

特集：今後の難病対策のあり方について

<総説>

今後の難病対策への提言

金澤一郎

東京大学名誉教授・厚生労働省難病対策委員会主査

Personal proposals toward political management of intractable disease patients

Ichiro KANAZAWA

Prof. Emeritus, University of Tokyo; Chief of the Committee
for “The Management of Intractable Diseases” of The Ministry of Health and Welfare

抄録

長年にわたり難病医療や研究事業に携わってきた神経内科医としての立場から、日本における難病対策の歴史や経緯について振り返るとともに、今日の現場や行政における課題、今後の施策と治療研究事業のあり方について述べる。

キーワード：難病、難病対策、治療研究事業

Abstract

History and development of Japanese health policy for patients with rare / intractable diseases (“Nan-byo”) is described to the details as a long engaged neurologist. Further, current issues and challenges are proposed for future administrative policy and research development on rare / intractable diseases in Japan.

Keywords: rare disease, intractable disease, health policy, research development

I. はじめに

私は、神経内科の医師である。ご存知のように、いわゆる難病には神経系に障害を持つものが極めて多い。であるから、必然的に難病との付き合いが多くなった。考えてみると、入局直前にスモンの原因が解明され、その後の収拾の現場にいたこと、その後の難病対策に精魂を込める厚生省の人達の働きを知っていること、我が国が難病に対する医療においては先駆的な存在であることを身を持って体験していること、など、私は知らず知らずに我が国の難病の歴史と共に育ってきたことになる。だからそれだけに、難病対策となると何となく黙っていられなくなる。そうしたところへ、このたび意見を述べる機会を頂いたので、か

なり刺激的なことも述べることになる事をお許し願いたい。

II. 「難病」とは？

一般社会において「難病」と言うと、不治の病、というイメージがあるだろう。厄介な病気、なかなか治らない病気、原因不明の病気、命に関わる病気、ということになる。恐らく、明治・大正・昭和にかけての近代日本における「結核」、「脚気」それに「梅毒」がまさに難病であったろう。ところが、これらの原因が解明され、それらに対する治療法が確立するとともにその治療が普及したことにより、戦後はもはや難病とは言えないところまで来た。けれ

連絡先：金澤一郎

〒107-0062 東京都港区南青山1-24-1 アミティ乃木坂1階

Tel: 03-3475-7710 Fax: 03-3475-7709

[平成23年4月12日受理]

ども戦後の混乱期には、大衆そのものが食うや食わずの状態であり、また、まだ結核などが完全に消滅したわけでもなく、むしろ20世紀は感染症との戦いが主であったといえるだろう。例えば、我々の子供のころには、ポリオや日本脳炎などのように後遺症を残す恐ろしい感染症への恐怖が、子供心にも大きくのしかかっていた事を思い出す。夏は特に日本脳炎を媒介するコガタアカイエカとやりにさされることが本当に恐ろしかった。このように、一般的な意味での難病とは、時代によって、また社会情勢によって変わってくる。

終戦から現在に至る現代の状況をたどってみると、我が国は朝鮮戦争の特需をうけて比較的早い時期から成長期に入っている。そして、戦後10年近く経つ頃からほぼ20年間にわたって、我が国のいわゆる「高度経済成長期」が続くことになる。この間、平均寿命も約60歳から72歳まで、急成長をたどる。けれども、高度経済成長の裏では、経済を支える生産が急増したことによって一気に増えた生産にまつわる公害が明らかになってゆく。すなわち、昔から少数ながらあった、訳の分からない不思議な病気が急増し、生産工場からの排出物によることが明らかになってゆく。これらがイタイタイ病であり、水俣病であった。これらは、原因がそれぞれカドミウムと有機水銀であることが確定するまでは、一般的な意味で難病であったことは重要であり我々は忘れるべきではないだろう。このようないくつかの例を挙げてみると理解できるように、これらの例は「診断がつかない難しそうな病気の患者が1人いた」というような問題ではなく、ある程度以上の数の患者が同じ様な症状を示しながら出現して、社会的にも問題になるような事例であったと言うことになる。これこそが、いわゆる行政の出番となる条件であると言えよう。

