

# 国立国会図書館

## 難病対策の概要と立法化への経緯

—医療費助成と検討経緯を中心に—

調査と情報—ISSUE BRIEF— NUMBER 823 (2014. 4. 8.)

はじめに

### I 難病対策の現状

- 1 難病対策とは
- 2 医療費助成（特定疾患治療研究事業）
- 3 難病研究推進（難治性疾患克服研究事業）
- 4 患者支援（医療・福祉サービスの充実、雇用支援等）
- 5 医薬品（オーファンドラッグ）開発促進

### II これまでの検討過程と難病新法案

- 1 課題と検討経緯
- 2 難病対策の法制化
- 3 患者会と政策推進

おわりに

- 我が国では他国に先駆け、1970年代から医療費助成と研究推進からなる難病対策を実施してきたが、患者間の不公平感、都道府県の過重な財政負担等、全体的な改善が長年の課題となっていた。先般、「社会保障制度改革プログラム法」に、難病対策の立法化方針が規定された。
- 第186回国会に難病新法案と児童福祉法改正法案が提出された。新たな制度では、医療費助成制度で、より多くの疾病が対象となる一方、所得に応じた患者負担が課され、また「指定医」等、統一的な診療体制の構築が目指される。
- 疾病名指定による患者間の不公平感、小児難病患者が成人になってからの負担問題は依然として残るものの、法制化による安定的な制度の構築は意義深い。

国立国会図書館

調査及び立法考査局社会労働課

（社会労働課長 泉 眞樹子）

第823号

## はじめに

我が国は他国に先駆け、患者への医療費助成と研究推進からなる難病対策を 1970 年代に開始した。対象疾患を拡大し、医療施設や各種の支援サービス提供体制を整備しながら難病対策は続けられ、平成 5 (1997) 年には患者数の少ない希少病の医薬品開発を促進するため「薬事法」(昭和 35 年法律第 145 号) の改正も行った。しかし、同じように原因不明で治療法のない病気に苦しんでも、難病指定されない限り医療費助成の対象とならない現制度は、患者間に大きな格差をもたらしている。また、根拠法を持たないまま予算事業として実施されてきた助成制度は、自治体の財政負担を過重にしている。医療制度全体の費用(国民医療費)は膨張し続けており、疾病対策・医療制度に向けることのできる予算が青天井でない以上、公平性の観点から患者の負担額、負担能力を考慮せざるを得ない。難病対策開始から 40 年以上を経て、ようやく平成 26 年第 186 回通常国会に難病対策に関する法案が提出された。本稿では、難病対策の現状と経緯、新制度と残る課題を概観する。

## I 難病対策の現状

### 1 難病対策とは

我が国の難病対策は、1950 年代から多発した原因不明の病気「スモン」<sup>1</sup>対策として、研究推進と医療費助成を連動して行い<sup>2</sup>、患者救済と原因究明(整腸剤キノホルムによる薬害)に成功したことに始まった。昭和 46 (1971) 年に厚生省内に設置された難病プロジェクトチームは「難病対策要綱」(昭和 47 年 10 月)<sup>3</sup>を取りまとめ、研究開発、患者の経済的負担の解消、医療施設の整備を、対策の 3 つの柱とした。以来 40 年、症例数が少なく、難治性で原因未解明、経済的負担が重い疾病、治療のタイミングによっては慢性化や障害をもたらす、社会復帰が極度に困難又は不可能な病気を対象として、難病対策は行われてきた。

現在、対策の内容は、①調査研究の推進、②医療設備等の整備、③医療費の自己負担の軽減、④地域における保健医療福祉の充実・連携、⑤QOL(生活の質)の向上を目指した福祉施策の推進、の 5 項目である。特に、③の難病患者への医療費助成制度「特定疾患治療研究事業」(対象 56 疾患)と、①の治療法の開発や原因究明などの調査研究の推進を行う「難治性疾患克服研究事業」(対象 130 疾患)の 2 つが大きな柱である。<sup>4</sup>

また、昭和 49 (1974) 年度から、児童についても小児がん等の 9 疾患群を対象に、同様の対策「小児慢性特定疾患治療研究事業」を開始した。18 歳未満の児童(引き続き治療が必要と認められる場合は 20 歳未満)に対して、長期にわたる療養を必要とし、医療費負担が高額となる特定疾患について、医療費の自己負担分を助成する制度である。児童の健全

\* 本稿におけるインターネット情報の最終アクセス日は平成 26 年 3 月 31 日である。

<sup>1</sup> スモンとは、病態名「亜急性脊髄・視神経・末梢神経障害」(subacute myelo-optico-neuropathy)の頭文字である。下痢・腹痛、知覚障害、下肢麻痺などに始まり、激しい異常知覚と激痛がある。全国で 1 万人超の患者が確認され、疫学調査が行われた。難病情報センター「スモン(公費対象)」<<http://www.nanbyou.or.jp/entry/130>>

<sup>2</sup> 昭和 46 (1971) 年 7 月から調査研究班の治療研究への協力謝金として、スモン入院患者に月額 1 万円を支給したことに始まる。昭和 48 (1973) 年度には、特定疾患 6 疾患の治療費自己負担分への全額公費負担(国と都道府県で 1/2 ずつ)を開始した。厚生労働省健康局疾病対策課『平成 24 年度版 難病対策提要』[2013.] p.25.

