

厚生科学審議会疾病対策部会
難病対策委員会 経過報告

平成22年度の検討状況について、本日の検討に資する資料を抜粋。

- 平成22年5月10日
 - ・「特定疾患治療研究事業に関する要望及び提言」
（全国衛生部長会からの要望及び提言） 1
 - ・「今後の難病対策研究のあり方を考える」
（先進国における希少疾患対策の動向） 10
- 平成22年8月30日
 - ・「難治性疾患対策について」
（難病対策の概要） 18
 - ・「難治性疾患患者の生活実態に関する調査」 25

特定疾患治療研究事業に関する要望及び提言

平成 22 年 5 月 10 日

全国衛生部長会

<背景>

昭和 47 年から開始された特定疾患治療研究事業は、対象疾患の原因究明や治療法の開発、臨床研究等の推進に成果をあげてきた。

その一方、現在の対象疾患以外にも数多くある原因不明で治療法が未確立の病気への対応、疾患の医療費負担に対する公費支援のあり方、長期にわたる治療、看護、リハビリテーション、介護を支援するシステムづくりなど、検討すべき課題がある。

また、本事業の実施主体である都道府県が長年にわたり国に要望してきた事業の法制化や補助金超過負担の解消については改善されず、別紙資料のように、平成 21 年度では超過負担がさらに増加する見込みであり、今後この事業自体の安定的実施が困難になるおそれがある。今後の制度改革にあたっては、本事業の目的をあらためて明確にするとともに、上記の課題解決を図るため早急かつ抜本的な解決策の検討が必要である。

<提言>

本来、対策の実施責任とそれに必要な財源確保の責任は一体化することが重要である。

特定疾患に限らず、原因不明で治療法が未確立の疾患の原因究明や治療法の開発などの研究の推進や患者への医療費公費支援は、ナショナルミニマムとして国が実施すべきである。

一方、地方自治体は、その地域の実情に応じた適切な治療、看護、リハビリテーション、介護システムを構築するという、それぞれの役割を明確にした改革が必要と考える。

その改革の道筋として次に掲げる項目を提言する。

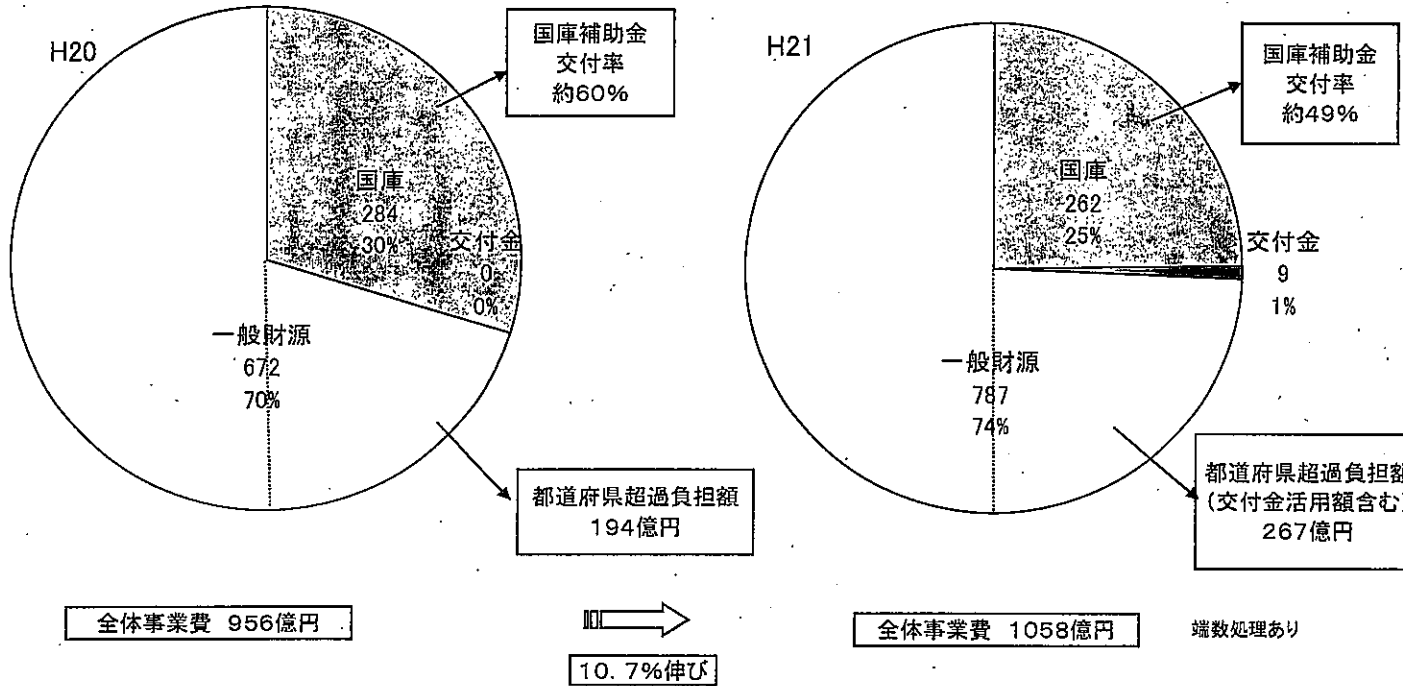
- 一、原因不明で治療法が未確立の疾患の原因究明と治療法の開発については、国が責任をもって進めることが重要である。国はその対象とする疾患の定義を改めて検討したうえで、対象疾患を選定し、新たな制度として法制化する必要がある。
- 二、医療費負担に対する公費支援については、高額または長期の医療費負担を要するすべての疾患も含めて、患者が負担する医療費の総額と所得を考慮し、医療保険制度における特定疾病療養制度や高額医療費制度、また、自立支援医療制度など他制度との比較のうえで、それら制度の活用も含めて適切な負担と公費支援のあり方を検討する必要がある。
- 三、特定疾患をはじめ長期の療養が必要な患者に対しては、相談支援や適切な治療、看護、リハビリテーション、介護の提供が必要である。そのためには、訪問看護制度や介護保険制度、障害者自立支援制度等の他制度との連携を密にした、患者や家族が活用しやすい支援制度の検討が必要である。

試算

H22.2.16
全国衛生部長会

別紙1

特定疾患治療研究事業費に絡める都道府県超過負担額(H20決算⇒H21見込み)



注意

端数の処理等により実際の国庫補助額とは一致しない。また見込み額のため、数値はあくまで参考値。

参考 試算

平成22年2月16日時点全国衛生部長会調べ

- ◇ 平成20年度決算額から平成21年度所要見込み額では、47都道府県事業費全体として約102億円の増額（前年度比10.7%増）。
- ◇ 一方、国庫補助額は、284億円*から262億円*へ22億円の減額で、交付率**も平均約60%から49%に約10%も低くなる結果。
- *) 試算による数字のため、実際の国庫措置額とは相違あり。参考：国庫補助額 282億円(平成20年度)、258億円(平成21年度)。
- ** 交付率：本来国が負担すべき全体額の2分の1のうちに、実際にはどれだけ国庫が入っているかの率
- ◇ 都道府県の超過負担額でみると、平成20年度が47都道府県全体で194億円だったのに対し、平成21年度では 267億円で、約73億円の増額（前年度比38%増）。
- ◇ 高額療養費の見直しにより事業費全体が約2割縮小するという国見込みとは大きく異なる結果。

特定疾患治療研究事業について都道府県意見資料集

平成 22 年 2 月全国衛生部長会都道府県アンケートより次のカテゴリーにより抜粋

- 1 超過負担について
- 2 医療費助成制度について
- 3 難病研究について
- 4 法制化について
- 5 他制度との関係
- 6 事務手続の簡素化等事務改善について
- 7 その他

1 超過負担について

- ・対象疾患、患者数の増加や高額療養費制度見直しにより、現在の制度のままでは都道府県の事務量や一般財源の超過負担が増大すること、患者の事務手続きが複雑化することは明白で問題。
- ・現在のままでの制度の運営であると、特定疾患として治療費助成への要望は益々増え、医療費の負担も高額になり、都道府県による財政負担は困難な状況になる。
- ・まずは「特定疾患治療研究事業」が研究事業なのか福祉医療なのかを明確にする必要がある。いずれの場合にしても、都道府県の超過負担が解消されることが必要。
- ・特定疾患治療研究事業に対する都道府県の予算措置は、もはや不可能な状況。
- ・超過負担の解消は緊急の課題なので、平成 23 年度を待たず補正予算等も含め緊急提案すべき。
- ・制度の抜本改正には、相当の時間を要すると思われるが、もはや、都道府県には当該見直し完了までの間、当該事業を支えていく余裕はない。

