

難病対策の法制化

— 難病の患者に対する医療等に関する法律案 —

厚生労働委員会調査室 藤田 雄大

1. はじめに

第 186 回国会に提出された「難病の患者に対する医療等に関する法律案」は、難病の患者に対する医療その他難病に関する施策に関し、基本方針の策定、難病に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度の確立、難病の医療に関する調査及び研究の推進、療養生活環境整備事業の実施等の措置を講じようとするものである。

難病対策については、昭和 47 年の「難病対策要綱」の策定以来、約 40 年にわたり予算事業として行われてきた。現行の特定疾患治療研究事業は患者の医療費負担の軽減という側面があるものの、主たる目的は難治性疾患克服のための治療研究の推進であった。今回、法制化により、難病患者の社会参加の機会確保及び地域社会における共生が基本理念として掲げられるとともに、公費負担による医療費助成等の措置が法律に基づく制度として講じられる。

本稿では、難病対策の経緯と現状、制度見直しの経緯について概観した後、法律案の主な内容について紹介し、あわせて、幾つかの論点について整理を試みるものである。

2. 難病対策の経緯と現状

(1) 経緯

難病対策のきっかけとなったのは、スモンの発生であった。スモンは進行すると歩行障害や視覚障害をもたらす疾病であり、当時は原因が不明であった¹。

スモンに対する取組は難病対策の推進に大きな役割を演じた。その後スモン以外の難病についても対策が講じられ、難治性の疾患、高額な医療費を要する疾患についての対策が医療費の面を中心として拡大され、調査研究も進められた。

社会保険審議会（当時）は昭和 45 年 10 月、厚生大臣の諮問（「医療保険制度の抜本的改正について」）に対し、「原因不明でかつ社会的にその対策を必要とする特定疾患については、全額公費負担とすべきである。」との答申を行っている。昭和 46 年 4 月に厚生省内に設置された難病対策プロジェクトチームは、難病対策の考え方、対策項目などについて検討を行い、昭和 47 年 10 月、その結果を「難病対策要綱」としてまとめた。また、昭和 47 年 4 月には、国会において、難病についての集中審議が行われ、ここで述べられた参考人の意見が厚生省の「難病対策要綱」にいかされた。

¹ スモンは昭和 33 年 6 月に学会で初めて発表された。現在では、整腸剤キノホルムの服用が原因と判明している。

難病対策要綱

47年10月
厚生省

いわゆる難病については、従来これを統一的な施策の対策としてとりあげていなかったが、難病患者のおかれている状況にかんがみ、総合的な難病対策を実施するものとする。

難病対策として取り上げるべき疾病の範囲についてはいろいろな考え方があるが、次のように整理する。

- (1) 原因不明、治療方法未確立であり、かつ、後遺症を残すおそれが少なくない疾病（例：ベーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス）
- (2) 経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家族の負担が重く、また精神的にも負担の大きい疾病（例：小児がん、小児慢性腎炎、ネフローゼ、小児ぜんそく、進行性筋ジストロフィー、腎不全（人工透析対象者）、小児異常行動、重症心身障害児）

対策の進め方としては、次の三点を柱として考え、このほか福祉サービスの面にも配慮していくこととする。

- (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

なお、ねたきり老人、がんなど、すでに別個の対策の体系が存するものについては、この対策から、除外する。

（２）現行の難病対策の概要

「難病対策要綱」によれば、難病対策として取り上げるべき疾病の範囲は、

- ① 原因不明、治療方法未確立であり、かつ、後遺症を残すおそれが少なくない疾病
- ② 経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家族の負担が重く、また精神的にも負担の大きい疾病

とされている。

難病対策については、「難病対策要綱」に基づき、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軽減、④地域における保健医療福祉の充実・連携、⑤QOL²の向上を目指した福祉施策の推進が掲げられている。

現在、この5本の柱に基づき、難治性疾患克服研究事業及び特定疾患治療研究事業、小児慢性特定疾患治療研究事業³を始め、各種の施策が講じられている。

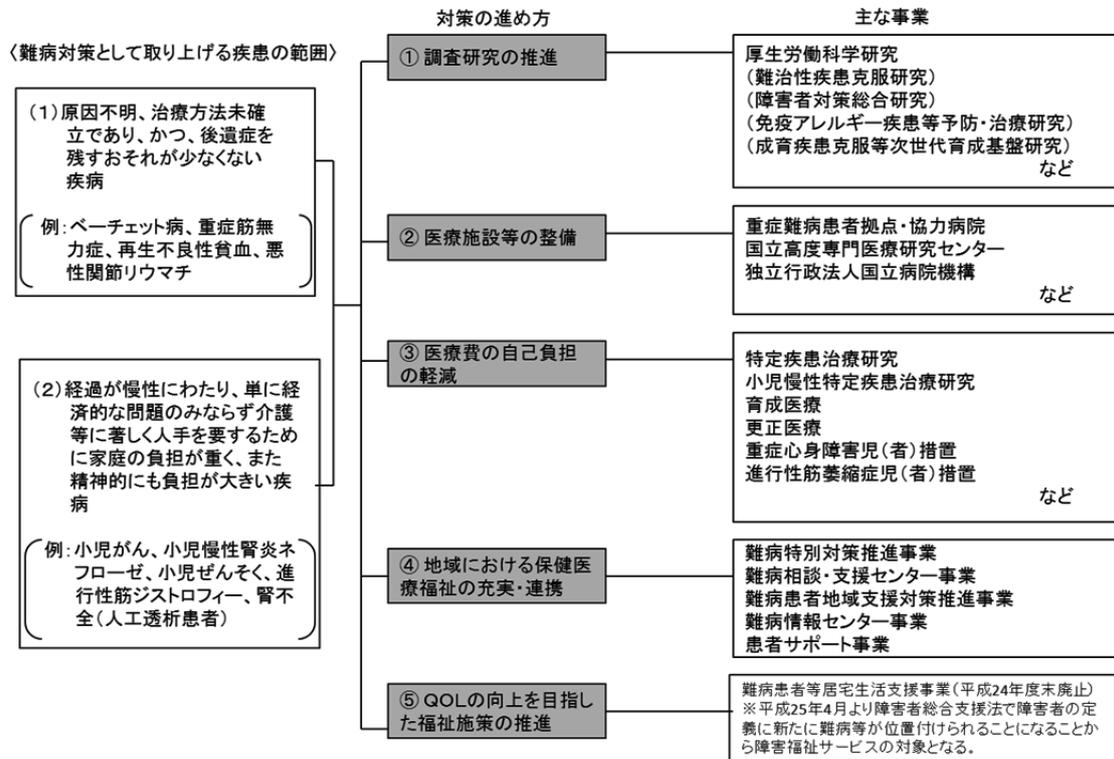
² Quality of Life、生活の質。

³ 小児慢性特定疾患治療研究事業は、児童福祉法に基づき、小児がんなどの特定疾患について医療費助成を行っているものである。なお、小児慢性特定疾病に係る新たな医療費助成制度の確立等の措置を講じるため、第186回国会に「児童福祉法の一部を改正する法律案」（閣法第25号）が提出されている。

