

難病対策委員会の設置について

1. 設置の目的

- (1) 特定疾患治療研究事業は、原因が不明であって、治療方法が確立していない、いわゆる難病のうち、特定の疾患については、治療が極めて困難であり、かつ、医療費も高額であることを考慮し、特定疾患に関する医療の確立、普及を図るとともに、患者の医療費の負担軽減を図ることを目的に昭和47年より実施されてきた。
- (2) 一方、医療技術の進歩に伴い、がん、ねたきり等の他疾患との不公平感の増大を是正するため、平成10年度より重症難病患者を除く難病患者に対する医療費の一部自己負担を導入したところである
- (3) しかしながら、事業発足以来30年が経過し、既に一定の治療法が確立した対象疾患があるとの研究報告が出されたことや、本事業が法律によらない非制度的補助金に整理されており、将来的にも財政構造改革法に沿って削減の対象となっていることなどから事業を見直し、その安定化を図ることが必要となっている。

2. 現状

- (1) 現在、特定疾患治療研究事業は46疾患（別紙1）を対象としており、平成12年度末の医療受給者数は約47万件であり、その予算額は約226億円となっているが、平成13年度においては、約201億円となったところである。
- (2) 医療受給者証発行に際し必要な各疾患の認定審査の状況が、各都道府県毎に地域差があることが研究班の調査によって明らかにされたことから、平成13年度より、審査基準を統一することを目的に医療受給者の申請に際して提出される診断書(臨床調査個人票)を電子化のうえ、自動診断を可能としたことで、認定審査の適正化を図ったところである（別紙2）。

3. 構成

本委員会は、医療、福祉、行政等の関係者12名を委員として、厚生科学審議会疾病対策部会の専門委員会として設置したところである（別紙3）。

4. 検討スケジュール

平成13年度末を目途に、特定疾患治療研究事業の見直しに関する検討結果を取りまとめることとしている。

これまでの主な委員会等の最終報告

- 1) 平成7年12月の公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会の最終報告
医療費の自己負担の解消の具体的方向として、
・「対象疾患数に上限を設定した上で、この基準に照らし対象疾患を取捨選択することも考慮すべき。」(資料1)
- 2) 平成9年3月の特定疾患対策懇談会(大臣の私的懇談会)特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会報告
特定疾患治療研究事業の選定基準として、
・「希少性については、調査研究事業の基準(患者数5万人未満)を適応して差し支えないものと思われる。」(資料2)
- 3) 平成9年9月の公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会の最終報告
特定疾患治療研究事業の対象疾患の見直しとして、
・「研究費の効率的な活用という観点から、対症療法の開発状況等を勘案し、希少性や難治性が相対的に低下したと思われる疾患の他の疾患との入れ替えを行うことが考えられる。」(資料3)
・「医療費の自己負担を全額公費で負担している現行制度を改め、公費負担の一部を患者負担とすることが考えられる」

平成10年5月より一部自己負担制度の導入

特定疾患治療研究対象疾患一覧

	疾 患 名	実 施 年 月	平成 12 年度末現在 交 付 件 数
1	ベーチェット病	昭和47年4月	17.203
2	多発性硬化症	昭和48年4月	8.786
3	重症筋無力症	昭和47年4月	12.738
4	全身性エリテマトーデス	"	49.436
5	スモン	"	2.070
6	再生不良性貧血	昭和48年4月	10.226
7	サイコイドーシス	昭和49年10月	19.157
8	筋萎縮性側索硬化症	"	5.738
9	強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎	"	28.430
10	特発性血小板減少性紫斑病	"	30.991
11	結節性動脈周囲炎	昭和50年10月	3.193
12	潰瘍性大腸炎	"	66.714
13	大動脈炎症候群	"	5.229
14	ビュルガー病	"	10.089
15	天疱瘡	"	3.195
16	脊髄小脳変性症	昭和51年10月	19.901
17	クローン病	"	19.651
18	難治性の肝炎のうち劇症肝炎	"	358
19	悪性関節リウマチ	昭和52年10月	5.112
20	パーキンソン病	昭和53年10月	55.798
21	アミロイドーシス	昭和54年10月	865
22	後縦靭帯骨化症	昭和55年12月	20.476
23	ハンチントン舞蹈病	昭和56年10月	546
24	ウィリス動脈輪閉塞症(モヤモヤ病)	昭和57年10月	8.240
25	ウェゲナー肉芽腫症	昭和59年1月	854
26	特発性拡張型(うっ血型)心筋症	昭和60年1月	12.092
27	シャイ・ドレーガー症候群	昭和61年1月	665
28	表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型)	昭和62年1月	311
29	膿疱性乾癬	昭和63年1月	1.198
30	広範脊柱管狭窄症	昭和64年1月	1.643
31	原発性胆汁性肝硬変	平成2年1月	10.689
32	重症急性膵炎	平成3年1月	892
33	特発性大腿骨頭壊死症	平成4年1月	8.965
34	混合性結合組織病	平成5年1月	5.546
35	原発性免疫不全症候群	平成6年1月	1.142
36	特発性間質性肺炎	平成7年1月	2.819
37	網膜色素変性症	平成8年1月	18.568
38	クロイツフェルト・ヤコブ病	平成9年1月	215
39	原発性肺高血圧症	平成10年1月	472
40	神経繊維腫症	平成10年5月	1.453
41	亜急性硬化性全脳炎	平成10年12月	84
42	バッド・キアリ(budd-chiari)症候群	"	135
43	特発性慢性肺血栓栓症(肺高血圧型)	"	294
44	ファブリー(Fabry)病	平成11年4月	79
45	副腎白質ジストロフィー	平成12年4月	54
46	ライソゾーム病	平成13年5月	-
	合 計		472.312

