

第56回厚生科学審議会疾病対策部会  
指定難病検討委員会

R6. 2. 22

参考資料5

第33回指定難病検討委員会資料(抜粋)

# 制度見直しの議論を踏まえた 指定難病に関する検討

# 制度見直しのこれまでの検討状況

難病の患者に対する医療等に関する法律及び児童福祉法の一部を改正する法律の附則に基づく施行5年後の見直しについて、下記委員会及びワーキンググループにおいて、議論がされている。

	難病対策委員会（※1）・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（※2）の合同委員会（以下、合同委員会）等
令和元年6月	○合同委員会 難病の患者に対する医療等に関する法律及び児童福祉法の一部を改正する法律の附則に基づく施行5年後の見直しについて、「今後検討すべき論点」をとりまとめ
令和元年8月～12月	○ワーキンググループ ■難病・小児慢性特定疾病研究・医療ワーキンググループ 合同委員会で整理された「今後検討すべき論点」のうち、以下の論点について議論 ・医療費助成制度 ・医療提供体制 ・調査及び研究 (令和元年12月：とりまとめ公表)  ■難病・小児慢性特定疾病地域共生ワーキンググループ 合同委員会で整理された「今後検討すべき論点」のうち、以下の論点を議論 ・療養生活の環境整備 ・福祉支援 ・就労支援 ・小児慢性特定疾病児童等自立支援事業 (令和2年1月：とりまとめ公表)
令和2年1月～	○合同委員会 両ワーキンググループのとりまとめの報告を受け、制度見直しのための議論を継続

(※1) 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

(※2) 社会保障審議会児童部会慢性疾患児への支援の在り方に関する専門委員会

難病・小児慢性特定疾病研究・医療ワーキンググループにおいては、医療費助成制度、医療提供体制及び調査研究について議論され、対象疾病や対象疾病の認定基準に関しては、以下のような「対応の方向性」が示されている（指定難病検討委員会に関する記載を一部抜粋）。

## 対象疾病について

- **今後も、公平かつ安定的な仕組みとするため、制度創設時の考え方に基づき、指定難病の各要件を満たすと判断された疾病について、指定難病に指定することが適当である。**
- 他方で、診断基準が確立していない等、指定難病の要件を満たさないと判断された疾病や、各要件の該当性を判断するに足る情報が収集されていない疾病については、研究事業により、必要に応じ、当該疾病に関する調査研究を支援するべきである。
- また、既に指定難病に指定されている疾病については、**指定難病検討委員会における研究進捗状況のフォローにより、治療成績の改善状況等を評価していく必要がある。**その上で、将来的には、フォローの結果、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、長期の療養を要しなくなる等、指定難病の要件に合致しない状況が生じていると判断される場面も出てくることが想定される。こうした場合には、医療費助成の趣旨・目的に照らし、対象疾病の見直しについて検討することが適当である。また、**「指定難病の要件に合致しない状況が生じている」の判断に当たっては、附帯決議の内容も踏まえ、指定難病検討委員会において指定難病の要件に該当しているかどうかを総合的に判断することが妥当と考えられるが、具体的には、上記のフォロー結果を踏まえて検討される必要がある。**見直しを行う際には、一定の経過措置等について検討することが適当である。

## 対象患者の認定基準について

- 難病法施行後の状況も踏まえつつ、現行の認定基準について、医学的観点からより公平なものとなるよう、見直しが行われる必要がある。指定難病には、様々な症状等を呈する疾病が多くある中で、異なる疾病であっても一部に同様の症状等が見られることが多くある。これを踏まえると、**対象疾病間の公平性を確保する観点から、まずは、同一の領域内で同様の症状等を評価する場合には、可能な限り当該症状等を評価する客観的指標の標準化を図ることが適当である。**また、基準の見直しについては、あくまでも医学的観点から必要な範囲で行われるものであることから、基準の設定時と同様に、難治性疾患政策研究班や関連学会からの情報を基に、**指定難病検討委員会において行われることが適当である。**

# 制度見直しの議論を踏まえた当面の対応方針について①

現在も合同委員会で議論されているが、難病・小児慢性特定疾病研究・医療ワーキンググループにおいて示された「対応の方向性」に沿った形で、以下の対応とすることとしてはどうか。

## 対象疾病について

- 指定難病の追加については、今後も、指定難病検討委員会において、個々の疾病について、指定難病の各要件を満たすかどうか検討することとしてはどうか。
- 既に指定難病に指定されている疾病に関する研究進捗状況のフォローについては、以下の通りとしてはどうか。
  - ①各指定難病において、以下のような情報を収集・整理することとしてはどうか。
    - ・『患者数』の状況について
    - ・『発病の機構』の解明の状況について
    - ・『効果的な治療方法』の進展について
    - ・『長期の療養』の変化について
  - ②上記の情報については、研究班から提供されたものを厚生労働省がとりまとめた上で、指定難病検討委員会に報告することとしてはどうか。

## 対象患者の認定基準について

- 「同一の領域内で同様の症状等を評価する場合には、可能な限り当該症状等を評価する客観的指標の標準化を図る」ためには、個別疾病の特性や疾病間の公平性等の観点から専門的な検討が必要なため、まずは、研究班等で具体的な領域の範囲や評価方法等を検討することとしてはどうか。

