

特定疾患治療研究事業の対象範囲の見直しについて

平成 18 年 12 月 11 日

特定疾患対策懇談会

- 1 平成 14 年 8 月の難病対策委員会中間報告において、患者数が希少性の要件である 5 万人を上回った疾患について、引き続き特定疾患として取り扱うことが適切かどうか定期的に評価を行うことを検討することとされていることから、平成 18 年 8 月から、特定疾患対策懇談会において、具体的な取り扱いについて専門的な検討を行った。
- 2 特定疾患治療研究事業の対象は、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（希少性）、②原因不明、③効果的な治療法、④生活面への長期にわたる支障の 4 要件を満たす必要があるが、患者数が 5 万人を上回り希少性を満たさなくなった疾患を引き続き事業の対象とすることは、事業の対象以外の疾患との公平性を欠いている等のため、希少性の要件を上回った疾患について、見直しを行うことが適当である。
- 3 患者数の増加により、希少性の要件を超えている 3 疾患のうち、全身性エリテマトーデスについては、5 万人を超えたものの、ここ数年の患者の伸びは 5 万人の近傍でほぼ横ばいとなっていることから、引き続き患者数の動向を見守る必要がある。
- 4 希少性の要件を大幅に上回る潰瘍性大腸炎及びパーキンソン病については、診断・治療技術の普及や治療成績の改善がみられるものの、未だ原因が不明であることなどから、特定疾患からの除外は行わず、希少性の要件に該当するよう特定疾患治療研究事業の対象者の範囲を見直す。

- 5 潰瘍性大腸炎については、臨床的重症度を認定基準として用いることとし、臨床的重症度が中等症以上の者を特定疾患治療研究事業の対象とする。
- 6 パーキンソン病については、これまでと同様、Hoehn&Yahr 重症度及び生活機能障害度を認定基準として用いることとし、Hoehn&Yahr 重症度が4度以上で、生活機能障害度が2～3度の者を特定疾患治療研究事業の対象とする。
- 7 特定疾患治療研究事業の対象から外れる軽症者が増悪した際には迅速かつ円滑に対象とすることができるよう留意することが望ましい。
- 8 重症度の基準を特定疾患治療研究事業の認定基準として用いることから、基準が適正に運用されるよう、評価を行うことが望ましい。
- 9 疾患の克服に向けた研究を一層推進できるよう、難治性疾患克服研究事業の研究費の確保に努めることが望ましい。
- 10 新規に特定疾患治療研究事業及び難治性疾患克服研究事業の対象とする疾患について検討すべきであるとの意見があったことを踏まえ、今年度中に、特定疾患対策懇談会において、疾患の選定について議論を行うこととする。

平成18年度第3回特定疾患対策懇談会

議事次第

日時：平成18年12月11日
15:30～17:30
場所：専用第18・19・20会議室
(17F)

1. 開会

2. 議事

- (1) 特定疾患治療研究事業の対象範囲の見直しについて
- (2) 新たな対象疾患の選定の考え方について
- (3) その他

3. 閉会

<配付資料>

- 資料1 平成18年度第1回特定疾患対策懇談会議事要旨について
- 資料2 平成18年度第2回特定疾患対策懇談会議事要旨について
- 資料3 潰瘍性大腸炎・パーキンソン病の重症度分類について
- 資料4 特定疾患治療研究対象疾患の対象範囲に限定のある疾患
- 資料5 関連する社会保障制度について
- 資料6 増悪時の取扱いについて
- 資料7 難病患者に対する就労支援に関する事業<仮称> (案)
- 資料8 特定疾患対策懇談会における議論の整理について

- 参考資料1 特定疾患治療研究事業の概要
- 参考資料2 難病対策委員会中間報告(平成14年8月)への対応状況
- 参考資料3 難病対策委員会中間報告(平成14年8月)等を踏まえた特定疾患対策の主な課題
- 参考資料4 厚生労働省に特定疾患への指定に関する要望書等が提出されている疾患
- 参考資料5 特定疾患治療研究事業疾患別受給者件数の推移
- 参考資料6 特定疾患治療研究事業疾患別受給者件数構成比
- 参考資料7 特定疾患治療研究事業疾患別公費負担額構成比
- 参考資料8 特定疾患治療研究事業予算額の推移
- 参考資料9 特定疾患治療研究事業の推移
- 参考資料10 潰瘍性大腸炎 重症度分類による患者数の変化
- 参考資料11 パーキンソン病 L-Dopa導入による治療効果の変化

平成18年度第1回特定疾患対策懇談会議事要旨について

- 平成18年8月9日、特定疾患対策懇談会（座長：国立精神・神経センター 総長 金澤一郎）が開催された。
- 平成14年8月の厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会中間報告のうち、残された課題として、希少性の要件（患者数が概ね5万人）を超えている3疾患（潰瘍性大腸炎（80,311件）、パーキンソン病（72,772件）、全身性エリテマトーデス（52,195件））の取扱いについて議論がなされた。
- 本日の議論は、
 - ・ 全身性エリテマトーデスについては、5万人を超えたものの、ここ数年の患者の伸びは5万人の近傍でほぼ横ばいとなっており、引き続き患者数の動向を見守る。
 - ・ 希少性の要件を大幅に上回る潰瘍性大腸炎及びパーキンソン病の取扱いについては、希少性の要件非該当ではあるが未だ原因が不明であることなどから、特定疾患からの除外は行わず、特定疾患治療研究事業の対象者の範囲が希少性の要件に該当する方向で検討する。
 - ・ 希少性の要件を大幅に上回る疾患の見直しを行った後に、新規疾患の追加を行う必要があるとの意見があった。
- なお、次回（9月）は潰瘍性大腸炎、パーキンソン病の代表的な患者団体からヒアリングを行ない、10月頃に取りまとめの議論に入ることとされた。

平成18年度第2回特定疾患対策懇談会議事要旨について

- 平成18年9月11日、第2回特定疾患対策懇談会（座長：国立精神・神経センター総長 金澤一郎）が開催された。
- 第1回（8月9日）の議論で、希少性の要件（患者数が概ね5万人）を超えている疾患のうち潰瘍性大腸炎、パーキンソン病の2疾患について特定疾患治療研究事業の対象者の範囲が希少性の要件に該当する方向で検討するとされたことを踏まえ、両疾患の代表的な患者団体からヒアリングを実施した。
- ヒアリングの対象となったのは下記の2団体。
 - ・ 潰瘍性大腸炎：IBDネットワーク
 - ・ パーキンソン病：全国パーキンソン病友の会
- 両団体から、
 - ① 難治性疾患克服研究事業の今後について
 - ② 特定疾患治療研究事業の対象範囲の見直しについて意見を聴取し、意見交換が行われた。

潰瘍性大腸炎・パーキンソン病の重症度分類について

○潰瘍性大腸炎の重症度分類

(重症度による分類)

	重症	中等症	軽症
1) 排便回数	6回以上	重症と	4回以下
2) 顕血便	(+++)	軽症と	(+) ~ (-)
3) 発熱	37.5℃以上	の中間	(-)
4) 頻脈	90/分以上		(-)
5) 貧血	Hb 10g/dl以下		(-)
6) 赤沈	30mm/時以上		正常

(厚生省特定疾患難治性炎症性腸管障害調査研究班平成5年度研究報告書より)

※但し、重症度の判定は登録・更新時の病勢で判断する。

※加療継続中の場合も、加療による結果の病勢で判断。

(参 考)

- ・ 現行の特定疾患治療研究事業における潰瘍性大腸炎の対象範囲は、重症度分類はあるものの、重症者に限定せずに全ての患者を対象。

○パーキンソン病の重症度分類

Hoehn&Yahr 重症度

- 0度 パーキンズムなし
- 1度 一側性パーキンズム
- 2度 両側性パーキンズム。姿勢反射障害なし
- 3度 軽～中等度パーキンズム。姿勢反射障害あり。日常生活に介助不要
- 4度 高度障害を示すが、歩行は介助なしにどうにか可能
- 5度 介助なしにはベッド又は車椅子生活

生活機能障害度

- 1度 日常生活、通院にほとんど介助を要しない
- 2度 日常生活、通院に部分的介助を要する
- 3度 日常生活に全面的な介助を要し、独立では歩行起立不能

※更新の時点での、加療により得られた病勢で判断する。

(参 考)

