資料1

新たな難治性疾患対策の在り方の検討に関する論点メモ

【喫緊の課題】

１　特定疾患治療研究事業について

○　安定的な財源確保についてどのように考えるのか。

【参考１】
○特定疾患治療研究事業（医療費助成）の予算の推移
平成２２年度　２７５億円　⇨　平成２３年度要求　２７５億円

２　高額療養費制度について

○　見直しにあたっては、医療保険財政に影響があることから、患者や保険者、医療関係者が入った社会保障審議会医療保険部会において、７月１４日に議論を開始。

【参考２】＜改善要望として示した主な項目＞
（平成２２年７月１４日　医療保険部会資料より）
①　７０歳未満の「一般所得」の者のうち所得が低い者の自己負担限度額の引き下げ
②　外来における高額療養費の現物給付化
③　高額長期疾病（月自己負担１万円）の追加　　等

○　９月８日及び１０月２７日に、機械的な試算を提示したところであり、年末に向けて検討を進めているところ。

３　難治性疾患克服研究事業について

○ 今後の難治性疾患克服研究事業についてどのように考えるのか。

【参考３】
○難治性疾患克服研究事業の予算の推移
平成２２年度　１００億円　⇨　平成２３年度要求　７０億円（継続分）　４０億円（新規分：健康長寿のためのライフ・イノベーションプロジェクト）

【今後の課題】

4　新たな難治性疾患対策の検討について

○　医療費助成の在り方、研究事業の在り方など難病対策の様々な課題を解決するため、今後の難治性疾患対策を検討するに当たり、原理原則・あるべき姿についてどのように考えるのか。

5　その他

平成２３年度疾病対策課概算要求一覧表

事　　項	平成22年度 予　算　額	平成23年度 概算要求額	差　　引 増△減額	主　　な　　内　　容
	千円	千円	千円	千円　　千円
	(207,306,715)	(211,884,045)	(14,577,330)	<対前年度伸率　107.0%>
Ⅰ 難病対策	28,193,755	28,354,207	160,452	<対前年度伸率　100.6%>
				1．調査研究の推進　(15,116,293)→(17,962,667)
				厚生労働科学研究費　(15,116,293)→(17,962,667)
				（主な研究事業）
				・難治性疾患克服研究　(10,000,000)→(7,000,000)
				新 ・健康長寿社会実現のためのライフ・
				イノベーション（難病分）　(0)→(4,000,000)
				【元気な日本復活特別枠】
				・免疫アレルギー疾患等予防・治療研究　(1,000,386)→(757,571)
				2．医療施設等の整備　(事　項)→(事　項)
				・重症難病患者拠点･協力病院設備
				（保健衛生施設等設備整備費のメニュー）
				(191,233,178)→(203,119,481)
				3．医療費の自己負担の軽減　27,236,511 → 27,552,310
				（主な事業）
				・特定疾患治療研究事業　27,204,412 → 27,544,204
				（※23年度より先天性血液凝固因子障害等
				治療研究事業を計上）
				4．地域における保健医療福祉の充実・連携　750,442 → 595,095
				（主な事業）
				・難病相談・支援センター事業　265,468 → 166,401
				・重症難病患者入院施設確保事業　179,099 → 153,956
				・難病患者地域支援対策推進事業　167,640 → 140,945
				・神経難病患者在宅医療支援事業　15,516 → 7,007
				・難病患者認定適正化事業　69,662 → 54,512
				・難病情報センター事業　33,928 → 27,142
				・特定疾患医療従事者研修事業　4,132 → 4,064
				新 ・患者サポート事業　0 → 25,855
				5．ＱＯＬの向上を目指した福祉施策の推進　206,802 → 206,802
				・難病患者等居宅生活支援事業
				①難病患者等ホームヘルプサービス事業
				②難病患者等ホームヘルパー養成研修事業
				③難病患者等短期入所事業
				④難病患者等日常生活用具給付事業

平成２３年度小児慢性特定疾患治療研究事業関係
予算概算要求の概要

【小児慢性特定疾患対策の推進】
平成２３年度概算要求額１２，８３７百万円
（平成２２年度予算額　１１，４６４百万円）

小児がんなどを対象とする小児慢性特定疾患治療研究事業を実施するとともに、日常生活用具を給付する福祉サービスを実施する。

（参考内訳）

１．小児慢性特定疾患治療研究事業
平成２３年度概算要求額　１２，７９１百万円
（平成２２年度予算額　１１，４１０百万円）

２．小児慢性特定疾患児日常生活用具給付事業
給付用具にパルスオキシメーター及びネブライザーの追加を事項要求
平成２３年度概算要求額　４６百万円
（平成２２年度予算額　５４百万円）

※この他、母子保健医療対策等総合支援事業のメニューの一つとして、療育指導事業（小児慢性特定疾患児ピアカウンセリング事業等）を実施している。

難治性疾患克服研究事業

難治性疾患克服研究事業 ＜研究費助成＞

研究奨励分野
＜平成21年度新設＞

４要素を満たす疾患のうち臨床調査研究分野に含まれないものであって、これまで研究が行われていない疾患について、実態把握や診断基準の作成、疾患概念の確立等を目指す。

※ 平成21年度は177疾患が対象
平成22年度は214疾患に対象が拡大

臨床調査研究分野
（130疾患）

・希少性（患者数5万人未満）
・原因不明
・治療方法未確立
・生活面への長期の支障
の4要素を満たす疾患から選定し原因究明などを行う。

・骨髄線維症
・側頭動脈炎
・フィッシャー症候群
・色素性乾皮症
など

重点研究分野 (※1)
（革新的診断・治療法を開発）

横断的基盤研究分野 (※1)
（疾患横断的に病因・病態解明）

指定研究
（難病対策に関する行政的課題に関する研究）

特定疾患治療研究事業 ＜医療費助成＞
（56疾患 ※2）

臨床調査研究分野のうち、治療が極めて困難で、かつ医療費が高額な疾患について、医療の確立、普及を図るとともに、患者の医療費負担の軽減を図る。

・ライソゾーム病
・特発性間質性肺炎
・表皮水疱症
・筋萎縮性側索硬化症 （ALS）など

※1 重点研究分野及び横断的基盤研究分野の対象疾患は、臨床調査研究分野の対象疾患と同じ。
※2 特定疾患治療研究事業には56疾患の他、血友病患者等治療研究事業を含む。

5ページ

参考資料2

難治性疾患克服研究事業の公募の概要

今回の臨床調査研究分野の公募について

◎研究費の規模：１課題当たり

1500 万円～1 億円（１年当たりの研究費）

※研究の規模及び研究課題の評価結果によって、
採択時に研究費の変動があり得る

◎研究期間：　３年

◎新規採択予定課題数：　３５課題

※今回は３８の研究班のうち、大部分が公募となります。

◎公募研究課題

臓器別、疾患別に科学的根拠を集積・分析し、疾患の実態解明、診断・治療法の開発及び確立、標準的診断・治療法の確立及び普及などを図ることにより、医療の向上に貢献することを目的とする。