難病患者認定適正化事業

(1) 目的

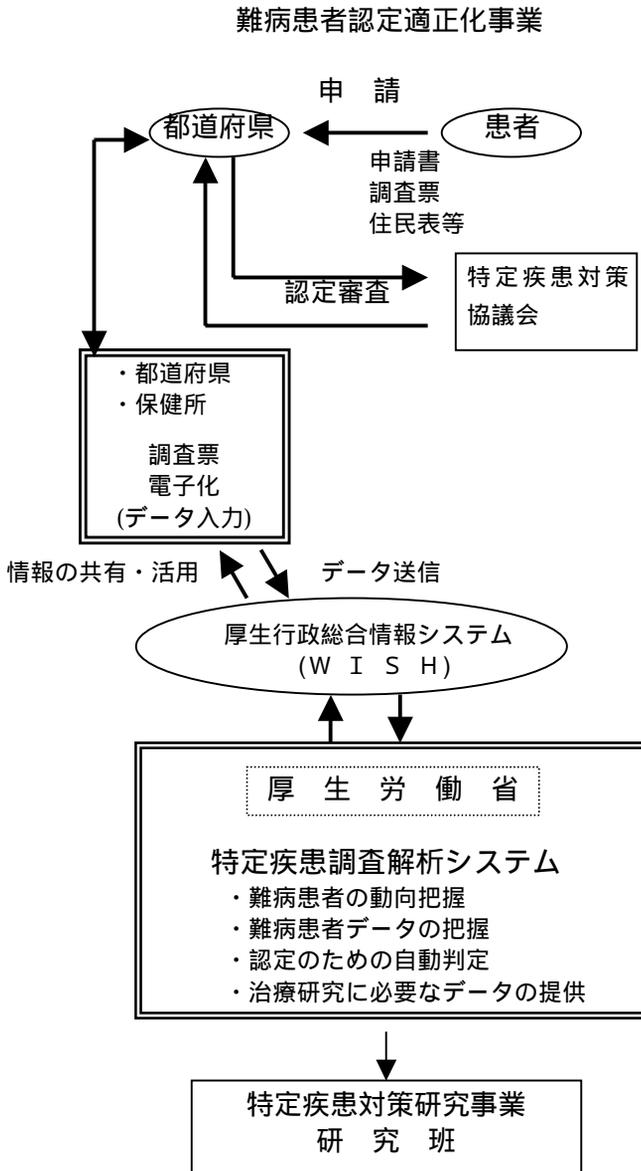
特定疾患治療研究事業の申請時に必要な臨床調査個人票(診断書)を電子化し、全国的に統一することにより、
第1に各研究班における難病患者の統一かつ定期的な研究促進
に新たな臨床調査個人票の使用により、従来からの診断基準の、より適正で統一
的判定
第3に審査業務及び認定作業の省力化を目的とする。

(2) 事業実施主体

都道府県

(3) 事業の開始年度

平成13年度



厚生科学審議会運営規程

(平成十三年一月一九日 厚生科学審議会決定)

厚生科学審議会令(平成十二年政令第二百八十三号)第十条の規定に基づき、この規程を制定する。

(会議)

第一条 厚生科学審議会(以下「審議会」という。)は、会長が招集する。

2 会長は、審議会を招集しようとするときは、あらかじめ、期日、場所及び議題を委員並びに議事に関係のある臨時委員及び専門委員に通知するものとする。

3 会長は、議長として審議会の議事を整理する。

(審議会の部会の設置)

第二条 会長は、必要があると認めるときは、審議会に諮って部会(分科会に置かれる部会を除く。以下本条から第四条までにおいて同じ。)を設置することができる。

2 会長は、必要があると認めるときは、二以上の部会を合同して調査審議させることができる。

(諮問の付議)

第三条 会長は、厚生労働大臣の諮問を受けたときは、当該諮問を分科会又は部会に付議することができる。

(分科会及び部会の議決)

第四条 分科会及び部会の議決は、会長の同意を得て、審議会の議決とすることができる。

(会議の公開)

第五条 審議会の会議は公開とする。ただし、公開することにより、個人情報保護に支障を及ぼすおそれがある場合又は知的財産権その他個人若しくは団体の権利利益が不当に侵害されるおそれがある場合には、会長は、会議を非公開とすることができる。

2 会長は、会議における秩序の維持のため、傍聴人の退場を命ずるなど必要な措置をとることができる。

(議事録)

第六条 審議会における議事は、次の事項を含め、議事録に記載するものとする。

一 会議の日時及び場所

二 出席した委員、臨時委員及び専門委員の氏名

三 議事となつた事項

2 議事録は、公開とする。ただし、個人情報の保護に支障を及ぼすおそれがある場合又は知的財産権その他個人若しくは団体の権利利益が不当に侵害されるおそれがある場合には、会長は、議事録の全部又は一部を非公開とすることができる。

3 前項の規定により議事録の全部又は一部を非公開とする場合には、会長は、非公開とした部分について議事要旨を作成し、これを公開するものとする。

(分科会の部会の設置等)

第七条 分科会長は、必要があると認めるときは、分科会に諮って部会を設置することができる。

2 分科会長は、第三条の規定による付議を受けたときは、当該付議事項を前項の部会に付議することができる。

3 第一項の部会の議決は、分科会長の同意を得て、分科会の議決とすることができる。

4 分科会長は、必要があると認めるときは、二以上の部会を合同して調査審議させることができる。

(委員会の設置)

第八条 部会長は、必要があると認めるときは、部会に諮つて委員会を設置することができる。

(準用規定)

第九条 第一条、第五条及び第六条の規定は、分科会及び部会に準用する。この場合において、第一条、第五条及び第六条中「会長」とあるのは、分科会にあつては「分科会長」、部会にあつては「部会長」と、第一条中「委員」とあるのは、分科会にあつては「当該分科会に属する委員」、部会にあつては「当該部会に属する委員」と読み替へるものとする。

(雑則)

第十条 この規程に定めるもののほか、審議会、分科会又は部会の運営に必要な事項は、それぞれ会長、分科会長又は部会長が定める。

厚生科学審議会疾病対策部会運営細則

(平成十三年二月二十三日疾病対策部会長決定)

厚生科学審議会運営規程(平成十三年一月十九日厚生科学審議会決定)第十条の規定に基づき、この細則を制定する。

(委員会の設置)

