

第 19 回指定難病検討委員会及び第 48 回難病対策委員会における主なご意見

1. 研究班が存在しないような疾病について、どのように申出を受け付けることが現実的に可能か。

申出を行う者の範囲をどう考えるか？

- 本人だけでなく、家族や患者会等からの申出を含めてもよいのではないか。
- 日本において対象となる成人患者が現時点で確認されていない疾病については指定難病の検討の対象外であるので、患者本人とは直接関係のない第三者に関する申出（例えば、オーファネットに掲載されてはいるが、日本人の患者が存在するかどうか不明な疾病に関する申出等）は対象外とすべきではないか。

申出を受け付ける施設をどう考えるか？

- 専門性のある医療機関等で受け付ける必要があり、施設の候補として、都道府県難病診療連携拠点病院がよいのではないか。

2. 本委員会における検討に必要なとなる客観的な情報をどのように収集するか。

誰が情報を整理するか？

- 患者本人が作成することは事実上不可能ではないか。
- 申出を受けた施設の主治医は、当該疾病に精通した医師であるとは限らず、また、単独で資料を作成するとなると、客観性を担保することが難しいのではないか。
- そのため、複数の専門家による検討が望ましく、研究班による情報の整理が必要ではないか。
- 新規に研究班を立ち上げるよりも、類縁疾病を研究する既存の研究班で情報を整理することが効率的ではないか。
- 申出を受け付ける施設の医師と、情報を整理する研究班とをつなぐ方法を検討する必要があるのではないか。
- 申出された疾病がどのように対応されたのか、進捗を把握できるようにすべきではないか。