<sup>3</sup> 厚生省「難病対策要綱」1972.10. 難病情報センターHP <[http://www.nanbyou.or.jp/pdf/nan\\_youkou.pdf](http://www.nanbyou.or.jp/pdf/nan_youkou.pdf)>

<sup>4</sup> 難病情報センター「難病対策の概要」<<http://www.nanbyou.or.jp/entry/1360>>

育成を目的とし、対象疾患が 11 疾患群 514 疾患と、成人より多い。<sup>5</sup>

## 2 医療費助成（特定疾患治療研究事業）

指定難病患者は保険診療の医療費自己負担分（例えば、就学年齢以上 70 歳未満は診療報酬の 3 割）に対し、公費負担による助成を受けられる。重症患者、スモンやプリオン病等の指定疾病の患者、低所得者は、窓口負担なしで受診できる。それ以外の難病患者は、普通の病気と同様、患者自己負担額を病院窓口で支払う必要があるが、医療保険の高額療養費制度より低い負担限度額が設定され、それ以上は無料となる（表 1 参照）。<sup>6</sup>

表 1 難病患者（大人・子ども）の医療費自己負担限度額

（平成 20 年 7 月 1 日改定）

階層区分 (生計中心者の所得)	収入の目安 (夫婦 2 人)	自己負担限度額(月額)				
		大人(特定疾患治療研究事業)			小児慢性特定疾患	
		入院	外来等	生計中心者が患者本人	入院	外来等
市町村民税が非課税	156 万円以下	0 円	0 円	左欄の 額の 1/2	0 円	0 円
前年の所得税が非課税	156～163 万円	4,500 円	2,250 円		2,200 円	1,100 円
前年の所得税課税年額が 5,000 円以下	163～183 万円	6,900 円	3,450 円		3,400 円	1,700 円
同上 5,001～15,000 円	183～220 万円	8,500 円	4,250 円		4,200 円	2,100 円
同上 15,001～40,000 円	220～303 万円	11,000 円	5,500 円		5,500 円	2,750 円
同上 40,001～70,000 円	303～402 万円	18,700 円	9,350 円		9,300 円	4,650 円
同上 70,001 円以上	402 万円以上	23,100 円	11,550 円		11,500 円	5,750 円

※ 同一生計内に 2 人以上の対象患者がいる場合、2 人目以降の者については 10 分の 1 の額。

※ 自己負担限度額は、医療機関単位。

※ 訪問看護、院外処方による調剤薬局での薬剤費については、一部負担は生じない。

<所得にかかわらず無料> ①重症認定患者、②スモン、プリオン病、劇症肝炎、重症急性膵炎患者、等。

（出典）「現行の医療費助成制度における自己負担限度額」『参考資料集』（厚生科学審議会疾病対策部会第 3 4 回難病対策委員会（2013.10.29.）参考資料 2）p.19. <<http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-10601000-Daijinkanboukouseikagakuka-Kouseikagakuka/0000027827.pdf>> 等を基に筆者作成。

医療費助成を受けるためには、①申請者（対象患者又はその扶養義務者）が「臨床審査個人票」（医師の診断書）、所得を確認できる書類等を添えて、住所地の保健所に申請する、②都道府県が認定審査を行い、保健所を通じて「特定疾患医療受給者証」（以下、「医療受給者証」<sup>7</sup>という）を申請者に交付する、の手續きが必要である。

治療を受けて症状が改善し、経過観察等の通院管理下で就労等を含む日常生活を営むことができるかと判断された患者は、「軽快者」として医療費助成の対象外となる。軽快者基準対象となる疾患は現在 30 疾患<sup>8</sup>に限られる。

<sup>5</sup> 「児童福祉法」（昭和 22 年法律第 164 号）第 21 条の 5（平成 16 年 11 月の児童福祉法改正により平成 17 年 4 月施行）。難病情報センター「小児慢性特定疾患治療研究事業」<<http://www.nanbyou.or.jp/entry/1711>>

<sup>6</sup> 難病情報センター「特定疾患治療研究事業の概要」<<http://www.nanbyou.or.jp/entry/512#04>>; 「特定疾患治療研究事業（法別 51）」『公費負担医療等の手引』（『月刊保団連』1133 号（臨時増刊号））2013.8, pp.363-370.

<sup>7</sup> 「医療受給者証」は 10 月から翌 9 月末までの 1 年間有効で、毎年手續きを経て更新される。難病情報センター「特定疾患医療受給者証（医療費の助成）」<<http://www.nanbyou.or.jp/entry/1725>>

<sup>8</sup> 対象疾患は、ベーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス、等。「医療受給者証」のかわりに「登録者証」が交付され、症状が悪化すれば直ちに医療費助成の対象となる。厚生労働省健康局疾病対策課長「特定疾患治療研究事業における軽快者基準について」（平成 21 年 10 月 30 日健疾発 1030 第 3 号）

### 3 難病研究推進（難治性疾患克服研究事業）

難治性疾患克服研究事業<sup>9</sup>は、特定疾患治療研究事業（医療費助成制度）と連携しつつ、難病医療水準の向上を目指し、原因究明、治療方法の研究を推進してきた。対象疾患は、①希少性、②原因不明、③効果的な治療方法未確立、④生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする）の4要素を満たすもので、系統別分類では神経、筋、血管、内分泌、消化器、循環器、呼吸器等、ほとんどの領域が網羅されている。<sup>10</sup>

研究班の選定については、競争的で開かれた研究環境を実現するため、原則公募制で研究課題を募集し、「厚生労働省の科学研究開発評価に関する指針」<sup>11</sup>に基づく外部評価制度により行われる。各研究班は、研究代表者（班長）、研究分担者及び研究協力者で構成されており、臨床医学分野だけでなく、基礎医学や社会医学の分野からも選定される。各班に所属する研究者数は、概ね10名から30名前後である。

難治性疾患克服研究事業の成果としては、①対象疾患の患者数、性別、好発年齢、地域の偏りなどの実態解明、②診断基準、検査手技、分類の統一、③病態の詳細な検討、④治療の実態とその効果・限界の解明、一定基準に基づいた治療法開発、対症療法の明らかな進歩、⑤難病に対する一般医師の関心・知識の飛躍的向上、等が指摘される。また、研究者の組織化と研究者間の交流が深まったことも、意義深いとされる。<sup>12</sup>

