難病対策の改革について（提言）

平成２５年１月２５日

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

目次

Ⅰ　はじめに ..... - 1 -
Ⅱ　難病対策の改革の基本理念及び原則 ..... - 2 -
Ⅲ　難病対策の改革の３つの柱 ..... - 3 -
第１　効果的な治療方法の開発と医療の質の向上 ..... - 3 -
１．治療方法の開発に向けた難病研究の推進 ..... - 3 -
２．難病患者データの精度の向上と有効活用、国際協力の推進 ..... - 4 -
３．医療の質の向上 ..... - 6 -
４．医療体制の整備 ..... - 6 -
第２　公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築 ..... - 8 -
１．基本的な考え方 ..... - 8 -
２．対象疾患及び対象患者の考え方 ..... - 8 -
３．対象患者の認定等の考え方 ..... - 9 -
（１）全体的な流れ ..... - 9 -
（２）「難病指定医（仮称）」による診断 ..... - 10 -
（３）「難病認定審査会（仮称）」による審査 ..... - 10 -
（４）「医療受給者証（仮称）」及び「登録者証（仮称）」の交付 ..... - 11 -
（５）「指定難病医療機関（仮称）」による治療等 ..... - 11 -
４．給付水準についての考え方 ..... - 12 -
第３　国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実 ..... - 12 -
１．難病に関する普及啓発 ..... - 12 -
２．日常生活における相談・支援の充実 ..... - 13 -
（１）難病相談・支援センターの機能強化 ..... - 13 -
（２）保健所を中心とした地域支援ネットワークの構築 ..... - 14 -
（３）官民の協力による社会参加の支援 ..... - 14 -
３．福祉サービスの充実（障害福祉サービスの利用） ..... - 14 -
４．就労支援の充実 ..... - 15 -
５．難病を持つ子ども等への支援の在り方 ..... - 16 -
Ⅳ　おわりに ..... - 17 -
（参考）厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会　委員名簿 ..... - 18 -
（参考）厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会における検討経緯 ..... - 19 -

【別冊１】難病対策の改革について（提言）　説明資料①（現状と課題）
【別冊２】難病対策の改革について（提言）　説明資料②（今後の対応）

Ⅰ　はじめに

我が国の難病対策は、昭和 47 年に「難病対策要綱」が策定され、本格的に推進されるようになって 40 年が経過した。その間、各種の事業を推進してきた結果、難病の実態把握や治療方法の開発、難病医療の水準の向上、患者の療養環境の改善及び難病に関する社会的認識の促進に一定の成果をあげてきた。しかしながら、医療の進歩や患者及びその家族のニーズの多様化、社会・経済状況の変化に伴い、原因の解明すら未確立の疾患でも研究事業や医療費助成の対象に選定されていないものがあることなど難病の疾患間で不公平感があることや、医療費助成について都道府県の超過負担が続いており、この解消が求められていること、難病に関する普及啓発が不十分なこと等により国民の理解が必ずしも十分でないこと、難病患者の長期にわたる療養と社会生活を支える総合的な対策が不十分であることなど様々な課題が指摘されている。こうした課題を踏まえると、もはや個々の事業に若干の手直しを加える程度では課題の解決が困難であり、難病対策全般にわたる改革が強く求められている状況にある。

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会は、今後の難病対策の在り方について一昨年９月より審議を行い、同年 12 月には「今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）」をとりまとめた。この中間的な整理においては、「希少・難治性疾患は遺伝子レベルの変異が一因であるものが少なくなく、人類の多様性の中で、一定の割合発生することが必然」であり、「希少・難治性疾患の患者・家族を我が国の社会が包含し、支援していくことが、これからの成熟した我が国の社会にとってふさわしい」ことを基本的な認識とした。

この中間的な整理を基に、その後も「社会保障・税一体改革大綱」（平成 24 年２月 17 日閣議決定）や難病研究・医療ワーキンググループ及び難病在宅看護・介護等ワーキンググループにおける検討状況の報告も踏まえ、本委員会で論点・課題の整理を行い、その検討結果を昨年８月に「今後の難病対策の在り方（中間報告）」としてとりまとめた。

その後、同年 10 月、厚生労働省から、この中間報告を具体化し、患者団体との意見交換会での意見を反映させた議論のたたき台として「難病対策の改革の全体像（案）」が示されたことを受けて、本委員会でさらに審議を行い、今般、一昨年９月からの計 17 回にわたる審議の結果をとりまとめ、法制化の検討も含め、次のとおり官民が協力して取り組むべき改革の内容を提言する。

