



**第4回「今後の難病対策」関西勉強会
報告書**

**テーマ「未承認薬問題および
難病対策の具体化に向けて」**

- 一部 最近の動向について
- 二部 「未承認薬問題について」
- 三部 「障がい者制度改革推進会議への意見書について」
- 四部 意見交換「難病対策の具体化に向けて」

**開催日時：2010年4月11日（日）
13:15～16:30**

**開催会場：
高槻市総合市民交流センター
4階 第4会議室**

**「今後の難病対策」関西勉強会 実行委員会
(平成22年6月1日報告)**

第4回「今後の難病対策」勉強会 参加者一覧
〔勉強会参加者〕 合計25名

〔特定疾患治療研究事業に該当する疾患の方々〕（計15名）

- ・パーキンソン病 3名
 - ・脊髄小脳変性症・多系統委縮症 2名
 - ・多発性硬化症 2名
 - ・膠原病 1名
 - ・IBD 1名
 - ・ALS 1名
 - ・重症筋無力症 1名
 - ・後縦靭帯骨化症 1名
- (新規に認可された疾患)
- ・間脳下垂体機能障害 3名

〔臨床調査研究分野に該当する疾患の方々〕（計2名）

- ・色素性乾皮症 2名

〔研究奨励分野に該当する疾患の方々〕（計3名）

- ・マルファン症候群 1名
- ・ターナー症候群 1名
- ・遠位型ミオパチー 1名

〔難病施策外の方〕（計3名）

- ・Ⅰ型糖尿病 1名（劇症Ⅰ型糖尿病のみ研究奨励分野）
- ・線維筋痛症 1名
- ・原発性低リン酸血症性くる病 1名

〔その他の方〕（計2名）

- ・認定遺伝カウンセラー 1名
- ・日本患者学会 1名

◎都道府県別

- ・大阪府 16名
- ・京都府 6名
- ・滋賀県 2名
- ・広島県 1名

第4回「今後の難病対策」関西勉強会の開催にあたって

「今後の難病対策」関西勉強会 実行委員長

京都IBD友の会会長 藤原 勝

昨年9月27日に第1回の関西勉強会を開催してから、これまでに3回の関西勉強会を行うことができました。その成果をもとに内閣府の「障がい者制度改革推進会議」に対して、先月意見書を提出いたしました。ちょうど年度末に意見書を提出できるという大変良いかたちで昨年度の活動を終えることができましたと思います。

新年度となり本日が最初の勉強会となります。難病対策を私たち自身のものにするために更に学習を深めて、どのような制度があれば、どのような難病の方に、どのような効果があるのかということ、私たち当事者がもっと具体的に挙げていく必要があるのではないかと思います。ただ「難病を無くせ」というだけで行政にお任せしておけば、バラ色の難病対策が提示されるかといえば、決してそのようなものではありません。私たち当事者が具体的に示していくことが大切であり、また具体的に示すことは私たち当事者しかできないことだと思います。本日のテーマとなっています「難病対策の具体化」というところでは、以上のことをイメージしながらご発言いただければと思います。

今日はその他にも、認定遺伝カウンセラーの方が参加されており、遺伝カウンセラーのことについても紹介していただきます。さらに「未承認薬・ドラッグラグ」の問題も取り上げるなど、たいへん盛り沢山な内容となっております。また本日は勉強会に初めて参加される方や、遠方からお越しになっている方もおられます。新年度の最初にふさわしい充実した勉強会になりますように、ご協力のほどよろしくお願いいたします。

関西勉強会実行委員会より

「今後の難病対策」関西勉強会は、現在15名の実行委員で企画・運営を行っております。今後も実行委員になっていただける方を募集しておりますので、よろしくお願いいたします。またホームページもご参考ください。

〔ホームページのアドレス〕

<http://hp.kanshin-hiroba.jp/kansaistart/pc/>

テーマ「未承認薬問題および

難病対策の具体化に向けて」

一部 最近の動向について

最近の難病関連の動向は非常に早く動いています。勉強会の役割の一つとして、「難病対策」の最近の動向を共有することが挙げられます。今回の勉強会でもテーマに入る前に、難病対策の最近の動向について確認し、意見交換を行いました。

難病対策に関する最近の主な情勢について

- 1、2010年度難治性疾患克服研究事業研究奨励分野第一次公募で181件を採択
- 2、厚労省に難治性疾患対策の検討チームを設置
- 3、「障がい者制度改革推進会議」に総合福祉法に関する部会が設置される(4月27日から)
- 4、「今後の難病対策」関西勉強会が内閣府の障がい者制度改革推進会議に意見書を提出

1、2010年度難治性疾患克服研究事業研究奨励分野第一次公募で181件を採択

難治性疾患克服研究事業の研究奨励分野として昨年11月9日から12月17日に募集した疾患の中から181件の研究テーマが採択されました。採択された疾患名に関しては5～6ページに掲載しています。この研究奨励分野は平成21年度から新たに実施された事業ですが、21年度は第三次募集まであり計177疾患が採択されています。現在、今年度の第二次募集が実施されています(平成22年4月8日～5月11日)。本年度はすでに181件と昨年よりも増えていますが、研究が継続されずに一年限りで終了している疾患もあります。このように一年で終了した研究テーマに関

して、一年でどれだけの成果が出たのか、なぜ継続されずに終了したのか等については、現時点ではわかっておりません。

研究奨励分野

- ◎特に希少性が高く、他の研究資金を得ることが困難であり、企業や研究者の取り組みの対象となりにくいために、未だ実態が不明な疾患が数多くある。
- ◎これまで研究が行われていない難治性疾患について、診断基準の作成、統一的な基準を用いた患者数の把握などを通じ、まずは疾患概念の確立を目指す。
- ◎一定の診断基準がある疾患については、実態把握、統一的な治療指針の作成を目指す。
- ◎なお、出来る限り多くの疾患に研究の機会を設けるため、対象疾患は固定せず、一定期間内に診断基準等を作成いただくとする。

研究奨励分野（平成22年度）第一次募集
 （公募期間：平成 21 年 11 月 9 日～ 12 月 17 日）

遺伝性ポルフィリン症
遺伝性急性進行型歯槽膿漏症候群
遺伝性出血性末梢血管拡張症（オスラー病）遺伝性女性化乳房
遺伝性鉄芽球性貧血
遺伝性脳小血管病（CADASIL、CARASIL）
一過性骨髄異常増殖症
遠位型ミオパチー
家族性寒冷蕁麻疹（FCAS）
家族性低マグネシウム血症（FHHNC）
家族性良性慢性天疱瘡（Hailey-Hailey 病）
歌舞伎症候群
過剰運動（hypermobility）症候群類縁疾患
外リンパ瘻
外胚葉形成不全免疫不全症
褐色細胞腫
肝型糖原病
間質性膀胱炎
急激退行症（21 トリソミーに伴う）
急性大動脈症候群
筋型糖原病
筋チャンネル病
筋強直性ジストロフィー
劇症 1 型糖尿病
血管新生黄斑症
血球貪食症候群
原発性リンパ浮腫
後天性血友病 X III
好酸球性食道炎・好酸球性胃腸炎
好酸球性膿疱性毛包炎
高 IgD 症候群
高グリシン血症
高チロシン血症
骨形成不全症
再発性多発軟骨炎
細網異形成症
自己貪食空胞性ミオパチー
若年性特発性関節炎（全身型）
周産期心筋症
重症・難治性急性脳症
小眼球（症）
症候性頭蓋縫合早期癒合症（クルーゾン / アペール / ファイファー / アントレー・ピクスラー症候群）
小児慢性腎臓病（CKD）
新生児一過性糖尿病（TNDM）

新生児及び乳幼児の肝血管腫
新生児食物蛋白誘発胃腸炎様疾患（N-FPIES）
新生児糖尿病
進行性下顎頭吸収（PCR）
進行性心臓伝導障害（CCD）
腎性尿崩症
瀬川病
性分化異常症
成人型分類不能型免疫不全症（CVID）
脆弱 X 症候群
脊髄障害性疼痛症候群
脊柱変形に合併した胸郭不全症候群
先天性 QT 延長症候群
先天性筋無力症候群
先天性高インスリン血症
先天性赤芽球癆（Diamond Blackfan 貧血）
先天性大脳白質形成不全症
先天性無痛症（HSAN4 型、5 型）
先天性両側小耳症・外耳道閉鎖疾患
先天性顆粒放出異常
先天白内障
早期再分極（early repolarization）症候群
総排泄管残存症
多発性内分泌腫瘍症
胎児仙尾部奇形腫
単純性潰瘍 / 非特異性多発性小腸潰瘍症
胆道閉鎖症
致死性骨異形成症
中性脂肪蓄積心筋血管症
中條 - 西村症候群
長鎖脂肪酸代謝異常症
低ホスファターゼ症
道化師様魚鱗癬
特発性角膜内皮炎
特発性局所多汗症
特発性周辺部角膜潰瘍
那須ハコラ病
内臓錯位症候群
軟骨無形成症
難治性遺伝性不整脈
難治性川崎病
難治性血管腫・血管奇形（混合血管奇形など）
難治性脳形成障害症
難治性不育症
難治性慢性好酸球性肺炎
難治性慢性痒疹・皮膚掻痒症
難治頻回部分発作重積型急性脳炎
乳児ランゲルハンス組織球症
乳児期 QT 延長症候群

乳児特発性僧帽弁腱索断裂
肺静脈閉塞症
肺胞蛋白症
白斑
反復泡状奇胎
肥厚性硬膜炎
肥大性皮膚骨膜炎
非もやもや病小児閉塞性脳血管障害
封入体筋炎
芳香族アミノ酸脱炭酸酵素欠損症
慢性活動性 EB ウイルス感染症
慢性偽性腸閉塞症
牟婁病 (紀伊 ALS/PDC)
毛細血管拡張性小脳失調症 (AT)
優性遺伝形式を取る遺伝性難聴
両側性蝸牛神経形成不全症
膠様滴状角膜変性症
鰓弓耳腎 (BOR) 症候群
アトピー性脊髄炎
アラジール (Alagille) 症候群
アレキサンダー病
アンジェルマン症候群 (AS)
インターロイキン 1 受容体関連キナーゼ 4(IRAK4) 欠損症
ウエルナー (Werner) 症候群
ウォルフヒルシュホーン症候群
エーラスダンロス症候群
エマヌエル症候群
オピッツ三角頭蓋症候群
オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症
カルバミルリン酸合成酵素欠損症
コケイン症候群
コステロ症候群
コハク酸セミアルデヒド脱水素酵素欠損症
サクシニル-CoA:3-ケト酸 CoA トランスフェラーゼ欠損症
ジストニア
シトリン欠損症
シャルコー・マリー・トゥース病
セピアプテリン還元酵素欠損症
ソトス症候群
チロシン水酸化酵素欠損症
トゥレット症候群
ヌーナン症候群
バルデー・ビードル症候群
ビオチン代謝異常症
ビッカースタッフ型脳幹脳炎
フェニルケトン尿症
フックス角膜内皮変性症

