

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
1	RSD 山口はるかさんを支える会	佐藤 和行	複合性局所疼痛症候群=CRPS(RSD, カウザルギー)	(連携患者等数)150人程	<p>①医療費助成と難病研究の所謂「難病助成拡大」については、一定の前進と思います。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・具体化の段階でも、その趣旨に沿って実施してほしい。現在、中間報告については、一定の前進と評価しながらも、各々の難病から見れば、「難病助成拡大」の対象から除外されて、現在の「研究」も「医療費助成」も何も無い状態と変わらない結果に終わるのではないかと危惧が、多くあります。厚生労働省によると、難病・稀少疾患は5000~7000あり、研究事業(臨床調査研究分野と研究奨励分野)や「特定疾患治療研究事業」の対象疾患は、ほんのごく一部です。真摯な検討によって、「難病助成拡大」の方向は評価されますが、財源確保の点から、どのくらい具体化されるのか心配しています。</li> <li>・CRPS(複合性局所疼痛症候群)は、4要素を満たしながら、難治性疾患克服研究事業や特定疾患治療研究事業の対象疾患とならずにきました。「慢性の痛みに関する検討会」の医師の方々や厚生労働省(疾病対策課)のご尽力により、CRPSも含めて「慢性の痛み対策研究事業」が2011年度から進められています。治療法の開発や評価法そして医学研修の体制などをテーマに、研究班の大学(病院)の医師の方々が連携して研究を進められており、CRPS患者さんは「徐々にだよね」と心をつないでいます。8月16日に難病対策委員会から「今後の難病対策の在り方(中間報告)」が出て、難病助成拡大の方向が示され、CRPSの患者さんも期待を持って注目していました。ところが、9月7日の2013年度の厚生労働省の概算要求では、「慢性の痛み対策研究経費」が、今年度=1億1200万円→2013年度=6800万円(40%減額)の大幅な削減になっています。CRPS患者さんは、「治療法の開発など、進むのだろうか」と心配しています。この「慢性の痛み対策研究事業」は、開始されて間もなく、これから研究が軌道に乗って、その研究成果が出ることをCRPS患者さんは待っています。他の難病の研究費も配慮して、幾分調整することはあると思いますが、「大臣官房厚生科学課概算要求」の費目では、増減ある中で40%と1番の減額率で、(元々研究費予算も少ないのに)大幅な削減です。ぜひ、難病対策委員会の「今後の難病対策の在り方(中間報告)」の趣旨に沿って、「慢性の痛み対策研究経費」の大幅な削減をしないよう要請します。</li> <li>②公平性を考えれば、4要素(①稀少性②原因不明③効果的な治療法未確立④生活面への長期にわたる支障)を満たしている場合には、「特定疾患治療研究事業」の対象疾患とするのが本来の在り方です。そもそも、現在の不公平はこの点にあります。多くの難病患者は、「特定疾患治療研究事業」の中で、患者自身が研究に協力して「医療費助成」を受けたいと思っています。</li> <li>③難病研究についても、基本的に一定の基準で公平に、対象疾患の拡大を求めます。</li> <li>④就労支援のため難病患者も「障害者の法定雇用率」に含め、応分の「障害者の法定雇用率」アップを求めます(2013年度から「障害者の法定雇用率」はアップしますが)。</li> <li>⑤「難病手帳(カード)」については、必要だと思います。具体的な活用の利益をもっと明確にすべきです。</li> </ul>	<p>①特定疾患治療研究事業→「医療費助成」と明確に位置づけて、その対象疾患は、一定の基準で行う際も、難病・稀少疾患5000~7000に対して公平に選定すべきです。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・厚生労働省によると、難病・稀少疾患は5000~7000あるが、その中で厚生労働省がこれまでに医療費や研究費の助成をしたのは482疾患であり、ごく一部分にすぎません。</li> <li>・10月30日の難病対策委員会についての新聞報道等によると、国が医療費を助成する難病の疾患数は、その482疾患の中から、①4要素②診断基準等の一定の基準を満たす場合として、300疾患以上(現在56疾患)としています。</li> <li>・しかし、①4要素②診断基準等の一定の条件を満たす疾患は、医療費や研究費の助成を受けてきた482疾患以外にもあります。むしろ、経緯を見ると、難病指定の4要素を満たしながら研究費も医療費の助成も受けない難病・稀少疾患が数多くあります。①4要素②診断基準の一定の基準を満たしながら、ある疾患は医療費助成があり、別な疾患は医療費助成が無いというのは、不公平です。</li> <li>・難病・稀少疾患の患者は、治療法の開発等の研究を望んでおり、その研究に際して患者データの収集等に患者さんが協力するのは当然のことです。本来であれば、すべての難病・稀少疾患に研究費の助成を行うべきであるのに、最初から、厚生労働省が研究費等を助成した482疾患疾患の中から(それ以外の大多数の難病・稀少疾患を除外して)医療費助成の疾患を選定するというのは、新たな「不公平」をつくります。</li> <li>・難病対策委員会が現在の難病助成の「不公平」を無くすために真摯に検討を進めていますが、対象疾患が拡大するという意味では一定の前進ですが、抜本的な改善にはなりません。大多数の難病・稀少疾患は医療費も研究費も助成がなく、新たな「不公平」が残ります。</li> <li>・特定疾患治療研究事業すなわち「研究事業の中で」医療費を助成するという限定枠をはずし抜本的に改め、①4要素②診断基準等の一定の基準で行う際も、公平に5000~7000難病・稀少疾患に対して選定すべきです。</li> <li>②研究が困難で診断基準が確立がされていない場合でも、疾患概念がある場合は、医療費助成の対象とすべきである。</li> </ul>
2	IBDネットワーク	花岡 隆夫	潰瘍性大腸炎/クローン病	45団体/3300人	<p>私たちの主張</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・長期慢性疾患を持つものを生活者と捉え、その生活レベルを保証することは、個人の尊厳を守るだけでなく、社会の安定や発展に大きな意味を持つことを共通認識とする。</li> <li>・全ての難病を研究と医療費補助、就労支援、生活支援等重層化したセーフティーネットの対象とする。</li> <li>・長期慢性疾患を持つものを納税者へと転換できるような思い切った建設的施策や働けない期間に生活を支援する施策により働き続けられるよう環境整備する。</li> <li>・国民的理解促進(啓発)により生きにくさ、働きにくさおよび差別の解消を図る。呼称を「難病」から「難治性疾患」等に変更することをあわせて検討する。</li> <li>・障害者の範囲に難治性疾患克服研究事業の対象者を加え、当面、障害者法定雇用率に特定疾患治療研究事業の対象者を加える。</li> <li>・難病対策新法の立案、障害者総合支援法の改訂および難病対策要綱の見直しにあたっては、長期慢性疾患を持つものの実態を踏まえて行う必要があり、調査等所要の手続きを行う。</li> <li>・制度設計において当事者(患者)を排除しない。(私たちのことを私たち抜きで決めない)</li> <li>・現行制度を引き続き拡充すると共に、見直しの場合には上記施策と一体的に実施する。</li> </ul>	<p>1. 難病対策の改革にあたって</p> <p>(1)資料2「難病対策の改革の全体像(案)」を平成24年11月15日第26回難病対策委員会までで提起し、結論を得ようとしているのは拙速を免れない。まず全体像を示した後、患者団体等と意見交換を持つべきであり、部分的な内容では評価と成らない。