### 4 患者支援（医療・福祉サービスの充実、雇用支援等）

#### （1） 医療施設等の整備、地域における保健医療福祉の充実・連携

難病は、国が担うべき医療（政策医療）の対象に位置づけられており<sup>13</sup>、国立高度専門医療研究センター<sup>14</sup>及び独立行政法人国立病院機構の各病院がその機能を果たしている。同じ政策医療分野を担当する施設間で連携を図り、診療、臨床研究、教育研修、情報発信を実施し、一体となった医療提供を行っている（政策医療ネットワーク）。

都道府県等は、難病患者のための相談・支援事業、重症難病患者の入院施設確保事業、在宅療養生活支援対策推進事業、認定適正化事業等の難病特別対策推進事業を実施する。<sup>15</sup>

#### （2） 障害者総合支援法における難病患者支援

障害福祉サービス等を規定する「障害者自立支援法」（平成17年法律第123号）が平成

<sup>9</sup> 難病情報センター「難治性疾患克服研究事業の概要」 <<http://www.nanbyou.or.jp/entry/510>> 平成10（1998）年度までは特定疾患調査研究事業、平成14（2002）年度までは特定疾患対策研究事業。

<sup>10</sup> 厚生労働省健康局疾病対策課 前掲注(2), pp.20-23.

<sup>11</sup> 厚生労働省大臣官房厚生科学課「厚生労働省の科学研究開発評価に関する指針」（平成22年11月11日） <<http://www.mhlw.go.jp/bunya/kenkyuujigyoku/hyouka3/pdf/01a.pdf>>

<sup>12</sup> 厚生労働省健康局疾病対策課 前掲注(2), p.23.

<sup>13</sup> 政策医療19分野の1つが、「長期にわたり苦痛や日常・社会生活上の制約を伴う難治性の免疫異常、感覚器障害及び代謝性疾患、エイズ並びに原因の究明及び治療法の確立の急がれている難病等を克服する医療」である。厚生労働省健康局疾病対策課 前掲注(2), p.15.

<sup>14</sup> 「高度専門医療に関する研究等を行う独立行政法人に関する法律」（平成20年法律第93号）に規定される独立行政法人国立がん研究センター、国立循環器病研究センター、国立精神・神経医療研究センター、国立国際医療研究センター、国立成育医療研究センター、国立長寿医療研究センターの総称。

<sup>15</sup> 「難病特別対策推進事業について」（厚生労働省健康局長通知平成10年4月9日健医発第635号）（最終一部改正 平成23年3月25日健発0325第4号）

25 (2013) 年 4 月 1 日に「障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律」(以下「障害者総合支援法」という。)に名称変更され、同法が対象とする「障害者」に難病患者が含まれるようになった<sup>16</sup>。従来も、身体障害者手帳の取得ができた難病患者は障害福祉サービスを受けられたが、一定の障害があっても症状の変動などにより身体障害者手帳の取得ができない難病患者は少なくなかった。別途、難病患者等居宅生活支援事業が行われていたが、障害者総合支援法施行により、身体障害者手帳の有無に関わらず、難病患者も認定手続きを経て障害者サービスを受けられるようになり、同事業はほとんど廃止された。同法対象の難病患者の範囲は、当面、難病患者等居宅生活事業と同様、難治性疾患克服研究事業の対象疾患(130 疾患)及び関節リウマチで一定程度の障害を持つ者とされた。新たな難病対策における医療費助成の対象疾患の範囲等に係る検討を踏まえ、見直しを行うこととなっており、後述する難病に関する新法の疾患指定が影響すると考えられる。

### (3) 雇用支援、サポート事業

難病患者の就労支援施策として、平成 21 (2009) 年度に難治性疾患患者雇用開発助成金制度が始まった。難病患者の雇用促進と、職業生活上の課題の把握を目的としており、難病患者等のうち障害者手帳を所持していない者を、ハローワークの職業紹介により雇い入れる事業主に対して、賃金の一部を助成している<sup>17</sup>。

難病患者サポート事業<sup>18</sup>とは、①患者相談支援事業(通称:相談支援ネットワーク事業)、②患者活動支援事業(手をつなぐ支援事業)、③調査・記録事業(患者・家族のこえ事業)で、実施法人を公募し委託費を交付する。平成 23 (2011) 年度に開始された。

## 5 医薬品(オーファンドラッグ)開発促進

難病(希少疾病)は、医療上の必要性が高くても患者数が少なく、研究開発投資の回収が困難なため、製薬会社は開発に消極的だった。このような医薬品を、誰も面倒を見ない孤児(Orphan)になぞらえて、オーファンドラッグと呼ぶ<sup>19</sup>。アメリカでは、1983年に「オーファンドラッグ法」(Orphan Drug Act 1983)が制定され、「患者数が米国内で20万人未満の疾患」の創薬開発について、製薬会社に対する一定期間(7年間)の排他的販売権付与と税制優遇措置等が実施された。これに倣い、日本でも開発促進策が整備された。まず昭和 60 (1985) 年にはオーファンドラッグの開発や輸入の促進支援策として、厚生省薬務局から承認申請時の添付資料の簡素化(安定性試験の後日提出、外国臨床試験データの受入要件の弾力的運用等)を認める通知<sup>20</sup>が発出され、さらに平成 5 (1993) 年 4 月には薬事法を

<sup>16</sup> 「地域社会における共生の実現に向けて新たな障害保健福祉施策を講ずるための関係法律の整備に関する法律」(平成 24 年法律第 51 号)による。障害者の定義(第 4 条第 1 項)に「治療方法が確立していない疾病その他の特殊の疾病であって政令で定めるものによる障害の程度が厚生労働大臣が定める程度である者であって 18 歳以上であるもの」が追加された。

<sup>17</sup> 難治性疾患克服研究事業対象疾患(130 疾患)と進行性筋萎縮症(筋ジストロフィー)が対象で、現在は発達障害者・難治性疾患患者雇用開発助成金として運営。厚生労働省「発達障害者・難治性疾患患者雇用開発助成金」<[http://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/koyou\\_roudou/koyou/kyufukin/hattatsu\\_nanchi.html](http://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/koyou_roudou/koyou/kyufukin/hattatsu_nanchi.html)>

<sup>18</sup> 厚生労働省「難病患者サポート事業の概要」<<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r98520000023og3-att/2r98520000023omw.pdf>>; 『国民衛生の動向 2013/2014 年』厚生労働統計協会, 2013, p.173.