プラダー・ウイリー症候群 (PWS)
プロピオン酸血症
ベスレムミオパチー
ヘモクロマトーシス
マリネスコ-シェーグレン症候群
マルファン症候群
ミクリッツ病
メチルマロン酸血症
ヤング・シンプソン症候群
リンパ管腫
リンパ浮腫
レリーワイル症候群
ロイス・デイツ症候群 (LDS)
14 番染色体父性片親性ダイソミー関連疾患
22q11.2 欠失症候群
DiGeorge (ディジョージ) 症候群
Aicardi-Goutières 症候群 (AGS)
Aicardi 症候群
ATR-X (X 連鎖 α サラセミア・精神遅滞) 症候群
Beckwith-Wiedemann 症候群 (BWS)
Brugada 症候群
Calciphylaxis
Carney 複合
CFC 症候群
Charcot-Marie-Tooth 病
CHARGE 症候群
CINCA 症候群
CNP/GC-B 系異常による新規骨系統疾患
EEC 症候群
Ellis-van Creveld 症候群
Galloway-Mowat 症候群
Gorlin 症候群
IgG4 関連全身硬化性疾患
IgG4 関連多臓器リンパ増殖性疾患 (MOLPS)
Microscopic colitis
Mowat-Wilson 症候群
Muckle-Wells 症候群 (MWS)
Pelizaeus-Merzbacher 病
Perry (ペリー) 症候群
Rett 症候群
Rubinstein-Taybi 症候群
Shwachman-Diamond 症候群
Silver-Russell 症候群 (SRS)
TNF 受容体関連周期性症候群 (TRAPS)
Usher 症候群
VATER 症候群
von Hippel-Lindau 病
Wolfram 症候群
β -ケトチオラーゼ欠損症

2、厚生労働省に難治性疾患対策の検討チームを設置

厚生労働省に「難治性疾患対策の在り方に関する検討チーム」が設置されることになりました。まだ具体的なことは何もわかっていませんが、厚生労働省の足立信也政務官から記者会見で発表があったという段階です。

現在、難病対策を検討する会議は厚生労働省の方に厚生科学審議会疾病対策部会の「難病対策委員会」があり、今回また新たに「難治性疾患対策の在り方に関する検討チーム」ができるということです。それから現在進行している内閣府の方に「障がい者制度改革推進会議」があり、この会議でも難病に関する検討が行われています。

「障がい者制度改革推進会議」は内閣府で、その他の2つは厚生労働省ですので、縦割り行政の中でこれら3つの会議がうまくかみ合っていくのかどうか、ひとつの課題になってくるのではないかと思います。これらが難病対策としてうまくまとまっていくためにも、患者団体の要望や声が大切になってくるのではないかと思います。

3、「障がい者制度改革推進会議」に総合福祉法に関する部会が設置される

内閣府の「障がい者制度改革推進会議」において、障害者権利条約の批准、障害者自立支援法の廃止と新法制定などに向けて検討しています。今夏をめどに制度改革の

骨格を取りまとめる予定です。

平成22年1月12日に第1回「障がい者制度改革推進会議」が開催されて以来、4月12日に第7回の会議が行われ、大きな15の柱については一巡しました。4月19日には12団体からヒアリングが行われ、4月26日には各省庁からヒヤリングが行われます。

今回、「障がい者制度改革推進会議」に「総合福祉部会」が設置されることになり、総合福祉部会のメンバー（55名）も発表されました。その中には日本難病・疾病団体協議会（JPA）からの難病患者の代表も含まれています。総合福祉部会では障害者に係る総合的な福祉法制の制定に向けた検討を行います。

第1回の総合福祉部会は4月27日午後から厚労省講堂で行われる予定です。

※第1回「総合福祉部会」議題

- (1) 部会の運営等について
- (2) 障がい者総合福祉法（仮称）制定までの間において当面必要な対策について
- (3) その他

4、「今後の難病対策」関西勉強会が内閣府の障がい者制度改革推進会議に意見書を提出

この「今後の難病対策」関西勉強会からの意見書に関しては、第三部「障がい者制度改革推進会議への意見書について」で報告させていただきます。

下表に最近の難病対策に関する動きをまとめました。

最近の難病対策に関する動き（3月・4月）	
2010年 3月1日	<p>第4回「障がい者制度改革推進会議」の開催 〔議題〕</p> <ul style="list-style-type: none"> (1) 雇用について (2) 差別禁止法について (3) 虐待防止法について (4) その他
3月2日	<p>難治性疾患対策の検討チーム設置へ—厚労省</p> <p>足立信也厚生労働政務官は3月2日の政務三役会議後の記者会見で、難治性疾患対策の在り方を検討するチームを設置することを明らかにした。</p>
3月19日	<p>第5回「障がい者制度改革推進会議」の開催 〔議題〕</p> <ul style="list-style-type: none"> (1) 教育について (2) 政治参加について (3) 障害の表記について (4) その他
3月21日	<p>第14回「今後の難病対策」勉強会の開催</p> <p>場所：YKBマイクガーデン3F「東京在宅サービス」会議室 テーマ：「難病・慢性疾患と障害—制度の谷間をなくすために」</p>
3月21日	<p>「今後の難病対策」関西勉強会は、内閣府の障がい者制度改革推進会議に意見書を提出</p>
3月25日	<p>2010年度難治性疾患克服研究事業研究奨励分野第一次公募（昨年11月～12月）で189疾患が採択されていることが、3月25日に行われた第56回厚生科学審議会科学技術部会の資料で判明</p> <p>また、二次公募はこの採択された疾患以外の疾患で、</p> <ul style="list-style-type: none"> (1) 疾病の診断基準等の作成のための症例研究（1年以内） (2) 疾病の治療指針等の作成のための症例研究（1年以内） <p>のいずれかで募集。募集期間は4月～5月</p>
3月30日	<p>第6回「障がい者制度改革推進会議」の開催 〔議題〕</p> <ul style="list-style-type: none"> (1) 司法手続きについて (2) 障害児支援について (3) 医療について (4) その他 <p>* 日本難病疾病団体協議会は「医療」に関する要望書を提出、当日の資料として配布された。</p>

最近の難病対策に関する動き（3月・4月）	
4月4日	<p>日本難病・疾病団体協議会第9回幹事会の開催 会場：東京海員会館「会議室」 〔議題〕</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 第6回総会開催・総会議案について 2. 2010年国会請願行動について 3. 専従事務局体制と財政確立について 4. 障害者制度改革への対応について 5. その他
4月5日	<p>日本難病・疾病団体協議会（JPA）が各省庁と交渉</p> <ul style="list-style-type: none"> ・総務省（低料第3種郵便への規制問題） ・内閣府（障害者制度） ・厚生労働省
4月10日	<p>平成22年度難治性疾患克服研究事業の第一次公募結果が正式に公開された http://www.mhlw.go.jp/bunya/kenkou/nanbyo/dl/100408-1a.pdf 臨床調査研究分野38件、重点研究分野20件、横断的基盤研究分野12件、研究奨励分野181件。研究代表者名、所属研究機関、役職、採択課題名が記載されている。</p>

〔JPAの各省庁との交渉関連報告〕

上表にもあるように4月5日に日本難病・疾病団体協議会（JPA）が総務省・内閣府・厚生労働省と交渉を行いました。

〔第1班〕総務省（情報流通行政局郵政行政部郵便課）

低料第3種の趣旨は当事者同士の交流にあり、医師や保健所への配布、啓発活動までは及んでいない。有料購読80%という数値は本来100%であるが、寄稿者らに進呈することを配慮して出てきた数値である。運用面については患者団体の事情を考慮し郵便事業会社と協議するとのこと。

〔第2班〕内閣府（障がい者制度改革推進会議担当室）

前述のように「総合福祉部会」を設置する。特に福祉・医療の両面から障害者の定義や範囲が主要な議論となるとのこと。

〔第3班〕厚労省（健康局疾病対策課）

難病対策委員会の開催回数を増やす方向で進めている。また前述の足立政務官が発言した検討チームの設置にむけて具体的に進めているとのこと。就労支援では特に研修の面を支援したい。研究奨励分野は公募を継続し、質の良い研究ができるようにしていきたい。また重症難病患者への支援策について現在、難病拠点病院からデータ収集中である。

〔第4班〕厚労省（保健福祉局企画課）

特別児童扶養手当の降級、打ち切りが相次いでいる状況、および判定にひどい地域差があることを説明。医師によって決められる判定の在り方の問題を訴えたが、前向きな回答は得られなかった。

◎新たな「難病対策」の3つの動きのまとめ

① 障がい者制度改革推進会議

新政権で発足した「障がい者制度改革推進本部」（本部長・鳩山由紀夫首相）の下に設けられたもので、障害者権利条約の批准、障害者自立支援法の廃止と新法制定などに向けて検討しています。今夏をめどに制度改革の骨格を取りまとめる予定です。構成員（24人）のうち14人が障害者団体の有識者（障害当事者とその家族）が占めています。

※今後さらに「総合福祉部会」でも障害者に係る総合的な福祉法制の制定に向けた検討が行われます。

② 難治性疾患対策の在り方に関する検討チーム

厚生労働省の足立信也厚生労働政務官は3月2日の政務三役会議後の記者会見で、難治性疾患対策の在り方を検討するチームを設置することを明らかにしました。その具体的な内容はまだわかりませんが、厚生労働省における「今後の難病対策」を検討する新たな枠組みが出来つつあります。

③ 平成22年度難治性疾患克服研究事業における指定研究

厚生労働科学研究費のあり方として、政策が多く国民の理解と納得を得られるよう、企画立案の裏付けとなるような研究を推進することが必要であり、研究の成果を政策立案に的確に活かす仕組みと体制を確立するため、平成22年度より以下の課題を指定研究として実施する。

〔今後の難病対策のあり方に関する研究〕

難病対策委員会と連携し、今後の難病施策のあり方の検討に資するため、主に以下の課題について研究を実施する。

- ア、難病対策委員会での検討を踏まえ、難病施策の課題等について調査し、今後の難病のあり方の検討に資するための調査研究
- イ、難病研究の発展を目指し、例えば臨床研究の支援や研究の評価体制のあり方など難病研究推進の基盤整備に関する研究
- ウ、災害時等における難病に関する健康危機管理体制の研究等

二部 「未承認薬問題について」

治療薬の開発・承認は私たち難病患者にとって希望です。しかし難病であるがゆえに治療薬の開発や承認は難しく、特に海外では承認されているお薬が日本では使えないという「未承認薬問題」は一刻も早く解決すべき問題であるといえます。問題の解決に向けて昨年より大きな動きがあるので、その概要を確認したいと思います。

1. 製薬について

◎ひとつの新薬が生まれるまで（製薬協データブックより）

- ・費用 1000～1500億円程度
- ・期間 9～17年（平均15年程度）
- ・くすりの候補として研究を始めた化合物が新薬として世に出る成功確率
2万1677分の1（2003年～2007年の累計）
（研究を始めた化合物 56万3589 ⇒ 新薬 26）

☆現在、病気は約3万種類あるといわれているが、そのうち治療手段があるのは約4分の1しかない

- ・いまだ有効な治療方法や薬剤がない医療の必要性
…アンメット・メディカルニーズ（満たされていない医療ニーズ）と呼ばれる。

◎製薬過程

- ①基礎研究（2～3年）：薬のもととなる新規物質の発見と創製
- ②非臨床試験（3～5年）：新規物質の有効性と安全性の研究（動物実験）
- ③臨床試験（治験）（3～7年）：人を対象とした有効性と安全性のテスト
 - ・第Ⅰ相試験（フェーズⅠ）：健常成人を対象、薬の吸収や代謝、安全性を検討
 - ・第Ⅱ相試験（フェーズⅡ）：比較的軽度な少数例の患者を対象
有効性・安全性・薬の吸収や代謝などの検討
 - ・第Ⅲ相試験（フェーズⅢ）：実際に使用するであろう患者を対象（大規模）
（数百例以上の規模もある、多施設共同が多い）
有効性の検証や安全性の検討
- ④承認申請と審査（1～2年）
厚生労働省への製造販売の承認申請と専門家による審査
（実際の審査は独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA））
- ⑤承認と発売
厚生労働省による承認
- ⑥製造販売後調査・試験
発売後の安全性や使用法のチェック
 - ・第Ⅳ相試験（フェーズⅣ）：製造販売後臨床試験と呼ばれる
予期せぬ有害事象や副作用を検出する

