養控除の廃止等」という。)によって平成25年度において新たに生じる地方増収分並びに平成24年度において特定疾患治療研究事業の超過負担に暫定的に充当した年少扶養控除の廃止等による地方増収分の取扱い等については、以下のとおりとする。

- (1) 特定疾患治療研究事業については、平成26年度予算において超過負担の解消を実現すべく、法制化その他必要な措置について調整を進めること。
- (2) 平成25年度予算における特定疾患治療研究事業の国庫補助金については、当該事業の国費不足額が平成24年度予算における国費不足額を下回るよう、所要額を計上すること。
- (3) (1)及び(2)の措置を前提として、平成24年度において特定疾患治療研究事業の超過負担に暫定的に充当した年少扶養控除の廃止等による地方増収分(269億円)を、(4)・(5)に掲げる国庫補助事業の一般財源化の財源として活用すること。
- (4)(5) 略

平成25年1月27日

総務大臣  
財務大臣  
厚生労働大臣

(参考2)

# 社会保障制度改革国民会議 報告書

## ～確かな社会保障を将来世代に伝えるための道筋～

(平成25年8月6日)

### 第2部 社会保障4分野の改革

#### Ⅱ 医療・介護分野の改革

#### 3 医療保険制度改革

##### (3) 難病対策等の改革

希少・難治性疾患(いわゆる「難病」)への対策については、1972(昭和47)年に「難病対策要綱」が策定され、40年にわたり各種事業が推進されてきた。

特に、医療費助成は、難病が原因不明であって、治療方法が確立されていないため、長期にわたる療養が必要となり、その結果、比較的若い時期から長期にわたり高額な医療費の負担が必要となるなどといった難病特有の事情に着目して設けられてきた。

しかし、難病対策については、相対的には他の福祉制度等に隠れて光が当たってこなかった印象は否めず、対象となる疾患同様に原因不明で治療法未確立でも医療費助成の対象に選定されていないケースがあるなど疾患間の不公平が指摘され、予算面でも医療費助成における都道府県の超過負担の早急な解消が求められているなど、様々な課題を抱えている。

難病で苦しんでいる人々が将来に「希望」を持って生きられるよう、難病対策の改革に総合的かつ一体的に取り組む必要があり、医療費助成については、消費税増収分を活用して、将来にわたって持続可能で公平かつ安定的な社会保障給付の制度として位置づけ、対象疾患の拡大や都道府県の超過負担の解消を図るべきである。

ただし、社会保障給付の制度として位置づける以上、公平性の観点を欠くことはできず、対象患者の認定基準の見直しや、類似の制度との均衡を考慮した自己負担の見直し等についても併せて検討することが必要である。

慢性疾患を抱え、その治療が長期間にわたる子どもについても同様の課題があり、児童の健全育成の観点から、身体面、精神面、経済面で困難な状況に置かれ、将来の展望に不安を抱えている子どもやその家族への支援として、難病対策と同様の措置を講じていく必要がある。

(参考3) 社会保障制度改革推進法第4条の規定に基づく  
「法制上の措置」の骨子について(平成25年8月21日閣議決定)

社会保障制度改革推進法(平成24年法律第64号)第4条の規定に基づく「法制上の措置」に関し、

- ① 同法第2条の基本的な考え方にとり、かつ、同法第2章に定める基本方針に基づき、
- ② 自らの生活を自ら又は家族相互の助け合いによって支える自助・自立を基本とし、これを相互扶助と連帯の精神に基づき助け合う共助によって補完し、その上で自助や共助では対応できない困窮等の状況にある者に対しては公助によって生活を保障するという考え方を基本に、受益と負担の均衡がとれた持続可能な社会保障制度の確立を図るため講ずべき改革(以下「社会保障制度改革」という。)の推進に関する骨子について、社会保障制度改革国民会議の審議の結果等を踏まえ、次のとおり定める。

政府は、本骨子に基づき、社会保障制度改革推進法第4条の規定に基づく「法制上の措置」として、社会保障制度改革の全体像及び進め方を明らかにする法律案を速やかに策定し、次期国会に提出する。

一 講ずべき社会保障制度改革の措置等

2. 医療制度

高齢化の進展、高度な医療の普及等による医療費の増大が見込まれる中で、国民皆保険制度を維持することを旨として以下のとおり、必要な改革を行う。

- (9) 難病対策に係る都道府県の超過負担の解消を図るとともに、難病及び小児慢性特定疾患に係る公平かつ安定的な医療費助成の制度を確立するため、必要な事項について検討を加え、その結果に基づいて必要な措置を講ずる。
- (10) (9)に掲げる必要な措置を平成26年度を目途に講ずる。このために必要な法律案を平成26年通常国会に提出することを目指す。

## (参考4) 平成26年度概算要求・難病対策について(概要)

難病対策委員会の提言(平成25年1月)の内容を概算要求に反映するとともに、「法制上の措置」の骨子について(平成25年8月閣議決定)を踏まえ、予算編成過程において検討を加え、必要な措置を講ずる。

### 【参考】

○「社会保障制度改革推進法第4条の規定に基づく「法制上の措置」の骨子について」(平成25年8月21日閣議決定)

「(9) 難病対策に係る都道府県の超過負担の解消を図るとともに、難病及び小児慢性特定疾患に係る公平かつ安定的な医療費助成の制度を確立するため、必要な事項について検討を加え、その結果に基づいて必要な措置を講ずる。(10) (9)に掲げる必要な措置を平成26年度を目途に講ずる。このために必要な法律案を平成26年通常国会に提出することを目指す。」

○社会保障制度改革国民会議報告書(平成25年8月6日)(抄)

### (3) 難病対策等の改革

難病で苦しんでいる人々が将来に「希望」を持って生きられるよう、難病対策の改革に総合的かつ一体的に取り組む必要があり、医療費助成については、消費税増収分を活用して、将来にわたって持続可能で公平かつ安定的な社会保障給付の制度として位置づけ、対象疾患の拡大や都道府県の超過負担の解消を図るべきである。

