

# 第9回小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会

## 議 事 次 第

平成 25 年 10 月 23 日

16:00～18:00

場所：航空会館 501+502 会議室

### 1. 開 会

### 2. 議 事

- (1) 医療費助成の仕組みの構築について

### 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 医療連携の在り方

参考資料 1 慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方(中間報告)(抄)

参考資料 2 社会保障の充実・安定化について

参考資料 3 小児慢性特定疾患対策関係資料

参考資料 4 保育サービスに係る年齢別保育単価と費用徴収基準額

参考資料 5 第8回専門委員会の議論の概要

参考資料 6 第32回難病対策委員会資料

参考資料 7 第33回難病対策委員会資料

**社会保障審議会児童部会  
小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会専門委員名簿**

**<委員>**

氏名	所属・役職
安達 眞一	明星大学特任准教授
五十嵐 隆	独立行政法人国立成育医療研究センター総長 日本小児科学会会長
石川 広己	社団法人日本医師会常任理事
井田 博幸	東京慈恵会医科大学小児科教授
及川郁子	聖路加看護大学教授
大澤 真木子	東京女医科大学名誉教授
小幡 純子	上智大学法科大学院教授
小林 信秋	難病のこども支援全国ネットワーク会長
坂上 博	読売新聞編集局医療部 記者
佐地 勉	東邦大学医療センター大森病院小児科教授
水田祥代	九州大学名誉教授 福岡学園福岡歯科大学常務理事
益子まり	川崎市宮前区役所保健福祉センター所長
松原 康雄	明治学院大学副学長・社会学部教授
眞鍋 馨	長野県健康福祉部長

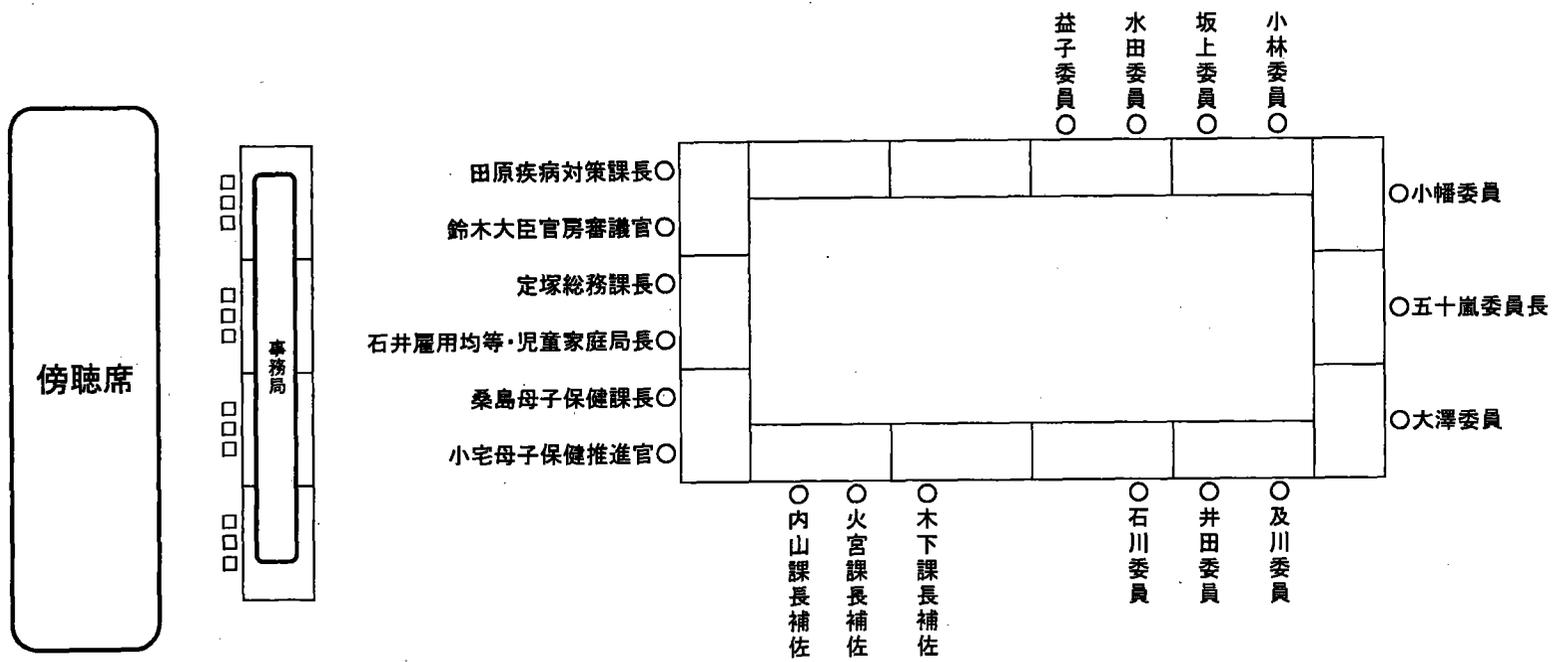
**<事務局>**

石井 淳子	雇用均等・児童家庭局長
鈴木 俊彦	大臣官房審議官
定塚 由美子	雇用均等・児童家庭局総務課長
桑島 昭文	雇用均等・児童家庭局母子保健課長
小宅 栄作	雇用均等・児童家庭局母子保健課 母子保健推進官
木下 栄作	雇用均等・児童家庭局母子保健課 課長補佐
内山 晃治	雇用均等・児童家庭局母子保健課 課長補佐
火宮 麻衣子	雇用均等・児童家庭局母子保健課 課長補佐
田原 克志	健康局疾病対策課長

# 第9回小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会配置図

平成25年10月23日 16:00~18:00

航空会館 501+502会議室



締切

受付

入口

速記

締切

## 医療費助成の仕組みの構築について

平成25年10月23日

### 中間報告における「給付水準の在り方」に関する留意事項

小慢専門委員会における「中間報告」（平成25年1月）においては、「給付水準については、財源を負担する国民に対して公平性・合理性を説明できるものである必要があり、限られた財源をより必要度の高い人に行き渡らせ、持続可能な仕組みとする観点からも、負担能力に応じた適正な利用者負担としていく必要がある」とされている。

#### 【「中間報告」において指摘された検討事項・留意事項】

- 小児慢性特定疾患の特性を踏まえつつ、他の医療費助成制度における給付水準との均衡に留意しつつ、見直しを検討する必要がある。具体的には、利用者負担が全額免除されている重症患者の特例、入院時の標準的な食事療養に係る費用などの取扱について検討が必要である。
- その際、利用者負担については、低所得者や複数の患者がいる家庭に与える影響にも配慮することが必要である。

## 給付水準の在り方に関する基本的な考え方について

- 小児慢性特定疾患に係る新たな医療費助成における給付水準については、医療保険制度における高齢者の負担の在り方を参考に、小児慢性特定疾患の特性を考慮して、所得に応じて負担限度額等を設定することとする。  
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、別途の対応を考慮することとする。
- 所得については、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し、所得の判断については医療保険の例にならって市町村民税の課税所得を元に判断することとする。
- 他制度と同様、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とともに、入院時の標準的な食事療養に係る費用については利用者負担とするほか、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。

※ 難病医療費助成見直しに係る基本的な考え方も、上記と同様。

2

## 給付内容の見直し（案）

負担能力に応じた利用者負担、他の制度との均衡との観点から、以下のとおりとする。

- 重症患者に係る特例を見直し、所得等に応じて一定の自己負担を求める。
- 入院時の標準的な食事療養に係る費用については、利用者負担とする。
- 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。

### 【中間報告抜粋】

- 小児慢性特定疾患の特性を踏まえつつ、他の医療費助成制度における給付水準との均衡に留意しつつ、見直しを検討する必要がある。具体的には、利用者負担が全額免除されている重症患者の特例、入院時の標準的な食事療養に係る費用などの取扱いについて検討が必要である。

### 【他制度における取扱い】

	難病に係る新たな医療費助成制度の検討の方向	自立支援医療（育成医療）	養育医療（未熟児）	医療保険制度（高額療養費制度含む）
重症患者の取扱い	所得等に応じて一定の自己負担を求める方向で検討。	自己負担あり。 （所得に応じて1月当たりの負担額を設定）	自己負担あり。	自己負担あり。
入院時の食事療養の取扱い	自己負担とする方向で検討。	自己負担あり。 （生活保護及び生活保護移行防止のため減免措置を受けた者については自己負担なし。）	自己負担なし。	自己負担あり。 （高額療養費算定基準額に算入しない。）
院外調剤の自己負担の取扱い	月額限度額に含める方向で検討。	自己負担あり。 （所得に応じて1月当たりの負担額を設定）	- （給付が行われるのは入院治療の場合のみ）	自己負担あり。 （高額療養費算定基準額に算入する。）

※ 「難病対策の改革について（提言）」平成25年1月・難病対策委員会

第2 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

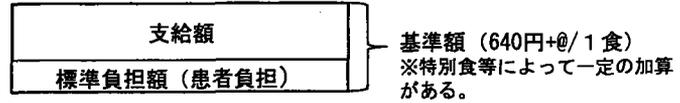
4 給付水準についての考え方

- 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・・・に係る負担については、患者負担とともに、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

【参考】入院時食事療養費の概要

- 入院時に必要となる食費について、その一部を支給し、患者負担の軽減を図る仕組み。
- 支給額は、食費について定めた「基準額」から、被保険者が負担するものとして定めた「標準負担額」を控除した額。標準負担額は家計調査をもとに算定。



- 標準負担額
 

一般	1食：260円
市町村民税非課税の者等	1食：210円(※)
	(※ 過去1年間の入院日数が90日超の場合、160円)
市町村民税非課税の者等のうち、世帯全員が一定の所得以下等	1食：100円

小児慢性特定疾患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(就学前児童は2割)から2割に引き下げ。
- 自己負担の限度額について
  - ・ 難病に係る新たな医療費助成の自己負担限度額を参考とし、所得に応じて設定。
  - ・ 症状が変動し入退院を繰り返す等の小児慢性特定疾患の特性に配慮し、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。  
※ 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。
- 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人子1人世帯)	自己負担限度額 (患者負担割合2割、外来+入院)	
		原則	経過措置 (既認定者)
I	生活保護	0	0
II	市町村民税非課税	4,000	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200万～約380万	6,000	
IV	約380万～	22,200	

※ 同一生計内に2人以上の対象患者がいる場合は、その月の一部負担額の最も多額な児童以外の児童については、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。

※ 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。

小慢における新たな医療費助成による自己負担限度額(月額)の変化(新規認定者)

高額療養費制度(現行・70歳未満)		➔	新制度案(原則)	
自己負担割合:3割			自己負担割合:2割	
	外来+入院			外来+入院
生活保護			生活保護等	0円
低所得 市町村民税 非課税	35,400円 [多数該当24,600円]	低所得者 市町村民税非課税	4,000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]	一般所得 年収200万 ~年収380万	6,000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]	一般所得 + 上位所得 年収380万~	22,200円	

例:年間所得280万円で、毎月500,000円の医療費(総額)を要する小慢患者の医療費(自己負担分)  
 従来: 82,430円(1~3ヶ月目)、44,400円(4ヶ月目~) ⇒ 新制度: 6,000円(1ヶ月目~)

第33回(10/18) 難病対策委員会資料抜粋

(参考)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(一般の高齢者は1割)から2割(一般の高齢者は1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160万~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。

(参考)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)		→	原則(新規認定者)	
自己負担割合: 3割			自己負担割合: 2割	
階層区分	外来+入院	階層区分	外来+入院	
生活保護	-	I	生活保護 0円	
低所得 市町村民税非課税	35,400円 [多数該当24,600円]	II	市町村民税非課税 8,000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]	III	年収約160万~約370万 12,000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]	IV	年収約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~)

(参考)他制度との比較

	小児慢性特定疾患 治療研究事業	特定疾患治療研究事業 (難病)	自立支援医療(育成医療)	養育医療(未熟児)	医療保険制度(参考) (高額療養費制度を含む)
入院時の食 事療養・生 活療養の取 扱い	自己負担なし。	自己負担なし。 なお、平成25年1月の「難病 対策の改革について(提言)」 において、「入院時の標準的 な食事療養に係る負担につ いては、患者負担とする」とされ ている。	自己負担あり。 (生活保護及び生活保護移 行防止のため減免措置を 受けた者については自己 負担なし。)	自己負担なし。	自己負担あり。 (高額療養費算定基準額に 算入しない。)
院外調剤の 自己負担の 取扱い	自己負担なし。	自己負担なし。 なお、平成25年1月の「難病 対策の改革について(提言)」 において、「薬局での保険調 剤に係る自己負担額につ いては、月額限度額に含め るとされている。	自己負担あり。 (所得に応じて1月当たりの 負担額を設定。)	- (給付が行われるのは入 院治療の場合のみ)	自己負担あり。 (高額療養費算定基準額に 算入する。)
自己負担が 生じない区 分の有無	○住民税非課税世 帯 ○生活保護等世帯 ○重症患者。	○住民税非課税世帯 ○重症患者及び難治性の肝 炎のうち劇症肝炎、重症急性 膵炎並びに重症多形滲出性 紅斑(急性期)の患者。(※)	生活保護等世帯	生活保護等世帯	なし。
複数医療機 関を受診し た場合の合 算の有無	合算できる。	合算できない。	受給者証に記載された指定自 立支援医療機関である病院、薬 局等で、障害の治療のための医 療を受診した場合の自立支援 医療費については合算する。	合算できる。	合算して高額療養費算定基 準額に算入する(70歳未満 の場合、二千万円以上に限 る)。
医療受給者 証の有効期 限	1年間	1年間(毎年10月に定期更新)。	1年以内(原則3か月以内)で あって、自立支援医療を受ける ことが必要な期間(引き続き治 療が必要な場合は再度申請)。	診療の終了予定期限に若 干の余裕を見込んで設定。 最長1年間(未熟児(1歳 未満)が対象のため)。	被保険者証の有効期限は 保険者による。
治療範囲 の限定の有 無	対象疾患及び当該 疾患に付随し発現す る傷病に対する医療 に限定。	対象疾患及び当該疾患に付 随して発現する傷病に対する 医療に限定。	障害を除去・軽減するため に確実な治療の効果が期 待できる医療に限定。	養育のため病院に入院す ることを必要とする未熟児 に対し、その養育に必要な 医療に限定。	保険診療に限定。

\*スモン及びプリオン病の患者については、薬費救済の観点から自己負担額が生じないこととしている。

## (参考)小児慢性特定疾患治療研究事業における自己負担限度額

階層区分	自己負担限度額	
	入院	外来
生活保護法の被保護世帯及び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受給世帯	0	0
生計中心者の市町村民税が非課税の場合	0	0
生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	2,200	1,100
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	3,400	1,700
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	4,200	2,100
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	5,500	2,750
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	9,300	4,650
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	11,500	5,750
重症者認定	0	0

※同一生計内に2人以上の対象患者がいる場合は、その月の一部負担額の最も多額な児童以外の児童については、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。

(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. この表の「所得税課税年額」とは、所得税法(昭和40年法律第33号)、租税特別措置法(昭和32年法律第26号)、災害被害者に対する租税の減免、徴収猶予等に関する法律(昭和22年法律第175号)の規定及び平成23年7月15日雇児発0715第1号厚生労働省雇用均等・児童家庭局長通知「控除廃止の影響を受ける費用徴収制度等(厚生労働省雇用均等・児童家庭局長所管の制度に限る。))に係る取扱いについて」によって計算された所得税の額をいう。ただし、所得税額を計算する場合には、次の規定は適用しないものとする。
  - (1) 所得税法第78条第1項(同条第2項第1号、第2号(地方税法第314条の7第1項第2号に規定する寄附金に限る。))、第3号(地方税法第314条の7第1項第2号に規定する寄附金に限る。))、第92条第1項、第95条第1項、第2項及び第3項
  - (2) 租税特別措置法第41条第1項、第2項及び第3項、第41条の2、第41条の3の2第1項、第2項、第4項及び第5項、第41条の19の2第1項、第41条の19の3第1項及び第2項、第41条の19の4第1項及び第2項並びに第41条の19の5第1項
  - (3) 租税特別措置法の一部を改正する法律(平成10年法律第23号)附則第12条
  3. 10円未満の端数が生じた場合は、切り捨てるものとする。
  4. 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。
  5. 前年度の所得税又は当該年度の市町村民税の課税関係が判明しない場合の取扱いについては、これが判明するまでの期間は、前々年度の所得税又は前年度の市町村民税によることとする。