2. ドラッグラグについて（ラグとは時間のずれのこと）

…新薬が世界で最初に発売されてから日本国内で発売されるまでの時間差のこと。

☆新薬が世界で最初に発売されてから日本国内で使用できるようになるまでの

平均年数 4.7年

（アメリカ1.2年、イギリス1.3年、ドイツ1.4年、韓国3.6年）

◎なぜドラッグラグが生まれるのか

・治験の手続きと審査が厳しい

（1997年「医薬品の臨床試験の実施に基準に関する省令」（新GCP））

※GCP：Good Clinical Practice

・治験の着手が遅い

…審査が遅いこともあるが、実は治験着手の遅れの影響も大きい

（そもそも治験してくれないお薬さえ多くある）

◎なぜ治験の着手が遅れるのか

・市場としての魅力がない（患者数、薬価設定などの問題）

⇒ 日本で開発しても研究開発費の回収が難しい

・治験の環境が十分に整っていない

☆特に希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）は着手が困難

…現状は企業の社会貢献の視点でしか開発できない。

◎世界の多くの国ですでに使用されている医薬品のうち、およそ5分の1の品目が日本では使用できない。

〔これまで行われてきた未承認薬の対策〕

・国際共同治験の推進

・製薬会社への支援

…「一般社団法人未承認薬等開発支援センター」（平成21年5月製薬協にて）

①開発企業に対する未承認薬等の研究・開発・生産における専門的支援

②開発企業の行う承認取得に関する各種業務への支援

③未承認薬の研究・開発・生産等において必要な資金の補助

・治験中核病院、拠点医療機関の体制整備

・審査の迅速化（平成23年度までにドラッグラグを2.5年間短縮を目標）

…GCP省令の見直し

審査機関（PMDA）の人材確保を含む審査体制の充実

・人道的使用（コンパッションエート・ユース）制度の導入？ 等等

☆しかし希少疾患に関しては、治験さえもなかなか行えない。

（特に子供さんの治験は難しい）

…多くの手立てをしても、市場に魅力がなければなかなか開発できない。

3. 未承認薬と適応外薬

☆未承認薬とは

…海外で標準的に使用されている医薬品が、日本で市場にないか開発されていない
(海外にあるのに日本にはないお薬のこと)

☆適応外薬とは

…海外で使用が承認されている病気でも、日本では承認されていない
(日本に薬はあるのに、その病気には使えないお薬のこと)

※国際的に標準とされる医薬品による治療が日本では受けられない！

…承認過程の問題もあるが、主要因は企業が治験や開発に着手しないこと！
(製薬会社の多くは主力商品の特許が切れる 2010 年問題を抱えており、
採算のあわないお薬に手を出す余裕はない)

…どのようにすれば企業が承認申請を行おうとするのかがポイント

◎未承認薬への対応の経緯 (説明は 14 ページをご覧ください)

- 2005 年 厚生労働省に「未承認薬使用問題検討会議」設置
- 2007 年 厚生労働省「革新的医薬品・医療機器創出のための 5 カ年戦略」
…国際共同治験の推進、審査の迅速化の戦略
- 2007 年 厚生労働省「新たな治験活性化 5 カ年計画」
- 2009 年 5 月 製薬協が一般社団法人「未承認薬等開発支援センター」を設立
- 2009 年 5 月 平成 21 年度補正予算 (未承認薬等開発支援事業)
…753 億円 (基金管理団体「未承認薬等開発支援センター」)
- 2009 年 6 月 厚労省が「未承認薬・適応外薬に係る開発の要望の公募」
(2009 年 6 月 18 日～8 月 17 日)
※ 205 の学会や患者団体・個人から 651 の要望が提出
重複をまとめると 374 件の要望となる (未承認薬 89 件、適応外薬 285 件)
- 2009 年 8 月 民主党政権発足
- 2009 年 10 月 補正予算執行停止 (753 億円中適応外薬分の 653 億円を執行停止)
…残る 100 億円は既に開発を決定している未承認薬 14 品目分
- 2009 年 11 月 長妻厚労相が執行停止の適応外薬は 2011 年度予算で開発を進める方針
- 2009 年 11 月 製薬業界に対して要望に係る見解を提出させる (1)
- 2010 年 2 月 8 日 第 1 回「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」
…未承認薬使用問題検討会議と小児薬物療法検討会議を統合
…要望 374 件について、医療上の必要性を評価し、承認申請に必要な
データを明確化することで、製薬企業による開発を促す
…具体的な検討は 7 つの専門作業班で行う。
▽代謝・その他 ▽循環器 ▽精神・神経 ▽抗菌・抗炎症
▽抗がん ▽生物 ▽小児
- 2010 年 2 月 19 日 製薬業界に対して要望に係る見解を提出させる (2)
- 2010 年 3 月 31 日 第 2 回「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」
- 2010 年 4 月 1 日 医療保険診療報酬改定「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」

未承認薬への対応の経緯について、昨年からの流れを13ページの表をもとに説明させていただきます。

昨年5月に研究開発志向型の製薬会社が加盟する団体である日本製薬工業協会（製薬協）が、未承認薬を開発する企業への支援のために一般社団法人「未承認薬等開発支援センター」を設立しました。

同じ昨年5月に平成21年度補正予算として、未承認薬等開発支援事業に対して753億円が計上され、基金管理団体として「未承認薬等開発支援センター」が担うこととなりました。

昨年6月18日～8月17日に、厚労省は「未承認薬・適応外薬に係る開発の要望の公募」を行いました。その結果、205の学会や患者団体・個人から651件の要望が提出され、重複をまとめると374件の要望となりました（未承認薬89件、適応外薬285件）。

未承認薬問題は解決に向けて軌道に乗るかと思われましたが、民主党政権発足後の昨年10月に753億円の補正予算の中で適応外薬分の653億円が執行停止となり、残る100億円は既に開発を決定している未承認薬14品目分に充てられることとなりました。

今年に入り、未承認薬使用問題検討会議と小児薬物療法検討会議を統合した「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」が発足し、2月8日に第1回の会合が行われました。この会議の目的は、要望

があった374件の医薬品について、医療上の必要性を評価し、承認申請に必要なデータを明確化することで、製薬企業による未承認薬等の開発を促すことです。また具体的な検討は7つの専門作業班で行います。（7つの作業班は①代謝・その他、②循環器、③精神・神経、④抗菌・抗炎症、⑤抗がん、⑥生物、⑦小児です）

2月19日には要望があった医薬品の製薬企業に対して、その医薬品の医療上の必要性などの見解を提出させました。医療上の必要性についての要望者の意見と企業を意見を考慮して、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の専門作業班が医療上の必要性に係る評価を行うこととなります。（医療上の必要性に係る基準に関しては、次のページに示します）

3月31日の第2回「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において、専門作業班の検討状況について報告がありました。要望があった374件に対して、検討済みの未承認薬は43件、検討済みの適応外薬は48件であり、まだ検討中や海外での承認状況等の確認中のものが多く残されています。この会議の今後の動きなどに関しては、15ページをご参考ください。

また4月1日より医療保険の診療報酬が改定されており、その中で「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」という制度が施行されています。これに関しては17ページに詳しく示します。

4. 第2回「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（3月31日）

☆要望があった374件に対する医療上の必要性に係る評価の検討状況を報告。

〔未承認薬〕 検討済み43、検討中31、海外承認等を確認中15

〔適応外薬〕 検討済み48、検討中151、海外承認等を確認中86

※下表の「医療上の必要性に係る基準」にしたがって、（1）適応疾病の重篤性についての該当性および（2）医療上の有用性についての該当性について評価します。

…第2回の会議の報告例として、全身性エリテマトーデスに対するエンドキサンに関しては、（1）の重篤性についてはア、（2）の有用性についてはウと評価されています。

◎医療上の必要性に係る基準

（1）適応疾病の重篤性についての該当性

- ア. 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）
- イ. 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ. その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- エ. 上記の基準に該当しない

（2）医療上の有用性についての該当性

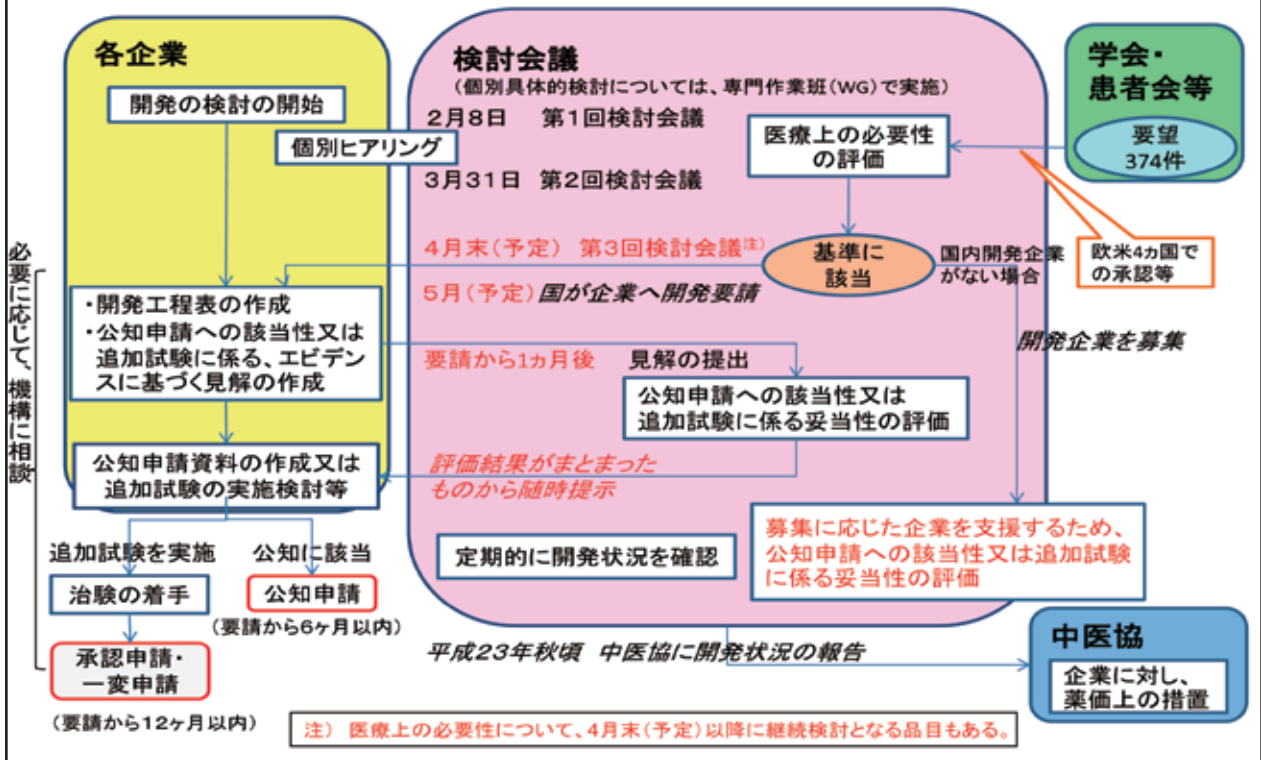
- ア. 既存の療法が国内にない
- イ. 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ. 欧米において標準的療法に位置づけられている
- エ. 上記の基準に該当しない