<sup>19</sup> 独立行政法人医薬基盤研究所「希少疾病(オーファン)治験ウェブを開設しました」2013.3.26. <<http://www.nibio.go.jp/news/2012/03/000402.html>> 等。

<sup>20</sup> 「稀用医薬品の製造(輸入)承認申請に際し添付すべき資料について」(厚生省薬務局審査第一課長、安全課

改正<sup>21</sup>し、同年10月から①助成金の交付、②税額控除、③指導・助言、④優先審査、⑤再審査期間の延長等の開発支援制度を導入した。EUでも1999年に「オーファンドラッグ規則」(Regulation (EC) No.141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products) を定め、患者数が1万人に5人以下の希少疾病の医薬品開発を、10年間の市場独占や医薬品開発にかかる諸手数料の免除等により促進している。<sup>22</sup>

現在では、オーファンドラッグ市場は国内に留まらないため、製薬会社の開発意欲は盛んである。医薬品開発において学術研究機関への期待は大きく、基礎研究から臨床・応用研究への橋渡し研究(トランスレーショナル研究)に集中的に投資することで、実用化加速が目されている<sup>23</sup>。また、平成 24 (2012) 年度から難治性疾患克服研究事業に「希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究」という大枠が設けられ、薬事承認を目標とした研究がいくつも進められている。臨床治験情報については、臨床研究(試験)情報検索ポータルサイト<sup>24</sup>で、患者、研究者に限らず誰でも検索ができる。<sup>25</sup>

## II これまでの検討過程と難病新法案

### 1 課題と検討経緯

1970年代に開始された難病対策は、対象疾患を拡大し、医療施設や患者支援サービスを拡充しつつ、制度の見直しを繰り返し実施してきた(別表参照)。平成 21 (2009) 年度には、難治性疾患克服研究事業予算が前年度の 24 億円から 100 億円へ大幅に増額され、特定疾患治療研究事業(医療費助成)も 11 疾患が追加された。しかし一方で、①原因不明で長期間の療養を要する多数の疾病が難病指定されていないことによる不公平感があること、②根拠法がないため、医療費助成への予算措置に基づく国庫補助が不十分となり、都道府県の超過負担が常態化していること、③難病に関する国民の理解が不十分であること、④難病患者の長期療養と社会生活を支える総合的な対策が不十分であること、等が指摘され、難病対策全般にわたる改革が強く求められるようになっていた。

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会(以下「難病対策委員会」という。)は、「社会保障・税一体改革大綱」(平成 24 年 2 月 17 日閣議決定)等を踏まえて、平成 24 (2012) 年 8 月に「今後の難病対策の在り方(中間報告)」を公表した<sup>26</sup>。これをもとに厚生労働省が患者団体意見も反映させて策定した「難病対策の改革の全体像(案)」(平成 24 年 10 月)をたたき台に、難病対策委員会は法制化に向けた検討等、官民協力して取り組むべき改革の内容として「難病対策の改革について(提言)」(平成 25 年 1 月 25 日)<sup>27</sup>を示した。

長、生物製剤課長通知昭和 60 年 6 月 29 日薬審第 2 号)

<sup>21</sup> 「薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律」(平成 5 年法律第 27 号)

<sup>22</sup> 白神誠・中井清人「オーファンドラッグ開発支援制度の効果」『臨床薬理』30(4), 1999.7, pp. 697-702.  
<[https://www.jstage.jst.go.jp/article/jsct/1970/30/4/30\\_4\\_697/\\_pdf](https://www.jstage.jst.go.jp/article/jsct/1970/30/4/30_4_697/_pdf)>

<sup>23</sup> 文部科学省は、橋渡し研究支援推進プログラム(2007～2011 年度)でトランスレーショナル研究の拠点機関の整備を進めた。文部科学省「橋渡し研究支援推進プログラム」<<http://www.tr.mext.go.jp/first/index.html>>

<sup>24</sup> 臨床研究(試験)情報検索ポータルサイト <<http://rctportal.niph.go.jp/>> 国立保健医療科学院が運営。

<sup>25</sup> 金谷康宏ほか「わが国におけるオーファンドラッグ開発の促進に向けて」『医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス』44(2), 2013.2, pp.123-126.

