

特集：難病患者と家族の尊厳を保持した共生社会の探求

＜解説＞

難病対策の取組状況及び今後の方向性について

倉澤秀之

厚生労働省健康局難病対策課

Current situation and future direction of intractable disease measures

KURASAWA Hideyuki

Intractable/Rare Disease Control Division, Health Service Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare

抄録

難病対策については、2015年の難病法施行により、公平かつ安定的な医療費助成の制度が確立したほか、難病の患者に対する医療提供体制の確保、調査研究の実施及び難病の患者の療養生活の環境整備等が講じられてきた。2019年より、難病法附則第2条の施行後5年以内を目途とした見直し規定を踏まえ、難病対策の見直しの議論が開始され、2021年7月、研究・医療の推進及び地域共生の推進を柱とした見直しの方向性を示した「難病・小慢対策の見直しに関する意見書」が取りまとめられた。今後、この意見書の内容を踏まえ、厚生労働省において、制度見直しのために必要な検討を行った上で、地方自治体等の関係者への制度見直しの内容について丁寧な説明等を行うなど、見直し後の制度を円滑に施行することが重要である。

キーワード：難病対策，難病法，施行後5年後見直し

Abstract

Since the Act on Medical Care and Social Supports for Patients with Intractable/Rare Diseases was enacted in 2015, fair and stable assistance for medical expenses has been established. In addition, adoption of the Act also resulted in the securing of a system for medical care provision, as well as implementation of related research and improvement of the medical treatment environment. The Amendment of the Act has been conducted since 2019, based on supplementary provision 2, which prescribes that amendment of the Act should be carried out within five years from its enactment. Through such amendment, the “submission regarding measures for Intractable Disease Measures and chronic diseases in childhood” was summarized in July 2021. This submission indicates that amendments should focus on the promotion of research and medical treatment, as well as creation of an inclusive society. Based on this submission, subsequent discussions regarding the amendment have been conducted at the Ministry of Health, Labour and Welfare. The smooth enforcement of the amended system is important, through the provision of detailed explanations to related organizations, such as local governments.

keywords: intractable disease measures, act on medical care and social supports for patients with intractable/rare diseases, amendment of the act

(accepted for publication, November 17, 2021)

連絡先：倉澤秀之

〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2

1-2-2 Kasumigaseki Chiyoda-ku Tokyo, 100-8916 Japan.

E-mail: kurasawa-hideyukiaa@mhlw.go.jp

[令和3年11月17日受理]

I. はじめに

難病対策については、2015年に難病の患者に対する医療等に関する法律(平成26年法律第50号、以下「難病法」という。)が成立したことで、公平かつ安定的な医療費助成の制度が確立したことに加え、調査研究の推進等が図られることとなった。難病法の基本理念として、難病に関する施策は、「難病の克服を目指し、難病の患者がその社会参加の機会が確保されること及び地域社会において尊厳を保持しつつ他の人々と共生することを妨げられないことを旨として」「総合的に行わなければならない」こととされており、この理念のもとで、医療をはじめとした総合的な対策の充実が図られてきた。2019年、難病法附則第2条において、施行後5年以内を目途とした見直し規定を踏まえ、厚生労働省において設置されている審議会(厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会及び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の合同開催による合同委員会)(以下「合同委員会という。)」において難病対策の見直しに関する議論が始まり、2021年7月に難病及び小児慢性特定疾病対策の見直しの方向性を示す「難病・小慢対策の見直しに関する意見書」(以下「意見書」という。)が取りまとめられた。本稿では、これまでの経緯を含めた難病対策の取組状況及び意見書の内容についてまとめる。

II. 難病法制定以前の難病対策

難病対策は、1972年の「難病対策要綱」の策定により、①調査研究の推進、②医療施設の整備、③医療費の自己負担の解消の3本柱を中心として推進を図ることとされ、研究の補助を行う特定疾患調査研究事業や医療保険による自己負担分の補助を行う特定疾患治療研究事業の実施を始まりとしている。その後、難病の患者の置かれた社会・経済状況や難病患者及びその家族のニーズも変化してきた状況を踏まえ、21世紀を目指した総合的な難病対策を検討するため、1995年12月、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において、難病対策の現状とその評価及び今後の対策の方向等を内容とする「最終報告」が取りまとめられた。

この最終報告[1]において、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、対象疾患として取り上げる範囲を、①稀少性、②原因不明、③効果的な治療法未確立、④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要素に基づき明確にした上で、①特定疾患調査研究事業及び特定疾患治療研究事業の見直し、②地域における保健医療福祉の充実・連携の推進、③患者のQOL(生活の質)の向上を目指した福祉施策の推進等が必要であるとされた。