2 医療費助成制度について

＜「たとえば「特定疾病」のように、既存の医療保険制度の中で特定疾患を組み入れて医療費を助成するなど、制度そのものの見直しを行う。」ことについての意見＞

- ほぼすべての都道府県が、肯定的要素と否定的要素を併記して、回答している。
- 「特定疾患の対象疾患追加や、受給者数が増加する一方で、特定疾患の選定方法や、都道府県の超過負担等の課題があり、また高額療養費制度の見直しに伴う認定審査の煩雑化などから、見直しは必要である。」との見解を示しつつ、下記に述べる【否定的要素】や【条件整備】を提示している状況と概ね分析することができる。

【肯定的要素】

- ・患者及び自治体等の事務的負担が大幅に軽減される。
- ・医療費助成は、基本的に医療保険制度の中で行うべきもの。
- ・現行制度では、同じ難病でありながら、公費負担の対象に指定されるかどうかで患者の医療費負担に大きな差異が生じている。
- ・対象患者から、各種手続きの簡素化等が求められており、各種手続先は加入している保険者だけに限定されることが望ましい。
- ・今後、限られた予算・人員の中で難病対策を推進するためには、本提案のような抜本的な制度の見

直しが必要。

- ・現行の特定疾患治療研究事業の制度は限界にきていると考えるため、法制度化等、特定疾患治療研究事業を抜本的に見直すことについて賛成。

【否定的要素】

- ・難病施策に限定せず、医療保険制度全体として考えると、保険者の医療費負担増や、最終的には保険料増などの影響が生じることから、医療費の自己負担のあり方について、根本的な議論が必要。
- ・「特定疾病」の対象から外れた疾病について、現行制度と同様に「難病患者間の格差」が生じる。
- ・医療保険制度に組み込むことにより、現行制度における福祉施策との連携のメリットが失われる可能性がある。
- ・患者の自己負担の取り扱い及び対象疾患の認定等の課題があると思われる。
- ・福祉医療とした場合は、実施にあたり保険者の負担が大幅に増えることとなるので、保険者の了解が不可欠。
- ・趣旨には賛同するが、低所得者の負担増や食事療養費に係る負担増など、受給者に係る課題が残り、慎重な議論が必要。
- ・特定疾患の患者認定は、「特定疾病」に比べて専門性が高く、専門の審査会を設けている。既存の保険制度に組み入れた場合、保険者が公平に認定できるかどうか疑問。
- ・医師の証明のみで認定が可能であるのかの検討が必要。
- ・審査を不要とするとますますの患者増につながるものが想定される。
- ・特定疾患は、治療研究が事業の柱の一つであるため、そのための患者データをどのように取り扱うかも課題。
- ・そもそも難病対策は国の責任において取り組むべきとの意見が、保険者や患者から出てくる可能性があり、保険者への押しつけるような形で制度を組み立て直すことに、理解が得られるかどうか疑問。

【提案に賛同する中で必要となる条件整備についての意見】

- ・対象患者の認定にあたり審査会のような公平性が保たれることと、治療研究に必要な継続的なデータ収集ができる仕組みが別途必要。
- ・都道府県で難病患者が把握できなくなれば、これまでの在宅患者の療養支援が困難となる。こうした患者発生を都道府県に通知する仕組みが必要。
- ・重症認定患者については、自己負担なしで治療を行っていることなど、現行の特定疾患治療研究事業と特定疾病では患者の自己負担額に差がある。患者の不利益にならないようにすることが必要。
- ・低所得者への対策が必要。
- ・既存の医療保険制度の組み入れについては、特定疾患治療研究事業の位置づけの明確化や、保険者の負担増に対する国の支援の強化等、十分な検討を要する。

＜「現行の特定疾患治療研究事業は、医療費の低所得者対策としての側面が大きいと思われるため、医療保険の高額療養費制度を見直し、保険制度の低所得者対策を手厚くすることで患者の負担軽減

を行う。この場合、研究者による調査研究事業は独自に行う。」についての意見>

【肯定的要素】

- ・本事業を申請する対象患者にとっては、医療費の助成がすべて。低所得者対策としての医療費助成は、医療保険制度の枠組みの中で、対応すべき。
- ・患者の経済的支援の側面が重くなっていることを勘案すると、本提案内容では難治性疾患克服研究事業の対象とされていない難病患者の関係だけでなく、20歳を超えた小児慢性疾患患者や長期慢性疾患の患者との均衡を図れる。
- ・特定疾患の医療費助成は実態として、患者の生活面への支援を目的とするものであると考えられるが、指定されているのは56疾患だけで、希少な難病は5千とも7千ともいわれ、その中には特定疾患と同様に高額な療養費が長期にわたって必要な疾患があることから、様々な患者会から公費負担の要望がよせられている。このような状況から、指定された特定疾患の中で医療費の給付を位置づけるのではなく、難病疾患全体の患者の実態に即した支援を考える必要があると考えられるので、提案の既存の医療制度である高額療養費の見直しのなかで医療費の低減策を検討するのが適当と思われる。

【否定的要素】

- ・高額療養費制度を見直し、全ての患者を対象にするのは、患者にとっては理想的な案であるが、維持するためには保険料の増額等が必要。これに伴い定率国庫負担や都道府県調整交付金等も増加する。高額療養費制度の見直し後の額の検討とともに、見直し後の財源対策等の検討が必要。
- ・医療保険制度利用の全ての患者が負担軽減の対象となることから、医療提供者や患者のモラルハザードを生み、医療費の高騰を招くおそれ強い。
- ・現在の高額療養費の月額自己負担上限額を大幅に引き下げることにより保険者の負担が過重になることが懸念される。このような改正を行う場合は国から保険者に何らかの財政支援を検討すべきと考える。
- ・特定疾患事業の役割を低所得者対策と位置づけ、高額療養費制度の見直しにつなげることには飛躍がある。
- ・重症患者は、所得に関係なく自己負担を免除されるなど、現行の制度は、必ずしも低所得者対策ばかりではない。低所得者対策に重点を置きすぎると、一定の収入がある人など、難病患者の一部を排除することになり、患者側からの反発は必至。

3 難病研究について

<たとえば「特定疾病」のように、既存の医療保険制度の中で特定疾患を組み入れて医療費を助成するなど、制度そのもの見直しを行った場合の難病研究についての意見>

- ・治療研究を進めるため今後もデータの必要な疾患を特定疾患懇談会で厳選し、情報収集の方策を別途定めるべき。
- ・臨床調査個人票データによる治療データの収集ができなくなり、研究に障害が生じることは否めない。

- ・認定審査は保険者が個別に行うことは困難と思われるので、国が第三者機関等に委託等をして行うこととし、臨床調査個人票も当該機関で収集できるため、それを国に提供する制度にすれば研究事業の継続も可能と考える。
- ・本制度は、難病の原因究明や治療法の研究並びに医療費等の負担軽減による研究事業への継続的な参加を確保するため、患者の自己負担分を所得に応じて公費負担する制度であり、見直し時この点に留意が必要。

＜「現行の特定疾患治療研究事業は、医療費の低所得者対策としての側面が大きいと思われるため、医療保険の高額療養費制度を見直し、保険制度の低所得者対策を手厚くすることで患者の負担軽減を行う。この場合、研究者による調査研究事業は独自に行う。」についての意見＞

- ・調査研究事業としての必要性を認め、都道府県もこれに一定の関与をすれば、これに係る都道府県の事務は依然発生すると考えられる。調査研究事業への都道府県の関与の妥当性やあり方についての検討も必要。
- ・難病の治療研究事業の必要性は理解するが、患者への医療費助成とは切り離れた事業として実施されるべき。
- ・医療費の公費負担は既存の医療保険制度の中に組み入れ、調査研究事業については国が継続して行うことが適当。
- ・臨床調査個人票による調査研究については、どれだけ成果があるのか疑問があるため、研究者による調査研究事業を独自に行うことについて賛成。
- ・調査研究事業については、研究班の医療機関をネットワークで繋ぎ臨床データを蓄積できるシステムを作るなど独自の研究事業として検討できないか。
- ・研究者による調査研究事業を独自に行うとした場合であっても、そのために都道府県に新たな業務を強いる結果とならないようすべき。
- ・治療法の研究は、スモンの検診を参考に国の研究班を中心とする医療機関のネットワークで定期的検診によるデータを利用すべき。
- ・現行制度の中で、地方単独では実施不可能な、原因究明、治療法の確立に向けた国レベルの研究が行われ、成果が上がっていることから、調査研究事業について、独自に行うことには反対。
- ・調査研究については、現行手法に依らなければ独自では困難ではないか。
- ・治療研究事業は、新規及び更新時の臨床調査票により継続的なデータが国に集約されることにより調査研究が進む制度であり、単に医療費の負担軽減を図るだけの制度ではないと考える。独自に調査研究事業を行ったとしても、当事業レベルのデータ収集は困難。
- ・調査研究については、法制化を行った上で、対象となる疾患を選定。調査研究中の医学的なデータを蓄積し、エビデンスに基づいた医療を行うよう提言する組織・体制の整備を進めていくべき。