Ⅱ　難病対策の改革の基本理念及び原則

（改革の基本理念）

○　難病の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指すことを難病対策の改革の基本理念とする。

（改革の原則）

○　基本理念に基づいた施策を、広く国民の理解を得ながら行っていくため、以下の４つの原則に基づいて新たな仕組みを構築する。

①　難病の効果的な治療方法を見つけるための治療研究の推進に資すること

②　他制度との均衡を図りつつ、難病の特性に配慮すること

③　官民が協力して社会全体として難病患者に対する必要な支援が公平かつ公正に行われること

④　将来にわたって持続可能で安定的な仕組みとすること

Ⅲ　難病対策の改革の３つの柱

（改革の柱）

基本理念及び原則を踏まえ、以下の３つを柱として難病対策の改革を行う。

①　効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

②　公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

③　国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

第１　効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

１．治療方法の開発に向けた難病研究の推進

（新たな研究分野の枠組み）

○　診断基準の有無、疾患の研究段階の観点から、「臨床調査研究分野」と「研究奨励分野」等の区分けを見直し、新たな研究分野の枠組みを作る。

新たな研究分野の基本的な枠組みは、以下のとおりとする。

研究分野	研究概要
領域別基盤研究分野（仮称）	診断基準が確立されていない疾患を対象とした疾患概念の確立、実態把握（疫学調査）、診断基準作成等（疾患によってはグループ化も考慮する。）
領域別臨床研究分野（仮称）	診断基準が確立された疾患を対象とした病因・病態の解明、治療ガイドラインの作成等（疾患分野ごとにグループ化する。）
実用化研究分野（仮称）	創薬等の治療方法の開発・実用化を目指す研究（特に医師主導治験を重点的に推進する。）
横断研究分野（仮称）	ゲノム解析研究、タンパク質解析研究、疫学研究、患者主体の研究支援体制に関わる研究や政策関連研究等

○　研究の対象疾患や重点分野（課題）の選定に当たっては、国は、公平性・透明性を確保するため、関連学会の意見も参考にしつつ、一定の方向性を示すものとし、研究費を配分する際には、疾患数、患者数及び研究の進捗状況を考慮する。なお、これらの研究分野の枠組みの中で、小児の難病に関する研究も引き続き行うこととする。

○　遺伝学的検査は難病の診断、病態解明、治療方法の選択等に重要であることから、遺伝学的検査を必要とする患者が検査を受けられるよう、各施設の遺伝相談・検査体制についての調査研究、検査の精度や効率性を向上させるための実用化研究を行う。

（厳正な評価の実施）

○　研究実施施設への訪問による研究の進捗状況の評価、難病研究班との面談、公開の成果報告会などにより、研究に対する評価を厳正に実施する。

（難病患者とのパートナーシップの重視）

○　難病研究班と難病患者との双方向のコミュニケーションを推進する。このため、難病研究班に対しては、研究対象疾患の概要、研究の内容（具体的には、研究概要、研究目的、研究班における各研究者の役割分担、関連する学会・研究者との連携体制等）や、研究対象疾患の関連論文等に係る情報を患者・国民に分かりやすく提供することを求める。

○　難病患者が治験を含めた研究に参加しやすくなるよう、「臨床研究（試験）情報検索ポータルサイト」の周知等、患者等に対する実施中の臨床研究・治験の情報提供を推進する。

（総合的・戦略的な難病研究の推進）

○　関係各府省が一体となって治療方法の開発等の難病研究を総合的・戦略的に推進する。

○　難病に対して再生医療技術を活用することで、新たな治療方法の研究を推進する。また、難病に関する臨床研究・治験をさらに推進するため、希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の研究開発促進のための国の取組を推進する。

２．難病患者データの精度の向上と有効活用、国際協力の推進

○　「難病指定医（仮称）」[1]から登録された難病患者データを一元的に管理し、研究計画等を第三者による審査会が審査の上、個人情報の保護に配慮しつつ、難病研究に携わる研究機関、医療機関等に対し、幅広く難病患者データを提供する。また、国際的な研究連携の窓口（ハブ）としての機能を持たせることにより、国外の治療・研究に関する情報を関係者間で広く共有する。

（難病患者データの精度の向上）

○　難病患者データの入力率を向上させ、精度の高いデータを登録するため、「難病指定医（仮称）」が患者に医療費助成に係る「新・臨床調査個人票（仮称）」を交付する際に、認定審査等に必要な項目の記載とあわせて難病患者データの登録を行うことができるようにする。また、「難病指定医（仮称）」

[1] 「難病指定医（仮称）」については、P.10 参照。

が登録する項目については、都道府県における医療費助成の認定等に必要な項目（各疾患の症状、検査結果、症状の程度など）に加え、「難病指定医（仮称）」等の負担も考慮し、難病患者データを研究へ活用するための基本的な項目（年齢、性別、既往症、家族歴、合併症、遺伝学的情報、治療薬、医療機関、主治医など）とする。なお、登録項目については、欧米等の登録項目とも調和させる必要がある。

○　全国的な難病患者データの登録を行う上で、できる限り「難病指定医（仮称）」に事務負担とならないような仕組みを導入することとし、取りまとめや確認等において、都道府県が一定の役割を果たすものとする。なお、インフラの未整備等の理由で、「難病指定医（仮称）」が難病患者データを登録できない場合には、保健所等の医療機関以外での登録ができるようにする。

○　登録された難病患者データを経年的に蓄積できるような仕組みとする。また、必要な場合に小児慢性特定疾患治療研究事業による患者登録データとの連続を可能にする仕組みとする。

○　また、難病研究班が、登録された難病患者の同意の下に、追加的に難病患者データを収集できる仕組みを作るとともに、極めて希少な疾患については、難病研究班が研究の一環として、軽症の患者を含め、同意が得られた患者のデータを収集し、研究に活用できるようにする。