<sup>26</sup> 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会「今後の難病対策の在り方(中間報告)」2012.8.16. 厚生労働省 HP <<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r985200002hw0z.html>>

<sup>27</sup> 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会「難病対策の改革について(提言)」2013.1.25. 厚生労働省 HP

難病対策の改革については、「社会保障制度国民会議報告書」（平成 25 年 8 月）<sup>28</sup>にも盛り込まれ、さらに「社会保障制度改革骨子」（平成 25 年 8 月 21 日閣議決定）<sup>29</sup>で平成 26 年の通常国会に難病患者の医療費助成制度を確立する法案を提出する方針が示された。これに基づいた「持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律」（平成 25 年法律第 112 号。以下「社会保障制度改革プログラム法」という。）は、難病及び小児慢性疾患対策について、難病対策に係る都道府県の超過負担の解消と、公平かつ安定的な医療費助成の新制度確立に向けて法制化するよう規定した。前者は財源の義務的経費化、後者は制度として確立された医療の社会保障給付、対象疾患の拡大、患者の認定基準の見直し、他の医療費負担軽減制度との均衡を考慮した見直し、を意味する。

並行して難病対策委員会は、社会保障制度改革骨子の閣議決定後、医療費助成の仕組みの構築に集中して検討を続け、社会保障制度改革プログラム法公布日の 12 月 13 日に、「難病対策の改革に向けた取組について（報告書）」<sup>30</sup>を取りまとめた。この報告書は難病対策の法制化に向けて、国が「難病対策に係る基本方針を定め、医療や研究開発の推進を図るとともに、福祉や雇用などの他の施策との連携を図る」とし、基本的事項として改めて、①効果的な治療方法の開発と医療の質の向上、②公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築、③国民の理解の促進と社会参加の為の施策の充実、の 3 点を掲げた。

なお、社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会「慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方（報告）」（平成 25 年 12 月）<sup>31</sup>も、難病対策法制化に向け、①医療費助成制度の構築、②研究の推進と医療の質の向上、③慢性疾患児の健全育成・社会参加の促進、地域関係者が一体となった自立支援の充実、の取組 3 点を具体的に提示した。特に成人移行（トランジション）問題として、難病・成人の医療機関との情報共有・連携と、成人期に向けた切れ目ない支援の重要性を記している。

## 2 難病対策の法制化

### （1）法案提出

「難病の患者に対する医療等に関する法律案」（第 186 回国会閣法第 24 号。以下「難病新法案」という。）及び「児童福祉法の一部を改正する法律案」（第 186 回国会閣法第 25 号）は、平成 26（2014）年 2 月 12 日に衆議院に提出された。難病新法案の目的は、社会保障制度改革プログラム法に従い、難病患者に対する医療費助成に消費税の収入を充て、公平かつ安定的な制度を確立すること、厚生労働大臣による基本方針の策定、調査研究の推進、療養生活環境整備事業（難病相談支援センター設置、訪問看護の拡充等）の実施等の措置を講ずることである。具体的には、次のとおりである。都道府県知事は、申請に基

<<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002udfj.html>>

<sup>28</sup> 社会保障制度改革国民会議「社会保障制度改革国民会議報告書 ー確かな社会保障を将来世代に伝えるための道筋ー」2013.8.6. 首相官邸 HP <<http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kokuminkaigi/pdf/houkokusyo.pdf>>

<sup>29</sup> 「社会保障制度改革推進法第 4 条の規定に基づく「法制上の措置」の骨子について」（閣議決定）2013.8.21. 内閣官房 HP <<http://www.cas.go.jp/jp/seisaku/syakaihosyou/pdf/kossi.pdf>>

<sup>30</sup> 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会「難病対策の改革に向けた取組について（報告書）」2013.12.13. 厚生労働省 HP <<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/0000032632.html>>

<sup>31</sup> 社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会「慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方（報告）」2013.12.18. 厚生労働省 HP <<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/0000032555.html>>



小児慢性特定疾患は約 600 に増え、受給者数は約 14.8 万人になるとされる<sup>36</sup>。患者負担 2 割への軽減、所得に応じた負担限度額設定、人工呼吸器装着者の負担のさらなる軽減、既認定者への 3 年間の経過措置等が実施される。所得の階層区分や負担限度額については、医療保険の高額療養費制度や障害者の自立支援医療（更生医療）<sup>37</sup>が参考にされた<sup>38</sup>。

成人難病患者の医療費自己負担限度額は、表 3 のとおりである。これまで 30 疾患にのみ設定されていた「軽快者」概念が全疾患に導入され、重症患者認定による無償化は廃止される一方で、「高額かつ長期」概念が難病全体に広げられる。また、症状が変動し入退院を繰り返す難病の特性に配慮して外来・入院の区別を廃し、受診した複数の医療機関等の自己負担（薬局での保険調剤、訪問看護を含む）もすべて合算した上で負担限度額を適用する。所得を把握する単位は、医療保険における世帯とし、所得を把握する基準は市町村民税（所得割）の課税額とした。同一世帯内に複数の対象患者がいる場合、負担が増えないよう、世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分する。このように、難病患者を抱える世帯の実際の医療費支出が、疾病名や療養生活の形態に左右されずに一定枠内に収まるような制度となる。

表 3 新しい難病患者（大人）の医療費自己負担限度額

（平成 27 年 1 月 1 日施行見込み）

階層区分	階層区分の基準 市町村民税課税額 （夫婦 2 人世帯の年収の目安）		患者負担割合:2 割					
			自己負担限度額(外来+入院) (月額)					
			原則			既認定者(経過措置 3 年間)		
			一般	高額かつ長期 (※)	人工呼吸器等 装着者	一般	現行の 重症患者	人工呼吸器等 装着者
生活保護	—		0 円	0 円	0 円	0 円	0 円	0 円
低所得 I	非課税 (世帯)	本人年収 ～80 万円	2,500 円	2,500 円	1,000 円	2,500 円	2,500 円	1,000 円
低所得 II		本人年収 80 万円超	5,000 円	5,000 円		5,000 円		
一般所得 I	課税～約 71,000 円未満 (約 160～370 万円)		10,000 円	5,000 円	1,000 円	5,000 円	5,000 円	1,000 円
一般所得 II	約 71,000 円～約 251,000 円未満 (約 370～810 万円)		20,000 円	10,000 円		10,000 円		
上位所得	約 251,000 円以上 (約 810 万円～)		30,000 円	20,000 円	1,000 円	20,000 円	5,000 円	1,000 円
入院時の食事			全額自己負担			1/2 自己負担		

※「高額かつ長期」とは、月ごとの医療費総額が 5 万円を超える月が年間 6 回以上ある者  
(例えば医療保険の 2 割負担の場合、医療費の自己負担が 1 万円を超える月が年間 6 回以上)

(出典) 「第 2. 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築(難病に係る新たな医療費助成の制度②)」(「難病対策の改革にむけた取組について(概要)」平成 25 年第 1 回厚生科学審議会疾病対策部会資料 1-1) 2014.1.30, p.4. <<http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-10601000-Daijinkanboukouseikagakuka-Kouseikagakuka/0000036234.pdf>> を基に筆者作成。

<sup>36</sup> 「医療費助成の拡充等で法改正へ—小児慢性特定疾患児支援専門委が報告案了承」『週刊国保実務』2891 号, 2013.12.30, p.22.