第一条 厚生科学審議会疾病対策部会(以下「部会」という。)に、その定めるところにより、委員会を置く。

(委員会の構成)

第二条 委員会は、厚生科学審議会の委員、臨時委員又は専門委員の中から部会長が指名する者(以下「委員会委員」)により構成する。

(委員長の指名)

第三条 委員会に委員長を置く。委員長は、委員会委員の中から、部会長が指名する。

(会議等)

第四条 委員会は、委員長が招集する。

2 委員長は、委員会を招集しようとするときは、あらかじめ、期日、場所及び議題を委員会委員に通知しなければならない。

3 委員長は、会務を総理し、議長として委員会の議事を整理する。

4 委員長に事故があるときは、委員会委員のうちからあらかじめ委員長が指名した者がその職務を行う。

(会議の公開)

第五条 委員会第七条に規定するものを除く。以下次条において同じ。(の会議は公開とする。ただし、公開することにより、個人情報保護に支障を及ぼすおそれがある場合又は知的財産権その他個人若しくは団体の権利利益が不当に侵害されるおそれがある場合に

は、委員長は、会議を非公開とすることができる。

2 委員長は、会議における秩序の維持のため、傍聴人の退場を命ずるなど必要な措置をとることが出来る。

(議事録)

第六条 委員会における議事は、次の事項を含め、議事録に記載するものとする。

一 会議の日時及び場所

二 出席した委員会委員の氏名

三 議事となった事項

2 議事録は、公開とする。ただし、個人情報の保護に支障を及ぼすおそれがある場合又は知的財産権その他個人若しくは団体の権利利益が不当に侵害されるおそれがある場合には、委員長は、議事録の全部又は一部を非公開とすることができる。

3 前項の規定により議事録の全部又は一部を非公開とする場合には、委員長は、非公開とした部分について議事要旨を作成し、これを公開しなければならない。

(部会の定める委員会に係る取扱い)

第七条 部会の定める委員会については、第五条第一項ただし

書の趣旨を踏まえ、非公開とすることができる。ただし、委員長は、前条第二項ただし書及び第三項の趣旨を踏まえ、議事要旨を作成し、これを公開しなければならない。

(部会の庶務)

第八条 部会の庶務は、厚生労働省健康局疾病対策課において総括し、及び処理する。

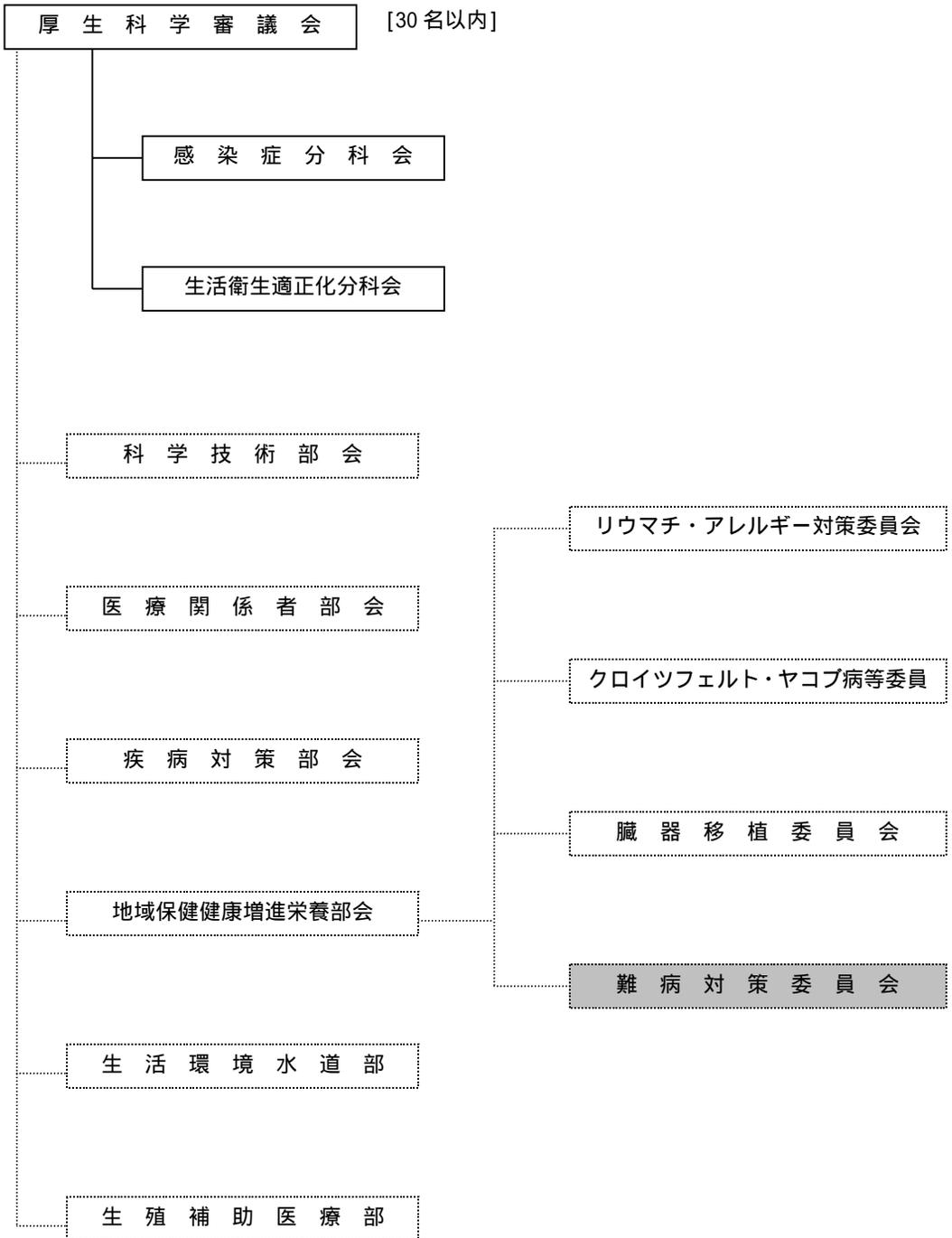
(雑則)