（難病患者データの有効活用）

○　「難病指定医（仮称）」から登録された難病患者データを一元的に管理し、難病研究班に限定することなく、難病研究に携わる研究機関、医療機関等に対し、第三者による審査会が審査の上、幅広く難病患者データを提供する。ただし、個人情報の保護について十分に配慮し、個人が特定されない形で難病患者データを提供する。また、難病患者データを利用した場合には、研究内容・成果を公表することとし、患者・国民・医療現場に成果を還元するものとする。

○　登録された難病患者データについて、定期的に患者の発生動向等に関する基本的な分析を行い、公表する。

○　災害時等において必要な場合に患者、家族あるいは医療従事者等が患者のデータを利用することができる仕組みについても検討する。

（国際協力の推進）

○　国際的に貢献するため、人種特異的疾患の病態解明・治療方法の開発研究等を推進するとともに、欧米等の患者データベースと協調し、国際連携

を行うことで、疫学的情報の収集や病態解明・治療方法の開発研究を推進する。また、治験に資する情報等を国際的に共有できるようにし、国際的共同治験への参画等、治療方法の開発を推進する。

○　国内研究班における難病の研究成果を集約、英文化し、世界へ情報発信する一方、国際的な最新情報を収集し、分かりやすく医療現場や患者等へ提供する仕組みを作る。

○　国際的な取組と協調するため、国内の統括的窓口を設置するとともに、研究者、医療従事者、患者等の国際交流を推進する。

３．医療の質の向上

（治療ガイドラインの作成・周知）

○　難病の医療の質を向上させるため、医療費助成の対象疾患の治療ガイドラインを広く周知するとともに、治療ガイドラインが作成されていない疾患については、難病研究班に対して作成を促し、治療内容の均てん化を図る。

（極めて希少な疾患への対応）

○　極めて希少な疾患について「新・難病医療拠点病院（仮称）」等からの問い合わせに対応するには、各疾患分野の高い専門性が必要とされるが、各疾患の専門家は全国に分散しており、疾患分野横断的なセンターを国に１つ設置する、あるいは、一部の医療機関にセンター機能を委ねることは現実的ではない。 そのため、極めて希少な疾患の高度専門的な対応について、国立高度専門医療研究センターや難病研究班がそれぞれの分野の学会と連携して、「難病医療支援ネットワーク（仮称）」を形成し、ウェブサイト等を活用して極めて希少な疾患の診断・治療等に関し、「難病指定医（仮称）」への支援、助言を行う。また、診断・治療が困難な症例や治療ガイドライン等に適応しない症例等を、「難病医療支援ネットワーク（仮称）」を通して収集し分析することにより、診断基準、治療ガイドラインの改善等につなげる。

４．医療体制の整備

（「新・難病医療拠点病院（仮称）」の指定）

○　どこに行っても診断がつかない、治療経験のある医師が見つからない等の難病患者が医療を受ける上での困難に対応するため、診断、治療に多くの診療科が必要な難病に対しても対応できる高い専門性と経験を有する病院を「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」として、都道府県が三次

医療圏ごとに原則１か所以上指定する。

○　「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」が果たすべき役割は以下のとおりとする。

①　多分野の「難病指定医（仮称）」、複数の「難病医療コーディネーター（仮称）」の配置、重症難病患者を診療するために必要な設備の確保等、難病患者の診療のために十分な診療体制の整備

②　「難病医療地域基幹病院（仮称）」、地域の医療機関の医師等に対する研修の実施

③　難病医療に関する情報の提供

④　難病に関する研究の実施

⑤　他の病院及び診療所、都道府県、保健所、難病相談・支援センター等との連携体制の構築等

○　神経難病等の特定分野の疾病に対してより専門的な医療を提供することができる医療機関を「新・難病医療拠点病院（領域型）（仮称）」として都道府県が適切な数を指定する。

○　「新・難病医療拠点病院（領域型）（仮称）」が果たすべき役割は以下のとおりとする。

①　特定分野の「難病指定医（仮称）」、重症難病患者を診療するために必要な設備の確保等、難病患者の診療のために十分な診療体制の整備

②　「難病医療地域基幹病院（仮称）」、地域の医療機関の医師等に対する研修の実施

③　難病医療に関する情報の提供

④　難病に関する研究の実施

⑤　他の病院及び診療所、都道府県、保健所、難病相談・支援センター等との連携体制の構築等

○　特に「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」を複数指定する場合等は、必要に応じて、全県的な入院の受入等の調整を行うため、都道府県が中心となって難病医療に関係する医療従事者同士の連携を図る仕組みを導入する。

（「難病医療地域基幹病院（仮称）」の指定）

○　地域医療の推進や入院・療養施設の確保等のため、都道府県が概ね二次医療圏に１か所程度「難病医療地域基幹病院（仮称）」を指定する。

○　「難病医療地域基幹病院（仮称）」が果たすべき役割は以下のとおりとする。

①　「難病指定医（仮称）」の配置、難病患者を診療するために必要な設備

の確保等、難病患者の診療のために十分な診療体制の整備

② 地域の医療機関、介護・福祉サービス等の担当者に対する研修の実施

③ 「難病対策地域協議会（仮称）」[2]への参加、「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」との連携体制の構築等

