

そのほか、ミクロの研究というのは、別途考えております。

4ページは、難病対策及び難病に関する研究開発でございます。

現在、臨床調査個人票がございますけれども、これも私が例えばこの委員会での前回の議論を拝聴いたしましても、むしろそれは医療費の観点からつくられた個表であって、疫学調査にはとても応用するわけにはいかないということで、これをそういったものにつくり変えるためには、一体どういう形式がいいかということを検討する必要があるのではなからうかと思われるところでございます。

それと同時に、臨床の先生がすべてデータ入力をするのは大変な負担のようでございますので、これをどのようにして軽減していくか。そして、つくられたデータベースを臨床研究でどのように生かせるか。その方法論についても考えたいと思っております。

5番目は、難病に関する技術評価の手法の開発。

技術評価といいますが、4つの要素がございます、例えばその治療に関するコストの問題、効果の問題、そして安全性の問題、ソーシャルインパクトの問題がございます。こういったことを検討する必要があるわけでございますが、治療薬あるいは治療技術の問題についても、難病であるがゆえに、国内患者は非常に少ないわけございまして、国内だけである疾患については、それを検討することは、他の病氣と違って、非常に難しさが伴うわけでございますが、その際には、International Clinical Trial みたいなものを考えていかないと、なかなかオフドラッグの開発につながらないのではなからうかと考えられるわけでございます。これについても国内で例えばPMDAのようなところもございまして、性格が異なりますので、これはまた別途、どういう組織で考えればいいのかということをいずれ提案させていただければと思います。

6番目は、災害時に難病患者の支援体制を一体どのようにすればいいのか。そのときに希少医薬品の供給はどのように確保するか。病院、施設の安全性の向上等の問題も検討する必要があるわけでございますが、特にこの難病においては、医薬品の供給確保ということは、一般の患者の場合と違うわけでございますが、例えば呼吸器を必要とするALS患者については、他の疾病においても同じような状況にあるかと思っております。薬品に関しては、また難病に特徴的なことかと思っております。

以上を踏まえて考えますと、5ページです。我が国の難病対策の現状について、ここに整理させていただいております。

まず、発症予防の観点から見ますと、スクリーニングの精度向上に関して、子ども家庭総合研究事業の中で行われておりますが、先天性代謝異常症の障害発見の防止については、先天代謝異常症等検査事業という事業の中で行われているわけでございます。

治療とケアについては、難治性疾患克服研究事業という研究として制度があるわけでございますけれども、この研究の成果を反映させたものとして、医療費の問題で特

定疾患治療研究事業及び小児慢性疾患治療研究事業と2本立てになっておりまして、先ほど議論が出ましたように、キャリアオーバーの話というのは、これに絡んでおられるわけでございます。

ケアの問題については、先ほども出ましたように、障害者自立支援事業という観点からも関連するわけでございますが、それぞれ生活支援事業及び入院施設確保事業といった体系が一応あるわけでございますけれども、先生方が御議論のように、さまざまな齟齬を来している面があるので、これをどのようにして今後考えていけばいいか、整理していけばいいかというのが大きな課題になっておるかと思います。

6ページは、日・米・欧における難病の定義と規定について説明させていただきま

す。周知のように、難病の定義というのは、日本特有のものでございまして、いわゆるレアディーズとして、患者数が約5万人未満ということで、これは薬事法の第77条の2において、希少疾病用医薬品または規制疾病用医薬機器として指定する要件として「対象者の上限を5万人」とされていることと関連しているわけでございますが、2番目の条件として、原因不明、効果的な治療が未確立、4番目としては、長期療養を必要とするという4本立てで定義が示されているわけでございます。

関連法規としては、ここに書いてありますように、対策要綱及び薬事法の改正による副作用の救済法があるわけでございますが、それに比べますと、米国には難病という定義がございません。単にレアディーズという、希少の疾患であると、患者が20万人未満と規定しておりまして、約6,800疾患、患者推計数は2,500万人と言われて

いるわけでございます。勿論、これは有効な治療法が未確立のものでございますけれども、こういった定義といいますが、レアディーズはどのようにしてこのような規定になってきたかと申しますと、1983年につくられた希少疾病医薬品法、Orphan Drug Actという法律、つまり希少疾病に対する医薬品をどのように開発していくかということと関連して、このレアディーズが決められたわけでございます。

そして、その法律が決められた背景として、患者、家族の要求に沿って、治療法を確立してほしいという要望の下に、遺伝子情報のデータベース及び臨床データベースのリンクが行われたのが最初でございまして、それを背景としてできた法律でございます。