4 法制化について

- ・保健・医療・福祉・労働を包括した総合的、体系的対策とするため、法制化を図るとともに、医療給付の判定に用いる臨床調査個人票（診断書）の検査項目は、必要最小限とし、患者負担の軽減を図るべき。

- ・類似の制度である小児慢性特定疾患治療研究事業は、法（児童福祉法）に基づく制度であるが、実施主体は保健所設置市になっている。特定疾患についても、適正な負担等の観点から実施主体の見直しが必要。
- ・財政面での裏づけとすべく、法律に基づく制度とされることが望ましい。
- ・制度を根本的に見直すことは、多大なる時間を要することを考えると、まずは、現行制度について、民主党のマニフェスト通り法制化し、国・地方の負担割合を明確化することにより、抜本的に超過負担を解消する方向で進めてはどうか。
- ・制度の抜本的改正が困難な場合、少なくとも法制化および国庫補助率の明示が必要。
- ・国において法制度を含めた制度の大幅な見直しを実施し、まず財源の確実な確保を図り、制度の安定的な運用を図るべき。
- ・現行の制度が法制化されていないことが問題。また、昨年5月の制度改正以降、事務負担は増えたが、医療費は減っていない。受給者は頻繁に保険証を変更するため、受給者証の交付が間に合わない状況が生じている。
- ・難病対策と社会保障を分ける考え方に賛成。調査研究対象となる疾患の選定及びその基準を決定する組織や体制の整備、調査研究結果のデータベース化の推進等を含むスキーム構築に関する法整備が必要。また、保険者の負担増大に対する財源措置（国庫補助等）が必要。

5 他制度との関係

- ・特定疾患だけでなく保険制度・福祉制度等とも合わせて広くセーフティネットの再構築が必要。
- ・安定した財源を確保するため、医療費については自立支援医療に組み込む等の方策を検討すべき。
- ・公費の対象のうち、食事療養費を対象外とすべき（特定疾患治療研究事業は食事療養費を全額公費負担しているが、他の公費負担制度において、食事療養費は対象外としている事業も多い。）。また、平成21年5月の高額療養費制度の改正により、特定疾患における食事の減額と保険者が発行する食事減額認定証との兼ね合いが複雑になっている。
- ・他制度との公平性の観点からも、入院時のいわゆるホテルコストについては対象外とすべきと考える。
- ・公費の対象のうち、介護を対象外とすべき。介護保険については、「訪問看護は全額公費」、「訪問リハ・居宅療養管理指導、介護療養型医療施設サービスは上限額まで公費負担」、「その他は対象ではない」というように特定疾患治療研究事業が公費の対象としているもの自体が複雑である。特定疾患治療研究事業における介護保険利用は全体から見ると少ない。当該事業は治療研究のための事業であり、介護に必要な経費については、介護保険制度の中で対応すべき。
- ・パーキンソン病、潰瘍性大腸炎などの症例の多い疾患についてのみ「特定疾病」として取り扱うことも考えられる。

6 事務手続の簡素化等事務改善について

- ・認定基準があいまい。審査医が、審査に困難を感じているため、臨床調査個人票と矛盾がないようにすべき。
- ・自己負担限度額のランクが複雑で、わかりにくい。A～Gランクの他に、その1/2、1/10な

どがあり、分かり易く説明しやすいものにすべき。

- ・生計中心者の認定方法があいまい。患者の生計を担うもの、という非常にあいまいであるため、患者への説明が困難である。例えば、「医療保険の被保険者」などのように、わかりやすく、説明しやすいものにすべき。
- ・申請に必要な所得証明書類が複雑で、わかりにくい。自己負担限度額の認定は「所得税」、高額療養費の認定は「住民税」の書類が必要となり、患者は税務署と市町村役場両方に行くことになり、負担が大きくなっている。また、保健所で説明しても、高齢であったり、障がいがあったりと、書類を揃えることができない患者もいる。このようなことから、自己負担限度額の認定を「住民税」でできるようにすべき。
- ・平成22年度の更新の際は、社会保険者加入者で生計中心者が住民税非課税の者、国民健康保険組合加入者、そして、保険者変更の未提出者については、高額療養費の適用区分の照会のため保険者照会が必要になる。現在は保険者照会の際には、申請者の同意書が必要となっているため申請者の負担・混乱や都道府県・保険者の膨大な事務が発生する。しかし、個人情報保護法やほとんどの地方自治体の個人情報保護条例では、法令上規定があれば、「個人情報の取り扱い、収集、提供の制限」に抵触しないため、同意書がなくても照会は可能である。特定疾患の高額療養費の適用区分の照会については、健康保険法施行規則98条の2等に規定されたことから、保険者照会に同意書は不要と考えられる。申請者の負担軽減や都道府県・保険者の事務の軽減を図るべき。
- ・受給者証の更新は、例えば2年に1回とすべき。
- ・現行の軽快者基準では、ほとんどの症例で軽快者とすることが困難であり、軽快者基準の見直しが必要と思われる。(例えばモヤモヤ病で医療機関受診が年1回の経過観察者も認定となりうる。)
- ・軽快者基準の見直しが困難であるのなら、年1回の更新申請について、疾患により、臨床調査個人票の提出を省略できるようにするなど、申請者負担や病院、県の事務の軽減が図れるようにした方が実質的である。
- ・重症患者および住民税非課税世帯以外は一律定額負担とするなど所得階層区分および算定方法の見直しをすべき。

7 その他

- ・特定疾患の認定審査の件数が年々増えている状況の中、追加疾患には、認定審査の難しい疾患も多く、幅広く対応できる審査医の確保が困難な状況。
- ・特定疾患治療研究事業により治療法の進歩や成果が得られない場合は、対象疾患として妥当であるかの考え方を示すことが必要ではないか。また、治療研究事業として妥当でないと判断された疾患については、福祉施策としての医療費の助成制度を新たに検討することも必要。
- ・公費負担医療費の増加については、調剤薬局での処方に対して負担額がないことも、医療費増加の一因になっているのではないかと考えられる。
- ・抜本的な制度の見直しが困難である場合は、特定疾患の中には、指定した当時の状況と異なり、現在は上記原則に合致しない疾患もあることから、治療研究事業の原則に則った対象疾患のみを治療研究事業として医療給付を行い、原則から逸脱した疾患を現行の医療保険制度の中に組み入れる制度を早急に整備すべき。

- ・現在対象としている疾患の一部を非対象とすることは、現在同制度を利用している患者ほかの反発が予想され、混乱を招く恐れがあり、慎重に検討していく必要がある。「症例数が少なく」など、制度の原則そのものが、現行のままでよいのか、検討する必要もある。

今後の難病対策研究のあり方を考える ～先進国における希少疾患対策の動向～

平成22年5月10日（月曜）
難病対策委員会

研究代表者
国立保健医療科学院 林 謙治



「今後の難病対策のあり方に関する研究」 における検討課題

- 難病対策の基盤となる研究開発環境を整備するための方法論の開発
- 難病対策及び難病に関する研究開発のあり方の検討
- わが国及び諸外国における難病対策の動向や成果の分析

⇒ 今後の難病対策を推進する上で行政が抱える様々な課題に対する政策的提言を行う

研究開発環境を整備するための方法論の開発

- ①難病患者の発生率の推計方法及び疫学的特徴の把握方法の開発
- ②診断困難症例の情報収集・集約・分析・提供システムの開発
- ③難病患者の実態把握の手法の開発
 - - 既存もしくは新規調査による経済的指標の構造分析、財政・経済支援のあり方の検討等

