

## 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った意見もあるなど、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生活面への長年にわたる支障)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当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た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当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。