具体的には、広く関連する専門分野の研究者から構成される体制を構築し、病因・病態究明のほか、継続して臨床情報を含めた疫学研究を実施し、研究成果が診断・治療ガイドラインへ反映されるなど、研究成果を臨床現場に還元することにより、原因究明及び医療水準の向上を図る。

なお、当研究の採択については、継続して患者数や臨床情報などを収集し疫学者を含む疫学研究が実施できる体制、研究成果を臨床現場へ反映・応用するための方法、新たな治療薬・治療方法を医療現場に応用するため、治験を含めた臨床研究に積極的に対応できる体制、国際展開も視野に入れた研究開発体制、平成 21 年度から当研究事業で実施している生体試料等の収集に関する研究（いわゆる「難病研究資源バンク」）との連携体制、及び国民・患者に対する研究成果の公表体制などを重視する。

難治性疾患克服研究事業（重点研究分野）とは

難治性疾患における革新的な診断や治療法の開発のために、重点研究分野が設けられています。例えば、スーパー特区の活用などがこれにあたります。

平成２２年度の重点研究分野は２０の研究班で行われています。

※重点研究分野の対象疾患は臨床調査研究分野と同じです（１３０疾患）

今回の重点研究分野の公募は次の通りです。

◎研究費の規模：１課題当たり

500 万円～1000 万円（１年当たりの研究費）

※研究の規模及び研究課題の評価結果によって、
採択時に研究費の変動があり得る

◎研究期間： １年
◎新規採択予定課題数： ５課題程度
◎公募研究課題
・希少難治性疾患に対する新たな医薬品開発に関する研究
希少難治性疾患については、臨床現場で使用することができる医薬品の開発要望が多く、より一層の研究の推進が必要とされている。そこで、当研究では、これまで継続的に希少難治性疾患患者の臨床データを集積してきた当事業の知見を生かして、新たな医薬品開発を行うための研究を実施する。
具体的には、当研究の成果により、新たな医薬品について薬事法に基づく承認申請が可能となることを目標とする。２年目以降については、１年目の研究成果を踏まえて研究継続を判断し、研究継続が可能な課題については、医師主導治験によるデータの収集を開始する。

難治性疾患克服研究事業（横断的基盤研究分野）とは

横断的基盤研究分野は一つ一つの疾患の研究ではなく、疾患横断的に病因・病態を解明するための研究を行う分野です。例えば、生体試料（血液や細胞など）の収集提供などがこれにあたります。
平成２２年度の横断的基盤研究分野は１０の研究班で行われています。
※横断的基盤研究分野の対象疾患は臨床調査研究分野と同じです（１３０疾患）

今回の横断的基盤研究分野の公募は次の通りです。
◎研究費の規模：１課題当たり
7000 万円～1 億円（１年当たりの研究費）
※研究の規模及び研究課題の評価結果によって、
採択時に研究費の変動があり得る
◎研究期間： ３年
◎新規採択予定課題数：１課題
◎公募研究課題
・希少難知性疾患患者に対する医療の向上及び患者支援等のあり方に関する研究
希少難治性疾患患者に対する医療・介護・福祉の体制について、現状の課題を抽出し、その課題を解決するための方法を研究することにより、その研究成果によって難病対策に関する行政課題の解決を図ることを目的とする。
具体的には、研究代表者の下、主に次の分科会を設けることにより、課題抽出及び解決を図るため方法を研究し、分科会間において有機的な連携を図り、全体的な研究成果を得られる体制とする。なお、当研究の採択については、患者の立場を踏まえた研究内容を含むため、患者等との連携体制についても重視する。
○ 医療等の提供体制のあり方に関する分科会
地域医療連携体制、病院と在宅の連携体制、難病相談支援センターの機能向上、保健所に

おける患者支援のあり方など

○ 医師及びコメディカル等の技能向上に関する分科会

医療、介護、福祉の現場において、在宅医療、リハビリテーション、訪問看護・介護等の質の向上及びそれらに関与する医師及びコメディカル等の技能向上など

○ 患者支援のあり方に関する分科会

患者の立場からの患者支援のあり方や難病対策のあり方など

難治性疾患克服研究事業（研究奨励分野）とは

臨床調査研究分野に含まれておらず、「希少性（おおむね５万人未満）・原因不明・効果的な治療方法未確立・生活面への長期にわたる支障」という４要素を満たす疾患（満たす可能性がある場合を含む）であり、臨床調査研究班等により組織的・体系的に研究が行われてこなかった疾患について、医療関係者等の関心を高め、患者や病態の実態把握等を目的とする。

◎公募研究課題

（１）疾病の診断基準等の作成のための奨励研究

〔対象疾患〕

・臨床調査研究分野の対象疾患以外

・すでに研究奨励分野の対象疾患になっているもの以外

〔目的〕

研究を行おうとする疾患の診療に携わる研究者等が研究班を組織し、１年以内に患者数等の疾患に関する基本的なデータの収集、及び診断基準又はそれに準ずるものをとりまとめることを目的とする。

◎研究費の規模：１課題当たり　500 万円

※研究の規模及び研究課題の評価結果によって、
採択時に研究費の変動があり得る

◎研究期間：　１年

（２）　疾病の治療指針等の作成のための奨励研究

〔対象疾患〕

・臨床調査研究分野の対象疾患以外

・すでに研究奨励分野の対象疾患になっているもの以外

〔目的〕

研究を行おうとする疾患の診療に携わる研究者等が研究班を組織し、１年以内に患者数等の疾患に関する基本的なデータの収集、及び治療指針又はそれに準ずるものをとりまとめることを目的とする。

◎研究費の規模：１課題当たり　500 万円

※研究の規模及び研究課題の評価結果によって、

採択時に研究費の変動があり得る
◎研究期間：　１年

（３）疾患の診断及び治療方法の更なる推進に関する研究
〔対象疾患〕
・平成２２年度において研究奨励分野で新規に１年計画で採択された疾患
〔目的〕
平成２２年度において研究奨励分野で新規に１年計画で採択された疾患に対して、診断方法の確立、及び治療方法の開発等を目的とする。
◎研究費の規模：１課題当たり　700 万円～1000 万円
（１年当たりの研究費）
※研究の規模及び研究課題の評価結果によって、
採択時に研究費の変動があり得る
◎研究期間：　２年
◎新規採択予定課題数は（１）～（３）合計で７０課題程度

〔解説〕
※（１）と（２）は今まで研究奨励分野に入っていなかった疾患を対象にしています。（１）は主に診断基準の作成を１年以内で行う研究であり、（２）は主に治療指針の作成を１年以内で行う研究です。

※（３）は昨年度に研究奨励分野に新規で選ばれて１年間研究した疾患が対象となり、さらに今回採択されると、あと２年間「更なる推進に関する研究」が可能となります。

※研究奨励分野は平成２１年度の新規事業であり、平成２１年度は１７７疾患が対象となりました。そのうち平成２２年度にあと２年間の「更なる推進に関する研究」に選ばれたのは１４２疾患でした。また平成２２年度に新規で採択された疾患は７２疾患であり、平成２２年度の研究奨励分野の対象疾患の合計は２１４疾患でした。