（指定した医療機関の名称の公表）

○ 都道府県は指定した「新・難病医療拠点病院（仮称）」及び「難病医療地域基幹病院（仮称）」の名称を公表する。

第２ 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

１．基本的な考え方

○ 高額な医療費の負担については、医療保険制度における高額療養費制度により軽減が図られており、難病患者が受ける医療についても、医療保険が適用される医療は高額療養費制度の対象となっている。

しかしながら、症例が比較的少ない難病については、各医療機関・研究機関の個別の研究に委ねていては原因の究明や治療方法の開発等に困難をきたすおそれがあるため、患者の受療を促進するとともに、一定の症例を確保し、難病患者データを研究事業に結びつけることで治療研究に役立てる必要がある。また、いわゆる難病は、原因が不明であって、治療方法が確立されていないため、長期にわたる療養が必要となり、その結果、比較的若い時期から長期にわたり高額な医療費の負担が必要となる。こうした難病特有の事情に着目し、医療費の助成を行うものである。

○ したがって、新たな難病対策における医療費助成は、

① 治療方法の開発等に資するため、難病患者データの収集を効率的に行い治療研究を推進するという目的に加え、

② 効果的な治療方法が確立されるまでの間、長期の療養による医療費の経済的な負担が大きい患者を支援するという福祉的な目的

も併せ持つものとし、広く国民の理解を得られる公平かつ安定的な仕組みとなるよう、必要な財源を確保しつつ、法制化について検討する。

２．対象疾患及び対象患者の考え方

○ 医療費助成の対象疾患については、難治性疾患克服研究事業「今後の難病対策のあり方に関する研究班」（以下「研究班」という。）の中間報告における類型化を前提とすると、以下の４要素を満たしており、一定の診断基準や診断基準に準ずるものが確立しており、客観的な指標がある疾患（類

[2] 「難病対策地域協議会（仮称）」については、P.14 参照。

縁疾患として疾患概念が明確なものを含む。）とすることが適当である。

① 症例が比較的少ないために全国的な規模で研究を行わなければ対策が進まない（注）

② 原因不明（病態が未解明なもの。）

③ 効果的な治療方法未確立（治療方法がないもの。進行を遅らせ一時的に症状を緩和できるもの。一定の治療方法があるが、軽快と増悪を繰り返すもの。）

④ 生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とするもの。）

（注）研究班の中間報告を踏まえれば、希少性については、例えば次の４つの類型が考えられ、諸外国の希少疾病の基準も参考に設定していくことが考えられる。

(A) 患者数が 1,000 人（※１）以下

(B) 患者数が 1,000 人を上回り、５万人（※２）以下

(C) 患者数が５万人を上回り、人口の 0.1%程度以下

(D) 患者数が人口の 0.1%程度を上回る

※１ 「ライフ・イノベーションの一体的な推進について（平成 24 年３月厚生労働省）」における、極めて患者数が少ない希少疾病の基準（ウルトラオーファン）

※２ 薬事法第 77 条の２に基づく希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の指定基準（オーファンドラッグ・デバイス）

○ 対象患者は、対象疾患に罹患している者のうち、症状の程度が重症度分類等で一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障がある者とする。

○ 対象疾患の拡大を含めた見直しに当たっては、一方で適切な患者負担の在り方も併せて検討することとし、制度の安定性・持続可能性を確保するものとする。

○ 制度の安定性・持続可能性を確保するため、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、定期的に評価し、見直すこととし、見直しを行う場合、一般的な保険医療により対応する。ただし、一定の経過措置を講ずることも検討する。

○ 対象疾患の選定及び見直しについては、公平性・透明性を確保する観点から、第三者的な委員会において決定する。

３．対象患者の認定等の考え方

（１）全体的な流れ

○ 都道府県が、難病について専門的な知見を有する医師を「難病指定医（仮称）」として指定し、「難病指定医（仮称）」が交付する「新・臨床調査個人

票（仮称）」に基づき、都道府県に設置する「難病認定審査会（仮称）」において対象患者を審査する。

○　都道府県は、医療費助成の対象患者として認定した者に対して、「医療受給者証（仮称）」を交付する。交付を受けた者が、「医療受給者証（仮称）」を提示して、都道府県が指定する「指定難病医療機関（仮称）」において受けた治療について、医療費の助成を受けることができるようにする。

（２）「難病指定医（仮称）」による診断

○　「難病指定医（仮称）」は難病患者の求めに応じ、認定等に必要な項目を記載し、医療費助成に係る「新・臨床調査個人票（仮称）」を交付するとともに、同時に難病患者データの登録を行う。

○　「難病指定医（仮称）」は、難病医療に関し専門性を有する医師（専門学会に所属し専門医を取得している医師、又は専門学会、日本医師会（地域医師会）、新・難病医療拠点病院等で実施する一定の基準を満たした研修を受講した医師等） であることを指定の要件とし、都道府県が指定することとする。

○　入院中や神経難病等で人工呼吸器をつけており在宅医療を行っている場合、離島地域等に住んでおり付近に「難病指定医（仮称）」が存在しない場合等、正当な理由で「難病指定医（仮称）」を受診することが困難な患者の場合、特別の理由を付記することを要件に「難病指定医（仮称）」以外の医師が交付した「新・臨床調査個人票（仮称）」であっても認めることとする。