</p> <p>(2)制度上、対象を明確にすることで生じる谷間の存在を常に考える</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・別制度による救済方法など、下記の例のような多様なセーフティーネットをはりめぐらす必要がある。</li> <li>例:高額療養費制度を慢性疾患患者が耐えうる金額設定にする</li> <li>・難治性疾患に対する啓蒙啓発により、偏見がもたらす社会参加上の障壁を取り去ること。ことに就労支援など地域差が生じさせない工夫が必要である</li> <li>・障がい者差別禁止法(審議中)における難病患者の権利については、具体的に説明を盛り込むこと、対象疾患外の特例制度の創設 など</li> </ul> <p>(3)当事者参加の政策のモデルケースとする</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・制度策定に当事者が参加することで、現状に合った施策が構築できる。</li> <li>・制度運用のモニタリングシステムと、モニタリングへの当事者の参加。</li> <li>・一定期間ごとの制度の見直し。</li> </ul> <p>2. 患者数の希少性への評価と重症度は別に議論すべきである。</p> <p>この規定は医療費補助のみならず、就労支援・障害者総合支援法に基づく各事業等の対象選定にも影響すると思われるが、難病による個人の抱える困難さは、数でも、疾患名でもない。</p> <p>平成23年度「今後の難病対策に関する研究班報告」では難治性と希少性は別に論じる必要があると記されているとおりである。</p> <p>3. 「重症度」については生活モデルでの視点を含めるべきである</p> <p>(1)症状が固定せず、寛解・再燃を繰り返す場合の判断基準が不確立である。</p> <p>現在ある重症度分類は、申請時点での病状でしかなく、病状が変動する疾患の患者の病態を捕捉しているとは言えない。生活モデル視点があれば、患者の現状に即した等級となりえない。</p> <p>(2)臨床個人調査票の重症度分類は、日常及び就労生活上の困難さを無視している。</p> <p>例えば、潰瘍性大腸炎の重症度分類は、便回数、発熱、頻脈、貧血、血沈等によるが、日常生活や就労生活が強く制限される腹痛、易疲労感、漏便などは含まれていない。また、自覚症状は個人差が大きく、必ずしも現在の重症度分類だけでは、患者が生活するうえで抱える困難は判断できない。</p> <p>(3)疾患共通の重症度判断項目を制定すべき</p> <p>現在の重症度分類は各疾患ごとの判断基準であり、難病手帳(カード)制度により受けられる福祉サービスが「重症度」により区分されると想定される。疾患毎に重症度を決めれば、公平・公正性の観点から問題が出る可能性がある。したがって、医学モデルではなく生活モデルで検討いただきたい。</p> <p>4. 医療費助成の対象疾患及び対象患者の考え方について</p> <p>(1)疾患患者数で助成対象疾患を判断すべきではない。</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
						<p>(2)重症度での対象判断は、上記内容を十分配慮したものでなくてはならない。                      例えば「重症度が一定以上等または、日常生活又は社会生活に支障がある者」とする                      (3)継続的な療養を可能とする「高額療養費の自己負担限度額」にすべきである。                      高額な生物化学製剤や各種ホルモン剤などの継続使用により、症状の軽快や通常の日常生活をおくることが可能となっている疾患も多い。患者の経済状態(支払い可能な金額)により受けられる治療が制限されるべきではない。治療が制限されることにより、病状の悪化をきたし、さらなる医療費の増大や就労等が制限されることによる社会的損失について考慮しなければならない。</p>
3	あすなる会	石垣 成子	若年性関節リウマチ(若年性特発性関節炎)	300名	<p>当該疾患(若年性関節リウマチ/若年性特発性関節炎)の治療法は成人の関節リウマチの治療法の開発に伴い良くなってきてはいますが、全ての患者がこの適応に該当するわけではなく、まだまだ治療法の選択に難航している方も多し専門医の数も少なく全国各地で同レベルの医療を受けられる保証はない事から、今後も小児科医の増員や専門医の育成を助成する国の支援も必要かと思えます。また、当該疾患の中には成人の関節リウマチとは全く異なるメカニズムを持っているケースも多い事から、治療薬の開発や当該疾患の研究事業も国としての更なる支援が必要であり、単に20歳を機に小児科から成人の専門科への移行を考えるだけではなく、これまでの小児専門医のもと成人病も診てもらう一般内科との連携医療も必要と考えます。また、この難病対策の在り方の法制化が実現した後も、医学の発展や社会の動向に伴い、対象疾患や支援内容を何年かのペースで見直しを約束する文書も必要と思えます。</p>	
4	下垂体患者の会	はむろ おとや	間脳下垂体機能障害	150	<p>1、高額療養費の改善は、厚労省が示した窓口100円負担率とセットにしたことで、世論が受け入れられず、暗礁に乗り上げた感があります。特定疾患対策の枠組みだけでは、選外の難病が出てきます。年間上限額の導入を希望します。                      2、症状が軽症であっても負担が重いケースがあると思えます。重症度基準は、医学的な面だけでなく、負担の重さも考えて、治療が継続しておこなわれるよう、配慮するべきです。</p>	<p>1、難病の対象から外れる疾患のうち、慢性疾患については、機能障害が予想されることである。慢性疾患は、障害者の一部を構成するのであって、なかでも、継続した治療により発生する自己負担の高さは、残された課題であると厚労省は認識しているか。                      2、高額療養費の改善に向けた議論を進め、年間上限額の導入を考えるべきだと思うがどうか。                      3、症状が軽症であっても負担が重いケースが考えられる。重症度基準は、医学的な面だけでなく、負担の重さも考えて、治療が継続しておこなわれるよう、配慮するべきだが、どうか。                      4、現行の特定疾患56疾患のなかには、重症だけを公費補てん対象とした疾患がある。患者数12万人を助成基準にするということだが、12万人を超す疾患であっても、疾患概念自体を「重症」に絞り込み、難病の条件を満たすことは可能だと思われるがどうか。                      5、「個人へIDを付与し、登録データを経年的に蓄積できるようにする」とある。「難病手帳」(カード)や病院のカルテと連結する予定はあるか。                      個人情報保護は、連結不可能匿名にすることで確保されると考えるかどうか。</p>