さらに、1997年9月には、国会等においてALS(筋萎縮性側索硬化症)などの重症難病患者の療養環境の一層

の整備が指摘されるとともに、先の最終報告で指摘された特定疾患治療研究事業の在り方について、対象疾患の見直し等、更に検討を行う必要が生じたことを受け、改めて難病対策専門委員会において検討が行われ、1997年9月8日に「今後の難病対策の具体的方向について」[2]が取りまとめられた。この報告においては、「重症患者に重点をおいた難病対策の充実」という観点から、①重点的研究の実施など調査研究の推進、②入院入所施設の確保や地域に根ざした在宅療養支援など療養環境の整備、③難病患者等居宅生活支援事業の改善、④特定疾患治療研究事業の見直しなどが提言された。これらの提言を踏まえ、1998年度には、調査研究の強化や難病患者地域支援対策推進事業等を内容とする難病特別対策推進事業の創設等を実施した。

その後、2001年9月、特定疾患治療研究事業の在り方等の見直しを行い、その安定化を図る目的で厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会が設置され、2002年8月23日に「今後の難病対策の在り方について」の中間報告[3]がとりまとめられ、「今後の特定疾患研究の在り方」、「今後の特定疾患治療研究事業の在り方」、「今後の特定疾患の定義と治療研究対象疾患の選定の考え方」、「今後の難病に係る福祉施策の在り方」の4項目について提言がなされた。これらの提言を踏まえ、平成15年度において所要の見直しが行われ、調査研究事業は厚生労働科学研究難治性疾患克服研究に再編され大型プロジェクト研究の実施等により難治性疾患の治療方法の確立を目指した研究を一層推進するとともに、難病の患者のもつ様々なニーズに対応したきめ細かな相談支援が行えるよう、都道府県毎の活動拠点となる「難病相談・支援センター事業」の創設等を実施した。また、難治性疾患克服研究事業や特定疾患治療研究事業は、その対象となる疾患の拡大を順次行い、2009年度までに、難治性疾患克服研究事業の対象疾患を130疾患に、特定疾患治療研究事業は56疾患を対象とした。

III. 難病法に基づく難病対策

1. 難病法制定の経緯

難治性疾患克服研究事業や特定疾患治療研究事業は、前述のとおり、対象疾患の拡大を図ってきたが、しかしながら、原因の解明にはほど遠い疾病であっても、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など難病の疾病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ため、国民の理解が必ずしも十分でないこと、増加傾向にある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た(図1)。

こうした課題を踏まえ、難病対策全般にわたる改革が強く求められ、平成23年9月より、厚生科学審議会疾病

難病対策の取組状況及び今後の方向性について

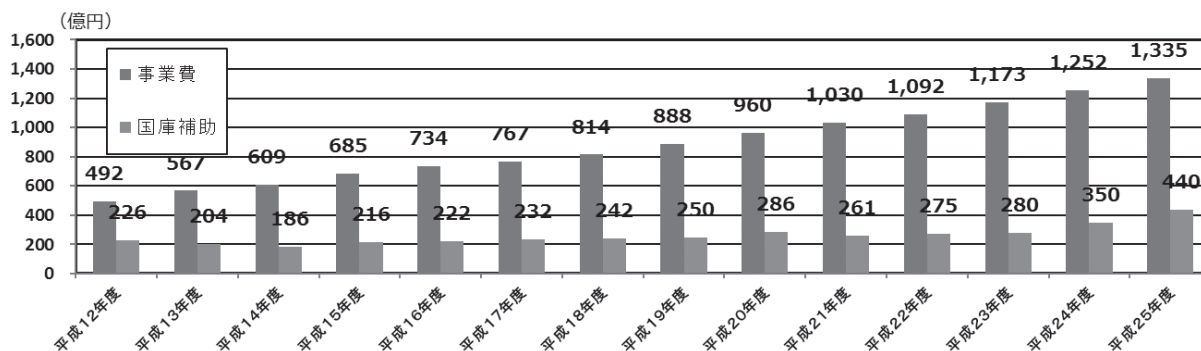


図1 特定疾患治療研究事業の事業費及び国庫補助額の推移

対策部会難病対策委員会において、難病対策全般の見直しのための議論が重ねられ、2012年8月、「今後の難病対策の在り方（中間報告）」が取りまとめられ、その後も引き続き審議を行い、2013年1月、「難病対策の改革について（提言）」（以下「提言」という。）[4]がとりまとめられた。また、2012年2月17日に閣議決定された「社会保障・税一体改革大綱」では、難病の医療費助成について、法制化も視野に入れ、助成対象となる疾病の範囲の拡大を含め、より公平・安定的な支援の仕組みの構築を目指すこととされた。

また、「持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律」（平成25年法律第112号。以下

「プログラム法」という。）に基づく措置として、2014年に難病法や児童福祉法の一部を改正する法律（平成26年法律第47号。以下「改正児童福祉法」という。）が成立し、難病及び小児慢性特定疾病について、公平かつ安定的な医療費助成の制度の確立、調査研究の推進等が図られることとなった。

2. 難病法制定後の取組

難病法においては、その基本理念として、難病に関する施策は、「難病の克服を目指し、難病の患者がその社会参加の機会が確保されること及び地域社会において尊厳を保持しつつ他の人々と共生することを妨げられな