- ・ 現行の特定疾患治療研究事業におけるパーキンソン病の対象範囲は、

Hoehn&Yahr 重症度

3度以上

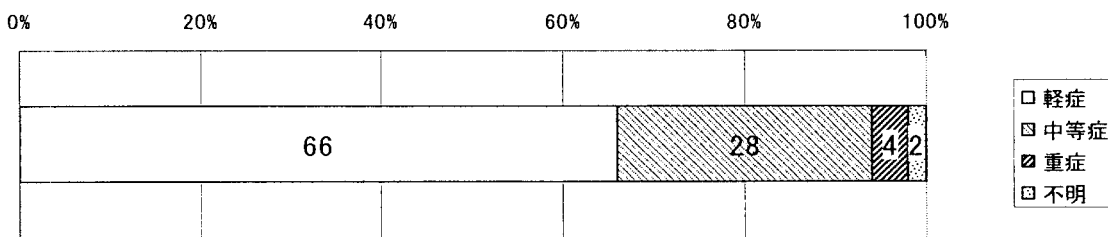
生活機能障害度

2度～3度

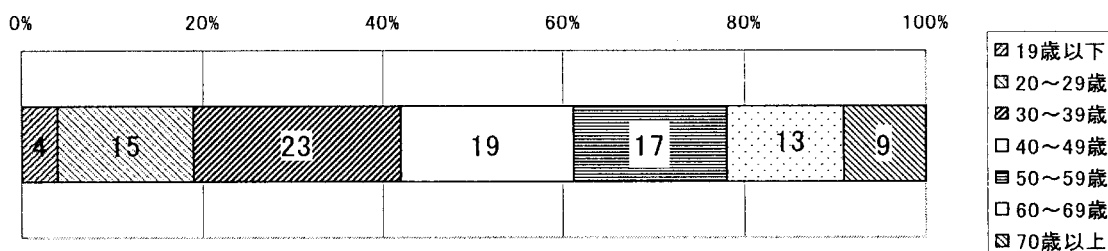
患者の状況

1. 潰瘍性大腸炎

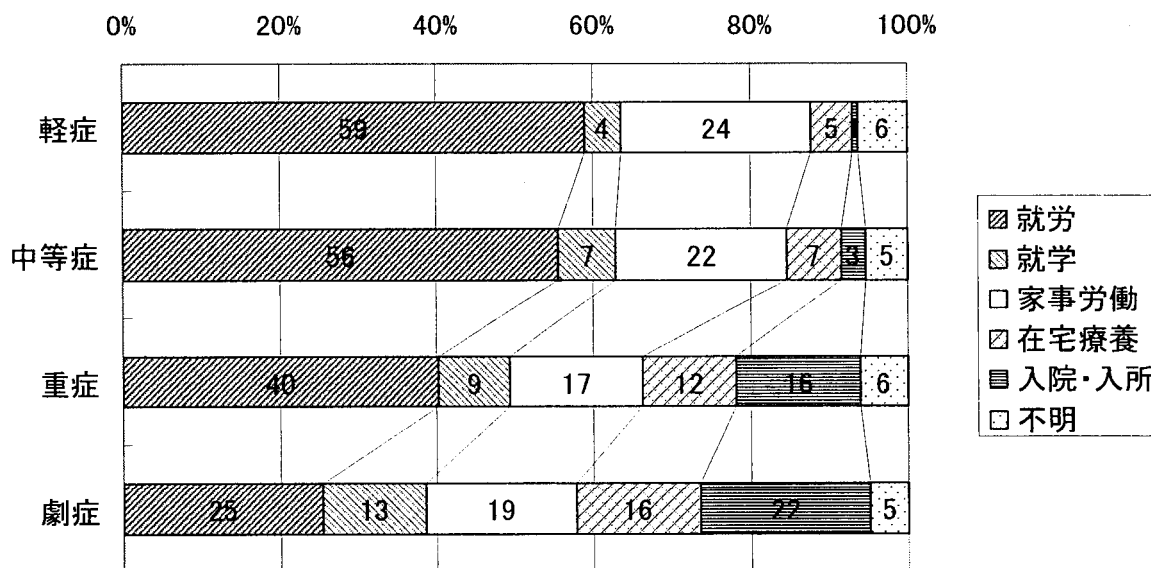
臨床的重症度



年齢



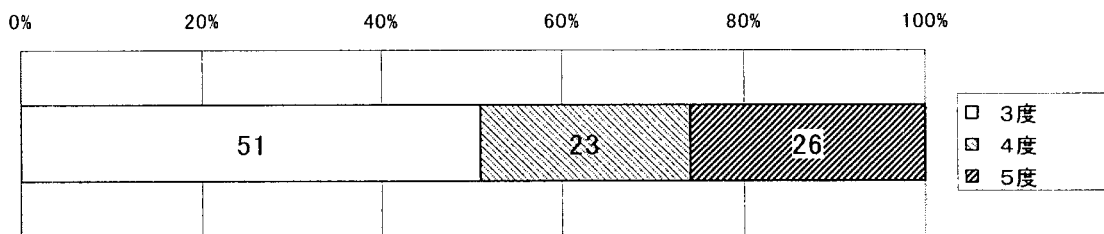
生活状況



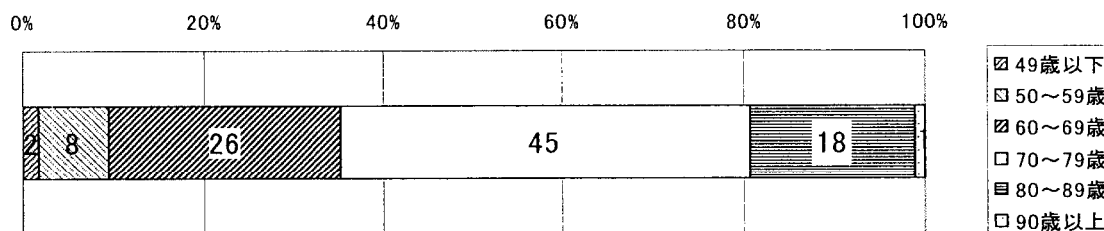
※ 平成 17 年度の受給者のデータが WISH システムに入力されたものについての集計

2. パーキンソン病

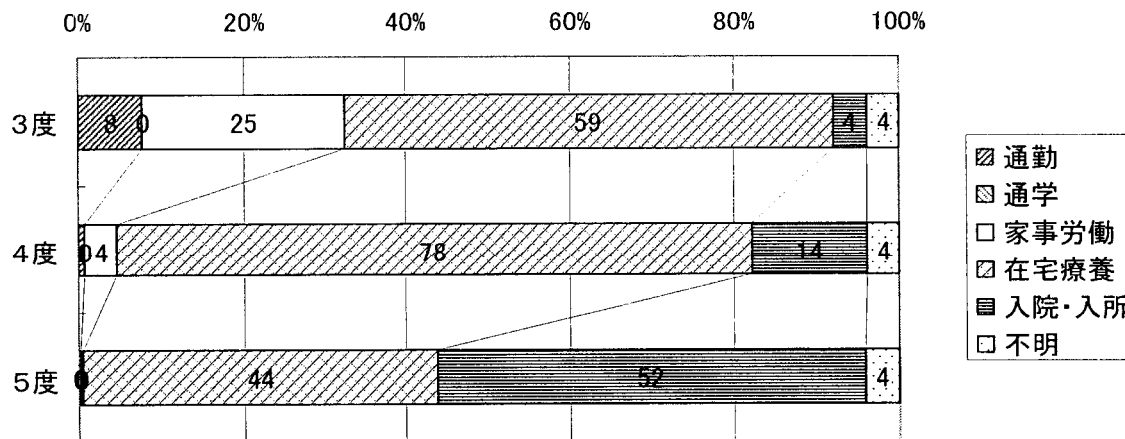
ヤールの重症度分類



年齢



生活状況



※ 平成 17 年度の受給者のデータが WISH システムに入力されたものについての集計

特定疾患治療研究対象疾患の対象範囲に限定のある疾患

疾病番号	疾患名	対象範囲の限定の内容
20-③	パーキンソン病	Hoehn & Yahr 重症度分類にてⅢ度以上、かつ生活機能障害度が2度以上
21	アミロイドーシス	続発性アミロイドーシス以外
22	後縦靭帯骨化症	画像において生活支障の原因を証明し、生活への支障が一定以上
30	広範脊柱管狭窄症	生活機能障害度が2度以上
31	原発性胆汁性肝硬変	無症候性以外
32	重症急性膵炎	急性膵炎の診断がなされたうち、軽症ならびに中等症は対象外
36	特発性間質性肺炎	重症度分類にてⅢ度以上
37	網膜色素変性症	重症度分類にてⅡ度以上
40-①	神経線維腫症Ⅰ型 (フォンレックリングハウゼン病)	重症度分類にてStage 4 以上
42	バッド・キアリ (Budd-Chiari) 症候群	画像上で門脈閉塞を認め、門脈圧亢進所見のある症例に限定

関連する社会保障制度について

1 高額療養費制度

高額療養費制度は、一定の限度額を超えて保険医療費の自己負担分を支払った場合に、その超えた支払分を請求により払い戻す制度。

○ 自己負担限度額（月額）

【70歳未満の場合】

区 分	自己負担限度額（月額）
上位所得者 （月収53万円以上）	150,000円＋〈医療費〉×1％ （多数該当の場合 83,400円）
一 般	80,100円＋〈医療費〉×1％ （多数該当の場合 44,400円）
低所得者 （住民税非課税）	35,400円 （多数該当の場合 24,600円）

【70歳以上の場合】

区 分	自己負担限度額（月額）	
	外来（個人）	
現役並み所得者	44,400円	80,100円＋〈医療費〉×1％ （40,200円）
一 般	12,000円	44,400円
低所得者Ⅱ（住民税非課税）	8,000円	24,600円
低所得者Ⅰ（住民税非課税）	8,000円	15,000円