5	公益財団法人がんの子どもを守る会	山下 公輔	小児がん(脳腫瘍・白血病・悪性リンパ腫・神経芽腫・網膜芽腫・ウィルムス腫瘍・骨軟部腫瘍・肝芽腫などの悪性新生物)	2,000名	<p>小児がん(悪性新生物)は、小児慢性特定疾患治療研究事業において54疾患と「そのほかの疾患」として55疾患が対象とされていますが、その他の疾患の内訳をいれると100種類以上の疾患があります。また加えて、発症年齢・部位・組織型によって、その治療内容や予後は異なります。発症数は年間2000人弱、治療を終えた成人年齢に達する小児がん経験者は数万人に達すると言われています。今でも小児がんが命を脅かす病気には変わりはありませんが、この30年の間に化学療法、放射線療法、外科療法、また移植医療などによって治療率は向上しています。命が救われるようになった一方で、幼少期における治療のため、悪性腫瘍そのものの治療を終えることができても、治療による後遺症や晩期合併症が一生伴い、それらの治療を継続しなければならないことがあります。しかしながら、これらの後遺障害・晩期合併症のために就労も困難な上に民間の医療保険にも加入することができないなかで、医療費の負担、生活の維持が難しく、社会的自立が叶わない小児がん経験者の存在が大きな課題となっています。                      これらの課題を踏まえ「今後の難病対策の在り方(中間報告)」について、主に以下の5点について意見を述べさせていただきます。                      ①個別施策の対象ではなく、広く定義するとされている難病の対象について、成人がんとは異なる「小児がん」を、この難病の定義の中に入れていただきたい。                      ②全体のバランスがあることも了解しているが、上記事項を踏まえ小児慢性特定疾患治療研究事業からの継続した治療研究及び医療費補助の実現をしていただきたい。                      ③小児慢性特定疾患治療研究事業からのトランジションとしての医療体制の整備に努めていただきたい。                      ④小児慢性特定疾患治療研究事業からの継続した、就労自立支援、相談事業など、患者家族への長期的且つ総合的な支援をしていただきたい。</p>	<p>委員会上で「欧米では小児がんも難病とされている」、「悪性腫瘍とひとくくりせず、稀少がんについては議論を要する」、「小児がんなど小児難病の中には、成人年齢に達してから医療費の負担などが大きいために考慮すべき」等のご意見をもとに、検討をしていただいたことに感謝しております。しかしながら、今回は十分な議論が出来ないまま終わり、最終的に小児がんが難病の範囲に含められるのかどうか不明瞭のまま、進行されてしまったように感じております。                      本件のみならず、今後の個別施策の「難病の範囲」の検討及び幅広く考える「難病の範囲」の検討についても、議論及びその決定までの過程について、明確にさせていただき、且つ患者家族団体並びに国民にオープンに透明性のあるものにしていただくよう重ねてお願い申し上げます。</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
6	近畿つぼみの会	田沢 英子	1型糖尿病	約300名	1型糖尿病(小児期発症)患者を内部障害者と認め、医療助成を行ってほしい。 (医療助成の例) ①3割負担を1割負担にする。 ②支払い上限額を設ける。 等、可能な制度を駆使してほしい。	資料4「今後の難病対策の在り方に関する研究 中間報告」 Ⅲ方法で4要素を調査項目の参考としたとあるが小児期発症インスリン依存型糖尿病は「特定疾患治療研究事業に関する対象疾患検討部会報告(平成9年3月19日特定疾患対策懇談会)【抜粋】」の時も同じような調査項目であった。その時の項目の中で 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。何らかの機能障害等により日常生活に支障を生ずる疾患であって、いずれは死に至るような疾患、あるいは後遺症や生涯にわたる医学的管理の必要性から生涯にわたる療養が不可欠な疾患は、神経疾患、感覚器疾患、内臓疾患等を問わず重症度が高く、生活面への長期にわたる支障があるといえる。当会では以前よりこの項目に該当すると確信して要望してきました。効果的な治療方法が確立されるまでの間、対症療法によらざるを得ず、長期の療養中には全身に合併症が併発するため、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医療費助成を要望します。
7	NPO法人「筋痛性脳脊髄炎の会」	篠原 三恵子	筋痛性脳脊髄炎/慢性疲労症候群	200名	・総合的な難病対策の外縁となる「難病」の定義については、「難病対策要綱」(昭和47年10月厚生省)をも参考にしつつ、できるだけ幅広くとらえるべきであるとしつつも、個別施策の対象となる疾病の範囲については、広く国民の理解を得られるよう、それぞれの施策の趣旨・目的等を踏まえ、比較的にまれな疾病を基本に選定すべきであるとしています。 ・筋痛性脳脊髄炎/慢性疲労症候群は、日本に30万人いると推定されており、原因不明の異常な疲労や脱力感が持続し日常生活が送れなくなる病気で、有効な治療法はなく、寝たきりに近い患者も多い深刻な疾患ですが、身体障害者手帳の取得も極めて困難で、必要な福祉サービスはほとんど受けられません。比較的にまれな疾病を基本に選定することになれば、ただ患者数が多いというだけで除外されるのでしょうか。患者は軽症から重症な患者まで幅広く存在しますが、重症な患者がどれだけの割合で存在するのか不明です。重症な患者は軽症な患者と異なる疾患である可能性もあり、5万人以下であれば難病の範疇に入る可能性もありますが、その実態すら明らかになっていません。 ・障害者総合福祉部会は、障害者総合支援法制定に向けて提出した骨格提言で「難病や慢性疾患の患者等においても、『その他の心身の機能の障害がある者』とし、障害者手帳がなくとも、医師の診断書、意見書、その他障害特性に関して専門的な知識を有する専門職の意見書で補い、入り口で排除しないこと」を提言致しました。慢性疾患を抱える人は、「病的に疲労が激しい」「慢性的な耐えがたい痛みが続く」といった人が多いですが、こういった痛みや疲労といった症状で日常生活に著しく支障をきたし、介護や就労支援を必要とするすべての人も、障害者総合支援法においては病名で限定されることなく申請の窓口を立てるようにし、誰でも等しく必要な支援を受けられるようにして下さい。 ・難病研究の対象については、引き続き、診断基準が確立されていないものをも含めて対象とすべきであるとされていますが、稀少疾患に限定せず、すべての疾患を対象にして下さい。 ・筋痛性脳脊髄炎は専門医が非常に少なく、診断を受ける事すら困難です。難病の診断・治療に関して高い専門性と経験を有する拠点的な医療機関を整備する際には、日本中のどこにいても患者が診療を受けられるように、医師の協力が得られるような取り組みを推進し、病診連携などの医療体制を確立して下さい。	障がい者総合福祉部会は、障害者総合支援法制定に向けて提出した骨格提言で「難病や慢性疾患の患者等においても、『その他の心身の機能の障害がある者』とし、障害者手帳がなくとも、医師の診断書、意見書、その他障害特性に関して専門的な知識を有する専門職の意見書で補い、入り口で排除しないこと」を提言致しました。この骨格提言にのっとった方向性で、障害者総合支援法の障害の範囲を決めてください。治療研究の対象と、福祉サービスの対象は分けて考えていただきたいと思います。日常生活に著しく支障をきたし、介護や就労支援を必要とするすべての人が支援を受けられるよう、患者数や病名で限定しないで下さい。 筋痛性脳脊髄炎/慢性疲労症候群は、日本に30万人いると推定されていますが、患者は軽症から重症な患者まで幅広く存在し、重症な患者がどれだけの割合で存在するのか不明です。重症な患者は軽症な患者と異なる疾患である可能性もあり、5万人以下であれば難病の範疇に入る可能性もありますが、その実態すら明らかになっていません。13年前の名古屋でのパイロット調査でしか5万名を超えという患者数が類推されていないため、そもそもきちんとした実態調査が必要です。現に生活に著しい支障を抱えている患者が、地域で尊厳を持っていきられる共生社会の実現をめざしてください。社会から孤立し、生きる希望を失おうとしている患者を救ってください。