それでは、今で言う「難病」が意識され始めたのは、いつ頃、何をきっかけとしていたのだろうか？それが実はスモンであった。高度成長期の落とし子としての「公害病」が認識され、確定されてゆくのとほぼ並行して、全国的にある奇病が認識されてきた。下痢にはじまり、次第に下肢のしびれ、脱力、痙性麻痺、視力障害など多彩な神経障害が現れてくるという。昭和30年代前半に釧路からはじまり、次第に全国的に広まったことから、釧路病とも言われていた。その後、患者は全国的に増加の一途をたどり、昭和30年代の終わりごろには、埼玉、岡山、長野など各地で集団発生も明らかとなった。埼玉では集団的に発生していた地名をとって「戸田の奇病」などといわれていた。また、長野県では家族内で複数の患者が出たことから、ウィルスなどによる感染症が疑われ、患者や家族は周辺から白い眼で見られるなど、社会的な問題として大きくクローズアップされてきた。なお、スモンの名はSubacute Myelo Optico Neuropathyの頭文字をとって、私の恩師である当時の東大神経内科の豊倉康夫教授が名づけられたものである。このように、原因が不明で、患者や家族の苦悩が著しい慢性の「厄介な」病気が注目されるようになった。

社会問題化すると行政の出番である。事実、昭和40年

代のはじめごろから、様々なソースから国の研究費が支給され始めていた。それに対して、昭和44年(1969年)厚生省と科学技術庁は、これらを一本化して「スモン調査研究協議会」という新しい組織を発足させ、スモン解明のための大型研究班を発足させたのである。時に、第二次佐藤栄作内閣の時代であり、厚生大臣は斉藤昇、科技庁長官は木内四郎であった。この行政的措置は、3年あまりで大きな成果を得ることになる。すなわち、昭和47年3月にスモン調査研究協議会は、正式にスモンをキノホルム中毒と断定して原因追及に終止符を打ったのである。

しかし、いわゆる難病と言える疾患が、スモンだけであるわけではなく、後に「対策」のところで述べるように、難治性肝炎、パーチェット病、あるいはサルコイドーシスなどいくつかの「治りにくい厄介な」疾患について、厚生省が研究費を出して研究の推進を図っていた。そして、これらの「厄介な病気」、すなわち「難病」に対して行政的に施策を講じる時に必要な、その定義あるいは範囲をキチンと決める必要が出てきた。昭和47年4月に行われた審議で、「難病」の定義を問われた冲中重雄東大内科学教授は、「治りにくいこと、原因不明のこと、患者の経済的負担が大きいこと」の三点を挙げ、また、白木博次東大病理学教授は、「原因が不明であること、治療法が確立していないこと、慢性化すること」の三点を挙げた。以後は、この両意見を合わせたものが、「難病」の定義となっていく。注目しておきたいのは、当初は「難病」の定義に稀少性の概念は入っていなかったことである。稀少性の概念が入るのは、23年以上後であった。つまり、平成7年12月に難病対策委員会で改めて「難病の定義」がまとめられた時、現在用いられている定義が定められたがすなわち、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）、の四項目を充たすもの、というものである。この定義から、治らないという意味で難病と呼びたい疾患であっても、例えば我が国の死因の第一位である「悪性腫瘍」の多くも、我が国におよそ120万人いるだろうと言われるアルツハイマー病も、難病とは言うことができない。

Ⅲ. 難病対策がたどってきた道

先に述べたようなスモンの問題は、一方では薬害という大きな課題を我々につきつけたと同時に、他方では研究者が研究班を構成し、互いに競争しつつ協力し、病因解明という一つの問題に集中すると3年あまりで結論が出る、という事例を示したことになった。このような成功事例は、これ以後の我が国の難病対策の基本になっているのである。しかし、スモンの原因がキノホルムであるとされるかなり以前から、「難病対策」の必要性が議論され、あるいはまた実際に行われていたことはあまり知られていない。まず、昭和44年6月に公表された自民党の「国民医療対策大綱」には、「公共的社会的に対処すべきことが望ましい疾病について、思い切って公費負担を実施せよ」と書か

れている。続いて昭和44年8月に厚生大臣が社会保険審議会に対して諮問した「医療保険制度の根本的改正」に対する答申が翌昭和45年10月に出されたが、その中で「原因不明でかつ社会的にその対策を必要とする特定疾患については、全額公費負担とするべきである」と記述しているのである。こうした考え方が、それ以後の難病対策の根底を流れる思想となり、しかもこれが世界における難病対策のさきがけとなった。