ただし、社会保障給付の制度として位置づける以上、公平性の観点を欠くことはできず、対象患者の認定基準の見直しや、類似の制度との均衡を考慮した自己負担の見直し等についても併せて検討することが必要である。

	(平成25年度)	→	(概算要求)
<b>【難病の研究】</b>			
○調査研究の推進	102億円	→	113億円
(内 訳)・難治性疾患克服研究事業(一部推進枠※)	(100億円)		(102億円)
・希少疾病用医薬品等の開発支援	( 2億円)		( 11億円)
<b>【難病の医療】</b>			
○医療費の自己負担の軽減	440億円	→	440億円
・特定疾患治療研究事業による医療費補助			(予算編成過程において検討)
<b>【難病の保健・福祉】</b>			
○地域における保健医療福祉の充実・連携	7.4億円	→	9億円
(主な事業)・難病相談・支援センター事業(推進枠※)	(1.4億円)		(3.2億円)
・難病情報センター(推進枠※)	(0.2億円)		(0.4億円)
・重症難病患者入院施設確保事業	(1.4億円)		(1.5億円)

※推進枠:新しい日本のための優先課題推進枠

549億円 → 562億円

## 難病対策委員会の進め方(案)

- 第30回  
(9月3日)
- 難病対策の改革に係る検討状況について
  - 今後の難病対策の改革を進める上での論点について①  
(医療費助成の仕組みに係る検討について)
- 次回
- 今後の難病対策の改革を進める上での論点について②  
(総合的な難病対策について)
- 次々回以降
- 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上について  
(治療方法の開発に向けた難病研究の在り方、新・難病医療拠点病院の在り方等)
  - 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築について  
(難病指定医の在り方、対象疾患とその基準に係る第三者的な委員会の在り方等)
  - 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実について  
(難病相談・支援センター、地域支援ネットワーク、福祉サービス、就労支援の在り方等)
- 11月目途 ○ まとめ



# 今後の難病対策の改革を 進める上での論点について

# 難病対策の改革についての基本的な考え方

## 改革の基本理念

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ことを難病対策の改革の基本理念とする。

## 改革の原則

この基本理念に基づいた施策を、広く国民の理解を得ながら行っていくため、以下の4つの原則に基づいて新たな仕組みを構築する。

- ① 難病の効果的な治療方法を見つけるための治療研究の推進に資すること
- ② 他制度との均衡を図りつつ、難病の特性に配慮すること
- ③ 官民が協力して社会全体として難病患者に対する必要な支援が公平かつ公正に行われること
- ④ 将来にわたって持続可能で安定的な仕組みとすること

## 改革の3つの柱

第1 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

第2 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

第3 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

# (参考1) 今後の難病対策委員会で審議すべき事項及び 関係各方面と調整を進めるべき事項

厚生科学審議会疾病対策部会

第 29 回難病対策委員会（平成 25 年 1 月 25 日） 配布資料

- (1) 医療費助成の具体的な対象疾患及び対象患者の認定基準
- (2) 医療費助成の対象患者の負担割合及び月額負担上限等
- (3) 総合的な難病対策の実施に係る実務的な事項
  - ・ 難病患者データの登録システムの詳細及び登録における都道府県の役割
  - ・ 難病指定医（仮称）・指定難病医療機関（仮称）の指定事務の詳細
  - ・ 医療受給者証（仮称）・登録者証（仮称）の様式 等

# <医療費助成に関する論点>

## 1. 医療費助成の対象について

- 対象疾患の選定基準をどのように考えるか。
- 医療費助成の対象となる疾患の選定及び見直しを行う第三者的な委員会の在り方をどのように考えるか。
- 対象患者の認定基準となる「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」を具体的にどのように考えるか。

## 2. 医療費助成における患者負担について

- ① 患者負担の基本的な考え方や仕組みについて、どのように考えるか。
- ② その他の患者負担の仕組みについて、どのように考えるか。

# 1. 医療費助成の対象について

# (1) 現行の医療費助成

## 難病の医療費助成・研究費助成の概要

### 特定疾患治療研究事業

〈医療費助成〉  
(56/130疾患)  
(440億円)

臨床調査研究分野のうち、治療が極めて困難で、かつ医療費が高額な疾患について、医療の確立、普及を図るとともに、患者の医療費負担の軽減を図る。

[自治体への補助金](平成25年度)  
国負担・県負担 各1/2  
総事業費 1,342億円(予測)  
自治体の超過負担額 **△233億円**  
交付率 65.2%(予測)

### 難治性疾患克服研究事業

〈研究費助成〉  
(100億円)

#### 臨床調査研究分野 (130疾患)

- ・希少性(患者数5万人未満)
  - ・原因不明
  - ・治療方法未確立
  - ・生活面への長期の支障
- の4要素を満たす疾患から選定し原因究明などを行う。

#### 研究奨励分野 (234疾患)

4要素を満たす疾患のうち臨床調査研究分野に含まれないものであって、これまで研究が行われていない疾患について、実態把握や診断基準の作成、疾患概念の確立等を目指す。

#### 重点研究分野

革新的診断・治療法を開発

#### 横断的基盤研究分野

疾患横断的に病因・病態解明

#### 指定研究

難病対策に関する行政的課題に関する研究

難病、がん等の疾患の克服(難治性疾患克服研究関連分野)

難病患者の全遺伝子を極めて短期間に解析し、早期に原因解明及び新たな治療法・開発を推進する。

# 現行の医療費助成(特定疾患治療研究事業)の概要

## 1. 目的

希少で、原因不明、治療方法未確立であり、かつ、生活面への長期にわたる支障がある疾病として調査研究を進めている疾患のうち、診断基準が一応確立し、かつ難治度、重症度が高く患者数が比較的少ないため、公費負担の方法を取らないと原因の究明、治療方法の開発等に困難をきたすおそれのある疾患について、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。