※平成２３年度に関しては、平成２２年度にあと２年間の「更なる推進に関する研究」に選ばれた１４２疾患は継続して研究が可能です。そして新たに（３）の研究に採択される可能性のある疾患は７２疾患であり、このうち多くの疾患は採択されると思われます。新規採択予定課題数は（１）～（３）合計で７０課題程度ですので、（１）と（２）の研究に新規採択される疾患はあまり多くないと予想されます。

慢性の痛み対策研究事業（仮称）とは

※この研究は難病対策における研究ではありませんが、難病患者の多くも原因のわからない痛みで苦しんでおられます。ぜひ、この研究事業によって、具体的な「慢性の痛み対策」につながるよう期待しています。

＜事業概要＞

痛みは体の異常を知らせる警告反応として重要な役割を果たしているが、慢性化することで、身体的のみならず、精神心理的、社会的な要因が複雑に関与し、著しい生活の質の低下を招く。また、痛みは主観的な感覚であるため、標準的な評価法や診断法、治療法が確立されておらず、診療体制も整っていない。

国民の多くが痛みを抱えて生活しており、生活の質の低下、社会的損失を招いている。こういった背景のもと、厚生労働省で開催した「慢性の痛みに関する検討会」においても、慢性の痛みに関する現状を把握する必要性が述べられ、痛みの病態解明、評価法の確立等に取り組むべきであると提言された。

慢性の痛みという症状に着目して、本研究事業の成果により、より良い医療の提供、情報提供、普及啓発活動等を推進し、痛みを有する者の生活の質の向上と痛みによる社会的損失の軽減につながる様な行政施策に反映させることを目的とする。

＜新規課題採択方針＞

本研究事業では、疾患や原因の別にかかわらず、原因がわからなくて対応に苦慮する痛みや、ある程度はっきりしている原因に対して、適切な対応を行っているにもかかわらず残存する痛みを対象に、総合的かつ疾患横断的な研究などを推進する。

具体的には、慢性の痛みに関する研究の基盤を形成し、より良い医療の提供、情報提供、普及啓発活動等を推進するため、慢性の痛みに関する実態把握（ 慢性の痛みを来す疾患や頻度、受療施設、対応方法、治療効果等） 、病態解明、痛みに関する評価法や新規治療法等の開発に資する研究を重点的に推進する。

◎研究費の規模：１課題当たり 1000 万円～3000 万円程度
（１年当たりの研究費）
◎研究期間：３年
◎新規採択予定課題数： ５課題程度

＜公募研究課題＞

（１）難治性の慢性疼痛に対する病態解明、診断方法に関する研究

原因や病態が解明されていない難治性の慢性疼痛について、その病態解明を行い、診断方法等を確立するための研究であること。

（２）慢性疼痛の客観的評価法の確立に関する研究

疼痛は主観的な体験の表現であるため、客観的な評価方法が確立されていない。慢性疼痛に対する、疼痛の度合いや性状等を客観的に評価する方法を確立するための研究であること。

（３）慢性疼痛に対する効果的な治療法の確立に関する研究

慢性疼痛に関する科学的根拠を集積するとともに奨励される治療法の基準を策定し、慢性疼痛に対する標準的な治療法を確立するとともに安全で効果的な治療法や新規治療法の開発に関する研究であること。

（４）慢性疼痛にかかる情報提供体制の基盤構築や普及啓発のあり方に関する研究

慢性疼痛に対する取組を推進するにあたり、医療従事者だけでなく、患者やその家族を含め、国民全体に慢性疼痛に対する関心と知識を普及・啓発する必要性が高い。慢性疼痛にかかる知識や情報を適切に整理し、効果的に普及啓発する具体的な方法を明らかにする研究であること。なお、当研究については、具体的に行政施策へ反映できる成果が得られるものであること。

「元気な日本復活特別枠」について

趣旨

「元気な日本復活特別枠」については、10月１９日までパブリック・コメントが行われました。また１０月１２日には評価会議が立ち上がり、政策の優先順位付けが行われます。最終的には総理大臣によって配分額が決められることになります。

「元気な日本復活特別枠」議論の流れ

各大臣の「特別枠」要望の提出

9月28日～10月19日
パブリック・コメント

結果集計　評価会議に報告

評価会議

作業チームによる準備

10月13日
今後の進め方

11月初旬
パブコメ結果報告、要望評価の基本方針、要望ヒアリングの進め方等

11月上中旬
各府省からの要望ヒアリング（公開）

11月下旬～12月初め
各府省要望に関する優先順位付け
→予算編成に関する閣僚委員会へ提出

総理による配分額決定

総合科学技術会議が難病研究を最低評価！

来年度の予算編成にむけて、政府の総合科学技術会議（議長は菅直人首相）が科学技術施策についての優劣評価を行い、このなかで難病研究についてはランク最低の「減速」（既存の実施計画を減速又は見直すべきもの）と評価していることがわかりました。

ご承知のように、来年度の概算要求にあたり厚生労働省は、難治性疾患克服研究事業を今年度の100億円から70億円に減額するかわりに、政策コンテスト（特別枠）に40億円の施策計上をしています。

政策コンテストの評価については、先日のパブリックコメントの結果や、11月中旬から行われるヒアリングなどにより判断されますが、今回の評価は研究事業全体の政府機関によるものだけに、来年度の予算編成で、治療研究事業の70億すら確保できない事態にもなりかねません。

ＪＰＡ（日本難病・疾病団体協議会）は、早急にこの評価に対するコメントを発表して、政府や関係機関へのはたらきかけを行う準備をしています。

内閣府総合科学技術会議ホームページから
10月22日の総合科学技術会議本会議（第93回）資料より
◎優先度判定結果の詳細（PDF）
http://www8.cao.go.jp/cstp/budget/yusendo_h23/kekka/02-04li3.pdf

この評価をみると、「継続施策は着実に推進すべき」（有識者議員）、「非常に重要な研究」（外部専門家複数）、「研究推進により症例のＱＯＬの改善が期待できる研究申請であれば積極的に採択すべき」（若手意見）などのコメントがある一方で、「他の重要疾患に比して予算が過大」「研究資金が高額すぎる」「コストの分担についての国民の合意ができるか」「予算のバランスを考えて効率を上げる方法を考えるべき」「予算が急激に増えた理由が明確でない」など、予算上の理由があげられています。

数年前に25億から一気に４倍増の100億円に増やされた治療研究予算。当時の桝添厚生労働大臣は、厚労省はいのちを守る行政であり、難病研究予算はその目玉であることを強調していました。そして、昨年の民主党鳩山政権は「いのちを守る政治」を強調して、引き続き100億円の予算を継続していました。そのときの総合科学技術会議の評価は「着実」（既存の実施計画を着実・効果的に実施すべきもの）であり、今年度の概算要求では３割減額の概算にもかかわらず、なおこの評価です。