<sup>37</sup> 更生医療は、「身体障害者福祉法」(昭和 24 年法律第 283 号) 第 4 条に規定する身体障害者で、その障害を除去軽減する手術等治療によって確実に効果が期待できるものに対して提供される自立支援医療費の支給を行う。厚生労働省「自立支援医療(更生医療)の概要」  
<<http://www.mhlw.go.jp/bunya/shougaihoken/jiritsu/kousei.html>>

<sup>38</sup> 各制度の自己負担限度額については、泉真樹子「医療費における自己負担と医療アクセス—保険給付と高額療養費、難病対策その他の公費医療—」『レファレンス』716 号, 2010.9, pp.91-116. <[http://dl.ndl.go.jp/view/download/digidepo\\_3050291\\_po\\_071605.pdf?contentNo=1&alternativeNo=>](http://dl.ndl.go.jp/view/download/digidepo_3050291_po_071605.pdf?contentNo=1&alternativeNo=>)> を参照。

### (3) 小児慢性特定疾病対策とキャリアオーバー問題

小児慢性特定疾患児の医療費助成制度は、平成 17 年度から「児童福祉法」(昭和 22 年法律第 164 号)を根拠法としているが、これまでの予算上の位置づけは裁量的経費であった。今回の法改正により義務的経費になる。負担限度額については成人難病と同様の措置に加え、成人難病患者の半額程度の水準とされる(表 4 参照)。

**表 4 新しい小児慢性特定疾患児の医療費自己負担限度額**

(平成 27 年 1 月 1 日施行見込み)

階層区分	階層区分の基準 市町村民税課税額 (夫婦 2 人子 1 人世帯の 年収の目安)		患者負担割合:2割					
			自己負担限度額(外来+入院)(月額)					
			原則			既認定者(経過措置 3 年間)		
			一般	重症 (※)	人工呼 吸器等 装着者	一般	現行の 重症患者	人工呼 吸器等 装着者
I:生活保護	—		0円	0円	0円	0円	0円	0円
II:低所得 I	非課税 (世帯)	~80万円	1,250円	1,250円	500円	1,200円	1,250円	500円
III:低所得 II		80万円超~	2,500円	2,500円		2,500円		
IV:一般所得 I	課税~約 71,000 円未満 (約 200~430 万円)		5,000円	2,500円	500円	2,500円	2,500円	500円
V:一般所得 II	約 71,000 円~約 251,000 円未満 (約 430~850 万円)		10,000円	5,000円		5,000円		
VI:上位所得	約 251,000 円以上 (約 850 万円~)		15,000円	10,000円		10,000円		
入院時の食事			1/2 自己負担			自己負担なし		

※重症 : ① 高額な医療が長期的に継続する者(医療費総額が 5 万円/月(例えば医療保険の 2 割負担の場合、医療費の自己負担が 1 万円/月)を超える月が年間 6 回以上ある者)  
② 現行の重症患者基準に適合する者、のいずれかに該当。

(出典)「小児慢性特定疾患に係る新たな医療費助成の制度」(社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会「慢性疾患を抱える子どもとその家族への支援の在り方(報告)」別紙) 2013.12.18. <[http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12601000-Seisakutoukatsukan-Sanjikanshitsu\\_Shakaihoshoutantou/0000032612.pdf](http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-12601000-Seisakutoukatsukan-Sanjikanshitsu_Shakaihoshoutantou/0000032612.pdf)> を基に筆者作成。

従来より、成人難病患者の医療費助成制度(特定疾病治療研究事業。対象 56 疾患)との指定疾患の違いにより、18 歳(又は 20 歳)に達すると、医療費助成の対象とならない患者が多数発生することが問題視されてきた。この成人移行(トランジション)問題のひとつ(いわゆるキャリアオーバー)については、前述のとおり、社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会でも検討されたが、最終的に「総合的な支援の強化に取り組み、成人期に向けた切れ目ない支援を行っていくことが重要」との記述にとどまった<sup>39</sup>。①成人難病患者の対象疾病の拡大、②障害者総合支援法に基づく自立支援医療などでの支援につなげる、との解決策が記されている。

難病新法施行後は、成人難病の医療費助成制度は現在の 56 疾病から約 300 に拡大すると見込まれているが、小児慢性特定疾病(拡大後、約 600)とのギャップは依然として残る。難病新法案で、疾患名での指定は公平性・客観性の観点から引続き維持すべきとされたが、成人も小児も疾患名で対象が区切られる限り、制度の谷間に落ちる患者が発生する

<sup>39</sup> 社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会 前掲注(31), p.9.