3

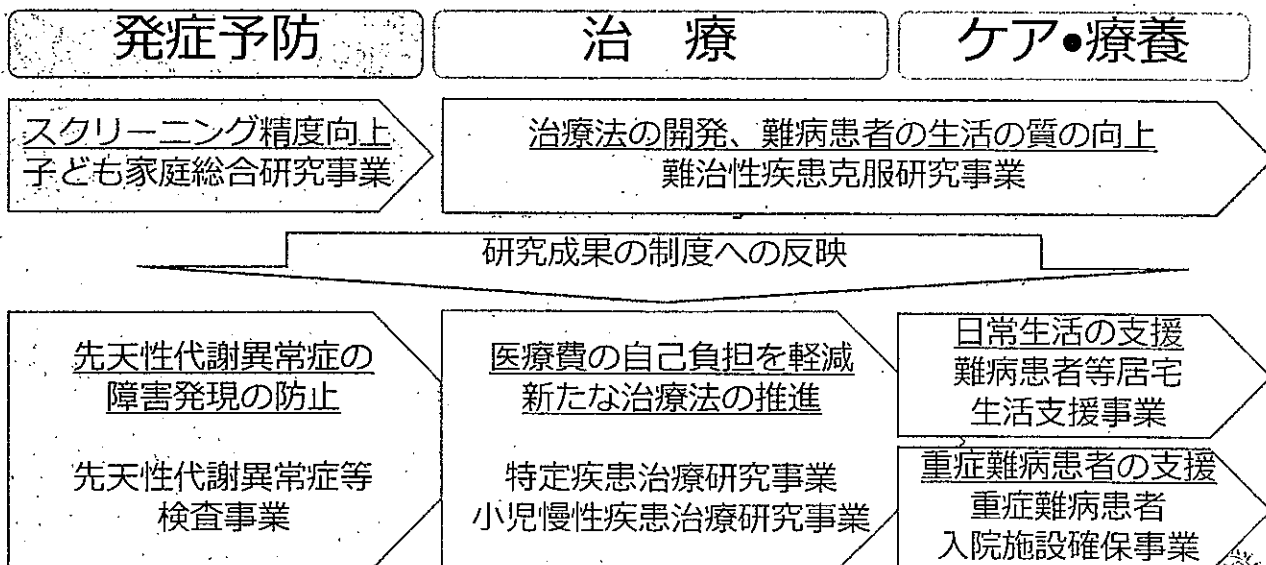


難病対策及び難病に関する研究開発

- ④臨床調査個人票の有効活用及び臨床データベースの構築
 - - データ入力負担軽減、データベースの臨床研究応用化
- ⑤難病に関する技術評価の手法の開発
 - - 国際共同研究の推進方策等
- ⑥災害時における難病患者の支援体制の構築
 - - 希少医薬品の供給確保、病院・施設の安全性の向上等

わが国の難病の対策について

- ①難病（希少疾患）の治療研究体制
- ②難病（長期にわたり高額な費用がかかる病気）の医療費について患者の自己負担を軽減する制度



日・米・欧における難病の定義と規定

	日本	米国	欧州
定義	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性※1 (患者数が概ね5万人未満※2) ・原因不明 ・効果的な治療法が未確立 ・生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする） 	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性※1 (患者数が20万人未満) ・有効な治療法が未確立 	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性※1 (患者数が1万人に5人以下) ・有効な治療法が未確立 ・生活に重大な困難を及ぼす、非常に重症な状態
関連法規	難病対策要綱（1972） 薬事法等の改正※3（1993）	希少疾病医薬品法 Orphan Drug Act（1983）	欧州希少医薬品規制 Orphan Medicinal Product Regulation（1999）

注1) 希少性を欧州定義に則った場合：1万人あたり米国7人未満、日本4人未満

注2) 薬事法第77条の2において希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器と指定する要件として、「対象者の上限を5万人」とされている。

注3) 希少疾病用医薬品の研究開発促進を目的とした薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の改正

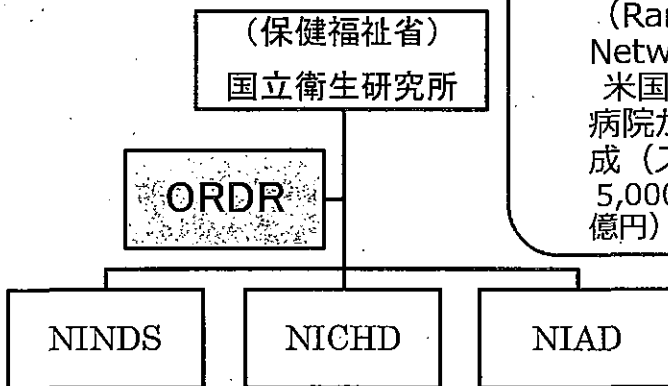
米国における希少疾患対象の臨床研究体制

○ 希少疾患研究対策室 (Office of Rare Diseases Research, 1989-)

(2002年に法的位置付け) : 希少疾患に特化した研究の推進 (研究の調整・支援、研究費助成)、患者への情報提供など、希少疾患研究全体の運営を行う。

- ① 新薬開発に主眼 ⇒ NIHとFDAの連携の強化
- ② 患者団体とのパートナーシップ
⇒ RDCRNの研究申請には患者支援団体の関与が原則

○ 希少疾患臨床研究ネットワーク
(Rare Diseases Clinical Research Network: RDCRN, 2003 -)
米国内外の医学部付属病院および研究施設・病院がネットワーク化してコンソーシアム形成 (スイス、カナダなど海外からも参加)。
5,000人以上の登録者 (5年間計画: 予算約102億円)



NINDS: National Institute of Neurological Disorders and Stroke,
NICHD: National Institute of Child Health and Human Development,
NIAID: National Institute of Allergy and Infectious Diseases
NIAMS, NIDCR, NIDDK, NHLBI

* 上記他、7つの国立衛生研究所に属する研究施設があり、運営に関与する



欧州各国の医療制度及び難病患者に対する医療費軽減制度の概要 (一覽)

欧州においては、難病という概念ではなく、原則として長期にわたり高額な費用がかかる疾患を対象に医療費の支援を実施している。

区分	イギリス	フランス	ドイツ	スウェーデン
一般の医療費患者負担	原則無料	償還制	定額負担	定額負担
医療費財源	一般財源	公的医療保険	公的医療保険	一般財源
難病患者の医療費軽減制度	医学的除外認定証が発行され、処方料の自己負担分が免除	<ul style="list-style-type: none"> ・ 特定重症慢性疾患の指定 (30疾患) ・ 自己負担の免除 ・ 公的補足保険提供 	年間患者負担額の上限を世帯の年間所得の1%	<ul style="list-style-type: none"> ・ (難病に限らず) 長期あるいは重篤な疾病の場合は、薬剤費無料

注) 償還制: 患者が一時的に全額を支払い、その後公的医療保険から医療費が償還される方式
特定重症慢性疾患: 再生不良性貧血、パーキンソン病、クローン病、SLE等の疾患が含まれる。



諸外国における希少疾患対策 (資料編)

平成22年5月10日(月曜)
難病対策委員会

研究代表者
国立保健医療科学院 林 謙治



資料① 米国における希少疾患対策の概要

(定義)患者数が20万人未満。(約6,800疾患:患者数推計2,500万人) 代謝異常、神経難病、希少がんを含む。

(特色)希少疾患の原因解明および治療法(治療薬)開発に主眼を置く。特に、遺伝子情報のデータベース化と臨床データとのリンクについても整備が進んでいる。背景としては、1980年初期に患者家族による政府への希少医薬品開発を求めた運動を契機とする。

1983年 希少医薬品法(Orphan Drug Act):製薬企業に一定期間の排他的販売権付与と研究開発に対する税制優遇措置を実施。以来、340以上の希少疾患治療法がFDAによって認可。

1993年(1989年-) 希少疾患研究対策室(Office of Rare Diseases Research)設置:米国保健福祉省下の国立衛生研究所(National Institute of Health)内にて、希少疾患に特化した研究の推進支援を目的とする。研究に関する提言および研究費の助成・調整、研究者支援(教育研修)、患者・家族への情報提供等を行う。

2002年 希少疾患対策法(Rare Diseases Act of 2002): 上記責務の法制化。

(治療を目的とする臨床研究推進)

2003年 希少疾患臨床研究ネットワーク(Rare Diseases Clinical Research Network: RDCRN)

全米臨床研究関連施設をネットワーク化(国立研究所7施設が運営関与)。登録者約5,000人(2009年10月)。主に疾患タイプごとに複数の医療・研究関連施設がコンソーシアムを結成し、臨床研究を実施(5年間計画:予算約102億円)

患者支援グループとの協働:各コンソーシアムは研究申請にあたり患者グループをパートナーとすることが原則。ネットワーク運営や戦略に直接関与する。Coalition of Patient Advocacy Groups (CPAG)が患者グループを包括し、メンバーは通年でミーティングを行っている。議長はRDCRN運営委員会における投票権を有する。

Phase I (2003 - 2009)

データセンター構築(Data Management Coordinating Center:DMCC):
患者登録およびデータ管理システム開発、ウェブサイト公開。匿名化データとし、研究者アクセス可能。(ID管理のため患者個人の追跡は不可:主治医まで)
コンソーシアム(5件:22課題)

Phase II (2009 - 2014)

コンソーシアム(19件:95疾病対象)



資料② 欧州(EU)における希少疾患対策の概要

(定義)1万人に5人未満(0.5/10万)の発症率。約7,000種類(ほとんどが遺伝子欠損。周産期やその後の環境汚染も要因)。効果的治療法がなく、初期診断時のスクリーニング、その後の効果的処置がQOL向上、寿命をのばす。EUで3,600万人の患者を想定。

(特徴)EU健康研究プログラムにおいて公衆衛生上の最優先事項とされている。

(方針)①難病に対する認識と知名度の改善 ②難病に対するEU加盟国それぞれの国家プラン支援

③ヨーロッパ全体での強調と連携の強化:研究をさらに進め、情報を共有し、専門化が対応できるように欧州レファレンスネットワーク形成。多国間の専門家難病センターの連携強化。