10

## (参考)小児慢性特定疾患治療研究事業の所得区分利用者数

階層区分		人数(人)	
		対象人数	割合
A	生活保護世帯	1,267	1.1%
B	生計中心者の市町村民税が非課税の場合(～205万円)	13,526	12.1%
C	生計中心者の前年の所得税が非課税の場合(205～232万円)	12,568	11.3%
D	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(232～251万円)	2,148	2.0%
E	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(251～286万円)	4,066	3.7%
F	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(286～372万円)	10,717	9.6%
G	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(372～457万円)	11,403	10.2%
H	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(457万円以上)	39,683	35.6%
重症者認定		15,996	14.4%
合計		111,374	100.0%

※1 年収については、世帯モデル夫婦子ども一人、配偶者所得なしと設定。

※2 各階層の人数及び割合については、平成24年度母子保健課調べ

(参考) 現行の特定疾患治療研究事業の医療費助成制度における自己負担限度額

階 層 区 分		収入の目安	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	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。

12

(参考) 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）

13

## (参考) 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  5,000円	10,000円  5,000円	市町村民税 33,000円以上 235,000円未満
				市町村民税 235,000円未満
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。

## (参考) 養育医療給付事業の徴収基準額

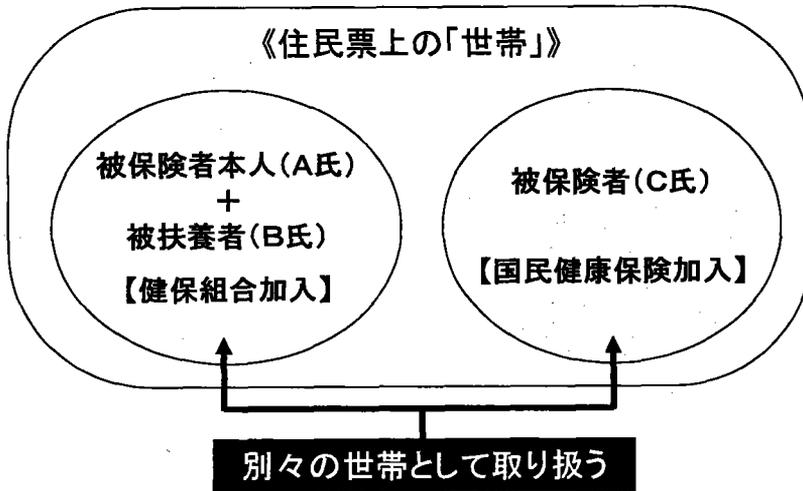
階層	世帯の階層(細)区分	徴収基準月額 (円)	加算基準月額		
A	生活保護法による被保護世帯(単給世帯を含む。)・中国残留邦人等の円滑な帰国の促進及び永住帰国後の自立の支援に関する法律による支援給付世帯	0	徴収基準月額の10%		
B	A階層を除き当該年度の市町村民税非課税世帯	2,600			
C	前年の所得税非課税世帯であって、当該年度の市町村民税の均等割又は所得割の課税世帯	市町村民税の均等割のみの課税世帯		C1	5,400
		市町村民税所得割課税世帯		C2	7,900
D	A階層及びB階層に属する世帯を除き、前年の所得税の額が次に掲げる税額である世帯	所得税の年額 15,000円以下		D1	10,800
		15,001から40,000円		D2	16,200
		40,001から70,000円		D3	22,400
		70,001から183,000円		D4	34,800
		183,001から403,000円		D5	49,400
		403,001から703,000円		D6	65,000
		703,001から1,078,000円		D7	82,400
		1,078,001から1,632,000円		D8	102,000
		1,632,001から2,303,000円		D9	123,400
		2,303,001から3,117,000円		D10	147,000
		3,117,001から4,173,000円	D11	172,500	
		4,173,001から5,334,000円	D12	199,900	
5,334,001から6,674,000円	D13	229,400			
	6,674,001円以上	D14	全額		

※徴収基準加算月額とは、同世帯から2人以上の児童がいる場合に徴収基準月額の10%を加算する。

# 世帯の取扱いの考え方について

## 医療保険単位による「世帯」

- 「世帯」の単位については、住民票上の世帯の如何にかかわらず、同じ医療保険に加入している家族によって範囲を設定する。  
※難病に係る新たな医療費助制度、自立支援医療においても同様の考え。
- 医療保険の加入関係が異なる場合には、税制における取扱いに関係なく、別の「世帯」として取り扱う。



<左図の例>

- 健康保険に加入するA氏とB氏からなる「世帯」と、国民健康保険に加入するC氏からなる「世帯」にわけて取扱う。

医療連携の在り方

中間報告抜粋

2. 研究の推進と医療の質の向上  
(2) 医療体制の強化

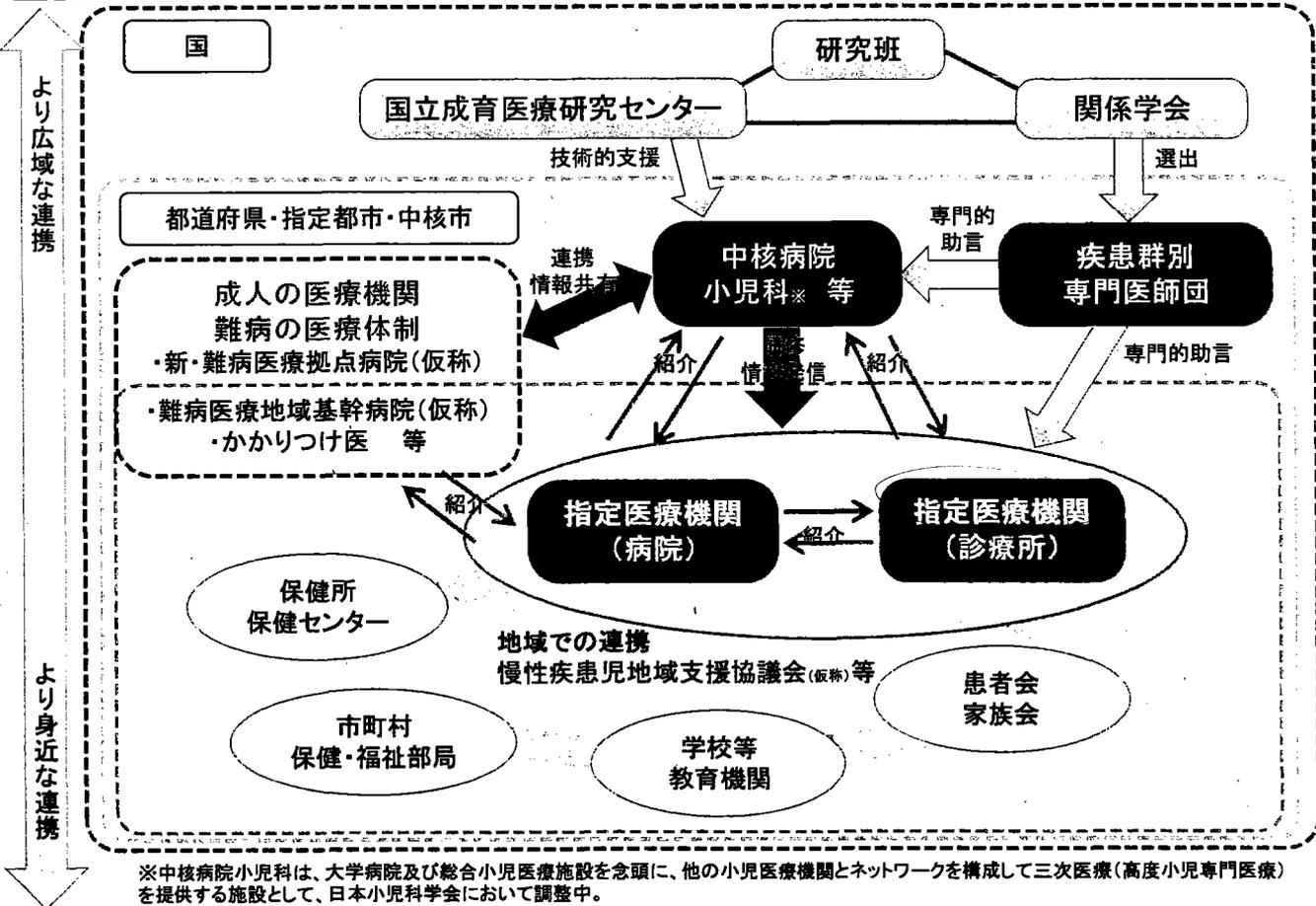
- 小児慢性特定疾患に関する医療の質の向上のためには、成人の診療を行う医療機関や関係機関を含めた連携と専門性の確保が重要であるが、現状では、都道府県単位での医療の連携体制が必ずしも十分に構築されていない。
  - このため、小児慢性特定疾患の医療の質の向上、成人移行を見据えた連携の観点から、小児中核病院や地域小児医療センター<sup>(※)</sup>などが指定医療機関や成人の医療機関等への情報発信や研修等を行い、地域の医療機関や保健所等の関係機関が連携を図ることができる体制の構築を検討すべきである。
- ※「疾病・事業及び在宅医療に係る医療体制について」(平成24年3月30日付け医政指発0330第9号厚生労働省医政局指導課長通知)に規定する小児中核病院及び地域小児医療センターをいう。



今後の対応

- 都道府県の小児の専門医療を担う小児中核病院等が、地域の指定小児慢性特定疾患医療機関等への情報発信や研修等を行い、地域の連携・医療の質の向上を図る。さらに、先天性代謝異常等の希少疾患については難病の医療提供体制と連携を図りながら、関係学会等による専門的助言が得られる体制を構築する。
- 保健所、福祉施設、教育機関等の地域の関係機関との連携により慢性疾患児の日常的な療養生活の充実化を図るとともに、患児の成人期移行を見据え、難病や成人の医療機関や関係機関との情報共有、連携を図る。

小児慢性特定疾患の医療連携の在り方(案)



## 慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方（中間報告）（抄）

社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会  
平成25年1月

## 第2 慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方に関する課題と方向性

## 1. 公平で安定的な医療費助成の仕組みの構築

## (1) 医療費助成の意義・在り方

- 子どもの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、併せて患児家庭の医療費の負担軽減に資するため、医療費の自己負担分を補助する仕組みが、児童福祉法に基づき、治療研究事業の一環として実施されている。
- 小児慢性特定疾患治療研究事業の実施根拠である児童福祉法においては、国及び地方公共団体の責務として、「児童の保護者とともに、児童を心身ともに健やかに育成する責任を負う」と規定されており、国及び地方公共団体が児童の健全な育成に対する責務を負う中で、本事業は、慢性疾患を抱える子どもの健全育成に大きく貢献している。
- しかし、医療費助成の仕組みは、児童福祉法に位置付けられてはいるものの、その位置付けは「治療研究事業（治療方法に関する研究その他必要な研究に資する医療の給付）」で、予算上の位置付けは「科学技術振興費（裁量的経費）」となっており、福祉的観点（対象者の医療費負担の軽減）が必ずしも明確ではない。
- このため、慢性疾患にかかっていることにより、長期にわたり療養を必要とする児童等の健全な育成を図るため、研究を推進するという目的に加え、長期の療養による医療費の負担が大きい慢性疾患を抱える子どもとその家族を経済的に支えるという福祉的な目的を併せ持つ、より一層安定的かつ公平な仕組みとしていくことについて検討すべきである。

## (2) 医療費助成の対象者の考え方

- 医療費助成の対象者を、疾患名と疾患の状態の程度の基準で選定する現在の仕組みは、公平性・客観性の確保の観点から、引き続き維持すべきである。
- 対象疾患は、これまでの考え方を踏まえ、
  - ① 慢性に経過する疾患であるか
  - ② 生命を長期にわたって脅かす疾患であるか
  - ③ 症状や治療が長期にわたって生活の質を低下させる疾患であるか
  - ④ 長期にわたって高額な医療費の負担が続く疾患であるか
 を考慮して選定されることが適切であり、公平な医療費助成の観点から、関係学会等の協力を得て、特に類縁疾患など対象疾患の整理や治療方針、診断基準の明確化を図る必要がある。

1

- 疾患の状態の程度の基準は、より重度の子どもたちの負担を軽減するという意味で今後とも必要であり、公平な医療費助成の観点から、効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化に応じて、見直しを行う必要がある。

- 医療費助成の対象は、その安定性・持続可能性の確保の観点から、効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化に応じて、評価・見直しを行う必要がある。対象疾患の見直しについては、国民に対する説明責任や、助成対象外になった疾患との不公平感を極力小さくするためにも、公開の場で審議し、公正性・透明性を確保することが重要である。

## (4) 給付水準の在り方

- 給付水準については、財源を負担する国民に対して公平性・合理性を説明できるものである必要があり、限られた財源をより必要度の高い人に行き渡らせ、持続可能な仕組みとする観点からも、負担能力に応じた適正な利用者負担としていく必要がある。
- このため、小児慢性特定疾患の特性を踏まえつつ、他の医療費助成制度における給付水準との均衡に留意しつつ、見直しを検討する必要がある。具体的には、利用者負担が全額免除されている重症患者の特例、入院時の標準的な食事療養に係る費用などの取扱について検討が必要である。
- その際、利用者負担については、低所得者や複数の患者がいる家庭に与える影響にも配慮することが必要である。

# 社会保障の充実・安定化について

- 持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進  
に関する法律案の概要 1頁
- 持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進  
に関する法律案（抄） 2頁

## 持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律案

### 1. 法案の趣旨・背景

- 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・進め方を明示。  
※社会保障制度改革推進法は、施行後1年以内に改革に必要な「法制上の措置」を講ずるよう規定
- 社会保障制度改革国民会議の審議の結果等を踏まえ、「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」を閣議決定（平成25年8月21日）。  
この骨子に基づき、「法制上の措置」として、次期国会冒頭に法案を提出することとされている。

### 2. 法案の概要

- (第1条) : 目的
- (第2条) : 自助・自立のための環境整備等の推進
- (第3条) : 少子化対策
- (第4条) : 医療制度（医療サービスの提供体制、医療保険制度、難病対策等）
- (第5条) : 介護保険制度
- (第6条) : 公的年金制度
- (第7条から第17条まで) : 社会保障制度改革推進本部
- (第18条から第27条まで) : 社会保障制度改革推進会議
- (第28条・第29条) : 雑則

- 3. 施行期日 公布の日（一部を除く。）

（医療制度）

第四条 政府は、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、医療保険各法（高齢者の医療の確保に関する法律（昭和五十七年法律第八十号。以下「高齢者医療確保法」という。）第七条第一項に規定する医療保険各法をいう。第七項第二号二において同じ。）による医療保険制度及び高齢者医療確保法による後期高齢者医療制度（同項において「医療保険制度等」という。）に原則として全ての国民が加入する仕組みを維持することを旨として、医療制度について、この条に定めるところにより、必要な改革を行うものとする。

（略）

10 政府は、この法律の施行の際現に実施されている難病及び小児慢性特定疾患（児童福祉法第二十一条の五に規定する医療の給付の対象となる疾患をいう。以下この項において同じ。）に係る医療費助成について、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新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度（以下この項において「新制度」という。）を確立するため、新制度の確立に当たって、次に掲げる事項その他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ものとする。

一 新制度を制度として確立された医療の社会保障給付とすること。

二 新制度の対象となる疾患の拡大

三 新制度の対象となる患者の認定基準の見直し

四 新制度の自己負担の新制度以外の医療費に係る患者の負担の軽減を図る制度との均衡を考慮した見直し

11 政府は、前項の措置を平成二十六年度を目途に講ずるものとし、このために必要な法律案を平成二十六年に開会される国会の常会に提出することを目指すものとする。

# 小児慢性特定疾患対策関係資料

○ 小児慢性特定疾患治療研究事業の概要	1頁
○ 小児慢性特定疾患治療研究事業の児童福祉法上の位置付け	2頁
○ 小児慢性特定疾患の対象者数と医療費(総額)の推移について	3頁
○ 小児慢性特定疾患治療研究事業の予算額年度推移	4頁
○ 小児慢性特定疾患児と障害児、難病患児との関係	5頁
○ 入院時食事療養・生活療養費	6頁
○ 高額療養費制度との比較	7頁