〔今後の動き〕（説明は16ページをご覧ください）

- ・ 基準に該当したものは、国が企業へ開発要請（5月ごろ）
（国内に開発企業がない場合は開発企業を募集）
- ・ 企業…開発工程表の作成、公知申請もしくは追加試験の見解の作成
〔企業が選択できるのは2つ〕基準に照らし合わせてどちらかを判断
 - ・ 公知申請…科学的根拠があれば新たな治験なしに承認申請を認める
 - ・ 追加試験…新たに治験を実施しなければ承認されない場合⇒ 見解を「検討会議」に提出（要請から1ヶ月後）
- ・ 検討会議は公知申請への該当性 または 追加試験の妥当性を評価（6月末めど）
- ・ 評価結果により企業は公知申請資料の作成 または 追加試験の実施検討
〔企業が着手する期限）
 - ・ 公知申請…特段の理由がなければ開発要請より半年以内に公知申請
 - ・ 追加試験…特段の理由がなければ開発要請より1年以内に治験に着手☆できなければ手痛いお仕置きが待っています（それは後ほど）。
- ・ 検討会議は定期的に開発状況を確認
- ・ その他、開発支援
 - ・ 希少疾病用医薬品指定等により開発支援（オーファンドラッグ）
 - ・ 審議会は必要に応じて、評価報告書等の事前評価等

検討会議における検討の進め方

資料 1



「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の今後の動きについて、上図を参考に説明します。医療上の必要性に係る基準に該当したものは、5月頃に国が製薬会社へ開発要請をします。国内に開発企業がない場合は開発企業を募集します。

開発要請された企業は開発工程表を作成し、公知申請もしくは追加試験の見解を要請から1ヵ月後に「検討会議」に提出します。公知申請の場合、科学的根拠があれば新たな治験なしに承認申請が認められます。なお新たに治験を実施しなければ承認されない場合は追加試験を実施することになります。

「検討会議」は6月末をめぐりに公知申請への該当性または追加試験の妥当性を評価し、評価結果がまとまったものから企業に

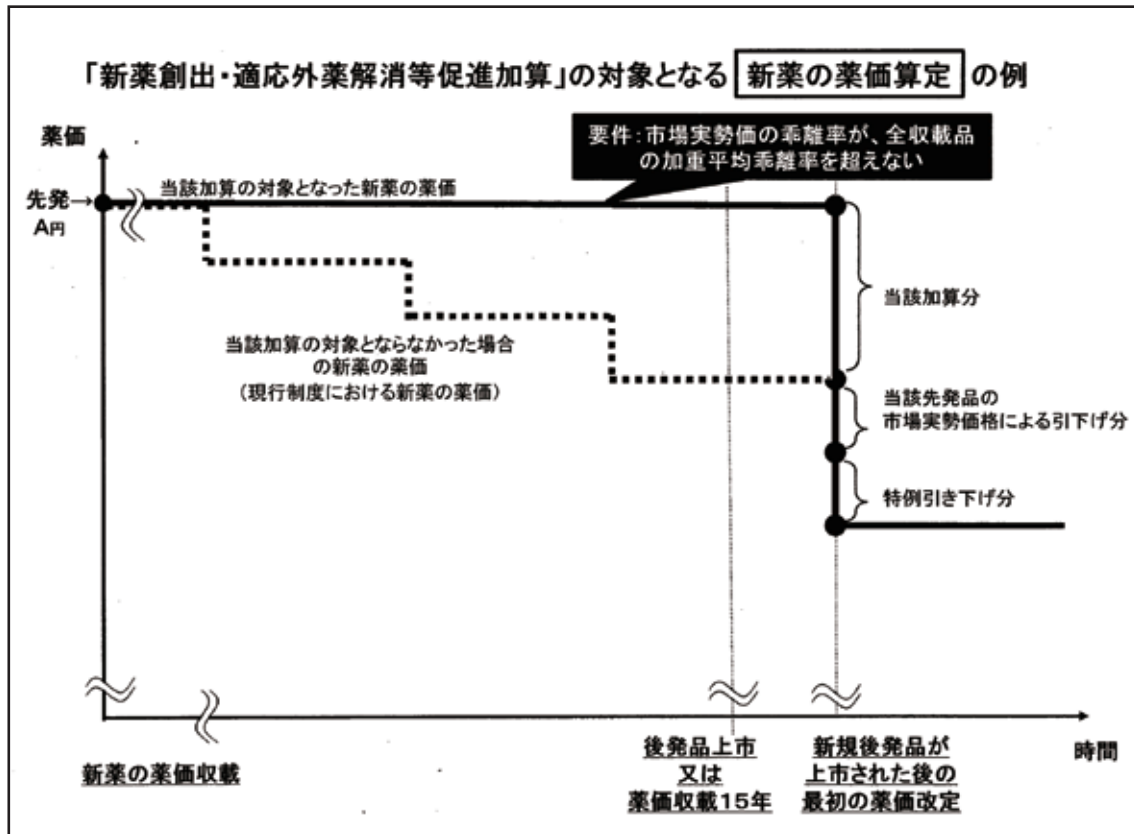
提示します。評価結果により企業は公知申請資料の作成または追加試験の実施検討を行います。

企業には着手するまでの期限が設けられており、公知申請の場合は特段の理由がなければ開発要請より半年以内に申請する必要があります。追加試験の場合は特段の理由がなければ開発要請より1年以内に治験に着手する必要があります。できなければ17ページに示します手痛いお仕置きが待っています。その後も「検討会議」は定期的の開発状況を確認します。

その他の未承認薬開発支援としては、希少疾病用医薬品指定等（オーファンドラッグ）による開発支援や、審査機関である医薬品医療機器総合機構（PMDA）の治験相談や優先審査が行われています。

5. 医療保険診療報酬改定「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」の試行

…実質的な試行期間は次の診療報酬の改定議論が始まるまで（約1年半）、この間に効果が発揮されていると判断されれば2012年度以降も継続され、効果が無いと判断されれば加算は終了、打ち切りとなります。



◎通常薬価は2年毎の診療報酬の改定のたびに引き下げられます(上表の破線)。しかし「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の要請に応じて、期限を守って公知申請もしくは治験に着手した場合に、後発品(ジェネリック)のない新薬の薬価を引き下げないというのが「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」です(上表の実践)。そのかわり後発品が市場に出た場合には、それまでの加算分を一括して引き下げるようになります。…飴とムチの政策

- ・ジェネリックがない場合…薬価を維持することにより企業の利益が増えるので、その分を未承認薬の解消や新薬の創出に利用する。
- ・ジェネリックがでた場合…一挙に薬価が下がるので、ジェネリックへの移行が促進される。

〔加算の対象となる新薬の範囲〕

- ・ジェネリックが市場に出ていない新薬(ただし薬価収載後15年以内)
- ・値引き率の小さいもの…値引きが大きいと新薬創出には寄与できなくなるため。

※今年4月に促進加算の対象となったお薬は337成分624品目
(外資系の企業が上位を占める)

〔製薬会社へのペナルティ〕

- ・「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の要請を受けても、開発を積極的に進めない企業は対象医薬品があっても、加算が適用されません。
- ・すでに加算を適用した医薬品を持っていた場合は、次の薬価改定で加算対象品目から加算分を追加引き下げして返すほか、自社のすべての医薬品の薬価も追加で引き下げることとなります。

〔「促進加算」の予算〕

- ・「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」2010年度予算

約700億円

- ・ジェネリックへの移行による引き下げ

▲約600億円

(差し引きすると約100億円かかるということになります)

※今後はジェネリックの引き下げ効果が大きくなるので、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」の導入は、必ずしも医療費を増大させるとは限らないとしています。

☆以上のように「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」と「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」は連動して動いていきます。製薬会社は「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」を歓迎しており、2012年以降も加算が継続され恒久化することを望んでいます。加算が継続されるためには、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」から要請された未承認薬および適応外薬については、製薬企業が一丸となり対応していく必要があります。

☆その結果、未承認薬や適応外薬として置き去りにされている難病の治療薬が、日本国内においても保険適応されることを望みます。ただし同じ薬であっても治験を行った結果、非常に薬価が高くなる事例があります。せっかく保険適応されても高価であるがために使用できない状況が起これば意味がありません。やはり安心して治療を継続することができる医療費の助成制度が不可欠であると思います。

☆さらに「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」は新薬を創出するための財源を捻出することや、後発品（ジェネリック）への移行を促進して医療費を抑える効果も狙っています。難病の治療薬に関しては未承認薬や適応外薬の問題のみならず、まだまだ原因を探る基礎研究や新薬の開発が必要です。ひとつの新薬が生まれるまでの費用が1000億円以上かかることを考えると、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」だけで解決することは不可能です。企業だけの力だけではなく、もっと国の施策として難病の研究や治療薬の開発を積極的に推し進めなければなりません。また後発品（ジェネリック）に関しても、医療や患者側から信頼感を得られるように努めていただきたいと思います。

【意見交換】

◎マルファン症候群

高血圧の改善のために使っているお薬がマルファン症候群の血管に効くのではないかとされています。現在は米国での治験結果を待っている状況で、その治験が終わった後にまた日本人に適応できるかどうかの治験があって、それでようやく患者に投与されることとなります。しかし進行していく病気なので“良い”といわれるお薬は使用したいわけです。それで現在は、患者が主治医に相談して「それでは高血圧のお薬を用いる場合は、こちらのお薬を使用しましょう」というような形で使っています。

患者会として、良さそうなお薬があれば待っていた方がいいのか、それとも活動してもっとアピールした方がいいのか、皆さんはどのようにしておられるのかお聞きしたいです。

◎線維筋痛症

線維筋痛症のお薬の場合は、現在保険適応になるお薬はひとつもなく、第1号を現在治験中です。リリカ（一般名：プレガバリン）というファイザー社のお薬ですが、既に欧米やアジアでも中国や韓国では既に広く使われていて、患者への効果も実証されているのに、日本でだけ保険適応されていない状態です。

以前に私たちは患者会として製薬会社へ要望に行きました。その話し合いではやはり「市場規模の小さいお薬は作れない」と

言われてしまいました。その当時、ファイザー社では禁煙用のお薬の開発に力を入れていて、市場としてはそちらの優先順位が高いということです。また「製薬会社だけではなく、患者団体から厚生労働省や学会へも働きかけていただきたい。行政から指導があれば製薬会社としても開発しやすくなる」というお話でした。

次に患者会として厚生労働省とも交渉した結果、厚労省の「未承認薬使用問題検討会議」より「リリカ」の治験準備を早期に開始するよう製薬会社に働きかけることとなりました。ファイザーとしても禁煙用のお薬の開発に目途がたったこともあるかもしれませんが、製薬会社と厚生労働省の両方に交渉する必要があるのではないかと思います。

◎パーキンソン病

ヨーロッパなどにも行って勉強しましたが、パーキンソン病のお薬にも海外では使用できるのに、日本では承認されていないお薬が多くあります。日本では過去に薬害事件があり、厚労省がお薬の承認にすごく敏感になっていると思います。

また日本の場合、お薬の用量の種類も少なく、海外では1錠のお薬を分割したのも製品として出ています。パーキンソン病の場合、分割して使用すれば症状が安定するということがあります。このようなことも患者会だけではなく有志でインターネットを利用すれば情報交換が活発にできます。

その中には海外の情報を翻訳できる方もおられますので、欧米の情報も得られます。ヨーロッパの患者団体では、製薬会社を巻き込んで寄付金などもいただいて活動をしておられます。

