

## 今後検討すべき論点

※これまでいただいた御意見を踏まえ事務局にて整理

### 1. 全体について

- 今回の見直しに当たっては、社会保障制度改革国民会議や関係審議会における制度設計時の理念、難病法及び児童福祉法改正法の成立時に国会で決議された附帯決議の内容を踏まえ、これらに沿った形で実態があるかどうか確認しつつ、必要な見直しの検討を行うこととしてはどうか。
- 難病は多種多様であり、疾病の種類や病状の変化等に応じて、患者が必要とする支援ニーズも異なり変化していくことから、そうした難病患者や小児慢性特定疾患児童等の抱える多様なニーズに対応していくために、どのような支援や仕組みが必要か、検討することとしてはどうか。
- 難病法の基本理念に則り、難病患者の社会参加を支援し、難病を抱えながらも地域で尊厳を持って生きられる共生社会を実現するために、どのような支援や仕組みが必要か、検討することとしてはどうか。また、その検討に当たっては、難病の特性に応じて、福祉支援、就労支援、地域包括ケアシステムなど他の関連施策との有機的な連携を図り、総合的に推進していくことが必要ではないか。

### 2. 医療費助成制度について

#### (見直しの考え方・方向性について)

- 現行の医療費助成制度は、社会保障と税の一体改革の議論や難病対策委員会等の議論を踏まえ、消費税を財源とする法定化された社会保障給付制度と位置づけられ、患者データの収集による治療研究の推進や患者の経済的負担の軽減を目的とした公平かつ安定的な制度として構築されたものである。  
今回の見直しに当たっても、難病法制定時に整理されたこの考え方に則り、広く国民の理解が得られる公平かつ安定的な制度であるために、どのような見直しが必要かについて、検討することとしてはどうか。

#### (対象疾病について)

- 指定難病に指定されていない疾病については、研究が進んでおらず、当該疾病の患者は不安な日々を送っていることから、そうした患者に支援が行き届くよう、すべての難病を指定難病の対象とすることを検討することとしてはどうか。

- 医療費助成の対象疾病については、制度の公平性や安定性を確保するため、引き続き、難病法制定時に整理された指定難病の各要件を満たす疾病として医学的見地から判断されたものとすべきではないか。また、仮に対象疾病の要件を見直す場合には、難病法制定時の議論も踏まえ他制度との公平性や財政的な影響を考慮する必要があることから、現行の指定難病以外の難病患者の人数や抱えている困難の程度、新たに生じる財政的な影響の程度などについて、客観的なデータ等に基づいて議論すべきではないか。
- 指定難病検討委員会において今後実施される指定難病の指定後の研究の進捗状況のフォローを通じて、将来的には、調査研究及び医療技術の進展による治療方法の進歩に伴い、指定難病とは言い難いような状況の変化が生じていると判断される疾病が出てくることが想定されることを踏まえ、当該疾病の取扱いの方向性について、検討を行うこととしてはどうか。
- 難病医療費助成制度は、難病以外の他の疾病と比較して、医療費に係る患者負担の軽減が図られていることを踏まえると、附帯決議も踏まえつつ、指定難病の見直しを行う場合の手続について、検討を行うこととしてはどうか。
- 指定難病の指定の見直しに当たっては、患者が抱える生活上の困難も考慮し、医療費助成の対象外となることで受診抑制が起こるなど、治療や療養生活に影響が出ることはないよう、考慮することが必要ではないか。
- 小児から成人への切れ目のない支援を実現するため、20歳を超えて医療費助成の対象から外れた小児慢性特定疾病の患者に対し、どのような支援が必要か、検討することとしてはどうか。

#### (対象患者の認定基準について)

- 難病法制定時に、「医療費助成の対象患者は、広く国民の理解を得る観点から、対象患者に罹患している患者であって、日常生活又は社会生活に支障がある者とする」という考え方に基づいて重症度基準が導入された経緯も踏まえ、現行の重症度基準について、他制度との均衡や疾病間の公平性の観点から、検討を行うこととしてはどうか。
- 重症度基準について、同一の疾患群に属する疾病であっても、当該疾患群内で共通で用いられている基準を採用している疾病と疾患特異的基準を採用している疾病があることから、疾患群内で共通で用いられている基準を使用する際の基準を明確にすることとしてはどうか。

