

資料 2 既存の指定難病の研究進捗状況の確認に関する検討 状況について

厚生労働省健康・生活衛生局

難病対策課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

既存の指定難病の研究進捗状況の確認について

<概要>

- 難病法における医療費助成については、症例が比較的少ない難病について、医療費助成を行うことで一定の症例を確保し、治療研究を推進する目的と、長期の療養による医療費の経済的な負担が大きい患者を支援するという目的を併せ持つものとして行われている。
- 状況の変化が生じた医療費助成の対象疾患については、指定難病検討委員会において定期的に評価することとされている。

難病対策の改革に向けた取組について（平成25年12月 難病対策委員会）

第3 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築

1. 医療費助成の基本的な考え方

- 症例が比較的少ない難病については、各医療機関・研究機関の個別の研究に委ねては、データの集積もままならず、原因の究明や治療方法の開発等に困難をきたすおそれがある。そのため、医療費助成を行うことにより、一定の症例を確保し、蓄積できた難病患者データを研究事業に結びつけることで治療研究に役立てる必要がある。
- また、難病は、原因が不明であって、治療方法が確立されていないため、長期にわたる療養が必要となり、その結果、比較的若い時期から長期にわたり高額な医療費の負担が必要となる場合も多い。医療保険制度における高額療養費制度により一定の負担軽減が図られているが、こうした難病特有の事情を踏まえれば、難病対策として医療費の助成を行うことが必要である。
- したがって、新たな難病対策における医療費助成は、①治療方法の開発等に資するため、難病患者データの収集を効率的に行い、治療研究を推進するという目的に加え、②効果的な治療方法が確立されるまでの間、長期の療養による医療費の経済的な負担が大きい患者を支援するという福祉的な目的も併せ持つものとし、広く国民の理解を得られる公平かつ安定的な仕組みとなるよう、必要な財源を確保する。

2. 医療費助成の対象疾患及び対象患者について

（3）対象疾患の選定等を行う第三者的な委員会

- 対象疾患の選定や見直し、対象患者の認定基準の設定や見直し等を行うに当たっては、厚生科学審議会の意見を聴くこととする。
- このため、厚生科学審議会に新たに第三者的な委員会として、「対象疾患等検討委員会（仮称※）」を設置することとし、難病対策委員会での対象疾患の選定等に係る考え方に基づき、審議を行うこととする。「対象疾患等検討委員会（仮称）」は難病に係る医療に見識を有する者で構成し、原則公開とする。なお、これ以外の、難病対策の在り方等の制度設計に係る審議については、引き続き難病対策委員会で行う。
- 効果的な治療方法が確立するなどの状況の変化が生じた対象疾患については、「対象疾患等検討委員会（仮称）」において定期的に評価し、見直すこととする。
※現在の厚生科学審議会 疾病対策部会 指定難病検討委員会

難病の患者に対する医療等に関する法律案に対する附帯決議（平成26年4・5月 衆・参 厚生労働委員会）

政府は、本法の施行に当たり、次の事項について適切な措置を講ずるべきである。

...また、今後の指定難病の見直しに当たっては、患者数だけでなく、患者の治療状況や指定難病に指定された経緯等も考慮しつつ、慎重に検討すること。

...難病対策の根本は治療法の確立であり、難病の原因究明、治療法の研究開発に万全を期すこと。...

既存の指定難病の研究進捗状況の確認に関する検討の進め方について

令和5年12月の指定難病検討委員会で取りまとめた「厚生科学審議会疾病対策部会指定難病検討委員会における指定難病に関する検討の基本方針」では、指定難病の対象となる疾病に係る考え方について、以下の通りとしている。

厚生科学審議会疾病対策部会指定難病検討委員会における指定難病に関する検討の基本方針（令和5年12月27日指定難病検討委員会）

第1 指定難病の対象となる疾病に係る考え方

今後も、公平かつ安定的な仕組みとするため、以下の1から5の各要件（※）を満たすと判断された難病について、指定難病に指定する。

そのため既に指定難病に指定されている疾病については、指定難病検討委員会において研究の進捗状況を適宜確認し、調査研究及び医療技術の進展により得られた治療方法等により、長期の療養を要しない、又は重症者の割合が減少する等、指定難病の要件に合致しない状況であると判断される場合には、難病法の趣旨・目的に照らし、対象疾病の見直しについて検討する。

「指定難病の要件に合致しない状況」の判断に当たっては、研究の進捗状況の確認結果を踏まえて指定難病検討委員会において総合的に判断する。見直しを行う際には、一定の経過措置等について検討する。

※指定難病の要件：発病の機構が明らかでないこと、治療方法が確立していないこと、長期の療養を必要とすること、患者数が本邦において一定の人数に達しないこと、診断に関し客観的な指標による一定の基準が定まっていること

検討のプロセス

- 事務局において、既に指定難病に指定されている疾病について、指定難病の要件についての研究進捗状況に関する情報を研究班から収集し、とりまとめた上で、指定難病検討委員会に報告する。
- 指定難病検討委員会において、既に指定難病に指定されている疾病に関する研究進捗状況を確認し、指定難病の要件に合致しない状況であると総合的に判断される場合には、難病法の趣旨・目的に照らし、対象疾病の見直しについて検討する。

今後のスケジュール(案)

令和5年12月

既に指定難病となっている疾病の見直しに際しての考え方を明確化

第56回指定難病検討
委員会
(令和6年2月22日)

- ・指定難病の新規疾病追加に関する審議
- ・既存の指定難病の研究進捗状況の確認に関する検討の進め方等に関する議論



(既存の指定難病の研究進捗状況について研究班へ情報提供を依頼)

(既存の指定難病の研究進捗状況について調査を実施)



令和6年11月 目途

議論の状況を難病対策委員会に報告

指定難病検討委員会～
(令和6年12月(予定))

- ・既存の指定難病の研究進捗状況の確認に関する審議
- ・指定難病の新規疾病追加に関する審議
- ・パブリックコメント、疾病対策部会への報告
- ・告示^(※1)・通知^(※2)改正

(※1) 難病の患者に対する医療等に関する法律第五条第一項の規定に基づき厚生労働大臣が指定する指定難病及び同法第七条第一項第一号の規定に基づき厚生労働大臣が定める病状の程度(平成26年厚生労働省告示第393号)
(※2) 指定難病に係る診断基準及び重症度分類等について(平成26年11月12日付け健発1112第1号厚生労働省健康局長通知)



令和8年度以降

・既存の指定難病の研究進捗状況の反映