図表 1

難病対策の概要

難病対策については、昭和47年に定められた「難病対策要綱」を踏まえ各種の事業を推進している。



(出所) 厚生労働省による

(3) 難治性疾患克服研究事業

難治性疾患克服研究事業(平成10年度までは特定疾患調査研究事業、その後平成14年度までは特定疾患対策研究事業)は、難治性疾患の原因解明や治療方法の確立を目的としている。昭和47年度からスモン、パーチェット病など8疾患を対象に始まり、以後、調査研究の拡充が図られてきた。対象疾患は、「難病対策要綱」の概念を中心に、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という4要素によって整理される。これら対象疾患については、原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、特定疾患対策懇談会⁴の意見を聴いて決定することとされている。

平成7年11月には、特定疾患対策懇談会の下に特定疾患調査研究班再編検討委員会が設置され、それまでの研究事業に対する評価を踏まえ、より効率的、重点的な研究

⁴ 厚生労働省健康局長の私的諮問機関

が行えるような研究体制の構築が検討された。同委員会は平成8年2月、「特定疾患調査研究班再編成計画書」を取りまとめ、平成8年度からはこの報告書に沿った研究体制により研究が推進されている。

従来、この事業は、厚生科学研究⁵とは別の枠組みで進められてきたが、平成11年度における再編により厚生科学研究の一研究事業として組み込まれることとなり、名称も「特定疾患調査研究事業」から「特定疾患対策研究事業」に変更された。さらに、平成15年度に「難治性疾患克服研究事業」に再編され、難治性疾患の治療方法の確立を目指した研究が行われている。また、平成21年度には、臨床調査研究分野の対象疾患を123疾患から130疾患に拡大した。このほか、研究奨励分野が設けられ、これまで十分に研究が行われていない疾患について、診断方法の確立や実態把握のための研究の充実が図られている（平成25年度234疾患。）。

（4）特定疾患治療研究事業

特定疾患治療研究事業は、難治性疾患克服研究事業の対象疾患のうち、診断基準が一応確立し、かつ、難治度及び重症度が高く、さらに、患者数が比較的少ない疾患について、公費負担により受療を促進することによって、その原因を究明し、もって治療法の開発等に資するとともに、患者の医療費の負担軽減を図ることを目的としている。対象疾患は平成26年4月現在、56疾患である。

この事業は、昭和46年7月からスモンによる入院患者に治療研究への協力に対する謝金という形で月額1万円を支給したのが始まりである。昭和48年度からは、難病対策強化充実策の一環として、特定疾患の治療費について、入院、通院を問わず社会保険各法の規定に基づく医療費の自己負担分を全額公費で負担（国と都道府県で1/2ずつ負担）することとなった。

制度発足後の医学の進歩により、死亡率や生活の質が大幅に改善した疾患も多い一方、依然として重篤で療養に大きな負担を要する患者もいるなど、難病患者を取り巻く環境が変化してきた。こうした状況を踏まえ、平成10年には、重症患者対策に重点を置いた難病対策の再編成が行われた。これにより、各種の新たな療養支援対策が実施されるとともに、医療費の患者負担分を全額公費で負担する従来の制度が見直され、平成10年5月から重症患者を除いて、定額による患者負担が導入された。

患者負担の在り方については、「厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会中間報告」（平成14年8月23日）を踏まえ、平成15年10月には、他の難治性疾患や障害者医療との公平性の観点等から、所得と治療状況に応じた段階的な患者一部負担に変更するとともに、低所得者（患者の生計中心者の所得状況が市町村民税非課税の場合）については、全額公費負担とされた。

⁵ 現在の厚生労働科学研究。産官学の各分野が協力して新しい知見を生み出すために行われる厚生労働省の研究。

図表2 現行の医療費助成の対象疾患一覧

疾患番号	疾患名	実施年月	疾患番号	疾患名	実施年月
1	ペーチェット病	昭和47年 4月	31	原発性胆汁性肝硬変	平成 2年 1月
2	多発性硬化症	昭和48年 4月	32	重症急性膵炎	平成 3年 1月
3	重症筋無力症	昭和47年 4月	33	特発性大腿骨頭壊死症	平成 4年 1月
4	全身性エリテマトーデス(SLE)	〃	34	混合性結合組織病	平成 5年 1月
5	スモン	〃	35	原発性免疫不全症候群	平成 6年 1月
6	再生不良性貧血	昭和48年 4月	36	特発性間質性肺炎	平成 7年 1月
7	サルコイドーシス	昭和49年10月	37	網膜色素変性症	平成 8年 1月
8	筋萎縮性側索硬化症(ALS)	〃	38	プリオン病	平成14年 6月統合
9	強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎	〃	①	クロイツフェルト・ヤコブ病	平成 9年 1月
10	特発性血小板減少性紫斑病	〃	②	ガストマン・ストロイスラー・シャインカー病	平成14年 6月
11	結節性動脈周囲炎	昭和50年10月	③	致死性家族性不眠症	平成14年 6月
12	潰瘍性大腸炎	〃	39	肺動脈性肺高血圧症	平成10年 1月
13	大動脈炎症候群(高安動脈炎)	〃	40	神経線維腫症	平成10年 5月
14	ビュルガー病(バージャー病)	〃	41	亜急性硬化性全脳炎(SSPE)	平成10年12月
15	天疱瘡	〃	42	バッド・キアリ(Budd-Chiari)症候群	〃
16	腎髄小脳変性症	昭和51年10月	43	慢性血栓性肺高血圧症	〃
17	クローン病	〃	44	ライソゾーム病	平成14年 6月統合
18	難治性肝炎のうち劇症肝炎	〃	①	ファブリー病	平成11年 4月
19	悪性関節リウマチ	昭和52年10月	②	ライソゾーム病	平成13年 5月
20	パーキンソン病関連疾患	〃	45	副腎白質ジストロフィー	平成12年 4月
①	進行性核上性麻痺	平成15年10月	46	原発性高脂血症(家族性高コレステロール血症(ホモ接合体))	平成21年10月
②	大脳皮質基底核変性症	平成15年10月	47	腎髄性筋萎縮症	平成21年10月
③	パーキンソン病	昭和53年10月	48	球腎髄性筋萎縮症	平成21年10月
21	アミロイドーシス	昭和54年10月	49	慢性炎症性脱髄性多発神経炎	平成21年10月
22	後縦帯骨化症	昭和55年12月	50	肥大型心筋症	平成21年10月
23	ハンチントン病	昭和56年10月	51	拘束型心筋症	平成21年10月
24	モヤモヤ病(ウイルス動脈輪閉塞症)	昭和57年10月	52	ミトコンドリア病	平成21年10月
25	ウェゲナー肉芽腫症	昭和59年 1月	53	リンパ脈管筋腫症(LAM)	平成21年10月
26	特発性拡張型(うっ血型)心筋症	昭和60年 1月	54	重症多形滲出性紅斑(急性期)	平成21年10月
27	多系統萎縮症	〃	55	黄色靱帯骨化症	平成21年10月
①	線条体黒質変性症	平成15年10月	56	間脳下垂体機能障害(PRL分泌異常症、ゴナドトロピン分泌異常症、ADH分泌異常症、下垂体性TSH分泌異常症、クッシング病、先端巨大症、下垂体機能低下症)	平成21年10月
②	オリブ橋小脳萎縮症	昭和51年10月			
③	シャイ・ドレーガー症候群	昭和61年 1月			
28	表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型)	昭和62年 1月			
29	膿疱性乾癬	昭和63年 1月			
30	広範脊柱管狭窄症	昭和64年 1月			