第九条 この細則に定めるもののほか、部会又は委員会の運営に必要な事項は、部会長又は委員長が定める。

厚生科学審議会疾病対策部会の委員会の設置について

委員会の名称	所 掌	事 務 局
リウマチ・アレルギー対策委員会	リウマチ・アレルギー疾患対策に関する専門的事項を調査審議すること。	健康局 疾病対策課
クロイツフェルト・ヤコブ病等委員会	クロイツフェルト・ヤコブ病等に関する専門的事項を調査審議すること。	健康局 疾病対策課
臓器移植委員会	臓器移植に関する専門的事項を調査審議すること。	健康局 疾病対策課 臓器移植対策室
難病対策委員会	難病対策に関する専門的事項を調査審議すること。	健康局 疾病対策課

厚生科学審議会の構成



実線は、法律又は政令で定められている。

公衆衛生審議会成人病難病対策部会

難病対策専門委員会

最終報告

<抜粋>

平成 7 年 12 月 27 日

はじめに

本委員会は、公衆衛生審議会成人病難病対策部会の専門委員会として、21世紀に向けた総合的な難病対策を検討するため、平成5年7月に発足し、特定疾患調査研究事業及び特定疾患治療研究事業等をめぐる難病対策の現状とその評価及び今後の対策の方向について、患者団体や都道府県からの意見聴取を含めて、14回にわたる審議を行ってきた。

この間、平成6年7月18日に中間報告を取りまとめ、同月20日には公衆衛生審議会成人病難病対策部会に報告し、さらに、患者団体の意見も聴取した上で、この度、以下のとおり、これまでの検討結果を取りまとめたので報告する。

1 難病対策の現状

(1) 難病対策については、現在厚生省において、特定疾患調査研究事業及び特定疾患治療研究事業(以下「特定疾患研究事業」という。)、心身障害研究事業、小児慢性特定疾患治療研究事業・更生医療給付事業、育成医療給付事業等、各種の施策が推進されている。これらの施策は、法律に基づくものや予算に基づくもの、疾患の原因究明・治療方法の解明等を目的とするものや児童の健全育成等を目的とするもの、また、対象年齢が成人であるものや児童であるものなど、様々である。

(2) 難病対策として取り上げるべき疾病の範囲については昭和47年10月に策定された「難病対策要綱」によれば、

原因不明、治療方法未確立であり、かつ、後遺症を残すおそれが少なくない疾病経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家庭の負担が重く、また精神的にも負担の大きい疾病

と定義され下おり純医学的観点と患者のおかれている臨床像及び社会的立場という2つの観点から整理されている。

我が国の難病対策は、前述の難病対策要綱に基づき、「調査研究の推進」、「医療施設の整備」、「医療費の自己負担の解消」を3本の柱として総合的に推進されてきたが、地域における在宅医療の促進という観点から、平成元年度に4本目の柱として「地域保健医療の推進」が加えられ、対策の一層の充実が図られたところである。

また、いわゆる難病のうち、スモンやベーチェット病のような疾患を対象とする特定疾患研究事業は、原因究明や治療方法の解明等を目的とし、難病対策の中心的な事業として位置付けられているが、このうち特定疾患調査研究事業については44研究班によって、特定疾患治療研究事業については、現在36疾患(平成8年から37疾患)について事業が行われている。

(3) 難病対策要綱が策定されて以来20年余が経過し、難病対策をめぐる状況は以下のように変化している。

ア 特定疾患研究事業については、分子生物学や免疫学等の進歩により、原因の究明が飛躍的に進んだ疾患がある

診断・治療法がかなり進歩し、予後が改善された疾患がある

など、難病の医学的位置付けが変化してきており、特定疾患調査研究体制の在り方、特定疾患調査研究事業と特定疾患治療研究事業との連携、特定疾患治療研究事業の

対象疾患の範囲等、特定疾患研究事業の在り方について見直しが必要となってきた。
イ 平成6年7月1日に公布された「地域保健対策強化のための関係法律の整備に関する法律」中の「地域保健法」においては、保健所事業の一つとして、新たに「治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病により長期に療養を必要とする者の保健に関する事項」が加えられ、平成9年度から実施されることになっている。このように難病対策における保健所の役割が明確に位置付けられた。

ウ 平成5年12月3日に公布された「障害者基本法」の附帯決議において、「…難病に起因する身体又は精神上の障害を有する者であって長期にわたり生活上の支障があるもの」は、障害者基本法の障害者の範囲に含まれることとされ、きめ細かな施策の推進に努めることが要請されている。

また、難病患者についても、昨今の社会情勢の変化を受けて、身体障害者と同様に、患者及び家族のQOL(生活の質)の向上、患者ニーズの多様化への対応、家族介護の負担軽減等の福祉的な課題が注目を集めてきている。

こうした状況の変化を踏まえて、本委員会においては、難病対策のうち、とりわけ特定疾患対策については、新たな展開を検討すべき時期にきていると考える。

以下、本報告書においては、難病対策のうち特定疾患対策について、現状の評価をもとに今後の展望について述べることにする。

2 今後の特定疾患対策の基本的方向

(1)特定疾患対策の重点的かつ効果的な施策の充実と推進を図るため、稀少性、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(長期療養を必要とする)、という4要素に基づき対象疾患として取り上げる範囲を明確にすることが必要である。

(2)これまでの特定疾患対策は、原因究明、治療方法の開発など、主に研究あるいは医学・医療面からのアプローチに重点をおいて推進されてきたが、前述したような状況の変化を踏まえれば、今後は、特定疾患調査研究体制や特定疾患治療研究事業の対象疾患の範囲など特定疾患研究事業を見直すとともに、保健所を核とした地域における保健医療の推進及び保健医療と福祉の連携に基づく総合的な施策の推進に加え、患者及び家族のQOLの向上を目指した福祉施策の推進など、長期療養を続ける患者の生活面についても着目し、個々の患者のADL(日常生活動作)の程度や病状・病態等に応じた必要なサービスを提供できるよう、患者及び家族のQOLの維持・向上を目指した対策を推進していく必要がある。