—プログラムは欧州委員会で採択され、予算は(2008-2013)3億2,150万ユーロ計上(2009年単年度4,848万ユーロ)

1999年「オーファンドラッグ規則」(Regulation(EC)No.141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products)

- EU Task Force Rare Diseases: EUにおける公的機関。各組織の補助、臨床検査および診療(リファレンスセンター)、質管理、ベストプラクティスのガイドライン作成、スクリーニング、診断、ケア、疫学調査、EUレジストリー(登録)・ネットワーク化・アドホック調査、EUレベルでの施策形成、などを行う。
- Rare Disease Task Force (RDTF): 2004年1月設立。EUにおける希少疾患罹患率・死亡率に関するデータを収集。
- EURORDIS (European Organization for Rare Diseases): 1997年設立されたNGO。患者団体。

フランスでは、「公衆衛生政策に関する法律*」における公衆衛生分野の重点領域(2004-2008年)の1つ。「希少疾病計画」には疫学的知識の向上、治療へのアクセスの向上、オーファンドラッグ開発の取り組み、研究の促進などの重点事項が挙げられた。これには病院における治験プログラムに対する助成金の支給やオーファンドラッグを後援する企業に対する税制面での優遇措置も含まれる。また患者等の情報へのアクセスを向上させるため、フランス医薬品庁のウェブサイトには希少疾病の治験のリスト、1994年以降の例外的利用許可(コホート*調査目的)のリスト、その他院内製剤の一般的な情報が掲載。

* (LOIn° 2004-806 du 9 août 2004 relative à la politique de santé publique)

イギリスの医療制度

○医療費:財源は一般租税+国民保険料で受診時原則無料

主な財源	一般租税(80%)+国民保険料(8.4%)※1
総医療費:対GDP比	1254億ポンド(約18.2兆円):8.7%(2008)
自己負担	外来診療: なし
	入院診療: なし
	薬剤処方: 1処方毎£7.20(約1000円)※2
1ポンド=約145円	

※1 国民保険料:雇用主と被雇用者から徴収する社会保険料。主に失業保険や年金の財源となるが、医療費にも繰り入れられる。収入により徴収率が異なる。

※2薬剤処方料が免除されるのは、他に妊婦、16歳以下、65歳以上の高齢者、障害者、精神疾患罹患患者などや税控除(tax credit)を受けている低所得世帯など

○希少疾患患者に対する医療費軽減制度

○医学的除外認定証が発行され、処方料の自己負担分が免除
(Medical Exemption Certificate: MedEx)

フランスの医療制度

○医療費:財源は保険料+目的税(CSG※¹他)で償還払い

主な財源	保険料(54%) + 目的税※ ² (38%)
総医療費:対GDP比	1810億ユーロ(約23兆円): 11.2%(2005)
自己負担※ ³	開業医医療: 32.7%
	病院医療: 7.2%
	薬剤処方: 36.4%
1ユーロ=約125円	

※¹ CSG:一般福祉税。租税であるが家族手当や医療費等に用途が特定されている。稼働所得・資産所得・投資益・競馬等獲得金などが課税対象。CMU: 普遍的疾病給付:地域保険

※² 目的税には、CSGのほか、タバコ税、アルコール税などが含まれる

※³ 自己負担分に対する保険(補足保険)を併用することが一般的(全世帯の90%以上)

○希少疾患患者に対する医療費軽減制度

- 特定重症慢性疾患の指定(30疾患) ○ 自己負担分の免除
- 公的補足保険の提供(補足的CMU:低所得者)

ドイツの医療制度

○医療費:財源は保険料で定額負担だが支払い上限あり

主な財源	保険料(96%)
総医療費:対GDP比	1554億ユーロ(約19.5兆円): 10.6%(2006)
自己負担※	外来診療: 初診時€10(四半期毎)
	入院診療: 1日€10(年間28日まで)
	薬剤処方: 10%(€5 - €10の範囲内)
1ユーロ=約125円	

※ 一般的な年間患者負担額の上限は、世帯の年間実質所得の2%
年間患者負担額の減免は、連邦共同委員会(GBA)がガイドラインで、重症慢性病患者として同じ病気で四半期に1度以上医師を受診し、1年以上治療が継続しているなどの条件を定義している。

○希少疾患患者に対する医療費軽減制度

- 年間患者負担額の上限を、世帯の年間所得の1%

スウェーデンの医療制度

○医療費：財源は一般税で一定の負担以上は無料

主な財源	一般税 (地方70%+中央20%)
総医療費：対GDP比	2480億クローナ(約3.6兆円): 9.1%(2005)
自己負担※ 1クローナ=約13.2円	外来診療：1回100-300クローナ(上限あり)
	入院診療：1日80クローナ
	薬剤処方：累計額により逡減(上限あり)

※外来診療の自己負担上限は1年間900クローナ(約1.2万円)

※薬剤費の自己負担額の上限は、1800クローナ(約2.4万円)

※自己負担額や減免措置などは、各ランスタング(県に相当)によって異なる

○希少疾患患者に対する医療費軽減制度

○(難病に限らず)長期あるいは重篤な疾病の場合は薬剤が無料になる

1. 難治性疾患対策について

難病対策の背景

- 昭和33年 スモン
 当時は原因が不明
 治療法未確立
 疾患に対する社会的不安
 スモンの方々の救済
- 昭和46年 スモン調査研究協議会がスモン入院患者
 に対して月額1万円(当時)を治療研究費より支出
- 昭和47年 スモン調査研究協議会の総括的見解
 ～「キノホルム剤の服用による神経障害」

- スモンの研究体制が他の難病に関する研究に対しても成功を収めることが可能ではないか。
- 昭和45年 「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、全額公費負担とすべきである」(社会保険審議会答申)
- 昭和47年 国会において難病に関する集中審議
- 昭和47年 厚生省「難病対策要綱」
総合的な難病対策の指針

2

難病対策要綱(昭和47年厚生省)

<疾病の範囲>

○取り上げるべき疾病の範囲について整理

- (1)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
- (2)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

<対策の進め方>

- 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



昭和47年 ○スモン、○ベーチェット病、○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、難治性肝炎 からスタート (○は医療費助成の対象)

3

特定疾患治療研究事業の概要
(いわゆる難病の医療費助成)

1. 目的

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、普及を図るとともに、患者の医療費の負担軽減を図る。

2. 実施主体 都道府県

3. 事業の内容

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又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補助

4. 患者自己負担

所得と治療状況に応じた段階的な一部自己負担あり
 上限額 入院 0~23,100円/月 外来等 0~11,550円/月
 ※対象者が生計中心者である場合は上記金額の1/2

5. 対象疾患

難治性疾患克服研究事業のうち臨床調査研究分野の対象疾患(130疾患)の中から、学識者から成る特定疾患対策懇談会の意見を聞いて選定しており、現在、56疾患が対象となっている。

<参考>臨床調査研究分野の対象疾患

次の4要素(①~④)から選定し、現在、130疾患が対象となっている。

- ①希少性:患者数が有病率からみて概ね5万人未満の患者とする。
- ②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。
- ③効果的な治療方法未確立
- ④生活面への長期にわたる支障(長期療養を必要とする)

4

自己負担限度額表

階層区分		対象者別の一部自己負担の月額限度額		
		入院	外来等	生計中心者が患者本人の場合
A	生計中心者の市町村民税が非課税の場合	0	0	0
B	生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	4,500	2,250	対象患者が生計中心者であるときは、左欄により算出した額の1/2に該当する額をもって自己負担限度額とする。
C	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,000円以下の場合	6,900	3,450	
D	生計中心者の前年の所得税課税年額が5,001円以上15,000円以下の場合	8,500	4,250	
E	生計中心者の前年の所得税課税年額が15,001円以上40,000円以下の場合	11,000	5,500	
F	生計中心者の前年の所得税課税年額が40,001円以上70,000円以下の場合	18,700	9,350	
G	生計中心者の前年の所得税課税年額が70,001円以上の場合	23,100	11,550	

- 備考: 1. 「市町村民税が非課税の場合」とは、当該年度(7月1日から翌年の6月30日をいう。)において市町村民税が課税されていない(地方税法第323条により免除されている場合を含む。)場合をいう。
2. 10円未満の端数が生じた場合は、切り捨てるものとする。
3. 災害等により、前年度と当該年度との所得に著しい変動があった場合には、その状況等を勘案して実情に即した弾力性のある取扱いをして差し支えない。
4. 同一生計内に2人以上の対象患者がいる場合の2人目以降の者については、上記の表に定める額の1/10に該当する額をもって自己負担限度額とする。

5

希少な難治性の疾患の数と研究事業について

希少な難治性の疾患 5,000-7,000疾患 (※1)