※対象疾患は平成25年1月現在における対象疾患である。

(出所) 厚生労働省

3. 制度見直しの経緯

(1) 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会における検討

これまでの難病対策に対しては、医療費助成・研究事業の対象疾患に限られており不公平感があることや、医療費助成の総事業費が毎年増加する中で、予算事業(裁量的経費)であるため国の予算が十分に確保できず、都道府県の超過負担が拡大しているなどといった指摘がなされてきた。

平成23年9月26日に開催された厚生科学審議会疾病対策部会は、難病対策について議論を行い、この議論を踏まえ、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。)に対し、

- ① 特定疾患治療研究事業、いわゆる医療費助成制度については、その福祉的側面について、経費の膨脹・都道府県の超過負担の問題があり、さらに対象疾患選定への不公平感もあることから、制度の安定性及び公平性について考えていく必要があるのではないか。また、研究事業としても十分機能するよう、改善が必要なのではないか。
- ② 原因究明、治療法開発等を行っている難治性疾患克服研究事業等についても、5,000~7,000疾患あるとも言われている希少疾患の中で、ごく一部しか研究していないこともあり、患者間に不公平感がある。今後どのような形で研究を進めて

いくつか検討する必要があるのではないか。

の2点を中心として、具体的・専門的検討を行うよう指示がなされた⁶。

このため、平成23年9月から、難病対策委員会において総合的な難病対策が検討されてきた。

難病対策委員会は平成23年12月1日、今後の難病対策の検討に当たっての中間的な整理⁷を行った。まず、難病に対する基本的な認識として、「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」ことを示した。次いで、現在の難病対策の課題や今後の見直しに当たってのポイントを示し、方向性として、第一に「医療費助成について、事業の公正性、他制度との均衡、制度の安定性の確保の観点に立ち、法制化も視野に入れ、希少・難治性疾患を幅広く公平に助成の対象にすることを検討する」こと、第二に「希少・難治性疾患の特性を踏まえ、治療研究の推進、医療体制の整備、国民への普及啓発、福祉サービスの充実、就労支援等を始めとした総合的・包括的な施策の実施や支援の仕組みを検討する」ことを示した。

難病対策委員会はこの整理を基に、その後も、後述の社会保障・税一体改革大綱（平成24年2月17日閣議決定）等も踏まえ、難病対策の必要性和理念、「難病」の定義の在り方、医療費助成の在り方等の各々の項目について議論し、論点・課題の整理を行い、平成24年8月16日、「今後の難病対策の在り方（中間報告）」を取りまとめた。

中間報告では、医療費助成の在り方について、対象疾患の範囲の拡大を含めた見直しに言及している。その一方で、効果的な治療方法が確立するなどした疾患については、引き続き対象疾患として取り扱うことが適当であるかを定期的に評価し、見直ししていくことが必要であるとしているほか、医療費助成の給付水準について、重症度や所得に応じて見直しを検討する必要性を指摘している。また、自治体の指定を受けた専門医が対象疾患の診断を行う必要性について指摘がなされている。

厚生労働省は平成24年10月、難病対策委員会に対し、上記中間報告を具体化し、患者団体の意見を反映させた「難病対策の改革の全体像（案）」を示し、これを受け、難病対策委員会で更に議論が行われた。難病対策委員会は平成25年1月25日、「難病対策の改革について（提言）」を取りまとめ、法制化も含め官民が協力して取り組むべき改革の内容について提言を行った。

提言では、医療費助成の対象疾患について、難治性疾患克服研究事業「今後の難病対策のあり方に関する研究班」⁸の中間報告による類型化を前提に、

- ① 症例が比較的少ないために全国的な規模で研究を行わなければ対策が進まない。
- ② 原因不明（病態が未解明なもの。）
- ③ 効果的な治療方法未確立（治療方法がないもの。進行を遅らせ一時的に症状を緩

⁶ 平成23年度第1回厚生科学審議会疾病対策部会（平成23年9月26日開催）における議論概要及び難病対策委員会への検討指示事項

⁷ 「今後の難病対策の検討に当たって（中間的な整理）」（平成23年12月1日 難病対策委員会）

⁸ 国内外の難病対策の動向を踏まえ、今日の難病対策の基盤となる研究開発環境を整備するための方法論を開発するとともに、難病対策の推進上の様々な課題に対する政策提言を行うことを目的とした研究。

和できるもの。一定の治療法があるが、軽快と増悪を繰り返すもの。)

④ 生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とするもの。）

という4要素を満たし、一定の診断基準や診断基準に準ずるものが確立しており、客観的な指標がある疾患（類縁疾患として疾患概念が明確なものを含む。）とすることが適当であるとしている。その上で、上記4要素のうち①の希少性について、

- (A) 患者数が1,000人以下
- (B) 患者数が1,000人を上回り、5万人以下
- (C) 患者数が5万人を上回り、人口の0.1%程度以下
- (D) 患者数が人口の0.1%を上回る

という4つの類型が例示されている。

対象疾患の拡大を検討する方向性の一方で、制度の安定性・持続可能性を確保するため、適切な患者負担の在り方も併せて検討することとしている。高齢者、障害者等を対象とする他制度の給付との均衡を図り、対象患者の一部負担について、低所得者に配慮しつつ、所得等に応じて月額限度額を設定するとし、一部負担額が0円となる重症患者の特例を見直し、全ての者について、所得等に応じて一定の自己負担を求めるとしている。

提言にはそのほか、診断、治療に多くの診療科が必要な難病に対して対応できる高い専門性を有する病院を「新・難病医療拠点病院（仮称）」として指定すること、地域医療の推進や入院・療養施設の確保等のため「難病医療地域基幹病院（仮称）」を指定すること、「難病指定医（仮称）」として指定された難病について専門的な知見を有する医師が診断を行い、その診断・症状の程度の判定の適正性・妥当性を「難病認定審査会（仮称）」が審査することなどが盛り込まれている。

（2）社会保障・税一体改革での検討状況

平成24年2月17日に閣議決定された「社会保障・税一体改革大綱」では、難病患者の医療費助成について、法制化も視野に入れ、助成対象の希少・難治性疾患の範囲の拡大を含め、より公平・安定的な支援の仕組みの構築を目指すこととされている。