○ 難病法に基づき、難病に係る医療その他難病に関する施策の総合的な推進のための基本的な方針を定めている。

<p>1 難病の患者に対する医療等の推進の基本的な方向</p> <p>○難病は、一定の割合で発症することが避けられず、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り、難病の患者及びその家族を社会が包含し、支援していくことがふさわしいことを基本認識として、広く国民の理解を得ながら難病対策を計画的に推進。</p> <p>○法の基本理念にのっとり、難病の克服を目指し、難病の患者が長期にわたり療養生活を送りながらも社会参加の機会が確保され、地域で尊厳を持って生きることができるよう、共生社会の実現に向けて、社会福祉その他の関連施策と連携しつつ、総合的に施策を実施。</p> <p>○社会の状況変化等に的確に対応するため、難病対策の実施状況等を踏まえ、少なくとも5年ごとに本方針に再検討を加え、必要があると認めるときは見直しを実施。</p>	<p>5 難病に関する調査及び研究に関する事項</p> <p>○難病対策の検討のために必要な情報収集を実施。</p> <p>○難病の医療水準の向上を図るため、難病患者の実態を把握。</p> <p>○難病の各疾病について実態や自然経過等を把握し、疾病概念の整理、診断基準や重症度分類等の作成や改訂等に資する調査及び研究を実施。</p> <p>○指定難病患者データベースを医薬品等の開発を含めた難病研究に有効活用できる体制を整備。</p>
<p>2 難病の患者に対する医療費助成制度に関する事項</p> <p>○難病の患者に対する医療費助成制度は、法に基づいて適切に運用するとともに適宜見直し。</p> <p>○指定難病については、定められた要件を満たす疾病を対象とするよう、疾病が置かれた状況を踏まえつつ、指定難病の適合性について判断。併せて、医学の進歩に応じ、診断基準等も随時見直し。</p> <p>○医療費助成制度が難病に関する調査及び研究の推進に資するという目的を踏まえ、指定難病の患者の診断基準や重症度分類等に係る臨床情報等を適切に収集し、医療費助成の対象とならない指定難病の患者を含む指定難病患者データに係る指定難病患者データベースを構築。</p>	<p>6 難病の患者に対する医療のための医薬品、医療機器及び再生医療等製品に関する研究開発の推進に関する事項</p> <p>○難病の克服が難病の患者の願いであることを踏まえ、難病の病因や病態を解明し、難病の患者を早期に正しく診断し、効果的な治療が行えるよう研究開発を推進。</p> <p>○患者数が少ないために開発が進みにくい医薬品、医療機器及び再生医療等製品の研究開発を積極的に支援。</p>
<p>3 難病の患者に対する医療を提供する体制の確保に関する事項</p> <p>○できる限り早期に正しい診断ができる体制を構築。</p> <p>○診断後はより身近な医療機関で適切な医療を受けることのできる体制を確保。</p> <p>○難病の診断及び治療には、多くの医療機関や診療科等が関係することを踏まえ、それぞれの連携を強化。</p> <p>○小児慢性特定疾病児童等に対して、成人後も必要な医療等を切れ目なく行うため、小児期及び成人期をそれぞれ担当する医療従事者間の連携を推進。</p>	<p>7 難病の患者の療養生活の環境整備に関する事項</p> <p>○難病の患者の生活上の不安が大きいことを踏まえ、難病の患者が住み慣れた地域において安心して暮らすことができるよう、難病相談支援センター等を通じて難病の患者を多方面から支えるネットワークを構築。</p> <p>○地域の様々な支援機関と連携して難病の患者に対する支援を展開している等の先駆的な取組を行う難病相談支援センターに関する調査及び研究を行い、全国へ普及。</p>
<p>4 難病の患者に対する医療に関する人材の養成に関する事項</p> <p>○難病に関する正しい知識を持った医療従事者等を養成することを通じて、地域において適切な医療を提供する体制を整備。</p>	<p>8 難病の患者に対する医療等と難病の患者に対する福祉サービスに関する施策、就労の支援に関する施策その他の関連する施策との連携に関する事項</p> <p>○難病の患者が地域で安心して療養しながら暮らしを続けていくことができるよう、医療との連携を基本としつつ、福祉サービスの充実などを図る。</p> <p>○難病の患者の雇用管理に資するマニュアル等を作成し、雇用管理に係るノウハウを普及するとともに、難病であることをもって差別されない雇用機会の確保に努めることにより、難病の患者が難病であることを安心して開示し、治療と就労を両立できる環境を整備。</p>
	<p>9 その他難病の患者に対する医療等の推進に関する重要事項</p> <p>○難病に対する正しい知識の普及啓発を図り、難病の患者が差別を受けることなく、地域で尊厳をもって生きることのできる社会の構築に努める。</p> <p>○保健医療サービス、福祉サービス等についての周知や利用手続の簡素化を検討。</p>