ヨーロッパでは、希少性といいますが、患者数が1万人に5人以下と決められておりますと同様に、特に難病という言葉は使っておりません。ヨーロッパ全体で約3,600万人が想定されております。日本と共通しておりますのは、生活に重大な困難を及ぼす非常に重症な状態ということでございますが、後ほどお話ししますが、これに対する医療費の補助というのは、特に希少性だからといって、特別に補助があるということではなくして、生活に重大な困難を及ぼすという病氣に対して補助が行われる

わけでございますが、したがって、その中には希少性疾患も混じっておりますし、そうでない疾患も混じっているわけでございます。

先ほど申し上げましたヨーロッパの7,000疾患というのは、レアディジーズのみならず、周産期やその後の環境汚染に関連した病気も含まれております。ヨーロッパは広いわけですから、欧州レファレンスネットワークというものをつくっております、各国の難病センターの連携を強化しております。そして、こういった一連の制度に関連して、法的な規定としては、欧州希少医薬品規制が99年につくられております。そういう意味では、非常に米国、ヨーロッパとも希少医薬品の開発という観点から希少疾患に対処しているわけでございます。

7ページ、米国における希少疾患対象の臨床研究体制です。

これは私どものスタッフを派遣いたしまして、つぶさに考察してきたわけですが、大変日本の参考にもなるような気がいたしております。

左下のチャートをごらんいただきたいと思いますが、NIHの傘下にまずORDR、Office of Rare Diseases Researchという組織がございます。この下に、御存じのように、NIHのいろんな組織があるわけですが、こういったシステムを通して、臨床研究体制を構築しているわけでございます。

ORDRというのは何かといいますと、一番上でございますように、2002年に法的な位置づけがございまして、これは希少疾患に特化した研究の推進、つまり研究の調整、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。この2002年の法律というのは、希少疾患対策法という法律がつくられまして、それによってOffice of Rare Diseases Researchの機能が規定され、義務化されたわけでございます。

そして、具体的に治療を目的とする臨床研究の推進については、新薬開発に主眼を置いて、NIHとFDAの連携が強化されて、今までに87疾患についての薬品が認可されております。

臨床研究の推進においては、必ず患者団体とのパートナーシップが要求されております。研究申請については、患者支援団体の関与が原則になっております。

そこで、そのネットワークというのはどういうものかといいますと、これはネットワークを最初に構築されたものと、その後構築されたものの2通りございまして、最初に構築されたフェーズ1は、2007～2009年間に患者登録及びデータ管理システムが集中的に実行されたわけですが、そのためのデータセンターが構築されたところでございます。

フェーズ2として、2009年～2014年まで計画されているわけですが、これはいわゆるコンソーシアムでございます。これは米国内外の医学部附属病院及び研究施設、病院がネットワーク化して、コンソーシアムを形成して、これにはスイス、カナダなど、海外からも参加。5,000人以上の研究者が登録されておいて、5年間計画

で予算が約102億計上されておまして、先ほど申し上げましたNIH傘下の7つの研究施設が、このネットワークの運営に関与しているという仕組みで賑がしております。

ORDRのもう一つの役割は、例えばよくわからない疾患というのを臨床病院あるいはクリニックからリクルートしまして、検査はすべて無料でございまして、NIHの機関に任せてあります。例えば遺伝子の検査等も含めてです。それで、これは一体診断しにくいために延び延びになっていたのか、あるいは全く新しい病気なのかということもNIHの機関に分析してもらっているという役割を担っております。

8ページは、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でございます。

先ほど申し上げましたように、ヨーロッパにおいては難病という概念ではなく、長期にわたる高額な医療費がかかる疾患を対象に、医療費の支援を実施しております。

赤い枠組みが、難病といいますか、レアディジーズ患者の医療費軽減制度について、各国の対応を示しているわけでございます。上の部分については、一般の医療費の患者負担及び医療費の財源を示しているわけでございます。

イギリスにおいては、処方料の自己負担が免除されております。

フランスにおいては、特定重症慢性疾患が30疾患指定されておまして、それについて自己負担の免除及び公的な給付金が支給されているわけでございます。その特定重症慢性疾患の中には、下の注にございますように、再生不良性貧血、パーキンソン病、クローン病、SLEの疾患が含まれているわけでございます。

ドイツにおいては、一般の患者の医療費負担については、世帯の年間所得の2%でございますけれども、レアディジーズの場合は上限を世帯の年間所得の1%に減免しております。

スウェーデンにおいては、難病に限らないんですが、長期あるいは重篤な疾病の場合は、薬剤費は無料とだけになっておりますが、実際問題としては、スウェーデンでは一般の医療費の患者負担は非常に少ないので、つまり国の補助が非常に大きいということもあって、こういったまれな疾患についても、それほど補助しなくてもこれだけあれば十分カバーできるという体制になっております。