- 疾病によっては、現行の重症度基準では疾病特異的な症状を十分に考慮できていないものもあることから、患者の抱える症状や生活状況の困難度を適切に評価できるよう、基準の見直しが必要ではないか。
- 服薬の効果により軽症な状態を維持している患者も多いことから、医療費助成の対象外となることで受診を抑制し重症化することのないよう、現行の重症度分類による選別をやめ、継続して治療が必要なすべての患者を医療費助成の対象とすることが必要ではないか。
- 重症度基準を満たさない軽症者であっても、医療費が一定以上の場合は、医療費助成の対象となる仕組み（軽症高額該当）があることから、こうした仕組みも含めて、現行の対象患者の認定基準全体を評価することが必要ではないか。
- 重症度基準を満たさず、また、軽症高額にも該当しないために医療費助成の支給認定が不認定となった患者（軽症者）について、その実態やニーズを踏まえ、どのような支援が必要か、検討を行うこととしてはどうか。

#### （患者の自己負担について）

- 現行の自己負担水準が他の類似制度との均衡を考慮して設定されていることを踏まえると、難病患者の就労の改善状況や小児慢性特定疾病児童等の保護者の就労状況、世帯全体における医療費の負担状況など、患者の置かれている状況について、客観的データ等を踏まえて議論すべきではないか。
- 医療費負担の更なる軽減を検討することとしてはどうか。特に、低所得世帯に対する自己負担の軽減や長期に渡る入院の際の食費負担の軽減が必要ではないか。また、遠方の専門医にかかる際に生じる交通費や家族の宿泊費など医療費以外の負担の軽減についても、検討が必要ではないか。

#### （患者の利便性の向上・自治体の事務負担の軽減について）

- 申請者である難病患者・小慢患者の利便性の向上、指定医及び都道府県の事務負担の軽減を図るとともに、臨床データの効率的な収集を図るため、医療費助成申請・データ登録のオンライン化を検討することとしてはどうか。
- 重症度基準を満たさないために医療費助成の支給認定が不認定となった患者（軽症者）を対象として、指定難病にかかっていることの証明となる「軽症者登録証（仮称）」を発行し、福祉サービスや就労支援が受けられることや、軽症高額制度や高額長期制度について明記するとともに、登録者に対し保健所や難病相談支援センターからの支援が届くよう、検討することとしてはどうか。

- 軽症者が急激に症状が悪化し入院が必要となる場合など重症化後直ちに医療費助成の申請手続を行うことが困難な場合があることから、軽症者が重症化して医療費助成の支給認定を受けた場合には、重症と診断を受けた日に遡って医療費助成が受けられるよう、検討することとしてはどうか。
- 難病患者の負担軽減を図る観点から、臨床調査個人票及び医療意見書に係る文書料の無償化あるいは軽減を図ることを検討してはどうか。
- 提出書類の省略等の医療費助成の申請手続の簡素化について、検討することとしてはどうか。
- 各自治体における支給認定事務の実態を把握しつつ、支給認定審査マニュアル等の整備や、保険者照会の簡略化、指定医が指定難病データベースに難病患者データを直接登録できる仕組みの整備などにより、自治体の事務負担の軽減を検討することとしてはどうか。
- 医療費助成の支給認定の審査会の運営状況について、地域差が生じていないか調査を行い、適切に実施されているか検証することとしてはどうか。また、審査会における疑義・意見などを受け付ける体制の整備について、検討することとしてはどうか。
- 小児慢性特定疾病児童等については、年齢によって利用する制度や自己負担額が変わっていくことから、小児慢性特定疾病児童等及びその保護者がどの制度を利用し、どのような困難を抱えているか、調査を行い、どのような支援が必要か、検討することとしてはどうか。
- 難病法制定時の附則に基づき、施行の状況を勘案しつつ、医療費助成の支給認定事務の実施主体の在り方について、検討することとしてはどうか。