（※1）ただし、厚生労働大臣の指定する特定疾病（人工透析治療を行う必要のある慢性じん不全など）の場合の自己負担限度額は、原則10,000円。

（※2）低所得者Ⅱ：市町村民税非課税世帯の者等

低所得者Ⅰ：市町村民税非課税世帯で、所得が一定基準に満たない者等

2 自立支援医療等

- (1) 障害者自立支援法に基づく自立支援医療（更生医療）は、身体障害者福祉法に基づく障害認定を受けて身体障害者手帳が交付されている者が対象。

自己負担は、課税状況等に応じて設定されており、原則1割。

自立支援医療（更生医療）の対象となる障害は、「臨床症状が消退しその障害が永続するもの」（症状固定）に限られており、外科手術による障害の除去が目的。

（※）給付される医療の例

肢体不自由：人工関節置換術、切断端形成術等

内部障害：人工透析（腎機能障害の場合）、ペースメーカー埋め込み手術（心臓機能障害の場合）、中心静脈栄養法（小腸機能障害の場合）等

内部障害についても一部（心臓、じん臓、呼吸器、ぼうこう、直腸、小腸、ヒト免疫不全ウイルスによる免疫機能の障害）は更生医療の対象となっているが、「内科的治療のみ」によるものは対象外。

- (2) なお、身障手帳の交付を受けている者に対しては、「重度心身障害者医療給付事業」（市町村で実施されている単独事業）により、自己負担が軽減される措置がある。

3 介護保険制度

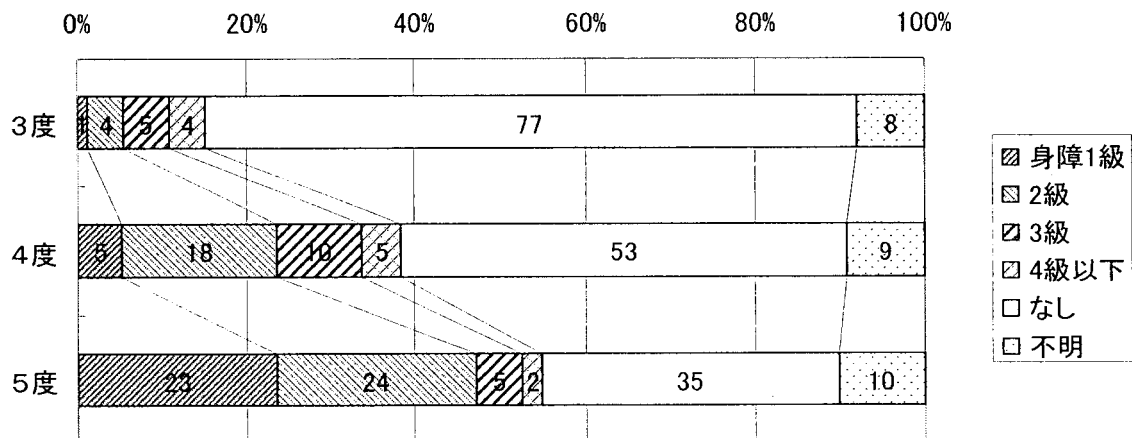
介護保険制度では、

- ① 40歳未満の者については、介護保険制度の対象外。
- ② 40～64歳の場合については、パーキンソン病を含む「特定疾病」(*)に対象が限定。
- ③ 65歳以上の場合については、原因疾患等の限定なし。

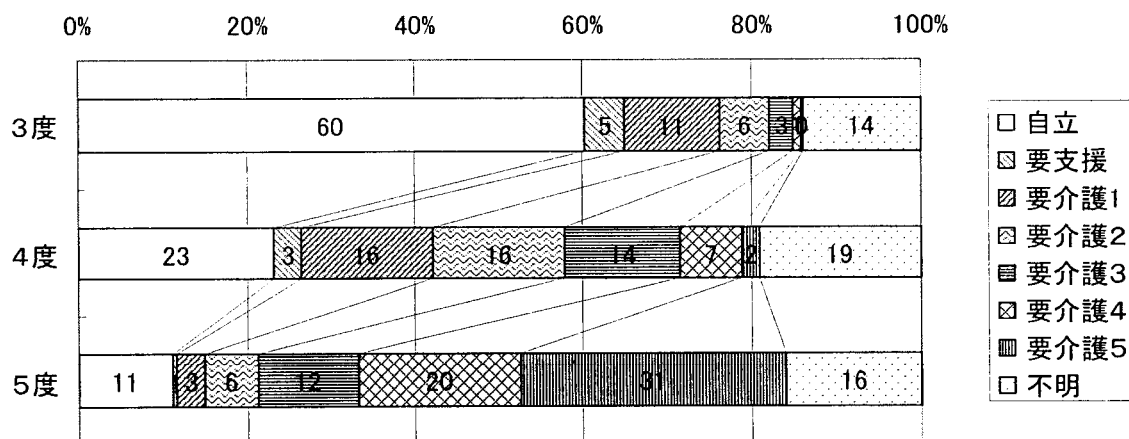
(*) 難治性疾患克服研究事業(121疾患)と重複する「特定疾病」: 筋萎縮性側索硬化症、後縦じん帯骨化症、進行性核上性麻痺、大脳皮質基底核変性症及びパーキンソン病、脊髄小脳変性症、多系統萎縮症

パーキンソン病患者の他の社会保障制度への認定状況

身体障害者認定の状況



要介護認定の状況



※ 平成 17 年度の受給者のデータが WISH システムに入力されたものについての集計

増悪時の取扱いについて

- 特定疾患の治療の結果、
 - ① 疾患特異的治療が必要ない
 - ② 臨床所見が認定基準を満たさず、著しい制限を受けることなく就労等を含む日常生活を営むことが可能である、
 - ③ 治療を要する臓器合併症がないのすべてを1年以上満たした者は、医療費の交付負担を受けられないが、「軽快者」として「特定疾患登録者証」が発行される。

○ 「特定疾患登録者証」は、特定疾患の患者であることを証明し、症状が悪化した際の申請手続きの円滑化・簡略化を図る等のために発行されるもの。

○ 「特定疾患登録者証」により、次のような取り扱いを受けることができる。

- ・ 医師に症状が悪化したと確認され、都道府県に公費負担の対象と認定された場合には、症状の悪化が確認された日にさかのぼって公費負担の対象となる。
- ・ ホームヘルプサービスの利用申請など、特定疾患の患者であることを伝える必要がある場合に活用できる。

○ 今回の特定疾患の対象範囲の見直しの結果、医療費の公費負担の受給者が、軽症であるために医療費の公費負担を受けられなくなる場合には、「軽快者」と同様に「特定疾患登録者証」を発行することが考えられる。

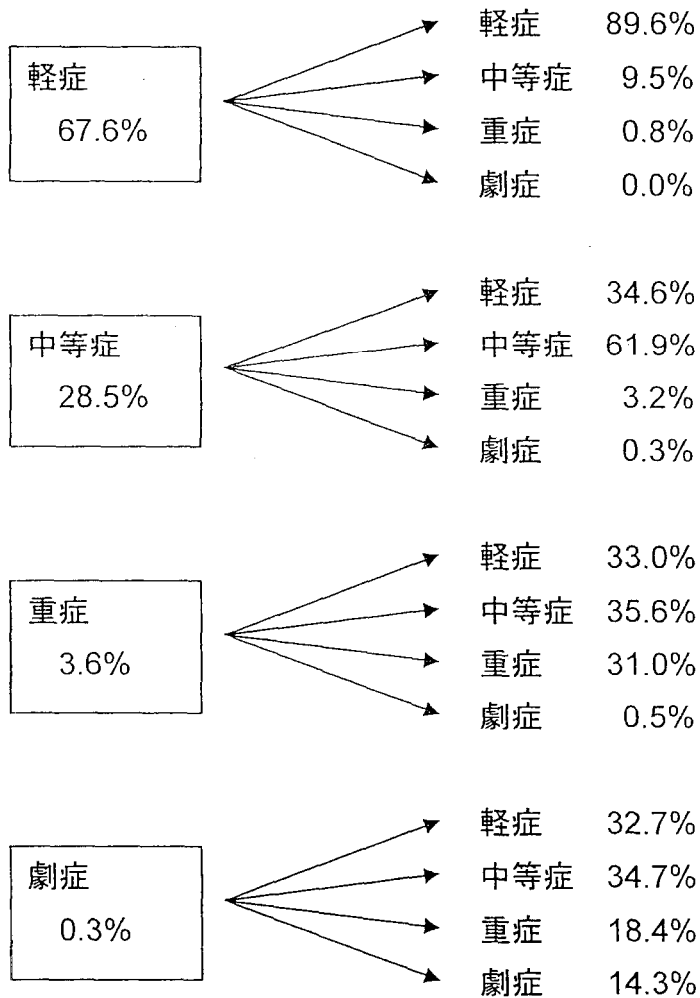
○ これにより、増悪した場合には、症状の悪化が確認された日にさかのぼって、医療費の公費負担を受けることが可能となる。

(参考)