以上の状況がヨーロッパでございますが、多分先ほどの議論と関連する話であろうかと思っておりますので、更に今後詳細な検討をしたいと思っておりますし、先生方からの御要望も承りまして、どういったエビデンスが社会科学的に必要なのか、疫学的に必要なのか、私どもは鋭意考えさせていただくつもりでおりますので、どうぞよろしくお願いいたします。

以上でございます。

○金澤委員長 どうもありがとうございました。大変詳細な御紹介をちょうだいいたしました。ありがとうございました。

これに関連して、何か御質問をいただければと思うんですが、いかがでしょうか。
妙な質問をさせていただきたいのですが、外国の状況をお教えいただきたいんですが、随分前の話ですけれども、外国にはこういう難病という概念がなくてという話は何っておりまして、患者さんを集めるということも大変難しいんだということをアメリカの人からも聞いたことがあったんですが、こういう制度がほかの国でも少しずつでき上がってきているようですので、これは日本の影響を受けたんでしょうか。どうでしょう。

○児玉室長 日本の影響を受けたかという、やはり世界的な動きの中にあつたと言う方がいのかという気がするんですが、ケア福祉の面に関しては、米国でも日本には決して及ばないと担当者が話しております。

○金澤委員長 昭和41年でしたか、難病に対してのまなざしを向けたのは日本が最初だと思いますよ。そういう意味では、向こうが影響を受けたのではないですか。違いますか。

○児玉室長 韓国の例ですと非常に顕著でありまして、希少疾患に関しても難病の治療、研究、ケアなどの体制に関しては、かなり日本のものを取り入れているということがあります。

○金澤委員長 それを言ってほしかったんです。ありがとうございます。

ほかにどうぞ。伊藤さん、何かコメントがありますか。

○伊藤委員 こういう研究を我々も待っていたといいますが、こういうことを知ることがあったということで、本当にありがとうございます。

質問としては、ないみたいなのなんですけれども、ただ、スライドの7ページで、ORDERのところ運営についてですが、患者団体とのパートナーシップということを書かれていますが、具体的にはこのパートナーシップというのは、どういう形で行われることを指しているのでしょうか。

○児玉室長 こちらの資料にも書いてありますように、まずは研究申請に関しては、必ず患者団体の関与が必要ということになっています。疾患によりまして、患者団体が組織化されていない疾病もたくさんございますので、そういった疾病に関しましては、NORDという患者団体やそのほかにも幾つかの大きな患者組織がありますので、そういったところから援助、支援を受け、研究の運営に関わるという支援体制ができ上がっているということです。

○伊藤委員 ということは、NORDなどがファンドを集めて、この研究にお金を出すことも含めているという話なんですか。社会的支援なんですか。

○林院長 私の方で申し上げます。

実は、NIHのファンディングの方法とも関連しておるわけでございますが、私が以前にNIHの中にCenter for Scientific Researchというファンディング専門の機関がございまして、そこに見学に行ったわけでございますけれども、そこでも別に難病

の研究でなくても、2段階審査のような形になっておりまして、第1段階は専門家の先生がこの研究はいいとか、悪いとか決めるんですが、第2段階はかなりポリティカル、あるいはアドミニストレイティブな観点が必要だということで、必ず市民代表を研究の最終判定に加わせるといった風土がもともとございまして、特に難病の場合については、単なる市民団体というよりは、患者団体の代表として出ていくという姿勢かと思えます。

○金澤委員長 小幡委員、どうぞ。

○小幡委員 いろいろ勉強になりました。ありがとうございました。

難病は日本が初めというのには知りませんが、そうであればますますそういう国がしっかり制度を整えていくという必要性があるのかなと思っ拝願いたしました。

法律的なことをお伺いしたいのですが、そうであれば今、薬事法の77条の2の希少疾病用医薬品というところに、法律上は一応何らかのとっかかりとなるような定義があるようでございますが、それ以外は、難病対策要綱というものが1972年ということですが、これは閣議決定なのでしょう。これのみですか。つまり、そういうふうには日本が最初に取り組んだということであれば、およそ先ほどから法制度上は、医療費との関係とか、いろいろな仕組みの中に入れ込んでいくという非常に難しい問題があるということ伺ってきたのですが、基本的に難病というものについての取組みの基本方針のようなものが、どこで定められているのかということをお伺いしたいのです。

○金澤委員長 事務局からどうぞ。

○中田課長補佐 1972年に難病対策要綱がまとめられましたのは、特に法律的事項に基づいているものではなく、あくまでも運用といたしまして、こういった要綱をまとめて、難病対策を実施してきたということでございますので、何か閣議決定という法的事項に基づいているというものではございません。