### 3. 医療提供体制について

#### (難病医療提供体制について)

- 難病患者がどこに暮らしていても、疾病の特性に応じて早期の診断が付き、適切な治療が受けられるようにするとともに、重症患者の入院施設の確保を図る観点から、診療分野別拠点病院の整備の促進など、分野別の医療提供体制の整備が必要ではないか。

- 住み慣れた地域で安心して療養生活を送ることができる体制の充実を図るため、在宅医療を支える専門医とかかりつけ医の連携強化、レスパイト入院や看護・介助を行う専門スタッフの充実、コミュニケーション支援など、医療提供体制の整備と福祉制度の連携について、検討することとしてはどうか。

#### （遺伝子診断体制について）

- 未診断疾患イニシアチブ（IRUD）については、希少・未診断患者の早期診断に大幅に寄与している実績がある一方で、研究の一環として行われているため、持続可能性の観点からは課題があることから、がん対策におけるゲノム医療提供体制も踏まえ、将来的には研究と医療（臨床応用）を統合し、医療の中で提供できる体制を整備していくことが必要ではないか。

#### （移行期医療支援体制について）

- 小児医療から成人期医療への移行期支援体制の支援を進めるために、移行期医療支援センターの早期設置や人員配置、大学病院への支援体制の整備や、子ども病院と大学病院との連携システムを整備することについて、検討することとしてはどうか。

### 4. 調査及び研究について

#### （研究事業について）

- 難治性疾患政策研究事業と難治性疾患実用化研究事業について、現行の各事業の役割分担が適切かどうかについて、各事業における研究の実施状況や連携状況も踏まえつつ、検証することとしてはどうか。
- 難病研究においては病態解明が重要であることから、すべての指定難病について病態解明に資する研究が進むよう、現在の難治性疾患実用化研究事業の研究採択の仕組みや実状、難治性疾患政策研究事業との連携の在り方も考慮しつつ、どのような対応が可能か、検討することとしてはどうか。
- 各研究班における研究の成果について、患者目線に立った分かりやすい公表・情報提供の在り方を検討することとしてはどうか。

#### （データベースについて）

- 難病医療費助成制度の特徴は、患者の経済的負担を軽減する福祉的目的のみならず、患者データの効率的な収集による治療研究の推進という目的を併せ持つことであり、それを踏まえると、データベースの整備が重要であり、患者のデータ提供を促進させるための仕組みを検討することとしてはどうか。

- 医療費助成の対象とならない軽症者についても、データの収集により、実態の把握が可能となるよう、軽症者のデータ登録が促進される仕組みについて、検討することとしてはどうか。
- 治療研究に有用なデータの提供が促進されるよう、指定難病・小児慢性特定疾病データベースと他の医療保険分野の公的データベースを連結させる仕組みについて、個人情報にも十分に配慮しつつ、検討することとしてはどうか。
- 難病患者データベースと小児慢性特定疾病児童等データベースの効果的かつ効率的な連結解析が可能となるよう、登録項目の統一化を検討することとしてはどうか。
- 各研究班で保有している患者レジストリ等のデータについて、研究終了後も他の研究等で継続して活用されるよう、データセンターの設置など、保管場所の集約化を検討することとしてはどうか。
- 悉皆性のあるデータベースを構築する観点から、指定難病患者データベースや小児慢性特定疾病児童等データベースのみならず、研究班が保有する患者レジストリ等のデータも含めて、データベースの全体像や役割分担について、検討することとしてはどうか。
- データベースの精度を確保するとともに、自治体や指定医の負担軽減を図る観点から、自治体から紙で送付される臨床調査個人票等の内容をデータ登録センターで入力する現行の仕組みを見直し、指定医が患者データをオンライン上で直接登録できる仕組みの整備について、検討することとしてはどうか。また、オンライン化の仕組みの整備に当たっては、医療情報をオンライン上で扱う際の安全性の確保、登録された情報が指定医により作成されたものであることを担保するための仕組みの構築が必要ではないか。  
併せて、指定医の負担も考慮しつつ、臨床調査個人票の項目の見直しについても、データベースの在り方と一体的に検討することが必要ではないか。
- データベースの治療研究への重要性・有用性について患者の理解を深め、データ登録率を向上させるために、患者からデータ提供の同意を得る際の説明方法等の見直しについて、検討することとしてはどうか。特に、ゲノムに関連する情報など特段の配慮を要する情報の取扱いについては、患者本人や家族にとって重大な問題であることから、患者又はその家族への十分な説明を行った上で、同意を得ることが必要ではないか。