潰瘍性大腸炎患者の重症度の変化について

平成16年の重症度

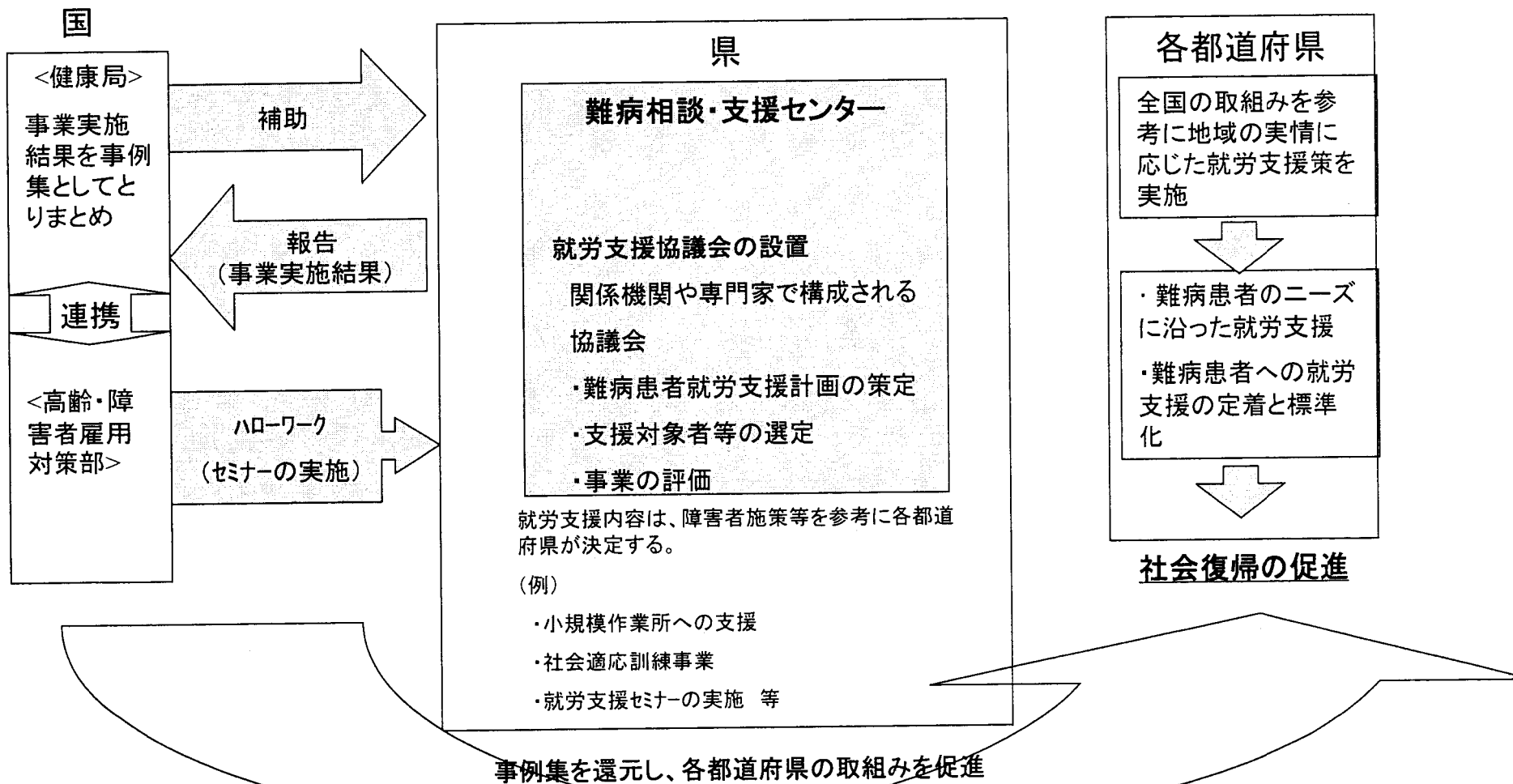
平成17年の重症度



※平成16年、平成17年のデータがいずれもWISHシステムに入力された者について、「特定疾患の疫学に関する研究班」が分析したもの

難病患者に対する就労支援に関する事業<仮称>(案)

障害者に対する就労支援策を参考に都道府県及び難病相談・支援センターが中心となって、難病患者に対する就労支援事業を実施・評価することとし、国はその実施状況を各都道府県に還元し、各都道府県独自の取り組みを促進する。<期間限定のモデル事業> ※平成19年度概算要求中



特定疾患対策懇談会における議論の整理について

<p>特定疾患対策懇談会委員の意見 (これまでの審議及びその後に寄せられたもの)</p>	<p>特定疾患治療研究事業の対象の見直しに関する 議論の整理 (案)</p>
<p>【議事要旨を参照】</p>	<p>① 平成14年8月の難病対策委員会中間報告において、患者数が希少性の要件である5万人を上回った疾患について、引き続き特定疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価を行うことを検討することとされていることから、平成18年8月から、特定疾患対策懇談会において、具体的な取り扱いについて専門的な検討を行った。</p>
<p>【議事要旨を参照】</p>	<p>② 特定疾患治療研究事業の対象は、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(希少性)、②原因不明、③効果的な治療法、④生活面への長期にわたる支障の4要件を満たす必要があるが、患者数が5万人を上回り希少性を満たさなくなった疾患を引き続き事業の対象とすることは、事業の対象以外の疾患との公平性を欠いている等のため、希少性の要件を上回った疾患について、見直しを行うことが適当である。</p>

<p>【議事要旨を参照】</p>	<p>③ 患者数の増加により、希少性の要件を超えている3疾患のうち、全身性エリテマトーデスについては、5万人を超えたものの、ここ数年の患者の伸びは5万人の近傍でほぼ横ばいとなっていることから、引き続き患者数の動向を見守る必要がある。</p>
<p>【議事要旨を参照】</p>	<p>④ 希少性の要件を大幅に上回る潰瘍性大腸炎及びパーキンソン病については、診断・治療技術の普及や治療成績の改善がみられるものの、未だ原因が不明であることなどから、特定疾患からの除外は行わず、希少性の要件に該当するよう特定疾患治療研究事業の対象者の範囲を見直す。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ○ 重症度分類を用いるのが一番よい。 ○ 臨床的重症度が、簡便で広く用いられている唯一の重症度分類である。 ○ 中等症・重症だけを対象とすれば希少性の要件を満たす。 ○ 診断・治療法の進歩により軽症者が増えており、特定疾患の本来の目的からすると、治療に反応しない、中等症以上の者を対象とすべき。 ○ 軽症は6項目のいずれも満たさないなど日常生活への支障は少ないため、対象としなくてよい。 ○ 中等症・重症を対象にするのがよいと考える。 ○ 重症のみを対象としてはどうか。 ○ 高価であると患者さんが心配している治療の多くは中等症以上を対象としている。 ○ 治療をやめて重症化することがないように配慮すべき。 	<p>⑤ 潰瘍性大腸炎については、臨床的重症度を認定基準として用いることとし、臨床的重症度が中等症以上の者を特定疾患治療研究事業の対象とする。</p>

- 重症度という視点から要件を少し強めることが適当。
- 患者さんもたいへんなので、5万人にできるだけ近いところで考える方がよいが、患者数を考えると、ヤール4、5度だけを対象とせざるを得ない。
- 基準を設けるとなると、介助の必要性が目安となり、ヤール4度以上、生活機能障害度2度以上を対象とするのが適当。
- 介助を要するヤール4度以上を対象とするのがよい。
- ヤール4度以上、生活機能障害度2度以上の人を対象とすることが考えられるが、ヤール3度の患者の状況なども十分に踏まえることが望ましい。
- 4度、5度を対象とするというのが最も考えやすい。次善の案として、可能なら3度を2つに分けることも考えられるか。
- ヤールの4度以上を対象とするということになるだろうが、薬代が比較的高いことが悩ましい。
- 薬代が高い患者がいることから見直しの影響について十分に配慮すべき。
- 治療をやめて重症化することがないようにも配慮すべき。
- 健康保険の制度が理解されていないために必要以上に不安を招いているのではないか。
- 現在の対象疾患以外の患者にも経済的に苦しい人はいることから、公平性の点からは、5万人という基準は守る必要がある。

- ⑥ パーキンソン病については、これまでと同様、Hoehn&Yahr重症度及び生活機能障害度を認定基準として用いることとし、Hoehn&Yahr重症度が4度以上で、生活機能障害度が2～3度の者を特定疾患治療研究事業の対象とする。