8	血管腫・血管奇形の患者会	土屋 裕樹	血管腫・血管奇形	120名(10月6日現在)	・難病性疾患・稀少疾患の治療法開発・創薬については、単に医師主導型とするには臨床医師では限界があり、マーケットの面では製薬各社が費用対効果などで積極的に取り組む分野であるので、未承認薬・適応外薬の承認促進と併せて、国が積極的かつ既存の制度・組織体系にとらわれず柔軟に対応できる仕組みとしてほしい。 ・一つの診療科では個々に適応した治療方針が決定できない(しづらい)ケースも多いことから、特に難病拠点病院においては複数の診療科がチームを組んで診療にあたる集学的治療を積極的に導入してほしい。また、DB化して広く国民が活用できるシステムを構築することが望まれる。 ・難病拠点病院における診療においては医療費本体より交通費の負担が重くなるケースも想定されるので、国土の特徴も踏まえ均衡な負担となるように検討してほしい。 ・患者団体を社会資源化することでピアサポートやコミュニケーション支援等、行政組織を補完する手段となるので、団体のサポート体制を検討してほしい。	医療費助成については保険診療における自己負担分の公費助成という概念は変わらないということではよろしいか伺いたい。 そうであれば、効果的な対症療法として提供されている医療の中には保険外診療となっているものが少なからず存在し、今後も医療の進化とともに新たに行われるものが出てくると思われるが、この部分への手当をしなければ制度ができて運用で効果が出ないことも想定されるのではないだろうか。
9	再生つばさの会(再生不良性貧血、MDS、PNH患者家族の会)	市川 賢司	再生不良性貧血、MDS、PNH	726人(平成22年4月現在)	難病患者にかかる高額な医療費を見直していただきたい。(過去に数回陳情にお伺いし、陳情書を提出しております。)ご確認お願い致します。 <i>高額な医療費を軽減してほしい</i>	
10	再発性多発軟骨炎(RP)患者会(旧 再発性多発軟骨炎患者支援の会)	永松 勝利	再発性多発軟骨炎	33名	「3. 医療費助成の在り方」について 対象疾患の拡大も含めて見直しを行い、対象患者の範囲について重症度等の基準を設定する必要性があるとのことですが、設定される基準によっては、新たな制度の谷間に埋もれる患者が出てしまうのではと危惧しています。深刻な病状が必ずしも外に見える形で現れるとは限らず、また、病状を数値化することが非常に困難な疾患も少なくありません。基準設定にあたっては、こうした点も考慮頂き、研究者など専門家の見解も参考にし、適切な基準を選定頂きたくお願いします。 「7. 難病研究の在り方」について 稀少疾患の場合には特に、研究者と患者とが協力する意義は大きいと考えているので、患者の参加と研究成果の還元という項目に賛同します。また、製薬会社が治療薬開発に積極的に参加しやすくなるための環境整備については大いに期待しています。加えて、治療の入り口となる確定診断や、適切な投薬治療のための病勢のモニタリングには、バイオマーカーを測定する検査試薬が欠かせません。稀少疾患では、この検査試薬も治療薬と同様に厳しい状況に置かれており、研究成果を還元するためには、こ	資料2. (1)効果的な治療方法の開発と医療の質の向上 ①治療方法の開発の推進・・・診断基準の作成、病態の解明、治療法開発に加えて創薬にも重点的に取り組む方向であると示されたのは非常に有難いです。治療方法の開発促進や研究の成果を患者に還元するための医療機関整備・医療の質の向上などについては、今後の積極的な議論に期待しています。 また、これまでの研究分野については見直しが見られるようですが、できる限り多くの疾患についての研究継続をお願いしたいです。製薬会社の参入しやすい環境づくりについては、診断・治療の入り口で必要となる検査試薬に関しても、同様の整備が必要です。 ④難病患者データの制度の向上と有効活用・・・「難病指定医(仮称)」は具体的にどのようなプロセスで任命されるのでしょうか。稀少難病の場合、専門医の数が限られており、患者は受診できる病院探しに大変苦労しています。患者会が紹介できる場合もありますが、限界もあることから、新たな制度によ

## 各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
					<p>うした分野も含めて製薬会社の参加を促す環境整備が必要であると考えます。</p> <p>「8. 難病医療の質の向上のための医療・看護・介護・福祉サービスの提供体制の在り方」について極めて希少な疾患について高度専門的な対応を行うセンター(難病治療研究センター(仮称))は、新たな機関の創設に限らず、既に研究班が存在する疾患に関しては、研究班を中心にセンターを組織し、必要な場合には各拠点病院との連携を図るという方法もとれるのではないかと考えます。これにより、研究結果を治療に生かすことが可能となり、研究推進にもつながることを期待します。</p> <p>「9. 就労支援の在り方」について 既存の支援策を普及啓発することは重要ですが、周知徹底するだけでなく、難病患者を雇用するモチベーションを企業側に持ってもらうための仕組みも必要だと考えます。難病相談・支援センターと就労支援機関等の連携強化はもちろん、継続就労に至った成功例を共有し、次の相談者に還元できるような仕組みの導入を期待します。これにより、患者は就労に対する具体的なイメージを持ちやすくなり、スムーズな就労への第一歩につながると考えます。また、現状では、手帳を持たず、難病認定されていない難病性疾患患者は就労の相談をしても門前払いを受けています。手帳や難病認定の有無にかかわらず、患者の就労相談を専門的に受けて下さる相談員の配置も必要ではないかと考えます。</p>	<p>て、専門医が指定医となり、新・難病医療拠点病院に配置されるということになれば、患者は安心して受診できると思います。</p> <p>⑤医療機関の整備・・・RP患者の場合、診断に至るまでには相当数の診療科を受診しています。医師がRPという希少疾患を認識しておらず、診断が遅れて重症化する患者が多くいます。「新・難病医療拠点病院(総合型)・(領域型)(仮称)」の指定とともに、患者会からも専門医に対して広報活動(具体的には各学会総会等)が出来るように推進して頂きたいと思っております。</p> <p>(2)公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築 ②対象疾患及び対象患者の考え方・・・医療費助成の対象疾患が大幅に拡大される見通しとなったことについては、より多くの患者に希望が生まれ、大いに期待しております。ただ、対象患者の範囲を決定する際に導入される重症度については懸念が残ります。RPの場合、重症になる前の積極的な治療によって呼吸器病変が抑えられるなど、予後が改善することが分かっています。しかし、こうした治療には、免疫抑制薬や生物学的製剤などの使用が効果的であるとされており、高額な費用が必要です。重症化してからの治療ももちろん大切ですが、その手前で症状を食い止め、予後を大幅に改善するための治療に対しても助成が認められることを期待します。(1)①基本的な考え方の①「治療方法の開発等に資するため、患者データの収集を効率的に行い治療研究を推進する」という目標を達成するためにも、重症化する前の積極的な治療によってどれだけ将来の病気の進行を抑制できたのか、というデータは必要であると考えます。)また、残念ながら助成が認められない場合でも、効果のありそうな薬剤に関しては保険を適用し、少しでも患者の医療費負担が抑えられることを望みます。</p> <p>③対象患者の認定の考え方・・・「難病指定医が医療費助成に係る診断書を交付する」点について、専門医に限られている希少疾患の場合、(1)④と内容が重複しますが、「専門医が指定医」となることで、公平な診断書の交付を受ける事が出来ると思っております。</p>