社会保障制度改革推進法に基づいて設置された社会保障制度改革国民会議は平成25年8月6日、報告書を取りまとめた。報告書では、「難病で苦しんでいる人々が将来に『希望』を持って生きられるよう、難病対策の改革に総合的かつ一体的に取り組む必要があり、医療費助成については、消費税増収分を活用して、将来にわたって持続可能で公平かつ安定的な社会保障給付の制度として位置づけ、対象疾患の拡大や都道府県の超過負担の解消を図るべきである。ただし、社会保障給付の制度として位置づける以上、公平性の観点から欠くことはできず、対象患者の認定基準の見直しや、類似の制度との均衡を考慮した自己負担の見直し等についても併せて検討することが必要である。」とされている。

社会保障制度改革推進法は、法律の施行後1年以内に、社会保障制度改革国民会議における審議の結果等を踏まえて、社会保障制度改革に必要な法制上の措置を講ずる

ものとしている。これを受け、「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』について」が平成25年8月21日に閣議決定され、さらに、同年の第185回国会（臨時会）において、「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」（以下「社会保障制度改革プログラム法」という。）が成立した。同法は難病対策について、以下のとおり規定している。

社会保障制度改革プログラム法（抄）

第四条 1～9 （略）

10 政府は、この法律の施行の際現に実施されている難病及び小児慢性特定疾患（児童福祉法第二十一条の五に規定する医療の給付の対象となる疾患をいう。以下この項において同じ。）に係る医療費助成について、難病対策に係る都道府県の超過負担の解消を図るとともに、難病及び小児慢性特定疾患に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度（以下この項において「新制度」という。）を確立するため、新制度の確立に当たって、次に掲げる事項その他必要な事項について検討を加え、その結果に基づいて必要な措置を講ずるものとする。

- 一 新制度を制度として確立された医療の社会保障給付とすること。
- 二 新制度の対象となる疾患の拡大
- 三 新制度の対象となる患者の認定基準の見直し
- 四 新制度の自己負担の新制度以外の医療費に係る患者の負担の軽減を図る制度との均衡を考慮した見直し

11 政府は、前項の措置を平成二十六年度を目途に講ずるものとし、このために必要な法律案を平成二十六年に開会される国会の常会に提出することを目指すものとする。

なお、平成25年1月27日には、総務大臣、財務大臣及び厚生労働大臣により、「特定疾患治療研究事業については、平成26年度予算において超過負担の解消を実現すべく、法制化その他必要な措置について調整を進めること」が合意されている⁹。

（3）新たな制度案の具体化作業

難病対策委員会の委員長から具体的な案を出すよう指示¹⁰があったことから、厚生労働省は平成25年10月18日、難病対策委員会に対し、新制度で患者に求める自己負担額の素案となる「難病に係る新たな医療費助成の制度案（たたき台）」を示した。このたたき台では、自己負担割合を現行の3割から2割に引き下げた上で、自己負担の限度額について、医療保険における70歳以上の高額療養費制度を参考に、所得に応じて

⁹ 「平成25年度における年少扶養控除等の見直しによる地方財政の追加増収分等の取扱い等について」

¹⁰ 第32回難病対策委員会（平成25年10月10日）議事録

4段階とし、最大で月4万4,400円とした¹¹。また、助成の対象は、一定の症状以上の重症者や高額な医療を要する場合に限定するとした。これに対し、委員から、現行の特定疾患治療研究事業と比べ、急激な負担増となることを避けるため、所得区分を細分化すべきであるなどの意見が示された。

難病対策委員会での議論を踏まえ、厚生労働省は平成25年10月29日、難病対策委員会に対し、「難病対策の改革に向けた取組について（素案）」を示した。素案では、18日のたたき台を修正し、所得に応じた区分を6段階¹²に細分化し、各区分で負担上限を収入の10%を超えないようにしている。また、所得については、医療保険と同様に世帯単位で把握することとしている¹³。医療費助成の対象疾患の候補については、「医療費助成の対象とする疾患は年齢によらず、①患者数が人口の0.1%程度以下、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の4要素を満たしており、かつ、客観的な指標に基づく一定の診断基準が確立している疾患とする。疾患の選定にあたっては難病研究で得られた成果を参考とする。」としている。この考え方に沿うと、医療費助成の対象疾患は300疾患程度となることが示されている。

図表3

医療費助成の対象疾患				
	患者数			
	1000人以下 (不明含む)	1000人を上回り 5万人以下	5万人を上回り 人口の0.1%程度以下	人口の0.1%程度を上回る
診断基準あり	約70疾患	約80疾患	10疾患以下	10疾患以下
診断基準に準ずるものあり	約100疾患	約60疾患	10疾患以下	10疾患以下
診断基準なし	約40疾患			

※上記の考え方に沿うと、医療費助成の対象となる候補は赤字内の約300疾患。
現在、研究班において研究途中の結果を基にした疾患数。医療費助成の対象疾患は、最終的には第三者的な委員会にて決定される。疾患の分類方法によって、今後疾患数は変わり得る。

※ 医療費助成の対象疾患に関する考え方を踏まえると、対象外と考えられるもの

- 希少性、原因不明等の観点から
生活習慣(喫煙、飲酒等)、薬剤、感染症、加齢現象等、誘因が明らかである疾患、悪性腫瘍
- 効果的な治療法未確立の観点から
手術など一定程度の治療法が確立し効果的に施行することが可能な疾患
- 生活面への長期にわたる支障の観点から
周産期疾患、急性疾患
- 疾患概念が大きいまたは病態名であるもの

平成24年度「今後の難病対策のあり方に関する研究」(分担研究「希少・難治性疾患の類型化に関する研究」)報告書を基に作成。

(出所) 厚生労働省

¹¹ 新規認定者の場合。既認定者については、低所得者に配慮しつつ、おおむね3年程度の経過措置を別途検討。

¹² 自己負担限度額について難病対策委員会の最終案では、生活保護世帯を含め所得に応じた6段階としていた。法律案では、他の法令による給付との調整を政令で定めることとしている。

¹³ 現行の特定疾患治療研究事業では、生計中心者の所得で把握している。

厚生労働省が素案で示した難病の医療費助成の新制度案に対し、6つの難病患者団体が要望書を厚生労働省に提出するなど、軽症者が助成の対象から外れることや現行の医療費助成制度より負担が重くなることに懸念や批判の声が上がった¹⁵。

こうした懸念や批判を受け、田村厚生労働大臣は平成25年11月24日、患者の自己負担を最大月4万4,400円としていた案を修正し、障害者を対象とした自立支援医療を参考に、自己負担を軽減する意向を表明した¹⁶。