## 2. 実施主体 都道府県

## 3. 事業の内容

対象疾患の治療費について、社会保険各法の規定に基づく自己負担の全部又は一部に相当する額の1/2を毎年度の予算の範囲内で都道府県に対して補助

## 4. 患者自己負担

所得と治療状況に応じた段階的な一部自己負担あり

上限額 入院 0~23,100円/月 外来等 0~11,550円/月

※対象者が生計中心者である場合は上記金額の1/2

※医療保険各法に基づく、「診療報酬による療養の給付」「入院時食事療養費及び生活療養費」「訪問看護療養費」「保険外併用療養費」、介護保険法に基づく「居宅サービス費」「施設サービス費」「介護予防サービス費」等の合計額から保険者負担を控除した額及び入院時食事療養費標準負担額等の合計に対し、一部自己負担分を除き、当該事業で助成。

## 5. 対象疾患

難治性疾患克服研究事業のうち臨床調査研究分野の対象疾患(130疾患)の中から、学識者から成る特定疾患対策懇談会の意見を聞いて選定しており、現在、56疾患が対象となっている。

## 現行の医療費助成の対象疾患一覧

疾患番号	疾患名	実施年月
1	ベーチェット病	昭和47年 4月
2	多発性硬化症	昭和48年 4月
3	重症筋無力症	昭和47年 4月
4	全身性エリテマトーデス(SLE)	〃
5	スモン	〃
6	再生不良性貧血	昭和48年 4月
7	サルコイドーシス	昭和49年10月
8	筋萎縮性側索硬化症(ALS)	〃
9	強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎	〃
10	特発性血小板減少性紫斑病	〃
11	結節性動脈周囲炎	昭和50年10月
12	潰瘍性大腸炎	〃
13	大動脈炎症候群(高安動脈炎)	〃
14	ピュルガー病(バージャー病)	〃
15	天疱瘡	〃
16	脊髄小脳変性症	昭和51年10月
17	クローン病	〃
18	難治性肝炎のうち劇症肝炎	〃
19	悪性関節リウマチ	昭和52年10月
20	パーキンソン病関連疾患	
①	進行性核上性麻痺	平成15年10月
②	大脳皮質基底核変性症	平成15年10月
③	パーキンソン病	昭和53年10月
21	アミロイドーシス	昭和54年10月
22	後縦靭帯骨化症	昭和55年12月
23	ハンチントン病	昭和56年10月
24	モヤモヤ病(ウイリス動脈輪閉塞症)	昭和57年10月
25	ウエゲナー肉芽腫症	昭和59年 1月
26	特発性拡張型(うっ血型)心筋症	昭和60年 1月
27	多系統萎縮症	
①	線条体黒質変性症	平成15年10月
②	オリブ橋小脳萎縮症	昭和51年10月
③	シャイ・ドレーガー症候群	昭和61年 1月
28	表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型)	昭和62年 1月
29	膿疱性乾癬	昭和63年 1月
30	広範脊柱管狭窄症	昭和64年 1月

疾患番号	疾患名	実施年月
31	原発性胆汁性肝硬変	平成 2年 1月
32	重症急性膵炎	平成 3年 1月
33	特発性大腿骨頭壊死症	平成 4年 1月
34	混合性結合組織病	平成 5年 1月
35	原発性免疫不全症候群	平成 6年 1月
36	特発性間質性肺炎	平成 7年 1月
37	網膜色素変性症	平成 8年 1月
38	プリオン病	平成14年 6月統合
①	クロイツフェルト・ヤコブ病	平成 9年 1月
②	ゲルスマン・ストロイスラー・シャインカー病	平成14年 6月
③	致死性家族性不眠症	平成14年 6月
39	肺動脈性肺高血圧症	平成10年 1月
40	神経線維腫症	平成10年 5月
41	亜急性硬化性全脳炎(SSPE)	平成10年12月
42	バッド・キアリ(Budd-Chiari)症候群	〃
43	慢性血栓性肺高血圧症	〃
44	ライソゾーム病	平成14年 6月統合
①	ファブリー病	平成11年 4月
②	ライソゾーム病	平成13年 5月
45	副腎白質ジストロフィー	平成12年 4月
46	原発性高脂血症(家族性高コレステロール血症(ホモ接合体))	平成21年10月
47	脊髄性筋萎縮症	平成21年10月
48	球脊髄性筋萎縮症	平成21年10月
49	慢性炎症性脱髄性多発神経炎	平成21年10月
50	肥大型心筋症	平成21年10月
51	拘束型心筋症	平成21年10月
52	ミトコンドリア病	平成21年10月
53	リンパ管筋腫症(LAM)	平成21年10月
54	重症多形滲出性紅斑(急性期)	平成21年10月
55	黄色靭帯骨化症	平成21年10月
56	間脳下垂体機能障害(PRL分泌異常症、ゴナドトロピン分泌異常症、ADH分泌異常症、下垂体性TSH分泌異常症、クッシング病、先端巨大症、下垂体機能低下症)	平成21年10月

※対象疾患は平成25年1月現在における対象疾患である。



現行の医療費助成の対象疾患のうち重症度分類等を勘案して認定している12疾患

【疾患名】

【認定対象の考え方】

劇症肝炎

昏睡Ⅱ度以上の肝性脳症等

パーキンソン病

Yahr分類3度以上、かつ生活機能障害度が2度以上

後縦靭帯骨化症

日常生活への支障及び上肢、下肢運動機能が低下したもの

表皮水疱症

接合部型及び栄養障害型のみ

広範脊柱管狭窄症

生活機能障害度が2度以上

原発性胆汁性肝硬変

無症候性以外のもの

重症急性膵炎

軽症ならびに中等症は対象外

特発性間質性肺炎

重症度分類にてⅢ度以上

網膜色素変性症

重症度分類にてⅡ度以上

神経線維腫症Ⅰ型

重症度分類にてStage 4以上

バッド・キアリ症候群

門脈圧亢進所見のある症例に限定

黄色靭帯骨化症

日常生活への支障及び上肢、下肢運動機能が低下したもの

# 現在の重症度分類等

## ●パーキンソン病で用いている重症度分類

(※診断基準によりパーキンソン病と診断された者のうち、Hoehn&Yahr重症度(表1)3度以上で、かつ日常生活、通院に部分又は全面介助を要する生活機能障害度(表2)2~3度の者とする。)