昭和44年から47年にかけては、「難病対策」の上では忘れることができない重要な時期であった。上に述べた自民党や厚生大臣の動き以外にも、パーチェット病という個別の疾患についての患者救済と研究促進を求める請願が国会に出され、実際に研究費や研究班の支出も必要であるとされたりした。こうした動きを受けて、昭和46年4月には、厚生省内に「難病対策」を目的としたプロジェクトチームができ、1ヶ月後には、超党派の国会議員55名が集まり「難病対策議員懇談会」が発足している。この懇談会を中心として、先に述べた昭和47年4月の集中審議が行われ、難病の定義や範囲がコンセンサス形成に役立ったのである。さらに、昭和47年6月に厚生省内に正式に発足した「特定疾患対策懇談会（この位置づけは、厚生大臣の私的諮問機関であった）」では、難病対策の要綱作りのための具体的な議論が行われた。そして、厚生省は昭和47年10月にそれを基にして「難病患者のおかれている状況にかんがみ、総合的な難病対策を実施する」として「難病対策要綱」を公表したのであった。この要綱では、先に述べたように、難病の定義、対策の内容、それに対象となる疾患、の三点が定められている。

難病の定義はすでに述べたので省略する。対策の内容は、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、とされ、対象疾患として、調査研究の対象として、スモン、パーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス、サルコイドーシス、再生不良性貧血、多発性硬化症、および難治性肝炎の8疾患とし、治療研究の対象として、このうちの前半の四疾患とすることにしたのである。この治療研究事業は、治療研究に協力した見返りとして、患者には月1万円（当時の1万円はかなりの額であった）の協力謝金を支給するという、医療費の自己負担解消を目指す難病対策の目玉であった。

しかし、今から思えばこの時、「特定疾患」の仲間が、これ以後どんどん増えることはほとんど予想がされていなかったのではないと思われる。仮に予想されていたとしても、少々増えても公費で十分カバーできる程度のものと踏んでいた節がある。この点が後に解決しがたい難問となるのであった。

その後厚生省は、昭和48年には、調査研究の対象となる特定疾患を20疾患に増やし、また治療研究疾患を6疾患とした。また、この年から、月1万円の支給ではなく、医療保険によって生じる自己負担分を全額公費負担とする方式に切り替えた。このとき人工透析を必要とする腎不全がこの治療研究対象となったのであった。昭和51年には

特定疾患調査研究対象疾患は43疾患にまで増加し、以後治療研究対象疾患を年に一疾患のペースで増えていった。

「難病対策要綱」策定から20年以上経過したことを受けて、厚生省は社会情勢の変化や患者・家族のニーズの変化を考慮に入れた新しい難病対策を検討することとし、平成5年7月に公衆衛生審議会／成人病難病対策部会の下に、難病対策専門委員会を発足させた。2年以上の検討の結果の最終報告を平成7年12月に公表し、地域の保健医療福祉の充実、患者のQOL向上に向けた福祉政策の充実などの他に、難病の定義に「稀少性」を盛り込むなどの改定がなされた。

その改訂を受けて、平成9年3月の特定疾患対策懇談会において、実際の特定疾患の選定基準に「稀少性」が適応され、その稀少性の意味を「おおそ患者数5万人未満」としたのであった。この選定基準に基づいた現状は、平成21年における調査研究対象130疾患、治療研究対象56疾患である。

Ⅳ. 難病対策の現状

次に、現在の特定疾患治療研究事業の内容について触れておきたい。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、治療が極めて困難であり、かつ医療費も高額である疾患について、医療の確立、普及を図ると共に、患者の医療費の負担軽減を図る事を目的として、この事業を行うとしている。この事業の実施主体は都道府県とされている。事業の内容は、対象疾患の治療費について、社会保険各法の規定に基づく自己負担の全部または一部に相当する額の1/2を毎年度の予算の範囲内で都道府県に対して国が補助する、とされている。要するに、難病に指定された疾患の治療費に自己負担分の全部または一部を国と都道府県が半分ずつ負担する、と言うことである。この際、患者の所得や治療状況を考慮に入れ、患者の自己負担分は入院の場合は0～23,100円/月、外来の場合はその半分、と規定されている。この治療研究事業の対象疾患は、先に述べたように調査研究対象の130疾患のなかから、いわゆる有識者からなる特定疾患対策懇談会の意見を聞いて選定していて、現在では56疾患が対象となっている。制度設計としては以上であるが、ここまでのところで、すでにいくつかの問題点が見て取れるが、それは後でまとめて議論することにしよう。

それでは、実態はどうであろうか。最新のデータではなくて恐縮だが、受給者証の交付件数は、平成20年度末の時点で647,604件であり、平成22年度の予算額は275億円であるという。65万人に迫ろうとする受給者の内訳をみると、多い順に潰瘍性大腸炎、パーキンソン病と続き、全身性エリテマトーデスがわずかに5万人を超えているといったところで、この三疾患だけで全体の1/3をはるかに超えている。一方、これを公費負担額から見直すと、今度は圧倒的にパーキンソン病が多く、次いで全身性エリテマトーデスと潰瘍性大腸炎が続くが、パーキンソン病のそれ