以上のような経緯により、難病対策委員会は平成25年12月13日、最終案となる「難病対策の改革に向けた取組について」を取りまとめた。同案では医療費助成の対象疾患を56疾患（対象患者数約78万人）から約300疾患（対象患者数約150万人）に拡大する一方、助成の対象を一定の症状以上の重症者や高額な医療を要する者としている。ただし、軽症者であっても、高額な医療を継続することが必要な者については、医療費助成の対象とすることが適当であるとしている。自己負担については、自己負担割合を現行の3割から2割へ引き下げた上で、原則として、所得に応じた6段階の区分ごとに月2,500円～最大3万円（医療費の負担が高額かつ長期となる場合は最大月2万円。人工呼吸器など、生命維持装置を常時装着し、日常生活が著しく制約される場合は最大月1,000円。）となっている。

また、効果的な治療方法の開発と医療の質の向上のため、難病患者データベースを構築し、登録された難病患者データについて、一元的に管理し、研究におけるデータの必要性や倫理的観点などについて審査の上、個人情報保護について十分に配慮し、難病研究に携わる研究機関、医療機関等に対し、幅広く難病患者データを提供することとしている。このほか、「新・難病医療拠点病院（総合型）（仮称）」や「指定医療機関（仮称）」の指定など、医療提供体制の確保についても盛り込まれている。

このような検討を経て、政府は平成26年2月12日、「難病の患者に対する医療等に関する法律案」を閣議決定し、同日、第186回国会に提出した。

4. 法律案の主な内容及び論点

本法律案は、社会保障制度改革プログラム法に基づく措置として、難病の患者に対する医療費助成に関して、法定化によりその費用に消費税の収入を充てることができるようにするなど、公平かつ安定的な医療費助成の制度を確立するほか、基本方針の策定、調査及び研究の推進、療養生活環境整備事業の実施等の措置を講じようとするものである。

¹⁴ 日本ALS協会、全国脊髄小脳変性症・多系統萎縮症友の会、全国パーキンソン病友の会、全国多発性硬化症友の会、全国筋無力症友の会、全国CIDPサポートグループ

¹⁵ 『朝日新聞』（平25.11.2）、『東京新聞』（平25.11.2）

¹⁶ 『読売新聞』（平25.11.25）、『朝日新聞』（平25.11.25）、『毎日新聞』夕刊（平25.11.25）ほか

法律案の概要

・基本方針の策定

厚生労働大臣は、難病に係る医療その他難病に関する施策の総合的な推進のための基本的な方針を策定。

・難病に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度の確立

特定医療費の支給

都道府県知事は、申請に基づき、医療費助成の対象疾病（指定難病）の患者に対して、医療費（特定医療費）を支給。

指定医療機関

指定難病に係る医療を実施する医療機関を、都道府県知事が指定。

指定医による診断書の作成

特定医療費の支給認定の申請に添付する診断書は、都道府県知事の定める医師（指定医）が作成。

指定難病審査会

都道府県は、特定医療費の支給認定の申請があった場合に、支給認定をしないこととするときは、指定難病審査会（指定難病に関し学識経験を有する者（指定医である者に限る。）により構成。）に審査を求めなければならない。

費用負担

医療費の支給に要する費用は都道府県の支弁とし、国はその2分の1を負担。家計の負担能力等をしん酌して政令で定める額の自己負担あり。

・難病の医療に関する調査及び研究の推進

国は、難病の発病の機構、診断及び治療方法に関する調査及び研究を推進。

・療養生活環境整備事業の実施

都道府県は、難病相談支援センターの設置や訪問看護の拡充実施等、療養生活環境整備事業を実施できる。

・施行日

一部の規定を除き、平成27年1月1日

・検討規定

政府は、この法律の施行後5年を目途として、この法律の規定について、その施行の状況等を勘案しつつ、特定医療費の支給に係る事務の実施主体の在り方その他の事項について検討を加え、必要があると認めるときは、その結果に基づいて必要な措置を講ずるものとする。

以下、主な事項について、内容及び論点を整理することとしたい。

（1）基本方針の策定

ア 現状

現在の難病対策は、「難病対策要綱」に基づき、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軽減、④地域における保健医療福祉の充実・連携、⑤

QOLの向上を目指した福祉施策の推進という5本の柱により、各種の施策が推進されている（図表1参照）。

イ 法律案の内容

法律案では、厚生労働大臣は、関係行政機関の長に協議するとともに、厚生科学審議会の意見を聴いた上で、難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針（基本方針）を定めなければならないとされている。基本方針において定める項目として、①難病の患者に対する医療等の推進の基本的な方向、②難病の患者に対する医療を提供する体制の確保に関する事項、③難病の患者に対する医療に関する人材の養成に関する事項、④難病に関する調査及び研究に関する事項、⑤難病の患者に対する医療のための医薬品及び医療機器に関する研究開発の推進に関する事項、⑥難病の患者の療養生活の環境整備に関する事項、⑦難病の患者に対する医療等と難病の患者に対する福祉サービスに関する施策、就労の支援に関する施策その他関連する施策との連携に関する事項、⑧その他難病の患者に対する医療等の推進に関する重要事項が規定されている。これらの事項は、難病に係る医療や研究開発推進にとどまらず、福祉や雇用などの他の施策との連携を図るものとなっている。

（2）指定難病（医療費助成の対象となる疾病の拡大）

ア 現状

現行の特定疾患治療研究事業の対象疾患は、難治性疾患克服研究事業（2.（3）参照）の対象疾患のうち、診断基準が一応確立しているものの中から、原因究明の困難性、難治度、重症度及び患者数等を総合的に勘案し、学識経験者から構成される特定疾患対策懇談会の意見を踏まえ決定される。事業創設時の4疾患から始まり約40年かけて徐々に対象が追加され、平成26年4月現在、56疾患である（図表2参照）。数多くあるいわゆる難病のうち、医療費助成の対象は56疾患に限られている。このため、対象疾患と同様に医療の必要性や生活面への支障を抱えるものの、対象とならず長期にわたり高額な医療費負担を余儀なくされている患者等から対象疾患の拡大が望まれているほか、選定基準が不明確であり、事業の公正性に問題があるとの指摘もある。

イ 法律案の内容

法律案では難病を、「発病の機構が明らかでなく、かつ、治療方法が確立していない希少な疾病であって、当該疾病にかかることにより長期にわたり療養を必要とすることとなるもの」と定義している。難病のうち医療費助成（特定医療費の支給）の対象となる疾病（指定難病）は、国内の患者数が厚生労働省令で定める人数に達せず、かつ、客観的な一定の診断基準が定まっているなど厚生労働省令で定める要件を満たすものであって、良質かつ適切な医療の確保を図る必要性が高いものとして、厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴いて指定するものとされる。このうち、厚生労働省令で定める人数については、人口の0.1%程度以下であることを規

定することが予定されている。その上で、その病状が一定程度以上の場合又は一定程度以上でなくとも多額の医療費がかかるなど治療状況その他を勘案した基準に該当する場合（軽症であっても、多額の医療費がかかる場合など。）に特定医療費が支給される。