○　都道府県は指定した「難病指定医（仮称）」の医師の氏名、勤務する医療機関の名称を公表する。

（３）「難病認定審査会（仮称）」による審査

○　都道府県で「難病認定審査会（仮称）」を設置し、現行の特定疾患対策協議会よりも審査体制を強化する。その構成は、①「難病指定医（仮称）」（概ね疾患領域ごとに１名以上）、②行政関係者、③都道府県が必要と認める者等とし、都道府県の実情に応じ月一回程度開催することとする。

○　「難病認定審査会（仮称）」は、「難病指定医（仮称）」によってなされた診断・症状の程度の判定の適正性・妥当性を審査し、必要に応じ、助言することができるものとする。

○　特に新規の申請については、「新・臨床調査個人票（仮称）」だけではなく画像や検査結果のコピー等をもとに、重点的に審査を行う。

（４）「医療受給者証（仮称）」及び「登録者証（仮称）」の交付

（「医療受給者証（仮称）」の交付）

○　都道府県は、医療費助成の対象患者として認定した者に対し、「医療受給者証（仮称）」を交付する。「医療受給者証（仮称）」には、氏名、住所、生年月日等のほか、疾患名、有効期間、医療費助成に係る医療を受ける主たる「指定難病医療機関（仮称）」、自己負担上限額を記載する。なお、有効期間については、難病患者データを収集するとともに、病状、所得の変化等に対応するため１年間とする。

○　都道府県等の事務的な負担も考慮しつつ、一時期に患者の受診が集中することによる医療機関の負担を軽減するため「医療受給者証（仮称）」の更新を患者の誕生月にすること等を検討する。なお、検討するに当たっては、申請する患者に新たな負担や不便が生じないよう十分に配慮することとする。

（「登録者証（仮称）」の交付）

○　「医療受給者証（仮称）」を交付されている患者の病状が軽症化し、医療費助成の対象とならなくなった患者に対し、再度、症状が悪化した場合の円滑な手続きのために、「登録者証（仮称）」を交付する。「登録者証（仮称）」については、更新手続きの負担を軽減する一方、難病患者データを収集することも重要であるため、更新手続きの期間としては５年間とする。

○　「登録者証（仮称）」の交付を受けた者の症状が再度悪化し、日常生活又は社会生活に支障が生じた場合は、「難病指定医（仮称）」が交付する「新・臨床調査個人票（仮称）」を添えて、医療費助成の申請を行うことができる。「登録者証（仮称）」の交付を受けた者が医療費助成の申請を行い、医療費助成の対象患者として認定された場合は、患者は「難病指定医（仮称）」により病状の悪化が確認された日に遡って医療費助成を受けることができるものとする。

○　なお、「登録者証（仮称）」の交付により、福祉サービス等の利用時に診断書の代わりとして使うことができる、軽症者の早期受診を促す、軽症者のデータ登録を促す等の効果が期待できることから、医療費助成の対象疾患と診断された患者すべてに「登録者証（仮称）」を交付すべきという意見があったことを踏まえ、自治体の事務負担や登録者証の目的・効果の観点から、交付対象者について引き続き検討が必要である。

（５）「指定難病医療機関（仮称）」による治療等

○　医療費助成の対象患者としての認定申請の際には、「難病指定医（仮称）」

が交付する「新・臨床調査個人票（仮称）」の提出を要件としつつ、医療費助成の対象となる医療については、都道府県が「指定難病医療機関（仮称）」を幅広く指定し、身近な医療機関で受けることができる仕組みを作る。

○　都道府県は、医師会等の協力を得て、患者の利便性の向上のため、保険医療機関の中から「指定難病医療機関（仮称）」を幅広く指定するよう努めるものとする。

○　医療費助成の対象となる医療の範囲については、対象疾患及び対象疾患に付随して発現する傷病に対する医療に限ることとする。このため、故意に医療費助成の対象となる医療と関係のない治療に関し、医療費助成の請求を繰り返す等の行為を行う「指定難病医療機関（仮称）」に対し、都道府県は、指導、指定取消しを行うことができることとする。

○　医療機関から診療報酬を請求する際、医療保険と公費負担医療の給付の内容が異なる場合等には公費負担医療に係る請求分にアンダーラインを付すこととなっており、都道府県における取扱いの均衡を図る観点から、医療費助成の対象となる医療の診療報酬の請求方法についてのルールを周知徹底する。また、制度の適切な運用の観点から、各都道府県の医療費助成に係る実務的な取扱いについて情報共有する。

４．給付水準についての考え方

○　難病の特性を踏まえつつ、病気がちであったり、費用が高額な治療を長期にわたり継続しなければならない患者（高齢者、障害者等）を対象とする他制度の給付との均衡を図る。対象患者が負担する一部負担額については、低所得者に配慮しつつ、所得等に応じて月額限度額を設定する。

①　一部負担額が０円となる重症患者の特例を見直し、すべての者について、所得等に応じて一定の自己負担を求めること。

②　入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担については、患者負担とするとともに、薬局での保険調剤に係る自己負担については、月額限度額に含めること。

第３　国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実

１．難病に関する普及啓発

○　難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指すため、患者や家族、医療従事者以外の幅広い一般国民に対する普及啓発を、より一層推進する必要がある。