11	CAPS患者・家族の会	戸根川 聡	クリオピリン関連周期性発熱症候群(CAPS)	20家族	<p>私たち難病患者、および患者家族が要望している内容はきちんと含まれており、この内容の通り新たな難病対策がきちんとなされる事を望んでおります。</p> <p>しかし希少疾患患者は、治療・研究・福祉といったところから漏れがちであり、人数が少ないため意見が届きにくい状況にあります。</p> <p>病名で区切った対策がなされると、どうしても漏れてしまう患者たちができてしまうと思います。国が各都道府県に、きちんとした判断のできる医師(病院)を配置(指定)し、その医師が「難病」と認められた場合には、難病としての制度を利用できるようにして頂きたいです。</p>	<p>CAPSは特定疾患・難病指定・小児慢性特定疾患に認定されていないので、医療費助成をお願いしたいです。治療薬が非常に高額で、毎回高額療養費制度を使っても現実的にとっても厳しいです。</p> <p>乳幼児の医療費助成は、自治体によって助成にばらつきがあり、不公平さを感じます。地域差が無いよう国で基準を一定にして欲しいです。</p> <p>この度の難病対策において、小児の難病も視野に入れて頂いていますが、現在の小慢に名前が載っていない病気が漏れてしまう可能性がある為、漏れる事が無いように情報を募集、収集し、精査して頂きたいです。</p> <p>難病を持つ子供の支援の在り方においても自治体によりさまざまです。学校にサポート要員を増やすなどの体制を充実させて頂きたいです。(学校に相談してもお金が無くて無理と言われるので)そして難病を持った子供への差別や偏見がない教育をして欲しいです。</p> <p>また特定疾患が追加されるにあたって、選定に公平性、透明性を要望します。</p> <p>そして、今回のみならず今後の特定疾患の追加時期や見直し時期をきちんと決めるべきだと思います。(二年に一度など)</p>
12	J-FOP患者家族会	鶴田 夏江	FOP(進行性骨化性線維異形成症)	31名	<p>患者数の極めて少ない疾病については、疾病について詳しい医療従事者を訪ね、遠方に出掛けることもあります。このような場合、医療費もさることながら、身体的な負担、移動のための交通費も負担になります。このような状況を避ける上で、患者は比較的近隣の医療機関に通院するのが望ましいと思われまます。その場合、医療従事者同士が連携できるようなネットワークを構築出来れば良いと思えます。</p>	
13	小児脳腫瘍の会	坂本 照巳	小児脳腫瘍全般(悪性、良性含む100種類以上)	65名(全国区掲示板約400名)	<p>成人領域での難病対策では、がんなど他に対策がある疾病に関しては除外とのことですが、小児慢性特定疾患のトランジションや障害者認定において、小児脳腫瘍(小児がん)について以下の点につき対策をお願いしたいと思います。</p> <p>①成人後も後遺症、障害、晩期合併症を抱えます。小児がんのカテゴリーにはいる小児脳腫瘍は、小児のがん死(小児がんはこどもの病死原因第1位)の最大の原因であると言われてはいますが、近年の治療向上により原病を克服する患者がすこずつ増えています。脳内の原病による障害や発達途上のこどもに強い治療(脳外科手術、化学療法、放射線療法など)を行うことによる複数の後遺症や晩期合併症(治療後時間がたってから発症する)が殆どの患者にあり(下記アンケート参照)それを一生抱えることとなります。二次がんの確率も高く、成人後に後遺症、晩期合併症の治療費や検査代がかさんだり、障害や後遺症、原因不明の不定愁訴などを同時にいくつも抱え、就労できず、自立困難である実態があります。小児慢性特定疾患助成の切れる20歳以降の医療費助成や自立支援など、生活困難を改善するための支援をお願いしたいと思います。</p> <p>②複合的に後遺症、障害を抱え生活困難が生じます。様々な後遺症や晩期合併症を幾つも背負い、生活が困難でありながら、その一つ一つが障害認定基準以下で支援を得られない実態があります。障害認定の対象外の内部障害も多く、障害程度区分の認定についてきめ細かく配慮していただくと同時に、複合的な障害などによる生活困難について考慮をお願いしたいと思います。</p> <p>③実態調査の上での検討をお願いします。現在あたらしいがん対策基本計画の下、小児がん対策がはじまったばかりですが、その対策はまずは、医療体制の構築に重きが置かれ、福祉や医療費助成といった支援にまでには至っていません。患者会でQOLアンケートなどを行っておりますが、詳しい調査をまず行っていただき、状況を正確に把握した上で、より公平な対策をお願いしたいと思います。</p>	<p>○資料4 P4 調査結果(中間報告)の原因のカテゴリー c.悪性腫瘍について 30日当日、悪性腫瘍は除外でよろしいかというお話でしたが、下記3名の委員の方が意見を出され、小児がんについては20歳以降に問題がでてきていることを認識していただいていると考えております。ぜひ難病対策の中で、小児脳腫瘍患者への医療費助成などの支援、相談、自立・就職につき考慮いただきたくお願い申し上げます。</p> <p>(小児脳腫瘍について) 小児脳腫瘍は良性でも脳幹部などに発症すると治療法が全くなく予後が悪いために、小児の脳・脊髄にできる腫瘍については、良性、悪性とも小児慢性特定疾患の悪性新生物のカテゴリーに入っております。発症頻度は正確な登録がなく小児がん全体推計で2500人ほど年間発症するうちの約20%(500人)を締めると言われております。病理学的に100種類以上もあり、そのひとつひとつが大変希な疾患です。0歳から罹患し、原病により脳が侵されたり、発達途上のこどもの脳に強い治療(手術療法、化学療法(移植)、放射線療法)を施すためにその後の長い人生において、非常に多岐にわたった後遺症、障害、及び合併症を複数抱えることとなります。同様の治療をする小児がん全体で罹患者の約半数に、合併症が治療後長年にわたり、10、20年して現れることが欧米の研究などでわかっていますが、日本では追跡研究がされていず、また、最近になって予後が良くなってきた脳腫瘍については、詳細、対症法についてはわからないことが多いのが現状です。従って、自治体など行政側にも理解が乏しく、後遺症、障害、合併症を多く抱えた患者家族は、大変な困難を抱えています。</p> <p>&lt;&lt;下記は第24回難病対策委員会の個人的な傍聴メモの抜粋です。間違えなどありましたら、ご容赦くださいませ。&gt;&gt;</p> <p>c.悪性腫瘍について 小児がんについては3人の委員より意見あり 千葉委員 小児のがん等20歳以降にひきずる疾患があることは認識している。ここでは基本的な提案をしているのであって、しゃくし定規でなく議論が必要な部分もあると思う 葛原委員 小児の悪性腫瘍は外国では難病に入っている。どうみても満たしているものは入れてもいいと思う。</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
						<p>益子委員 小児の先天性疾患や小児がんは今治療が向上してきて大きくなってきている、原疾患はともかくとしてその後色々な問題が出てきていることを認識していただきたい。20歳を過ぎても難病として取り上げていただきたい。</p>