ウ 主な論点

上記イの基準によると、新制度の医療費助成の対象疾病は 300 疾病程度になるとされている。数多く存在するいわゆる難病の中から対象疾病を選定するに当たり、基準や手続の透明性、公平性が求められるとともに、対象を 300 疾病に限定することなく、選定基準を満たす疾病については必要に応じて対象疾病に追加していくことが望まれるほか、人口の 0.1%程度以下という基準についてどのように評価されるのか注目される。また、現行の特定疾患治療研究事業の対象疾患のうち新制度では対象とならない疾病や、将来的に対象から除外される疾病が生じることも想定され、そういった疾病に対する対応を考える必要がある。さらに、医療費助成の対象とならない軽症者も生じることが想定されるため、指定難病がどの程度の病状であれば特定医療費の支給対象になるのか注目される。

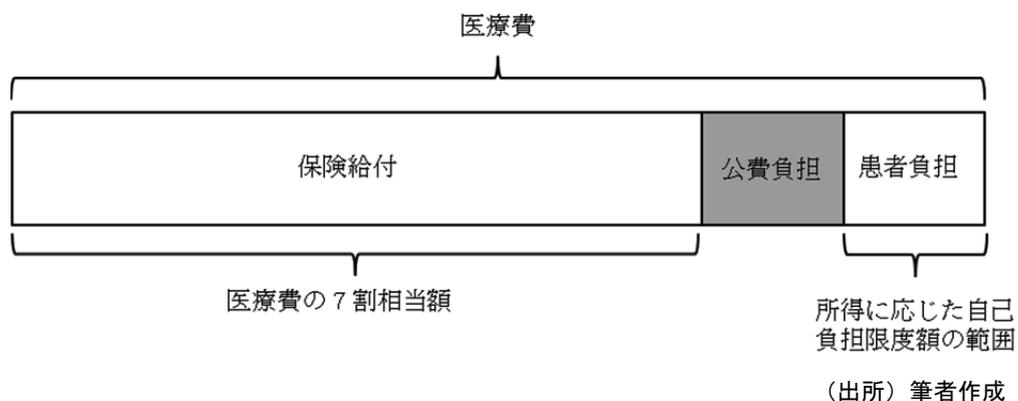
(3) 医療費の自己負担

ア 現状

公的医療保険を利用して医療機関を受診した場合、保険給付割合が 7 割の場合であれば、医療費の 7 割が保険から給付され、残りの 3 割部分が自己負担（窓口負担）となる。

これに対し、現行の特定疾患治療研究事業の場合、対象疾患に係る医療費に対し、まず医療保険各法又は高齢者の医療の確保に関する法律（後期高齢者医療制度）の規定による給付がなされる。その上で、通常であれば自己負担となる部分に対して公費から助成がなされ、実際に患者が負担する額は、対象患者の生計中心者の所得に応じた限度額の範囲までとなる。自己負担限度額は入院・外来ごと、医療機関ごとに適用される。

図表 4 特定疾患治療研究事業の医療費負担のイメージ（保険給付 7 割の場合）



イ 法律案の内容

法律案では、指定難病に係る医療費に対し、まず健康保険法の規定による療養の給付その他の法令に基づく給付であって政令で定めるもの等による給付がなされる。その上で、自己負担となる部分に対して公費から助成がなされ、実際に患者が負担する額¹⁷は、当該患者の属する医療保険上の世帯の所得等に応じて政令で定める額とされている（政令で定める額が医療費の2割に相当する額を超える場合は、2割相当額）。自己負担限度額を、生計中心者の所得から医療保険上の世帯の所得等に応じたものに改めるのは、生計中心者という概念が曖昧なこと、生計中心者であるか否かの判断が難しいこと、他の公費負担医療制度との整合性などによる。また、既に特定疾患治療研究事業の対象となっている患者の自己負担については、3年間の経過措置が設けられる（新規認定患者については図表5、既に特定疾患治療研究事業の対象となっている患者については図表6参照）。

図表5

新規認定患者における難病の新たな自己負担について

高額療養費制度 (現行・70歳未満) (単位:円)		原則 (単位:円)				【参考】障害者医療 (更生医療) (単位:円)		
自己負担割合: 3割		自己負担割合: 2割				自己負担割合: 1割		
	外来+入院	外来+入院		外来+入院		外来+入院		
		一般	高額 かつ 長期	人工 呼吸器等 装着者		一般	重度 かつ 継続	
低所得 市町村長税非課税	35,400円 [多数該当24,600円]	低所得Ⅰ 市町村長税非課税 ~本人年収80万	2,500	2,500	1,000	低所得Ⅰ 市町村長税 非課税 ~本人年収80万	2,500	2,500
一般所得 ~年収770万	80,100円+ (医療 費-267,000円) ×1% [多数該当44,400円]	低所得Ⅱ 市町村長税非課税 本人年収80万超~	5,000	5,000		低所得Ⅱ 市町村長税 非課税 本人年収30万1~	5,000	5,000
上位所得 年収770万	150,000円+ (医 療費-500,000 円) ×1% [多数該当83,400円]	一般所得Ⅰ 市町村長税 課税以上 約7.1万未満 (年収約160~約2370 万)	10,000	5,000		中間所得Ⅰ 市町村長税 課税以上 3万2千円未満	医療保険に おける高額 療養費の自己 負担限度額	5,000
		一般所得Ⅱ 市町村長税 約7.1万以上 約25.1万未満 (年収約2370~約2810 万)	20,000	10,000		中間所得Ⅱ 市町村長税 3万2千円以上 37万5千円未満	高額療養費 適用の場合 例: 44,400 (多数該当 者)	10,000
		上位所得 市町村長税 約25.1万以上 (年収約2810万~)	30,000	20,000		一定所得 市町村長税 37万5千円以上	自立支援医 療の対象外 (医療保険 による給 付) 例: 83,400 (多数該当 者)	20,000
食費: 全額自己負担		食費: 全額自己負担				食費: 全額自己負担		

(参考)
健康保険における入院時の食費
・一般世帯: 260円/食
(この他、所得等に応じて210円、160円、100円)