図2 難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針（平成27年厚生労働省告示第375号）概要

○ 児童福祉法に基づき、小児慢性特定疾病等にかかっていることにより長期にわたり療養を必要とする児童等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針を定めている。

<p>1 疾病児童等の健全な育成に係る施策の推進の基本的な方向</p> <p>○国・都道府県等は、小児慢性特定疾病児童等及びその家族の意見を踏まえつつ、小児慢性特定疾病児童等の健全な育成に係る施策の実施・充実に努める。 ○施策の実施に当たって、関係機関等、疾病児童等及びその家族が参画し、疾病児童等及びその家族の個別のニーズへの対応を図る。 ○難病患者に対する施策との連携を図る観点から、難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針を踏まえ施策を実施。 ○改正法施行後5年以内を目途として、法の規定について検討を加え、その結果に基づき、必要があると認めるときは本方針の見直しを実施。</p>	<p>5 小児慢性特定疾病児童等の成人移行に関する事項</p> <p>○小児慢性特定疾病児童等が成人後も必要な医療等を切れ目なく受けられるための取組を進めるとともに、施策の実施に当たっては、成人期を見据え、各種支援策との有機的な連携に配慮。 ○小児慢性特定疾病であり、指定難病の要件を満たすものは、切れ目のない医療費助成が受けられるよう、成人後も医療費助成の対象とするよう検討。</p>
<p>2 小児慢性特定疾病医療費の支給に関する事項</p> <p>○要件を満たす疾病を小児慢性特定疾病医療費の対象とするよう、小児慢性特定疾病の要件の適合性を判断。併せて医学の進歩に応じ疾病の状態の程度を見直す。 ○小児慢性特定疾病医療費の支給の申請に係る小児慢性特定疾病児童等についての臨床データを収集・管理・活用するため、データベースを構築。 ○小児慢性特定疾病児童等及びその家族は、必要なデータ提供に協力し、指定医は、正確な小児慢性特定疾病児童等のデータの登録に努める。</p>	<p>6 疾病児童等の健全な育成に資する調査及び研究に関する事項</p> <p>○治療方法の確立に向けて小児慢性特定疾病の各疾病の病態を解明するための研究事業等を実施。 ○指定難病データベースの構築と連携しながら、小児慢性特定疾病児童等データベースを構築し、調査及び研究に有効活用する。 ○疾病児童等の健全な育成に資する調査・研究の推進に当たり、難病の原因や病態の解明、医薬品・医療機器及び再生医療等製品の開発を推進するための実用的な研究等と適切な連携を図る。 ○調査及び研究により得られた成果を、ウェブサイト等を通じ、広く情報提供。</p>
<p>3 良質かつ適切な小児慢性特定疾病医療支援の実施に関する事項</p> <p>○早期に正しい診断が行われるよう、指定医を育成。 ○診断後より身近な医療機関で適切な治療が受けられるよう医療提供体制の確保。 ○都道府県は、小児慢性特定疾病児童等への支援策等、地域の実情に応じた医療提供体制の確保に向けて必要な事項を医療計画に盛り込むなど努める。 ○小児期及び成人期を担当する医療従事者間の連携を推進するため、モデル事業を実施。</p>	<p>7 疾病児童等に対する学校教育、福祉サービスに関する施策及び就労の支援に関する施策との連携に関する事項</p> <p>○自立支援事業における相談支援を担当する者として小児慢性特定疾病児童等自立支援員を配置する等により、関係機関等との連絡調整等の実施、各種自立支援策の活用を提案。 ○障害福祉サービス等の対象となる疾病について、小児慢性特定疾病の対象となる疾病の検討を踏まえて見直しを検討。小児慢性特定疾病の特性に配慮した福祉サービス等の内容の充実に努める。 ○疾病児童等の教育の機会を確保するため、学習支援や疾病の自己管理方法の習得のための支援を含め、特別支援教育を推進。 ○小児慢性特定疾病児童等の就労及びその継続を支援するため、就労支援機関等の協力の下、相談等の機会を通じた雇用情報の提供や職業訓練の実施。</p>
<p>4 小児慢性特定疾病児童等自立支援事業に関する事項</p> <p>○小児慢性特定疾病児童等自立支援事業の実施に当たり、小児慢性特定疾病児童等及びその家族の意見を踏まえ、慢性疾病児童等地域支援協議会に患者会又は家族会の代表者、医療従事者、福祉サービスを提供する者等の関係者を加え、事業内容を検討・実施。 ○国は、自立支援事業の先進的事例や好事例等の情報提供を行うなど、都道府県等の取組を支援。 ○国は、疾病児童等の健全な育成に資する調査・研究の実施・充実に努め、都道府県等は、小児慢性特定疾病医療費支給、自立支援事業等の実施を通じ、ニーズ把握。</p>	<p>8 その他疾病児童等の健全な育成に係る施策の推進に関する事項</p> <p>○小児慢性特定疾病に対する正しい知識及び疾病児童等に対する必要な配慮等についての国民の理解が広がるよう、啓発活動を行う。 ○国及び都道府県等は、小児慢性特定疾病医療費の支給の申請方法、自立支援事業や相談支援の窓口の紹介など、情報の充実・提供に努める。 ○小児慢性特定疾病児童等手帳や医療受給者証の取得手続の簡素化等、取得促進の方策を検討。</p>