☆お薬の問題で疾患別に整理してみます。

- ①ほとんど治療薬がない場合
- ②海外で開発された新薬が、何年か経って日本で承認されている場合
- ③海外ではすでに実績のあるお薬が、何年たっても日本では開発されない場合

①ほとんど治療薬がない場合

◎色素性乾皮症（XP）

研究に関しては難治性疾患克服研究事業（臨床調査研究分野）の研究班が立ち上がっていますが、神経症状がなぜ出るのかといった原因はまだわかりませんし、そのためのお薬は何もありません。

現在あるのは湿疹のためのお薬とか、皮膚がんをとるといった対症療法のみで、色素性乾皮症そのものの治療薬はありません。

◎マルファン症候群

先ほど述べたように、既存薬で血管の拡張を抑えられるのではないかというお薬が米国で治験中ですが、治験がうまくいかなかった場合は何もありません。

手術で対応している部分はありますが、

治療薬の研究はほとんど進んでいない状況です。

◎後縦靭帯骨化症

厚生労働省の研究班が中心となって、日本で200例の兄弟姉妹のゲノム（染色体の遺伝子情報）を解析することにより病気の原因を解明し、その結果から治療薬や治療法開発のきっかけにするという構想を、はっきりと患者会に出してくれています。現在2年がかりになっていますが研究班のゲノム提供候補者収集活動に患者会が協力しています。

特定疾患医療受給者証の個人情報保健所など公的機関が持っていますので、保健所主催の会合にお願いしてオブザーバー参加させてもらい、患者会に所属しているか否かにかかわらずゲノム研究への参加を幅広く呼び掛けた結果、協力者を集めることに一部で成功しております。これらの活動も一部手助けとなり、あと一歩という段階まで収集が出来つつあるという状況です。

後縦靭帯骨化症は日本で発見されて、日本で手術法などが開発発展してきましたので、海外で治療方法が開発される可能性は少ないようです。手術では運動障害の改善や、痛みやしびれは緩和できますが根本治療ではありませんので、原因を解明して根本治療に結びつけるためには、厚労省の研究班との関わりも非常に大切と考えます。

②海外で開発された新薬が、何年か経って日本で承認されている場合

◎IBD

最近、生物学的製剤としてはレミケード（一般名：インフリキシマブ）やヒュミラ（一般名：アダリムマブ）など、免疫抑制剤としてはプログラフ（一般名：タクロリムス水和物）など効果的なお薬の恩恵を受けている疾病が出てきています。

この場合のドラッグラグは医薬品医療機器総合機構（PMDA）の人員を増やすなど、厚労省も積極的に対応しているように思います。その結果ドラッグラグも短縮しつつあります。

③海外ではすでに実績のあるお薬が、何年たっても日本では開発されない場合

◎線維筋痛症

例えば「うつ病」「てんかん」など、実際とは異なる病名をつけて、お薬を処方してもらって体調を維持することがあります。カルテ上の病名と実際の病名が違うことに対して、医師とコミュニケーションがとれて理解しながら治療している方と、そうでない方がおられます。

また適応外薬の使用に関して監査が入り、患者側のお薬代が十割負担になった病院がありました。これは線維筋痛症だけの問題ではなく、多くの病気に関わることだと思います。このように適応外薬は患者の治療基盤を危うくするというか、非常に不安定な面があります。

◎膠原病

お薬は処方されますが、膠原病のために開発されたお薬ではない適応外薬を多くの方が使用しています。例えば、抗リウマチ薬と呼ばれる関節リウマチのためのお薬は世の中に多くあります。膠原病は関節リウマチの親戚なのですが、膠原病の病態は複雑であるために関節リウマチに効果があるお薬を膠原病患者で治験をしても、うまく治験結果が得られない状況が続いています。そのために個々の病態に応じたお薬を適応外薬ではありますが使用しているのが現状です。

◎原発性低リン酸血症性くる病

末期がんの方に処方されるようなお薬を使用しているので、誓約書を提示しなければお薬をもらえないほど厳しくなっています。今後さらに適応外薬を利用する場合には、厳しくなってくるのではないかと懸念しています。

◎パーキンソン病

富山の薬売りというのは非常に有名なのですが、なぜ難病に関して日本で開発されたお薬は少ないのでしょうか。パーキンソン病に関して、日本で開発されたお薬は2種類しかありません。民間療法も含めて「難病研究センター」を日本に創って、もっと積極的にお薬の開発ができないものかと思います。

☆お薬の開発は非常に多くのお金と時間がかかります。それが例えば治験のフェーズⅢの段階で失敗すれば、それまでの莫大な投資が無意味に終わってしまう博打のような世界であるとも言われています。

☆そのなかで資本力のある製薬会社が新薬開発に関して強くなります。資本力のある製薬企業としてはファイザーやグラクソ・スミスクラインなど海外企業が上位を占めて、日本の企業で最も大きい武田薬品は世界では15位程度ということです。世界ランキングでみると日本の製薬企業はかなり低いために、日本では製薬企業の合併が進み、資本力をつけて新薬を開発していかなければならない状況にあります。そうでなければ製薬業界の勝ち残り競争の中で生きていけないこととなります。やはり現状では日本は新薬開発に関しては強い立場ではないようです。

☆また米国などは国が多額の研究費を出していますが、日本では思うように研究費が出ない状況です。また去年は民主党の事業仕分け作業によって研究費が削減されるということで、京都大学の山中教授やノーベル賞の受賞者などがかなり抗議されて、結果的には維持されることになりました。治療薬の開発の見込みがない疾患に関しては、患者団体でもっと国に対して研究費を増やすような働きかけをする必要があるのではないかと思います。

☆新薬の承認に関しては「早ければ早いほどいいのか」という問題もあります。何年前かに日本で開発された数少ない肺がんのための新薬である「イレッサ」による副作用によって多くの方が亡くなるという問題が起こりました。早く承認したことによって裏目に出る場合もあるので、承認の問題は非常に難しいです。中央の勉強会で製薬会社の社長が講演されたのですが、その方は「海外で開発された新薬の場合、承認されてすぐに日本に入ってくるより、1～2年遅れで入ってきた方が良いのではないかと仰っていました。それは海外で使用されることによって、さらに安全性を確かめることができるからです。

☆未承認薬の承認で、製薬会社がなぜ嫌がるかということ、やはり治験にお金がかかるからです。仮に承認されたとしても、すでに海外で10年も前から出来ているお薬ではそれほど高い薬価が期待できないでしょうから、治験費用を回収するための採算が合わないこととなります。特に日本国内での治験にお金が掛かるそうですが、それでは国内治験（フェーズⅢ）を無くしてでも早く承認してもらう方が良いのかということについても、私たち患者団体が考えていく必要があるテーマではないかと思います。また今後、積極的に国際共同治験を推進していくことも大切だと思います。

三部 「障がい者制度改革推進会議への意見書について」等

関西勉強会には患者本人だけではなく、「今後の難病対策」に関心のある方は皆さん参加可能です。第4回の勉強会では“認定遺伝カウンセラー”の方も参加いただきましたので、第三部前半ではその概要等を紹介いただき、さらに後半には関西勉強会が内閣府に提出しました「障がい者制度改革推進会議への意見書」に関して報告させていただきます。

〔認定遺伝カウンセラーについて〕

☆関西勉強会へ認定遺伝カウンセラーの方にお越しいただいたきっかけは、認定遺伝カウンセラーになるために学んでいる大学院生のサミット（遺伝カウンセラー院生サミット）へ関西勉強会実行委員のひとりが参加されたことでした。まず、その院生サミットの様子を実行委員より紹介していただきます。

1. 院生サミットに参加して

（マルファン症候群の方より）

遺伝カウンセラー院生サミットは、遺伝カウンセラーになるために大学院で勉強されている方や卒業生、教員などが一堂に会して行われました。そこで患者としてお話をさせていただきましたので、その概要を報告いたします。

遺伝カウンセリングというのは、子どもに遺伝するのではないかとか、結婚する方が遺伝病を持っている場合にどのように考えればいいのかとか、注意することはどのようなことかとか、第一子に障害が出た場合に次のお子さんについて相談したいときの相談の担当者でもあり、遺伝の偏見を無くすなどの役割もあるのではないかと思います。

ます。

当事者にとって遺伝カウンセリングは医療保険の対象ではないので（一部に保険適応はありますが）、初診料が一万円近くかかり、またカウンセリング代が何千円もかかるので、日々の治療代も考えると遺伝カウンセリングはハードルが高いです。よって保険適応していただきたいという大きな希望があります。

そしてカウンセリングしていただくときには、当事者の心強いサポーターになって欲しい・対等に話ができるような人になって欲しい・カウンセラーの方の考えを押し付けないで欲しい・病気によっては命に関わることもありますがカウンセリングの場面で過度に深刻な話をしないで欲しいなどのお話をしました。それから『知らない権利』も患者にはあるのですが、私たちマルファン症候群の場合は手術ができる時代になってきましたので、病気を知らないことによって、手術が間に合わない・手術を繰り返す結果になるということもあるので、患者には知らせて欲しいということもお話をしました。またカウンセリングを受けている場合に、相談者に良かれと思って話していることでも遺伝病を持っている（同席

している) 本人を否定したり傷つけてしまうようなこともあるので、そのことも配慮して欲しいということもお話ししました。

それから、多くの場所に常駐して欲しいと思うので、保健所などの身近なところに遺伝カウンセラーの方がいて、遺伝病の相談が出来たり、遺伝そのもののイメージを良くしていただけるような活動を行って欲しいと思います。

これから根本治療や的確な治療に向いていくには、遺伝子治療は外せないことです。それなのに遺伝の風土が悪いと研究も進みにくいと思います。また患者の気持ちも閉じたままということも良くないと思いますので、患者自身も遺伝に対して否定的にならずに、皆さん誰もが親や祖先からの遺伝によって体質を受け取っていることを理解していただけるように、遺伝のイメージを良くしていただけるような働きかけを強く希望してお話をいたしました。

2. 認定遺伝カウンセラーの方より

遺伝カウンセラーという仕事はまだまだマイナーな職業で、遺伝カウンセリング自体も名前としては新しいものです。私自身は京都大学の大学院の遺伝カウンセラーコースを卒業し2008年に資格をとり、2009年度から国立循環器病研究センターに勤務をしています。

遺伝カウンセリングはアメリカでは1960年代から徐々に行われており、頻度の高い遺伝病に関する出生前診断などの

話から始まりました。日本にもその後に入ってきて少しずつ始まっていたのですが、遺伝カウンセリングの定義としてはアメリカのものが先にあります。アメリカの定義では「遺伝性疾患や先天性の病気に関連した不安や疑問を抱えているクライアント(カウンセリングを受けにきた人)や家族の方々に、病気や遺伝についての情報を提供して、心理・社会的な支援を行うことでその方が病気や置かれた状況を理解して適応していく過程をサポートすること」となっています。ただし、これは大きなゴールで、そこまでに至るにはとても時間がかかるということも私たちもよく理解しています。

難病に関しても世界中から多くの報告や情報が発信されていますので、そのような複雑で多くの情報をまとめた形で、その方のニーズに合わせてお話しできれば、その方の苦労を省略できる部分があるのではないかと考えていますし、その病気の全体像を把握できることが心理的な落ち着きにもつながるのではないかと考えています。具体的にはこのような部分でメリットがあるのではないかと考えています。

実際にどのような相談があるのかというと、お子さんや兄弟・親戚に対してどのようなお話をしなければならないとか、疾患に関して気をつけなければならない部分など、病気の詳細のことや治療に関しても相談があります。