## 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

- 11疾患群(514疾患)
- H24年度給付人数  
111,374人
- ※母子保健課調べ
- H24年度総事業費  
258.8億円
- ※H24交付決定ベース
- 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

すべて  
入院・通院  
ともに対象

## 小児慢性特定疾患治療研究事業の児童福祉法上の位置付け

### ○ 児童福祉法(昭和22年法律第164号)(抄)

第二十一条の五 都道府県は、厚生労働大臣が定める慢性疾患にかかっていることにより長期にわたり療養を必要とする児童又は児童以外の満二十歳に満たない者(政令で定めるものに限る。)であつて、当該疾患の状態が当該疾患ごとに厚生労働大臣が定める程度であるものの健全な育成を図るため、当該疾患の治療方法に関する研究その他必要な研究に資する医療の給付その他の政令で定める事業を行うことができる。

第五十条 次に掲げる費用は、都道府県の支弁とする。

一～五 (略)

五の二 第二十一条の五の事業の実施に要する費用

六～九 (略)

第五十三条の二 国庫は、第五十条第五号の二の費用に対しては、政令の定めるところにより、その二分の一以内を補助することができる。

[参考]「平成26年度予算の概算要求に当たっての基本的な方針について」(平成25年8月8日 閣議了解)

#### 1. 要求・要望について

##### (5) その他の経費

基礎的財政収支対象経費のうち、上記(1)ないし(4)に掲げる経費を除く経費(以下「その他の経費」という。)については、既定の歳出を見直し、前年度当初予算におけるその他の経費に相当する額に100分の90を乗じた額(以下「要望基礎額」という。)の範囲内で要求する。

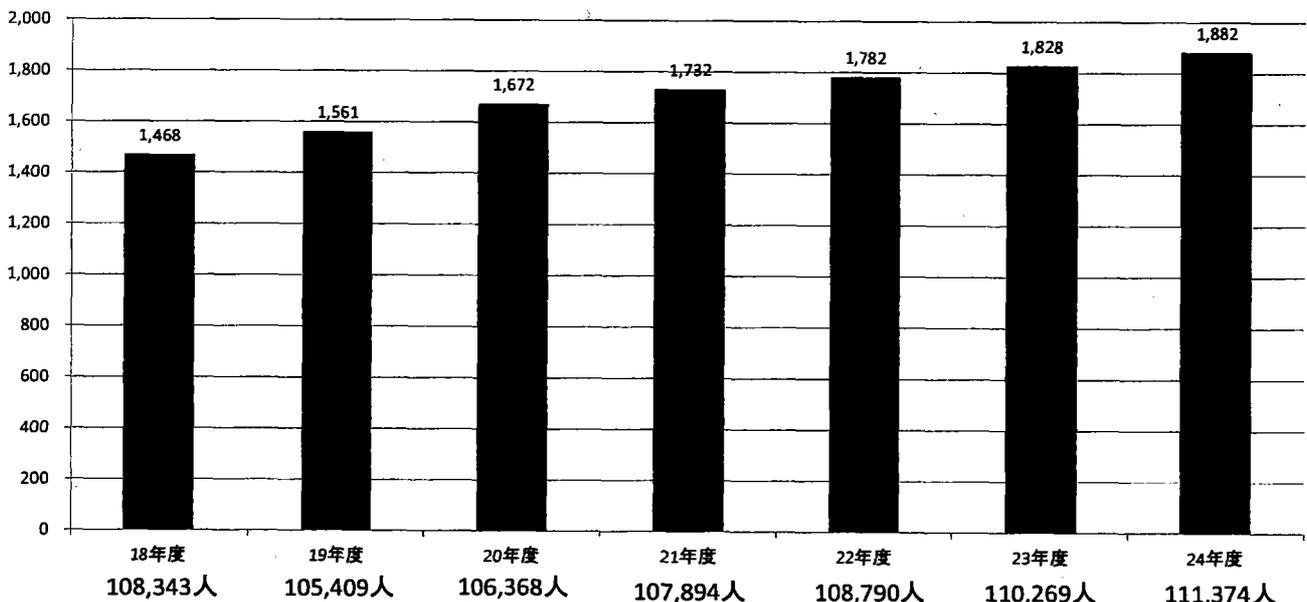
(※ 「上記(1)ないし(4)」は、義務的経費(医療・年金等含む。)、地方交付税交付金等、東日本大震災復興対策経費。)

2

## 小児慢性特定疾患の対象者数と医療費(総額)の推移について

小児慢性特定疾患にかかる医療費(総額)は毎年度増加しており、小児慢性特定疾患治療研究事業の必要性が高まっており、安定的な制度運営を図ることが求められている。

単位:億円



出典:厚生労働省雇用均等・児童家庭局 母子保健課調べ

※平成24年度は見込みである。

## 小児慢性特定疾患治療研究事業の予算額年度推移

	18年度	19年度	20年度	21年度	22年度	23年度	24年度
予算額 (単位:億円)	115	108	108.8	109.3	114.1	127.9	129.5
給付人数 (単位:人)	108,343	105,409	106,368	107,894	108,790	110,269	111,374

注:厚生労働省雇用均等・児童家庭局母子保健課調べ(24年度は速報値)

### (参考)平成23年度11疾患群別給付人数

悪性新生物	:15,507人	先天性代謝異常	:4,822人
慢性腎疾患	:9,455人	血友病等血液・免疫疾患	:4,428人
慢性呼吸器疾患	:3,270人	神経・筋疾患	:5,456人
慢性心疾患	:17,654人	慢性消化器疾患	:3,144人
内分泌疾患	:35,173人		
膠原病	:3,917人		
糖尿病	:7,443人		

4

## 小児慢性特定疾患児と障害児、難病患児との関係

- 小児慢性特定疾患児と障害児、難病患児は重複関係にあり、小児慢性特定疾患児であっても、障害児や難病患児に該当する児童は、それぞれのサービスを利用することができる。

### 小児慢性特定疾患児への支援 (実施主体:都道府県等)

- 根拠法:児童福祉法
- 対象:①514疾患、②疾患の状態の程度
- 主なサービス:医療費助成、療育相談指導事業、巡回相談事業、ピアカウンセリング事業 等

### 障害児への支援 (実施主体:都道府県、市町村)

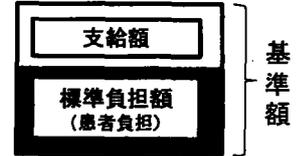
- 根拠法:障害者総合支援法、児童福祉法
- 対象:①身体に障害のある児童、知的障害がある児童又は精神に障害のある児童(発達障害児を含む。)等
- ②都道府県及び市町村による支給決定
- 主なサービス:障害者総合支援法に基づく障害福祉サービス、児童福祉法に基づく障害児通所支援、障害児入所支援 等

### 難病患児への支援 (実施主体:都道府県)

- 根拠法:-
- 対象:特定疾患(56疾患に罹患している者)
- 主なサービス:医療費助成

# 入院時食事療養・生活療養費

- 入院時食事療養費は、保険医療機関に入院したときに必要となる食費について、その一部を支給し、患者負担の軽減を図る仕組み。
- 入院時生活療養費は、65歳以上の方が保険医療機関の療養病床に入院したときに必要となる食費と居住費について、その一部を支給し、患者負担の軽減を図る仕組み。
- それぞれの支給額は、食費及び居住費について定めた「基準額」から、被保険者が負担するものとして定めた「標準負担額」を控除した金額
- 支給方法は、各保険者が被保険者に代わり保険医療機関に直接支払う現物給付方式



## <標準負担額の例>

区分	療養病床に入院する 65歳以上の者(※1)	左以外の者 (一般病床など)	(参考)介護保険施設(多床室)に入所している者の例	
一般	(食費)1食460円(※2) (居住費)1日320円	1食につき 260円	標準的な利用者負担額	(食費)1日1380円 (居住費)1日320円
市町村民税非課税の者等	(食費)1食210円 (居住費)1日320円	1食につき 210円(※3)	年金80万円超で市町村民 税非課税の者	(食費)1日650円 (居住費)1日320円
上記のうち、世帯全員が 一定の所得以下等	(食費)1食130円 (居住費)1日320円	1食につき 100円	年金80万円以下の者	(食費)1日390円 (居住費)1日320円
			生活保護を受給している者	(食費)320円 (居住費)0円

※1: 難病等の入院医療の必要性の高い者(医療区分Ⅱ・Ⅲ 療養病床全体の約70% 平成20年)の負担額は、1食260円等(居住費の負担なし。)

※2: 管理栄養士等による栄養管理、適時・適温の食事等が提供されている場合に限る。

※3: 過去1年間の入院日数が90日超の場合、160円

## 【第68回社会保障審議会医療保険部会資料1より抜粋】

### 高額療養費の見直し案

#### <70歳未満>

現行		案1		案2		案3	
所得区分	限度額(月単位)	所得区分	限度額(月単位)	所得区分	限度額(月単位)	所得区分	限度額(月単位)
上位所得者	150000+1% <83400>	年収約1510万円以上(標準12万円)	322500+1% <179100>	1160~(83万円以上)	252600+1% <140100>	1160~(83万円以上)	252600+1% <140100>
年収約770万円以上(標準報酬月額53万円以上)	※標準報酬53万円に対応する総報酬月額60万円の25%となるよう設定。 ※4月目以降は、年間負担額が総報酬月額60万円の2ヶ月程度となるよう設定。	1160~1510(83~115万円)	252600+1% <140100>	770~1160(53~79万円)	167400+1% <93000>	770~1160(53~79万円)	167400+1% <93000>
一般所得者	80100+1% <44400>	970~1160(65~79万円)	207600+1% <115200>	570~770(41~50万円)	122400+1% <68100>	370~770(28~50万円)	80100+1% <44400>
~770	※平成16年度の政管平均標準報酬28万円に対応する総報酬月額(32万円)の25%となるよう設定。 ※4月目以降は、年間負担額が総報酬月額32万円の2ヶ月程度となるよう設定。	770~970(53~62万円)	167400+1% <93000>	370~570(28~38万円)	80100+1% <44400>	~370(26万円以下)	57600 <44400>
低所得者(住民税非課税)	35400 <24600>	310~370(24~26万円)	62100 <44400>	低所得者(住民税非課税)	35400 <24600>	低所得者(住民税非課税)	35400 <24600>

#### <70~74歳(3割・2割負担の者)>

所得区分	外来(個人ごと)	限度額(月単位)	所得区分	外来(個人ごと)	限度額(月単位)	所得区分	外来(個人ごと)	限度額(月単位)
現役並み所得者(370~(標準28万以上))	44400	80100+1% <44400>	570以上(標準41万以上)	68100	122400+1% <68100>	570以上(標準41万以上)	68100	122400+1% <68100>
一般所得者(370以下(標準26万以下))	12000	44400	370~570(28~38万)	44400	80100+1% <44400>	370~570(28~38万)	44400	80100+1% <44400>
低II	8000	24600	310~370(24~26万)	24600	62100 <44400>	370以下(標準26万以下)	12000	44400
低I	8000	15000	~310(22万以下)	12000	44400 <44400>	低II	8000	24600
			低II	8000	24600	低I	8000	15000
			低I	8000	15000			

※70~74歳(1割負担の者)及び75歳以上については、据え置くこととする。

保育サービスに係る年齢別保育単価と費用徴収基準額

		推定年収	0歳	1歳	2歳	3歳	4歳～6歳	
			14.9万円	8.8万円		4.2万円	3.6万円	} 保育単価 (月額)
第1階層	生活保護法による被保護世帯(単給世帯を含む)及び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受給世帯	-	0円					
第2階層	第1階層及び第4～第8階層を除き、前年度分の市町村民税の額の区分が次の区分に該当する世帯	市町村民税 非課税世帯	～250万円	9,000円		6,000円		
第3階層		市町村民税 課税世帯	～330万円	19,500円		16,500円		
第4階層	第1階層を除き、前年度分の所得税課税世帯であって、その所得税の額の区分が次の区分に該当する世帯	40,000円未満	～470万円	30,000円		27,000円 (保育単価限度)		
第5階層		40,000円以上 103,000円未満	～640万円	44,500円		41,500円 (保育単価限度)		
第6階層		103,000円以上 413,000円未満	～930万円	61,000円		58,000円 (保育単価限度)		
第7階層		413,000円以上 734,000円未満	～1130万円	80,000円 (保育単価限度)		77,000円 (保育単価限度)		
第8階層		734,000円以上	1130万円～	104,000円 (保育単価限度)		101,000円 (保育単価限度)		

- ※ 平成25年度における費用徴収基準額表。
- ※ 保育単価は平成25年度の定員90人、その他地域区分。
- ※ 上記の費用徴収基準額より、各地域区分ごとの保育単価が下回る場合は、その保育単価を限度とする。
- ※ 平成22年度税制改正により年少扶養控除の廃止等の見直しが行われたが、保育料の算定に当たっては、扶養控除見直し前の旧税額を計算し階層区分の認定を行うこととしている。
- ※ 推定年収は、夫婦・子ども2人の世帯を想定

## 第8回専門委員会の議論の概要

※本資料は、第8回の議論について、委員の意見を整理したものである。

### 1. 小児慢性特定疾患対策の検討状況その2について

#### 【指定医について】

- 指定医にデータの管理を求めるなど、指定医の要件を厳しくして、指定医への希望が減るなど、患者の不利益にならないか。
- 指定医の名前を患者はどのようにして知ることができるのか。  
(→ ホームページ等で公表することを考えている旨回答。)
- 指定医の要件に各関係学会が認定する専門資格とあるが、これは小児科学会の専門医を指すのか。  
(→ 小児科に限らず基本領域学会の専門医を念頭に置いて検討している旨回答。)
- 難病対策委員会では、この指定医の診断書について、主治医でない医師が書くべきという議論があったが、実際は小児慢性特定疾患の医療費助成の申請に必要な診断書はほとんど主治医の先生が書いている。
- 専門分野別に指定医を指定しない場合、指定医1人という医療機関にいろいろな分野の疾病の方が訪れる可能性もある。
- 小児科学会の専門医を取るに当たっては、各分野の重要領域も試験しているため、小児科学会の専門医であれば、内分泌であろうが循環であろうが、それなりの素養をある程度は身に着けている。  
ただ、非常にまれな病気の場合にはかなり難しいが、そのために診断のガイドラインがある。
- 小児科医には総合的に診ていこうという基本的な姿勢があり、また、医療資源がなかなか少ないということもあり、1人の方がいろいろな分野の病気を診ている。特に地方に行くと、それが現状ではないか。それをアシストするためのガイドライン等について小児科学会を挙げて作ろうと頑張っているところ。

#### 【指定医療機関について】

- 現在、小児慢性特定疾患の医療費助成の対象となる医療を行っている医療機関が、なかなか地元地域にはないなどといった偏在の問題はないか。

(→ 現在、全国で幅広く委託医療機関が存在している旨回答。)

- 新たに指定医療機関を指定する場合に、利便性をどのように考えるか。例えば、患者が通える範囲とか、利便性を評価する基準をどのように考えたらよいか。

(→ 現在の委託医療機関が指定されれば、少なくとも現在の利便性は確保される旨回答。)

- 指定医療機関の要件について、これは都道府県のほうに任せているが、国のレベルとして、都道府県の平準化を図るために指標などを示す予定はあるか。

(→ 改めて国が考える要件を示していきたい旨回答。)

#### 【認定審査について】

- (医療費助成の対象者として) 認定されなかった場合の不服申立てはできるのか。

(→ 一般の不服申立て制度と同様の扱いである旨回答。)

- 小児慢性特定疾患対策協議会の委員について4人とか5人は少ないと考える。小児慢性特定疾患の中には希少な疾患もあり、専門外の方たちがこの協議会の委員で、多様な申請が正しく受け入れられ、判断出来るのか疑問がある。
- 小児科学会で各小児慢性特定疾患の診断基準のガイドラインを作り、それをもとにある程度の医学的知識があれば、その疾患の診断の妥当性を持っていると言えるようにすることを検討している最中である。