図3 小児慢性特定疾病その他の疾病にかかっていることにより長期にわたり療養を必要とする児童等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針（平成27年厚生労働省告示第431号）概要

いことを旨として」「総合的に行わなければならない」こととされており、この理念のもとで、難病法第4条第1項に基づき、国及び地方公共団体等が取り組むべき方向性を示すことにより、難病の患者に対する良質かつ適切な医療の確保及び難病の患者の療養生活の質の維持向上などを図ることを目的として、「難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針」(平成27年厚生労働省告示第375号)を定めた。

また、改正児童福祉法第21条の5の規定に基づき、小児慢性特定疾病医療支援の良質かつ適切な実施をはじめとして、国、地方公共団体等が取り組むべき方向性を示すことにより、疾病児童等の健全な育成を図ることを目的として、「小児慢性特定疾病その他の疾病にかかっていることにより長期にわたり療養を必要とする児童等の健全な育成に係る施策の推進を図るための基本的な方針」(平成27年厚生労働省告示第431号)を定め、難病及び小児慢性特定疾病対策について、各種施策を講じてきた(図2及び図3)。

IV. 今後の取組の方向性

難病法及び改正児童福祉法の附則において、施行後5年以内を目途とした見直し規定が置かれている。当該規定を踏まえ、2019年5月から合同委員会で議論を開始し、令和元年6月28日に「今後検討すべき論点」と

して、医療費助成制度に関して広く国民の理解が得られる公平かつ安定的な制度であるためにどのような見直しが必要かについて検討することなどの他、医療提供体制、調査及び研究、療養生活の環境整備、福祉支援、就労支援並びに小児慢性特定疾病児童等自立支援事業等の論点が示された。

この「今後検討すべき論点」に掲げられた論点について、専門の見地から、対応の具体的かつ技術的な方向性を検討するため、「難病・小児慢性特定疾病研究・医療ワーキンググループ」(以下「研究・医療WG」という。)及び「難病・小児慢性特定疾病地域共生ワーキンググループ」(以下「地域共生WG」という。)が設置され、2019年12月及び2020年1月に、それぞれのワーキンググループにおいて報告書が取りまとめられた。

この2つのワーキンググループの報告書も踏まえ、合同委員会におけるこれまでの審議を整理し、2021年7月、合同委員会において意見書が取りまとめられた(図4及び図5)[5]。取りまとめにあたっては、研究・医療の推進として、①医療費助成について、②医療提供体制について、③調査及び研究について、という3つの項目、地域共生の推進として、①療養生活の環境整備について、②福祉支援について、③就労支援について、④小児慢性特定疾病児童等自立支援事業について、⑤「登録者証」(仮称)について、という5つの項目に整理されている。

難病対策の取組状況及び今後の方向性について

2015年1月	難病法・児童福祉法改正法の施行
2019年5月	難病・小慢合同委員会における5年後見直し（＝法制定後初めての見直し）の議論を開始 →6月、合同委員会において「今後検討するべき論点」を整理
2019年8～12月	二つのワーキンググループ（①研究・医療WG、②地域共生WG）において議論、とりまとめ
2020年1月～	合同委員会において、ワーキンググループとりまとめを踏まえた議論（※1/31, 10/26, 12/10に開催）
2021年6月2日	合同委員会（「難病・小慢対策の見直しに関する意見書（素案）」に関する議論）
6月30日	合同委員会（とりまとめに向けた議論）
7月	「難病・小慢対策の見直しに関する意見書」とりまとめ

図4 難病法等の施行5年後見直しに関する検討経緯

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会・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りまとめ（令和3年7月）

基本的な考え方

難病法の基本理念にのっとり、難病の克服を目指し、地域社会で尊厳を持って他の人々と共生することを妨げられないことを旨として、総合的な施策を講じる。

研究・医療の推進（良質かつ適切な医療の充実）

○ 円滑に医療費助成が受けられる仕組みの導入

助成開始の時期を申請時点から重症化時点に前倒しする。

※ 都道府県等の事務負担等に与える影響や、患者等にとってできる限り早期の申請・認定が望ましいこと、他制度とのバランスを踏まえ、前倒し期間に上限を設ける。具体的な上限は、申請日から1ヶ月前までが考えられるが、病状や指定医の状況によっては難しい場合があり得ることも踏まえ検討すべき。