遺伝カウンセリングではクライアントさ

んの考えていることや感じていることを十分に聞くことは大前提にあるのですが、その方が何か決断をする際に、その方が納得して決断できるようにサポートすることが一番のことです。例えば遺伝子検査を受けた時に、その方にとってどのようなメリットがあるのかとか、医療上のことだけではなくて心理的にはどのようなことが起こるのかとか、それがわかったことで家族に対してどのような影響があるのかとか、逆に検査を受けなかった場合にはどうでしょうかとか、このようなことをじっくりと話し合った結果として、それでも自分としては「こうだ」と決められる場面に一緒に付き合わせていただければいいなという形でカウンセリングは進んでいきます。全く同じ視点に立つのではなくて、少し色々なところから見てもらうという選択肢を提示したり、医療をどのように進めていくかということも一緒に話し合いながら行っています。

遺伝カウンセラーは遺伝カウンセリングを専門的に勉強していますが、遺伝カウンセリング自体は色々な方が関わっています。特に医師は臨床遺伝専門医という医師がおり、その方を中心に行いますが、遺伝性疾患は全身的な症状が現れますので、様々な診療科の医師も一緒に参加していただきます。また看護師も遺伝看護師という方々がおられ、遺伝病をよく勉強された看護師さんが一緒に参加しています。その他にもソーシャルワーカーの方や心理カウンセラーの方も一緒にさせてもらっています。

このように遺伝カウンセラーのひとつの仕事としては様々な職種のコーディネート役とも考えています。

認定遺伝カウンセラーの資格に関しては国家資格ではなくて、日本人類遺伝学会と日本遺伝カウンセリング学会が合同で認定している学会認定の資格になります。現在、9つの養成校がありますが、その大学院修士課程を修了することが今後は必須になってきます。よってある程度の質をどの方も保っているという形をとっています。現在、日本では74名とまだまだ少ないのですが、先進国のアメリカでは3000人以上が全米で働いておられます。よってニーズはあるのではないかと感じています。日本での就職先としては、大学病院や国公立病院、不妊クリニック、遺伝学的検査を行う企業、研究・教育機関などが挙げられます。どの大学病院にも遺伝子診療部がありますし、また遺伝カウンセリングのなかで出生前診断がかなり大きなウェートを占めていますので不妊クリニックで働いている方がおられます。

この分野は今後の発展が望まれているところであり、進んでいくことが確実である分野だと思うのですが、医療においてはもちろんですが民間の遺伝子検査も含めて、経済的・政策的・倫理的な問題のサポート体制なども必要だと思います。例えば、遺伝カウンセリングに対して医療保険で支払われる部分が少ないので、まだまだ苦しい現状があります。

また遺伝カウンセラーは長い経験のある方がいる一方で、大学院が立ち上がったのも認定制度が始まったのも、ここ数年の話ですので、患者さんたちやクライアントさんたちや社会の方々がどのように私たち遺伝カウンセラーを利用したいと思うかというところが、今後の遺伝カウンセラーにとって重要であると思っています。ですから私自身も色々なところに行って勉強させていただきたいと思っています。

最後に私自身の遺伝カウンセラーとしての醍醐味と言いますか、その部分をお話させていただきます。私はまだ遺伝カウンセリングに携わらせていただいて丁度一年です。その間、私自身ができたことは少ないのですが、クライアントさんの強さを見せていただけることがあります。どちらを向いても大変という状況の方々が多くいるなかで、私たちは様々な情報は持っていますが、その情報を自分で理解して、自分の気持ちとよく向き合って、自分で立ち上がっていくときの強さのようなものを見せていただけると、この仕事は私たち自身も力をもらえるというすごく素晴らしい仕事だと感じます。

まだまだ遺伝カウンセラーの人数は少ないですし、もしかすれば制度がうまく根付かないかもしれないという危惧も持っていますが、ぜひ色々な方々に知ってもらって制度が存続して、日本の遺伝医療がどんどん良くなっていくように願っていますので、これからもどうぞよろしくお願いいたします。

☆遺伝カウンセリングにかかわらず、カウンセリングの分野は日本の医療の中でかなり立ち遅れていると思います。難病患者も難病を告知されて、かなり大きな精神的不安を抱えるわけで、そこで最初に専門の教育を受けた方のカウンセリングを受けることは必要ではないかと思います。ぜひ遺伝カウンセリングも含めて、カウンセリングに対する保険請求ができるようにならないといけないと思います。

〔質問〕 現在、保険適応されているものを教えてください。

A. 現在、いくつか保険で認められている遺伝子検査があり、その遺伝子検査を受ける前のカウンセリングが本当は重要だと思うのですが、それらの遺伝子検査を受けた後の結果説明ということで、保険で遺伝カウンセリングが受けられるようにはなっています。

「障がい者制度改革推進会議への意見書」

☆平成22年3月30日に行われた第6回
障がい者制度改革推進会議の開催に先立
ち、関西勉強会より「障がい者制度改革

推進会議への意見書」を内閣府担当室へ
送付いたしました。ここでは、その全文
を掲載させていただきます。

2010年3月21日

障がい者制度改革推進本部 本部長 鳩山由紀夫 様
内閣府障がい者制度改革推進会議担当室長 東 俊裕 様

「今後の難病対策」関西勉強会
実行委員長 藤原 勝

第6回障がい者制度改革推進会議開催に当たっての意見書

「谷間のない総合福祉法」制定のために日々ご尽力いただき、誠にありがとうございます。私たち「今後の難病対策」関西勉強会は昨年9月より、難病患者のための新たな施策を検討するために、既存の団体の枠にとらわれることなく、また疾患名によらず、関西を中心に難病患者本人およびその家族が結集した組織です。

2009年7月に発行された民主党の政策集である“INDEX2009”において、福祉施策については「発達障害、高次脳機能障害、難病、内部障害なども対象として制度の谷間をなくすこと」が示され、また難病対策については「難病に関する調査研究及び医療費の自己負担の軽減を柱とする新たな法制度を整備すること」が謳われています。「福祉の谷間」に追いやられてきた私たち難病患者にとって「谷間のない総合福祉法」の制定は念願でした。ようやく、その実現に向けて障がい者制度改革推進会議が行われていることを、心から嬉しく思います。

第6回障がい者制度改革推進会議の開催に当たって、「難病」に関する当事者の意見を提出させていただきます。記した項目の中には「障がい者制度改革推進会議」の対象外であるものも含まれていますが、難病問題の多様な実態を示すために記載しております。改めてここに記すまでもなく、“Nothing about us, Without us!”の精神は障がい者制度改革推進会議においても貫かれていると思いますので、どうか私たち難病患者のことを私たちの意見抜きに決めないでください。よろしく願いいたします。

1. はじめに

難病患者への福祉対策はあまりにも整っていないため「福祉の谷間」といわれています。

そのため次のような実態があります。

◎生活保護開始の最も多い理由は「収入減や失業」ではなく「傷病によるもの」です。平成18年度の調査では「傷病によるもの」が43.0%です（「収入減」は13.9%）。特に世帯主の「傷病によるもの」は41.5%と多く、患者のための防貧対策がいかに少ないかがわかります。（資料「社会福祉行政業務報告」厚生労働省）

◎身体障害となる最も多い原因は「事故や加齢」ではなく「病気によるもの」です。平成18年度の調査では「病気によるもの」が20.7%です（「事故」は9.8%、「加齢」は4.8%）。難病等に対する対策が進めば障がい者となる方も少なくなります。（資料「身体障害児・者実態調査」厚生労働省）

◎自殺する最も多い原因は「経済問題」ではなく「健康問題」です。平成20年度の調査では原因が特定されている自殺者の64.5%が「健康問題」が原因です（「経済問題」は31.5%）。原因が特定されている自殺者で身体上の病気の悩みによる方は5,128人おられます（「健康問題」全体では15,153人の自殺者）。難病患者や慢性疾患患者などの長期療養者のための福祉施策があれば、救えた命は数知れないと考えます。（資料「平成20年中における自殺の概要資料」警察庁生活安全局（複数回答による調査））

2. 難病対策における福祉施策の範囲について

〔現状〕

- ・行政上の「難病」は、その患者数の希少性・原因不明・効果的な治療法の未確立・生活面への長期にわたる支障の4項目を基準として選ばれています。
- ・難病全体の疾患数は5,000とも7,000とも言われているにもかかわらず、継続した調査研究の対象は130疾患にとどまり、更にその中からわずか56疾患に対してのみ医療費の自己負担の助成が行われています。
- ・“難病患者等居宅生活支援事業”と呼ばれるホームヘルプサービス・ショートステイサービス・日常生活用具給付などの事業に関しても、調査研究対象の130疾患と関節リウマチ患者のみが対象となっています。
- ・平成21年度から始まった就労支援事業である“難治性疾患患者雇用開発助成金”に関しても、調査研究対象の130疾患と筋ジストロフィー患者のみが対象となっています。
- ・以上のように、現行の難病対策は調査研究対象の130疾患が基準として考えられています。しかし実際には、調査研究が必要な疾患の患者と居宅支援が必要な疾患の患者は一致するはずがありません。同様に調査研究が必要な疾患の患者と就労支援施策が必要な疾患の患者は一致するはずがありません。患者数が多くても寝たきりになる方はいますし、たとえ原因がわかっても治療できない病気はたくさんあります。

[要望]

- ・今後の難病患者の福祉施策を考える場合には、現行の「難病」の範囲を基準にするのではなく、調査研究対象と福祉施策対象を分けて考えてください。調査研究は病気の治癒・改善を対象にしている、福祉施策は人間の日常生活を対象としています。ぜひ病名で患者を線引きするのではなく、ひとりひとりの生活実態にかんがみ、患者自身の生活のニーズにあった福祉施策にしてください。難病患者における対象者を疾患名の羅列で決めてしまえば「谷間のない総合福祉法」の実現は不可能となります。

3. 難病を身体障害に含めることについて

[現状]

- ・難病を身体障害者福祉法上の身体障害に含めることについては、身体障害の認定について、特定の身体機能に一定以上の障害が存在していることや、その障害が固定または永続していることなどを基準として行ってきた結果、血液疾患・血管疾患・臓器疾患・皮膚疾患・免疫疾患・内分泌疾患などを持つ多くの方が生活上の困難や社会的不利を抱えているにもかかわらず、身体障害として認められていません。

[要望]

- ・いかなる種類であれ、心身の障害にともなって日常生活または社会生活に制限を受ける方のすべてを障害者とし、個々に応じた必要なサービスを提供するような福祉施策を実現してください。
- ・たとえ症状が変化したとしても、疾患は永続しており、生活上の制限は永続しています。臓器の機能障害に着目する医学モデルではなくて、日常生活や社会生活の困難さに着目する相互モデルによって福祉施策を考えてください。
- ・私たちは難病であるかないかにかかわらず、その原因の有無や疾患名によらず、心身の異常による生活上の困難を有する方はすべて障害を持つと考えます。また福祉施策に関しては「谷間のない」制度になることが非常に重要であると考えます。普遍化された「谷間のない」制度が実現すれば、自動的に生活に支障のある難病患者は含まれるはずですが、ぜひ「谷間のない」難病患者も対象とした公平な制度を実現してください。
- ・そのサービス内容としては、疾患名で判断するのではなく、個々の生活上の困難を解消するための必要性に応じて支援を行ってください。ただし難病の場合、痛み・疲れ・だるさといった客観的に判断することが難しい事例が推察されます。「総合福祉法」制定に当たっては、難病患者も対象とした実態調査を行い、疾患特性にも配慮した信頼性と妥当性のある支給決定プロセスを実現してください。また自己決定・自己選択の原則が保障されるような制度設計を行ってください。