○　難病には様々な症状があり、症状に変動があることなど、一般的には理解されにくい難病の特性について周知すること等により、難病に対する社

会全体の理解を深める必要がある。

○　既存の難病情報センター等も活用しつつ、各疾患の概要や専門的な医療機関等に関する情報をさらに充実させるとともに、難病患者を支援する各種制度・サービスの周知を強化する。

○　全国又は地域において、患者団体や自治体等が広く一般国民を対象として実施する難病に関する普及啓発の取組を支援する。

２．日常生活における相談・支援の充実

（１）難病相談・支援センターの機能強化

○　難病相談・支援センターが担うべき基本的な機能は、患者等の療養上及び日常生活上での悩みや不安等の解消を図るとともに、患者等のもつ様々なニーズに対応したきめ細かな相談や支援を行うこととする。

○　難病は疾患あたりの患者数が比較的少なく、ある程度広域で対応する必要があることから、実施主体は都道府県とし、各都道府県ごとに難病相談・支援センターを設置することとする。また、運営主体については、地域によって様々な主体が考えられることから、地域の実情に合わせて、その機能の全部又は一部を委託できることとする。

○　どの難病相談・支援センターにおいても基本的な機能を十分に発揮できるよう、必要な体制を確保する。また、運営主体、事業規模、職員数等によって異なる各難病相談・支援センターの取組内容について、個人情報の保護に配慮しつつ、次のような機能を備えたネットワーク等の仕組みにより、均てん化・底上げを図る。

①　全国の難病相談・支援センターの取組内容や好事例、困難事例、患者会等について情報提供する機能

②　他の難病相談・支援センターと交流する機会の付与など難病相談・支援センター同士の連携・相互支援の基盤を作る機能

○　「難病対策地域協議会（仮称）」も活用しつつ、市町村、医療機関、保健所、ハローワーク等の就労支援機関、子どもの相談支援機関等との連携を強化する。

○　難病相談・支援センターの質の向上を図るため、職員の研修を充実させるとともに、難病相談・支援員の研修会への参加を促進する。また、患者の交流会等の開催を促進し、患者間の相互支援を推進するとともに、ピアサポートの研修会の開催を促進し、ピアサポートを行うための基礎的な知識・能力をもつ人材の育成を図ることも必要である。

（２）保健所を中心とした地域支援ネットワークの構築

○　保健所を中心とした「難病対策地域協議会（仮称）」を設置するなど、地域の実情に応じて、地域で生活する難病患者が安心して療養できるよう、地域の特性を把握し、難病患者に対する支援体制を整備する。「難病対策地域協議会（仮称）」は、現在の地域での取組を活かしつつ、地域の医師会・医師、看護・介護・福祉サービス事業者等の関係機関、患者会・家族会等で構成し、必要に応じて難病相談・支援センター、就労支援機関とも連携しつつ、難病患者が有する医療・生活・就労の複合的な支援ニーズの対応について、情報共有や、相互の助言・協力を推進する。

○　都道府県は、必要に応じて、保健所を中心とした地域支援ネットワークの構築を支援するための全県的な仕組みを導入する。

○　難病患者の地域での活動を支援するため、国及び都道府県は、「新・難病医療拠点病院（仮称）」等と協力し、難病患者やその家族が抱える日常生活上及び療養上の悩みについて、在宅で療養する難病患者を中心に個別の相談に対応し、必要に応じて地域の医療機関、医師、看護・介護・福祉サービス事業者等の関係機関と連携しつつ、助言・指導を行うことができる専門性の高い保健師等（「難病保健医療専門員（仮称）」）の育成に努める。

（３）官民の協力による社会参加の支援

○　難病患者の社会参加を支援するため、民間企業も含めた各方面の協力を得て各種支援策を講じやすくする。

○　特に、通院等のために利用する公共交通機関の運賃等の割引の支援を受けるには、症状の程度が重症度分類等で一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障があることの証明が必要であると考えられるところ、「医療受給者証（仮称）」に本人証明機能を付与する。

○　なお、「登録者証（仮称）」の交付により、難病に関する普及啓発に資する等の効果が期待できることから、医療費助成の対象疾患と診断された患者すべてに「登録者証（仮称）」を交付すべきという意見があったことを踏まえ、自治体の事務負担や登録者証の目的・効果の観点から、交付対象者について引き続き検討が必要である。

３．福祉サービスの充実（障害福祉サービスの利用）

○　障害者総合支援法[3]における難病等の範囲は、当面の措置として、「難病患者等居宅生活支援事業」の対象疾病と同じ範囲として平成 25 年４月から

[3]　障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律（平成 17 年法律第 123 号）

制度を施行した上で、新たな難病対策における医療費助成の対象疾患の範囲等に係る検討を踏まえ、見直しを行うものとする。

○　介護保険法に基づく介護サービスの提供者及び障害者総合支援法に基づく障害福祉サービスの提供者の技能を活かしつつ、難病患者特有のニーズに対応できるよう難病患者の福祉サービスに必要な知識・技能についての研修を一括して行う必要があることから、引き続き、難病患者の福祉サービスに携わる医療福祉従事者への研修等を実施していく。

４．就労支援の充実

○　難病にかかっていても服薬や通院等を続けながら就労できる患者が増加していることから就労は切実な問題である。このため、難病患者が仕事と治療を両立できるように、また、治療の効果を上げるためにも福祉、医療、労働など関係分野が連携し、ＮＰＯ等の民間の取組も活用しながら、難病患者に対する就労支援の充実を図る。