14	シルバー・ラッセル症候群ネットワーク	近藤 隆	シルバー・ラッセル症候群(ラッセル・シルバー症候群)	本年7月に設立して間もなく現在募集中	<p>① 難病対策の必要性の理念については、難病患者という一部の「弱者」の救済ではなく、国民の中に一定の割合で発症する可能性のあるものであると位置づけられております。国民全体が直面し、共有する必要がある課題であると感じられ、とても画期的な文言であると感じました。この文言を含む理念全体が具体的な法律や福祉サービスに反映されることを願っております。</p> <p>② 難病の定義・範囲(臨床調査研究分野や特定疾患治療研究事業、障害者総合支援法等)については、これまで難病に指定されていた疾患に十二分に配慮の上で、新たな谷間が生じないように研究奨励分野やそれ以外のこれまで光の当たってこなかった疾患へのご配慮をお願いいたします。</p> <p>③ 医療費助成-基本的な枠組み-対象疾患の認定等の在り方において、診断基準に基づいた専門医による認定が必要とされています。一刻も早く、科学的な根拠に基づいたガイドラインの策定と普及をお願いいたします。但し、難病(特に研究途上の希少疾患)においては、①その疾患に特化した明確な専門医がいない場合が多くあります。②また、仮に専門医と呼ばれる先生がいらしても、諸文献の情報と格闘しながら、対症療法を進めているのが現状だと思っております。一部の症例や文献を参考に「診断基準」を定めるのではなく、多様性に富んだ症状や患者の日々の状態に則したものを「診断基準・ガイドライン」として取りあげていただけますようお願いいたします。その際、患者や家族等が研究班等に携わり一体となってガイドライン策定に取り組むという方法などもひとつかと思っております。</p> <p>④ 難病相談・支援センターの在り方については、その機能を拡充し、医療機関で「難病指定」を受けると同時に同センターの紹介を受けられるような仕組みの構築を希望いたします。</p> <p>⑤ 難病手帳(カード)の在り方については、今後のご議論の中で、既に設けられている諸手帳と同等の効力を持つか否かに関心があります。また、特定疾患医療受給者証との兼ね合いについても詳しく知りたいところです。</p> <p>⑥ 難病研究の在り方については、患者及び患者団体等が諸研究班と一丸となって研究進展に寄与できるような環境づくりを強く希望いたします。</p> <p>⑦ 就労支援の在り方については、医療者(医師等)の就労に対するイメージと、社会一般的な労働環境との間に、大きな乖離が生じています。しかし、実社会では、医師等の診断書や意見書が就労の前提条件となっています。医療・企業・各種支援機関・求職者の間を取り持つ、ジョブコーチや就労支援コーディネーター制度の整備をお願いいたします。</p> <p>⑧ トランジションする場合の支援の在り方については、患者本人への告知の時期に関する問題も含め、特に円滑に進むように願っております。</p>	<p>① 資料2-1. 改革の基本理念で示す総合的な難病対策の外縁となる「難病」の定義についてはどのような方法、スケジュールで検討されるかお示しいただければわかりやすいです。</p> <p>② 3. 改革の柱-(1)効果的な治療方法の開発と医療の質の向上については、難病医療拠点病院(仮称)等を中心とした新システム、特に極めて希少な疾患への対応は「診断基準」が明確になり診断の質の向上が期待されます。一方、「診断基準ありき」にならないように予防措置を希望いたします。例えば、研究班と患者団体の公的な連携もしくは、研究班への患者団体の組み入れなど患者・家族の実態がリアルタイムに反映されるようにすべきです。医療者目線だけではなく、患者・家族目線も必要だと思っております。</p> <p>③ 3. 改革の柱-(2)公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築、及び、資料4の「希少難病性疾患の類型化に関する検討」、「難病対策からみた小児慢性特定疾患の類型化に関する検討」については、「患者数と診断基準の視点からの分析(上記の対象疾患と区分して検討・分析する必要がある疾患も含む)」の具体的な疾患を明示して頂いたうえでご議論いただければと思います。患者数は、疫学上の数であるか、診断されている実数であるか。また、重症度はどなたがどの基準に基づいて判断するのかお伺いしたいです。</p>
15	全国HAM患者友の会「アトムの会」	石母田 衆	HTLV-1関連脊髄症(HAM)	350名	<p>特定疾患の選定にあたっては、出来る限り多くの希少疾患を含めていただきたい。特定疾患の病気に比べて、はるかに重い症状があるにもかかわらず、病名が違っただけで医療費助成が受けられないという不公平な状態を早急に解消するべきと思う。また、医療費助成を重症度により判断する事は、原因の解明や治療法、治療薬の早期開発を目的とする制度にとって、軽症者が受診から遠ざかり、軽症から重症化する過程の研究の妨げになるのではないかと考えます。特に新規に認定される疾患に関しては、少なくとも10年程度は軽症患者も含めて助成をし、より多くのデータを蓄積し研究の推進をしていただきたいと願っています。勿論新薬や治療法がそれ以前に開発されれば、その時点で他疾患同様の扱にするべきと考えます。「今後の難病対策の在り方(中間報告)」の早期実現を患者は願っています。これまでも既に長い時間苦しんできているのです。</p>	<p>HAMは、脊髄が傷害されて歩行障害や排尿障害、時に足の激しい痛みなどが進行する病気で、HTLV-1感染者のわずか0.3%に発症する希少神経難病です。どうしてわずか0.3%に発症するかその原因はわかっておらず、家族内の発症が患者全体の約10%いるということも聞いており、その原因としては体質や遺伝的な関与も考えられますが、まだ全く解明されていません。そのため、原因に基づいた治療法は開発されておらず、症状は毎年進行し、不自由な毎日に苦しみ、そして将来への不安に怯えながら生活しているのが現状です。</p> <p>HAMは1986年に発見されましたが、それまでHAMの患者は「多発性硬化症」と診断されることが多かったです。しかし、HAMが発見されてきちんと診断されることによって、多発性硬化症ではないという理由で、特定疾患から排除されてしまった患者もたくさんいます。科学の進歩が招いた悲劇です。その後、多発性硬化症は多くの治療薬が開発されていますが、HAMは全く有効なお薬が開発されず、この26年間、HAM患者は多くの矛盾や不平等に苦しんできました。本当に治らない病気を、本当に苦しんでいる患者を、本当の難病を、今回は認定してほしいと望んでいます。</p> <p>厚生科学審議会疾病対策部会第24回難病対策委員会の資料を拝見させていただき、国や関係者の皆様方が真剣に難病対策に取り組んでおられることを、とても感動して拝見しております。我々HAMの患者会一同は、この対策の推進に大きな期待を寄せており、一日でも早く対策が実現することを切に願っています。対策の中で気になったのが、拠点病院の整備と専門医の育成です。HAM患者は、住む地域によっては専門的な診療を受けることが出来ずに苦しんでいる患者がたくさんいます。各地域に拠点病院と専門医が整備されることはその解決に向け非常に期待するものでありますが、これまでも大学病院などでは主治医がコロコロ変わって、全く専門的な治療を受けることが出来ずに困っているのが現状です。この体制が患者さんに本当に役立つように、各難病の専門担当医を明確にするように願います。そして最後に、この難病対策が国の方針として継続的に取り組まれますよう、法律化されることを願います。</p> <p>関係者の、皆様の並々ならぬご尽力に感謝しております。どうぞよろしくお願い申し上げます。</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