# 參考資料

# (1) 対象疾病の考え方について

第5回 難病・小児慢性特定疾病研究・医療WG（令和元年12月19日開催）  
参考資料より抜粋

## 合同委員会で示された論点

- 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るべきではないか。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。

## 検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 現行の難病法において、難病は「発病の機構が明らかでなく、治療法が確立していない希少な疾病であって長期の療養を要するもの」と規定しており、これに該当する疾病については、難病法に基づく調査研究や療養生活環境整備事業の対象となっている。
- ⇒ 「指定難病」については、難病対策委員会の議論を踏まえ、公平かつ安定的な制度を確立する観点から、対象となる疾病の範囲を明確にするため、患者数が人口の0.1%程度以下であること、客観的な診断基準が確立していることを要件としているところ。
- ⇒ このような事実関係も踏まえ、医療費助成の対象疾病の考え方についてどのように考えるか。

## 参考資料

- p31 難病医療費助成の対象疾病に関するこれまでの提言
- p33 難病法における難病の定義

## これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- 対象疾病の考え方については、引き続き、法制定時に整理された基本的な考え方を踏襲し、指定を行うこととしてはどうか。
- 指定難病の医療費助成制度は、調査研究促進のためのデータ収集など、他の医療費助成制度とは異なる考え方なども含まれており、単に「他制度との公平性」と短く言い切ってしまうのではなく、可能であればもう少し具体的な表現で記載してほしい。

# (2) 対象疾病の見直しについて

第5回 難病・小児慢性特定疾病研究・医療WG (令和元年12月19日開催)  
参考資料より抜粋

## 合同委員会で示された論点

- 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。

## 検討にあたっての事実関係等

- ⇒ 法制定時の難病対策委員会の取りまとめにおいては、「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、「対象疾患等検討委員会（仮称）」において定期的に評価し、見直すこととする」とされている。また、平成31年3月の指定難病検討委員会のとりまとめにおいては、「指定難病の指定後の状況を本委員会でフォローしていく必要がある」とされている。このような法制定時の議論や附帯決議、その後の指定難病検討委員会での議論も踏まえつつ、疾病の見直しの在り方やその基準等についてどのように考えるか。
- ⇒ 指定難病の指定の見直しが当該疾病の患者の生活に与える影響について、どのように考えるか。
- ⇒ また、小児慢性特定疾病の見直しについては、どのように考えるか。

## 参考資料

- p31 難病医療費助成の対象疾病に関するこれまでの提言
- p43 指定難病の見直しに関する直近の議論
- p289～292 附帯決議

## (2) 対象疾病の見直しについて

第5回 難病・小児慢性特定疾病研究・医療WG（令和元年12月19日開催）  
参考資料より抜粋

### これまでのWGにおける主な御意見

※下線部は前回のWGでの御意見を踏まえ追記した箇所

- もし治療方法がある程度確立してきた指定難病があるのであれば、他の慢性疾患患者との公平性を考えると、今後、指定難病から外していくという仕組みは必要ではないか。
- 医療費助成によって治療を継続することにより症状が安定している患者について、医療費助成から外すことにより治療が受けられなくなることがないよう配慮するべきである。
- 希少性の定義については、人口構成の急激な変化も考慮した方がいいのではないか。
- 希少性の要件を設けている趣旨が、民間主導では進みにくい疾患の調査研究を促進することであることに鑑みると、企業において治療薬の開発が進んできた疾病について、見直しを行うこととしてはどうか。
- 難病患者の就労状況等を勘案しても、難病患者を受け入れる社会が十分に実現されているとは言えない中、指定難病から外してしまう方がいいのかどうか、十分に考慮して考えていただきたい。
- 本来の制度の趣旨を踏まえると、希少性が高く研究が十分進まないために治療方法が確立せず長期の療養を要しているといった本当の意味での難病に研究費を充てるべきであることも踏まえて、検討する必要がある。
- 合同委員会の論点にある「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」については、より具体的なイメージが必要ではないか。また、指定の解除を議論する際には、そのための基準が必要ではないか。
- 現行制度でも、軽症の患者は重症度基準により対象から外れることを踏まえると、指定難病の見直しは最終段階であって、最後の1人が治る治療法が確立するまでは指定を外す必要はないのではないか。
- 指定難病の見直しは、他制度との公平性ではなく、あくまで技術的变化を踏まえて議論が行われるべきではないか。
- 指定の見直す際意思決定の流れやプロセスを明確にしておく必要があるのではないか。
- 指定難病の告示病名については、非常に包括的な病名になっているものもあれば、個別の病名になっているものもあり、カテゴリーがバラバラである。仮にこのような状態で見直しについて議論すると、包括的な病名のもの1つを対象から外した場合、実際には多くの疾病が対象から外されてしまうため、まずは現行の告示病名について整理することが必要ではないか。
- 小児慢性特定疾病の見直しについては、児童福祉法の理念である「児童の健全育成」や子どもの権利条約の視点を踏まえた議論を進めていただきたい。