ことは解決できない。専門委員会報告で示唆された「自立支援医療での支援」の拡大により、成人移行問題の縮小につながることを期待される。

#### （４）研究推進と医療提供体制整備

治療方法の開発と医療の質の向上のためには、これまで以上に研究開発の連携を押し進め、信頼できる研究データの集約活用が必要である。このために難病新法案が目指しているのは、①診断基準や診療ガイドラインの作成等を行う難治性疾患政策研究事業と、病態解明、遺伝子解析や新規治療薬・医療機器等の開発につなげる難治性疾患実用化研究事業の連携推進、②難病の症例数確保による研究推進や医療の質の向上、③研究成果の難病情報センター等を通じた最新情報提供、である。

難病の症例数確保のためには、患者全員が登録可能な難病患者データベースを構築する。データを登録した患者には、「難病患者登録証明書（仮称）」を発行する。データの正確性を担保するため、「難病指定医（仮称）」が診断し、患者データの登録を行う。これは、医療費助成制度の正しい運用のためにも行われることである。

また、医療の質向上のために、正しい診断や適切な治療が行える医療提供体制として、地域内に難病医療の拠点病院や医療機関を指定し、かかりつけ医等が日常診療を担当し、医療支援ネットワーク等により正しい診断ができる体制を、全国規模で整備することが目指されている。具体的には、①3次医療圏（原則、都道府県）ごとに「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」を1か所以上、「新・難病医療拠点病院（領域型）（仮称）」は適切な数を指定、②2次医療圏（複数の市町村単位）に「難病医療地域基幹病院（仮称）」を1か所程度指定、③国立高度専門医療研究センター、難病研究班、学会等が連携して「難病医療支援ネットワーク（仮称）」を形成、である。<sup>40</sup>

各都道府県に難病患者への医療提供拠点となる病院が必ず指定され、指定医が疾患の種類や重症度を統一的に判断することになる。医療費助成対象外の軽快者も、同意に基づき、その症状や治療状況がデータベース化される事が可能となっている。これまで助成対象疾病数が少ないため、医師が独自の判断で類似の助成対象疾患として扱うこともあったと指摘されており<sup>41</sup>、指定疾患の拡大により、今後は研究データとしての信頼性向上が期待される。厚生労働省の難病研究事業の多くは、新たに設置される独立行政法人「日本医療研究開発機構」<sup>42</sup>に移り、データベースも活用される予定である。

### 3 患者会と政策推進

難病対策において、当事者である患者とその家族は政策推進に大きく関わっている。スモン対策においては、昭和44（1969）年に結成された患者会「全国スモンの会」や各種の患者会が国会への請願等を行い、難病対策要綱策定を推進した。今回も、患者個人や統一的な患者団体である日本難病・疾病団体協議会（Japan Patients Association: JPA）が果たした役割は大きい。平成25（2013）年1月に「難病対策の改革について（提言）」が取りまとめられた際、個々の患者会は「所得に応じた自己負担」「入院時の食事の負担」に納得

<sup>40</sup> 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会 前掲注(30)

<sup>41</sup> 「そこが聞きたい 難病対策の新制度 伊藤たてお氏（日本難病・疾病団体協議会代表理事） 対象拡大しデータ集約」『毎日新聞』2014.2.26.

<sup>42</sup> 「独立行政法人日本医療研究開発機構法案」（第186回国会閣法第22号）

せず、指定医や指定医療機関制度の限定的な運用を警戒し、「新たな谷間を作る」「疾病名による新たな差別が生まれる」と批判した<sup>43</sup>。しかし、JPA は新しい難病対策の実現のため患者会の意見をまとめあげた。その一方で、平成 25 (2013) 年 10 月に厚生労働省が示した自己負担限度額案<sup>44</sup>に対しては過重であると強く主張し<sup>45</sup>、患者個人による批判も多かったため、現行案への引下げが実現した。現在の新制度案に対しては、JPA は早期実現を要望しており<sup>46</sup>、当事者関与が政策推進力となることが改めて示された。

## おわりに

難病対策では、医療費助成制度に最も関心が集まり、他の疾病とのバランスが問われる。どのような傷病にも適用される高額療養費制度でカバーされれば、公平性の面で十分ではないかとの指摘もある。しかし、難病患者は病気の希少性ゆえに専門医療機関が少なく、医療費以外に通院等の交通費負担が重く<sup>47</sup>、生命維持のために多額の介護費用、医療備品代などの自己負担を余儀なくされる<sup>48</sup>。今回の制度改革で、より多くの難病がカバーされ、他の医療費助成制度とバランスのとれた上限額が提示された。法制化による安定的な制度の構築は意義深い。その一方で、患者数の少ない「希少がん」や、新たに発見され診断法が確立していない原因不明の難治性疾病、患者数の多い原因不明の難治性疾病は難病対策の対象とならず、患者支援の公平性の観点からは課題が残る。また、障害者総合支援法での難病患者の範囲が難病対策と連動しているため、患者数の多寡で障害福祉サービスへのアクセスが左右される現状は、今後の解消が強く期待されている<sup>49</sup>。難病対策見直しの検討過程で示された「難病の治療研究を進め、疾患の克服を目指すとともに、難病患者の社会参加を支援し、難病にかかっても地域で尊厳を持って生きられる共生社会の実現を目指す」との基本理念や、「希少・難治性疾患の患者・家族を我が国の社会が包含し、支援していくことが、これからの成熟した我が国の社会にとってふさわしい」<sup>50</sup>との基本認識に従い、症状と治療の必要性、支援・介護ニーズ、所得、年齢等、さまざまな状況にある難病患者に、難病対策と障害者福祉施策が相互に補完しあって、当たり前で地域で生活し治療を受けられるようにするための支援提供が望まれる。

<sup>43</sup> 日本難病・疾病団体協議会「「難病対策の改革についての提言」とりまとめについての意見」2013.1.21.