表1: Hoehn&Yahr 重症度

0度	パーキンソニズムなし
1度	一側性パーキンソニズム
2度	両側性パーキンソニズム
3度	軽~中等度パーキンソニズム。姿勢反射障害あり。日常生活に介助不要
4度	高度障害を示すが、歩行は介助なしにどうにか可能
5度	介助なしにはベッド又は車椅子生活

表2: 生活機能障害度

1度	日常生活、通院にほとんど介助を要しない
2度	日常生活、通院に部分的介助を要する
3度	日常生活に全面的介助を要し、独立では歩行起立不能

## ●特発性間質性肺炎で用いている重症度分類

(※診断基準により特発性間質性肺炎と診断された者のうち、重症度分類判定表(表2)Ⅲ度以上の者とする。)

表2: 重症度分類判定表

新重症度分類	安静時動脈血酸素分圧	6分間歩行時 SpO <sub>2</sub>
I	80Torr 以上	
II	70Torr 以上 80Torr 未満	90%未満の場合はⅢにする
III	60Torr 以上 70Torr 未満	90%未満の場合はⅣにする (危険な場合は測定不要)
IV	60Torr 未満	測定不要

## (2) 難病対策の改革について(提言) <対象疾患及び対象患者の考え方>

### 第2 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

#### 2. 対象疾患及び対象患者の考え方

○ 医療費助成の対象疾患については、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」(以下「研究班」という。)の中間報告における類型化を前提とすると、以下の4要素を満たしており、一定の診断基準や診断基準に準ずるものが確立しており、客観的な指標がある疾患(類縁疾患として疾患概念が明確なものを含む。)とすることが適当である。

- 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(注)
  - ② 原因不明(病態が未解明なもの。)
  - ③ 効果的な治療方法未確立(治療方法がないもの。進行を遅らせ一時的に症状を緩和できるもの。一定の治療方法があるが、軽快と増悪を繰り返すもの。)
  - ④ 生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とするもの。)
- (注) 研究班の中間報告を踏まえれば、希少性については、例えば次の4つの類型が考えられ、諸外国の希少疾病の基準も参考に設定していくことが考えられる。
- (A) 患者数が1,000人(※1)以下
  - (B) 患者数が1,000人を上回り、5万人(※2)以下
  - (C) 患者数が5万人を上回り、人口の0.1%程度以下
  - (D) 患者数が人口の0.1%程度を上回る

※1 「ライフ・イノベーションの一体的な推進について(平成24年3月厚生労働省)」における、極めて患者数が少ない希少疾病の基準(ウルトラオーファン)

※2 薬事法第77条の2に基づく希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の指定基準(オーファンドラッグ・デバイス)

(前ページからの続き)

- 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。
- 制度の安定性・持続可能性を確保するため、効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化が生じた対象疾患については、定期的に評価し、見直すこととし、見直しを行う場合、一般的な保険医療により対応する。ただし、一定の経過措置を講ずることも検討する。
- 対象疾患の選定及び見直しについては、公平性・透明性を確保する観点から、第三者的な委員会において決定する。

### (3) 医療費助成の対象疾患に関する主な論点

#### <論点>

- ① 対象疾患の選定基準をどのように考えるか。
- ② 医療費助成の対象となる疾患の選定及び見直しを行う第三者的な委員会の在り方をどのように考えるか。

#### 【対象疾患】(提言より)

- 以下の4要素を満たしており、一定の診断基準や診断基準に準ずるものが確立しており、客観的な指標がある疾患(類縁疾患として疾患概念が明確なものを含む。)
  - 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(病態が未解明なもの。)
  - ③ 効果的な治療方法未確立(治療方法がないもの。進行を遅らせ一時的に症状を緩和できるもの。一定の治療方法があるが、軽快と増悪を繰り返すもの。)
  - ④ 生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とするもの。)
- 制度の安定性・持続可能性を確保するため、効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化が生じた対象疾患については、定期的に評価し、見直すこととし、見直しを行う場合、一般的な保険医療により対応する。ただし、一定の経過措置を講ずることも検討する。
- 対象疾患の選定及び見直しについては、公平性・透明性を確保する観点から、第三者的な委員会において決定する。

## 対象疾患について

### ① 対象疾患の選定基準をどのように考えるか。

- ・ 4要素及び疾患概念の明確さ(診断基準の有無等を含む)について、どのように考えるか。

患者数	原因	効果的な治療法	生活面への支障	診断基準
a. 1000人(※1)以下	a. 病態が未解明	a. 治療法なし	a. 発症してから生涯	a. 診断基準あり
b. 1000人から5万人(※2)以下	b. 生活習慣、加齢現象、外傷、薬剤、感染症、その他疾患を引き起こす原因が明確なもの	b. 進行を遅らせ、一時的に症状を緩和できる	b. 生涯の一期間のみ (急性疾患、周産期疾患)	b. 研究班による診断基準あり
c. 5万人から人口の0.1%(1000人あたり1人)程度以下	c. 悪性腫瘍	c. 一定の治療法があるが、軽快と増悪を繰り返す		c. 客観的診断指標あり
d. 人口の0.1%程度を上回る		d. 手術など一定程度の治療法が確立し効果的に施行することが可能な疾患		d. 診断基準なし
				e. 疾患概念が大きい等により更なる細分化が必要

(※1) 「ライフ・イノベーションの一体的な推進」における、極めて患者数が少ない希少疾病の基準(ウルトラオーファン)

(※2) 薬事法第77条の2に基づく希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の指定基準(オーファンドラッグ・デバイス)

第24回難病対策委員会

資料4(平成24年度 研究中間報告 希少・難治性疾患の類型化に関する検討難病対策からみた小児慢性特定疾患の類型化に関する検討)抜粋

## 対象疾患について

### ② 医療費助成の対象となる疾患の選定及び見直しを行う第三者的な委員会の在り方をどのように考えるか。

- 公平性・透明性を確保するために、どのような委員会とするか。
  - 第三者的な委員会の位置付けについてどのように考えるか。  
(例: 厚生科学審議会との関係)
  - 第三者的な委員会の構成員をどのような観点で選出するか。
  - 疾患の選定や見直しをする際の手続についてどのように考えるか。