私たち難病・慢性疾患患者と家族にとって、治療研究は希望であり、命の綱といってもよい大事な予算。研究費は現在でもけっして十分とはいえず、研究成果が治療に生かされる日を心待ちにしている患者にとって、この評価は、患者から希望を奪うものといわざるをえません。

各疾病団体、各難病連でもぜひ検討のうえ、政府に声をあげていきましょう。

2010年10月30日　日本難病・疾病団体協議会　事務局長　水谷幸司

			の確立を目指す。 ○免疫アレルギー疾患等予防・治療研究 リウマチ、気管支喘息、アトピー性皮膚炎、及び花粉症などの免疫アレルギー疾患について、発症原因と病態との関係を明らかにし、予防、診断及び治療法に関する新規技術を開発するとともに、自己管理方法や治療法の確立を行うことにより、国民に対してより良質かつ適切な医療の提供を目指す。 【実施期間】 未定		
【原案】 減速 【最終】 減速	生活習慣病・難治性疾患克服総合研究（４）難治性疾患克服研究 難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究の一部（難病関連研究分野）（仮称）（継続） ≪施策番号：25106≫ ≪昨年度：着実≫ 厚生労働省	11,000 うち 要望額 4,000 前年度 予算額 10,000	【目標】 原因が不明で根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残す恐れが少なくない難治性疾患のうち、患者数が少なく研究の進みにくい疾患に対して、多様な難病の病態に関する知的基盤を作るとともに、治療法を適切に評価し、疾患の進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を行い、医療技術水準の向上を図る。 【達成期限】 平成30年頃 【概要】 次世代遺伝子解析装置を用い、難病に罹患した個人の全遺伝子の解析を網羅的に実施することで、様々な難病の原因を横断的に特定し、効果的・効率的な治療方法の開発に結びつける。 【実施期間】 S47-未定	【有識者議員コメント】 ○他の重要疾患に比して予算が過大。 ○継続施策は着実に推進すべきであるが、原因究明以後の医療までの見通し感を持っていることが重要である。 【外部専門家コメント】 ○非常に重要な研究である。シーケンシングは重要だが、省間連携やDBの統合が必要である。 ○アクション・プランにおける長期戦略の視点に立って、他のプログラム予算配分との整合性を取り、頻繁にターゲットがコロコロ変わらないようにして欲しい。 ○難治性疾患克服研究は非常に重要。原因解明及び新たな治療法の開発を期待する。しかし研究資金が高額過ぎる。 ○意義と目的は理解できるが、医療時におけるコストの分担についての国民の合意ができるか気になる。 ○他の疾患との予算のバランスを考えるべき。ただし、国が行う必要があるものなので、効率を上げる方法を、考えるべきではないか。（国際的な分担など）。 ○予算が急激に増えた理由が明確でない。 ≪外部専門家６名 うち若手２名≫ 【若手意見】 ○日本での「希少性疾患」の研究推進により、症例のQuality of Life（QOL；生活の質）の改善が期待できる研究申請であれば、積極的に採択すべき 【パブコメ】 ○治療のための薬や医療器械の製造コストを削減する技術研究に対して助成をしていただきますよう、お願い致します。	【原案】 ○継続施策は着実に推進すべきであるが、原因究明以後の医療までの見通し感を持つことが重要である。 ○難治性疾患克服研究は非常に重要であり、原因解明及び新たな治療法の開発を期待するが、他の重要疾患に比べ予算が過大。 ○国が行う必要があるものなので、効率を上げる方法を考えるべきではないか。 ○次世代遺伝子解析装置については、既存の装置を共同利用する、共同研究を行うといったことも含め、効率的に研究を進めることを検討すべきである。 ○個人の全遺伝子を解析することとしているが、その先の原因を特定し、効果的、効率的な治療方法の開発に至るまでの研究計画が明確ではない。 ○本事業は競争的資金制度である。研究者等が効果的に活用できるよう、アクション・プランに沿って、使用に関わる各種ルールの統一化及び簡素化・合理化に取り組むことが必要である。 【最終決定】 原案のとおり ≪主担当：本庶佑議員、副担当；奥村直樹議員≫

健康長寿のためのライフ・イノベーションプロジェクト

平成23年度要望額　：約233億円　　※ 厚生労働省、文部科学省、経済産業省連携事業

研究開発事業

○ 難病、がん等の疾患分野の医療の実用化研究を効果的に推進し、健康寿命を延伸

1. 難病・がん等の疾患分野の医療の実用化のための研究事業

- 革新的な医療の実現に資するため、難病やがん、肝炎、精神疾患など、社会的影響が大きい疾病の原因解明や診断法・治療法・予防法の開発、再生医療技術の臨床実現化のための研究等を推進する。

2. 日本発のがんワクチン療法による革新的がん治療の開発事業

- がん患者が仕事とがん治療を両立できるような日常生活の質の向上のため、日本発のがんワクチン療法の実用化に向けた大規模臨床開発研究を強力に推進する。

7. 福祉用具・介護ロボット実用化の支援事業

- 福祉用具や介護ロボット等の実用化を支援するため、試作段階にある当該機器等に対する臨床的評価及び介護保険施設等におけるモニター調査（20件の機器を目処）の機会を提供する。

3. 世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業

- 日本発の革新的な医薬品・医療機器を創出するため、世界に先駆けてヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験等の実施拠点となる医療機関の人材確保、診断機器等の整備、運営に必要な経費について財政支援を行う。

4. 先端医療技術等の開発・研究の推進事業（国立高度専門医療研究センター）

- 独立行政法人国立高度専門医療研究センターの豊富な症例数、専門性などの特性を活かし、日本発の革新的な医薬品・医療技術の開発に資するため、研究の基礎となるバイオリソースを蓄積し、医薬品・医療機器の開発を行うとともに、研究成果の迅速な実用化を図るための知的財産管理の体制整備を行う。

有機的連携

整備推進事業

○ 日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出による日本復活

5. 日本発シーズの実用化に向けた医薬品・医療機器に関する薬事戦略の相談事業

- 日本発シーズ（医薬品・医療機器の候補となる物質等）の実用化のため、産学官一体となった取組を進め、大学・ベンチャー等における医薬品・医療機器候補選定の最終段階から治験に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する薬事戦略相談を実施する。

6. 医療情報データベース基盤の整備事業

- 医薬品等の安全対策を推進するため、全国の大学病院等5か所において、電子カルテ等のデータを活用した医療情報データベースを構築し、1,000万人規模のデータ収集を行う。

（研究開発事業）健康長寿のためのライフ・イノベーションプロジェクト

○ 難病、がん等の疾患分野の医療の実用化の研究等を効果的に推進し、健康寿命を延伸！

1. 難病、がん、肝炎等の疾患の克服

☆ 難病（難治性疾患）の克服
【現状認識と課題】
・多くの難治性疾患各々に、診断基準、治療法の確立等を目的に研究を着実に実施。
【課題解決の取組】
○次世代遺伝子解析装置利用による疾患遺伝子等の同定
・患者等の協力を得て、神経難病（ﾊﾟｰｷﾝｿﾝ病など）等の原因を遺伝子レベルで解明し、特定の疾患の罹りやすさ及び薬剤の効果などの遺伝子的な要因の事前把握及び治療法の開発を目指す。