(出所) 厚生労働省

¹⁷ 注12参照。

図表 6

既認定患者における難病の新たな自己負担について

現行 (単位:円)			経過措置 (3年間) (単位:円)				原則 (※1) (単位:円)				【参考】障害者医療 (更生医療) (単位:円)		
自己負担割合: 3割			自己負担割合: 2割				自己負担割合: 2割				自己負担割合: 1割		
	外来	入院	外来+入院				外来+入院				外来+入院		
			一般	現行の重症患者	人工呼吸器等装着者		一般	高額かつ長期	人工呼吸器等装着者		一般	重度かつ継続	
重症患者 (81,418人、10.4%) ※3	0	0											
A階層 (186,421人、23.8%) 市町村民税非課税	0	0	低所得Ⅰ 市町村民税非課税 ~本人年収30万	2,500	2,500	低所得Ⅰ 市町村民税非課税 ~本人年収30万	2,500	2,500		低所得Ⅰ 市町村民税非課税 ~本人年収30万	2,500	2,500	
B階層 (~年収165万) (115,504人、14.7%)	2,250	4,500	低所得Ⅱ 市町村民税非課税 本人年収30万超~	5,000		低所得Ⅱ 市町村民税非課税 本人年収30万超~	5,000	5,000		低所得Ⅱ 市町村民税非課税 本人年収30万1~	5,000	5,000	
C階層 (~年収180万) (19,236人、2.5%)	3,450	6,900	一般所得Ⅰ 市町村民税課税以上 約7.1万未満 (年収約165~493.7万)	5,000	1,000	一般所得Ⅰ 市町村民税課税以上 約7.1万未満 (年収約165~493.7万)	10,000	5,000	1,000	中間所得Ⅰ 市町村民税課税以上 3万9千円未満	医療保険における高額療養費の自己負担限度額	5,000	
D階層 (~年収220万) (36,399人、4.6%)	4,250	8,500	一般所得Ⅱ 市町村民税 約7.1万以上 約25.1万未満 (年収約229~493.7万)	10,000		一般所得Ⅱ 市町村民税 約7.1万以上 約25.1万未満 (年収約229~493.7万)	20,000	10,000		中間所得Ⅱ 市町村民税 3万9千円以上 23万9千円未満	高額療養費適用の場合 例: 44,400 (多額返還金)	10,000	
E階層 (~年収300万) (88,076人、11.2%)	5,500	11,000	上位所得 市町村民税 約25.1万以上 (年収約493.7~939.1万)	20,000		上位所得 市町村民税 約25.1万以上 (年収約493.7~939.1万)	30,000	20,000		一定所得 市町村民税 23万9千円以上	自立支援医療の対象外 (医療保険による給付) 例: 83,400 (多額返還金)	20,000	
F階層 (~年収400万) (75,059人、9.6%)	9,350	18,700											
G階層 (年収400万~) (181,762人、23.2%)	11,550	23,100											
食費: 負担限度額内で自己負担			食費: 1/2を自己負担				食費: 全額自己負担				食費: 全額自己負担		

(参考) 健康保険における入院時の食費

・一般世帯: 260円/食
 (その他、所得等に応じ210円、160円、100円)

※1 新規認定患者については、原則の負担限度額が当初から適用される。

※2 症状の程度が重症度分類等で一定以上に該当しない者(経過措置期間中は医療費助成の対象となるが、経過措置終了後は高額な医療費が継続して必要な患者を除き、医療費助成の対象外)。

※3 ()内の数値は、平成23年度における受給者数及び全受給者(783,875人)に対する構成割合。

(出所) 厚生労働省

ウ 主な論点

医療費助成の対象疾病拡大等により、現在、特定疾患治療研究事業の対象となっていない患者が新たに新制度による医療費助成の対象となる場合、自己負担は大幅に軽減される。しかし、新制度の自己負担限度額は現行の特定疾患治療研究事業と比べ高く設定される予定であり、これまで特定疾患治療研究事業の対象となってきた患者と比べると重い負担を求められることとなる。

また、現行の特定疾患治療研究事業においては、自己負担限度額が生計中心者の所得に応じて決められていたが、新制度では、医療保険上の世帯の所得に応じて判断されることとなる。これまで特定疾患治療研究事業の対象となっていた患者については、所得の判断方法の変更により自己負担が増加するケースも考えられる。

また、現に特定疾患治療研究事業の対象となっている患者については、経過措置が設けられるものの、新制度への移行により自己負担が重くなる。特にこれまで自己負担がなかった住民税非課税の低所得層も自己負担が生じることになる¹⁸。

¹⁸ 厚生労働省の試算によると現行の特定疾患治療研究事業の平均自己負担額は約4,800円(既認定者:約

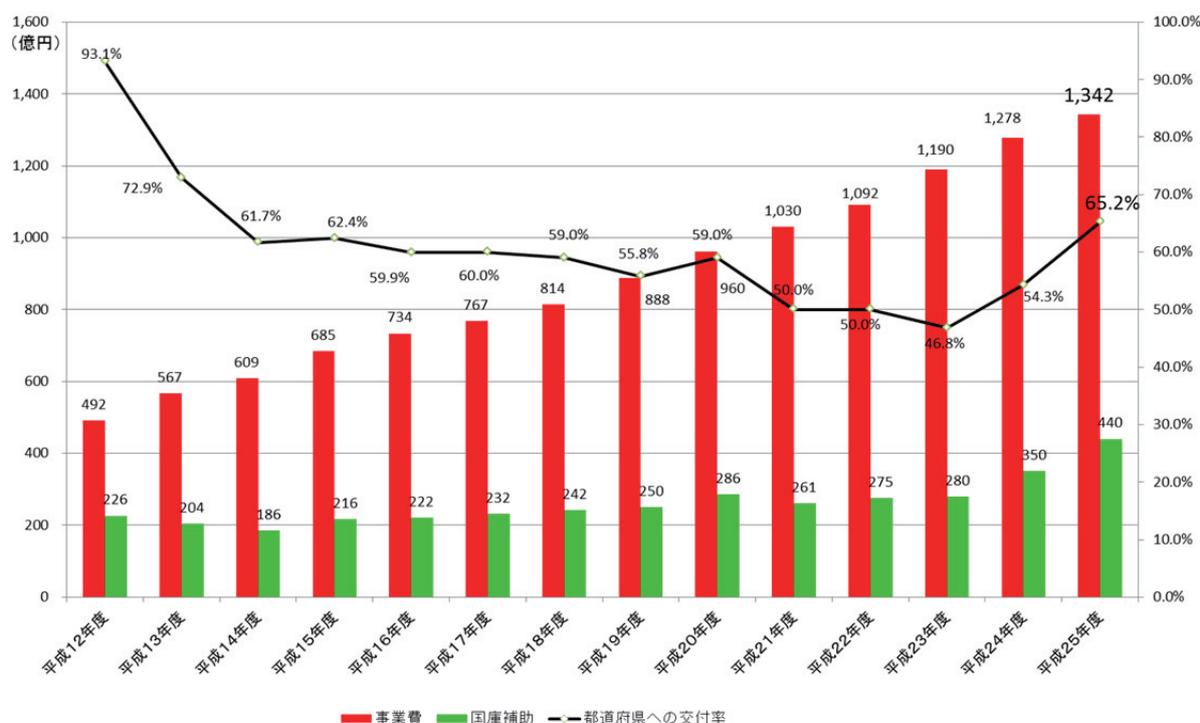
(4) 医療費の公費負担

ア 現状

現在の特定疾患治療研究事業では、実施主体である都道府県が医療機関に対し、治療研究に必要な費用を交付し、国は予算の範囲内で、都道府県が支出した費用に対し、その2分の1を補助するものとされている。しかし、法律に基づかない裁量的経費であり、年々増加する必要額の予算確保は容易ではない。平成25年度では事業費1,342億円に対し、国庫補助は440億円であり、交付率¹⁹は65.2%となるなど、例年都道府県の超過負担が生じている。