(3)当委員会の中間報告において、従来の第4の柱「地域保健医療の推進」を「地域における保健医療福祉の充実・連携」とし、地域における難病対策の総合的推進を提唱したところであるが、これに加え、従来未着手の分野であった福祉施策について強力に推進していくべきとの考えから、新たに「QOLの向上を目指した福祉施策の推進」を加えた5本の柱を中心に総合的な対策を推進していくことが適当である。

(4)難病対策の法制化の是非については、患者団体においても賛否両論がある等、今回意見を取りまとめることは困難であり、将来的な課題とすることが妥当であろう。

**公衆衛生審議会 成人病難病対策部会 難病対策専門委員会
最終報告骨子**

1. 今後の特定疾患対策の基本的方向

- (1) 特定疾患対策の重点的かつ効率的な施策の充実と推進を図るため、稀少性、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(長期療養を必要とする)、という4要素に基づく対象疾患の範囲の明確化が必要。
- (2) 難病対策については、「調査研究の推進」、「医療施設の整備」、「医療費の自己負担の解消」、「地域保健医療の推進」を中心に進められてきたところ。
- 本委員会の平成6年7月の中間報告において、第4の柱を「地域における保健医療福祉の充実・連携」とすることを提唱したが、新たに第5の柱として「QOLの向上を目指した福祉施策の推進」を加え、保健・医療・福祉の総合的な対策を推進していくことが適当。

2. 今後の特定疾患対策の具体的方向

現 行 の 対 策	中 間 報 告	最 終 報 告
【現行の対策の評価】	【今後の対策の基本的方向】	【今後の対策の具体的方向】
<p>1. 調査研究の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 網羅的な班構成であるため班員数が多く1人当たりの研究費が少額で、掘り下げた研究が困難 ・ 研究手法・内容の硬直化 ・ 治療研究事業との連携不十分 	<p>1. 調査研究の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 網羅的な研究体制の見直し ・ 各研究班の研究課題と研究期間の明確化 ・ 治療研究事業との連携の強化 ・ 効率的、重点的な研究が行える研究体制の構築 	<p>1. 調査研究の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> 臨床調査研究グループの創設 横断的基盤研琴グループの創設 研究評価体制の強化 着手研究者の育成強化及び弾力的運用
<p>2. 医療施設の整備</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 専門病院及び専門医の偏在、医療を支えるマンパワーの不足により円滑な受入れ体制不十分 ・ 長期療養患者の受入れ体制不十分 	<p>2. 医療施設の整備</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 受入れ医療機関の体制整備の検討 ・ 医学的管理と介護を中心としたサービスを行えるような中間的な施設の検討 	<p>2. 医療施設の整備</p> <ul style="list-style-type: none"> 国立病院及び民間病院等における積極的な受入れ 医学的管理と介護を中心としたサービスを行えるような中間的な施設の検討
<p>3. 医療費の自己負担の解消</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治療研究の一環としての公費負担という本来の目的より医療費の自己負担の軽減という福祉的な機能に着目 	<p>3. 医療費の自己負担の解消</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 調査研究事業との連携強化(データや成果等を蓄積し、調査研究に役立てるシステムの研究) ・ 治療研究の対象疾患の基準の一層の明確化 	<p>3. 医療費の自己負担の解消</p> <ul style="list-style-type: none"> 対象疾患の選定基準の明確化 診断基準、治療指針の適切な改定及び周知 調査研究と治療研究との連携強化
<p>4. 地域保健医療の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 療養の長期化、患者や家族の高齢化等の進展により医療面のみならず、介護等のサービス面での対応が不十分 ・ 保健医療福祉の連携、各種情報の提供が不十分 	<p>4. 地域における保険医療福祉の充実・連携</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 難病患者地域保健医療推進事業の拡充 ・ 難病に関する情報提供や研修等の充実 ・ 保健所を核とした地域ケアシステムの構築等 ・ ホームヘルプサービス・デイサービス事業等の福祉関連施策の検討 	<p>4. 地域における保健医療福祉の充実・連携</p> <ul style="list-style-type: none"> 保健所を核とした地域ケアシステムの構築等 難病患者地域保健医療推進事業等の拡充 難病情報センターの設置
		<p>5. QOLの向上を目指した福祉施策の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> ホームヘルプサービス事業の創設 ショートステイ事業の創設 日常生活用具給付事業の創設

特定疾患対策懇談会

特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会報告

平成 9 年 3 月 19 日

検討経過

当部会は、今後の特定疾患治療研究事業の対象疾患の選定に当たっての具体的な基準について検討すること(特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会運営方針二の)等を目的に、平成 8 年 4 月 15 日の特定疾患対策懇談会で、その設置が決定された。

特定疾患治療研究事業(以下「治療研究事業」という。)に関する対象疾患の検討に当たっては、治療研究事業の対象疾患が特定疾患調査研究事業(以下「調査研究事業」という。)の対象疾患の中から選定されていることに鑑み、調査研究事業の対象疾患の選定基準についても検討を行うこととし、各部会員に対するアンケート調査を実施したほか、2 回にわたり審議を行い、検討結果がまとまったので報告する。

1 調査研究事業の対象疾患選定基準について

(1)現状

本事業は、昭和 47 年 10 月に策定された厚生省の難病対策要綱に基づき、昭和 47 年度からスモン、ベーチェット病などの 8 疾患を対象とする 8 研究班でスタートし、その後、毎年対象疾患の拡大が図られ、平成 8 年度には 118 疾患を対象に、約 15 億円の予算で調査研究が行われている。

従来、対象疾患の選定については、原因不明で効果的な治療法が未確立であり、重症度も高く、予後が不良であるとか後遺症を残すおそれが少なくない疾患であって、症例が比較的少ない(疾患の希少性)ために全国的規模で研究を行わなければ原因の究明や治療方法の確立が進まない疾患であることを基本に、各条件を総合的に勘案して決定することとされてきた。(ただし、がん、脳卒中、心臓病、進行性筋ジストロフィー、重症心身障害、精神疾患などのように別に組織的な研究が行われているものは除くこととされている。)