○小幡委員 今でもこれがあるのみということですか。

○中田課長補佐 今でもこれに基づいて、これからさまざまな制度が発生してきているという形になっております。

○金澤委員長 伊藤委員、どうぞ。

○伊藤委員 ただ補足すれば、70年代ぐらいから、国会などでたくさん議論が行われて、さまざまな専門家の方々の御意見や患者団体の訴えなどがあって、それがこの要綱になっていると思うんですが、それはそれでいいんですね。

○中田課長補佐 はい。

○金澤委員長 ほかにいかがでしょうか。

葛原委員、どうぞ。

○葛原委員 先ほど「難病」というのは日本発の言葉だとあつたのですが、これは確かに私もそうだろうと思うんですが、逆に言うと、難病というのが何で日本から出てこざるを得なかったかということもきっと問題があるだろうと思うんです。

今、科学院の方からもあったのでお聞きしたいのですが、日本で難病の話になると必ず医療費をどうするかというお話が、今日もずっと自治体のことも含めて出ています。アメリカとかヨーロッパでは難病の話というと、研究だとかで、医療費は普通そういう場では論議にならないわけです。恐らくその背景というのは、医療制度が違うことがあって、ヨーロッパでは、どんな病気になろうとも自己負担はないので、難病だけお金をどうこうするという事は、多分論議にならないと思うし、アメリカでは、基本的に普通の医療というのは、全部自己保険とか、あるいはこういう患者さんの団体、パーキン病、ALS、あるいはリウマチの患者さんの協力とか、あるいは民間団体がお金を集めて、医療費とか研究費を補助しているということです。そういう背景があるから、逆に日本で「難病」という言葉が出てこざるを得なかったのではないかと思います。

先ほどの資料も含めて、難病だけが特別に医療費の関係で出てくるような背景というのが外国にはあるのでしょうか。ないのでしょうか。

○林院長 まず、米国にはございません。これは先ほども申し上げましたように、この法律に基づいてできたその後の行き方でございますので、ございません。

ヨーロッパは、古くから健康保険制度等が、日本ほどでないにしても、かなり充実してきておりましたので、それに乗った形で希少性疾患に行われているわけでございまして、したがって、日本の場合は、1972年の難病対策要綱がそのときにできたということからさかのぼって考えてみますと、日本はやはり救済事業ということから非常に概念づくりをしていったと考えた方が自然かと思えます。

もう一つ、先ほどの先生のおっしゃったことと関連しますけれども、ヨーロッパ、アメリカの考えでは、特にヨーロッパですけれども、例えばがんでもほかの疾病でも、数は多いんですが、なかなか治療法がないという病気は数多くあるわけでございます。そうしますと、レアディーズというだけの理由で、プラスαの医療費が上乘せするということになりまして、論理的になかなか付き合わせが難しいということもあったかと思えます。

○金澤委員長 伊藤委員、どうぞ。

○伊藤委員 患者団体としては、レアディーズというのをどういう具合に解釈しているかということなんですが、ここでは文字どおり希少疾患なんだろうけれども、私たちはそれだけでは、やはりレアディーズの本質にちょっと違って、先ほどの先生の発表などもずっとお聞きしていると、やはり我々が今、使っている難治性・希少疾病という概念で何か全体が行われているかのような感じなんですが、それはそういう解釈でもよろしいのでしょうか。要するに、あくまでも希少ということが大事だということ。今の先生のお話は、そうではなくて、数だけではない部分もカバーをされているような印象だったんですが、どうなんでしょうか。

○林院長 ヨーロッパではそうでございます。

○金澤委員長 ほかにございますか。

各国によって状況が違うということは当然でありますし、患者さんの団体についても、日本の患者さんの団体と例えばアメリカの患者さんの団体というのは、やはり本質的には違うわけです。アメリカの場合は研究を推進する団体ですね。研究費に協力をする団体であったりとか、いろいろそれぞれの国によって異なりますから、同じ言葉を使っている、内容が違うので、その辺は一つひとつ明確にしなからずでないと、誤解を招く危険性があるんですね。

例えばパーキンソン病、筋ジストロフィー、日本では難病には入れませんが、結局研究を

進めたのは患者さんの団体なんですね。研究を本当に進めて、いい結果を出しているのはですね。要するに、ドネーションの制度はどこまできちんとあるかということによるわけですが、それとね。それぞれ各国の状況が異なることは了解の上で、今のお話を理解したいと思います。