☆ 肝炎の克服
【現状認識と課題】
・ウイルス性肝炎は国内最大級の感染症であり、放置することで肝硬変や肝がんといった重篤な疾病に進行。
【課題解決の取組】
○総合的な肝炎対策研究
・平成22年1月に施行された肝炎対策基本法の趣旨を踏まえ、肝炎対策を総合的に推進するための基盤となる研究を推進

☆ 心の健康のための精神・神経疾患の克服
【現状認識と課題】
・臨床ﾈｯﾄﾜｰｸの構築、医療と地域生活の支援の融合が重要。
【課題解決の取組】
○地域精神科ﾓﾃﾞﾙ医療研究ｾﾝﾀｰの構築
・関係臨床研究の推進及び関係人材の育成支援を図る。

☆ 再生医療の臨床実現化の加速
【現状認識と課題】
・前臨床研究から臨床研究まで一貫した推進体制の欠如。
【課題解決の取組】
○再生医療の臨床実現化のハイウェイ
・iPS細胞、ES細胞を用いての、世界に先駆けた再生医療技術創出のための臨床研究を行い得る医療機関に対し、具体的なプロジェクトによる基盤整備を実施。開発環境の加速的な構築を図る。

2. がん治療研究の推進

【現状認識と課題】
・がんは国民最大の死亡原因であり、今後更に増加。
【課題解決の取組】
○がんワクチンの開発など新たな診断・治療技術の確立
・国際的に先進性や革新性を持つ技術について、新たに研究推進

3. 新薬・医療機器の創出

【現状認識と課題】
・海外に先行した日本発の医薬品・医療機器の創出が必要
【課題解決の取組】
○臨床試験拠点推進研究事業
・ヒトに初めて投与・使用する試験等、新規医薬品・医療機器の有効性や安全性を早期・探索的に評価する研究を推進

4. 先端医療技術等の創出

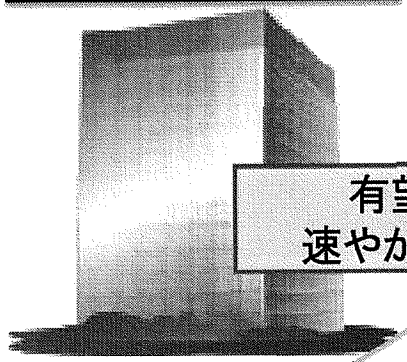
【現状認識と課題】
・各センターの特徴を生かした研究事業
・バイオリソースの蓄積・ネットワーク化等による研究のけん引
【課題解決の取組】
○各センターの特徴を生かした研究の実施

7. 福祉用具・介護ロボットの実用化

【現状認識と課題】
・要介護高齢者の増加や介護期間の長期化
【課題解決の取組】
○福祉用具・介護ロボット実用化支援
・試作段階にある当該機器等に対する臨床的評価及び介護保険施設等におけるモニター調査等の機会を提供する

（整備推進事業）健康長寿のためのライフ・イノベーションプロジェクト

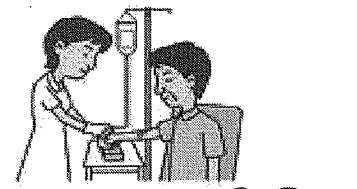
大学・研究所
ベンチャー企業等
（シーズの提供等）



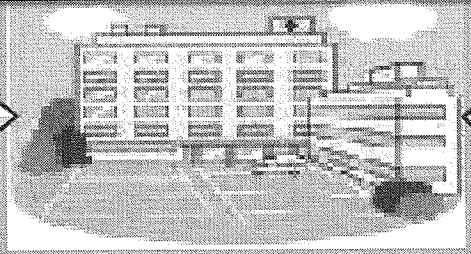
ヒトに初めての臨床試験を可能とする
インフラの整備

研究プロジェクト等
（臨床試験を実施）

早期臨床試験



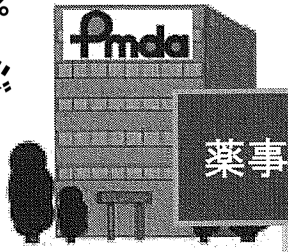
早期・探索的臨床試験拠点



有望なシーズを
速やかに臨床試験へ

実施

戦略
相談



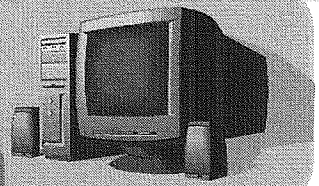
薬事戦略相談推進事業

○特定分野ごとに拠点のインフラを整備
・企画、立案、評価のための人件費
・設備整備費
・新規薬物等の品質確保費用
・動物実験費用　　等

○臨床試験に必要な費用
・治験薬の製造
・データモニタリング業務
・データ管理業務　　等

○シーズ発見後の大学・ベンチャー等における実用化に向けたPMDAの相談

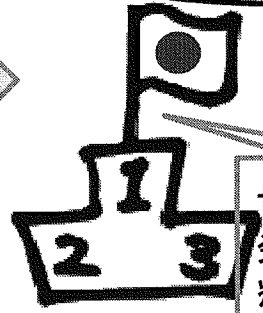
厚生労働科学研究費



○医薬品等の安全対策を目的とした医療情報データベース

医薬情報データベース
基盤整備事業

先端医療技術等の整備推進事業
バイオリソース
（国立高度専門医療研究センター）



世界に先駆けた日本発の革新的新薬・医療機器を創出

厚生労働省　健康長寿社会実現のためのライフ・イノベーションプロジェクト　平成23年度要望額：233億円
（難病、がん、肝炎等の疾患の克服（うち難病関連分野）　40億円）