<<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000002tl6o-att/2r9852000002tla8.pdf>>; 同「「難病対策の改革について(提言)」の取りまとめにあたって」2013.1.28. <<http://www.nanbyo.jp/appeal/130128kenkai.pdf>>

<sup>44</sup> 夫婦 2 人世帯で年収約 370 万以上の場合、自己負担限度額月額 44,400 円との案が提示された。「医療費助成の仕組みの構築について」(厚生科学審議会疾病対策部会第 33 回難病対策委員会(平成 25 年 10 月 18 日)資料 1) <<http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-10601000-Daijinkanboukouseikagakuka-Kouseikagakuka/0000026730.pdf>>

<sup>45</sup> 「難病の医療助成制度見直し 患者団体、負担軽減求める」『日本経済新聞』2013.11.10.

<sup>46</sup> 日本難病・疾病団体協議会「難病新法の早期実現に向けての要望書」2014.2.3.

<<http://www.nanbyo.jp/appeal/140203yobo.pdf>>

<sup>47</sup> 椋野美智子「総合的な難病対策の確立を」『週刊社会保障』2723 号, 2013.4.15, pp.32-33.

<sup>48</sup> 「医療費以外にも負担重く 医療ルネサンス No.5724 (難病とともに 続・変わる対策 1/5)」『読売新聞』2013.12.23.

<sup>49</sup> 茨木尚子「総合支援法「谷間の障害」の解消を望む」『福祉新聞』2013.4.15.

<sup>50</sup> 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会 前掲注(27)

**(別表) 難病対策の経緯**

<b>創設期</b>	<p>昭和45年10月 社会保険審議会「医療保険制度の根本的改正について」答申 「原因不明で社会的に対策を必要とする特定疾患について、全額公費負担とすべき」</p> <p>昭和47年10月 <b>「難病対策要綱」発表</b> ①調査研究の推進、②医療施設の整備、③医療費の自己負担の解消の3点を柱</p> <p>昭和48年4月 調査研究20疾患、<u>治療研究(医療費公費助成)6疾患に拡充</u></p> <p>昭和49年4月 <b>9疾患群について「小児慢性特定疾患治療研究事業」創設</b></p>
<b>充実期</b>	<p>昭和61年10月 国立精神・神経センター設立</p> <p>平成元年8月 「難病患者医療相談モデル事業」を開始(平成元年度 7都道府県)</p> <p>平成2年4月 「難病患者医療相談モデル事業」に訪問診療事業を新設</p> <p>平成5年4月 <b>「薬事法」改正、「医薬品副作用被害救済・研究振興基金法」改正</b> 希少疾病用医薬品の研究開発促進のため、10月から①助成金の交付、②税額控除、③指導・助言、④優先審査、⑤再審査期間の延長等を開始</p> <p>平成6年4月 難病患者地域保健医療推進事業の医療相談・訪問診療の実施県を47都道府県に拡大</p> <p>平成7年12月 公衆衛生審議会成人病難病対策部会難病対策専門委員会「最終報告」取りまとめ、 公衆衛生審議会成人病難病対策部会了承</p> <p>平成8年2月 特定疾患対策懇談会特定疾患調査研究班再編成検討委員会 報告「特定疾患調査研究班再編成計画」取りまとめ、特定疾患対策懇談会了承</p> <p>平成9年1月 <b>難病患者居宅生活支援事業の開始</b></p> <p>平成9年3月 難病情報センター事業の開始</p>
<b>再編期</b>	<p>平成9年9月 公衆衛生審議会成人病難病対策部会「今後の難病対策の具体的方向について(報告)」を取りまとめ、難病対策部会了承</p> <p>平成10年4月 「難病特別対策推進事業」に改編創設</p> <p><u>平成10年5月 患者一部負担を導入(外来1日につき1,000円(月2回)、入院1月14,000円)</u></p> <p>平成14年3月 国立成育医療センター設立</p> <p>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(平成13年9月設置)「中間報告」を取りまとめ</p> <p>平成14年6月 「小児慢性特定疾患治療研究事業の今後のあり方と実施に関する検討会」報告書</p> <p>平成15年4月 「難病相談・支援センター事業」創設</p> <p><u>平成15年10月 定額の患者負担を、所得と治療状況に応じた段階的な患者一部負担へ改正</u> <u>19疾患について、医療費助成を行わない「軽快者」基準設定</u></p> <p>平成17年4月 <b>小児慢性特定疾患治療研究事業が法制化(「児童福祉法」改正)</b></p> <p><u>平成17年4月 小児慢性特定疾患研究事業 世帯の所得税額等に応じた自己負担額を導入</u></p> <p>平成21年4月 難治性疾患克服研究事業大増額(前年度24億円→100億円)</p> <p>平成21年10月 特定疾患治療研究事業の対象に11疾患追加(56疾患に)</p> <p>平成22年4月 厚生労働副大臣を座長として、省内関係各局メンバーからなる「新たな難治性疾患対策の在り方検討チーム」を設置(～平成24年9月 第7回まで開催された)</p> <p>平成24年8月 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会「今後の難病対策の在り方(中間報告)」(16日)を、疾病対策部会が了承(22日)</p> <p>平成25年1月 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会「難病対策の改革について(提言)」を、疾病対策部会が了承</p> <p>平成25年4月 <b>「障害者総合支援法」の対象となる「障害者」に、難病患者が加わる</b></p> <p>平成25年12月 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会「難病対策の改革に向けた取組について(報告書)」を取りまとめ</p> <p>平成25年12月 社会保障審議会児童部会小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会(平成24年9月設置、平成25年1月中間報告)「慢性疾患を抱える子供とその家族への支援の在り方(報告)」取りまとめ</p> <p>平成26年2月12日 <b>「難病の患者に対する医療等に関する法律案」(第186国会閣法第24号)</b> <b>「児童福祉法の一部を改正する法律案」(第186国会閣法第25号)衆議院提出</b></p>

\* 太字 … 主な制度の創設時

\*\* 下線付き斜字… 患者負担に関する事項

(出典) 厚生労働省健康局疾病対策課『難病対策提要 平成24年度版』pp.4-11等を基に筆者作成。