広井委員、どうぞ。

○広井委員 この資料も非常に印象深く拝見させていただいたのですが、1つ、先ほど葛原委員もおっしゃられましたように、これはアメリカとヨーロッパの特徴が非常によく現れているといいますが、アメリカはやはり何と言っても医学研究に非常に力が注いでいて、医療保障という面ではさほどでもないわけですが、それに対してヨーロッパが全体的に医療保障が手厚くて、難病というのを取り出して特別にというよりは、全体的に自己負担がかなり低く抑えられています。これは国際比較が非常に難しいところではあるんですが、いろいろなデータを見ますと、日本では一般的に医療費の自己負担の割合が、ヨーロッパの主要国に比べてかなり高くなっているということがあります。そういう意味では、難病だけに限らない医療費の負担の保証をどうするかというフレームの中でも考えていくべきテーマではないかと思ったのが1つです。

もう一つは、ないものねだりといいますが、いろいろリクエストをしてしまうことになるんですが、特にヨーロッパで非常に手厚いのが福祉サービスの部分で、ここは医療の話が中心に出ているわけですが、そういった福祉サービスの部分をどういうふうにしているか。また、そこで医療と福祉がどうタイアップしているかという辺りも、もし可能であれば、この国際比較の中で加えて見ていくと、より全体像が見えてくるのではないかと思います。

○金澤委員長 ありがとうございます。

広井さんは御専門だから、余り私のような素人が言うべきではないんですが、例えばドイツにしても、スウェーデンにしても、フランスにしても恐らくそうだと思うんですが、医療費の総額としては、日本よりはパーセンテージとしてははるかに多いわけですね。ですから、そういう問題も一方であるわけで、必ずしも難病の患者さ

んへのまなざしだけがというわけでもないと思うんですね。これは非常に多次元方程式を解くようなもので大変難しいんですが、いかがでしょう。

福永委員、どうぞ。

○福永委員 スライドの3、4枚のところですが、例えば災害時の難病患者の支援体制等々に関しては、今、研究班等でも大分進められて、具体的にわかりやすいんですが、この「難病患者」という言葉の中で、②だけが「診断困難症例」となっています。先ほどの御説明では、未分類疾患という形でお話をされたんですが、このこと自体は、実際の臨床現場では非常に多いわけですね。例えばパーキンソン、類縁疾患、筋ジストロフィーにしても、いわゆる診断困難症例です。その中から希少疾患として今後分類されるものを抽出しようというもくろみなのか、あるいは逆に今度は福祉的なことで、そういうことも含めた中での、例えば類縁疾患を広げていくという形での意図とされているのか。この中から未分類疾患、レアディジーズを発見していくことにつなげたいのか。その辺を少しお聞きしたいです。

○林院長 昨年の私どもの試みでございますけれども、当初、厚労省の方から、未分類疾患あるいは未知の疾患を探知できるシステムはできなからうかという相談を受けまして、非常に難しいなど考えておったわけでございますが、トライしてみた結果、ある程度明りが見えてきたという印象を持っているわけでございます。

どうということかといいますと、私どもは例えばアメリカ辺りなどでは、デスクトップで開業医が症状とか検査成績を打ち込むと、多分それに当てはまる病気のリストが出てくるというシステムがございまして、それを真似して、私どもも構築いたしました。まだ完成してはいませんが、それぞれ候補になる病気の、先ほど申し上げた入力したデータから出した候補の病気であり得る確率というのを算出して、その理論構築は一応できました。

ということで、方法論としてはわかってきたんですが、ただ、データを実際集めて検証して、本当に実用に耐え得るかどうかというのは、これからの課題でございます。それが1つでございます。

もう一つは、先ほど申し上げましたように、例えばアメリカの Office of Rare Diseases Research のように、全国のよくわからないような疾病を集めて、それをどこかの大学なり、国の研究機関なりにそれぞれ割当てて、遺伝子検査なり、専門的な検査をするようなやり方をして、それが果たして新しい病気なのかどうかということ、そういう仕組みが構築できればいいかなとは思いますが、ただ、未分類疾患の場合、ちょっと考慮をしなければならないのは、果たして未分類疾患を明らかにすることが、いつでも意味があるのかどうかということでございます。

1例を申し上げますと、我々が昨年の研究班でわかったことですが、例えば自閉症という病気がございます。自閉症もよく調べると、ある大学の先生の研究成果でございまして、遺伝子の欠損としては3パターンあると。そうすると、自閉症とい

うものを3つの疾患に分けるといえるわけですね。なんですが、今のところ、症状もほぼ似ているようなものでございまして、治療法も特に差別化する必要はないということになりますと、治療の意味からして、3つの病気に分ける必要があるかどうか。そういう問題もございまして、なかなか複雑な面があるわけでございますが、それを明らかにするというだけでも、学問的な進歩かとは思いますが。