○　難病雇用マニュアル[4]等により、事業主や関係機関に対し、可能な職務や就労形態、通院への配慮等の難病に関する知識や難治性疾患患者雇用開発助成金等の既存の支援策の普及啓発を図る。また、労働時間等の設定に際し、特に配慮を必要とする労働者について事業主に求められる取組を示したガイドライン[5]や、こうした労働者に対する休暇制度の普及啓発を図ることも必要である。

○　ハローワークに「難病患者就職サポーター（仮称）」を新たに配置し、ハローワークと難病相談・支援センターの連携を強化する。

○　難病患者に対する就労支援については、障害者総合支援法における難病等[6]に該当する場合には、平成 25 年４月から障害福祉サービス（訓練等給付[7]）の対象となることから、その周知に取り組むとともに、難病患者の特性を踏まえた支援の在り方を検討することも必要である。

○　難病患者が抱いている仕事と治療の両立や仕事への復帰時期等に対する不安を解消するため、「難病対策地域協議会（仮称）」 等において、「新・難病医療拠点病院（仮称）」や「難病医療地域基幹病院（仮称）」の医療従

---

4 「難病のある人の就労支援のために」（平成 23 年４月独立行政法人高齢・障害者雇用支援機構障害者職業総合センター）

5 「労働時間等見直しガイドライン」（労働時間等設定改善指針（平成 20 年厚生労働省告示第 108 号）

6 障害者総合支援法上は、「治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病であって政令で定めるものによる障害の程度が厚生労働大臣が定める程度である者」と規定されている。

7 自立訓練（機能訓練・生活訓練）、就労移行支援、就労継続支援（Ａ型・Ｂ型）、共同生活援助

事者を中心に、難病患者の就労に係る知識の普及及び関係機関との連携・情報共有に対する意識の向上を図る。

○　新たな難病対策における医療費助成の対象疾患の範囲等に係る検討を踏まえ、就労支援策の見直しについて検討を行う。なお、その際、雇用率制度の対象に加えてもらいたいとの意見があった。

５．難病を持つ子ども等への支援の在り方

○　難病相談・支援センターと、子どもの相談支援機関や小児の難病に対応できる医療機関等の連携を強化する。

○　小児期に発症する難病の成人後の医療・ケアに携わる医療従事者に対する研修等を行うとともに、小児期からの担当医師等との連携を促進する。

○　小児期から成人期までの難病患者のデータを活用できる仕組みを構築し、基礎研究・治療研究における小児の難病研究を推進する。

○　小児期から難病に罹患している者が継続して治療が必要となり成人移行（トランジション）する場合もあることから、切れ目のない支援の在り方の検討が必要である。

○　小児期に長期の療養生活を余儀なくされるなどの特性にも配慮しながら、就労支援を含む総合的な自立支援についても検討を行う必要がある。

○　難病を持つ子ども等への支援の在り方については、「社会保障審議会児童部会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」と連携しながら引き続き調整を進める。

Ⅳ　おわりに

難病は、その確率は低いものの、国民の誰にでも発症する可能性がある。難病は、生物としての多様性をもつ人類にとっての必然であり、科学・医療の進歩を希求する社会の在り方として、難病に罹患した患者・家族を包含し、支援していくことが求められている。

本委員会は、難病対策に関する過去の経緯を十分に踏まえつつ、いかにして総合的な難病対策を時代に合ったものに改革していくかについて真剣に議論してきた。また、審議に当たっては、難病研究・医療ワーキンググループ及び難病在宅看護・介護等ワーキンググループにおけるより技術的・専門的な検討の報告を踏まえるとともに、全国の患者団体との意見交換会での意見や実施主体となる都道府県からの意見も議論に付すなどして、患者やその家族並びに都道府県関係者の意見をできるだけ反映するよう努めた。

行政当局は、この報告書をとりまとめるまでの１年４か月にわたる審議経過を十分に認識し、本報告書において提言した難病対策の改革を早急に実現すべく、必要な財源を確保しつつ、法制化その他必要な措置について関係各方面と調整を進めるよう強く要望する。また、事務局は、本委員会でさらに審議すべき事項について、研究班の調査・分析の進捗状況や関係各方面との調整状況を踏まえつつ、時宜をとらえて審議する場を設けられたい。

（参考）厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会　委員名簿

（平成 24 年 10 月 30 日より）

氏　名	所　属　・　役　職
五十嵐　隆	(独)国立成育医療研究センター総長
伊藤　たてお	日本難病・疾病団体協議会代表理事
小幡　純子	上智大学法科大学院教授
◎　金澤　一郎	国際医療福祉大学　大学院長
葛原　茂樹	鈴鹿医療科学大学教授
小池　将文	川崎医療福祉大学教授
駒村　康平	慶應義塾大学経済学部教授
水田　祥代	九州大学名誉教授・福岡歯科大学常務理事
千葉　勉	京都大学大学院医学研究科消化器内科科学講座教授
春名　由一郎	(独)高齢・障害・求職者雇用支援機構障害者職業総合センター主任研究員
広井　良典	千葉大学法経学教授
○　福永　秀敏	(独)国立病院機構南九州病院長
本田　彰子	東京医科歯科大学大学院保健衛生学研究科教授
本田　麻由美	読売新聞東京本社記者
本間　俊典	あせび会(希少難病者全国連合会)監事
益子　まり	川崎市宮前区役所保健福祉センター所長
眞鍋　馨	長野県健康福祉部長
道永　麻里	(社)日本医師会常任理事
山本　一彦	東京大学大学院医学系研究科教授