図表7

特定疾患治療研究事業の予算額と都道府県への交付率の推移



(出所) 厚生労働省

イ 法律案の内容

法律案では、都道府県が特定医療費（公費による医療費助成）の支出に要する費用を支弁し、国はその費用の100分の50を負担するとされ、義務的経費として法定化されている。その費用には消費税の収入を充てることとされている。厚生労働省の試算によると、平成27年度の事業費は約1,820億円となり、その半分の約910億円が国によって負担される。

1,300円、認定されていない者：約11,900円）、新制度での平均自己負担額は約3,200円（既認定者：約2,900円、新規認定者：約3,800円）とされている。

¹⁹ 国が事業費の2分の1を負担するために必要な額に対する実際の支出額の割合。

ウ 主な論点

法制化により、国の負担が義務的経費とされ、長年の懸案であった都道府県の超過負担が解消することになる。その費用に消費税の収入を充てることができるようになるが、対象疾病の拡大により公費の負担も増加する。他方で本法律案では、自己負担の見直し、対象疾患選定方法の見直しなどを行っている。自己負担、公費負担、対象疾患の選定など制度のバランスを取りながら、持続可能で安定的な制度とする必要がある。

(5) 指定医、難病患者データの把握

ア 現状

現行の特定疾患治療研究事業では、対象患者は年に一回、主治医から交付される臨床調査個人票を都道府県に提出することとなっている。臨床調査個人票に記載された内容は、都道府県が国の実施する難病患者認定適正化事業に登録し、難病患者認定の適正化、難病患者の動向把握、適正な医療の推進に役立てられている。

しかし同事業については、主治医による臨床調査個人票の一部に医学的に不正確な内容が含まれていること、臨床調査個人票に医学的に高度な内容が含まれること等により、都道府県による入力率が低く登録内容に不正確な点が存在すること、患者データを経年的に蓄積できていないことなど、難病患者の動向を正確に把握するデータベースとなっていないことが指摘されている。

イ 法律案の内容

法律案では、特定医療費の支給認定を申請する際、都道府県知事の定める指定医の診断書を添えることとしている。指定医の指定その他指定に関し必要な事項は厚生労働省令で定めることとされているが、難病対策委員会における議論からは、専門学会に所属し専門医を取得しているなど難病医療に関し専門性を有する医師、専門学会、医師会、病院等で実施する一定の基準を満たした研修を受講した医師等を都道府県が指定することが想定される。

また、法律事項ではないが、難病対策委員会における議論から、難病患者のデータに関し、指定医が患者に医療費助成に係る「新・臨床調査個人票（仮称）」を交付する際に、認定審査等に必要項目の記載と併せて難病患者データの登録を行うことができるようになる。これにより、難病患者データの入力率を向上させ、登録されるデータの精度を高めるとともに、登録された難病患者データを経年的に蓄積可能とし、必要な場合に小児慢性特定疾病の患者データとの連続を可能にする仕組みとすることが想定される。

ウ 主な論点

300 疾病程度に拡大する指定難病に対応し、患者が必要な医療を適切に受けられるようにするためには、専門性を有する医師を指定医として十分確保することが必要となる。また、これまで難病患者を診てきた医師が、引き続き難病対策の中で必要な役割を担っていけるよう配慮する必要があると考えられる。

(6) 就労支援

ア 現状

難病にかかっているにもかかわらず通院や服薬により就労可能な患者も多くおり、難病患者に対する雇用支援が実施されている。発達障害者・難治性疾患患者雇用開発助成金は、発達障害者又は難病患者²⁰をハローワークの紹介により新たに継続的に雇い入れた事業主に対し助成を行うものである。また、ハローワークに難病患者就職サポーターを配置し、難病相談・支援センターと連携して、就職を希望する患者の就労支援や在職中に難病を発症した患者の雇用継続の支援を行う取組も始まっている。このほか、難病患者の雇用管理に関するガイドラインやリーフレットを作成し、情報提供を行うなどの支援策が実施されている。

しかし、難病にかかり離職を余儀なくされるケースも少なくないほか、経営・労務管理上の重要課題として、企業の認識が低い現状がある²¹。

イ 法律案の内容及び主な論点

法律案では、厚生労働大臣が定める基本方針の事項の一つとして、就労の支援に関する施策が掲げられている。就職や就業の継続に困難を抱える難病患者を支援するため、ハローワーク等における体制整備、企業の難病に対する理解の促進などが期待される。また、難病患者を「障害者の雇用の促進等に関する法律」に基づく法定雇用率の対象に含めるべきであるとの要望もあり、検討が必要な課題として対応が待たれる。

(7) その他

ア 療養生活環境整備事業

法律案では、都道府県は療養生活環境整備事業を行うことができるとされている。同事業については、難病患者の療養生活に関し相談に応じ必要な情報の提供及び助言を行う事業、難病患者に対する保健医療サービスや福祉サービスを行う者又はこれらの者に対し指導を行う者を育成する事業、難病患者について訪問看護を行う事業などが規定されている。療養環境整備事業に要する費用についても、国が予算の範囲内において、100分の50以内を補助することができるとされている。

今後、安定的に必要な予算を確保し、更なる難病対策の充実が望まれるとともに、都道府県間において格差が生じることなく、難病患者が必要とするサービスが提供されることが必要とされる。

イ 指定難病審査会

法律案では、特定医療費の支給について、都道府県が支給認定をしないこととする場合はあらかじめ、指定難病に関し学識経験を有する者により構成される指定難病審査会に審査を求めなければならないこととされている。

²⁰ 難治性疾患克服研究事業（臨床調査研究分野）の対象130疾患及び筋ジストロフィーが対象。

²¹ 『メンタルヘルス、私傷病などの治療と職業生活の両立支援に関する調査』（平成25年11月）（独立行政法人労働政策研究・研修機構）

指定難病審査会の審査が都道府県の判断にどのような影響を与えるのか注目される。

ウ 調査及び研究

法律案では、難病の発病の機構、診断及び治療方法に関する調査及び研究の推進に規定が設けられている。

現行の難治性疾患克服研究事業が今後どのように展開されていくのかを含め、調査及び研究の充実が期待される。

5. 終わりに

本法律案により、難病に対する医療費助成が法律に基づく制度として確立し、対象疾病が大幅に拡大され、その費用が義務的経費として安定的に確保されるようになる。一方、本法律案による医療費助成の対象とならない疾病が依然として少なからずあるほか、原因が不明であったり、治療法が未確立な疾病も数多く存在している。安定財源が確保されるとはいえ、限りある予算の中で、費用を負担することになる国民全体の理解を得ながら、医療費助成を必要とする患者を支えていく必要がある。

今後の難病対策が、本法律案の掲げる基本理念のように、難病の克服を目指し、難病患者の社会参加の機会が確保され、難病の患者が地域社会において尊厳を保持しつつ他の人々と共生することができるように進められることが期待されるとともに、持続可能な制度として運用されることが期待される。

【参考文献】

『平成 24 年度版難病対策提要』（厚生労働省健康局疾病対策課）

（ふじた たけひろ）