#### 【医療意見書について】

- 医療意見書だが、病院側の都合で診察後に改めて取りに行かなければならないことがある。患者の利便性を考え、医療機関に対して、迅速に出していただけるような働きかけなどを考えてほしい。
- 提出期限直前の医療意見書の場合、外来診療を止めてその場で書くが、医師にとっても患者にとってもよくないので、何かいい方策がないか。  
コンピュータ入力は、あまりコンピュータに強くない医師の場合、それだけで診療がストップしてしまい、患者の方及び医師のストレスとなるため、何かしらの改善策を設ける必要がある。
- 医療意見書は集中する季節が必ずあり、その分患者の方が診療を待つことになるが、果たしてこの内容が活かされているのか疑問。いろいろなデータをとって患者の状態を把握するのはいいと思うが、何分も待たせて書いても、統計ではこのデータは必要ないということが多いため、時代に合わせて、時

間や内容も考えて、必要な記載内容だけに変えていってもいいのではないか。

- 初診時と更新時の医療意見書の記載内容が、今は全く同じでありナンセンスである。これは改定すべきであり、簡便かつ急所を得た診断に必要なデータは初診時に、患者さんのQOLや研究に活用できるようなデータは更新時にとって集積する。そのためにコンピュータで入力するという方針で小児科学会としては進んでいる。
- 統計に関して、今は認定基準に合致しないと医療費が助成されないが、軽症になって対象外となる患者の方は追えなくなっている。そういう患者の方も登録して頂ければ、疾病全体のことかわかるし、研究としてはとても大切だが、そのための手当てをしなくてよいか。

#### 【小児慢性特定疾患児手帳について】

- 日本では、小児慢性特定疾患児手帳によって患者の方が助かったというような使われ方はあまりない。例えば、学校での水泳の可否に手帳を見せるぐらい。命や病気の実態にかかわるような内容が手帳に含まれていないという印象。外国では子どもでも、小さなカードに病気のこと、その対処法、複数の連絡先が書いてある。

手帳のそういう面を充実させたら、倒れたり災害に遭ったりという、もしものときに使えるのではないか。

# 厚生科学審議会疾病対策部会第32回難病対策委員会

## 議事次第

平成25年10月10日

10:00～12:00

場所：都道府県会館101会議室（1階）

### 1. 開 会

### 2. 議 事

- (1) 医療費助成の仕組みの構築について
- (2) 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
- (3) 効果的な治療研究の開発と医療の質の向上について
- (4) 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 | 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 |
| 資料 3 | 効果的な治療研究の開発と医療の質の向上について    |
| 参考資料 | 第30回・第31回難病対策委員会における主な意見   |

## 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会委員名簿

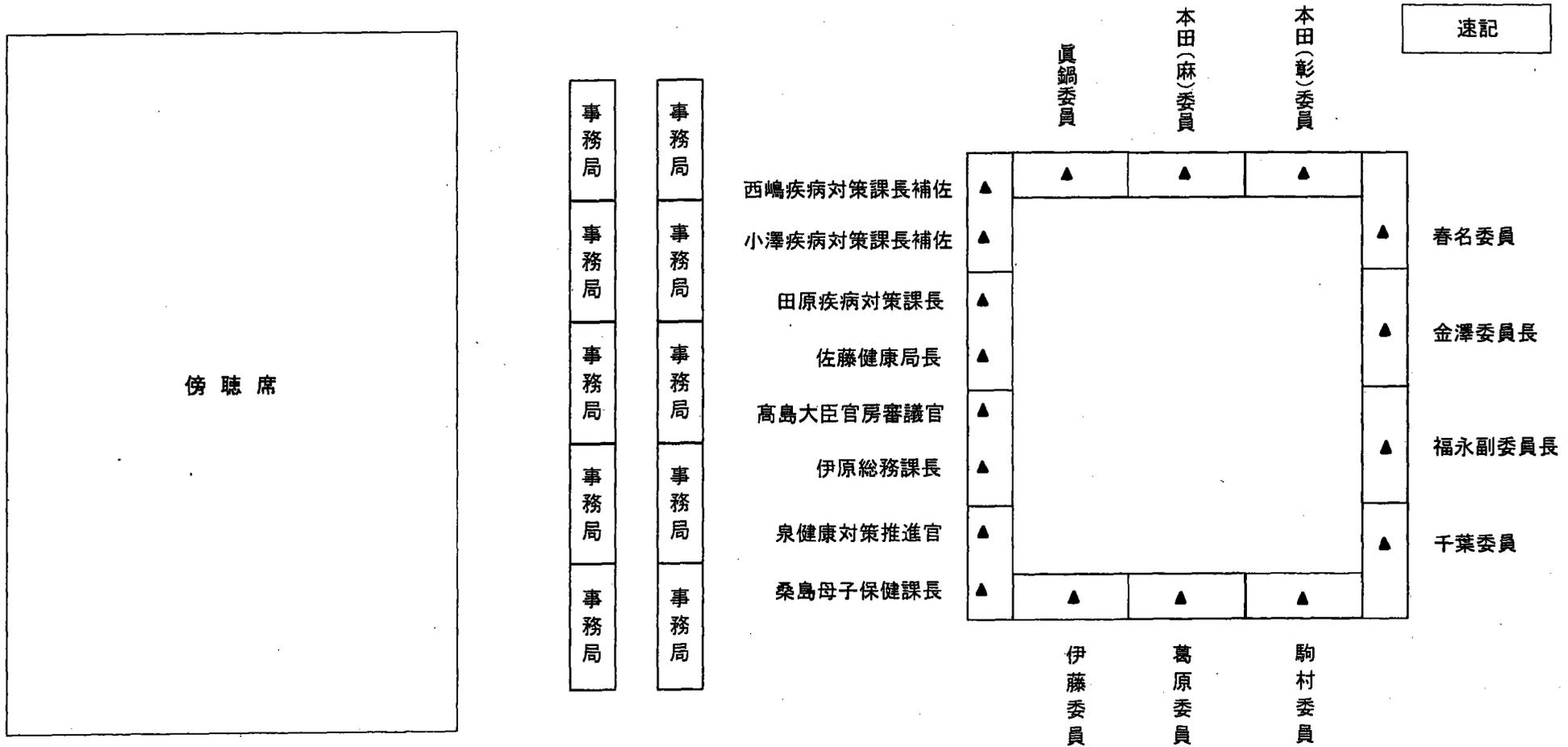
氏名	所属・役職
五十嵐 隆	(独)国立成育医療研究センター総長
伊藤 たてお	日本難病・疾病団体協議会代表理事
大澤 真木子	東京女子医科大学名誉教授
小幡 純子	上智大学法科大学院教授
◎ 金澤 一郎	国際医療福祉大学 大学院長
葛原 茂樹	鈴鹿医療科学大学教授
小池 将文	川崎医療福祉大学教授
駒村 康平	慶應義塾大学経済学部教授
千葉 勉	京都大学大学院医学研究科消化器内科学講座教授
春名 由一郎	(独)高齢・障害・求職者雇用支援機構障害者職業総合センター主任研究員
広井 良典	千葉大学法経学教授
○ 福永 秀敏	(独)国立病院機構南九州病院名誉院長
本田 彰子	東京医科歯科大学大学院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	(公社)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

◎は委員長    ○は副委員長

# 厚生科学審議会 疾病対策部会 第32回難病対策委員会 配置図

日時：平成25年10月10日(木) 10:00~12:00

場所：都道府県会館 101大会議室(1階)



受付

# 医療費助成の仕組みの構築について

平成25年10月10日

1. 医療費助成の対象となる患者の  
認定基準について

## 対象となる患者の認定基準について

### <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。

- 全ての疾患に対して重症度分類等を適用してはどうか。
- 重症度分類等の設定に当たっては、各疾患の特性を踏まえ、次のような方法によって設定してはどうか。
  - ・ 現行の医療費助成のうち重症度分類等を勘案している12疾患のように個別に設定する方法
  - ・ 疾患横断的な重症度分類等を設定する方法 など
- 各疾患ごとに、具体的に、どのような重症度分類等を用いるか、また、用いた重症度分類等のどの範囲を医療費助成の対象とするかについては、「日常生活又は社会生活に支障がある者」という考え方を医学的な観点から反映させることとして、第三者的な委員会で決定してはどうか。

2

## 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の接合部型及び栄養障害型のみ
表皮水疱症	生活機能障害度が2度以上
広範脊柱管狭窄症	無症候性以外のもの
原発性胆汁性肝硬変	軽症ならびに中等症は対象外
重症急性膵炎	重症度分類にてⅢ度以上
特発性間質性肺炎	重症度分類にてⅡ度以上
網膜色素変性症	重症度分類にてStage 4以上
神経線維腫症Ⅰ型	門脈圧亢進所見のある症例に限定
バッド・キアリ症候群	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
黄色靭帯骨化症	

3

## 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Ⅲ度以上の者とする。)

重症度分類判定表

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

4

## 現在の重症度分類等

### ●後縦靭帯骨化症、黄色靭帯骨化症で用いている重症度分類

(※画像所見で骨化が証明され、しかもそれが神経障害の原因となって、日常生活上支障となる著しい運動機能障害を伴うもの。運動機能障害は下表で評価・認定する。)

表: 日本整形外科学会頸部脊椎症性脊椎症治療成績判定基準 (抜粋)

#### I 上肢運動機能

0. 箸又はスプーンのいずれを用いても自力では食事をすることができない。
  1. スプーンを用いて自力で食事ができるが、箸ではできない。
  2. 不自由ではあるが、箸を用いて食事ができる。
  3. 箸を用いて日常食事をしているが、ぎこちない。
  4. 正常
- 注1 きき手でない側については、ひもむすび、ボタンかけなどを参考とする。  
注2 スプーンは市販品を指し、固定用バンド、特殊なグリップなどを使用しない場合をいう。

#### II 下肢運動機能

0. 歩行できない。
  1. 平地でも杖又は支持を必要とする。
  2. 平地では杖又は支持を必要としないが、階段ではこれらを要する。
  3. 平地・階段ともに杖又は支持を必要としないが、ぎこちない。
  4. 正常
- 注1 平地とは、室内又はよく舗装された平坦な道路を指す。  
注2 支持とは、人による介助、手すり、つかまり歩行の支えなどをいう。

(※頸髄症: I、II いずれかが2点以下。ただし、I、IIの合計点が7点でも手術治療を行う場合は認める。  
胸髄症あるいは腰髄症: II が2点以下。ただし、3点でも手術治療を行う場合は認める。)

5

## 疾患横断的な重症度分類等(例) (疾患領域で用いられているもの)

### ●循環器領域で用いられるNYHA分類

I度	心疾患があるが、身体活動には特に制約がなく日常労作により、特に不当な呼吸困難、狭心痛、疲労、動悸などの愁訴が生じないもの。
II度	心疾患があり、身体活動が軽度に制約されるもの；安静時または軽労作時には障害がないが、日常労作のうち、比較的強い労作（例えば、階段上昇、坂道歩行など）によって、上記の愁訴が発現するもの。
III度	心疾患があり、身体活動が著しく制約されるもの；安静時には愁訴はないが、比較的軽い日常労作でも、上記の主訴が出現するもの。
IV度	心疾患があり、いかなる程度の身体労作の際にも上記愁訴が出現し、また、心不全症状または、狭心症症候群が安静時においてもみられ、労作によりそれらが増強するもの。

### ●肝臓領域で用いられるChild-Pugh分類

項目	ポイント	1点	2点	3点
脳症		ない	軽度	時々昏睡
腹水		ない	少量	中等量
血清ビリルビン値 (mg/dl)		2.0未満	2.0~3.0	3.0超
血清アルブミン値 (g/dl)		3.5超	2.8~3.5	2.8未満
プロトロンビン活性値 (%)		70超	40~70	40未満

各項目の点数の合計で分類する。

分類	点数
A	5~6点
B	7~9点
C	10~15点

## 2. 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。

8

## 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してはどうか。  
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してはどうか。
  - 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してはどうか。
  - 医療費助成は、症状の程度が一定以上等の者を対象とする。  
その際、高額な医療を受けていることにより軽症を維持している者の取扱いについて、どのように考えるか。
- ※ 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。

9

# 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	・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	・家計に対する医療費の自己負担が過重なものにならないようにすること	・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	・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	・医療保険加入者	・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	・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	・疾病又は負傷に対する医療(保険適用となっている医療)	・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	○ 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	○ 高額療養費制度の特徴 ・ 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。	○ 対象となる治療の例 ・ 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) ・ 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

10

## 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		収入の目安	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	156万円以下	0円	0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。
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	
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)

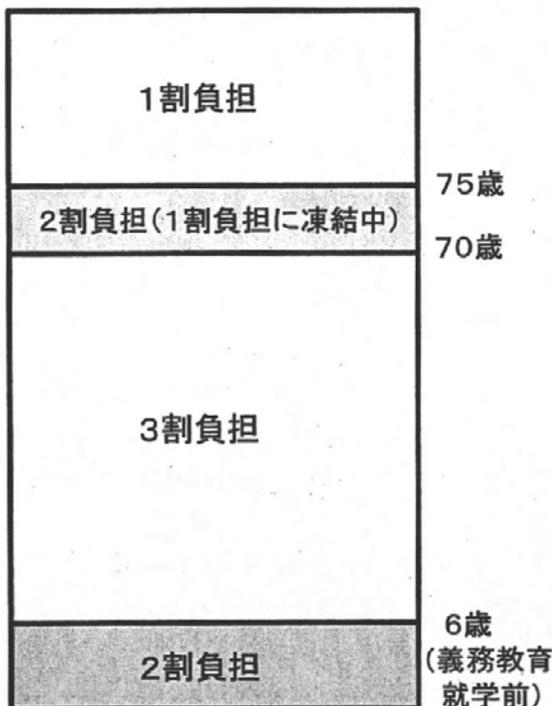
階層区分		構成人数	構成割合
A	生計中心者の市町村民税が非課税の場合	186,421人	23.8%
B	生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	115,504人	14.7%
C	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,000円以下の場合	19,236人	2.5%
D	生計中心者の前年の所得課税年額が5,001円以上15,000円以下の場合	36,399人	4.6%
E	生計中心者の前年の所得課税年額が15,001円以上40,000円以下の場合	88,076人	11.2%
F	生計中心者の前年の所得税課税年額が40,001円以上70,000円以下の場合	75,059人	9.6%
G	生計中心者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

12

医療保険における患者負担

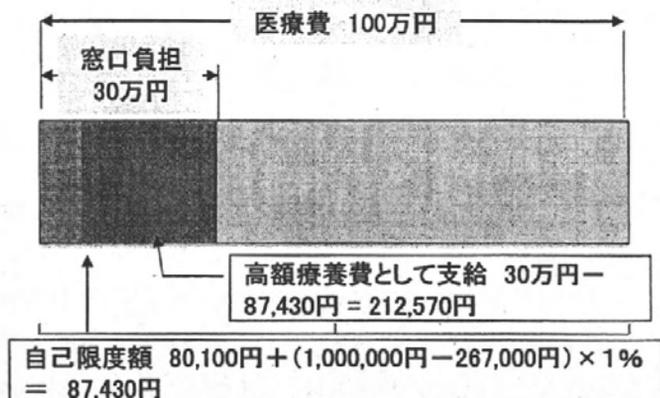
【医療費の患者負担割合】



○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。

13

## 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）

14

## 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	市町村民税235,000円以上
一定所得以上	対象外	対象外	20,000円	市町村民税 33,000円以上 235,000円未満
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
中間所得2		5,000円	5,000円	市町村民税 33,000円未満
中間所得1		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。

# 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

平成25年10月10日

## 1. 難病に関する普及啓発について

<論点>

- 難病について、
  - ・難病患者及びその家族
  - ・難病患者と関わる者(雇用主、介護・福祉サービス提供者、医療従事者等)
  - ・上記以外の幅広い一般国民それぞれに対し、どういった普及啓発を行っていくべきか。
- 難病情報センターについて、具体的にどういった情報を充実させていくべきか。

- 難病情報センターにおいては、患者や患者と関わる者及び一般国民が研究の最新情報を入手できるよう、研究班から提供を受け、掲載してはどうか。
- その際、医療従事者向けには適切な判断の根拠となるような記載をすることに加え、別途医療従事者以外も理解できるよう、平易な言葉での記載を行うことが望ましいのではないか。
- 疾患に罹患している患者が適切に自己管理できるように、生活する上での留意点、病状の変化で注意すべき点やその対応策などについての情報を充実させてはどうか。