## (4) 医療費助成の対象患者に関する主な論点

### <論点>

対象患者の認定基準となる「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」を具体的にどのように考えるか。

### 【対象患者】(提言より)

- 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。



## 対象患者について

対象患者の認定基準となる「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」を具体的にどのように考えるか。

- ・ 現在、医療費助成の対象となっている56疾患のうち、12疾患については、重症度分類等を勘案して認定している。
- ・ 新たな重症度分類等の導入に当たっては、どのような基準を活用することが考えられるか。
- ・ 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場合があることについて、どのように考えるか。

## 2. 医療費助成における患者負担について

# (1) 現行の医療費助成における患者負担

## ○定率負担割合 3割(医療保険と同様)

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	0	0	0
B	生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	4,500	2,250	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	6,900	3,450	
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	8,500	4,250	
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	11,000	5,500	
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	18,700	9,350	
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	23,100	11,550	
重症患者認定		0	0	0

- 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等を含む（標準負担額：所得に応じ1食あたり100円～260円）。 18

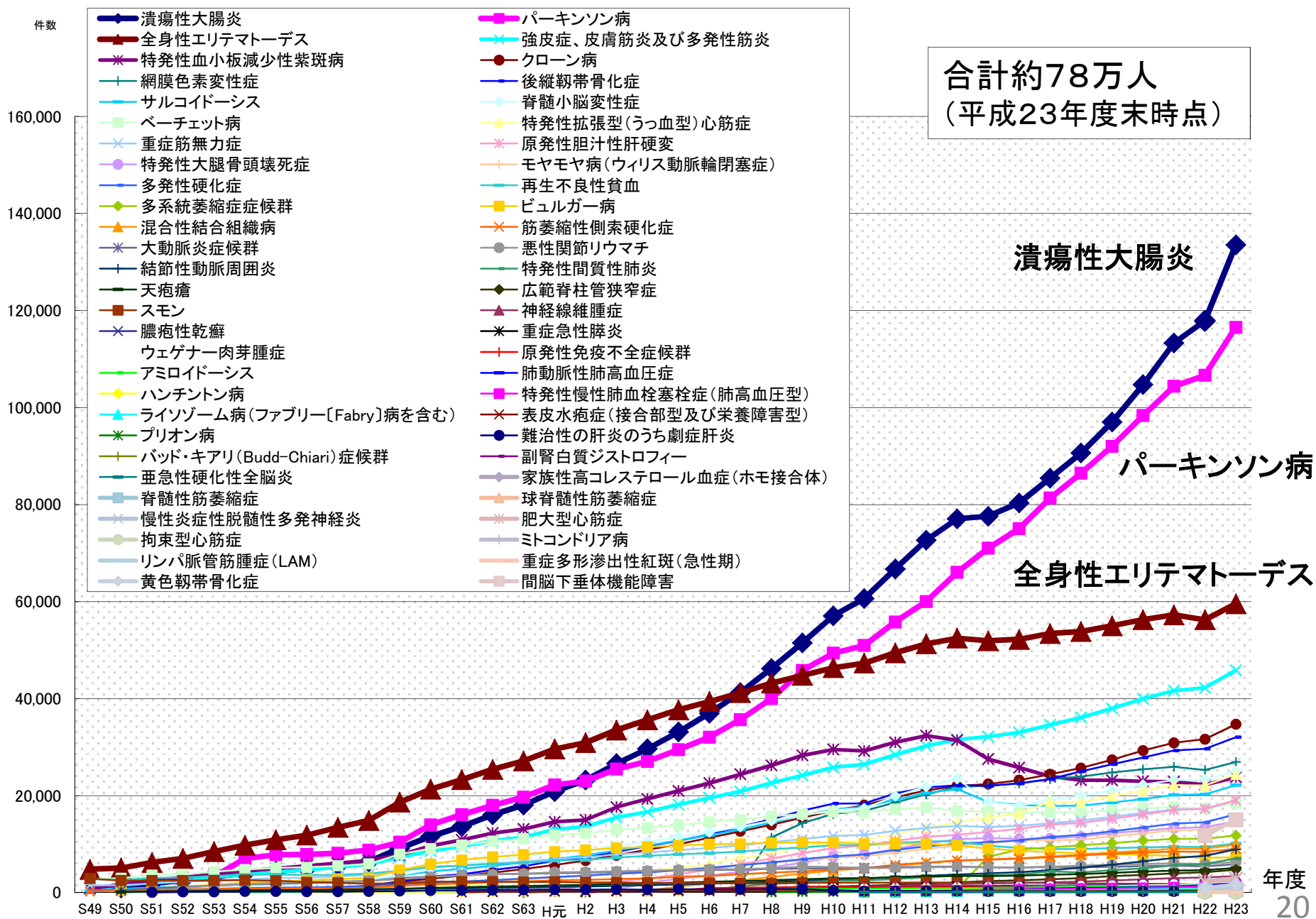
## (参考1) 現行の医療費助成の対象疾患一覧

疾患番号	疾患名	実施年月
1	ベーチェット病	昭和47年 4月
2	多発性硬化症	昭和48年 4月
3	重症筋無力症	昭和47年 4月
4	全身性エリテマトーデス(SLE)	〃
5	スモン	〃
6	再生不良性貧血	昭和48年 4月
7	サルコイドーシス	昭和49年10月
8	筋萎縮性側索硬化症(ALS)	〃
9	強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎	〃
10	特発性血小板減少性紫斑病	〃
11	結節性動脈周囲炎	昭和50年10月
12	潰瘍性大腸炎	〃
13	大動脈炎症候群(高安動脈炎)	〃
14	ピュルガー病(バージャー病)	〃
15	天疱瘡	〃
16	脊髄小脳変性症	昭和51年10月
17	クローン病	〃
18	難治性肝炎のうち劇症肝炎	〃
19	悪性関節リウマチ	昭和52年10月
20	パーキンソン病関連疾患	
①	進行性核上性麻痺	平成15年10月
②	大脳皮質基底核変性症	平成15年10月
③	パーキンソン病	昭和53年10月
21	アミロイドーシス	昭和54年10月
22	後縦靭帯骨化症	昭和55年12月
23	ハンチントン病	昭和56年10月
24	モヤモヤ病(ウイルス動脈輪閉塞症)	昭和57年10月
25	ウエゲナー肉芽腫症	昭和59年 1月
26	特発性拡張型(うっ血型)心筋症	昭和60年 1月
27	多系統萎縮症	
①	線条体黒質変性症	平成15年10月
②	オリーブ橋小脳萎縮症	昭和51年10月
③	シャイ・ドレーガー症候群	昭和61年 1月
28	表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型)	昭和62年 1月
29	膿疱性乾癬	昭和63年 1月
30	広範脊柱管狭窄症	昭和64年 1月