<ul style="list-style-type: none"> ○ 潰瘍性大腸炎の疾患の活動性が変化することから、重症化した際にはできれば迅速に特定疾患治療研究事業の対象とできることが望ましい。 	<p>⑦ 特定疾患治療研究事業の対象から外れる軽症者が増悪した際には迅速かつ円滑に対象とすることができるよう留意することが望ましい。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ○ 潰瘍性大腸炎の重症度分類に、排便の回数など、患者からみた指標があるので、将来は客観的な指標を加える努力も必要ではないか。 ○ パーキンソン病は日内変動があるなど、ヤール3度と4度の間のグレーゾーンの人はいるので、現場の運用で不公平にならないよう配慮することが望ましい。 	<p>⑧ 重症度の基準を特定疾患治療研究事業の認定基準として用いることから、基準が適正に運用されるよう、評価を行うことが望ましい。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ○ 2疾患は、患者数が増えていることから、研究に関してはこれまで以上に十分な対応が必要。 ○ 特定疾患治療研究事業と難治性疾患克服研究事業のうち、難治性疾患克服研究事業の研究費の割合を増やす努力が必要。 ○ 特定疾患治療研究事業の対象者が研究に協力するという趣旨をより徹底して、共通に使える研究基盤の整備に努めるべき。 ○ 「治してください」という患者からの言葉を非常に重く受け止めている。難病の克服に向けた展開をどうするかという将来に向けて展望を持った施策の展開も、ぜひ考えていただきたい。 	<p>⑨ 疾患の克服に向けた研究を一層推進できるよう、難治性疾患克服研究事業の研究費の確保に努めることが望ましい。</p>

- 極めて症状の重い難病の中に特定疾患として指定されないものがある現状を改善する必要がある。
- 研究事業という面からは、単に困っているだけでなく、未解決の度合いが強くて、かつ、今後の研究により解決の道筋が見えてくる疾患を選ぶべき。
- 新たな疾患の選定については検討した上で、慎重に決めていく必要がある。
- 現在の要件だけで判断しにくい場合は、より研究成果の期待できるものを選定するなど、疾患の選定前に基準を検討してはどうか。
- 新規の疾患を選定する際にも希少性を重視する必要があり、その後も継続的に評価する必要がある。

- ⑩ 新規に特定疾患治療研究事業及び難治性疾患克服研究事業の対象とする疾患について検討すべきであるとの意見があったことを踏まえ、今年度中に、特定疾患対策懇談会において、疾患の選定について議論を行うこととする。

特定疾患治療研究費補助の概要

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. 補助の内容 特定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を毎年度の予算の範囲内で補助

4. 患者自己負担

・平成10年5月、重症認定患者を除き一部自己負担を導入。

(1医療機関につき、外来は1回千円(月2回まで)、入院は月1万4千円を上限)

・平成15年10月から、低所得者への配慮など所得と治療状況に応じた段階的な一部自己負担や事業評価の導入により、制度の適正化及び安定化を一層推進

5. 対象疾患

難治性疾患克服研究事業の対象疾患の中から、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、45疾患が対象となっている。

(難治性疾患克服研究事業の対象疾患)

次の4要素(①~④)から選定し、現在、121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

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。

④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。

難病対策委員会中間報告(平成14年8月)への対応状況

課 題	対 応 状 況
<p>1. 今後の特定疾患研究の在り方について</p> <p>○特定疾患を克服するため、治療法の確立や予後の改善等、明確な目標を設定した上で、研究内容・研究体制の大幅な充実を図ることが必要。</p> <p>○疾患ごとに研究の進捗状況、治療成績、罹患している患者の実態に関する評価システムを構築し、研究成果についての定量的な評価の実施が必要。</p>	<p>厚生科学研究費の再編を行い、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こととした。これを受けて、予算額については、毎年、増額している。</p> <p>難治性疾患に関する有効な治療法選択等のための情報収集体制の構築に関する研究及び研究成果の公表等。</p>
<p>2. 今後の治療研究事業の在り方について(費用負担を含む)</p> <p>○治療研究事業は、今後も研究事業としての性格を維持することが適当。</p> <p>○治療研究事業を実施する地方公共団体においては多額の超過負担を余儀なくされており、制度の適正化や安定化が急務。</p> <p>○疾患の特性、患者の重症度、患者の経済的側面等を考慮し、一部自己負担の考え方や効果的な事業実施の方法等についても整理することが必要。</p> <p>○難病対策の法制化については、対策の根拠が明確化するという長所が指摘される一方で、対象疾患や施策の固定化が生じるという意見もあるなど、賛否両論があり、今後も検討が必要。</p>	<p>平成14年度までは、特定疾患治療研究事業は「その他補助金」と整理されており、毎年1割カットされる補助金の対象となっていた。しかし、平成15年度に見直しを行い、事業評価制度を導入し、制度的補助金として位置付けられた。</p> <p>平成15年10月より、低所得者への配慮など所得と治療状況に応じた段階的な一部自己負担の導入を行った。</p> <p>賛否両論があり、引き続き検討</p>
<p>3. 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</p> <p>○今後の難病対策を考える上でも、難治性疾患の原因解明や治療法の開発に関する施策に関しては、4要件(①希少性、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)を基本とすることが適当。</p> <p>○「希少性」の要件については、平成9年3月の特定疾患対策懇談会報告において、国内の患者数が概ね5万人未満を目安とすることが適当という考え方が示されているが、引き続きこれを基本とすることが適当。</p> <p>○対象となった後で患者数が5万人を上回った疾患や、治療成績等の面で大きく状況が変化した疾患については、引き続き特定疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価を行うことについて検討が必要。</p> <p>○対象となった後で患者数が5万人を上回った疾患や、治療成績等の面で大きく状況が変化した疾患については、引き続き特定疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価を行うことについて検討が必要。</p>	<p>→ 残された検討課題</p> <p>要件の明確化に向け検討中</p>

難病対策委員会中間報告（平成14年8月）等を踏まえた特定疾患対策の主な課題

1. 特定疾患治療研究事業の現状について

- 患者数の増加により、希少性の要件を超えている3疾患（潰瘍性大腸炎（80,311件）、パーキンソン病（72,772件）、全身性エリテマトーデス（52,195））については、平成14年8月の難病対策委員会中間報告においても、引き続き特定疾患として取り扱うことが適切かどうか評価を行うことを検討することとされている。

また、本事業の総件数及び事業費に占める当該3疾患の割合は、約4割となっている。

（参考1）

「今後の難病対策の在り方について（中間報告）」平成14年8月厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会 抜粋

「対象となった後で患者数が5万人を上回った疾患や、特定疾患に指定された当時と比較して治療成績等の面で大きく状況が変化しと考えられる疾患については、当該疾患に対する治療成績をはじめ患者の療養環境の改善等総合的な観点から、引き続き特定疾患として取り扱うことが適切かどうか定期的に評価を行うことについて検討する必要がある。」

（参考2）

特定疾患（難治性疾患克服研究事業（調査研究）対象疾患）選定に係る4要件

- ①希少性（概ね5万人未満）、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

- 特定疾患治療研究事業（医療費助成事業）は、都道府県が実施主体となって行っており、都道府県が本事業のために支出した費用に対して、国は予算の範囲内でその2分の1を補助することとされているが、対象者数及び医療費の増加等の要因によって、都道府県の事業費の増加に国の予算が対応できていない状況であり、都道府県においては超過負担となっている。

（都道府県の実質負担 約7割）

2. 対象疾患追加要望等の状況

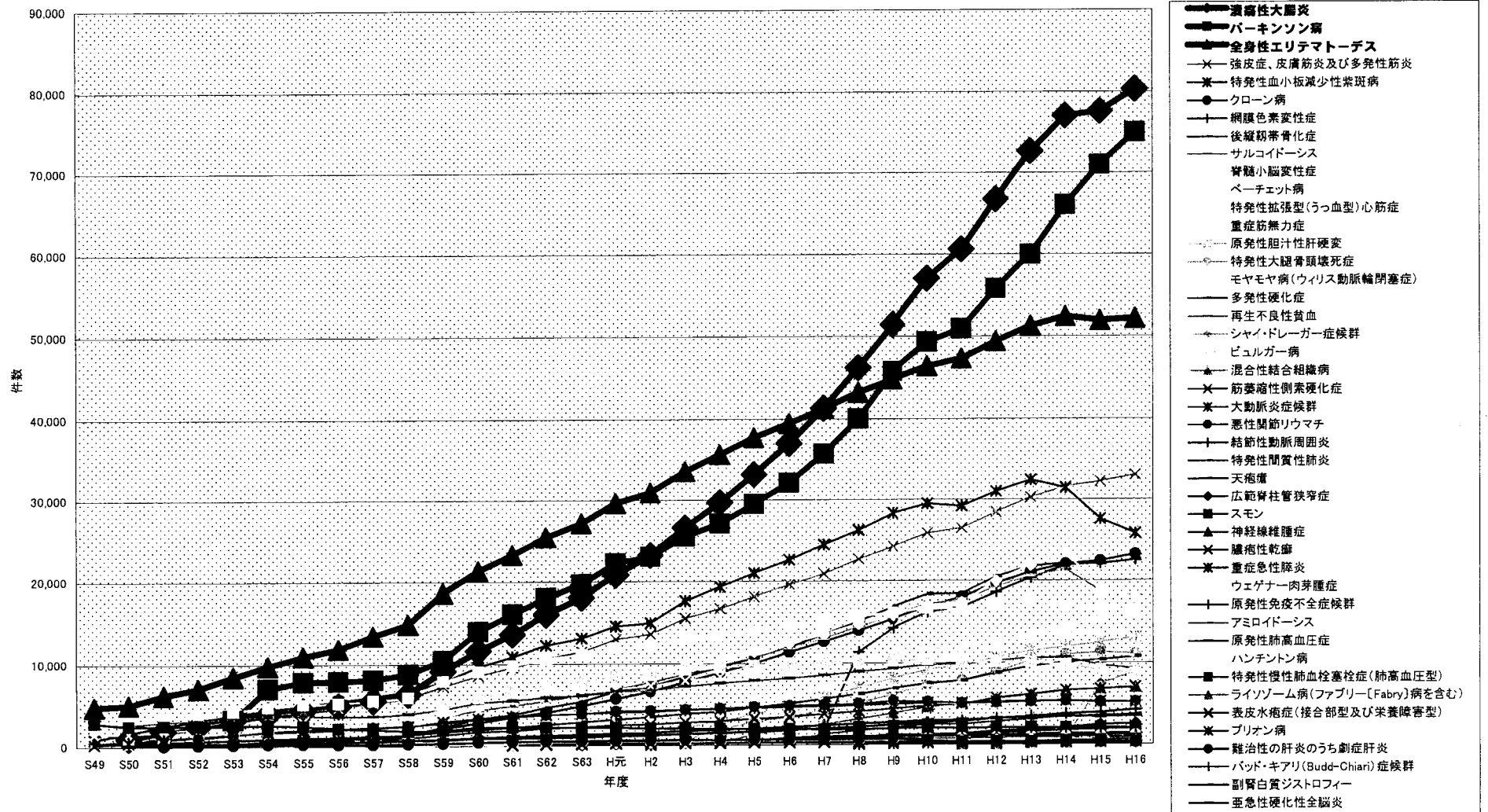
- 対象疾患への追加要望が多数あるが、平成15年10月以降現在まで疾患追加は行っていない。