○ データベースの充実と利活用について

個人情報保護に十分に配慮しつつ、治療研究に有用なデータの提供が促進されるよう、難病DB・小慢DBについて法律上の規定を整備する。

※ 提供する情報の内容はこれまでと同様。第三者提供の範囲は、民間事業者も含め、審査会で判断。

※ 想定される法律上の規定は、第三者提供のルール、安全管理措置、指導監督、罰則等。

○ 医療費助成の申請をしない患者の登録の仕組みの導入

医療費助成の申請をしない患者についても、データを登録することができる仕組みを設ける。

※ 患者のデータ登録の流れ、登録項目は、医療費助成対象者と同様。登録の頻度も医療費助成対象者と同様にすることを基本に、患者の事務負担と研究の意義のバランスを踏まえて検討。データの研究利用に関する同意は医療費助成を行う地方自治体が取得。小児慢性特定疾病は、指定難病に当たる疾病など、軽症者のデータ収集の必要性が高いと考えられる疾病から導入することが考えられる。

地域共生の推進（療養生活支援の強化）

○ 地域における支援体制の強化

・ 難病相談支援センターの連携先として、福祉や就労支援機関を法令に明記する。

・ 慢性疾患児童等地域支援協議会を法令上に位置付けるとともに、難病対策地域協議会との連携についても法令上明確にする。

○ 小児慢性特定疾患児童等自立支援事業の強化

・ 現状把握→課題分析→任意事業の企画・実施という流れを作るため、地域の実態把握を自治体の必須事業とする。

・ 任意事業の実施率向上を図るため、任意事業の努力義務化を積極的に検討する。

○ 「登録者証」(仮称)の発行

・ データを登録した患者に、「登録者証」(仮称)を発行することが適当と考えられる。

・ 「登録者証」(仮称)には、地域で利用できるサービスの情報を記載するほか、医師の診断書に代わるものとして取り扱うことができるよう、関係者に働きかける。

※ 「登録者証」(仮称)の交付目的は、「治療研究の推進」と「療養生活の環境整備」の2つ。

※ 交付目的、患者の利便性、関係者の事務負担等を踏まえ、地方自治体が発行することが考えられる。

図5 難病・小慢対策の見直しに関する意見書（ポイント）

1. 医療費助成について

1) 対象疾病について

制度創設時の考え方に基づき、指定難病の要件を満たすと判断された疾病について、指定難病に指定することが適当であり、要件を満たさないと判断された疾病等に関する調査研究を支援するとともに、既に指定されている疾病の研究進捗状況をフォローしていく必要があるとされた。また、小児児童等の成人移行への対応については、まずは指定難病の要件を満たす小児慢性特定疾病を着実に指定難病に指定していくとともに、移行期医療の体制整備や自立支援の強化を図ることが必要とされた。

2) 対象患者の認定基準について

指定難病の認定基準については、プログラム法において、新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度を確立するため、その見直しについて検討するものとされた。これを踏まえ、提言において、「広く国民に理解を得る観点から、対象疾患に罹患している患者であって、日常生活又は社会生活に支障がある者とするのが適切である。すなわち、医療費助成の対象は、対象疾患に罹患している患者のうち、症状の程度が重症度分類等で一定程度以上である者とする。」とされた。現行の認定基準は、この考え方に基づき、「個々の指定難病の特性に応じ、日

常生活又は社会生活に支障があると医学的に判断される程度」とされている。制度の持続可能性・安定性、疾病間の公平性を考慮すると、今後も当該仕組みを維持することが適当であり、その上で、現行の認定基準について、医学的観点からより公平なものとなるよう、見直しが行われる必要があるとされた。

3) 指定難病患者の自己負担について

現在の自己負担限度額は、持続可能で公平かつ安定的な医療費助成の制度とするべく、他制度の給付との均衡を図る観点から定められたものであり、現行の水準を維持しつつ、国において、客観的なデータに基づく議論を行うために必要なデータ収集を行っていくべきとされた。

4) 円滑に医療費助成が受けられる仕組みについて

医療費助成の対象となる指定難病患者について、助成対象となる状態になった時点で、速やかに助成が受けられるよう、医療費助成の開始時期の前倒し期間に上限を設けつつも、助成開始の時期を申請時点から重症化時点（認定基準を満たすことについて指定医が診断した日）に前倒しすることが適当と考えられるが、上限（具体的には申請日から1ヶ月前まで）については、病状等によっては期限内に申請が難しい場合があり得ることも踏まえて設定されるべきとされた。

2. 医療提供体制について

どこに暮らしていても、早期の診断が付き、適切な治療が受けられるよう、難病診療連携拠点病院の各都道府県における設置を目指すべきほか、一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療法のない患者に新たな治療を提供する観点から、「全ゲノム解析等実行計画(第1版)」(令和元年12月厚生労働省策定)の着実な推進や、移行期医療について、国において、実態や課題の把握を行い、移行期医療支援センターの設置促進のための対応について、財政支援の在り方を含め、検討すべきとされた。