## 2. 難病患者の社会参加のための支援について

# 難病患者の社会参加のための支援について

## <論点>

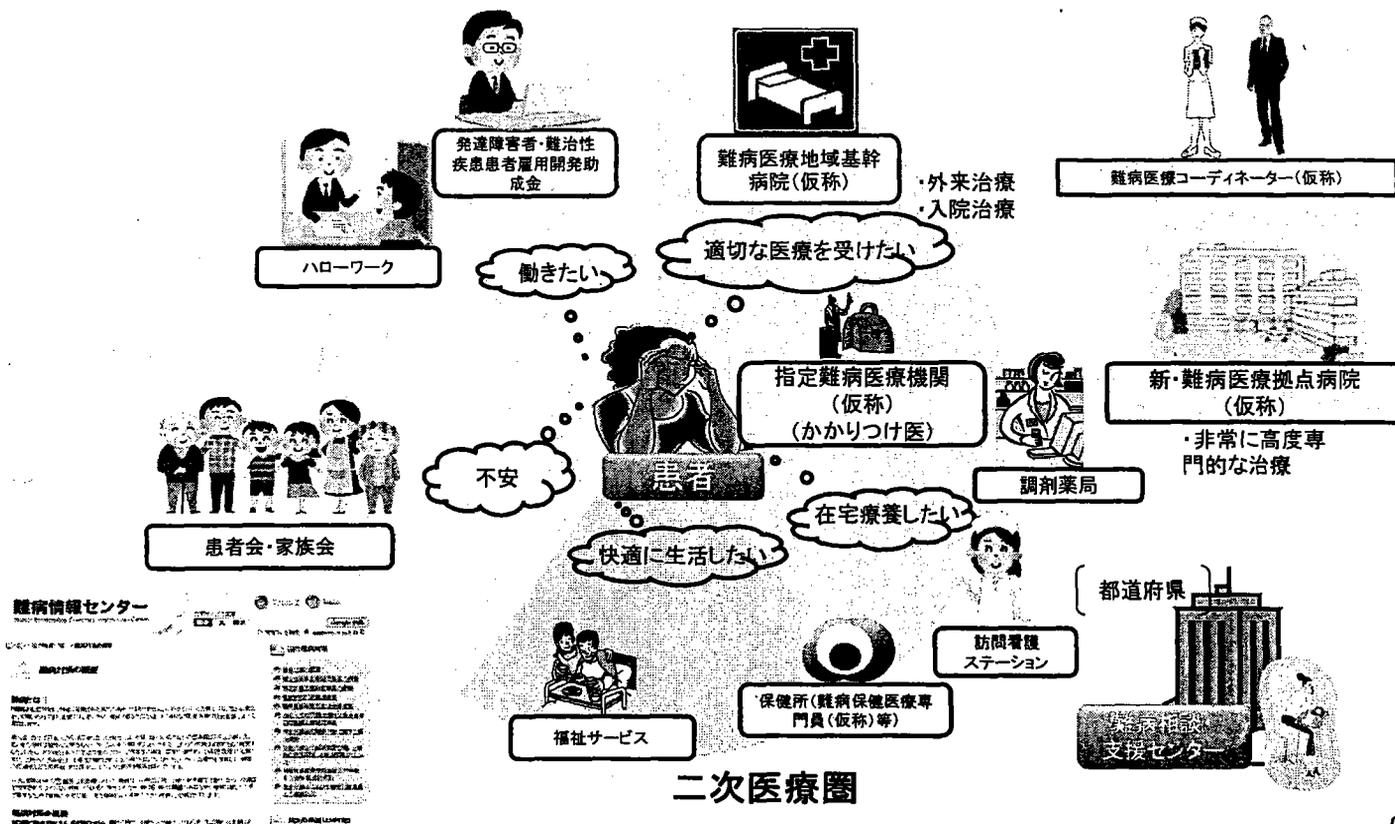
- 現在利用できるサービス等を有効活用していくには、どのようにすればよいか。
  - ・ 就労支援、福祉サービスなど
- 症状の程度等に応じて、それぞれどのような社会参加のための支援が必要か。
- 引き続き検討が必要とされていた「登録者証(仮称)」の交付対象者について、どのように考えるか。

- 難病患者は、疾患に罹患した後に離職している割合が高いにもかかわらず、多くの企業では、今後の対策の重要度が低いと認識されているため、企業への難病対策の重要性を周知していくことが重要ではないか。
- 症状の程度等に応じて、在宅療養、福祉サービス、ピアサポート、就労支援などの取組を推進してはどうか。また、その際に難病相談・支援センターを有効に活用してはどうか。
- 「医療受給者証(仮称)」を交付されていた患者の病状が軽症化し、医療費助成の対象とならなくなった場合に「登録者証(仮称)」を交付することとしてはどうか。
- 「登録者証(仮称)」を持っている患者が重症化した場合には、負担の軽減及び審査の迅速化を考慮して、「新・臨床調査個人票[更新](仮称)」による申請を可能とし、医療費助成の対象を症状の悪化が確認された日に遡って認めてはどうか。

5

## 新たな難病患者を支える仕組み

- 難病患者の各種不安や悩みに対応できるように医療体制、福祉サービス、就労支援の取組を推進し、それぞれが連携をとった活動を行う。



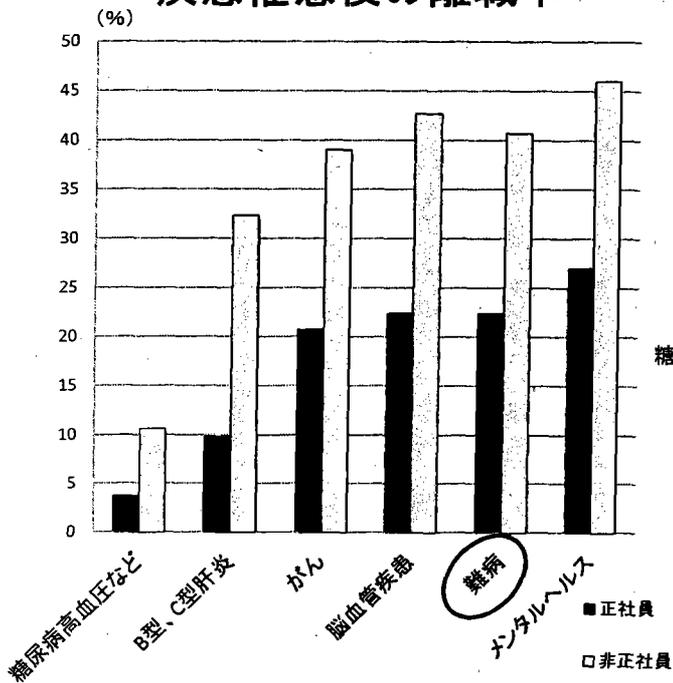
6

(参考資料) 企業における難病患者について

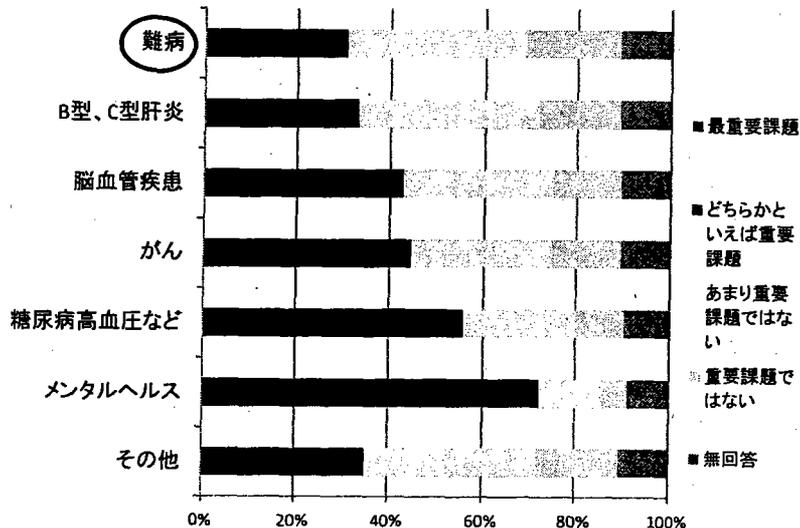
「メンタルヘルス、私傷病などの治療と職業生活の両立支援に関する調査」※より

※労働政策研究・研修機構が平成24年11月に全国の常用労働者50人以上を雇用している企業2万社に対し、郵送によるアンケート調査を行い、5904社より得られた回答をもとに分析した調査研究

疾患罹患後の離職率



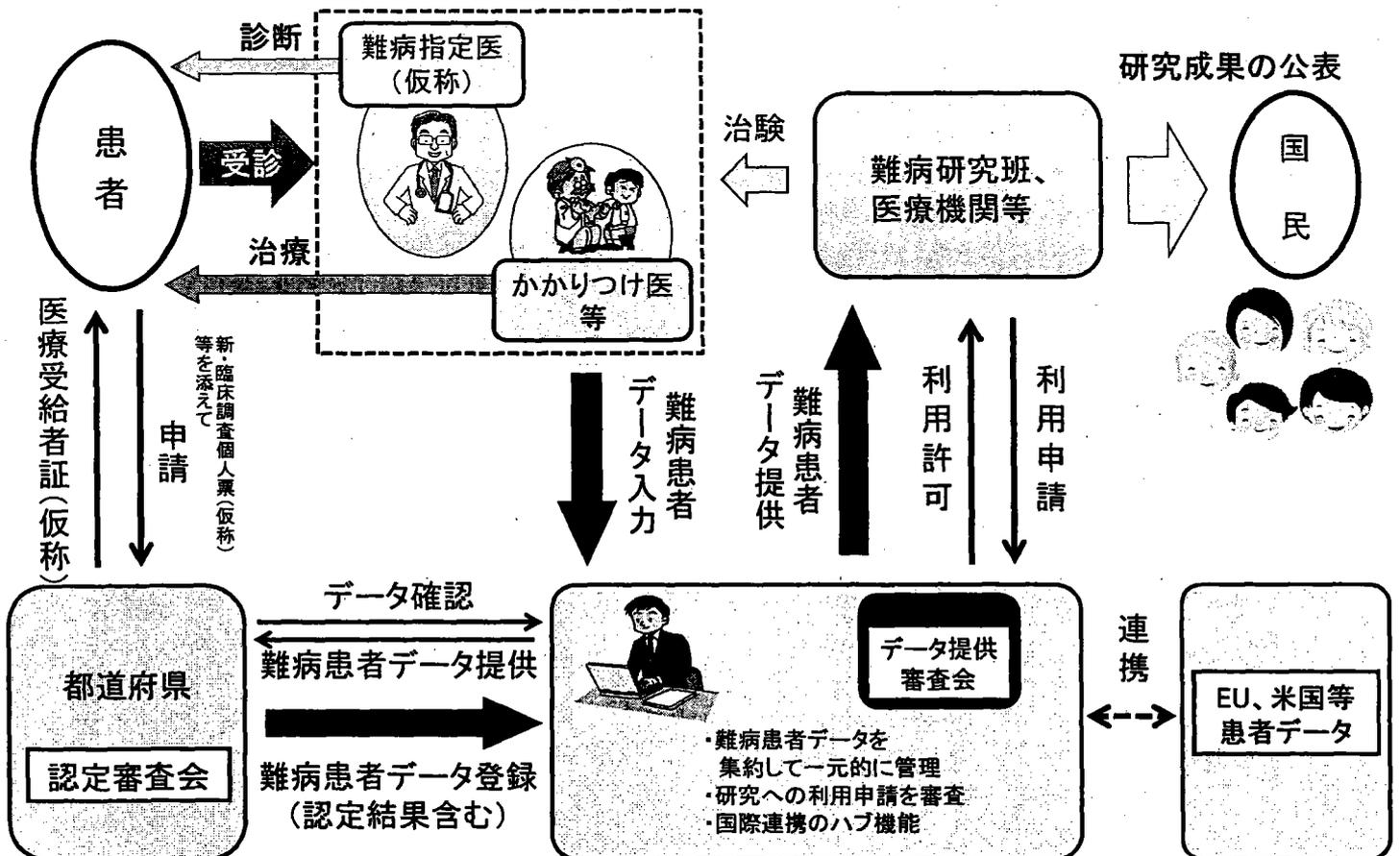
企業にとって各疾病の対策が経営・労務管理上の重要課題と認識されているか



# 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10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>

#### ○ 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、経過の推移を正確に反映することが重要なことから、かかりつけ医等が発行することとしてはどうか。
- 更新時、都道府県の認定審査会における審査の結果、医療費助成を行うにあたって、専門性の高い判断が必要とされた場合は、難病指定医(仮称)が関与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。

3

### <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。

- 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、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、研究班ごとに必要に応じて収集する等、本データ登録とは目的や方法を区別して考えるべきではないか。
- 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ものとしてはどうか。
- 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。

4

## ② 医療の質の向上及び医療体制の整備について

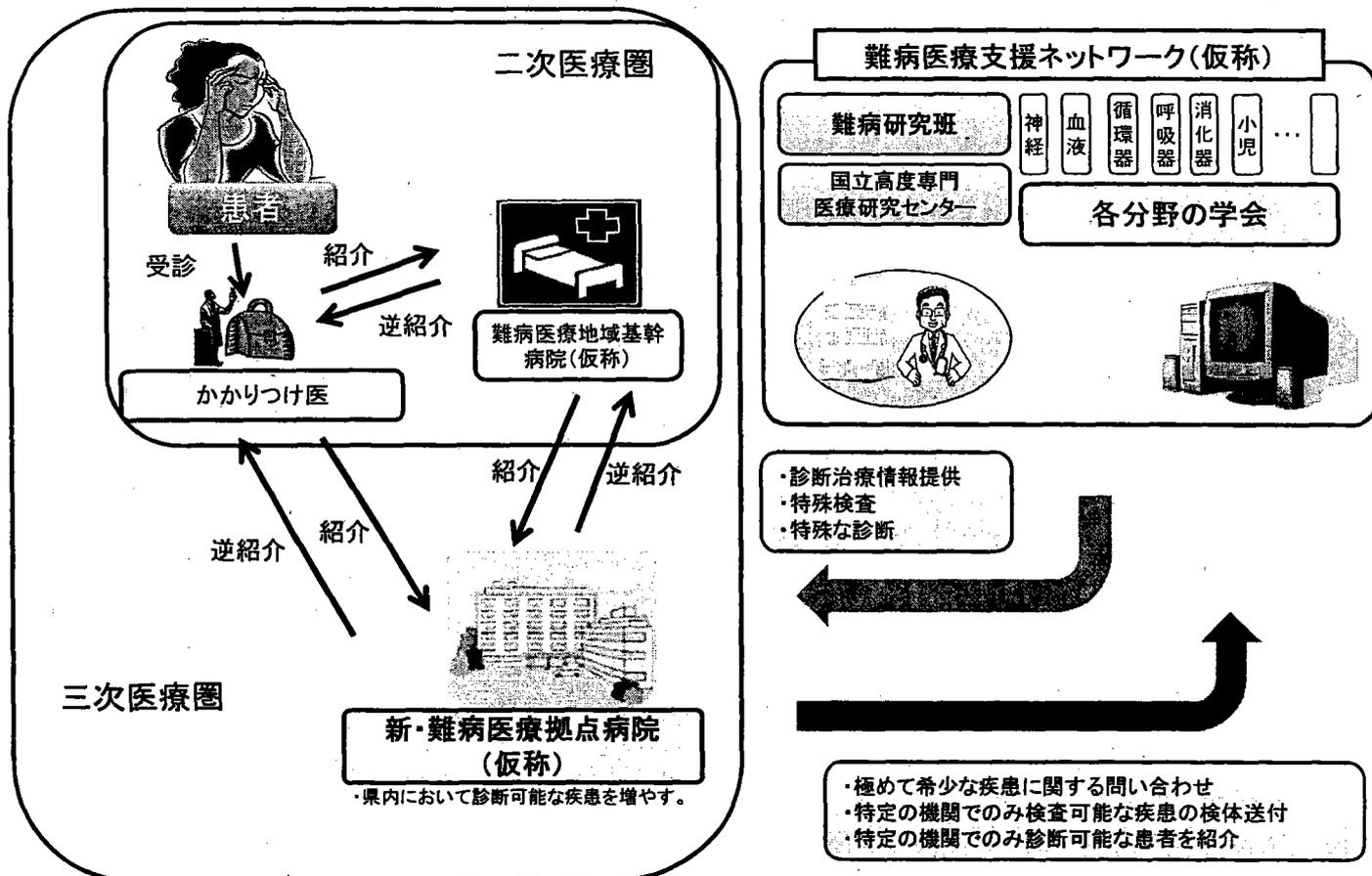
### <論点>

○ 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。
- 「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難病医療ネットワークを活用した全国的な対応を行えるようにしてはどうか。
- 難病医療ネットワークを活用し、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。