は後二疾患を合わせた額にほぼ匹敵する。このような非常なアンバランスに驚かされるのである。これらの情報をもとにして難病対策の問題点を次に考えてみよう。

V. 難病対策における問題点

私は、先にも述べたように、難病対策の歴史とともに歩んできたと言っても過言ではないので、色々と考えさせられる。そういう意味で、かなり行政にも患者にも厳しいことを申し上げるかもしれない。あらかじめお断りしておきたい。以下で、財政と選定の問題にまとめて問題を論じてみたい。

1. 財政的な問題

これまでの20年以上の経過をみると、特に治療研究事業の受給者数は確実に増加している。もちろん増加率は疾患によって異なるけれども、減少を示している疾患は唯の一つもない。つまり、難病対策のための予算を減らすことはできず、常に増やすことが求められるという現実があるのである。昨今の我が国の経済事情を考えれば、このままの状態では必ずどこかで破綻すると言わざるを得ないのである。

実は破綻する前に地方自治体の造反が起こるのではないかと私は思っている。制度設計の上は、「治療費に自己負担分の全部または一部を国と都道府県が半分ずつ負担する」となっていることは先にも書いた。しかし、現実にはそうっていない。現実問題としては、国は30%も負担できていない。正確な表現としては、怪しからんことに「国は——1/2を毎年度の予算の範囲内で都道府県に対して補助」するとなっていて、1/2以内だから良いのだ、と国は言い張ることができる仕掛けになっているのである。地方自治体はもう限界に近いことはご承知のとおりである。

この問題の最後に、いわゆる難病に対する公費負担の全医療費の中における位置づけをちょっと考えておきたい。国民医療費総額は、この10年足らずの間に約5兆円増加して35兆円になっている。このうち医療保険はやや増加しているが、圧倒的に大きな増加をみせたのは70歳以上の高齢者保険であり、11.7兆円が15.5兆円に増えている。それに対して、難病や先進医療などに対する公費分は、1.2兆円から1.7兆円に増えた程度であって、医療費全体に占める割合も増加分ともに比較的小さいことは理解しておいて良いだろう。

2. 選定・認定の問題（認定の取り消しの問題や公平性の問題）

ここでいう選定とは、特定疾患つまり難病として疾患を選定するという意味であり、認定とはある患者が対象となる特定疾患の患者として認定されることである。なぜこれらの問題がそれほど議論的になるかと言えば、医療費補助を受けられるかどうか、まさにこの選定と認定のプロセスを通過するか否かにかかっているからである。まずこ

こに問題がある。つまり、病期や症状などで限定的な認定もあるけれども、多くは「疾患の選定」である、ということに大きな問題点がある。だから、一人ひとりの患者レベルでは、幸いにも治癒した状態になった患者さんがいて、その患者さんは医療の場から卒業したとしても（少ないけれども、こういう例はある）、「疾患としての卒業生」がいない、という極めて重要な事実を示しているのである。つまり、ある疾患についてはもう難病に指定しておかなくてもよいほどに原因も解明され治療の手立ても整ってきたではないか、という意見があっても、治っていない人もまだいるのだから、特定疾患としての指定を外さないでくれ、と懇願される。

さらに、かたや特定疾患に指定されて医療費補助も受けられるのに、非常に類似した症状や経過を示す疾患でありながら、異なる疾患であるということで除外され医療費補助の対象にもらえない、という著しい不公平感が医療の世界に広がっていたことを反省する必要があるだろう。この点については、現在はかなり解消されてきたとはいえ、それでも指定（選定）基準が必ずしも明確とは言い難いこともあって、いまだに解消したとは言い切れない。特に、いまだに大きな問題であるのは、小児慢性特定疾患治療研究事業で補助を受けていた患者が幸いにも成長して成人となり、制限の20歳を超えた場合の、いわゆるキャリアオーバーの問題である。

もうひとつ現実的な問題がある。例えば、疾患としての認定は外さずに対象とする障害度を挙げて受給者数を抑制する方策を採用しようとしても、この治療研究事業では、医療費補助を行っているために、生活がかかっている患者が多く、とても認定を取り消すことが現実的ではない、という厄介な問題がある。