4. 医療費の自己負担の助成について

〔現状〕

- ・ 前述のように“特定疾患治療研究事業”と呼ばれる医療費助成制度は56疾患しか対象となっておらず、難病の種類全体の1%程度しか含まれていません。そのため同じような原因で、同じような治療を受けて、同じように生活に困っているにもかかわらず、病名の違いによって医療費の負担が異なるという不公平が生じています。
- ・ 子どもに対しては“小児慢性特定疾患治療研究事業”という制度がありますが、多くの疾患で20歳になると助成が打ち切られます。多くの難病は進行性であり、年齢とともに診療科も増えて医療費が高額になるにも関わらず、助成制度が無くなってしまいます。結局は治療の継続ができず、病気も悪化して社会に出ることもできないという二重三重の苦難を背負うことになる場合もあります。苦勞してようやく成人した子どもたちの自立を、制度の不備が阻んでいます。
- ・ 近年の医療の進歩により難病に対する画期的な新薬が登場してきています。しかし、これらの新薬は高価なものが多く、金銭上の理由により治療を断念する場合があります。障害が重い場合には医療費の助成を受けられる可能性はあるので新薬を用いますが、実際はその新薬を早期に用いることができれば障害者となることを防ぐことができます。医療の進歩に福祉制度がついていくことができていないのが現状です。
- ・ 現行の医療費助成制度の問題点については、“特定疾患治療研究事業”の対象者の少なさや不公平感、“小児慢性特定疾患治療研究事業”の年齢制限、高額療養費制度の自己負担上限額の高さ、自立支援医療の対象の少なさ、重度心身障害者の医療費助成制度の対象の少なさや地域格差などが挙げられます。

〔要望〕

- ・ 医療費の助成制度についても、特定の疾患を対象とするのではなく医療保険制度に組み込んで、すべての患者が安心して適切な医療を受け続けられる普遍的な制度の構築が必要です。例えば、高額療養費制度の自己負担限度額を引き下げることや、患者本人の所得に対して自己負担限度額を設定するなどの方法が考えられます。いずれにしても医療費の自己負担に関しては、医療保険制度の見直しを要望します。
- ・ 現行の高額療養費制度では、高額長期疾病患者として慢性腎不全（腎透析患者）、血友病、血液製剤に起因するHIV感染者に対して医療費の助成を行っています。例えば1型糖尿病患者などの特定の治療を行わなければ必ず死に至る病気に関しては、更なる医療費の助成を要望します。患者が金銭的な理由から死に至る可能性のある現状を放置していることは、患者の生存権を脅かす大きな問題です。
- ・ 医療保険制度の改革が実現されない場合においては、公的な医療費助成制度が必要になります。更生医療の考え方を拡大して、治療を行うことによって障害予防が可能であれ

ば、治療の早い段階から医療費の助成を受けることができる制度にしてください。

- ・難病患者の場合、医療費の自己負担の重さと障害の等級が一致しないことがあります。重度心身障害者でなくても現在の身体機能を維持することために多額の医療費が必要な方はたくさんおられます。医療費助成の基準を障害の重さで図るのではなく、個々の生活実態や本人の支払い能力、その療養期間も考慮して、負担額や負担割合を決定してください。
- ・重度心身障害者の医療費助成制度は対象者が少なく、地域格差もあります。障害者分野においても全国的に統一された医療費助成制度の確立を要望します。

5. 医療・リハビリについて

〔現状〕

- ・それぞれの難病に対する専門医が少ないため、遠方まで通院する必要性があります。通院のためには介助者が必要なことも多く、また複数の診療科にかかることも多いため、通院費用がかさみます。場合によっては、通院のために宿泊する必要性が生じる方もおられます。
- ・長期の入院を余儀なくされた場合、入院期間の短縮によって専門医のいない療養型の病院へ転院させられることがあります。さらに療養型の病院や施設では、医療費の包括払いによる制約から、難病の治療に必要な高価な薬の処方を敬遠する傾向にあると聞きます。専門医のいない病院に転院させられたうえに適切な治療薬も与えられない診療は、もはや医療とは呼べないと思います。
- ・難病の治療薬のなかには他の国では医療保険に承認されているにもかかわらず、日本では認められていないものが多くあります。そのため、混合診療となり全額自己負担を強いられたり、薬がないからと診療拒否されたりする患者さんがおられます。
- ・難病は前ぶれもなく突然発症し、告知されてすぐに入院ということも少なくありません。病院内での精神的ケアや福祉的な相談のための職員が配備されておらず、将来に対する不安の中で福祉制度や難病施策に関する説明もないまま、本来は受けることができる医療費の助成制度すら知らない難病患者が多数おられます。
- ・訪問看護は医療保険では回数制限があり、医療的サービスの必要性が高い難病患者の場合は回数制限のない介護保険での訪問看護になることがあります。しかし介護保険の訪問看護の占める割合が大きくなり、結局は訪問介護の利用が制限されます。また障害者施策におけるホームヘルプサービスを利用する場合、通常は介護保険の支給額に対して介護保険の訪問介護サービスを5割以上受けることが要件となります。結局は訪問看護のニーズが高い難病患者では、介護保険においても障害者施策においても訪問介護の利用が制限されてしまいます。

- ・訪問リハビリの場合は医療保険よりも介護保険が優先されるため、訪問リハビリを受けようとするとう訪問看護と同様に訪問介護の利用が制限されてしまいます。

〔要望〕

- ・難病患者も障害者として認めていただき、介護保険の適応であるかないかに関わらず、その必要性に応じて通院費用の負担軽減や通院介助サービスを適用してください。
- ・国内外を問わず地域格差のない医療を実現してください。遠方での入院が必要であるために、子どもと家族が長期にわたり離れて生活せざるを得ない場合があったり、家族のための多額の旅費や宿泊費が必要な場合があったりします。また私たちには国際的な水準の適切な医療を受ける権利があり、未承認薬問題により治療が受けられなかったり、患者に負担を強いたりすることは許されるものではありません。地域格差のない医療を推進するための適切な政策を実施するとともに、未承認薬問題を含めて地域格差による費用負担を助成するよう要望します。
- ・医療情報の非対称性のなかで、患者にとって適切な医療が提供されないとすれば、医療は死んでしまいます。また療養中の心理的・社会的・経済的な問題に対する援助も患者には必要です。退院援助を行うだけでなく、患者の権利擁護のために医療ソーシャルワーカーの充実を要望します。
- ・現行の制度は医療保険と介護保険と障害者施策が複雑に絡み合っているため、利用者にとって非常に理解しにくい制度になっています。訪問看護に関しても、訪問リハビリに関しても、訪問介護に関しても、介護保険の適応であるかないかに関わらず、それぞれの必要性を分けて考えて、適切なサービスの提供ができる制度を構築してください。このままでは家族の介護量が大きくなりすぎて、家族も倒れてしまいます。

6. 居宅生活支援事業について

〔現状〕

- ・難病対策としても前述のように“難病患者等居宅生活支援事業”と呼ばれるホームヘルプサービス・ショートステイサービス・日常生活用具給付などを行う事業があります。この制度は難病患者等の日常生活を支援することにより、難病患者等の自立と社会参加を促進するための制度ですが、ほとんど利用されていません。
- ・その理由として、実施主体である多くの市町村がこの事業を実施していないこと（昨年3月の参議院において、全国で2割程度の自治体しか実施していないという質問主意書が出されています）、実施している自治体においても情報の提供が進んでいないこと、その利用基準についてもはっきりしないこと、などが挙げられます。また難病患者のための制度であるにも関わらず、難病患者のために配慮された制度であるかどうか疑問です。

[要望]

- ・難病対策単独での福祉事業が非常に脆弱であることを露呈しています。事業としては、もはや崩壊しているといえます。やはり難病患者も「谷間のない総合福祉法」のもと、地域格差のない公平な制度が適用されることを望みます。
- ・さらに難病患者の特性に配慮して、突発的なサービスの依頼に対応でき、日々の症状の変化にも対応してサービス量を変えられるような柔軟な制度を望みます。またサービスを提供する職員に対して、医療的知識の充実を要望します。

7. 所得保障と就労支援について

[現状]

- ・難病患者の多くは障害者と認められず、障害年金を給付されていません。しかし就労できない方も多く、医療に関する出費も多いことから、家族に対して多大な負担を強いることとなります。防貧制度がない現状では、生活保護に至るのは必然的です。難病を患っているにも関わらず、生活費や医療費の心配のためにかかる精神的ストレスは多大なものです。その結果、適切な医療を受けることができず死に至ることや、家族崩壊や自殺も跡を絶たない状態です。難病患者は異常なまでに虐げられています
- ・以前から「障害年金の相談に行くと働けと言われ、職業安定所に行くと病気を治してから来い」といわれることが多くあります。職業安定所からの「病気を隠して働け」というアドバイスのもと、通院の必要性や勤務内容などの職場の理解が得られず、結局は病気を悪化させてしまう事例も多くあります。
- ・適切な配慮があれば働くことが可能な方も、「難病」ということがわかると解雇される事例も多くあります。特に健康保険組合があるような企業では、医療費の負担を案じてか採用されない場合が多いと聞きます。大きな企業でも難病患者に対する理解は進んでいません。
- ・平成21年度より開始された“難治性疾患患者雇用開発助成金”制度も、この制度自体が企業に知られておらず、また一時金に過ぎないので企業にとってはあまりメリットがないため、この制度を用いても就職することは困難です。

[要望]

- ・年金や手当などの所得保障と就労支援は一体のものであると考えます。現行の就労施策を用いても実際に就職できない場合や、医療上の理由から就業制限がある場合には、自動的に所得保障が受けられる制度にしなければ、上記の「年金課」と「職安」の間でのたらい回しは無くなりません。
- ・やはり難病患者も障害者施策の中で平等に就労支援を受けることが必要です。障害者雇用率制度の適用、ジョブコーチによる支援、職場適応訓練、トライアル雇用など、難病

患者にも合理的な配慮があれば社会参加への道は開かれると思います。

- ・難病患者のための作業所など、福祉的就労についても検討してください。難病患者の場合、症状の変動によって就労日数が少なくなることもあり、作業所の運営自体も難しくなります。この点も考慮したうえで運営支援を要望します。
- ・特に入院中の難病患者は身体的にも精神的にも将来に対する不安で一杯です。病院などにおける相談役として、ピアサポーターを広く雇用してください。私たちの経験から社会に役立つこともあります。私たちの働く場所の創設も考えてください。
- ・病気や障害などのために労働することが不可能な方も、患者会などのボランティアワークへの従事や相談活動など、社会への貢献に対して社会から所得を受け取るという考え方もあります。この「参加所得構想」などの完全参加型の社会を目指した調査研究を進めてください。

8. おわりに

これまでの難病対策は研究事業中心に行われてきました。病気に対して研究を行って、治療できれば難病問題は解決すると考えたのかもしれませんが。医療の進歩により、確かに難病患者の寿命は延びています。しかしある程度の原因や治療方法がわかっても、現状では完治する難病はほとんどありません。その結果、生死に対する医療的問題だけではなく、病気を抱えながらどのように生きていくかという生活問題が、難病患者の上に重くのしかかっています。

難病は決して患者の自己責任ではなく、多くの難病では発病の原因もわからず、たとえ原因がわかってとしても患者自身に予防する術はありません。よって難病問題は患者やその家族の問題だけではなく、社会全体で考えるべき問題であると思います。しかし現実には社会的弱者であるにもかかわらず、偏見から差別へ、差別から社会的排除に向かい、「福祉」からも除外されるという極めて困難な状況のなかでの生活を余儀なくされています。医療の進歩によって救われた命は、社会の制度の不備によって粗末に扱われ、より深刻な危機にさらされています。