厚生労働省に特定疾患への指定に関する要望書等が提出されている疾患

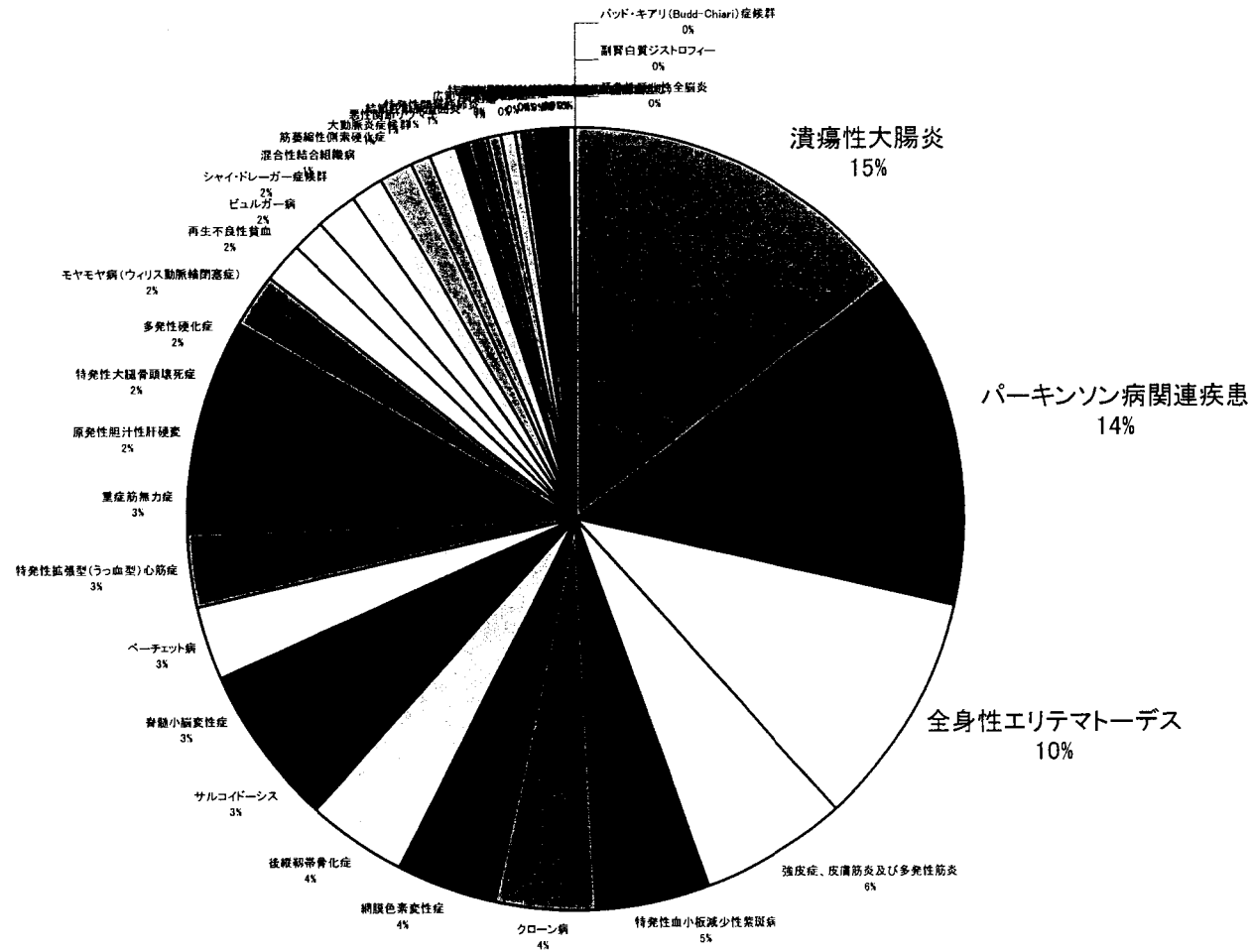
(平成18年11月末日現在)

疾患名	患者会	難治性疾患克服研究事業の対象となっているもの	他制度の状況
黄色靭帯骨化症	全国脊柱靭帯骨化症患者家族連絡協議会	○	
von Hippel-Lindau病	von Hippel-Lindau病患者の会		
強直性脊柱炎	日本強直性脊椎炎研究会、日本整形外科学会		
拘束型心筋症	全国心臓病のこどもを守る会	○	小児慢性特定疾患治療研究事業対象疾患
肥大型心筋症	全国心臓病のこどもを守る会	○	
RSD(反射性交感神経性ジストロフィー)	山口はるかさんを支える会、CRPS患者の会、かぼちの会		
HAM	全国HAM患者友の会		
LAM(肺リンパ脈管筋腫症)	J-LAMの会	○	
FOP(進行性化骨筋炎)	J-FOP-光一患者会		
線維筋痛症	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		小児慢性特定疾患治療研究事業対象疾患
1型糖尿病	1型糖尿病全国インターネット患者会、近畿つぼみの会		小児慢性特定疾患治療研究事業対象疾患
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		
スティーブンス・ジョンソン症候群	SJS患者会	重症多形滲出性紅斑(急性期)が対象	小児慢性特定疾患治療研究事業対象疾患
プラダー・ウィリー症候群	日本プラダー・ウィリー症候群協会		小児慢性特定疾患治療研究事業対象疾患
XP(色素性乾皮症)	全国色素性乾皮症(XP)連絡会		小児慢性特定疾患治療研究事業対象疾患
ミトコンドリア病	ミトコンドリア病患者・家族の会、日本ミトコンドリア病学会	○	小児慢性特定疾患治療研究事業対象疾患