Agassiz syndrome	Achalasia microglossy	Acromioclavicular dysostosis syndrome
Akaiwa syndrome	Achalasia, familial esophageal	Acroclin, goitrous type
Aase-Smith syndrome	Achard syndrome	Acroclavicular dysostosis of Coste
Aase syndrome	Achard-Trivers syndrome	Acromegaly changes, eula vertebrae gyria and corneal leukoma
ASGD syndrome	Achropodia	Acrocephalic facial appearance syndrome
Abderhalden-Kaufmann-Lignac syndrome	Achrotopia	Acrocephalic features, overgrowth, club palate, and hernia
Abdominal aortic aneurysm	Achrotopia type 1A	Acrocephalic type-1 syndrome
Abdominal diverticulosis with cutaneous angiomas	Achrotopia type 1B	Acromegaly
Abdominal cystic lymphangioma	Achrotopia type 2	Acromelic frontonasal dysplasia
Abdominal obesity metabolic syndrome	Achrotopia type 4	Acrosonic dysplasia
Abnormal subclavian artery	Achrotopia type 5	Acrosonic dysplasia Cangelis-Marcucci type
Abetalipoproteinemia	Achrotopia type 6	Acrosonic dysplasia Hunter-Thompson type
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 7	Acrosonic dysplasia Maroteaux type
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 8	Acrosonic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 9	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 10	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 11	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 12	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 13	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 14	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 15	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 16	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 17	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 18	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 19	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 20	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 21	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 22	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 23	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 24	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 25	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 26	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 27	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 28	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 29	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 30	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 31	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 32	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 33	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 34	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 35	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 36	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 37	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 38	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 39	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 40	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 41	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 42	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 43	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 44	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 45	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 46	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 47	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 48	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 49	Acromelic dysplasia
Abetalipoproteinemia variant	Achrotopia type 50	Acromelic dysplasia

特定疾患治療研究事業 の対象疾患

- ・ライソゾーム病
- ・特発性間質性肺炎
- ・表皮水疱症
- ・筋萎縮性側索硬化症 (ALS) など

臨床調査研究分野(※2) の対象疾患

- 130疾患
- ・骨髄線維症
 - ・側頭動脈炎
 - ・フィツシャー症候群
 - ・色素性乾皮症 など

研究奨励分野(※2) の対象疾患

- 177疾患 (H21)
214疾患 (H22)

※1 希少難病の定義は各国異なるため幅がある数値となっている。

※2 難治性疾患克服研究事業の一つの分野。

※3 それぞれの事業には、「希少」の基準を超える患者数5万人以上の疾病も含まれている。

特定疾患治療研究事業の対象疾患への追加に関する患者団体等からの要望一覧

疾患名	患者会等
von Hippel-Lindau病	von Hippel-Lindau病患者の会 (通称:ほっとchain)
強直性脊椎炎	日本強直性脊椎炎友の会
RSD (反射性交感神経性ジストロフィー)	CRPS患者の会、かぼちゃの会
HAM	全国HAM患者友の会 (アトムの会)
FOP (進行性骨化性線維異形成症、進行性化骨筋炎)	J-FOP~光~患者会
線維筋痛症	NPO法人線維筋痛症友の会
胆道閉鎖症	胆道閉鎖症の子どもを守る会
1型糖尿病	IDDM全国インターネット患者会idm.21、近畿つぼみの会 (小児期発症インスリン依存型糖尿病患者・家族会)
マルファン症候群	マルファンサポーターズ協議会
腹膜偽粘液腫	腹膜偽粘液腫患者支援の会
ブラダー・ウィリー症候群	日本ブラダー・ウィリー症候群協会
XP (色素性乾皮症)	全国色素性乾皮症 (XP) 連絡会
エーラス・ダンロス症候群	CTDサポーターズ協議会 (旧マルファンサポーターズ協議会)
水疱型先天性魚鱗癬様紅皮症	魚鱗癬の会
非水疱型先天性魚鱗癬様紅皮症	魚鱗癬の会
シックハウス症候群	シックハウス連絡会
混合型血管奇形	混合型血管奇形の難病指定を求める会、混合型血管奇形の難病指定を求める議員連盟
フェニルケトン尿症	フェニルケトン尿症親の会・医療費助成委員会
シャルコー・マリー・トウース病	シャルコー・マリー・トウース病友の会 (準備会)
軟骨無形成症	つきの会
脳脊髄液減少症	特定非営利活動法人サン・クラブ
遠位型ミオパチー	遠位型ミオパチー患者会
慢性疲労症候群 (CFS)	慢性疲労症候群友の会
小児交互性片麻痺	日本小児神経学会、日本でんかん学会
ラスムッセン症候群	日本小児神経学会、日本でんかん学会
慢性活動性EBウイルス感染症	慢性活動性EBウイルス感染症患者の親の会
アトピー性脊髄炎	アトピー性脊髄炎患者会
ジストニア	NPO法人ジストニア友の会
ポルフィリン症	全国ポルフィリン症代謝障害者患者会、民主党ポルフィリン症を考える議員連盟
コケイン症候群	中標津町、日本コケイン症候群ネットワーク
障害胞線維症	障害胞線維症の治療環境を実現する会、障害胞線維症患者と家族の会
CAPS (クリオピリン関連周期性発熱症候群)	CAPS患者・家族の会

注1) 平成22年3月末までに寄せられた要望をまとめたもの 注2) 名称等により個人が特定される団体を除く。

難病対策に関する課題

1 医療費助成(特定疾患治療研究事業)における問題

① 対象疾患(医療費助成制度の「谷間」)

・難治性疾患

難治性疾患であって、特定疾患治療研究事業の対象疾患(56疾患)とならないものは、高額療養費制度以外の医療費軽減の仕組みがない。

一方で、難治性疾患の要件を満たしていない疾患の取扱いについても検討が必要。

・小児慢性特定疾患(キャリアオーバー問題)

小児慢性特定疾患治療研究事業の対象疾患(例:胆道閉鎖症など)であって特定疾患治療研究事業の対象とならないものについては、20才以降、医療費助成を受けることができない。

② 安定的な財源の確保

受給者増・医療費増が見込まれる中で本事業について十分な予算を確保できない状態が続いており、安定的な財源を確保できる制度の構築が課題。

③ 医療費助成事業の性格

希少疾患の症例確保を効率的に行うという研究事業でありながら、公費で医療費助成を行うという福祉的側面を有する本事業のあり方について、検討が必要。この際、保険制度等との関連も検討する必要。

8

2. その他の医療費助成制度について(参考)

小児慢性特定疾患治療研究事業

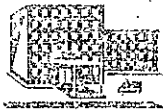
○ 小児慢性疾患のうち、小児がんなど特定の疾患については、その治療が長期間にわたり、医療費の負担も高額となることからその治療の確立と普及を図り、併せて患者家庭の医療費の負担軽減にも資するため、医療費の自己負担分を補助する制度。

事業の概要

- 対象年齢 18歳未満の児童（ただし、18歳到達時点において本事業の対象になっており、かつ、18歳到達後も引き続き治療が必要と認められる場合には、20歳未満の者を含む。）
- 補助根拠 児童福祉法第21条の5、第53条の2
- 実施主体 都道府県・指定都市・中核市
- 補助率 1/2（負担割合：国1/2、都道府県・指定都市・中核市1/2）
- 自己負担 保護者の所得に応じて、治療に要した費用について一部自己負担がある。ただし、重症患者に認定された場合は自己負担はなし。

沿革

- 昭和43年度から計上
- 昭和49年度 整理統合し4疾患を新たに加え、9疾患群からなる現行制度を創設。
- 平成2年度 新たに神経・筋疾患を加え、10疾患群とする。
- 平成17年度 児童福祉法に基づく法律補助事業として実施するとともに、慢性消化器疾患群を追加し11疾患群とする。また、日常生活用具給付事業などの福祉サービスも実施。



対象疾患

11疾患群(514疾患)
106,368人
※H20年度給付人数

- ① 悪性新生物
- ② 慢性腎疾患
- ③ 慢性呼吸器疾患
- ④ 慢性心疾患
- ⑤ 内分泌疾患
- ⑥ 膠原病
- ⑦ 糖尿病
- ⑧ 先天性代謝異常
- ⑨ 血友病等血液・免疫疾患
- ⑩ 神経・筋疾患
- ⑪ 慢性消化器疾患

すべて
入院・通院
ともに対象

10

小児慢性特定疾患治療研究事業における自己負担限度額表

階層区分	自己負担限度額	
	入院	外来
生活保護法の被保護世帯及び中国残留邦人等の円滑な帰国の促進及び永住帰国後の自立の支援に関する法律による支援給付受給世帯	0	0
生計中心者の市町村民税が非課税の場合	0	0
生計中心者の前年の所得税が非課税の場合	2,200	1,100
生計中心者の前年の所得税課税年額が5,000円以下の場合	3,400	1,700
生計中心者の前年の所得税課税年額が5,001円以上15,000円以下の場合	4,200	2,100
生計中心者の前年の所得税課税年額が15,001円以上40,000円以下の場合	5,500	2,750
生計中心者の前年の所得税課税年額が40,001円以上70,000円以下の場合	9,300	4,650
生計中心者の前年の所得税課税年額が70,001円以上の場合	11,500	5,750