## 5. 療養生活の環境整備について

### (難病相談支援センターについて)

- 難病相談支援センターや地域協議会など、仕組みはあるが必ずしも十分には機能していない現状がある。現場ごとに支援のニーズや体制などの状況がそれぞれ異なることから、現場の状況を把握し、モデルとなるようなケースとそれ以外のケースでどのような違いあるかについて、検討することとしてはどうか。
- より多くの患者に必要な支援が届くよう、難病相談支援センターの周知を徹底するとともに、ピアサポートの充実等により、敷居が低く、患者が利用しやすい施設にするとともに、患者の視点を活かした運営を行っていくことが重要ではないか。
- 難病患者に対するよりきめ細かな支援を行うため、難病相談支援センターの均てん化・底上げを図るとともに、就労支援をはじめとする専門的機能の向上を図るための方策について、検討することとしてはどうか。
- 疾病の種類や病状等により変化していく患者の多様なニーズに対応するために、難病相談支援センターと医療機関や保健所、福祉支援機関、就労支援機関との連携を強化するための方策について、検討することとしてはどうか。また、そのような多機関の連携による支援において、総合的かつ中心的役割を担う人材の配置・育成についても、検討することとしてはどうか。
- 「全国難病センター（仮称）」の設置等により、各地の難病相談支援センターの充実や一層の連携、患者・家族団体活動への支援、難病問題への国民への周知等の充実を図ることが必要ではないか。

### (地域協議会について)

- 難病患者の地域で安心して療養生活を送ることができるよう、地域における難病に関連する課題の解決力を高めるため、どのように地域協議会の活用を促進させていくかについて、検討することとしてはどうか。
- 患者・家族の参加を促進し、難病患者や小児慢性特定疾病児童等の実態やニーズを十分に把握し、当事者の意見が反映され、難病患者の総合的支援として充実するよう、様々な課題に対して、十分な協議を行い、解決に結びつく地域協議会としていくことが重要ではないか。

## 6. 福祉支援について

- 難病患者が利用できる福祉サービスが十分に周知されていない現状を踏まえ、サービスが利用者に届かない実態や要因を把握・分析し、効果的な周知方策について、検討することとしてはどうか。
- 障害者基本法上で難病は「その他の心身の機能の障害」とされており、「難病」と明記されておらず、難病患者が利用できる福祉サービスについて、現場で周知や取組が進まないといった現状がある。患者だけでなく、サービスを提供する行政窓口・支援者側に対しても、対象となる難病患者が福祉サービスを利用できることについて、周知徹底が必要ではないか。
- 難病患者の療養生活を支えるために、他の障害との差別をなくし、就学・進学、雇用・就労、障害年金、介護支援、補助具及び生活支援用具等のすべての障害者施策の対象とすることが必要ではないか。また、疾病名による括りだけではなく、難病や長期慢性疾病による活動制限や参加制約を包含する新たな障害の認定という視点が必要ではないか。

## 7. 就労支援について

- 患者の支援ニーズは、疾病の種類や病状等に応じて異なり変化していくものであり、医療に係る支援だけでなく、就労・生活支援に関するニーズも高いことから、こうしたニーズの実態とそれに対する現在の対応状況等を踏まえ、今後、どのような取組が必要かについて、検討することとしてはどうか。
- 難病患者が仕事と治療を両立させていくためには、医療機関、難病相談支援センター、就労支援機関等の連携による総合的な支援が必要であり、こうした連携を強化するための方策や各機関が担うべき役割や具体的な取組について、検討することとしてはどうか。併せて、難病相談支援センターの職員やハローワークの難病患者就職サポーターの増員など体制の充実についても、検討することとしてはどうか。
- 医療費助成の対象とならない軽症者についても、症状が安定せず就労上の困難を抱えていることを踏まえ、就労支援の対象として把握し支援する仕組みについて、検討することとしてはどうか。