16	全国色素性乾皮症(XP)連絡会	田中 照代(連絡先:長谷川 雅子)	色素性乾皮症(XP)	130名	<p>2、「難病」の定義、範囲の在り方 について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「難病」は既存の制度に当てはまらない部分があることに配慮して下さい。医療費助成や福祉的な支援について現状をご理解の上対策を講じていただけますようお願い致します。Ex.)色素性乾皮症(XP)は、紫外線が大敵であるため医薬品以外での紫外線防御用品(UVカットクリーム、紫外線防護衣類、紫外線カットめがね等)が必要です。また、進行する神経症状は治療法がないために紫外線防御をしながら進行を遅らせる工夫をしています。専門医に出会える機会は少なく、紫外線に気を使いながらの遠方への通院には大きな負担がかかります。</li> </ul> <p>3、医療費助成の在り方 について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>治療研究の推進を切に願います。しかし、治療法解明へは遠い道のりを感じ、難病指定されていても日々の実感が薄いことも事実です。治療法が現実的になるまでも患者とその家族の日常生活の心の支えとなるよう工夫して下さい。</li> <li>障害者医療費助成や高額医療費助成等現行の制度の存続及び周知徹底を図って下さい。</li> <li>各種認定及び更新手続きが医療関係者や患者に負担のないよう検討して下さい。</li> </ul> <p>4、福祉サービス について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>難病患者及びその家族をサポートする人材の確保及び質の向上がなければ意味がありません。効率の良い研修ももちろんですが人材が定着し経験を積むことができるよう工夫して下さい。</li> <li>通所・入所の質の向上を図って下さい。</li> <li>難病の特殊な部分をご理解いただき、サービスの窓口の親切的な対応を望みます。</li> </ul> <p>8、「新・難病医療拠点病院」について、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>希少な疾患については名称だけで中身の無いものにならないかと懸念します。無駄な予算にならぬようお願いいたします。</li> </ul> <p>10、難病を持つ子どもへの支援の在り方 について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>患者本人だけでなくきょうだいや家族への支援検討をお願いいたします。(レスパイトや精神的なサポート、きょうだい保育等)難病患者の日々の現状をよくご理解の上、全国どの地域でも公平に支援が受けられるよう早急に整備いただけることを切に願っております。どんな困難があっても人として家族と共に充実した幸せな生涯だったと思える社会であるようにと祈っております。</li> </ul>	<p>・小児慢性特定疾患の毎年の更新手続きについてご検討をお願いいたします。毎年意見書等の費用と書類提出などの手間に負担を感じるという声があります。しかも地域や病院によって額や手続き方法が異なるようです。</p> <p>XPは、難病指定されており、原因不明で治療もなく長期の療養(しかも複雑な特殊な支援が必要で、紫外線防御・進行性神経症状)を必要とすることについては小児期より改善の余地はありません。このような場合は毎年の更新は無駄ではないでしょうか？</p> <p>小児慢性特定疾患治療研究事業は、子どもの健全な育成を目指していると理解しておりますが、難病指定されたものに関しても子どもの健全な育成を含み、或いは関係機関と深い連携を図ることでより良い制度となるようご検討願います。</p>
17	一般社団法人 全国心臓病の子どもを守る会	斉藤 幸枝	心臓疾患	4500世帯	<p>小児慢性特定疾患児の成人期移行(トランジション)の問題について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>20歳を超えた先天性心疾患患者に、継続した支援と研究を行えるようにしてください。特に、発生原因が不明で予防の困難な疾患については、医療費の支援はもとより、その発生原因の究明、継続した研究が必要です。</li> <li>成人期をむかえて、就労の困難な患者に対しては、社会的な背景も考慮に入れて、医療費助成を行ってください。</li> <li>あわせて、就労困難な患者に対して、就労を支援するための施策も検討をしてください。</li> <li>また、将来の自立を見据えた、子育て、教育面での支援も必要と考えます。子どもたちが自分の力で生活を送れるだけの力を身につけていけるよう、専門家による病院での相談体制、学校と医療機関との連携、療育相談などを充実してください。</li> <li>医療の体制については、成人先天性心疾患患者の専門外来の設置と専門医の養成を進めてください。また、循環器小児科専門医療機関と循環器内科のある病院との連携を進めてください。</li> </ul> <p>特定疾患治療研究事業について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>対象疾患の縮小、給付水準の引き下げを行わないでください。</li> </ul>	<p>○基本的な考え方について及び対象患者の考え方</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>対象患者については、単に疾患名や重症度といった医学的見地からだけでなく、疾患が社会生活上の障壁になっているか否かという点も重視し、広く捉えていくべきと考えます。</li> <li>具体的には、小児慢性特定疾患患者で成人期をむかえた患者の中には、就労が困難でありながら、所得保障の障害年金の対象から外れてしまう、制度の谷間にある患者が多数いますが、そうした患者に公的医療費助成はありません。そうした患者も治療が継続できるような制度を望みます。</li> <li>また、手術など一定の治療法があっても、それが、最終的な治療となるとは言えません。先天性心疾患の場合、多くの場合、手術後も、その疾患と生涯にわたって付き合っていくことが強いられます。症状が不安定であったり、ある時期から急に状態が悪くなったり、またそれらを繰り返す場合が多いのです。そのような疾患は「治療法が確立している」とは言えません。医療費の負担への不安を持ちながら生活を送っている心臓病児者が、生涯を通して、安心して医療が受けられるようにしていただきたいと思えます。</li> </ul> <p>○給付の考え方</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>重症な患者ほど、治療は長期に渡り、月々の負担は高額なものになります。重症患者の負担を出来る限り軽減することは極めて重要です。</li> <li>低所得者層への配慮では、自立支援医療では有料となっている住民税非課税世帯においても、同じ自立支援法の福祉サービスについては、無料となっています。障害者福祉の中で無料となっているサービスについては、難病患者においても無料であるべきと考えます。</li> <li>患者負担については、現行通り、本人所得を基本とした応能負担としてください。</li> <li>入院時の食事療養費については、入院を繰り返す慢性疾患患者にとっては、過重な負担となります。療養生活時の経済的負担を軽減するという観点から、助成を継続してください。</li> </ul> <p>○追記</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>制度の安定化ということについては、国として、患者の実態や動向に見合った予算の増額を図るとともに、高額療養費制度の見直しなども併せて実施することで対応すべきと考えます。</li> </ul>
18	R 社団法人 全国腎臓病協議会	宮本 高宏	慢性腎臓病(腎不全)	97,500名	<p>今回の難病対策の見直しにより、これまで対策の対象でなかった患者が対象となることは進展であるが、これまでに行われている対策、たとえば腎臓病患者に対する対策が後退することがあってはならない。腎臓病患者特に末期腎不全患者にとって透析治療は必要不可欠な医療であり、それに対する公的医療費補助は患者が治療を安心して続けていく上での命綱である。新たな対策がそこを脅かすことのないように、財政的な裏付けを十分行っていただきたい。</p>	

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