3. 調査及び研究について

1) 指定難病患者データベース等の充実と利活用について

個人情報保護に十分に配慮しつつ、治療研究に有用なデータの提供が促進されるよう、指定難病患者データベース及び小児慢性特定疾病児童等データベース(以下「指定難病患者データベース等」という。)について、難病法や児童福祉法の規定を整備し、提供する情報の内容については、匿名化データに加え、これまで同様、患者の再同意を得た上で、審査会で特に認める場合には、匿名化データを研究者が有する他の情報とリンケージできる形で提供することとすることが適当とされた。

また、第三者への提供については、他の公的データベースの取扱いや、より良い医療を患者に提供する観点から、民間事業者を含む幅広い主体について、事案ごとに審査会における厳正な審査の上、データ提供の可否や、提供するデータの内容を判断することとすることが適当であ

り、他の公的データベースとの連結解析については、指定難病患者データベース等の連結解析に加えて、レセプト情報・特定健診等情報データベース(以下、「NDB」という。)や介護保険総合データベース等のデータとの連結解析について、必要な手続き等の具体的な仕組みを検討していくことが適当とされた。

安全管理措置については、法令に基づくものとし、必要な措置を適切に講じることとし、違反者への指導監督や情報漏えい等への罰則といった、実効性を確保する措置について、必要な規定が設けられるべきとされた。

2) 医療費助成の申請をしない指定難病の患者の登録について

医療費助成の申請をしない指定難病の患者についても、指定難病患者データベース等にデータを登録することができる仕組みを設けることが適当であり、患者のデータ登録の流れは、医療費助成を受ける患者と同様、地方自治体が、登録されたデータの研究利用に関する同意を取得すること、対象者は、指定難病の患者のうち重症度基準を満たさない者とするのが適当であるとされた。また、小児慢性特定疾病については、患者数が多い疾病はデータ収集の意義と自治体の負担への配慮に留意が必要のほか、患者数の少ない疾病については、軽症者のデータは一定程度進んでいると考えられる。一方で、登録患者には福祉施策、就労支援等が行き届きやすくなるなどのメリットがあることも踏まえ、例えば指定難病にも該当する疾病など、軽症者のデータ収集の必要性が高いと考えられる疾病から導入することを提案された。

また、データ登録を促進するため、データを登録した者には、「登録者証」(仮称)を発行することが適当とされたほか、データ登録の必要性やメリットの周知等の取組を進めることが必要とされた。

3) 各種の事務負担の軽減について

データの登録業務に関する関係者の負担を軽減するため、地方自治体や指定医の負担軽減機能を搭載した指定難病患者データベース等のオンライン化を進めることが必須であるとされ、オンライン化に際しては、顕名情報を扱うがん登録オンラインシステムと同等以上のセキュリティを確保することが必須であること、また、医療費助成の申請に必要な医師の診断書(難病:臨床調査個人票、小児慢性特定疾病:医療意見書)について、項目の簡素化や、指定医が記入する必要がある部分と他の者が記入できる部分の明確化を行うことが適当とされた。

4. 療養生活の環境整備について

1) 難病相談支援センターについて

難病の患者等に対する相談・支援、地域交流活動の促進及び就労支援などを行う拠点施設である難病相談支援センター(以下「センター」という。)については、難病患者のニーズが疾病特性等に応じ多様であることから、センター単独で全ての課題を解決することを目指すのは現実的ではなく、患者と地域の関係機関又は地域の関係

機関の間を結び、つなぐ役割を担い、円滑に適切な支援につなげていくことを目指すとともに、センターの認知度を更に高めていくことや、センターの相談支援員に対する研修の充実、センター間の連携の促進等が重要とされ、関係者との関係強化のため、積極的に難病対策地域協議会に参加することが望ましいとされた。

また、福祉支援機関や就労支援機関等、他分野の支援機関との連携の重要性を難病法上明確にすることや、センターへの就労支援担当者の配置を促すような工夫を図ることも必要とされた。

2) 難病対策地域協議会等について

難病の患者への支援の体制の整備を図るために、各都道府県、保健所設置市及び特別区に設置されている難病対策地域協議会において、地域の課題の共有及び状況の評価を行い、課題解決につなげるため、必要に応じて、協議会本体の会合のみならず様々なレベルでの会合を持ち、頻度の高い意見交換を行うこと、また、慢性疾患児童等地域支援協議会を児童福祉法に位置付けるとともに、難病対策地域協議会との連携について、難病法や児童福祉法において明確にすることが適当とされた。

5. 福祉支援について

平成25年の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）の改正により、障害者の定義に新たに難病患者等が追加され、障害者手帳を取得できない難病患者等も障害福祉サービスを利用できるようになったが、そのことが十分に認識されていない状況を踏まえ、「難病」という用語を用いた周知などの取組を継続していくことが必要であり、また、周知の対象を患者のみならず、センターの職員や医療機関の関係者等にも広げ、必要な支援につながるようにしていくことなども重要とされ、周知の強化を図るべきとされた。