対象疾患の選定手続としては、研究課題や研究班の構成などと併せて・厚生大臣の私的諮問機関である特定疾患対策懇談会の意見を聴いて、厚生省が決定してきたが、その具体的な選定基準が明らかになっていたわけではない。

しかし、調査研究事業対象疾患は、治療研究事業対象疾患の選定範囲となっているばかりでなく、平成9年1月から実施されている難病患者等居宅生活支援事業の事業対象者の範囲ともなっている(難病患者等ホームヘルプサービス事業運営要綱3の等)ことから、その選定基準を明確にしておくことが求められている。

(2)調査研究事業対象疾患の選定基準

調査研究事業対象疾患選定基準の策定に当たっては、公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会の最終報告(平成7年12月27日)において、「特定疾患対策の重点的かつ効果的な施策の充実と推進を図るため、希少性、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(長期療養を必要とする)という4要素に基づき、対象疾患として取り上げる範囲を明確にすることが必要である。」(2の(1))との提言があることからこの4要素を基本に、さらに、既に118疾患(平成9年2月現在)が選定されていることを踏まえ、従来の考え方にも配慮しながら検討を進めた。

検討の結果は、次のとおりである。

希少性

患者数が有病率から見て概ね5万人未満の疾患とする。

調査研究事業の自的の一つは、患者数の少ないいわゆる希少疾患に対して研究者の目を向けさせ効率的な研究体制を構築することにある。このための希少性の基準をどこに置くかについては、明確な判断材料がないが、従来の118疾患の現状が概ね5万人未満(ちなみに、平成7年度末の治療研究事業の特定疾患医療受給者証交付件数によれば、最も患者数の多い疾患は、全身性エリテマトーデスと潰瘍性大腸炎の約41千人である。)

であること、及び希少疾病用医薬品等の指定制度(オーファンドラッグ)における対象疾患が5万人未満であること等に鑑み、概ね5万人未満とすることが適当である。

原因不明

原因又は発症機序(メカニズム)が未解明の疾患とする。

最近の遺伝子研究の進展により、病因としての遺伝子異常が同定された疾患(ハンチントン舞蹈病)や一部同定された疾患(脊髄小脳変性症、原発性免疫不全症候群、表皮水疱症)があるがその遺伝子異常がどのようにして発症に至るのかが依然として不明である疾患については、治療法の確立に向けた機序の解明が必要であるため、本調査研究事業の対象疾患となり得る。

効果的な治療方法未確立

完治に至らないまでも進行を阻止し、又は発症を予防し得る手法が確立されていない疾患とする。

最近では、重症筋無力症に対するステロイド薬や抗コリンエステラーゼ薬の投与及び胸腺切除術や血漿交換療法を始め、SLE、強皮症、皮膚筋炎・多発性筋炎、結節性動脈周囲炎、大動脈炎症候群、混合性結合組織病、多発性硬化症、再生不良性貧血、サルコイドーシス、特発性血小板減少性紫斑病、天疱瘡、悪性関節リウマチ、パーキンソン病に対する薬剤の投与などかなり有効な対症療法が開発されつつある。しかし、病勢の進行そのものを止めるに至らないものについては、さらに効果的な治療法の開発を進める必要があるため、本調査研究事業の対象疾患となり得る。

生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とする)

日常生活に支障があり、いずれは予後不良となる疾患或いは生涯にわたり療養を必要とする疾患とする。

何らかの機能障害等により日常生活に支障を生ずる疾患であって、いずれは死に至るような疾患、或いは後遺症や生涯にわたる医学的管理の必要性から生涯にわたる療養が不可欠な疾患は、神経疾患、感覚器疾患、内臓疾患等を問わず重症度が高く、生活面への長期にわたる支障があるといえる。

その他

がん、脳卒中、心臓病、進行性筋ジストロフィー、重症心身障害、精神疾患などのように別に組織的な研究が行われているものについては、効率的な研究投資の観点から従来のとおり本調査研究事業から除くべきである。

また、新たな対象疾患の選定及び既選定疾患の廃止に当たっては、上記から の要件を総合的に勘案するとともに、本調査研究事業の対象疾患範囲が治療研究事業及び難病患者等居宅生活支援事業と密接に関連していることに配慮する必要がある。

2 治療研究事業の対象疾患選定基準について

(1)現状

本事業は、昭和 46 年 7 月からスモン研究班が行う治療研究への協力謝金としてスモン入院患者に対して月 1 万円を支給したことに始まる。

昭和 48 年度からは、難病対策の強化充実策の一環として、特定疾患の治療費について医療保険各法(昭和 58 年からは老人保健法を含む)の規定に基づく自己負担分を全額公費で(国と都道府県が各 1/2)負担することとされ、現在(平成 9 年 1 月)では 38 疾患が対象となっている。

平成 7 年度末の特定疾患医療受給者証交付件数は約 32 万件、国と都道府県の公費負担額は合計で約 352 億円となっており、交付件数及び公費負担額とも毎年約 10%づつ増加している状況にある。

従来、対象疾患の選定については、調査研究事業の対象疾患の中で、診断基準が確立しているものの中から、原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、特定疾患対策懇談会の意見を聴いて厚生省が決定してきたが、公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会の最

終報告(平成7年12月27日)においては、「特定疾患治療研究事業の対象疾患を選び出す基準は明確とは言えず、単に毎年度1疾患ずつ追加していくという現在の選定方法については見直すべきとの指摘もあった。」(3の(3))との批判がなされている。

(2)治療研究事業対象疾患の選定基準

特定疾患治療研究事業実施要綱(昭和48年4月17日衛発242号公衆衛生局長通知の別紙)は、「いわゆる難病のうち、特定の疾患については、治療が極めて困難であり、かつ、医療費も高額であるので、特定疾患治療研究事業を推進し特定疾患に関する医療の確立・普及を図るとともに、患者の医療費の負担軽減を図ることを目的とする。」と定めている。

