

<経済危機対策（平成21年4月10日）より抜粋>**第2章 具体的施策****Ⅲ. 「安心と活力」の実現－政策総動員****2. 安全・安心確保等****(1) 社会保障****<具体的施策>**

- 難病患者に対する支援（難病患者の医療費負担を軽減するため、現在、医療費助成の対象となっていない難病のうち緊要性の高い疾患について、医療費助成の対象に追加）

(別紙2)「経済危機対策」の具体的施策**Ⅲ. 「安心と活力」の実現－政策総動員****2. 安全・安心確保等****(1) 社会保障****○難病患者に対する支援**

- ・難病患者の医療費負担を軽減するため、現在、医療費助成の対象となっていない難病のうち緊要性の高い疾患（11疾患その他）について、医療費助成の対象（現在45疾患）に追加する。

補正予算額**29億円**

難病のうち緊要性の高い疾患について

- 黄色靭帯骨化症
- 拘束型心筋症
- 肥大型心筋症
- 肺リンパ脈管筋腫症 (LAM)
- ミトコンドリア病
- 脊髄性進行性筋萎縮症
- 球脊髄性筋萎縮症
- スティーブンス・ジョンソン症候群
(急性期のみ対象)
- 間脳下垂体機能障害 (一部対象)
- 慢性炎症性脱髄性多発神経炎 (CIDP)
- 家族性高コレステロール血症
(ホモ接合体)

特定疾患治療研究事業の概要

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. 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、45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

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。

平成 21 年度第 1 回特定疾患対策懇談会

リンパ脈管筋腫症 (LAM) に関する意見 (東京大学 長瀬隆英)

(1) LAM の病態について

LAM は、性別・年齢という点で、極めて特異的な難治性疾患である。すなわち、通常、生殖可能な年齢の女性に発症する。

LAM は、気胸、咳、労作性呼吸困難、乳糜胸水などの呼吸器症状を初発することが多い。LAM の基本的病変は平滑筋様細胞 (LAM 細胞) の増生であり、結節性に増殖する。病理組織学的に LAM と診断するには、この LAM 細胞の存在を証明することが必要である。肺、リンパ節に病変を形成し、リンパ管新生を伴う。胸部 CT 所見では、境界明瞭な薄壁を有する嚢胞 (数 mm~1cm 大が多い) が両側性全肺野・びまん性・散在性に認められる。胸水貯留、縦隔リンパ節腫大、胸管の拡張を認めることもある。

(2) 特定疾患治療研究事業における対象疾患としての検討

①希少性：

日本における LAM の患者数は、いかに多く見積もったとしても、全体で 5000 人未満と推察される。希少性については、「有病率からみて概ね 5 万人未満の疾患」という基準からも、LAM は対象疾患として適当である。

②原因不明：

LAM の発症原因・発症メカニズムは未解明である。

③効果的な治療方法未確立：

現時点で、LAM の進行を阻止または発症を予防し得る手法はない。

④生活面への長期にわたる支障：

LAM は、進行性の呼吸不全により、日常生活に支障があり、生命予後も不良の疾患である。

以上より、LAM は、特定疾患治療研究事業の対象の 4 要件を全て満たしており、特定疾患治療研究事業における対象疾患とすべきである。

(3) LAM の認定基準について

上述のように、LAM は、肺に嚢胞を形成する希少疾患であり、特徴的な胸部 CT 画像と臨床像を示す。LAM の認定については、肺に嚢胞を形成する他疾患を注意深く除外することが重要である。提出資料では、その点が、必須項目として明記されている。