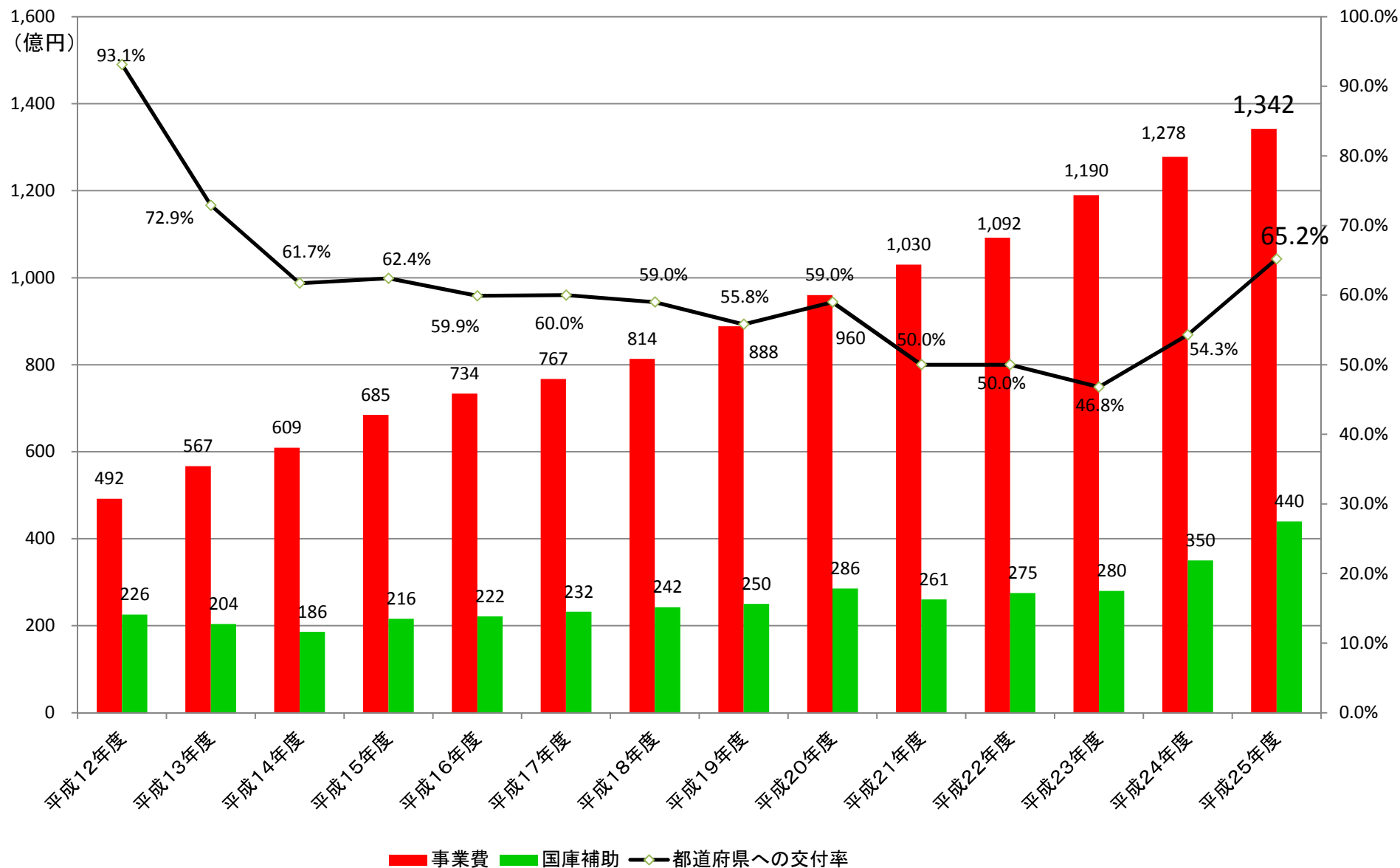
疾患番号	疾患名	実施年月
31	原発性胆汁性肝硬変	平成 2年 1月
32	重症急性膵炎	平成 3年 1月
33	特発性大腿骨頭壊死症	平成 4年 1月
34	混合性結合組織病	平成 5年 1月
35	原発性免疫不全症候群	平成 6年 1月
36	特発性間質性肺炎	平成 7年 1月
37	網膜色素変性症	平成 8年 1月
38	プリオン病	平成14年 6月統合
①	クロイツフェルト・ヤコブ病	平成 9年 1月
②	ゲルスマン・ストロイスラー・シャインカー病	平成14年 6月
③	致死性家族性不眠症	平成14年 6月
39	肺動脈性肺高血圧症	平成10年 1月
40	神経線維腫症	平成10年 5月
41	亜急性硬化性全脳炎(SSPE)	平成10年12月
42	バッド・キアリ(Budd-Chiari)症候群	〃
43	慢性血栓性肺高血圧症	〃
44	ライソゾーム病	平成14年 6月統合
①	ファブリー病	平成11年 4月
②	ライソゾーム病	平成13年 5月
45	副腎白質ジストロフィー	平成12年 4月
46	原発性高脂血症(家族性高コレステロール血症(ホモ接合体))	平成21年10月
47	脊髄性筋萎縮症	平成21年10月
48	球脊髄性筋萎縮症	平成21年10月
49	慢性炎症性脱髄性多発神経炎	平成21年10月
50	肥大型心筋症	平成21年10月
51	拘束型心筋症	平成21年10月
52	ミトコンドリア病	平成21年10月
53	リンパ脈管筋腫症(LAM)	平成21年10月
54	重症多形滲出性紅斑(急性期)	平成21年10月
55	黄色靭帯骨化症	平成21年10月
56	間脳下垂体機能障害(PRL分泌異常症、ゴナドトロピン分泌異常症、ADH分泌異常症、下垂体性TSH分泌異常症、クッシング病、先端巨大症、下垂体機能低下症)	平成21年10月