この対象疾患の選定基準については、公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会の最終報告(平成7年12月27日)において、「今後は、対象疾患の決定に当たっての具体的な基準を作成し対象疾患を評価することが必要である。この場合において、当分の間、対象疾患数に上限を設定した上で、この基準に照らし対象疾患を取捨選定することも考慮すべきである。」(3の(3)のア)との指摘を受けている。

このため、治療研究事業対象疾患の選定基準の検討に当たっては、特定疾患治療研究事業実施要綱における本事業の目的を基本に、上記提言も踏まえながら検討を進めたが、次の理由により、具体的な選定基準の設定については、結論を得るに至らなかった。

具体的な基準の設定について

対象疾患の具体的な基準として、重症度、希少性及びQOL(生活の質)について検討を行った。

(重症度について)

ア. 既存対象疾患の重症度判断の見直し

まず、新たな基準の設定に当たっては、近年の一部疾患における対症療法の進展を踏まえて、疾患としての重症度改善状況について基準を設定し、

既存の対象疾患を見直すことが考えられる。

しかし、重症度の改善状況は同一疾患であっても個人によって格差があるため、このことを配慮せずに疾患の一般的な重症度の改善状況だけで対象疾患から除外することは当画難しいのではないかとの意見が多かった。

イ．疾患別の重症度等基準

現在、38の対象疾患のうち、8疾患(パーキンソン病、アミロイドーシス、後縦靭帯骨化症、表皮水疱症、広範脊柱管狭窄症、原発性胆汁性肝硬変、特発性間質性肺炎、網膜色素変性症)については、重症度分類、生活機能症度又は病型によって対象疾患の範囲が限定されている。

現段階で、全ての対象疾患にこのような個別の重症度等基準を設定することは、疾患によって病態が異なるため困難であるとしても、将来の新たな基準の方向の一つとして検討されるべき課題である。

ウ．横断的な重症度基準

各疾患に横断的に適用できる重症度の基準が確立できないかについても検討したが、神経・筋疾患のように統一的基準の設定しやすい疾患群がある一方で、内臓疾患のように重症度の設定基準が極めて困難な疾患群があることから、現時点での当該基準の設定は困難である。

なお、他の制度との整合性という観点から、身体障害者制度における障害認定基準の準用についても検討したが、障害の認定は、一定の障害が「永続する」ことが基本とされていることや、内臓疾患等については対象が限定されているため、これを治療研究事業の基準として準用することは、現状では困難である。

(希少性及びQOLについて)

希少性については、調査研究事業の基準(1の(2)の)を適用して差し支えないものと思われるが、QOLについては、客観的な評価基準が確立されていないため、更に研究を要するものと思われる。

目的の明確化について

上記の検討を進める過程では、特に、特定疾患治療研究事業実施要綱における異なる2つの目的をどのように考慮すべきかが問題となった。

(同要綱は、治療研究事業の目的として、「治療が極めて困難であることを理由に、医療の確立と普及を目指す目的」と「医療費が高額であることを理由に、患者の医療費の負担軽減を図る目的」の2つを挙げている。)

ア．治療が極めて困難であることを理由に、医療の確立と普及を目指す目的
この目的は、治療研究の促進という観点から、難治度が高く、かつ患者数が比較的少ない疾患について、医療費の公費負担により患者の受療を促進し、治療研究のための症例数を確保して治療研究に資するということである。したがって、難治度と希少性が対象疾患選定の際の最大の考慮要因となる。

この目的に沿って考えれば、そもそも調査研究事業の対象である118の疾患は、いずれも原因不明で治療方法のない希少疾患が対象となっているのだから、治療研究事業の対象疾患についても基本的にはこの118疾患を対象にすべきこととなる。

この場合、それだけの予算措置が必要となるが、現実の予算面の制約に配慮して、特に難治度と希少性の高い疾患に限定する必要があるのだとすれば、1の(2)の で指摘したようなある程度有効な対症療法が開発されつつある疾患は、難治度としては他の疾患に比べて相対的に低いと評価されることからこれを除外し、希少性の基準を厳しく設定するなどの方向で基準設定を考慮すべきこととなる。

イ．医療費が高額であることを理由に、患者の医療費の負担軽減を図る目的
この目的は、難病患者の生活面に配慮し、高額な医療費負担の軽減を図ろうとするものである。したがって、医療費が高額であるか否か、或いは、重症度が高く、介護等に要する家族の経済的・精神的な負担が大きいかが対象疾患選定の際の最大の考慮要因となる。

この目的に沿って考えれば、医療費が高額であることの基準の設定が重

要であるが、例えば、対症療法の開発すらなされておらず、医療保険の対象となる治療法がないような極めて難治度の高い疾患は高額な医療費を要するとはいえず、かえって本事業の対象範囲から除外されることになり、アの目的に則して考えた場合と逆の結論にもなり得るという矛盾を生じる。

また、重症度(後遺症等による療養の長期化を含む)に配慮するとすれば、医療費が高額であることの基準は、重症度を勘案しながら設定することとなり、前記2の(2)の で「重症度」の基準設定について述べたと同様の問題を惹起し、早急な基準の設定は困難である。

本来、この事業が予算上「科学試験研究費補助金」として計上されていることからすれば、アの目的を中心に考えるべきである。

一方、公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会の最終報告(平成7年12月27日)によれば「現在では、特定疾患研究の一環としての公費負担という本来の目的よりは、むしろ医療費の自己負担の軽減という経済的な側面が着目されるに至っている。」(3の(3))との指摘もある。

また、予算的には、この事業は難病対策関係予算の大半を占めており、そのあり方をどう捉えるかは、我が国の難病対策全体にも大きな影響を与えることとなる。

このため、治療研究事業については、対象疾患選定基準の策定を行う前提として、今後の難病施策の方向を踏まえながら事業のあり方を再構築する必要があると考える。

公衆衛生審議会成人病難病対策部会

難病対策専門委員会

今後の難病対策の具体的方向について

(報告)