5

### 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)



6

## 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、日常的な診療を含む難病患者の治療は、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。

7

## ③ 治療方法の開発に向けた難病研究の推進について

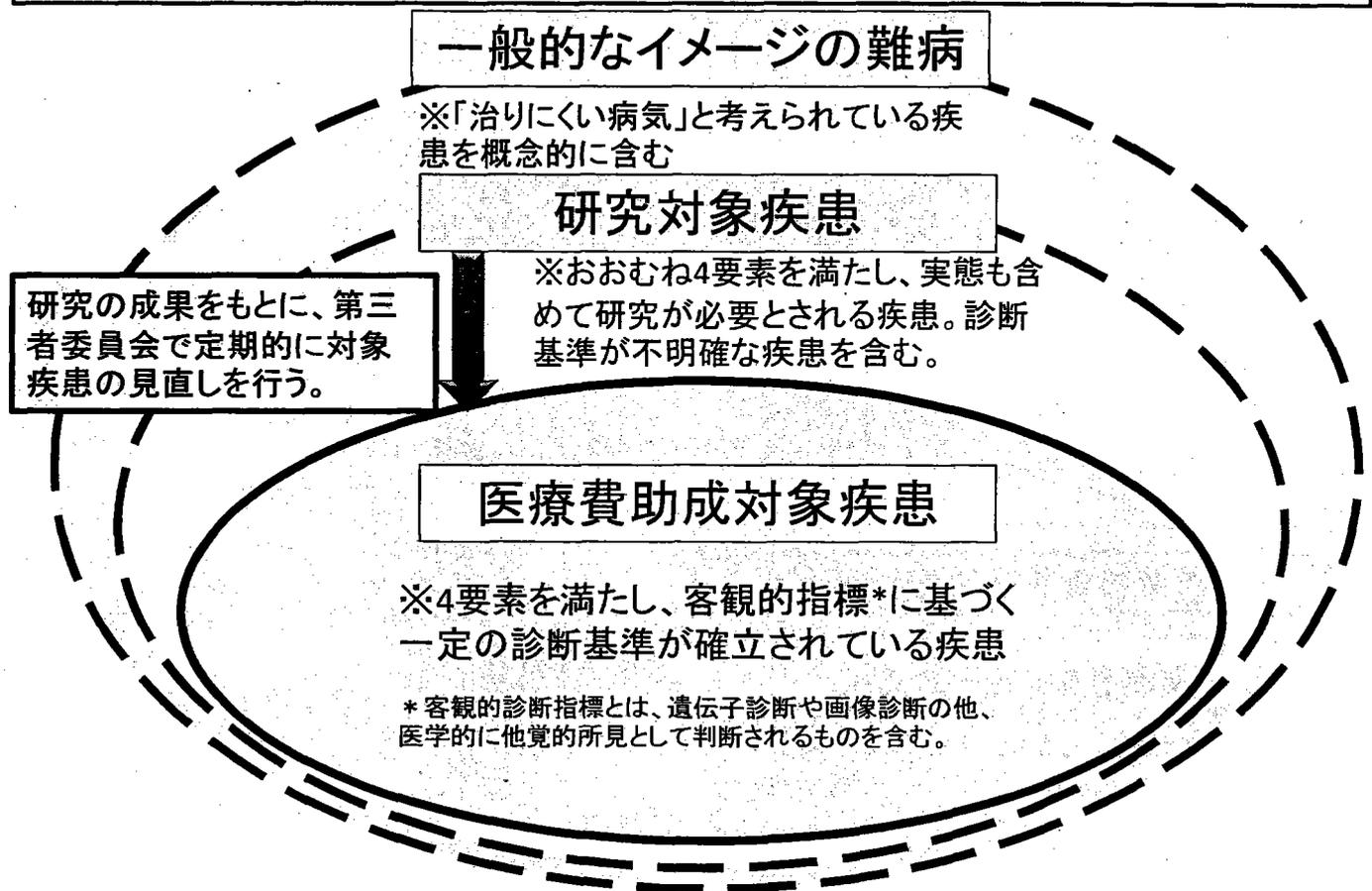
### <論点>

○ 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。

8

## 研究対象疾患と医療費助成対象疾患の関係(イメージ)



9

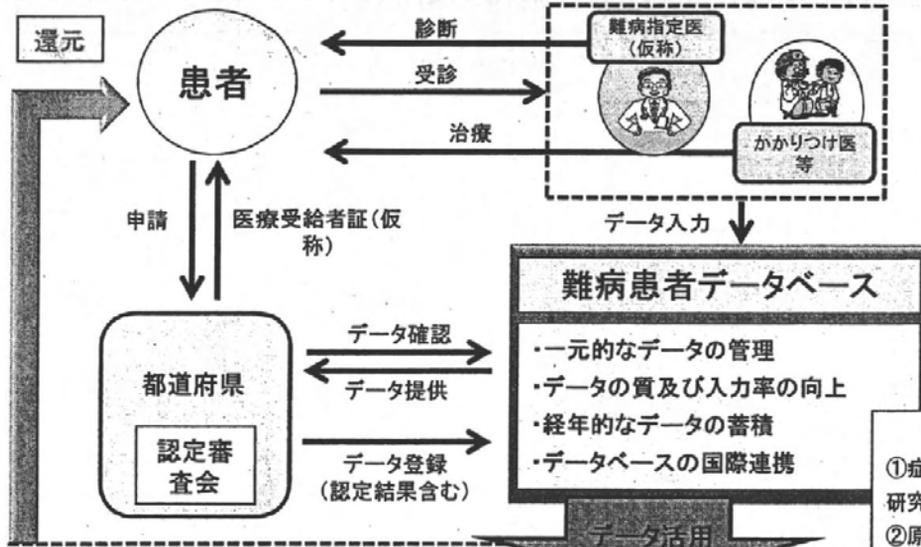
### <論点>

- 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はどうか。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はどうか。
- 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・希少疾病等**  
アンメットメディカルニーズへの対応  
治療法がなく患者数が少ない難病及び小児慢性特定疾患について、全国規模の患者データベースを構築し、治療法の開発・実用化を目指す研究を推進する。また、国内の難病患者データベースを活用し、諸外国の患者データベースと国際連携を行うことで、病態解明、治療法の開発・実用化、国際的共同治験への参画を推進する。  
(健康・医療戦略より抜粋)

**【医療費助成の対象疾患の要件】**  
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効果的な治療方法未確立  
④生活面への長期にわたる支障  
※一定の診断基準や診断基準に準ずるものが確立されていること

上記要件を満たす疾患について  
研究成果を踏まえ定期的に見直しをする

**難治性疾患政策研究事業(仮称)**

**領域別基盤研究分野(仮称)**

- 疫学調査
- 診療ガイドラインの作成
- 診断基準の作成
- 治療ガイドラインの作成

**横断的政策研究分野(仮称)** ○難病患者QOL調査等

**総合的な難病対策**  
難病患者が地域で尊厳を持って生きられる共存社会の実現

# 難治性疾患実用化研究事業(仮称)(難病研究のうち実用化に資する分野)

難病の克服を目指すため、全国規模のデータベースを活用し、病態解明、新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を推進する。

**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、治療法の開発・実用化を目指す研究を推進する。
- 難病患者の遺伝子解析拠点を整備し、データベースを構築する。
- 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

**『難治性疾患実用化研究事業』実用化研究分野(仮称)**  
遺伝子治療及び医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指す臨床研究、医師主導治験等の推進(新規治療法の開発・既存薬剤の適応拡大等)

臨床研究	医師主導治験	
小児重症拡張型心筋症への骨格筋芽細胞シートを用いた再生治療等	・ミトコンドリア脳筋症に対するタウリン療法	・リンパ脈管筋腫症に対するシロリムス内服
	・難治性潰瘍を伴う免疫疾患に対する体外衝撃波治療法等	・ALSに対するHGF髄腔内投与

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

- 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

研究成果

企業による申請・保険収載・実用化・再評価

疾患特異的iPS細胞を樹立、分化誘導、解析する技術を有する拠点の整備(文部科学省)

①患者からの体細胞の供与

②iPS細胞、分化細胞の供与

疾患特異的iPS細胞から分化誘導された細胞を用いた治療法の開発研究

研究会開催による情報交換や連携状況の共有

連携

製薬企業

H25年度～『疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究』

iPS細胞を活用した基礎研究から実用化研究まで一貫した研究体制の構築による早期の治療法開発

病態解明 → 創薬・新規治療法開発 → 難病患者への還元

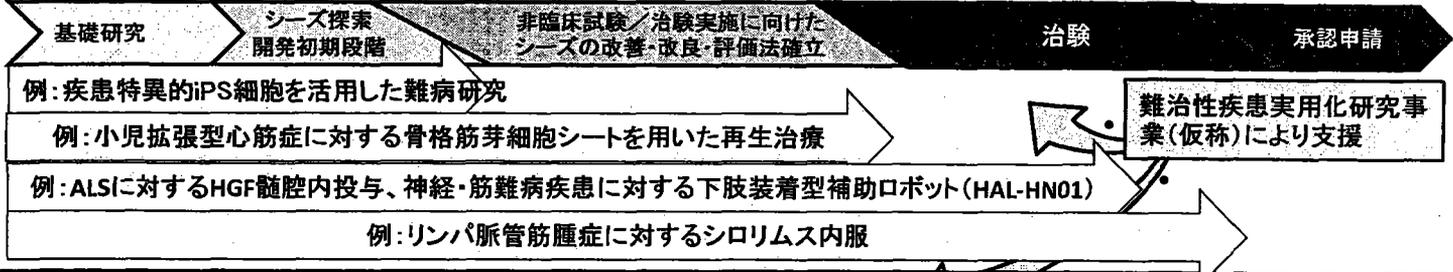
# 難病の治療薬・医療器機開発に向けた取り組み

## 新規治療薬

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)



## 未承認薬・適応外薬

【学会、患者団体、個人等】  
未承認薬・適応外薬に係る要望

重篤な疾患で他に治療法がない等医療上の必要性が高い未承認・適応外薬

\* 欧米等6カ国で承認・標準療法で使用

・第I回要望は374件

平成21年6~8月

・第II回要望は290件

平成23年8~9月

【厚生労働省】

医療上の必要性の高い  
未承認薬・適応外薬  
検討会議

医療上の必要性を評価

第I回要望のうち

開発要請は165件

開発企業公募は20件

第II回要望のうち(作業継続中)

開発要請は83件

開発企業公募は17件

【製薬企業】

要請後、1年以内に治験開始  
又は半年以内に公知申請※  
※治験等を実施せず、海外データ等  
のエビデンスに基づき申請

第I回要望のうち124品目承認

第II回要望のうち25品目承認

(平成25年9月17日現在)

【難病関係での開発要請例】

ミグルスタット(Niemann-Pick病C型) → 承認済み  
 トレプロスチニル(肺高血圧症)  
 アザチオプリン(ステロイド抵抗性全身性SLE) → 承認済み  
 人免疫グロブリン(原発性免疫不全症候群) → 承認済み 等

新薬創出・適応外薬解消等促進加算(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。

## 第30回・第31回難病対策委員会における主な意見

## (1) 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

## 【1. 難病患者データについて】

- ・ 難病の治療研究のため、患者データの質をどう担保していくかが重要。
- ・ 国際的にも通用するようなデータベースとするべき。
- ・ 患者データは臨床医だけではなく研究者も使えるよう、難病医療支援ネットワークの中で活用できるようにすべき。

## 【2. 医療の質の向上及び医療体制の整備について】

- ・ 患者さんの中には、指定医や指定医療機関の制度が導入されると、これまで治療してくれていたかかりつけ医に見てもらえなくなるのではないかと不安に思っている人がいる。
- ・ 僻地等の患者に医療が提供されるよう、指定医が患者さんを巡回する、IT技術を活用する等の工夫をするべきである。
- ・ 患者の利便性向上のため、かかりつけ医と指定医の間でデータでやりとりする等の方法を考えてはどうか。
- ・ 難病医療支援ネットワーク（仮称）では、原因不明の疾患にかかっている患者を診察した医師が、他の医師や研究者に相談を投げかけられるような仕組みを作ることが重要。
- ・ 創薬研究の観点から、企業も難病医療支援ネットワークの中に含めることができないうか検討してほしい。

## 【3. 治療方法の開発に向けた難病研究の推進について】

- ・ 診断基準がなく、医療費助成の対象とならないような疾病についても、研究の対象とするなど、研究の対象範囲は広めにして、様々な研究ができるようにしてほしい。
- ・ 軽症で医療費助成の対象とならない者のデータを収集する仕組みが必要。

## (2) 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

## 【1. 医療費助成の対象について】

## ① 対象疾患の選定基準について

- ・ 法律に基づいて医療費助成を行う以上、法の下での平等という観点からある程度明確な基準を設定する必要がある。
- ・ 疾患概念があるだけでは、医師によって診断にばらつきが生じる可能性があるため、客観的指標があるものを対象とすべき。
- ・ バイオマーカーや検査値が診断基準として用いられる疾患だけでなく、客観的な指標がある疾患も助成対象としてよいのではないか。
- ・ 客観的な診断指標が具体的にどのようなものであるか注釈をつけてほしい。

## ② 第三者的な委員会の在り方について

- ・ 対象疾患の選定については、公平性・透明性の担保が重要である。そのため、第三者的な委員会においては、選定理由について説明責任を負うものでなければならない。
- ・ 構成員については、医療関係者以外の有識者を入れるべき。
- ・ 第三者的な委員会は常設として、定期的に対象疾患の見直しを行うべき。
- ・ 構成員に患者団体を含めると、選定の責任を負わせることになることから望ましくないのではないか。
- ・ 当事者性を担保するためには、患者団体をヒアリングに呼ぶなどすれば良いのではないか。
- ・ 難病対策委員会で改革の方向性や考え方などを検討しているため、難病対策委員会と第三者的な委員会は関連性を持たせるべき。
- ・ 難病対策委員会から、第三者的な委員会に対して、諮問、聴取、あるいは発議等できるようにすべき。
- ・ 公平な議論のため、委員会の議論の公表は必要であるが、公表の仕方を工夫して、委員会の場における自由な発言を担保する必要がある。

## ③ 重症度分類等について

- ・ 疾患によって、患者が必要としているものが異なり、指標も様々であるので、疾患ごとに重症度分類等を設定するのがよいのではないか。
- ・ 病気を抱えている人の社会生活を支えていくという基本認識を持って基準を設定する必要がある。
- ・ 介護保険制度等で日常生活への支障について基準を設けていると思うので参考にできないか。ただし、介護保険制度等を参考とするにしても、難病の特性を踏まえた基準を設けるべき。
- ・ 高額な医療によって、軽症を維持している人をどう支援するか考えなければならない。

## 【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

- ・ 難病以外の病気を抱えて、高額な医療費を負担している患者さんもいる中で、なぜ難病に対して医療費助成が必要となるのか説明できなければならない。
- ・ 難病患者の実態を明らかにすべき。所得状況を明らかにしてほしい。
- ・ 難病の患者さんは所得の低い層が多いため、低所得、中間所得の水準をどのように設定するか考える必要がある。
- ・ 高齢者等の医療費負担軽減施策を参考にすることは必要だが、高齢者には年金があり、障害者も障害年金をもらっていたり障害者雇用の枠があったりと患者自身に収入がある等、難病の患者さんとは異なる点に留意が必要