○金澤委員長 ありがとうございます。ほかにいかがでしょうか。

高原委員、どうぞ。

○高原委員 今の御発言と福永委員の御発言も含めて、やはりこのスライドの3番目と4番目のところで私が感じていることを申し上げたいと思います。

今の診断困難症例のことと、もう一つは臨床調査個人票の有効活用ということで、これはこの前も申し上げたんですが、こういうところで新しい病気、あるいは自閉症のことが例に挙がっていましたが、自閉症という症状からいろんな遺伝子の異常が関係あるというのをその中から分けていくというのも大事な仕事だと思います。そうした場合に問題なのは、臨床調査個人票とか、今の登録システムというのは、何でも病名で出すようになってきているわけですね。

ということは、わかっている病気しか出てこない、あるいは、まだ未分類の病気であれば、無理にこじつけて、研究事業ではなくて、今度は先ほどの医療費の救済というのがみんな頭にあるので、とにかくわかっている病気に合わせてしまうということが現実起こっているわけです。

先ほど福永委員がおっしゃったように、パーキンソン病しか昔は難病指定になっていなくて、例えば現在は含まれています多系統萎縮症とか、進行性核上性麻痺とか、大脳皮質基底核変性症は、パーキンソン病とよく似ているんだけれども、別の病名だと全部はじかれて、パーキンソン病よりは難病なんですけれども、何の補助も受けられないということになってしまいます。それを避けるために、それらはパーキンソン病という名前には当てはめて申請したということがあるわけです。

ですから、今の臨床調査個人票というのは、制度上、未分類の病気を見つけ出すとか、本当の患者数を出すということができないような仕組みになっているんだという根本的な欠陥があるわけです。ですから、そういう点は是非、今後この難病対策委員会で検討していただきたいし、本当の難病を見つかったり、あるいは本当の難病の人を救済してあげるためには、既知の病名だけで難病指定するというのは、非常に制度的な欠陥があるんだということは申し上げておきたいと思います。

今、申し上げたような理由で、臨床調査個人票では、前提として、必ずしも書かれている病名が医学的には本当の病名を正しく反映していないんだということです。それも疫学データとしては根本的な欠陥です。

もう一つは、多分今でも各県の担当者が打ち込むことになっているので、私が前に神経難病の神経変性班の班長をやっていたときに調べると、ALSとか、ああいうあ

りふれた病気でも、県ごとに打ち込み量が10～90%まで差があるために、県ごとに物すごく患者数が違うんです。それは県の段階で受け付けていても、コンピュータ入力していないということがあるので、現場に任せているとこういうことも一緒に起こってくるということです。今、おっしゃったような、非常に大事な事業だと思うんですが、その趣旨をきちんとやるためには、今のような難病の指定のシステムと臨床個人調査票の扱い方というのは、非常に大きな欠陥があるんだということを申し上げておきたいと思います。

以上です。

○金澤委員長 ありがとうございます。ほかにいかがですか。

今のことについて、林先生、何かありますか。

○林院長 ごもつともなお話だと思います。

それで、疫学モデルをつくって検出したところで、それが真実ということに恐らく必ずしも直結しないかと思いますが、ただ、疫学データが重要なのは、今、おっしゃったように、A地区とB地区では非常に患者のインシデンスが違うということがわかりますと、それは一体どういう理由によってその差ができたのか。登録率の問題なのか、あるいは本当に疾病集積性があつての話なのか、診断能力の問題なのか、それが今度検討の対象になっていくかと思っています。

いずれにしても、私どもですべて賄うということは不可能ですので、そういった問題点を取り上げながら、厚労省と相談して、そういった検証をする研究班を立ち上げるべきかどうか決めていただくことが重要かと思っています。

○金澤委員長 どうもありがとうございます。非常に大事なことをおっしゃっていただきました。

この難病対策委員から今のようないろいろな問題点を保健医療科学院の方にぶつけて、指定研究として今後やっていただくということを是非お願いするというのもあり得ると思っておりますので、是非皆様方からの御意見をこれからもちょうだいしたいと思います。

いかがでしょうか。何かほかにございますか。大体こんなものでしょうかね。

ないようでしたら、次に移りたいと思います。

今、最後に申しましたけれども、今後、保健医療科学院の方でこういうことを是非お調べいただきたいということがございましたら、事務局の方にお申し出いただきたいです。

では、次回以降の予定について、事務局からお願いします。

○中田課長補佐 本日、皆様方からさまざまな御意見をいただきましたので、事務局におきまして論点整理を行わせていただきたいと思います。

それを踏まえまして、次回以降の開催につきまして、調整の上、御連絡申し上げます。

以上でございます。

○金澤委員長 ありがとうございます。

それでは、ちょっと早めなんですけど、大体このぐらいにしようかと思っておりますけれども、今までのお話とは必ずしも関係のないところでも結構ですが、何か御意見がありましたらお願いします。