- 難病患者の働く機会を増やし、難病を抱えながらも働くことができることについて企業の認知を広めるため、疾病による就労困難者についても法定雇用率の算定対象にしている諸外国の例なども踏まえつつ、難病患者を法定雇用率の算定対象とすることについて、検討が必要ではないか。また、就労継続のための医師・医療機関の理解と支援、企業側の合理的配慮を進めるとともに、治療をしつつ働き続けるための通院休暇や病気休暇等の制度化が必要ではないか。
- 難病患者の就労支援や社会参加については、個々の患者がどのように地域で生活していくかという問題であることから、地域における議論や取組を活性化させるための方策について、検討することとしてはどうか。

## 8. 小児慢性特定疾病児童等自立支援事業について

- 小慢児童が地域で安心して暮らすことができるよう、地域協議会の活用促進による地域の取組の促進と自立支援事業を活性化させるための具体的な方策について、検討することとしてはどうか。また、支援に当たっては、医療、保健、教育、福祉といった縦割りの仕組みを超えた総合的かつ横断的な自立支援と自己決定力支援が重要ではないか。
- 小児慢性特定疾病児童等自立支援事業の特に任意事業を活性化させていくことが課題である。必須事業である相談事業等を通じて、各自治体においてどのようにニーズを把握し、具体的な事業につなげていくかについて、検討していくこととしてはどうか。
- 現場では、小児慢性特定疾病児童等自立支援事業の制度自体を知らない保護者も多く、制度の周知徹底が必要である。また、医療機関の医師、看護師、MSW等も制度の趣旨・目的を理解しておらず、どこに患者を紹介したらよいか関わり方が分からない場合も多い。そのため、こうした支援者が制度や仕組みを理解するための取組や、支援者が患者等を自立支援事業に結び付けていくルートや連携の仕組みについて、検討することとしてはどうか。
- 個別の支援の内容としては、特に、医療的ケアの必要な児童への支援、通常学級に在籍する児童への支援、包括的な家族支援、移行期支援が必要ではないか。
- 就学・学習支援は地域における取組が重要であるが、現状では自治体の取組にばらつきがみられることから、均てん化を図るとともに、必要な財政支援についても検討が必要ではないか。

- 自立支援員について、各自治体の配置状況や担当業務、成果等を踏まえ、どのような支援が必要であるかについて、検討するとともに、自立支援員を未配置の自治体に対しては、国からも配置を要請することとしてはどうか。
- 自立支援事業や他の関連支援事業におけるNPOや民間企業の活用事例なども踏まえ、民間企業の活用による自立支援事業の促進について、検討することとしてはどうか。
- 地域によっては自立支援事業（特に任意事業）の取組状況に差があり、同じ都道府県内でも都道府県・指定都市・中核市等で取組にばらつきがあることから、患者がどこに住んでいても必要なサービスを受けられるよう、自治体間の連携を促進すべきではないか。
- 障害児や医療的ケア児の施策との連携を図り、小児慢性特定疾病児童等やその保護者が利用しやすいサービスの提供方法を検討することとしてはどうか。また、現場では、自立支援員の他にも、障害施策関連の相談員や医療的ケア児関連のコーディネーターなど様々な支援者が支援に関わる中で、個々の患児のニーズに応じた役割分担に基づき、支援者側・支援を受ける側の双方にとって分かりやすい制度運営とすることが必要ではないか。

## 9. その他

- 小児から成人への移行期における支援に当たっては、医療費に係る支援、医療提供体制の整備、在宅医療支援、就労支援それぞれの観点から、検討が必要ではないか。
- 難病のある児童の症状や能力に応じた地域の学校や高等教育への就学を可能とする教育環境の整備について、検討することとしてはどうか。
- 災害対策に関し、自力では避難が困難な患者を要支援者として登録し、避難する仕組みを構築するとともに、医療的ケアや福祉的ケアを必要とする患者を受け入れる適切な病院や福祉施設、福祉避難所の確保を進めることが必要ではないか。