<抜粋>

はじめに

公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会は、21世紀に向けた総合的な難病対策の方向について検討するため、平成5年7月に成人病難病対策部会によって設置され、その検討結果を平成7年12月に最終報告(以下「最終報告」という。)としてとりまとめた。厚生省は、この報告に基づき、特定疾患調査研究班の再編成、難病情報センターの開設、難病患者等居宅生活支援事業などの施策を実施してきているところである。

その後、次のような諸般の情勢を踏まえ、改めて今後の難病対策の進め方について検討を行う必要が生じたことを受け、当委員会は平成9年4月に成人病難病対策部会からその検討を付託された。

最終報告で指摘した特定疾患治療研究事業の対象疾患選定基準作成の必要性に関して、特定疾患対策懇談会からその策定を困難とする旨の「特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会報告」がなされたこと

最近の国会等における議論を踏まえて ALS(筋萎縮性側索硬化症)などの重症難病患者の療養環境整備について検討する必要が生じたこと

難病情報センターや難病患者等居宅生活支援事業等の新たに実施した施策について点検を行う必要があると認められること

厳しい財政状況の中での総合的な難病対策の進め方について検討する必要があること

今般、患者団体からの意見聴取を含む4回にわたる審議の結果がまとまったので、次のとおり報告する。

4 特定疾患治療研究事業の見直しについて

(1) 事業の効果

特定疾患治療研究事業は、一定の医療機関での継続的な診療を確保することにより、臨床医(研究者)の同一患者に対する長期的な治療と経過観察を可能にするとともに、発症の早期からの受療を促進することによって、次のような効果を上げできたものと評価できる。

ア. 特定疾患の病態の解明や治療方法の研究に寄与してきたこと。

イ. 対象患者を容易に把握できるため、各種の疫学調査による患者の実態把握に寄与してきたこと。

ウ. 継続的な医療費負担の軽減により、患者とその家族の社会生活を支援してきたこと。

エ.本事業の副次的効果として、難病に対する社会的認識を促進し、患者団体の創設等とも相まって難病に対する社会的偏見の除去に寄与してきたばかりでなく、治療研究の対象疾患患者に対しては、多くの地方自治体において独自の福祉施策が実施されるなど、広範な患者対策の基盤となっていること。

(2)事業の問題点

しかし、現在の難病対策費の中で大きな割合を占めている本事業については、次のような問題点が指摘されている。

まず、本事業費が「科学試験研究費補助金」であるという研究事業としての側面に着目すれば、

- ア.具体的な症例や疫学的なデータの収集を効率的に行うという観点からみて、本事業は効率的といえるか。
- イ.長年にわたる研究の成果により対症療法等が進歩し、重症度に改善が見られる疾患を他の重症度の高い疾患と入れ替える等の取捨選択が必要ではないか。
- ウ.希少疾患の症例確保及び実態の把握という点から見れば、厳しい財政状況の中、医療保険各法(老人保健法を含む。以下同じ。)における医療費の患者負担分を全額公費で負担する必要があるのか。

次に、治療が困難であるため長期の療養生活を余儀なくされる上に高額な医療費を負担しなければならない状況にある患者の社会生活を支援するために患者の医療費の負担軽減を図るといふ本事業の福祉的側面に着目すれば、

- エ.多くの難治性疾患の中で、なぜ一部の特定疾患だけを公費負担医療とするのか。他の難治性疾患との間に不公平を生じているのではないか。
- オ.「高額な医療費」についての基準の設定、若しくは患者の所得水準等に配慮する必要があるのではないか。
- カ.事業開始後四半世紀を経過し、事業としての熟度が高いことなどから、地方自治体の事業として一般財源へ移行させるべきではないか。

(3)事業見直しのための選択肢

以上のような問題点はあるものの、総合的に見れば、本事業が難病対策において果たしてきた(1)の意義は依然として失われていないものと判断されるところである。また、本事業は、我が国独自の施策である難病対策の中心的な事業として定着していることに鑑み、今後とも研究事業であることを基本に、その褐社的側面にも配慮しながら維持されるべきものであると考える。

ただし、厳しい財政状況の中で本事業を維持するとともに、難病対策の総合的な推進を図っていくためには、上記(2)の問題点を踏まえ、一定の見直しを行う必要があると認められる。

その具体的な選択肢としては、次の三つが考えられる。

対象疾患の見直し

研究費の効率的な活用という観点から、対症療法の開発状況等を勘案し、希少性や難治性が相対的に低下したと思われる疾患の他の疾患との入れ替えを行うことが考えられる。

そのための対象疾患の評価と取捨選択の前提となる基準の作成については、既に最終報告において提言がなされているところである。

この提言を受けて特定疾患対策懇談会において行った検討においては、対象疾患選定基準の作成には至らなかった旨の報告を同懇談会から受けている(平成9年3月19日：特定疾患対策懇談会特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会報告)が、今後とも中長期的な観点に立つて研究すべき課題であると考えられる。

対象疾患における重症度基準の導入

研究事業としての観点からは、重症度の低い患者も対象として実態の把握に努める必要があるが、対症療法の開発に進歩が見られる一定の疾患については、重症度の高い患者のみを対象とすることや重症度に応じた患者負担率の設定等も考えられるところである。ただし、その実施のためには対象疾患における重症度基準の導入が不可欠であるため、今後、研究を進めるべき課題であると考えられる。

全額公費負担の見直し

前記(2)のウで指摘した研究推進のための医療費全額公費負担の必要

性及びエで指摘した他の難治性疾患患者との社会的公平の問題を踏まえるとともに、毎年、対象患者数が約 10 パーセントずつ増大している現状と大幅な難病対策予算の伸びが期待できない現在の財政状況の中での限られた予算の範囲内で、対象疾患数及び患者数を減らさず、他の重症難病疾患の追加指定の要請にも対処し、かつ上記 1 から 3 で指摘した各種新規施策等の実施に要する財源を確保するためには医療費の自己負担分を全額公費で負担している現行制度を改め、公費負担分の一部を患者負担とすることが考えられる。