伊藤さん、どうぞ。

○伊藤委員 本当に関係ないかもしれないんですけど、今後どんなふうに進められるのかなということは何もなかったなと思って思い出したんですが、この疾病対策課に難病保健福祉専門官というのは初めてだと思うんですが、どういうことをされるということで、この専門官がおられるのか。こういう今後の対策について研究されようということなのか、何かわかりましたら教えていただきたいです。

○藤村課長補佐 新しい職責ではなくて、もともとあつた職責を専任にしたということとございまして、特に個別の目的があるということで設けたわけではございません。

○金澤委員長 もうちょっと何か言ってくれませんか。心意気などを述べていただけると。

○藤村課長補佐 そういう意味でいきますと、検討チームが立ち上がるということもございまして、まさに難病をしっかりやらなければいけないということで、専任の者を就けて仕事をするという、組織としての意気込みということで御理解いただければと思います。

○金澤委員長 ありがとうございます。ほかにございますか。

南委員、どうぞ。

○南委員 感想みたいなことになってしまうんですが、今日のお話を伺っていて、やはり諸外国との比較とか、いろいろなことを俯瞰して、日本の難病対策のこれからの課題というものがある程度見えてきたかと思っています。

一般の国民の立場からすると、いつ自分及び家族が患者になるかもしれないわけで、患者さんの立場というものは十二分に尊重されないといけないと思うのですが、他方、限られた財源をどう対策に使うかということも考えなければならぬ。歴史的に救済というところから始まったというのは、非常にいいことだと思うのですが、1970年代に始まり、諸外国にはなかった救済の立場の強い対策がとられたのは、日本ならではのと思っています。考えてみれば、当時、患者と医療の関係というのもの、今はまるで違います。今日では患者さんにも、随分いろいろな立場が出てきています。まだまだ患者さんの会とか組織は、アメリカなどのような力は、とてもないわけですが、でも、70年代に比べれば、患者さんの立場と医療全体の立場や、医療をめぐる環境というのは変わってきているわけなんです。その中で、難病対策の中で何を力点に、どういうことをしていくのかということ、それが新しくできる戦略の会議なのかかもしれないんですけど、研究の立場なのか、救済の立場なのか、学術政策なのか、福祉政策な

のかそれはやはりある程度整然と議論していかないと方向は決まらないのではないかと思います。さらに、時間軸でも視野に、余り固定的でなく対応していかないといけない分野であると思うので、そのノウハウみたいなものを是非、保健医療科学院の方にやっていただきたいと思っています。そうでないと、結果的にはものすごくダブることをしていたということも、長い歴史軸で見れば、あるのだと思います。先ほど葛原先生がおっしゃったような、制度の欠陥の問題も、おぼろげには伺っていたんですけども、今日改めて伺うと、不確かなデータの集積という上で、決定的な欠陥だと思います。そうしたことも含めて問題の所在を整然とさせて議論していかないと、限られた財源の中で、幾らお金があっても足りない、ということになりかねないのではないか、そこを痛感しますので、是非よろしくお願ひしたいと思っています。

うまく申し上げられなくて済みません。

○金澤委員長 大変よくわかりました。

恐縮ですが、私もちょっと言わせていただきたいと思っています。

多分、ちょっと誤解があるのではないかと思うだけけれども、この難病に対する対策の出発点は、福祉ではないと思いますよ。そうではなくて、御承知かもしれないですが、スモンという病気がありました。これは結果的には薬害ですけれども、そのスモン本質がわからなかった時代に、解明のために国がお金を出して、研究班をつくって、わっとやったら結果がすぐ出たわけです。こういうやり方というのは、今で言う難病の解決には非常にいい方法なのではないかということ、たしか昭和47年ぐらいにこういう制度ができた。それ以後に始まったのは、患者さんたちに御協力をいただいた見返りとして、医療費をお支払する、免除するということから出発していたはずなんです。

ですから、登録をなさる方々は、つまり医療費の補助を受ける方々は、研究に協力をするというのが条件だったはずなんです。ですから、単なる福祉の話ではないんですね。逆に言うと、これが一番日本的だったと思うんですが、ただ、それがだんだん患者さんとおつき合いをしていると、これぐらいはやはり援助してあげたいと思ってしまうわけです。そうすると、やはり現場で筆も鈍るわけでありまして、だめというわけにはなかなかいかないというものもあるわけです。そういう氏育ちがあるわけです。ですから、これをどうするかということは考えないといけないと思うんですね。

