

指定難病の普及・啓発に向けた統合研究班 分担研究

# 指定難病制度の公平性に関する研究

～研究結果概要報告～

研究分担者 井田 博幸 東京慈恵会医科大学医学部  
2019年8月29日 第1回難病・小児慢性特定疾病研究・医療ワーキンググループ

# 指定難病制度の公平性に関する研究

## 【研究概要】

法制定時の趣旨を踏まえ、これまで個別に設定されてきた重症度分類（医療費助成基準）について、疾病間の公平性がより担保された基準とすることが可能かどうか検討を行った。具体的には、現行の全指定難病331疾病について、疾病横断的な基準により、各疾病の症状の程度を測ることが可能かどうかを検討した。

検討に当たっては、各指定難病研究班及び関連学会からも意見を得た。

## 【研究目的】

指定難病における医療費助成の基準について疾患単位ではなく疾病横断的に俯瞰することで、安定的かつ公平性を担保した難病施策を継続するための基礎資料となりうるデータを収集すること。特に重症度分類の公平化を検討すること

## 【研究テーマ】

1. 全疾患に関し、modified Rankin ScaleやBerthel Index等の同一の基準を一律に導入することができるかどうかの検討
2. 疾患群ごとに共通の基準を導入することができるかどうかの検討

## 【研究テーマ1】

全疾患に関し、modified Rankin ScaleやBerthel Index等の同一の基準を一律に導入することができるかどうかの検討

### （方法）

日常生活の支障を測る基準として、既存の指定難病（主に神経疾患や形成外科疾患）の重症度の基準としても用いられているmodified Rankin ScaleやBerthel Indexを同一の基準として、全疾患に一律に導入することができるかどうかの検討をおこなった。

### （結果）

全疾患に同一の基準を一律導入することについては、指定難病はそれぞれが千差万別であり、それに伴う症状も多種多様であるため、全疾患を一律の基準で測ることは適切ではないとの結論に至った。

## 【研究テーマ2】

### 疾患群ごとに共通の基準を導入することができるかどうかの検討

(方法)

#### ①全指定難病の適切な疾患群への分類、整理

全指定難病をどの疾患群に分類することが適切かについて議論し、重症度分類を検討する際の疾患群の整理を行った。

神経・筋 疾患 (82疾病)	代謝疾患 (43疾病)	循環器疾患 (27疾病)	免疫疾患 (27疾病)	内分泌 疾患 (23疾病)
先天異常・ 遺伝子疾患 (26疾病)	腎・泌尿器 疾患 (14疾病)	耳鼻科疾患 (10疾病)	消化器 疾患 (20疾病)	血液疾患 (14疾病)
眼科疾患 (6疾病)	形成外科 疾患 (4疾病)	皮膚・結合織 疾患 (14疾病)	骨・関節 疾患 (12疾病)	呼吸器 疾患 (9疾病)

(※) 第63回 厚生科学審議会疾病対策課難病対策委員会及び小児慢性特定疾病児童の…

## ②重症度の考え方の整理

疾患群の重症度分類を考える際の基本原則として以下の考え方を整理した。

- a.できるだけ統一された基準を疾患群ごとに導入すること
- b.予後等は考慮せずに現時点の状態で判断すること
- c.疾患群ごとに統一した基準に適応できない疾患については、その理由が適切であること

## ③各疾患群の重症度分類の整理と公平化の試み

②で整理した考え方にに基づき、331疾病(※)について難治性疾患政策研究事業の研究班や関連学会と連携し、重症度分類について次ページの通り整理をおこなった。

(※)平成31年3月時点の指定難病数

# 疾患群ごとに共通の基準を導入することができるかどうかの検討（概要）

○：共通の基準の考え方

※指定研究班より各政策研究代表者へ検討を依頼し、その結果を踏まえて整理

## 神経筋疾患（82疾患）

- 「BI/mRS」「食事摂取」「呼吸状態」「てんかん」「知能障害」の5つの基準が適応可能と考えられる。
- 例として82疾患のうち、約20疾患はmRSが適応可能と考えられるが、mRSやBIの適応がどうしても困難な疾患もある。