である。

- ・ 医療費助成の対象となる医療の範囲を明確にする必要があるのではないか。

## ② その他の患者負担の仕組みについて

- ・ 自己負担限度額について、患者本人が生計中心者である場合に特別の取扱いとなる他の制度は存在しない。自治体の事務負担の面から他の制度と横並びの取扱いとしてほしい。
- ・ 生計中心者の取扱いはやめ、世帯でみるということにして、配慮すべき点については追って議論することとしてはどうか。
- ・ 高齢者、障害者とは異なる難病の特性に配慮した、公平かつ持続可能な制度とすべき。
- ・ 将来の持続可能性、公平性という2つの点が重要。

## (3) 国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

### 【1. 難病に関する普及啓発について】

- ・ 当事者性のある普及啓発を行ってほしい。
- ・ HPを一般向けにもう少しわかりやすくしてほしい。

### 【2. 難病患者の社会参加のための支援について】

- ・ 難病相談・支援センターと保健所等による難病患者の支援体制について、どの地域でも同水準のサービスが提供できるような体制を整備してほしい。
- ・ 難病患者就職サポーターはハローワークで支援を行うだけでなく、民間の就職支援団体を活用することを検討すべきではないか。
- ・ 専門性の高い人材を継続的に養成する必要があるのではないか。
- ・ 在宅で仕事ができるようにする等、仕事と治療が両立できるような支援が必要。
- ・ 福祉的就労の支援も重要。
- ・ 法定雇用率に難病患者を含めてほしい
- ・ 登録者証は軽症者全員に交付し、登録者証を持つ者に対して、就労支援や相談支援、研究のデータ登録ができるようにしてほしい。
- ・ 自治体としては、事務負担が非常に重くなるので、登録者証を軽症者全員に交付するのは問題がある。

# 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

## 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会委員名簿

氏名	所属・役職
五十嵐 隆	(独)国立成育医療研究センター総長
伊藤 たてお	日本難病・疾病団体協議会代表理事
大澤 真木子	東京女子医科大学名誉教授
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
駒村 康平	慶應義塾大学経済学部教授
千葉 勉	京都大学大学院医学研究科消化器内科学講座教授
春名 由一郎	(独)高齢・障害・求職者雇用支援機構障害者職業総合センター主任研究員
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名誉院長
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	(公社)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

◎は委員長    ○は副委員長

# 厚生科学審議会 疾病対策部会 第33回難病対策委員会 配置図

日時：平成25年10月18日(金) 10:00~12:00

場所：航空会館 大ホール(7階)

速記

益子委員

本間委員

本田(麻)委員

本田(彰)委員

春名委員

西嶋疾病対策課長補佐 ▲

小澤疾病対策課長補佐 ▲

田原疾病対策課長 ▲

佐藤健康局長 ▲

高島大臣官房審議官 ▲

伊原総務課長 ▲

泉健康対策推進官 ▲

桑島母子保健課長 ▲

▲ 千葉委員

▲ 金澤委員長

▲ 福永副委員長

▲ 駒村委員

五十嵐委員

伊藤委員

大澤委員

葛原委員

小池委員

事務局

傍聴席

受付

# 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。

2

## 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。

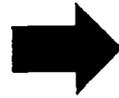
- 難病患者への新たな医療費助成の患者負担については、医療保険制度における高齢者の負担の在り方を参考に、難病の特性を考慮して、所得に応じて負担限度額等を設定する。  
ただし、既認定者の取扱いについては、これまでの給付水準を考慮し、別途の対応を考えることとする。
- 所得については、対象者が拡大されること、生計中心者の判断が困難になっていること等を踏まえて、医療保険と同様に世帯単位で把握することとする。
- 医療費助成の対象は、症状の程度が重症度分類等で一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障がある者とする。  
ただし、症状の程度が上記に該当しない軽症の場合であっても、高額な医療を受けている者については、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。

3

## 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)		原則(新規認定者)		
自己負担割合: 3割		自己負担割合: 2割		
階層区分	外来+入院	階層区分	外来+入院	
生活保護	-	I	生活保護	0円
低所得 市町村民税非課税	35,400円 [多数該当24,600円]	II	市町村民税非課税	8,000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]	III	年収の目安 ~約370万	12,000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]	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~)

4

## 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。

5

## 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	・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	・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	・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	・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	・医療保険加入者	・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	・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	・疾病又は負傷に対する医療(保険適用となっている医療)	・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	○ 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	○ 高額療養費制度の特徴 ・ 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。	○ 対象となる治療の例 ・ 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ぬ者の場合)」の対象範囲の例) ・ 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

6

## 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		収入の目安	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	158万円以下	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。

7

特定疾患医療受給者証の所持者数(所得区分別患者数)

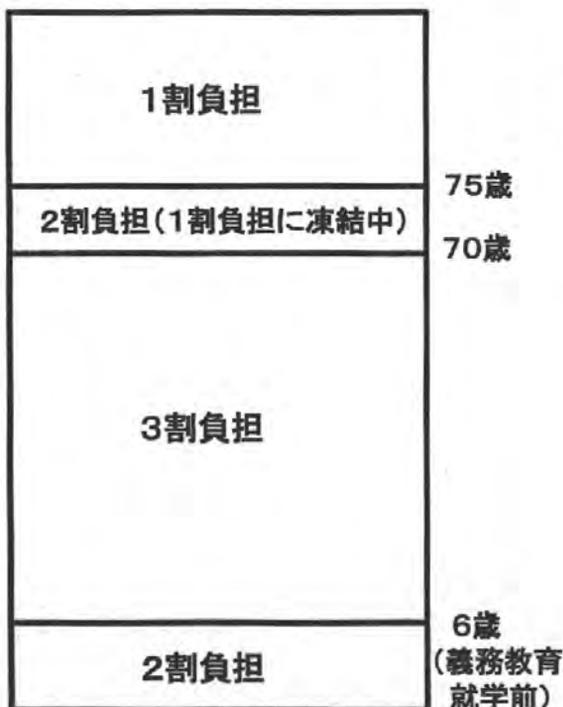
階層区分		構成人数	構成割合
A	生計中心者の市町村民税が非課税の場合	186,421人	23.8%
B	生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	115,504人	14.7%
C	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,000円以下の場合	19,236人	2.5%
D	生計中心者の前年の所得課税年額が5,001円以上15,000円以下の場合	36,399人	4.6%
E	生計中心者の前年の所得課税年額が15,001円以上40,000円以下の場合	88,076人	11.2%
F	生計中心者の前年の所得税課税年額が40,001円以上70,000円以下の場合	75,059人	9.6%
G	生計中心者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

8

医療保険における患者負担

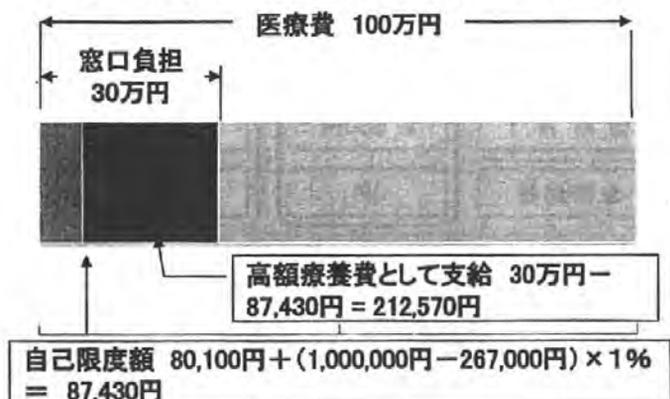
【医療費の患者負担割合】



○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。

9

## 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) がいない場合 (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。

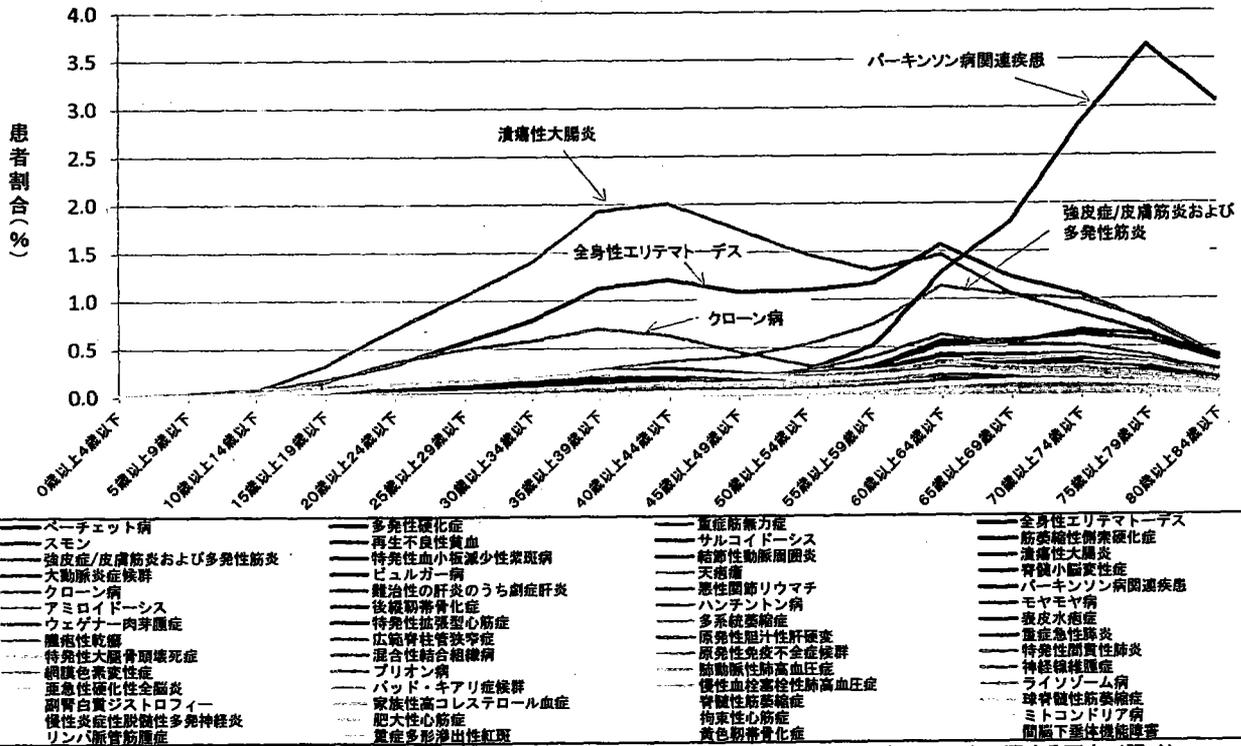
所得区分	更生医療・ 精神通院医療	育成医療	重度かつ継続	
一定所得以上	対象外	対象外	20,000円	市町村民税235,000円以上
中間所得	医療保険の高額療養費 ※精神通院の 殆どは重度 かつ継続	10,000円	10,000円	市町村民税 33,000円以上 235,000円未満
		5,000円	5,000円	市町村民税 235,000円未満 市町村民税 33,000円未満
低所得2	5,000円	5,000円	5,000円	市町村民税非課税 (本人収入が800,001円以上)
低所得1	2,500円	2,500円	2,500円	市町村民税非課税 (本人収入が800,000円以下)
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。



(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。

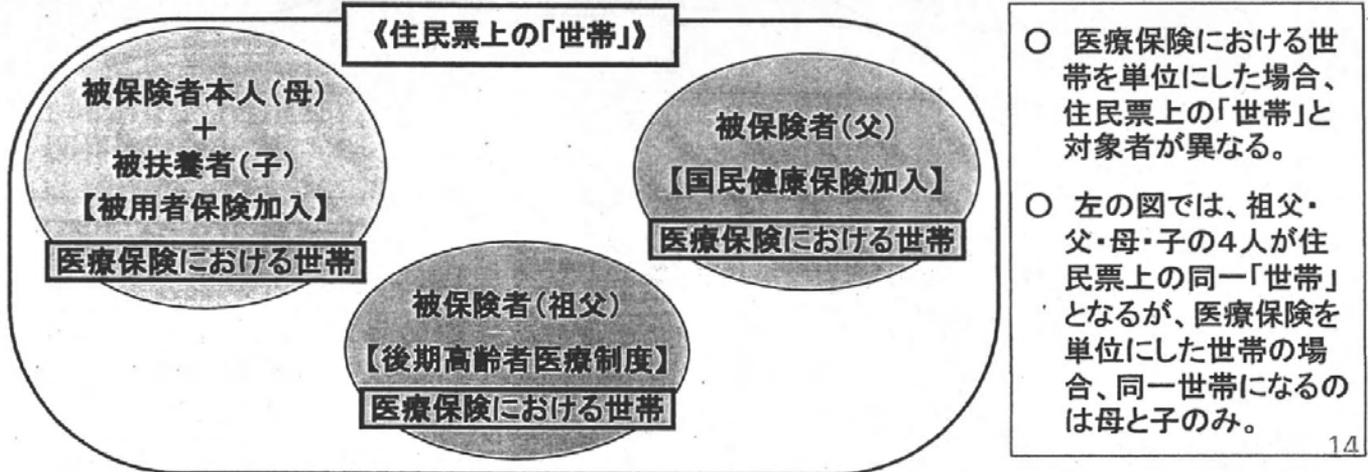
## 医療保険における世帯の取扱い

### ○ 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。



## 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。

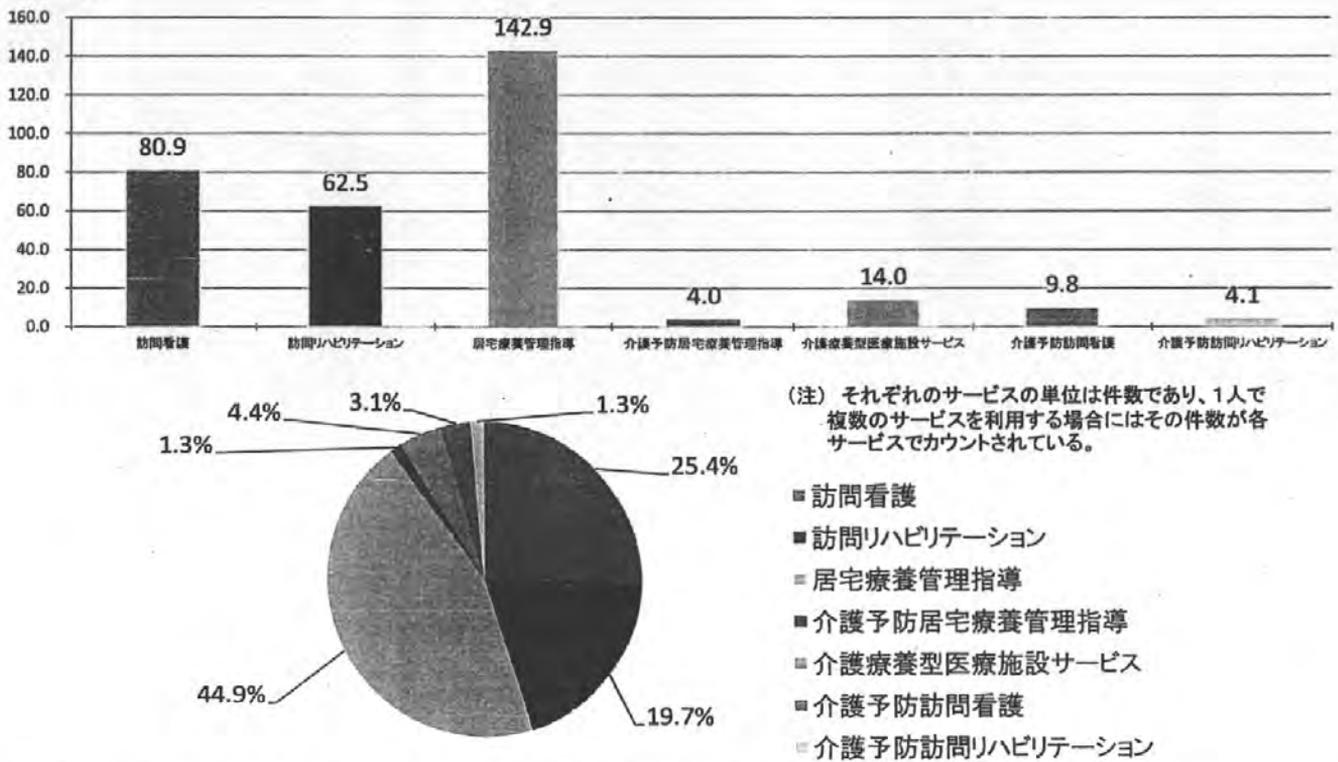
【介護保険法の規定による医療系サービス】  
(現行の難病の医療費助成対象となっているものの例)