※対象疾患は平成25年1月現在における対象疾患である。

# (参考2) 特定疾患治療研究事業疾患別受給者数の推移



### (参考3) 特定疾患治療研究事業の予算額と都道府県への交付率の推移



## (2) 難病対策の改革について(提言) <給付水準についての考え方等>

### 第2 2. 対象疾患及び対象患者の考え方

- 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。

### 第2 4. 給付水準についての考え方

- 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。

### (3) 医療費助成における患者負担に関する主な論点

#### <論点>

- ① 患者負担の基本的な考え方や仕組みについて、どのように考えるか。
- ② その他の患者負担の仕組みについて、どのように考えるか。

#### 【給付水準】(提言より)

- 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。



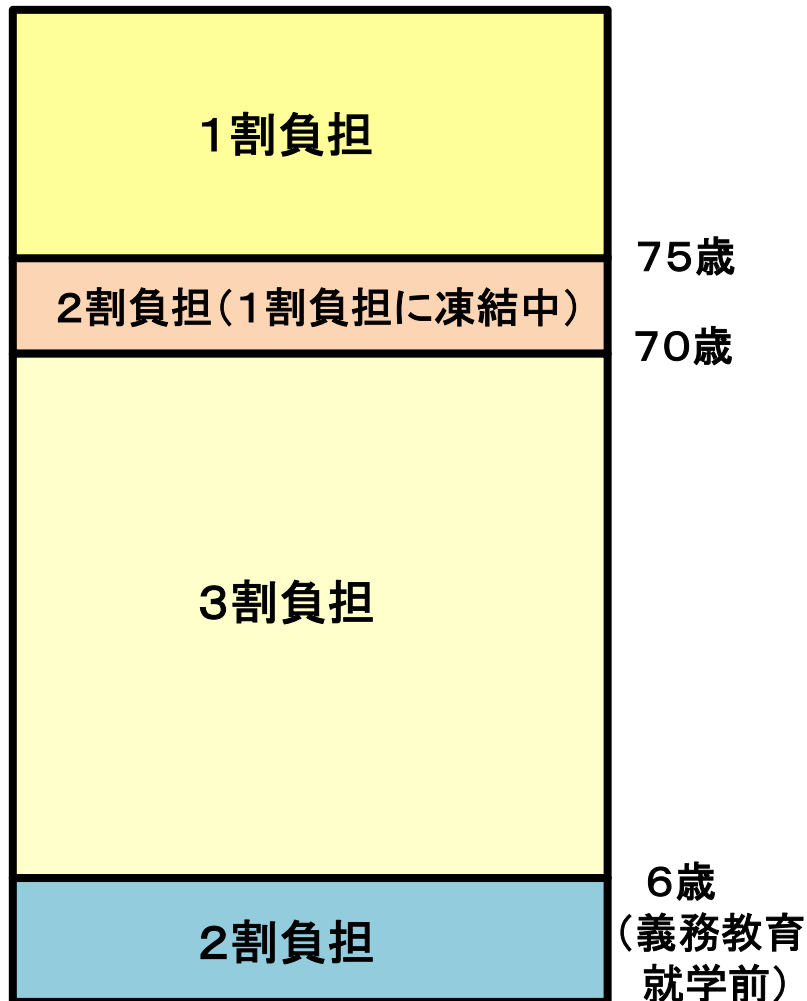
## ①患者負担の基本的な考え方や仕組みについて

### ○ 患者負担の基本的な考え方や仕組みについて、どのように考えるか。

- 他制度(高齢者、障害者等)の給付との均衡をどのように図るか。
  - ① 一般に高齢者については、病気がちであり、慢性的な疾患を抱えることが多く、医療需要が高い。
  - ② 自立支援医療は、障害者等の心身の障害の状態の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。
- 患者負担について、低所得者への配慮をしつつ、所得等に応じてどのような月額限度額を設定するか。
- 提言には、以下の点が示されている。
  - 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。

(参考1) 医療保険における患者負担

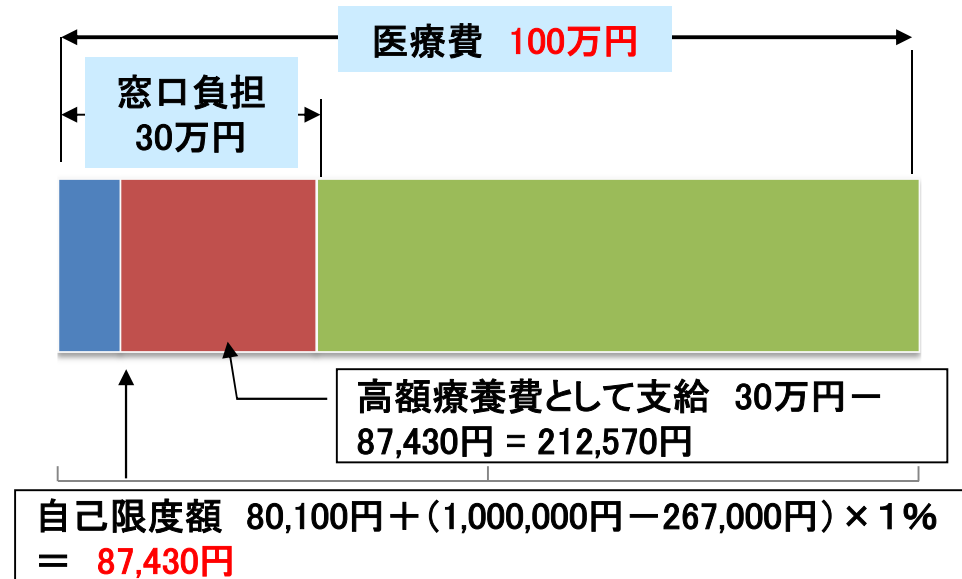
【医療費の患者負担割合】



○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。

## (参考2) 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)

### (参考3) 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とならないよう、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。