(備考)

1. 「市町村民税が非課税の場合」とは、当該年度(7月1日から翌年の6月30日をいう。)において市町村民税が課税されていない(地方税法第323条により免除されている場合を含む。)場合をいう。
2. この表の「所得税課税年額」とは、所得税法(昭和40年法律第33号)、租税特別措置法(昭和32年法律第26号)及び災害被害者に対する租税の減免、徴収猶予等に関する法律(昭和22年法律第175号)の規定によって計算された所得税の額をいう。ただし、所得税額を計算する場合には、次の規定は適用しないものとする。
 - (1) 所得税法第78条第1項、第2項第1号、第2号(地方税法第314条の7第1項第2号に規定する寄附金に限る。)、第3号(地方税法第314条の7第1項第2号に規定する寄附金に限る。)、第92条第1項、第95条第1項、第2項及び第3項
 - (2) 租税特別措置法第41条第1項、第2項及び第3項、第41条の2、第41条の3の2第4項及び第5項、第41条の19の2第1項、第41条の19の3第1項及び第2項、第41条の19の4第1項及び第2項並びに第41条の19の5第1項
 - (3) 租税特別措置法の一部を改正する法律(平成10年法律第23号)附則第12条
3. 10円未満の端数が生じた場合は、切り捨てるものとする。
4. 災害等により、前年度と当該年度との所得に著しい変動があった場合には、その状況等を勘案して案情に即した弾力性のある取扱いをして差し支えない。
5. 同一生計内に2人以上の対象患者がいる場合は、その月の一部負担額の最も多額な児童以外の児童については、上記の表に定める額の1/10に該当する額をもって自己負担限度額とする。
6. 前年分の所得税又は当該年度の市町村民税の課税関係が判明しない場合の取扱いについては、これが判明するまでの期間は、前々年分の所得税又は前年度の市町村民税によることとする。

自立支援医療制度の概要

○ 根拠法 障害者自立支援法

○ 概要

障害者（児）が自立した日常生活又は社会生活を営むために必要な心身の障害を除去・軽減するための医療について、医療費の自己負担額を軽減するための公費負担医療制度

○ 対象者

- ・ 更生医療：身体障害者福祉法第4条に規定する身体障害者で、その障害を除去・軽減する手術等の治療により確実に効果が期待できるもの（18歳以上）
- ・ 育成医療：児童福祉法第4条第2項に規定する障害児（障害に係る医療を行わないときは将来障害を残すと認められる児童を含む。）で、その障害を除去・軽減する手術等の治療により確実に効果が期待できるもの（18歳未満）
- ・ 精神通院医療：精神保健福祉法第5条に規定する精神疾患（てんかんを含む。）を有する者で、通院による精神医療を継続的に要するもの

○ 対象となる障害と治療の例

➢ 更生医療・育成医療

肢体不自由…関節拘縮→人工関節置換術
視覚障害…白内障→水晶体摘出術
内臓障害…心臓機能障害→ペースメーカー埋込手術
腎臓機能障害→腎移植、人工透析

➢ 精神通院医療（精神疾患）：精神科専門療法、訪問看護

○ 費用負担

1割負担を原則とするが、一部を除き、医療保険単位の世帯ごとの所得（市町村民税の課税状況等）等に応じ、月ごとの負担に上限額が設けられている。

また、重度かつ継続（費用が高額な治療を長期間にわたり継続しなければならない者の場合）については、更に、月ごとの負担の上限額の軽減措置を実施。

※ 自立支援医療は保険優先のため、実際は、保険支払後の（一般の方であれば3割の）自己負担との差額分を自立支援医療制度において負担。

難治性疾患患者の生活実態に関する調査

調査票

(調査協力をお願い)

この調査は、日本難病・疾病団体協議会のご支援・ご協力のもと、治療が困難であり生活面へ長期にわたり支障を生じる難治性疾患の方々の生活実態を正確に把握し、今後の難治性疾患に関する施策・政策を考えていくうえでの基礎資料を得ることを目的として、厚生労働科学研究（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（研究代表者：林謙治 国立保健医療科学院 院長）」の一環として実施されるものです。

お答えいただいた内容については、本調査研究の目的にのみ使用され、他の目的で利用されることはありません。また調査票は無記名であり、調査票の回収・保管にも十分配慮するため、完全に匿名性が確保されます。また回答は統計処理されるため回答内容によって回答者個人や世帯を特定することはありません。

途中、どうしても答えたくないことは無理にお答えいただかなくてもかまいません。しかしながら、現在、難治性疾患の方々の生活実態を正確に理解、把握するための調査資料はきわめて少なく、本調査はそれを明らかにする有用な基礎資料となりますので、できるだけ正確な記入へのご協力をお願い致します。

なおこの調査にご協力いただけなかったことで、不利益が生じることはまったくございません。なにとぞ、本調査の意義、重要性をご理解いただき、ご協力くださいますようお願い致します。

本調査に関する問い合わせ先

〒351-0197 埼玉県 和光市 南 2-3-6

国立保健医療科学院 経営科学部

TEL：048-458-6137

FAX：048-468-7985

この調査は難治性疾患の方々にご記入をお願いしておりますが、ご本人で記載が困難な場合には代筆で結構です。

なお本調査の質問は大きく分けて【世帯の全体状況にかんする質問】、【療養及び公的支援等の受給状況等にかんする質問】、【世帯収入・支出の状況にかんする質問】、【就労状況にかんする質問】となっています。

I. 【世帯の状況にかんする質問】

1. 世帯の全体的状況についてお答えください。

世帯とは、ふだん居住と生計を共にしている人々（世帯員）の集まりをいいます。世帯員には、旅行などで一時的（3ヶ月以内）に自宅を離れている人や船員など就業場所を移動する人も含みます。
また、入院などを行っている人も含みますが、住民登録を施設に移している人は除きます。

家族構成、生計の状況等について以下の表でお答えください。

	ご本人との属性	年齢	生計中心者 (該当者に○)	主たる介助者 (該当者に○)	毎月の収入の有無 (該当者に○)
例)	父親	65			○
1)	患者ご本人(男 女)				
2)					
3)					
4)					
5)					
6)					
7)					
8)					
9)					
10)					

2 あなたのお住まいは、次のうちいずれですか。また建て方についてもお答え下さい（いずれかに○をおつけください）。

<住居の種類>

- | | |
|------------------|-----------------------------|
| ① あなた自身の持家 | ⑤ 公団、公社、市営等の公営住宅 |
| ② 家族の持家 | ⑥ 借間 |
| ③ 民間賃貸住宅 | ⑦ その他（ ） |
| ④ 社宅、公務員住宅等の貸与住宅 | |

<建て方>

- | | |
|--------|---------------------|
| ① 一戸建て | ② 共同住宅（マンション、アパート等） |
|--------|---------------------|

3 お住まいの住居の室数について、居住用の部屋数（玄関や風呂等を含めないでください）を記入してください。また、床面積は、玄関や廊下等も含めた住宅全体のおおよその面積（坪数）を記入してください。

【部屋数】： _____ 室 【床面積】 _____ 坪

II. 【療養及び公的支援等の受給状況等にかんする質問】

1. 疾患ならびに治療状況についてお聞かせください。

① かかっている疾患のうち、もっとも重い病名をお答えください。

()

② それ以外の疾患があればその名前をお答えください(複数記載可)。

()

2 ①の病気を発症した時期をお答えください。

大正・昭和・平成 _____年 _____月 頃 (満 歳)

3 ①の診断の付いた時期をお答えください。

大正・昭和・平成 _____年 _____月 頃

4 現在の受診状況についてお答えください。

(最近6ヶ月の状況について以下のいずれかに○をつけてください)

① 主に入院 (日間/年)

② 入院と通院半々 (入院: 日間/年、外来: 回/月)

③ 主に通院 (回/月)

④ 往診あり (回/月)

⑤ 入通院なし

⑥ その他 ()

5 1回当たりの通院方法、通院時間(片道)、交通費(片道)についてお答えください。

(以下のいずれかに○をつけて、ご記入ください。付き添いの方が必要な場合、その方の費用を含めます。)