難病、がん、肝炎等の疾患の克服（難治性疾患克服研究関連分野）

難病患者の全遺伝子を極めて短期間に解析し、早期に原因解明及び新たな治療法・開発を推進する

背景：
すでに難治性疾患克服研究事業の研究班では、多くの難治性希少疾患の研究を実施し、これまで実態調査等を通じた患者登録及び臨床データを蓄積している。

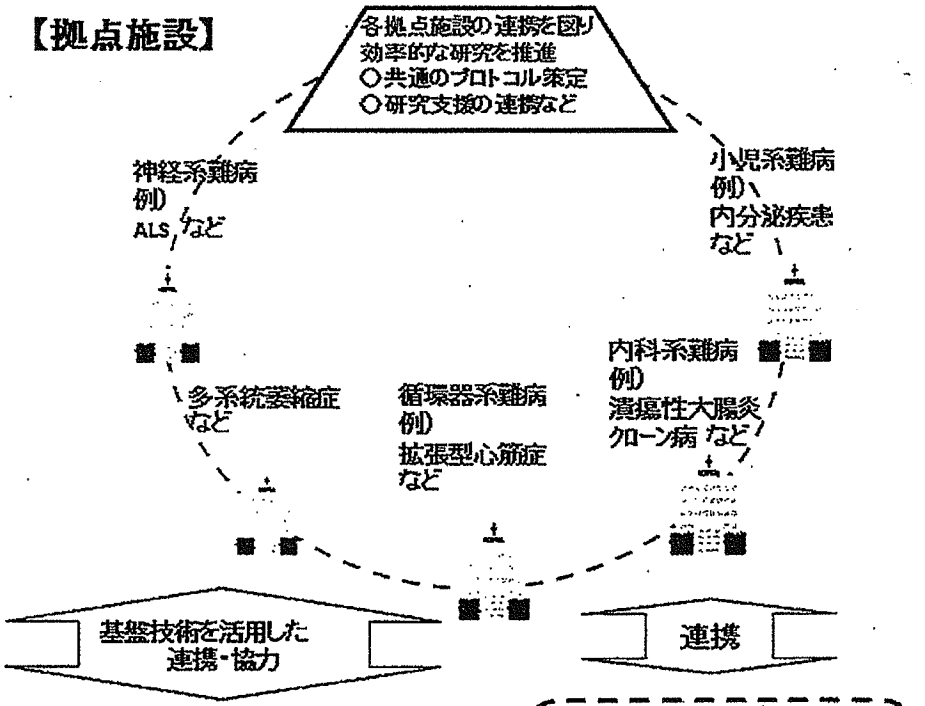
↓

病院で得られる臨床データと遺伝子データを組み合わせることにより、迅速な研究・治療法開発が期待される。

概要
○次世代遺伝子解析装置を用いて、難病患者の全遺伝子を極めて短期間に解析し、早期に原因解明及び新たな治療法・開発を推進する。
○難治性疾患克服研究事業研究班が把握している難病患者の臨床データ（臨床調査個人票など）を有効に活用することにより、難病の原因究明を飛躍的に発展させる。
○当該成果を積極的に活用することによって新たな治療法・医薬品の開発やテーラーメード医療などの実用化につなげ、難病の克服を目指す目的指向型プロジェクト。
○なお、厚生労働省、文部科学省が連携して、当プロジェクトの成功を目指すとともに、基礎的データは、国際的利用を促進する。

目標
難病患者の全遺伝子を極めて短期間に解析し、早期に原因解明及び新たな治療法・開発を推進ずる。

（事業イメージ）



【文部科学省】
文部科学省のプロジェクトで整備している先進的な遺伝子解析技術及び大量データの解析技術等の基盤技術を活用した積極的な連携・協力を実施

【難治性疾患克服研究事業の研究班】
研究班に登録されている患者の臨床データを利用し、拠点施設と連携した研究を推進

（２－４）ライフ・イノベーション（AP 施策以外・継続）（２７施策）

判定	施策番号	AP 施策	担当府省	新規継続	施策名	22 年度予算額（百万円）	23 年度概算要求枠（百万円）	23 年度特別枠（百万円）	主担当議員	副担当議員
優先	24115		文部科学省	継続	分子イメージング研究戦略推進プログラム	530	500	0	本庶議員	奥村議員
着実	24116		文部科学省	継続	オーダーメイド医療の実現プログラム	2,027	1,560	0	本庶議員	奥村議員
着実	24119		文部科学省	継続	ナショナルバイオリソースプロジェクト	1,338	1,325	0	本庶議員	奥村議員
着実	24120		文部科学省	継続	再生医療の実現化プロジェクト	2,370	0	4,000	本庶議員	奥村議員
着実	24122		文部科学省	継続	革新的タンパク質・細胞解析研究イニシアティブ	5,170	4,498	0	本庶議員	奥村議員
着実	24123		文部科学省	継続	脳科学総合研究事業費	8,586	8,364	0	本庶議員	奥村議員
着実	24124		文部科学省	継続	植物科学研究事業	1,248	1,136	0	本庶議員	奥村議員
着実	24125		文部科学省	継続	免疫・アレルギー科学総合研究事業	3,084	2,807	500	本庶議員	奥村議員
着実	24126		文部科学省	継続	ゲノム医科学研究事業	1,474	1,341	0	本庶議員	奥村議員
着実	24127		文部科学省	継続	発生・再生科学総合研究事業	4,195	3,818	0	本庶議員	奥村議員
着実	24129		文部科学省	継続	バイオリソース事業	3,126	2,999	0	本庶議員	奥村議員
着実	24130		文部科学省	継続	ライフサイエンス基盤研究領域事業（内、オミックス基盤研究）	1,490	1,416	0	本庶議員	奥村議員
着実	24131		文部科学省	継続	ライフサイエンス基盤研究領域事業（内、生命分子システム基盤研究）	1,416	1,345	0	本庶議員	奥村議員
着実	24132		文部科学省	継続	感染症研究国際ネットワーク推進プログラム	1,900	1,800	0	本庶議員	奥村議員
着実	25101		厚生労働省	継続	先端的基盤開発研究（創薬基盤推進研究）	3,700	3,371	0	本庶議員	奥村議員
着実	25102		厚生労働省	継続	先端的基盤開発研究（再生医療実用化研究及び医療機器開発推進研究） 難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究の一部（再生医療関連研究分野）（仮称）	2,857	1,425	1,000	本庶議員	奥村議員
着実	25105		厚生労働省	継続	生活習慣病・難治性疾患克服総合研究 （１）循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策総合研究 （２）腎疾患対策研究 （３）免疫アレルギー疾患等予防・治療研究	3,109	2,404	0	本庶議員	奥村議員
◎ 減速	25106		厚生労働省	継続	生活習慣病・難治性疾患克服総合研究 （４）難治性疾患克服研究 難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究の一部（難病関連研究分野）（仮称）	10,000	7,000	4,000	本庶議員	奥村議員
優先	25108		厚生労働省	継続	感染症対策総合研究 難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究の一部（肝炎関連研究分野）（仮称）	6,613	5,505	500	本庶議員	奥村議員
着実	25109		厚生労働省	継続	地域医療基盤開発推進研究	692	533	0	本庶議員	奥村議員
着実	25111		厚生労働省	継続	食品医薬品等リスク分析研究（医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス総合研究）	649	413	0	本庶議員	奥村議員
着実	25113		厚生労働省	継続	独立行政法人医薬基盤研究所 保健医療分野における基礎研究推進事業	6,301	4,664	0	本庶議員	奥村議員
着実	26105		農林水産省	継続	アグリ・ヘルス実用化研究促進プロジェクト	551	618	0	本庶議員	奥村議員

ライフ・イノベーションプロジェクトは「C」判定

－難病研究予算確保は厳しい状況に－

2011 年度予算編成で政府の「元気な日本復活特別枠に関する評価会議」は 12 月 1 日、特別枠に対する評価結果を各省庁に内示しました。厚生労働省の「健康長寿社会実現のためのライフ・イノベーションプロジェクト」（要求額 233 億円）は、「A」から「D」までの 4 段階評価のうち上から 3 番目の「C」の判定（事業の内容に一定の評価はできるが改革の姿勢等の問題が大きい）となりました。さらに「総合科学技術会議の評価を踏まえた対応を行う」との条件も付きました。