## 内分泌疾患（23疾患）

- sf36やEQ-5DのようなQOLを測る指標を導入できる可能性がある。mRSやBIといった日常生活動作を測る指標を導入できる可能性がある疾病も多い。
- 他方、疾患群の考え方として治療による改善を重症度分類に加味する必要があると考えられる。

## 腎疾患（14疾患）

- 現状で、ほぼ全ての疾患に「CKD分類」が導入されている。一方で多くの疾患は腎以外の要素もあるため、CKD以外の基準も必要となる。

## 先天異常・遺伝子疾患（26疾患）

- 多くの疾患は、従来からの「臓器別の重症度分類の組み合わせ（※）」で対応可能である。※ NYHA分類、CKD分類など

## 皮膚結合組織疾患（14疾患）

- 疾患によって呈する症状が異なるため、統一化は簡単ではない。
- 病変が多臓器にわたる疾患は、各臓器の基準が必要となる可能性がある。

## 免疫疾患（27疾患）

- 血管炎疾患は「mRS」や「BI」だけを統一の重症度分類にするのは適切ではない。腎機能障害、視力、聴力など他の指定難病の重症度分類に、用いられている基準を血管炎に用いることは可能かもしれない。
- 膠原病は現行の重症度基準又は疾患特異的な重症度分類で評価することが適切と考えられる。

## 眼科疾患（6疾患）

- 全体的に「健眼の矯正視力が0.3未満を対象」とすることで統一が可能である。（視野の要素が必要な疾患もある）。また障害者の助成基準との整合性が必要。

## 耳鼻咽喉科疾患（10疾患）

- 基本的には聴力による重症度分類を適応できる。聴力については他疾患群の聴力の重症度分類と一致させる必要がある。
- 加えて「mRS」を適応し、さらに個別の分類を適応させることで多くは対応可能と考えられる。

## 血液疾患（14疾患）

- ヘモグロビン、白血球、血小板など、すでに数値で重症度を区分できるもの適応しているが、困難な疾患もある。
- 数値で区分できない疾患については、疾患特有の重症度分類を追加することがよいと考えられる。

## 呼吸器疾患（9疾患）

- 全体的に「息切れスケールmMRCと動脈血液ガスの2項目」を用いることで、統一化はある程度可能と考えられる。
- 一方で、個々の疾患特有の症状もあるため、疾患特異的な重症度分類の追加は必要。

## 循環器疾患（27疾患）

- 基本的に多くの疾患が「NYHA分類」で対応可能である。
- 心筋症や血管病変が主体の疾患等についてはNYHA分類だけでなく別の基準が必要。

## 消化器疾患（20疾患）

- 「child-pugh分類」（肝臓疾患）、「栄養」の基準等を多くの疾患で適応できる可能性がある。
- 一方で、個々の疾患特有の症状もあるため、疾患特異的な重症度分類の追加は必要と考えられる。

## 骨・関節疾患（12疾患）

- 全体として「mRS」を基本としうが、個別の基準が必要な疾患もある。

## 形成外科疾患（4疾患）

- 既に全て「mRS」が使用されており、それに呼吸、食事等を併用している。

## 代謝性疾患（43疾患）

- 疾患群の特性から予後の要素を入れて悪化しないための医療費を助成できるような重症度分類を設けるべき、との意見が強い。

## まとめ

- 指定難病は、症状が多臓器にわたる疾患が多いため、一律に重症度分類を設けることには困難を伴うが、それでも各疾患への助成の公平性を維持することは重要であり、重症度分類、あるいは医療費助成の「公平性を担保した基準」を設けることは必要である。
- 本検討により、各疾患群に個別の重症度分類が適応できる可能性が示された。
- また今後、他の社会保障給付制度との公平性、整合性も考慮すべきとの意見が出され、重要な問題であるとの認識で一致した。

※ そのほかの議論として、重症度分類の策定方針の変更、助成基準の変更を行えば、現場の混乱を招くおそれがあるため、慎重に検討すべきであるとの意見が多く出された。

このため、仮に基準の変更を行う場合には、まず各政策研究班の研究代表者全員に対し、変更する趣旨について説明をする場を設ける等の対応をとる必要があると考える。