◎は委員長
○は副委員長

（参考）厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会における検討経緯

	日時	主な議題
①	第13回難病対策委員会 平成23年９月13日	・難治性疾患対策の現状について
	平成23年９月26日	平成23年度第１回疾病対策部会にて、 難病対策委員会への検討指示
②	第14回難病対策委員会 平成23年９月27日	・厚生科学審議会疾病対策部会における議論の概要 ・難病患者等の日常生活と福祉ニーズ調査に関するアンケート調査報告 ・難治性疾患患者の生活実態に関する調査報告 ・難治性疾患対策の現状について（研究、医療等）
③	第15回難病対策委員会 平成23年10月19日	・これまでの委員会における議論を踏まえた論点について ・難治性疾患の定義について
④	第16回難病対策委員会 平成23年11月10日	・関係者からのヒアリング（ＮＰＯ法人、難病相談・支援センター、患者団体、研究者）
⑤	第17回難病対策委員会 平成23年11月14日	・関係者からのヒアリング（患者団体、研究者等）
⑥	第18回難病対策委員会 平成23年12月１日	・難病がある人への雇用支援施策について ・今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）【とりまとめ】
⑦	第19回難病対策委員会 平成24年１月17日	・今後の具体的な検討事項について ・難病患者の在宅看護・介護等の在り方について ・ワーキンググループ（ＷＧ）の設置について
⑧	第20回難病対策委員会 平成24年２月９日	・障害福祉施策のこれまでの検討状況について ・ワーキンググループ（ＷＧ）の設置について
	第１回 難病研究・医療ＷＧ 平成24年３月１日	・難病対策委員会における検討状況について ・難病医療体制の現状と課題について ・難病研究の現状と課題について
	第２回 難病研究・医療ＷＧ 平成24年５月18日	・難病の定義、範囲の在り方 ・医療費助成の在り方 ・難病医療の質の向上のための医療提供体制の在り方
	第３回 難病研究・医療ＷＧ 平成24年６月18日	・難病の定義、範囲の在り方 ・医療費助成の在り方 ・難病医療の質の向上のための医療提供体制の在り方 ・研究の在り方 ・小児慢性特定疾患治療研究事業の対象疾患のトランジションの在り方
	第１回 難病在宅看護・介護等ＷＧ 平成24年２月24日	・難病対策委員会における検討状況について ・難病在宅看護・介護の現状と課題について ・難病相談・支援の現状と課題について ・患者団体支援、就労支援の現状と課題について
	第２回 難病在宅看護・介護等ＷＧ 平成24年５月29日	・在宅看護・介護・福祉の在り方 ・難病相談・支援センターの在り方 ・難病手帳（仮称）の在り方 ・就労支援の在り方

	第３回 難病在宅看護・介護等ＷＧ 平成 24 年６月 15 日	・在宅看護・介護・福祉の在り方 ・難病相談・支援センターの在り方 ・難病手帳（仮称）の在り方 ・就労支援の在り方
⑨	第 21 回難病対策委員会 平成 24 年７月３日	・難病研究・医療ＷＧ及び難病在宅看護・介護等ＷＧにおける検討状況について
⑩	第 22 回難病対策委員会 平成 24 年７月 17 日	・難病手帳（カード）（仮称）の在り方 ・今後の難病対策の在り方（論点の整理）
⑪	第 23 回難病対策委員会 平成 24 年８月 16 日	・難病を持つ子どもへの支援の在り方 ・今後の難病対策の在り方（中間報告）【とりまとめ】
	平成 24 年８月 22 日	平成 24 年度第１回疾病対策部会にて、 「今後の難病対策のあり方（中間報告)」を了承
⑫	第 24 回難病対策委員会 平成 24 年 10 月 30 日	・難病対策の改革の全体像及び今後の検討課題とその手順について ・医療費助成について（対象疾患、重症度等の基準、給付水準）
⑬	第 25 回難病対策委員会 平成 24 年 11 月６日	・国民の理解の促進と社会参加のための施策の充実について
⑭	第 26 回難病対策委員会 平成 24 年 11 月 15 日	・効果的な治療方法の開発と医療の質の向上、医療費助成の認定について
⑮	第 27 回難病対策委員会 平成 24 年 12 月６日	・第 24 回～第 26 回難病対策委員会における主な意見について ・症例が比較的少ない難病について医療費助成を行う考え方について ・障害者総合支援法の対象となる難病等の範囲について ・難病手帳（カード）（仮称）の在り方について ・都道府県からの意見について
⑯	第 28 回難病対策委員会 平成 25 年１月 17 日	・難病手帳（カード）（仮称）の在り方について ・難病対策の改革について（提言）（素案）
⑰	第 29 回難病対策委員会 平成 25 年１月 25 日	・難病対策の改革について（提言）【とりまとめ】