しかし、条件となった総合科学技術会議の評価では、ライフ・イノベーションプロジェクトのうち、「革新的がんワクチン療法の開発」（30 億円）は優先度判定で最低の「C」、「難病、がん、肝炎等の疾患の克服」（95 億円）については「減速」と判定されており、これらの事業予算は減額される可能性が大きくなりました。

なお、防衛省の在日米軍駐留経費の日本側負担（思いやり予算）は、最上位のＡ判定で、要望額１８５９億円が全額認められる見通しです。

最終的には閣僚委員会で、菅直人首相、玄葉国家戦略相、野田佳彦財務相らが予算配分を決めることになっています。

資料１

～政策コンテスト～
「元気な日本復活特別枠要望」に関する
評価（案）

平成２２年１２月１日

元気な日本復活特別枠に関する評価会議

「元気な日本復活特別枠要望」に関する評価について

○　「元気な日本復活特別枠に関する評価会議」においては、「特別枠」要望１８９事業の評価付けにあたり、要望評価の基本方針として、「事業内容」及び「改革の姿勢」という２つの観点から、以下のような「５原則」を重視して、総合的に評価を行った（参考参照）。

「事業内容」の観点からの評価

原則１：政策のねらい・目的が的確でなければならない

原則２：元気な日本復活のために「効果」が見込まれなくてはならない

原則３：政策手法の選択と集中が適切になされなくてはならない

「改革の姿勢」の観点からの評価

原則４：予算配分を大胆に組み替えるという「特別枠」設定の趣旨に合うものでなくてはならない

原則５：各府省は全体としての歳出削減努力を行っていなくてはならない

○　その評価結果は、本資料のとおりである。Ａ～Ｄの評価は、基本的に次のような考え方による。

Ａ：事業の「内容」が積極的に評価できる

Ｂ：事業の「内容」は積極的に評価できるが、「改革の姿勢」等の問題がある

⇒ Ｃ：事業の「内容」に一定の評価はできるが、「改革の姿勢」等の問題が大きい

Ｄ：事業の「内容」での評価が困難

なお、予備費・補正予算で措置された事業については、措置された部分を含めた全体としての評価である。また、それぞれの評価をするにあたっての「条件」、同評価を踏まえた今後の予算配分にあたっての「留意事項」を必要に応じて合わせて付記した。

2006	徘徊・見守りSOSネットワーク構築事業	985	厚生労働省	A (補正措置済)	
2007	最低賃金引上げに向けた中小企業への支援事業	6,212	厚生労働省	B	相談事業の効率化、地域別支援策に係るスキームの見直し(業務改善等に資する取組への助成に重点化)が条件
2008	貧困・困窮者の「絆」再生事業	7,600	厚生労働省	A (補正措置済)	
2009	生活・居住セーフティネット支援事業	6,000	厚生労働省	A (補正措置済)	
2010	子宮頸がん予防対策強化事業	14,960	厚生労働省	A (補正措置済)	
2011	働く世代への大腸がん検診推進事業	5,505	厚生労働省	B	事業実施に係るスキームの見直しが条件
2012	国民の安心を守る肝炎対策強化推進事業	3,853	厚生労働省	B	肝炎検査の受検者の拡大を行う場合には、既存事業との統合が条件
2013	不妊に悩む方への特定治療支援事業	11,943	厚生労働省	B	負担の重い多数回数治療者に支援を重点化することが条件
2014	健康長寿社会実現のためのライフ・イノベーションプロジェクト	23,263	厚生労働省	C	総合科学技術会議の評価を踏まえた対応を行うことが条件
2015	平和を祈念するための硫黄島特別対策事業	1,559	厚生労働省	A (補正措置を含む)	硫黄島に基地を有する自衛隊との協力を拡充すること等により、可能な限り効率化を図ることが必要
2101	「農業者戸別所得補償制度」のうち「畑作物の所得補償交付金」	108,017	農林水産省	B	要求部分、対象作物、単価、加算措置について見直しを行うことが条件
2102	戸別所得補償実施円滑化基盤整備	23,826	農林水産省	B	本事業に相当するもの以外の農業農村整備事業に係る要求部分の大幅削減が条件
2103	森林・林業再生プラン推進総合対策	43,094	農林水産省	B (補正措置を含む)	森林整備事業に係る要求部分の大幅削減が条件
2104	農林水産「新成長戦略」対応基盤整備(農山漁村地域整備交付金)	13,737	農林水産省	C	
2201	低炭素社会を実現する新材料パワー半導体プロジェクト ～グリーンイノベーション～	2,000	経済産業省	A (補正措置済)	
2202	低炭素社会を実現する超低電力デバイスプロジェクト ～グリーンイノベーション～	1,800	経済産業省	B (補正措置を含む)	
2203	低炭素社会を実現する超軽量・高強度革新的融合材料 プロジェクト ～グリーンイノベーション～	1,240	経済産業省	A (補正措置済)	

23ページ

参　考

元気な日本復活特別枠要望に関する評価の基本方針

（平　成　２２年　１１月　４日
元気な日本復活特別枠に関する評価会議決定）

1．要望評価の5原則

元気な日本復活特別枠に関する評価会議（以下、「評価会議」という。）は、「特別枠」要望に関する政策の優先順位付けにあたり、個別の要望事業ごとに、優先度の高い順にA、B、C、Dの評価を付けることとする。

その際、既存予算における不要不急な事務事業を見直し、元気な日本の復活につながる新たな政策、効果の高い政策に重点配分することにより、大胆な予算の組み替えを実現するという「特別枠」の本来の趣旨を十分に踏まえ、「事業内容」及び「改革の姿勢」という2つの観点から、以下に定める「要望評価の5原則」を重視して、総合的に評価する。

「事業内容」の観点からの評価

原則1：政策のねらい・目的が的確でなければならない

（評価のポイント）
①現状把握と問題点の整理がなされ、その対応として適切な事業であると評価できるか
②緊要性はあるか（来年度予算でどうしても必要か）
③民間や地方に委ねるのではなく、国の責務として行うべきものであるか

原則2：元気な日本復活のために「効果」が見込まれなくてはならない

（評価のポイント）
①事業のねらいに沿った効果が十分に見込まれるか
　[新成長戦略関連]：デフレ脱却、経済成長ないし雇用拡大に十分つながるか（需要・雇用の創出効果が十分見込まれるか）
　[国民生活の安定・安全関連]：国民生活のリスクの軽減に十分つながるか
　[人材育成・新しい公共関連]：人材育成、新しい公共の推進に十分つながるか
　[マニフェスト施策関連]：当該マニフェスト施策を的確に実現するものか
②見込まれる効果に対してコストがかかり過ぎていないか
③国民に幅広く裨益する効果が見込まれるか（限定された特定の人々のみが受益するものではないか）