何て言うのでしょうか。自分の病気のことを調べてもらいたいというお気持ちが患者さんたちに多いということは、一方では強く感じるんですが、医療費の補助がないとした場合、これだけ御協力がいただけたかという問題も一方ではある。その辺の解析というのは、大変難しい問題ですね。

もっともっと難しいのは、一旦補助を始めると、切ることができないということなんです。これはこういうなかなか治りにくい、恐らく治らないような病気の場合には、常につきまとう問題で、入り口を絞った方がいいのか、あるいは絞りつつ卒業生を出す

べきなのか。ワーキングシェアではありませんけれども、みんなで少しずつ分け合うように方向転換すべきなのか、いろんな考え方があろうかと思うんです。

でも、やはり大事なことは、恐らく財源には限界があるだろうということだと思いますので、そこをどう折合いをつけていくかですね。

伊藤さん、どうぞ。

○伊藤委員 これは是非患者団体としても、一言お願いしておきたいと思っています。

第9回の委員会のときに発表させていただきましたけれども、患者団体としても、今の難病対策のまま進めていくと、当然先生方がおっしゃるような問題がいっぱい出てくるわけですから、今の難病対策というのは、研究ということと、医療費の助成ということが一体になっているわけですね。その中でさまざまな問題が起きてきますし、財源の問題も起きてきますので、患者団体としての意見ということで、第9回の委員会で私どもが提案させていただいたのは、難病対策というのは研究に特化すべきではないか。医療費の問題というのは、やはり別なところ。この保健医療施策のところにあるのではないかということを発表させていただきました。そういう点では、このドイツのような年間所得2%、一般でも2%ということは大変ありがたい話なんです。

現在、日本ですと、高額医療費の助成制度を使っても、所得の少ない方は年間所得の100%とか、120%というパターンが起きているわけです。そういう意味では、まず、所得に対しての負担をどうするかという医療費の問題と、難病対策として行うべき研究とか、さまざまな体制整備の話というのは、やはり切り離して議論をしていただかないと、同じところをずっと堂々巡りするわけですから、是非その点もお願ひしたい。

ある新聞ですけれども、昨日、今日と大きなニュース、紙面の第1面トップに出ていますけれども、特効薬をやめて容態が悪化したと。これは白血病の患者さんのことですが、薬代がなくて払えなかったということで、治療を中断して、悪化するということが大きく出ていますが、これはがんに限らず、ほかの疾患でもあるわけで、そういう意味では、今の国民、特に所得の少ないような患者さんでも、どんな患者さんでも一律で高額療養費の助成が定額で決まっているということ自体が、非常に大きな問題でして、そこはきちんと担保されるのであれば、この難病対策というのは、今、言ったように、研究や体制整備に特化していく。それは私どもの提案であります。

ただ、本当に大前提になるのは、日本の保健医療制度が、所得の多い人、少ない人、病名に限らず、きちんとお金があってもなくても、医療が受けられるという体制になることが大前提なんです。そういう方向に是非持っていきたいし、保険全体を動かすのが大仕事なわけですから、大変だとすれば、少なくとも高額療養費制度を大至急変えていくという提案もしていただければありがたいと思います。

○金澤委員長 どうもありがとうございました。ほかにございますか。

葛原委員、どうぞ。

○葛原委員 最初に中田課長補佐から説明がありましたパワーポイントの6ページの難病対策の課題というところにも書いてあるんですが、実は先ほどから何度も出ています難病研究と救済とが一緒になっているということの唯一の例外が、例の去年からつきまして難病の100億円という予算でして、ここにある177疾患という研究奨励分野というのは、今まで日の目を見なかった難病に初めてお金が、しかもある種のひも付きではなくて投下されたわけです。

ですから、これはばらまきではないかという御意見も一部にはあるんですが、今までは病名のお墨付きがないと研究費が貰えなかった、非常に稀な本当のレアディーズが初めて取り上げられたということでは画期的です。私はこの177疾患を取り上げられたというのは、ある種の非常に賞嘆すべき政策だったと思っています。これが3年でどういう結果になるかわかりませんが、やはりときどきはこういう形のことをやっていただかないと、お墨付きでない病気はいつまで経っても日の目を見ないということで、これは非常に高く評価しておりますし、是非続けていただきたいということを追加しておきます。

○金澤委員長 どうもありがとうございました。そろそろよろしいでしょうか。

それでは、今日の難病対策委員会はここまでということにさせていただきます。御協力ありがとうございました。

以上

○照会先

厚生労働省健康局疾病対策課

tel 03-5253-1111

(内線 2355・2356)

fax 03-3593-6223