なお、ここで指摘した諸問題は厚生労働省が考える問題点とほぼ同一である。

VI. 新しい治療研究事業の在り方についての私案

以上述べてきたように、難病（現在では、難治性疾患という呼び名になっている）対策は、それなりの施策が丁寧に積み重ねられてきたと思うけれども、やはり制度設計を含めて軋みが出てきている。それらを解決しようとする、もはや一時的な対症療法では済まなくなっており、根治を目指した抜本的な改革が必要なところまで来ていると思う。そこで、かなり刺激的なこともあるかも知れないが、私が今考えていることをここに書き記すことにしたい。

1. 「難治性疾患」の範囲を拡大する方向へ改める

現在、厚生労働省が定めた「難治性疾患」に含まれる疾患は、うえにのべたような理由によりかなり限定的であり、ここに不公平感の根源があった。つまり、世の中にはいわゆる「難病」の条件を満たす疾患は5000とも7000とも言われており、認定された56疾患以外の疾患に悩む患者さんからは当然不満が出る。私は、まずは「難治性疾患」は、

これらすべての疾患であると、宣言することから再出発するべきではないかと考える。この膨大な「難治性疾患リスト」とでも、完全なものではないので、将来そのリストにはないがそれらしき疾患が認識されてきたときには、しかるべき委員会で検討してリストに加えればよいと思う。とにかく、出発点はそうする。

2. 難治性疾患に対する「調査研究事業」、「治療研究事業費」、「医療費補助事業」という3事業をそれぞれべつの事業とする

調査研究事業は、疾患の実態把握、病態解明などを目的とする世界に冠たる純粋な研究事業であり、厚生科学研究費でしっかりと推進する。その時、従来のような患者に協力謝金を支払うという考え方をやめる。

治療研究事業は、医療費補助事業と切り離すとともに、疾患をあらかじめ特定疾患として指定することもやめる。その代わり、調査研究事業などから新しい治療法や新薬開発の芽が出てきそうになった場合に、速やかに新しい班体制など、治療研究体制を構築できるような制度設計を行う。例としては、昭和50年代に成功した脊髄小脳変性症に対するTRHの開発がある。

医療費補助事業は、新しく定義された「難治性疾患」に対して、次の3)で述べるような基準で補助を実施することとする。なお、この事業は障害保健福祉事業の一環に組み込むことにすべきである。

3. 「医療費補助事業」における補助の資格基準を改める

現在は、疾患名だけのものが多いが、時に障害の程度（例えば、パーキンソン病の場合はHoehn-Yahr障害度のIII度以上だけが対象となるなど）がそれに加味されているものもある。しかも、治療を受けている場合には、治療効果が十分に発揮されている状態で判定することになっており、多くの患者達はこの点に矛盾を感じている。そこで、私は、①5000とも7000とも言われる膨大な難治性疾患のリストにある病名、②無治療の状態での障害度（推定でよい）、③1か月にかかる治療費、④総収入、の4つの要素

をもとにして、それぞれに適切な係数を掛けて公的補助医療費を算出することを提唱する。この結果、これまで支払う必要がなかった人が少しは医療費を支払わねばならなくなったとしても、これは仕方のないことである。しかし、これを確立するにはかなり時間がかかるであろう。

4. いわゆる「難治性対策事業」は他の事業とカップルさせるとともに、新しい財源を求める必要がある

少なくとも、障害保健福祉的な観点からの措置、例えば①医療費補助を受けること、②医療サービスを受けること、③社会福祉的サービスを受けること、の三側面は、一体となった制度にするべきである。その場合に、患者数の自然増もあり、必ず財源が問題になるので、例えば「障害保健福祉税」などの目的税の導入も考えるべきであろう。

5. 「難治性疾患対策事業」および「障害保健福祉事業」などの長期計画には、国民に理解を求めるプロセスを積極的に活用する

国民の税金を使つての政策の一つであるここに掲げた事業を行うに当たっては、国民の理解を求めるプロセスを経る必要がある。これは単純にパブリック・コメントを求めるのではなく、税金の配分という形で弱者に対する国の姿勢を表わすという政治的決断に、国民の同意を求める必要があるということである。

VII. おわりに

かつては難病と言ひ、現在は難治性疾患と呼ばれる一群の疾患の患者さん達は、身体的、精神的、経済的、社会的など、あらゆる観点からみてもハンディキャップを負っている。私は、このようなハンディキャップを持つ人々を救う経済的な余裕は、まだまだこの国は保持していると思っている。そして、この難治性疾患対策を世界に先駆けて確立し、進展させている、我が国を私は誇りに思っている。しかし、まだ満足すべき段階にはない。今後の改善に向けて国が動き出す日も近いと期待している。