原則3：政策手法の選択と集中が適切になされなくてはならない

（評価のポイント）
①規制改革や政策金融、税制を含めた政策手段の中で、最適な手段を選択しているか
②他府省の事業を含め、他の事業との重複、矛盾はないか（関連事業間での調整がとれているか）
③関連する政策の全体像を描いたうえで、当該事業が適切に位置づけられているか（場当たり的な手法となっていないか）
④後年度負担のあり方を含め、複数年にまたがる政策の全体計画が適切に設計されているか。

「改革の姿勢」の観点からの評価

原則4：予算配分を大胆に組み替えるという「特別枠」設定の趣旨に合うものでなくてはならない

（評価のポイント）
①予算の組み替えにつながる新規性が十分にあるか（従来からの予算の単なる付替えとなっていないか）
②庁費、人件費等が中心であり、既存予算の中での優先順位の見直しで対応できるものではないか
③事業仕分け等で指摘された事業の出し直しではないか

原則5：各府省は全体としての歳出削減努力を行っていなくてはならない

（評価のポイント）
①査定大臣として求められている既存予算の削減努力は十分か
②「3倍要望」の場合には、恒久的な歳出削減措置を講じているか

（注1）「特別枠」要望の評価付けに当たっては、既存予算（要求）の削減による財源捻出等を条件として付記することがある。

（注2）「特別枠」要望について、平成22年度の「経済危機対応・地域活性化予備費」又は「補正予算」で措置された事業で、所管府省において23年度の予算措置が不要と判断する場合には、その趣旨を踏まえた評価を付することとする。

2．今後の進め方

(1)　「特別枠」要望に関する政策の優先順位付けの「素案」は、「作業チーム」において作成する。
(2)　「評価会議」は、当該「素案」を検討し、11月下旬～12月初に「評価会議」としての優先順位付けを確定のうえ、予算編成に関する閣僚委員会に報告する。

予算関連

今年度補正予算案を閣議決定、医療・介護などに 1.2 兆円

政府は 10 月 26 日、5.1 兆円の経済対策を盛り込んだ今年度補正予算案を閣議決定した。厚生労働省によると、このうち医療・介護分野などに 1 兆 2225 億円を計上。地域医療再生基金の拡充に 2100 億円、子宮頸がんなどの予防ワクチン接種の促進に 1085 億円などを充てた。

厚労省によると、地域医療再生基金の拡充に 2100 億円を充て、最先端で高度な技術を提供する三次医療圏に交付する。三次医療圏は、北海道を 6 区域とするほかは、各都府県を 1 区域とする計 52 の区域。各三次医療圏に一律に 15 億円を交付（計 780 億円）し、残りの 1320 億円はそれぞれが策定する地域医療再生計画に基づいて交付する。

子宮頸がん予防ワクチン（HPV ワクチン）、インフルエンザ菌 b 型（ヒブ＝Hib）ワクチン、小児用肺炎球菌ワクチンの地方自治体の接種事業には 1085 億円を充て、財政支援を各都道府県に行う。各都道府県はそれぞれ基金を設置し、実施主体である各市町村に対して助成を行う。接種費用は来年 1 月から、国と各市町村がそれぞれ半分ずつ負担する。所得制限を設けるかどうかについて厚労省の担当者は、「今後、まだ制度的に詰めていく必要がある」として明言を避けている。

介護分野では、来年度予算概算要求の「特別枠」に計上した「24 時間地域巡回・随時訪問サービス事業」の年度内の前倒し実施分として 1.5 億円を充当。年度内にモデル事業を約 30 か所前倒しで実施する。

また、在宅や特別養護老人ホーム（特養）などにおいて、たんの吸引といった医療的ケアを行う介護職員の研修体制の整備に 2.8 億円を充てたほか、認知症高齢者グループホームの改修支援経費などとして 302 億円を計上した。

（ 2010 年 10 月 26 日 16:33 キャリアブレイン ）

特定疾患医療受給者証交付件数

※平成22年3月31日現在

疾患名	平成20年度		平成21年度	
	増加数	件数	増加数	件数
ベーチェット病	420	17,346	347	17,693
多発性硬化症	777	13,435	792	14,227
重症筋無力症	806	16,431	694	17,125
全身性エリテマトーデス	1,251	56,272	981	57,253
スモン	−47	1,804	−48	1,756
再生不良性貧血	139	9,301	178	9,479
サルコイドーシス	693	19,279	871	20,150
筋萎縮性側索硬化症	292	8,285	207	8,492
強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎	1,995	39,970	1,678	41,648
特発性血小板減少性紫斑病	−212	22,945	−92	22,853
結節性動脈周囲炎	706	6,459	726	7,185
潰瘍性大腸炎	7,728	104,721	8,585	113,306
大動脈炎症候群	141	5,489	83	5,572
ビュルガー病	−161	7,789	−198	7,591
天疱瘡	256	4,341	216	4,557
脊髄小脳変性症	1,165	22,239	994	23,233
クローン病	1,917	29,301	1,590	30,891
難治性の肝炎のうち劇症肝炎	−5	257	9	266
悪性関節リウマチ	170	5,905	144	6,049
パーキンソン病関連疾患	6,347	98,356	6,044	104,400
1)進行性核上性麻痺	−	−	−	−
2)大脳皮質基底核変性症	−	−	−	−
3)パーキンソン病	−	−	−	−
アミロイドーシス	57	1,323	96	1,419
後縦靱帯骨化症	1,375	27,846	1,445	29,291
ハンチントン病	34	762	34	796
モヤモヤ病(ウィリス動脈輪閉塞症)	648	12,241	644	12,885
ウェゲナー肉芽腫症	140	1,511	96	1,607
特発性拡張型(うっ血型)心筋症	1,122	21,027	1,107	22,134
多系統萎縮症	510	10,737	382	11,119
1)線条体黒質変性症	−	−	−	−
2)オリーブ橋小脳萎縮症	−	−	−	−
3)シャイ・ドレーガー症候群	−	−	−	−
表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型)	−10	323	6	329
膿疱性乾癬	61	1,599	36	1,635
広範脊柱管狭窄症	222	3,635	351	3,986
原発性胆汁性肝硬変	908	16,112	944	17,056
重症急性膵炎	−8	1,131	54	1,185
特発性大腿骨頭壊死症	545	12,802	514	13,316
混合性結合組織病	370	8,658	358	9,016
原発性免疫不全症候群	17	1,117	45	1,162
特発性間質性肺炎	405	5,020	661	5,681
網膜色素変性症	679	25,435	517	25,952
プリオン病	10	375	49	424
原発性肺高血圧症	117	1140	132	1272
神経線維腫症	287	2,763	227	2,990
亜急性硬化性全脳炎	−1	93	2	95
バッド・キアリ(Budd-Chiari)症候群	−1	241	7	248
特発性慢性肺血栓塞栓症(肺高血圧型)	87	977	128	1105
ライソゾーム病(ファブリー(Fabry)病含む)	88	644	86	730
副腎白質ジストロフィー	−4	167	9	176
合計	32,036	647,604	31,731	679,335