## (参考4) 養育医療の徴収基準額表

階層	世帯の階層(細)区分			徴収基準月額 (円)	加算基準月額 (※)
A	生活保護法による被保護世帯(単給世帯を含む。)・中国残留邦人等の円滑な帰国の促進及び永住帰国後の自立の支援に関する法律による支援給付世帯			0	徴収基準月額の 10%
B	A階層を除き当該年度の市町村民税非課税世帯			2,600	
C	前年の所得税非課税世帯であって、当該年度の市町村民税の均等割又は所得割の課税世帯	市町村民税の均等割のみの課税世帯	C 1	5,400	
		市町村民税所得割課税世帯	C 2	7,900	
D	A階層及びB階層に属する世帯を除き、前年の所得税の額が次に掲げる税額である世帯	所得税の年額 15,000円以下	D 1	10,800	
		15,001から40,000円	D 2	16,200	
		40,001から70,000円	D 3	22,400	
		70,001から183,000円	D 4	34,800	
		183,001から403,000円	D 5	49,400	
		403,001から703,000円	D 6	65,000	
		703,001から1,078,000円	D 7	82,400	
		1,078,001から1,632,000円	D 8	102,000	
		1,632,001から2,303,000円	D 9	123,400	
		2,303,001から3,117,000円	D 10	147,000	
		3,117,001から4,173,000円	D 11	172,500	
		4,173,001から5,334,000円	D 12	199,900	
5,334,001から6,674,000円	D 13	229,400			
	6,674,001円以上	D 14	全 額		

※加算基準月額: 同世帯から2人以上の児童がいる場合には、徴収基準月額の10%を加算する。

## (参考5) 現行の医療費助成における重症患者について

### ○重症患者とは

特定疾患を主な要因として、身体の機能障害が永続し又は長期安静を必要とする状態にあるため、日常生活に著しい支障(他人の介助を受けなければほとんど自分の用を弁ずることができない程度)があると認められる者。

### ○重症患者の認定

都道府県知事は、重症患者の認定をする際には、「重症患者認定基準表」における対象部位別の症状が審査時点において存在し、かつ、長期間(概ね6ヶ月以上)継続するものと認められるか否かを基準とする。

【参考】重症患者認定基準表(一部抜粋)

対象部位	症状の状態	一部の例示	
眼	1眼の機能に著しい障害を有するもの	両眼の視力の和が0.04以下のもの。両眼の視野がそれぞれ10度以内で、かつ両眼による視野について視能率による損失率が95%以上のもの	
聴器	2聴覚機能に著しい障害を有するもの	両耳の聴力レベルが100デシベル以上のもの	
肢体	3両上肢の機能に著しい障害を有するもの	両上肢の用を全く廃したもの	
		4両上肢の全ての指の機能に著しい障害を有するもの	両上肢の全ての指を基部から欠き、有効長が0のもの 両上肢の全ての指の用を全く廃したもの
		5一上肢の機能に著しい障害を有するもの	一上肢を上腕の2分の1以上で欠くもの。 一上肢の用を全く廃したもの
	下肢	6両下肢の機能に著しい障害を有するもの	両下肢の用を全く廃したもの
		7両下肢を足関節以上で欠くもの	両下肢をショパール関節以上で欠くもの
	体幹・脊柱	8体幹の機能に座っていることができない程度又は立ち上がることができない程度の障害を有するもの	腰掛、正座、あぐら、横すわりのいずれもができないもの又は、臥位又は坐位から自力のみでは立ち上がれず、他人、柱、杖、その他の器物の介護又は補助によりはじめて立ち上がることができる程度の障害を有するもの
	肢体の機能	9身体の機能の障害又は長期にわたる安静を必要とする病状が前1～8と同程度以上と認められる状態であって、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	一上肢及び一下肢の用を全く廃したもの 四肢の機能に相当程度の障害を残すもの
神経系		肢体の障害に準じる	
呼吸器		活動能力の程度がゆっくりでも少し歩くと息切れがする、または、息苦しくて身の回りのこともできない状態に該当し、かつ、次のいずれかに該当するもの。(1)予測肺活量1秒率が20%以下のもの(2)動脈血ガス分析値にA表に掲げる異常を示すもの	

(以下省略)

## ②その他の患者負担の仕組みについて

### ○ その他の患者負担の仕組みについて、どのように考えるか。

- ・ 対象患者本人が生計中心者である場合の取扱いについてどのように考えるか。

※ 現在、対象患者が生計中心者である場合は、自己負担限度額を通常の1/2に該当する額としている。

- ・ 介護保険における医療系サービスを利用した場合の患者負担について、どのように考えるか。

※ 現在、介護保険の医療系サービス(訪問リハビリテーション等)の自己負担分も難病の医療費助成の対象となっている。  
(介護保険の医療系サービスに係る自己負担分についても、難病の医療費助成の自己負担限度額が適用される。ただし、介護保険の医療系サービスのうち、訪問看護及び介護予防訪問看護は全額公費負担。)

## (参考6) 介護保険法の規定による医療系サービス等

### 【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)

訪問看護	主治医の指示により、看護師などが居宅で療養している人を定期的に訪問し、健康チェックや療養の世話・助言などを行うサービス	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、医師の指示により、理学療法士や作業療法士などが居宅を訪問してリハビリを行うサービス	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、薬剤師などが居宅を訪問し、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	施設に入所(入院)して受ける施設サービスのうち、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、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。

### 【参考：医療保険における訪問看護】 (訪問看護ステーションからの訪問看護については、全額公費負担)

- 疾病又は負傷により居宅において継続して療養を受ける状態にある者に対しその者の居宅において看護師等が行う療養上の世話又は必要な診療の補助。
- 原則として、介護保険の給付は医療保険の給付に優先することとされているが、要介護被保険者等については、末期の悪性腫瘍、難病患者、急性増悪等による主治医の指示があった場合などに限り、医療保険の給付により行われる。