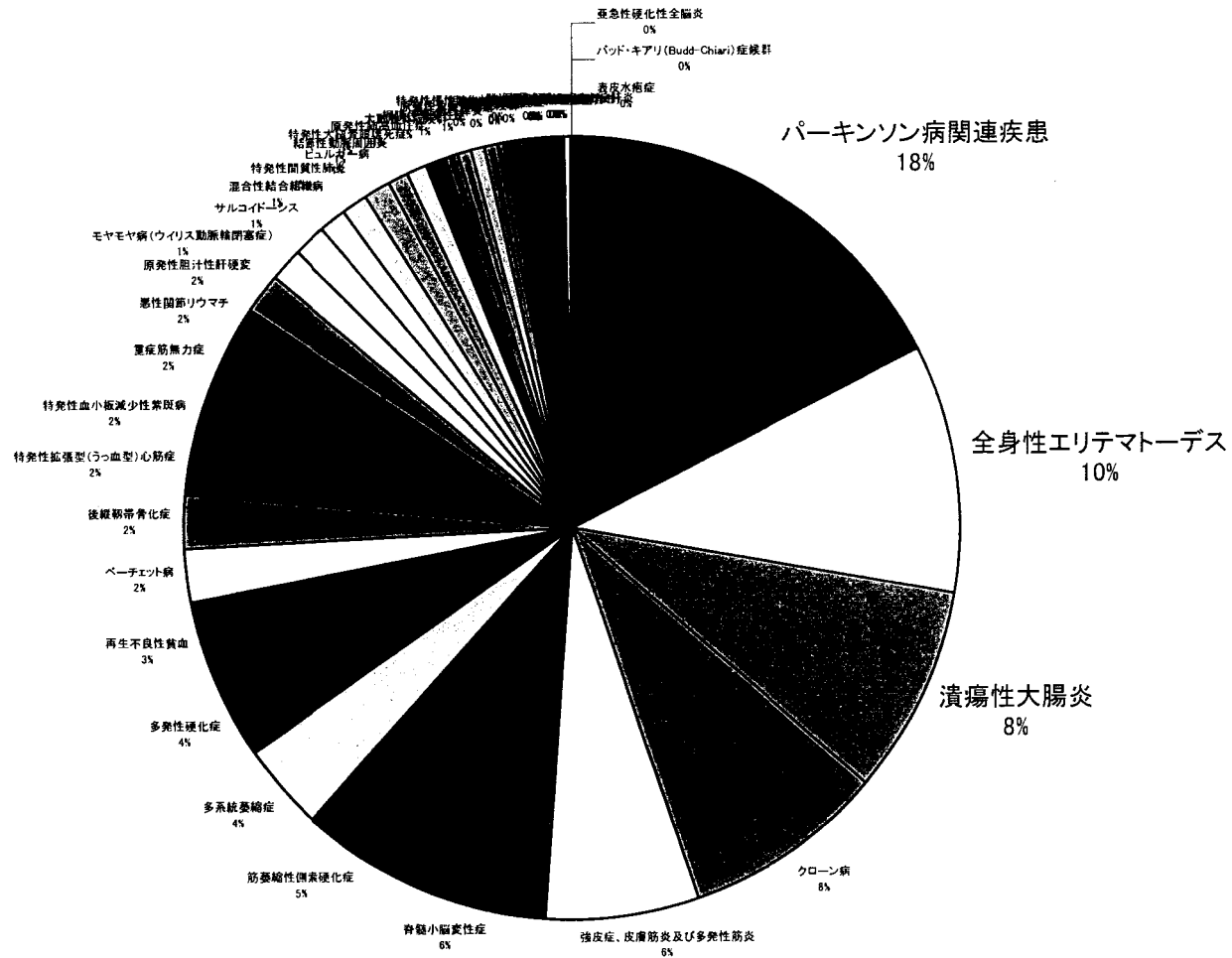
特定疾患治療研究事業疾患別受給者件数の推移



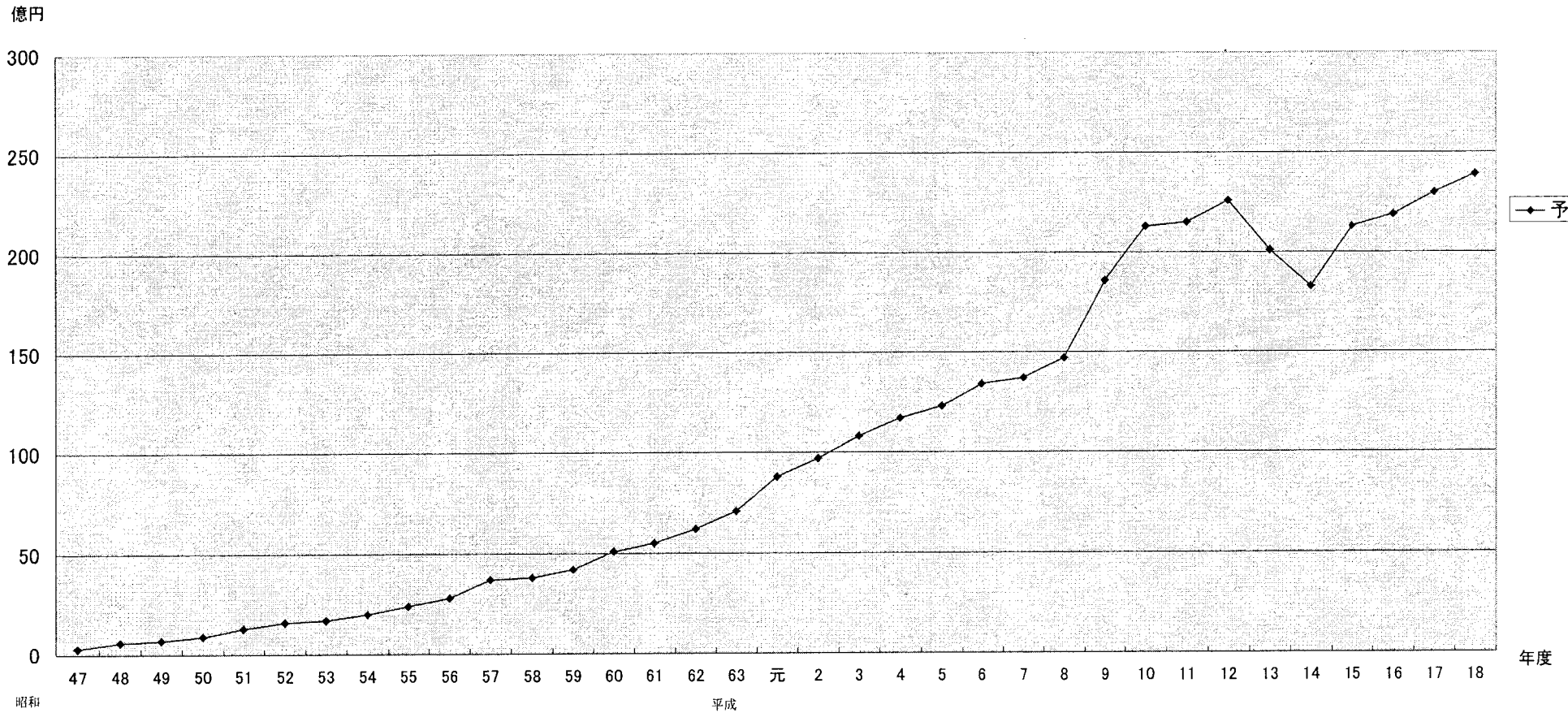
特定疾患治療研究事業疾患別受給者件数構成比(平成16年度末)



特定疾患治療研究事業疾患別公費負担額構成比(平成16年度)



特定疾患治療研究事業 予算額の推移



(単位：千円)

年度(昭和)	47	48	49	50	51	52	53	54	55	56	57	58	59	60	61	62	63
予算額	310,000	636,169	674,524	890,368	1,277,445	1,577,458	1,724,779	2,027,486	2,389,375	2,801,167	3,672,841	3,771,416	4,194,651	5,100,940	5,548,499	6,193,256	7,139,814
対前年比		205.2%	106.0%	132.0%	143.5%	123.5%	109.3%	117.6%	117.8%	117.2%	131.1%	102.7%	111.2%	121.6%	108.8%	111.6%	115.3%

年度(平成)	元	2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	13	14	15	16	17	18
予算額	8,793,671	9,746,589	10,809,776	11,666,658	12,292,022	13,416,269	13,682,559	14,687,468	18,634,341	21,290,722	21,515,211	22,587,104	20,149,504	18,344,981	21,344,717	21,905,032	22,952,164	23,940,990
対前年比	123.2%	110.8%	110.9%	107.9%	105.4%	109.1%	102.0%	107.3%	126.9%	114.3%	101.1%	105.0%	89.2%	91.0%	116.4%	102.6%	104.8%	104.3%