① 徒歩 _____分

② 自転車 _____分

③ 自家用車 _____分

④ 電車 _____分 _____円

⑤ バス _____分 _____円

⑥ タクシー _____分 _____円

⑦ その他 () _____分 _____円

6 次に挙げる公費負担医療制度を受けていますか。「現在」及び「過去」に受けている（た）ものすべてに○をおつけください。

- ① 特定疾患治療研究事業 (現在 ・ 過去)
- ② 小児慢性特定疾患治療研究事業 (現在 ・ 過去 (年 月頃まで))
- ③ 障害者自立支援法による医療費助成 (現在 ・ 過去)
- ④ 生活保護法による医療扶助 (現在 ・ 過去)
- ⑤ 原子爆弾被爆者に対する援護に関する法律による医療費助成 (現在 ・ 過去)
- ⑥ 先天性血液凝固因子障害等治療研究費 (現在 ・ 過去)
- ⑦ その他 () (現在 ・ 過去)

7 障害者手帳の取得状況についてお答えください。該当するものに○をつけ、記入をお願いします。

- ① 身体障害者手帳 (級)
- ② 精神障害者保健福祉手帳 (級)
- ③ 療育手帳 (住んでいるところによって愛護手帳、みどりの手帳、愛の手帳とも言います)
(A (重度) ・ B (その他の場合))
- ④ 取得していない

8 次の障害に起因する手当を取得していますか。該当するものに○をつけてください。

- ① 特別障害者手当
- ② 障害児福祉手当
- ③ 福祉手当 (経過措置分)
- ④ 特別児童扶養手当
- ⑤ その他の障害に起因する手当 (具体的に:)
- ⑥ 障害に起因する手当は受給していない

9 あなたは公的年金を受けていますか。該当するものに○をつけてください。

(「②厚生年金、共済年金」を受給している人は「①国民年金」に○をする必要はありません)

- ① 国民年金
- ② 厚生年金、共済年金
- ③ その他の障害に起因する年金 (恩給、労災保険による年金等)
- ④ 障害に起因する年金は受給していないが、老齢年金、遺族年金 (恩給等を含む) を受給している
- ⑤ 特別障害給付金を受給している

⑥ 障害に起因する年金も、老齢年金、遺族年金、特別障害給付金等も受給していない

10 あなたは生活保護を受けていますか。受けている場合、その種別と期間をお答えください。

① 受けている（現在申請中を含む） ② 受けていない

（いずれかに○をつけてください）

保護を受けている場合、受けたものの種別に○をつけてください。

種別（生活 ・ 教育 ・ 住宅 ・ 医療 ・ 介護 ・ 出産 ・ 生業 ・ 葬祭）

生活保護の受給期間をお答えください。

受給期間 年 ヶ月

Ⅲ.【世帯収入・支出の状況にかんする質問】

1 あなたの世帯全体の収入状況についてお答えください。

世帯収入 合計 (_____ 万円/年)

以下、合計の内訳をお答えください。

- ① 就労による収入 (_____ 万円/年)
- ② 公的手当・年金等 (_____ 万円/年)
- ③ 仕送り (_____ 万円/年)
- ④ その他 (_____ 万円/年)

2 あなたの世帯の支出状況についてお答えください。

(「医療費」と「保険料」については各々の内訳をお答えください)

- ① 食料費 (_____ 万円/年)
- ② 居住費 (_____ 万円/年)
- ③ 光熱水道費 (_____ 万円/年)
- ④ 医療費
 - ・ 公的医療費 (_____ 万円/年)
 - ・ それ以外の医療に関連する費用 (_____ 万円/年)
- ⑤ 交通費 (_____ 万円/年)
- ⑥ 保険料
 - ・ 公的保険料 (_____ 万円/年)
 - ・ 民間保険料 (_____ 万円/年)

IV 【就労状況にかんする質問】

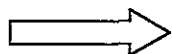
1 平成 22 年 6 月 1 日現在、収入になる仕事をしていますか。収入を伴う仕事を少しでもした方は「仕事あり」、まったく仕事しなかった方は「仕事なし」の中からお答えください（○をおつけください）。無給で自家営業の手伝いをした場合や、育児や介護のため、一時的に仕事を休んでいる場合も「仕事あり」とします。PTA 役員やボランティアなど無報酬活動は「仕事なし」とします。

<仕事あり>

- ① 主に仕事をしている
- ② 主に家事で仕事あり
- ③ 主に通学で仕事あり
- ④ その他（ ）

<仕事なし>

- ⑤ 通学のみ
- ⑥ 家事(専業)
- ⑦ その他（ ）



⑤、⑥、⑦とお答えになった方は以下の補問にお答えください。

① ~ ④とお答えになった方は 2 におすすみください。

補問 1-1

これまでの就業経験についてお答えください（以下のいずれかに○をつけてください）。

- ① 在職中に発症し離職
- ② 在職中に発症し休職後に職場復帰したが離職
- ③ 幼少期等、最初の就職以前に発症しており、就職したが離職
- ④ 就業経験なし
- ⑤ その他（ ）

補問 1-2

就職希望の有無についてお答えください。

収入をとまなう仕事を

- ① したいと思っている
 - ② したいとっていない
- （いずれかに○をつけてください）

2 これまでの就業経験についてお答えください。

（以下のいずれかに○をつけてください。）

- ① 在職中に発症し離職したが、現在は別の会社に就職（一度職場復帰したものの、継続困難で離職し、別の会社に就職した場合も含む）
- ② 在職中に発症したが、現在も当該事業所で就労（休職なし）

- ③ 在職中に発症し休職していたが、発症時に所属していた会社に職場復帰。現在も当該事業所で就労
- ④ 幼少期等、最初の就職以前に発症したが就業
- ⑤ その他 ()

3 これまでの転職経験の有無についてお答えください (いずれかに○をつけてください)。

転職経験 有 (回) ・ 無

4 一週間の就業日数等についてお答えください。

ここ1ヶ月の間の平均で1週間に実際に仕事をした日数と時間の合計をお答えください。
 なお、複数の仕事をした場合は、すべての合計をお答えください。

就業日数：1週間の仕事をした日数 日

就業時間：1週間の残業も含めた総時間数 時間

5 現在の主な仕事について、その仕事についた時期をお答えください。

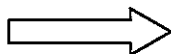
大正 ・ 昭和 ・ 平成 年 月

6 主な仕事の内容(職業分類)についてお答えください。該当するものに○をつけてください。

- | | |
|----------------|--------------------|
| ⑥ 管理的職業従事者 | ⑫ 農林漁業作業者 |
| ⑦ 専門的・技術的職業従事者 | ⑬ 生産工程作業者 |
| ⑧ 事務従事者 | ⑭ 輸送・定置・建設機械・運転従事者 |
| ⑨ 販売従事者 | ⑮ 建設・採掘作業者 |
| ⑩ サービス職業従事者 | ⑯ 労務作業者 |
| ⑪ 保安職業従事者 | ⑰ 分類不能の職業 |

7 勤めか自営の別についてお答えください (いずれかに○をつけてください)。

- | | |
|-------------------|---------------------------------------|
| ① 自営業主(雇人あり) | ⑥ その他 () |
| ② 自営業主(雇人なし) | ⑦ 一般常用雇用者 (契約期間1年以上
又は雇用期間の定めのない者) |
| ③ 家族従業者 (自家営業手伝い) | ⑧ 1月以上1年未満の契約の雇用者 |
| ④ 会社・団体等役員 | ⑨ 日々又は1月未満の契約の雇用者 |
| ⑤ 内職 | |



⑦、⑧、⑨ とお答えになった方は以下の補問にお答えください。

①～⑥とお答えになった方は、以上で質問は終了です。

補問 7-1 お勤め先での呼称は以下のうちどれになりますか
(いずれかに○をつけてください)。

- ① 正規職員・従業員
- ② パート
- ③ アルバイト
- ④ 労働者派遣事業所の派遣社員
- ⑤ 契約社員・嘱託
- ⑥ その他 ()

補問 7-2 勤務先において配慮を受けている事項についてお聞かせください。
(該当するものすべてに○印をしてください。)

- ① 配置転換等人事管理面についての配慮
- ② 力仕事を回避する等職務内容の配慮
- ③ 短時間勤務等勤務時間の配慮
- ④ 休暇を取得しやすくする等休養への配慮
- ⑤ 通院・服薬管理等医療上の配慮
- ⑥ 業務遂行を援助する者の配慮
- ⑦ 職場内における健康管理等の相談支援体制の配慮
- ⑧ 配置転換等に伴う訓練・研修等の配慮
- ⑨ その他 ()

質問は以上です。ご協力、ありがとうございました。

ご記入が終わりました調査票は、同封致しました返信用封筒に入れ封をして、そのままご投函ください(切手を貼る必要はございません)。

また調査票、返信用の封筒には、お名前、ご住所などを記載しないようご注意ください。

この調査をもとに、今後、難治性疾患患者とその生活を支えるご家族の生活実態をより正確かつ詳細に把握し、より適切な支援のあり方を議論する有用な資料となることを目的として、調査員による訪問面談式の調査を実施することを計画しています。

この訪問調査についてご協力をいただける場合には、同封した返信用ハガキにお名前、連絡先等をご記入のうえ、ご返信ください(調査票の返信とは別に、ハガキのみをご投函ください)。