6. 就労支援について

就労支援は、難病の患者の収入確保にとどまらず社会参加を促進する上で重要であるとともに、仕事による症状悪化の予防等に資するものであるが、難病の患者のニーズは多様であることから、センターや保健所がハローワークに配置されている「難病患者就職サポーター」等の関係者と連携してきめ細かな支援を行っていくことが重要であり、センター及びハローワークによる支援の充実を図ることが必要であり、特に、センターが適切な支援機関につなぐことをセンターの主要な役割の一つとして位置付けていくことが重要とされた。

また、患者の症状や配慮事項等を円滑に関係者間で共有できるツールの開発等が必要とされたほか、新規就労と就労継続の場合では、必要となる支援や関与する関係者が異なり得るため、それぞれの場合に合った関係強化の取組を進めるべきとされた。

7. 小児慢性特定疾患児童等自立支援事業について

2015年の改正児童福祉法の施行により、小児慢性特定疾患児童等自立支援事業が開始されたが、地方自治体において、就職支援やきょうだい支援等の任意事業の実施率が低い状況にある。そのため、医療・保健・教育・福祉等の分野の専門職を含む関係者が、個々の児童等及びその家族のニーズや課題を共有し、生活者の視点からも支援の在り方を考え、連携して対応していくべきとされた。

また、国において、慢性疾患児童等地域支援協議会の意義について示すとともに、難病や医療的ケアが必要となる児童等の他の協議会と共同開催できることを改めて周知すべきであり、単なる好事例の周知に留まらない具体的な立上げ支援など、さらに一歩踏み込んだ国の取組が必要とされた。

また、任意事業の活性化のため、現状把握→課題分析→任意事業の企画・実施という流れを作ることが重要であり、地域の実態把握を自治体の必須事業とすることが必要であるとされた。加えて、任意事業の努力義務化も積極的に検討するべきとされた。

8. 「登録者証」（仮称）について

指定難病患者のデータ登録の促進策の一つとして、データを登録した場合には、「登録者証」（仮称）を発行することが適当であり、「登録者証」（仮称）の交付目的は、
・患者のデータの収集を行い、治療研究を推進する目的
・地域における各種の支援を受けやすくするという療養生活の環境整備等の目的

の2つの目的を併せ持つものとする、発行主体は、交付目的や、患者の利便性、関係者の事務負担等を踏まえ、地方自治体とすることが考えられるとされた。

また、「登録者証」（仮称）には、地域で利用できるサービスに関する情報を記載することが出来るようにすることが適当であり、各種福祉サービスの利用に当たって必要となる医師の診断書に代わるものとして取り扱うことができるよう、関係者に働きかけていくこととすることが適当であるとされた。

IV. まとめ

今後、厚生労働省においては、意見書の内容を踏まえ、制度見直しのために必要な検討を行うことになる。制度の見直しにあたっては、難病患者に対する医療その他難病に関する施策は、難病の克服を目指し、難病の患者がその社会参加の機会が確保されること及び地域社会において尊厳を保持しつつ他の人々と共生することを妨げられないことを旨として、難病の特性に応じて、社会福祉その他の関連施策との有機的な連携に配慮しつつ、総合的に行われなければならないとする難病法の基本理念を堅持した上で検討を進めること、また、見直し後の制度の円滑な施行のため、地方自治体等の関係者への制度見

直しの内容について丁寧な説明や、準備期間の確保が重要であると考ええる。

参考文献

- [1] 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. 平成7年12月27日.
Koshu eisei shingikai seijinbyo nambyo taisaku bukai nambyo taisaku senmon iinkai. [Saishu hokoku.] Heisei 7 nen 12 gatsu 27 nichi. (in Japanese)
- [2] 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. 平成9年9月8日.
Koshu eisei shingikai seijinbyo nambyo taisaku bukai nambyo taisaku senmon iinkai. [Kongo no nambyo taisaku no gutaiteki hoko ni tsuite.] Heisei 9 nen 9 gatsu 8 nichi. (in Japanese)
- [3] 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会. 今後の難病対策の在り方について (中間報告). 平成14年8月23日.
Koshu eisei shingikai seijinbyo nambyo taisaku bukai nambyo taisaku senmon iinkai. [Kongo no nambyo taisaku no arikata ni tsuite (chukan hokoku).] Heisei 14 nen 8 gatsu 23 nichi. (in Japanese)
- [4] 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会. 難病対策の改革に向けた取組について. 平成25年12月13日.
Koshu eisei shingikai seijinbyo nambyo taisaku bukai nambyo taisaku senmon iinkai. [Nambyo taisaku no kaikaku ni muketa torikumi ni tsuite.] Heisei 25 nen 12 gatsu 13 nichi. (in Japanese)
- [5] 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会, 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. 難病・小慢対策の見直しに関する意見書. 令和3年7月.
Koshu eisei shingikai seijinbyo nambyo taisaku bukai nambyo taisaku senmon iinkai, Shakai hoshō shingikai shoni mansei tokutei shikkanji eno shien no arikata ni kansuru senmon iinkai. [Nambyo/ Shoman taisaku no minaoshi ni kansuru ikensho.] Reiwa 3 nen 7 gatsu. (in Japanese)