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)

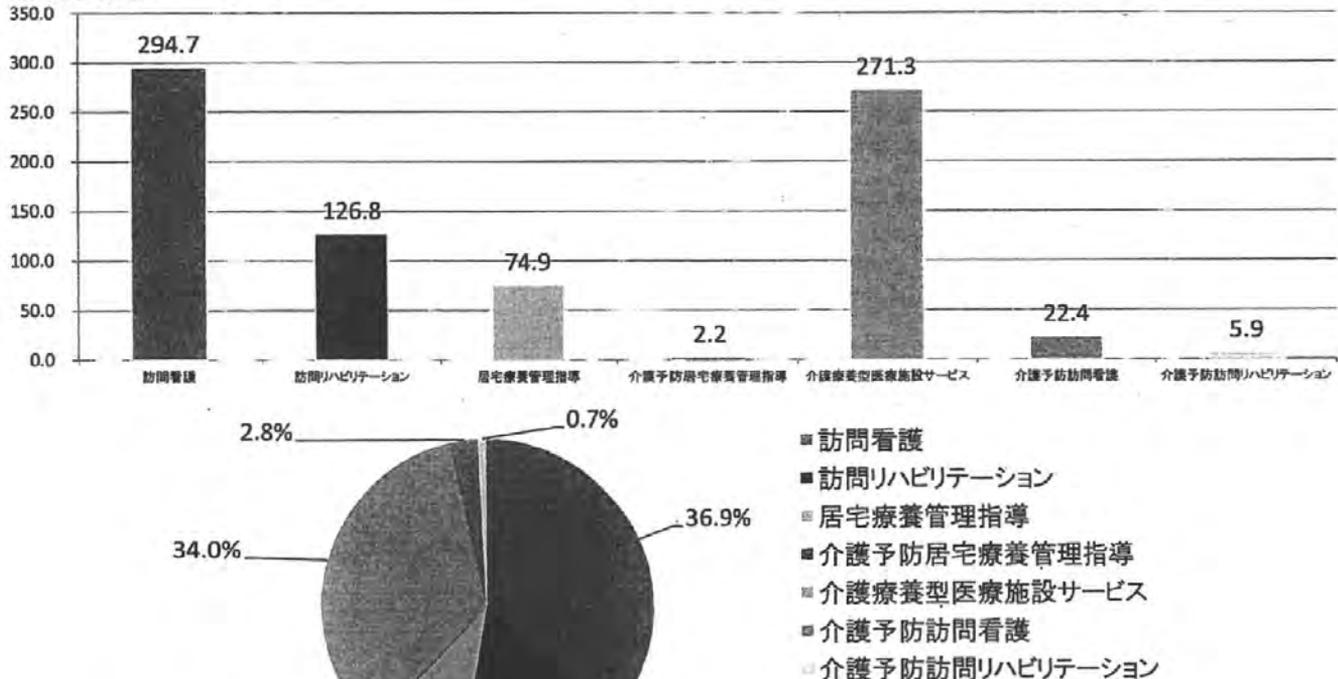


※件数は平成24年度実績より(37府県分)、受給者数は平成23年度実績より

16

## 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%)

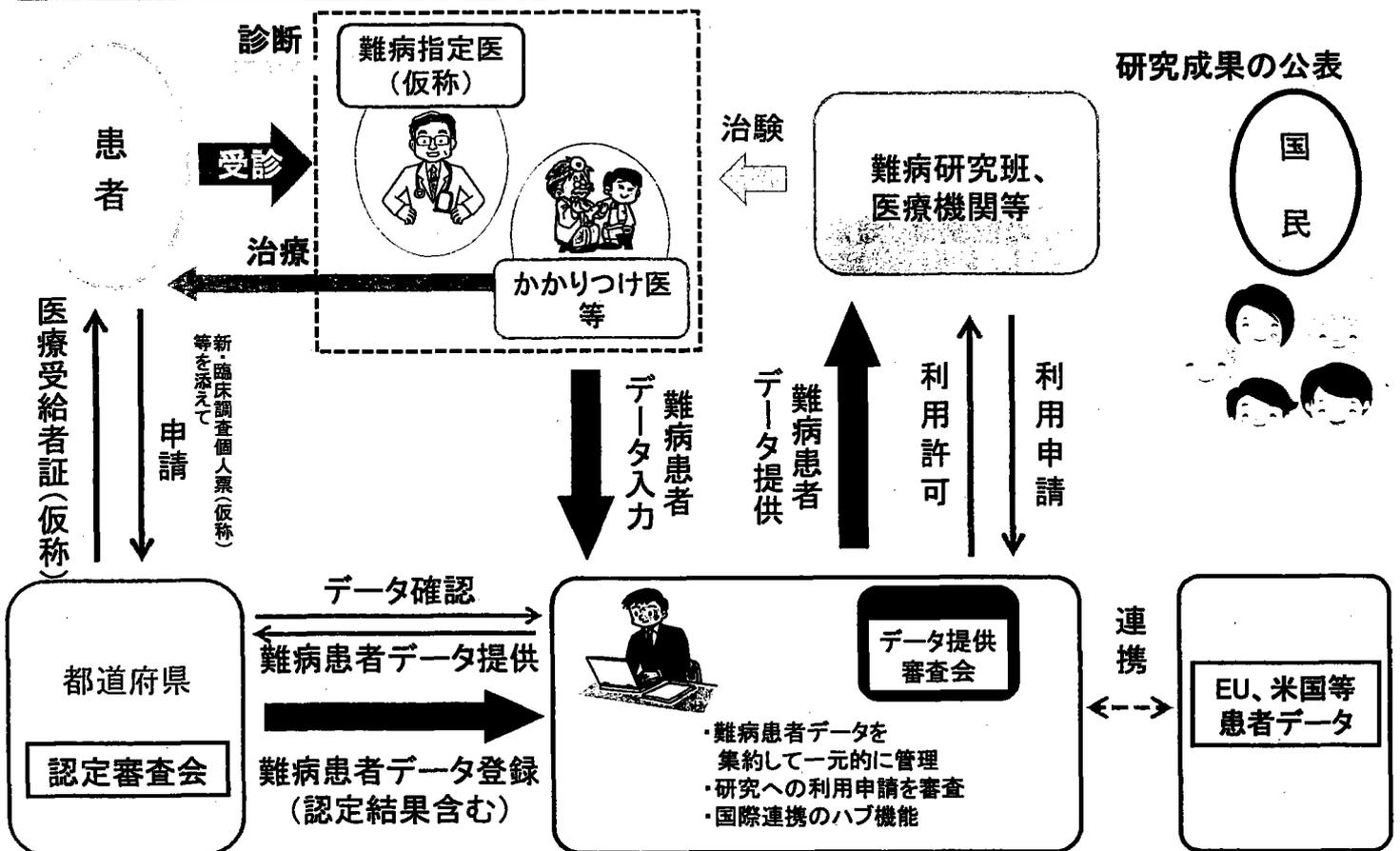
※平成24年度実績より(37府県分)

17

# 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。

3

### <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。

4

## ＜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っていない患者のうち、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。

5

## ② 医療の質の向上及び医療体制の整備について

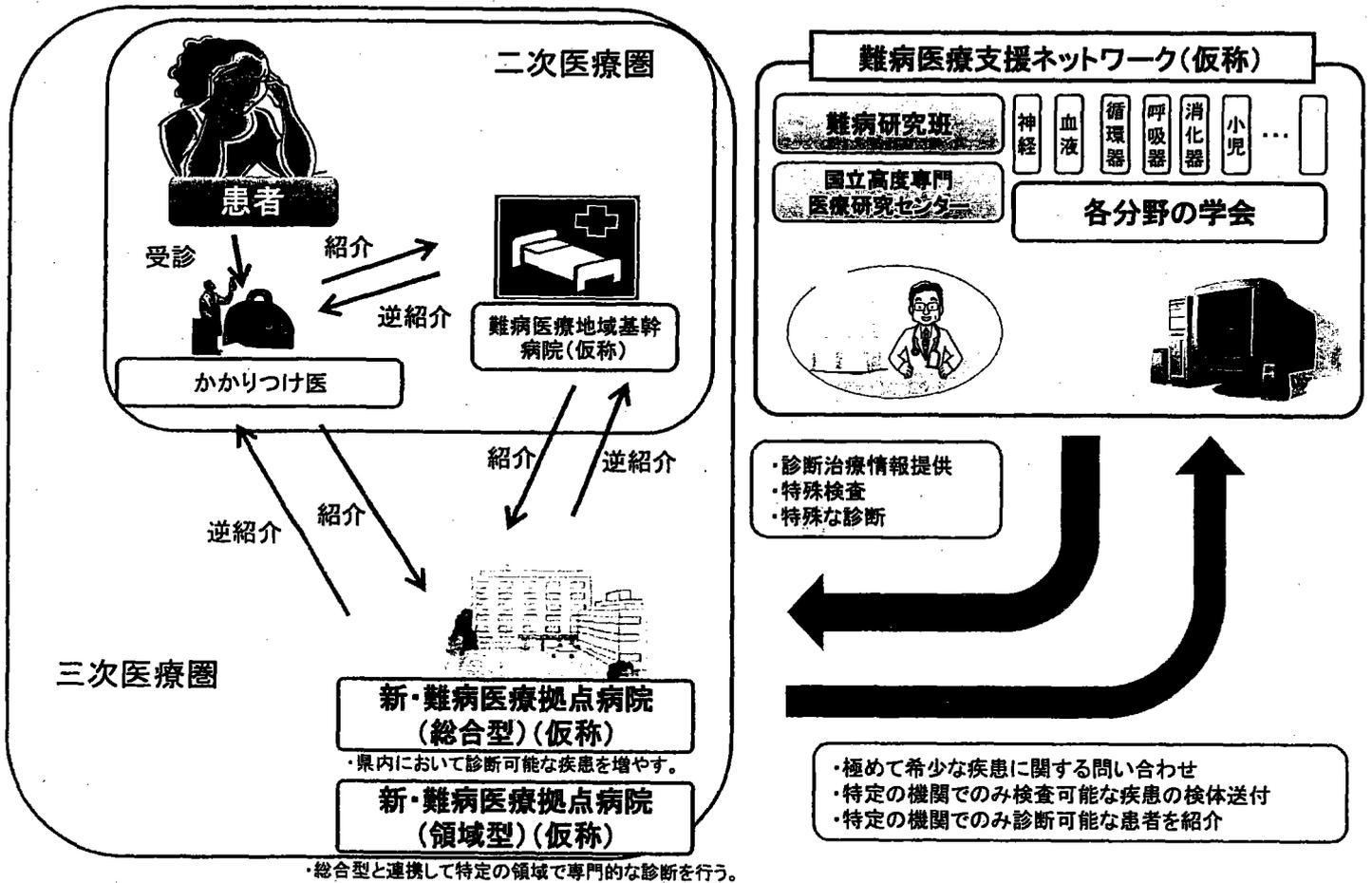
### ＜論点＞

### ○ 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。

6

## 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)



7

## 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。

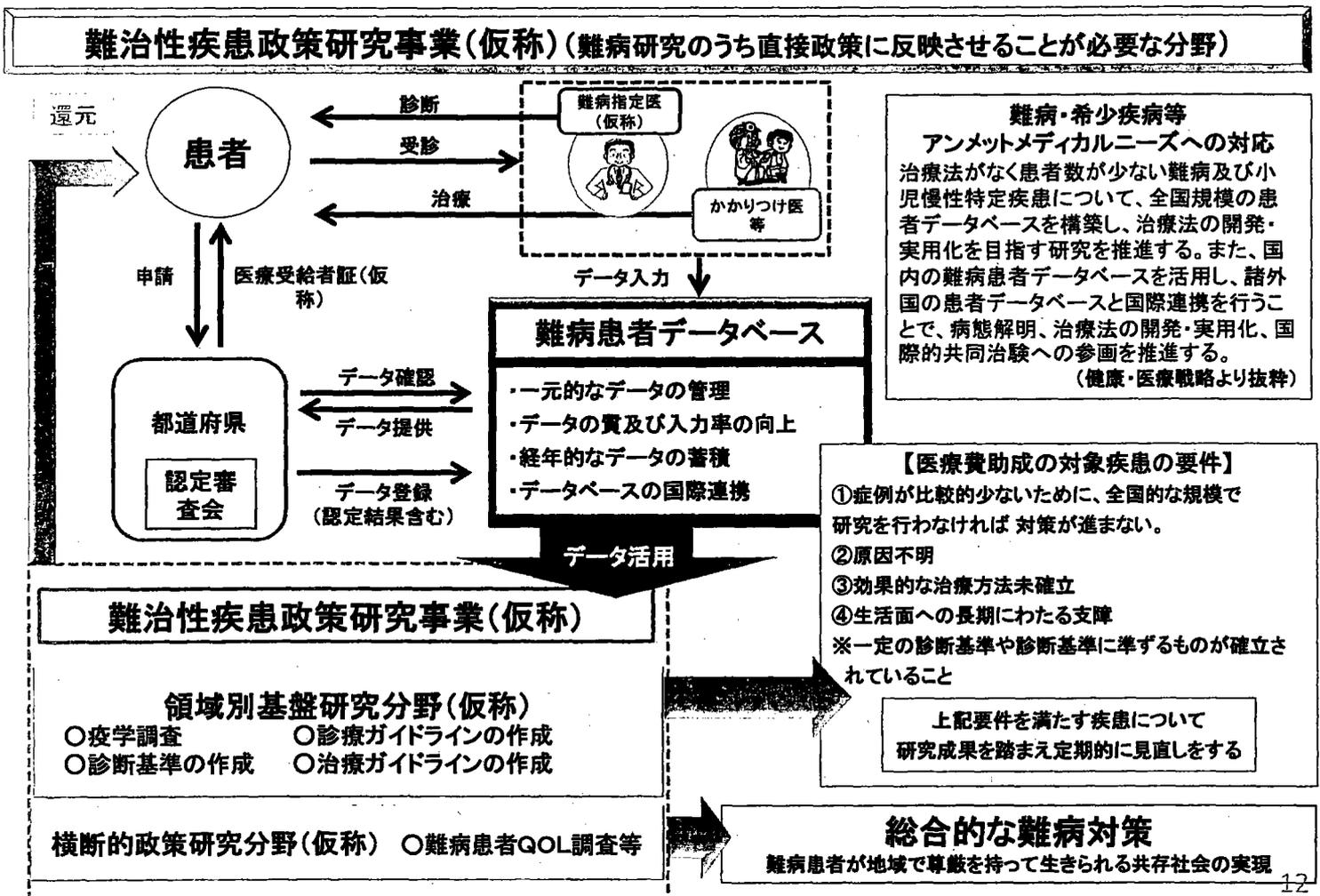
## <論点>

- 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。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。
- 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。

11



12

# 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



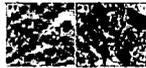
連携

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。

【学会、患者団体、個人等】  
未承認薬・適応外薬に係る要望

重篤な疾患で他に治療法がない等医療上の必要性の高い未承認・適応外薬

\* 欧米等6カ国で承認・標準療法で使用

・第Ⅰ回要望は374件

平成21年6~8月

・第Ⅱ回要望は290件

平成23年8~9月

【厚生労働省】

医療上の必要性の高い  
未承認薬・適応外薬  
検討会議

医療上の必要性を評価

第Ⅰ回要望のうち  
開発要請は165件  
開発企業公募は20件

第Ⅱ回要望のうち(作業継続中)

開発要請は83件  
開発企業公募は17件

【製薬企業】

要請後、1年以内に治験開始  
又は半年以内に公知申請※  
※治験等を実施せず、海外データ等のエビデンスに基づき申請

第Ⅰ回要望のうち124品目承認

第Ⅱ回要望のうち25品目承認

(平成25年9月17日現在)

【難病関係での開発要請例】

ミグルスタット(Niemann-Pick病 G型) →承認済み  
トレプロステニル(肺高血圧症)  
アザチオプリン(ステロイド抵抗性全身性SLE) →承認済み  
人免疫グロブリン(原発性免疫不全症候群) →承認済み等

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。