「谷間のない総合福祉法」が制定されれば、社会によって排除されていた生命の多くを救うことができます。そのように社会が進歩してきたことを大変嬉しく思います。直接、難病患者の思いをお話できないのは残念ですが、共に奮闘する皆さんを信頼しています。以上の点についてぜひとも検討・発信して下さいますようよろしくお願いいたします。

☆現状の障がい者制度改革推進会議は、まだ様々な意見を集めるという段階ですので、私たちも要望を凝縮した形ではなく、私たちの色んな思いを受け止めてい

ただきたいという願いから、要望書ではなくて意見書という形にして内閣府へ送付いたしました。この意見書から今後は更に具体的な要望にできればと思います。

四部 意見交換「難病対策の具体化に向けて」

第三部で紹介しました「障がい者制度改革推進会議への意見書」なども参考にしながら、「難病対策の具体化に向けて」意見交換を行いました。

☆これまでの勉強会でそれぞれの疾患に関する状況をお話しいただきましたが、さらに具体的に自分の疾患ではどのような政策があれば、どのように助かるのかというような意見を挙げていくことにより、行政に対しても訴えやすくなると思います。「障がい者制度改革推進会議への意見書」も参考にしながら、意見交換を行いました。

◎膠原病

難病対策の大部分は都道府県が実施主体ですが、難病患者等居宅生活支援事業は市町村が管轄しています。よって大阪府にも大阪市にも頑張ってもらい必要があるのですが、難病対策は大阪府がするものという感じで、大阪市の動きは非常に消極的です。居宅生活支援事業が普及しないひとつの要因として市町村の実施責任の弱いところがあると思います。

今後は難病対策に対する国の責任はもちろんのこと、都道府県と市町村の役割を整理して責任を明確にしなければ、いくら施策を新しくしても「絵に描いた餅」になると思います。

◎Ⅰ型糖尿病

今、透析患者が非常に増えています。そ

れも糖尿病から透析に至る方が半分以上です。Ⅰ型糖尿病の方も医療費負担が高額であるために病院に行くことができず、糖尿病のコントロールができないために透析となる方が多数おられます。

Ⅰ型糖尿病を内部障害にして医療費を一部負担していただくか、3割負担を1割負担にしていただくか、そのように医療費を助成していただければⅠ型糖尿病の方のコントロールが良くなるので、透析に至る方が減少します。その分、透析にかかる医療費が必要なくなります。

一人の方が透析医療にかかる費用は年間500万程度で、Ⅰ型糖尿病にかかる医療費は年間100万円までですので、Ⅰ型糖尿病に対して医療費の助成を行えば、全体として医療費も助成費も安くすることができます。

◎線維筋痛症

「重症化する前に手を打ってください」ということだと思います。パーキンソン病の場合も軽症者では医療費の助成が受けられないので、お薬代が高いと適切な医療が受けにくくなります。

病状が重度化してから医療費の助成を行うのではなく、軽度なうちに医療費負担を少なくして重度化しないような医療を行う

方が、結果としては患者本人のためにもなりますし、医療費の削減もできると思います。

◎脊髄小脳変性症・多系統委縮症

この病気は進行性の難病で運動神経の障害によって最終的には寝たきりになります。介護者の私が外出するときは、主人はショートステイもしくはデイサービスを利用しますが、利用施設としては特別養護老人ホーム（特養）か老人健康施設（老健）しかありません。

特別養護老人ホームや老人健康施設の職員は高齢者に対する知識は持っておられますが、難病患者に対する知識はほとんど持たれていません。そのために介護が粗雑になったり間違っていたりすることがあり、これまでも何回か危険な目にあうことがありました。今後は職員に対する教育を充実していただき、難病患者向けのショートステイやデイサービスの施設を増やしていただきたいと思います。

◎間脳下垂体機能障害

これまで自分の病気のことしか考えずに生きてきましたので、制度がどのようなになっているのかわからないのですが、雇用に関しては私たちの病気はお薬でコントロールできるので、普通に働くことができます。ただし入社時の健康診断の際に既往歴を書くと躊躇されることがあります。私自身が弁護士として就職活動

をするときに、志望動機に病気のことが含まれているので、素直に病気のことを話すとなかなか就職先が決まらない状況でした。

障害者施策における雇用助成金のような形で優先枠を設けるような支援ができればいいと思うのですが、難病患者の中には雇用によって普通に働ける方もおられますので、全く障害者と同じ制度では賃金面でも問題が出てくると思います。

十分に働ける身体の方がおられるにもかかわらず、難病であるという理由で働けないということがないように、難病患者に対する雇用施策が必要だと思います。

◎日本患者学会

難病の友人も多くいますが、私の仲間は大企業ではありませんが、経営者の方が難病患者を理解いただける良い企業に就職している者が多いです。

ただし、そこで問題になるのは難病患者は障害者に比べて医療費が高額になる場合が多いので、事業者や健康保険組合の負担が重くなります。これを何とか解消しないと、雇用助成金で優遇したり企業にペナルティを課すだけでは、難病患者の雇用施策としては不十分です。医療保険制度全体のことを考えて、例えば健康保険組合に対して補てんをするようなことも考慮する必要があると思います。

◎パーキンソン病

軽症者であるヤールⅠとⅡの方は何の保

障もされていません。軽症者は現在増えています。よって希少性難病もそうですが、人数の多い広範性難病も特定疾患に認めて欲しいと思います。軽症者が重度化して障害者にならないような施策も大切だと思います。

難病と障害の関係については、難病は障害を引き起こすものであり、場合によっては障害そのものであると思いますが、症状が動くうちは治る可能性があるので一概に障害者とは呼べないと思います。

◎線維筋痛症（実行委員より）

いつも議論になることですが、難病と障害の関係が気になります。「私たちは障害者ではない」とか「私たちは難病ではない」とか、難病と障害を分けるような綱引きは必要なのでしょうか。

「障がい者制度改革推進会議への意見書」をつくるときにも考慮したことです。難病患者の特性に配慮して欲しいということは記載するけれども、難病と障害を分けるような発想を私たち難病患者も変えていく必要があるのではないかと思います。「意見書」では難病だからとか障害を持っているからではなく、“ひとりひとりの状態をみて、ひとりひとりの生活に対応してください”という思いで作りました。

関西勉強会は当事者の声を発信するためにあるのですが、難病患者ということに固執するのではなく、私たちの発想も変えていきながら考えていく必要があると思いま

す。

◎膠原病（実行委員より）

皆さん患者会活動を行ってきた方が集まっているわけですから、これまでのそれぞれの思いを持っているのは当然です。ただし関西勉強会では、新たな制度を作り上げるにあたって改革に対する壁になるものがあれば、その壁をどうやって乗り越えるかを皆で話し合ってきています。例えば、これまで言われてきた難病患者や障害者の概念がしみついているかもしれませんが、まずは新しい考え方や制度を一からつくるという視点に立つ必要があると思います。

「意見書」の中で書いた提案は、その方が心身の異常による生活上の困難を持っていて、例えば福祉サービスによって生活できるようなのであれば、難病患者であろうが障害者であろうが福祉制度が受けられるようにすべきだということです。

現在の制度はまず難病患者や障害者の条件を決めて、その条件にあてはまった人だけに施策を提供しています。そのために制度の谷間が生まれるのです。新たな総合福祉法を考える場合にも、現在の障害者福祉の中に難病患者を加えるという発想ではなくて、ひとりひとりの状態をみて生活上の困難を持っていれば、生活上の障害を持っているというように、障害の考え方そのものを新たに構築して、制度の谷間が生まれないような施策を作り上げる必要があるのではないのでしょうか。

あとがき

「今後の難病対策」関西勉強会 事務局

全国膠原病友の会大阪支部 大黒 宏司

私の住んでいる堺市には障害者自立支援協議会という組織があって、4月に障害当事者部会の公募があることを、関西勉強会の実行委員の方に教えていただきました。障害当事者部会というのは、堺市の相談支援業務のあり方について当事者の声を聞くことにより、より質の高い相談支援体制を確保すること及び障害種別を越えての障害当事者間の交流を深めることを目的としていて、既存の障害者（身体・知的・精神）に加えて難病患者も公募の対象となっています。世の中は少しずつ変わってきていて、障害当事者の中に難病患者も含まれる状況が生まれつつあります。ただし応募できる難病患者は国の定める難病（難治性疾患克服研究事業の臨床調査研究分野の130疾患）のいずれかに罹患している方です。この公募を紹介いただいた方は公募の対象外で、私は公募対象ということになります。

「障がい者制度改革推進会議」の議論は足早に進み、「総合福祉部会」もできて“谷間のない総合福祉法”への道をひた走っています。障害者福祉の対象に難病患者も加えて欲しいと訴えてきましたが、私たちが望んでいるのは“既存の障害者（身体・知的・精神）の中に臨床調査研究分野の130疾患を持っている患者を加えることではない！”ということを是非確認したいと思います。既存の障害者枠のなかに、既存の難病患者枠を加えても決して谷間を埋まりません。

今回の公募を事例にすると、障害者手帳を持っていることとか、臨床調査研究分野の対象者とか、このような応募条件のあることが谷間なのです。手帳を持っていなくても、臨床調査研究分野の対象でなくても、生活に困っている方はたくさんいますし、相談したい方は多くいるはずです。本当により質の高い相談支援体制を確保したいのであれば、まずは相談対象者（当事者）を既存の枠にとらわれない意識改革が必要ではないかと思いました。難病患者の代表として障害当事者部会の一員になったので、地域からの意識改革も考えたいと思います。「Think globally, Act locally（大きな規模で考えて、足元から行動する）」という言葉があります。関西勉強会の経験はきっと役に立つと思います。

第4回関西勉強会報告書の発行にあたって

2010年こどもの日

「今後の難病対策」関西勉強会 実行委員名簿

(50音順、◎実行委員長 ○事務局)

- ・伊藤 克義さん (京都難病団体連絡協議会事務局)
- ・猪井 佳子さん (日本マルファン協会代表理事)
- 大黒 宏司さん (全国膠原病友の会大阪支部)
- ・大黒 由美子さん (大阪難病連、全国膠原病友の会大阪支部)
- ・大島 晃司さん (滋賀県難病連絡協議会、稀少難病の会「おおみ」)
- ・尾下 葉子さん (線維筋痛症友の会関西支部支部長)
- ・葛城 貞三さん (滋賀県難病連絡協議会常務理事、日本ALS滋賀県支部)
- ・川辺 博司さん (滋賀県難病連絡協議会、滋賀IBDフォーラム会長)
- ・北村 正樹さん (京都難病団体連絡協議会会長)
- ・久保田百合子さん (兵庫県難病団体連絡協議会、
全国膠原病友の会関西ブロック事務局)
- ・駒阪 博康さん (滋賀県難病連絡協議会、稀少難病の会「おおみ」)
- ・深田 雄志さん (日本患者学会)
- ◎藤原 勝 さん (京都難病団体連絡協議会、京都IBD友の会会長)
- ・前原 隆司さん (全国パーキンソン病友の会大阪府支部)
- ・森 幸子さん (滋賀県難病連絡協議会、全国膠原病友の会副会長、
全国膠原病友の会滋賀支部長)

〔事務局メールアドレス〕

benkyo@t-neko.net

〔ホームページ〕

<http://hp.kanshin-hiroba.jp/kansaistart/pc/index.html>

この報告書は競艇の交付金による
日本財団の助成金を受けて作成しました。