特定疾患治療研究事業の推移

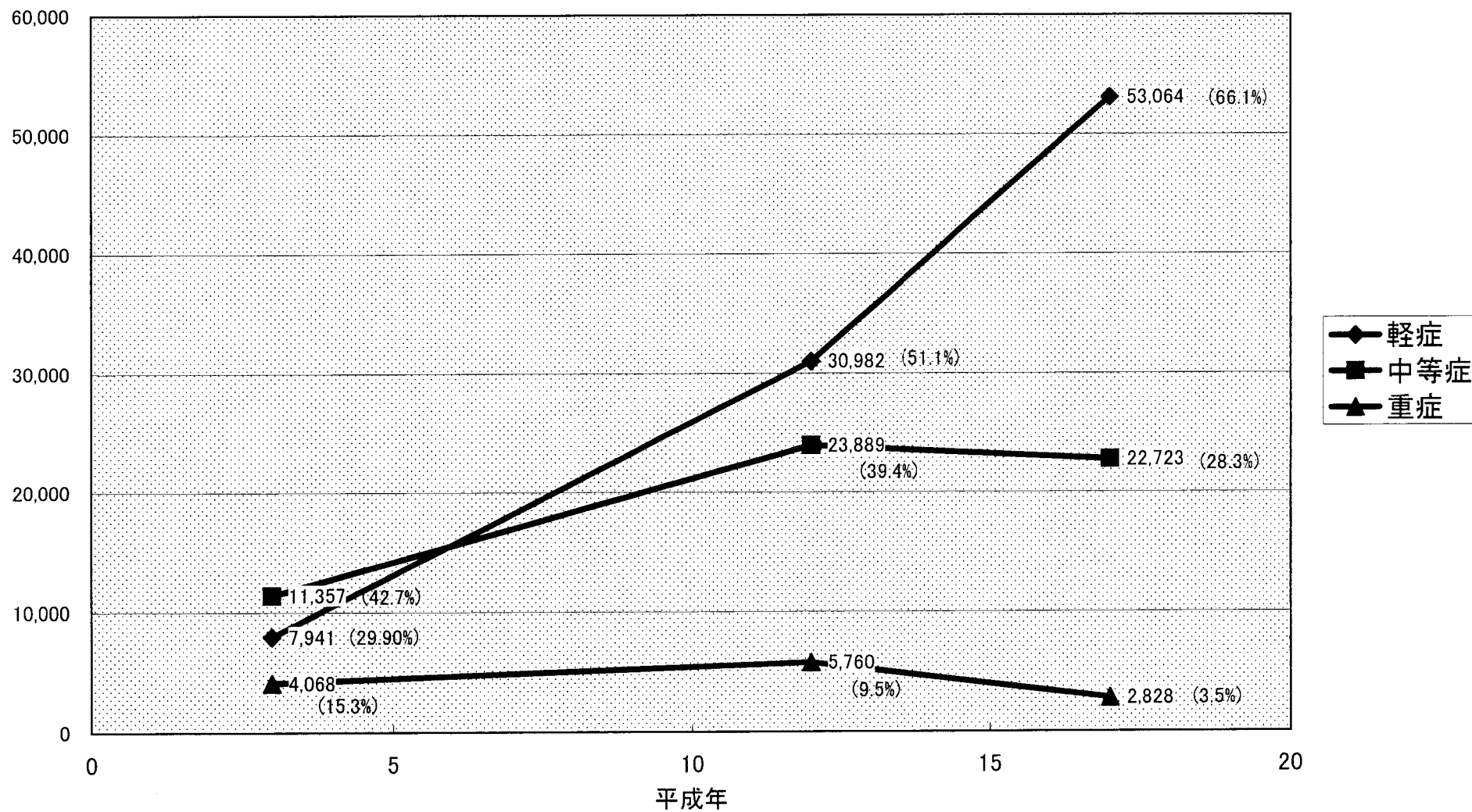
年 度	受給者証件数	前年度比	予 算 額	前年度比	都道府県への交付率	対象疾患数
	件	%	百万円	%	%	
昭和63年度	169,906		7,140		84	30
平成 元年度	189,997	112	8,794	123	94	31
平成 2年度	201,952	106	9,747	111	96	32
平成 3年度	225,627	112	10,810	111	97	33
平成 4年度	245,195	109	11,667	108	97	34
平成 5年度	268,289	109	12,292	105	94	35
平成 6年度	291,856	109	13,416	109	88	36
平成 7年度	320,330	110	13,683	102	78	37
平成 8年度	358,834	112	14,687	107	76	37
平成 9年度	393,890	110	18,634	127	76	38
平成10年度	423,124	107	21,291	114	94	42
平成11年度	435,678	103	21,515	101	93	42
平成12年度	472,312	108	22,587	105	92	43
平成13年度	504,699	107	20,150	89	72	44
平成14年度	528,024	105	18,345	91	61	45
平成15年度	530,843	101	21,345	116	63	45(+3)
平成16年度	541,704	102	21,905	103	61	45
平成17年度	565,848	104	22,952	105	60	45
平成18年度			23,941	104		

* 対象疾患については、調査研究の121疾患の中から選定し、逐次拡大してきている。(15年度に3疾患追加)

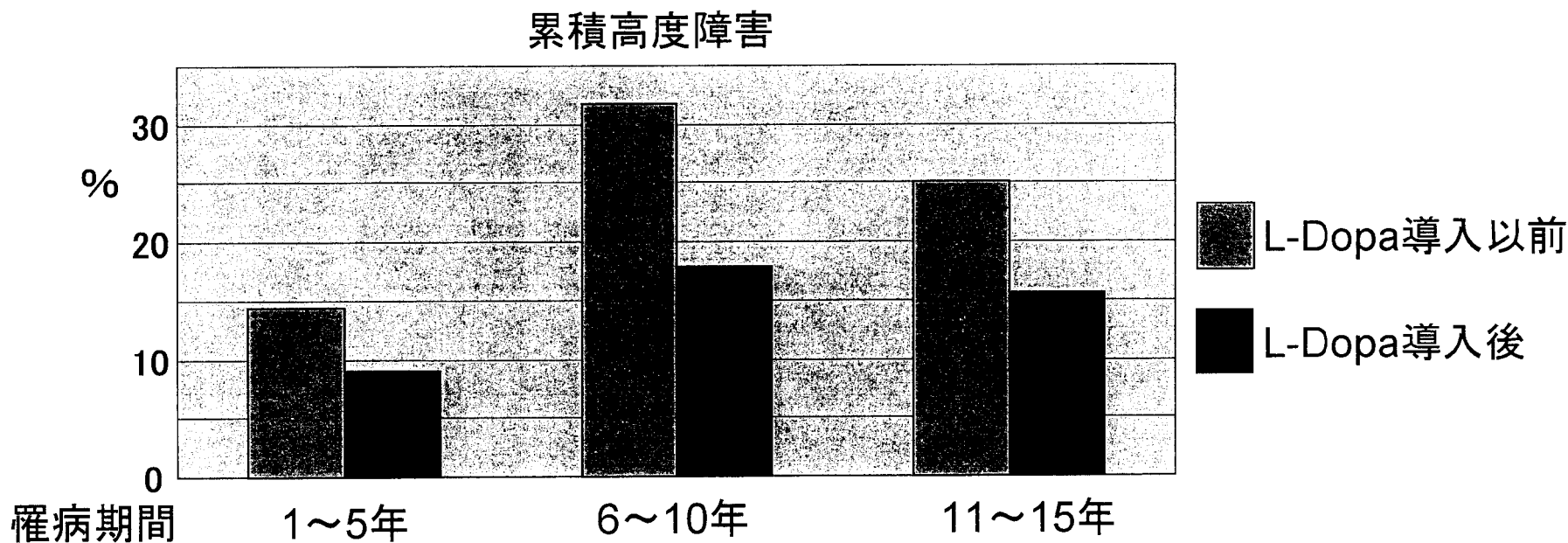
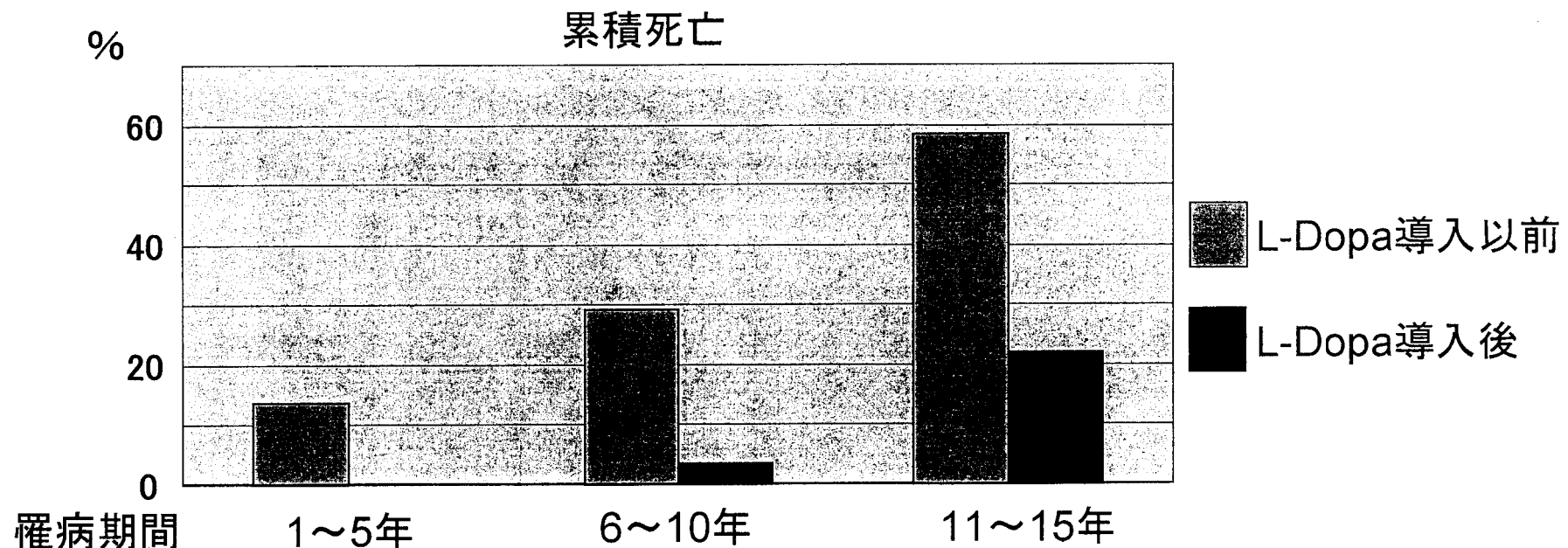
* 本事業は都道府県を実施主体とする事業であり、予算の範囲内で必要な額の1/2を国から補助している。

* 平成16年度及び平成17年度の交付率は交付申請ベース。

潰瘍性大腸炎 重症度分類による患者数の変化



パーキンソン病 L-Dopa導入による治療効果の変化



Hoehn, MM et al. J Neural Transm. Suppl 19:253-264 (1983)