19	全国脊髄損傷後疼痛患者の会	若園 和朗	脊髄損傷後疼痛、脊髄障害性疼痛症候群	38名	<p>・脊髄損傷後疼痛など難治性疼痛の患者を、難病手帳の対象に含めるよう要望します。</p> <p>・痛みは、目に見えず検査結果にも現れず、その深刻さが理解しづらいため、医療従事者から追込まれるような対応をされることも多いと感じています。治療法のガイドラインだけでなく、痛みの評価法の開発と精神的に支えるためのガイドラインの策定がなされるような対策をお願いします。</p> <p>・このような病態に関して、医療関係者や一般国民に向けた指導や啓蒙活動を要望します。</p> <p>・私たちの病態は、研究奨励分野として平成21年度から3年間研究がなされたと聞いております、今年度から打ち切りとなっております。研究の再開をお願いします。</p> <p>・「慢性の痛みに関する検討会」の提言を踏まえた、慢性疼痛対策の充実を要望します。</p> <p>・治療の選択肢が増えるよう、海外で使用が認められたり、効果が証明されたりしている薬が難病治療に適正に使用できるよう、治験制度などの見直しをお願いします。</p> <p>・患者同士が支えあう、患者会活動への支援の充実をお願いします。</p> <p>・体調や移動の困難さ、経済的理由などによってこの会に参加が難しい患者にも配慮した難病対策となるようお願いします。</p>	<p>【難病対策の改革の全体像 3ページに対する意見】</p> <p>○「治りたい」、「病気の進行を抑えたい」、「機能を回復したい」という患者の切なる願い……について</p> <p>癌では、患者の生活の質を高めるために「痛み」を積極的に緩和することが当たり前になってきました。私達は、日々痛みとの闘いを余儀なくされています。中には、末期の癌と同じ程度か、それ以上と思われる激しい痛みをもつ重篤な患者もいます。しかし、残念ながら、この痛みを積極的に緩和し、患者を支えていこうとする体制や考え方は、わが国には根付いていません。中には、「うそつき」「大げさ」「我慢するしかない」「精神的な問題」などと医療従事者に突き放され、窮地に追い込まれる仲間もいます。私達の患者のほとんどは、重い麻痺も抱えています。その多くは、麻痺以上に痛みのほうが辛いと言います。そんな患者でも、当然のことながら、健康なころと同じように痛みを邪魔されず生きていきたい、人生を豊かなものにしたいと願っています。この痛みが根本的に治るのならそれに越したことはありません。しかし、現実的には、日々痛みをしのぎ、折り合いをつけながら、ずっと長い人生を生きなければならないのです。</p> <p>私達のような、激しい痛みとともに生きる患者は、「治りたい」、「病気の進行を抑えたい」、「機能を回復したい」以外に「痛みを管理し、よりよく生きたい」という切迫した願いをもっています。そこで、この文言を追加していただき、そうした患者を支える体制作りがなされるようお願いします。</p> <p>「人間はだれでも、いつか死に屈服する。しかし、死より恐ろしい支配者は、痛みである」とはアルバート・シュバイツァー博士の言葉です。激しい痛みと共に生きることの残酷さを知っていただき、難治性の痛みに対する医療の改善を要望します。</p>
20	全国多発性硬化症友の会	堀内 勇一郎	多発性硬化症	670	<p>＜はじめに＞</p> <p>「中間報告」の内容が非常に抽象的で意見をまとめるのは難しいこと、また、今回の患者団体の意見を聞く会は平日開催で参加も厳しいなか、これを意見の最終として「患者の意見を反映した」としないよう要望します。</p> <p>・各ワーキングチームでの論議は短期間、短時間。2011年12月の難病対策委員会での患者団体のヒアリングや難病患者の実態調査(2010年、聞きとり調査は3・11で頓挫)などの実態を考慮してほしい。</p> <p>・憲法25条の「最低限度の文化的生活」とは治療費の心配なく治療が受けられ、一日も早く健康な体を取り戻すことであり、国の「社会保障的義務」を果たす難病対策の確立をのぞみます。</p> <p>・国の財政難は患者がまねいたものではありません。難病医療費が医療費全体に占める割合は大きくはない。復興予算の使い方など、国の予算の「使い方」に問題があるのでは。厚労省として予算要求を強めてください。</p> <p>＜項目全体を通して＞</p> <p>・原因や根本的治療法が確立していないすべての疾患を国の難病と指定・研究し医療費の負担を軽減してほしい</p> <p>・医療、福祉において疾患による差別、重症度など症状による差別をしないでほしい</p> <p>・住環境の近くで必要な治療・療養ができる環境を確保してほしい</p> <p>・「現在の」難病患者の就職・就労実態を把握し、要求に沿った法律や制度確立など実効ある支援をしてほしい</p> <p>○医療費助成のありかた</p> <p>・難病はいつ誰がなるかわからない予測できない疾患であり、本人の努力で予防することは不可能である。</p> <p>他の制度との公平性を問題にするのであれば他の制度の支援を強化すべきである。</p> <p>○重症度基準について</p> <p>・そもそもなぜ、重症度基準等(等とはなにか)の設定が必要なのか。現在の基準設定の意向は研究のためではない。重症であっても軽症であっても同じ疾患であり、疾患の中に差別を持ち込むものである。現在でも同じ疾患でありながら軽症の間は認定されない、軽快したとされると登録者証に切り替えられる疾患があり、受診・治療を控える患者がいる実態はどのように把握しているのか。実態を調査するとした国会での答弁はどうなったのか。新たな基準設定でさらにそうした事態が拡大するのでは。</p> <p>・MSのように再発・緩解を繰り返す、かつその変動の大きい疾患でどのように判断するのか</p> <p>・MSの特徴的障害である膀胱・直腸障害、また精神機能などが含まれるEDSSに沿った診断を重視し、「障害度」では脊髄、運動、視力のみで診断されるべきではない。</p> <p>○治療ガイドラインと医療費適正化について</p> <p>・治療ガイドラインの確立は重要だが、治療の「適正化」として、百人百様と言われ個人差の大きいMS患者が効果的な治療を受けられなくなることがないようにしてほしい。</p> <p>・痛み、しびれ、感覚、膀胱障害などに現在使用されている薬は一人一人効果がことなる。難病に限らず、処方できる薬剤の種類を限定しないでほしい。「費用対効果」で保険適用とするかの判断をしないようにしてほしい。電子レセプトを利用し「適正化」として治療に必要な薬剤を受けられなくならないようにしてほしい</p> <p>○給付水準の在り方について</p> <p>・中枢神経のどこに病変が発見したかで症状が異なり、神経内科だけでなく、眼科、泌尿器科、精神科、整形外科などの科(病院)も受診が必要。現在の1医療機関につきの上限の何倍かの負担をしているのが現状。これ以上の負担はさらなる受診抑制、悪化につながりかねない。</p> <p>・就労や日常動作が困難な患者の生活を支えている家族の肉体的、金銭的負担は大きい。患者が一人の人間として生きていける制度にしていくためにも医療費負担は本人の生計で判断すべき。</p> <p>○福祉サービスの在り方について</p> <p>・現在の居宅生活支援事業の実施状況はどうなっているのか、すすまない理由は何か。</p> <p>・実施していない自治体の理由は何か、実施している自治体の実態はどうなのか。</p> <p>・難病患者が利用している状況は、なぜ利用者が少ないのか</p> <p>・障害者福祉サービスを受けている難病患者はどのくらいいるのか</p> <p>・障害者施策との違いは何か(例:現在も負担金額、ホームヘルプ指定事業者数などにも大きな差が</p>	<p>＜はじめに＞</p> <p>憲法25条の「最低限度の文化的生活」とは治療費の心配なく治療が受けられ、一日も早く健康な体を取り戻すことであり、国の「社会保障的義務」を果たす難病対策の確立をのぞみます。</p> <p>予算がないというのは、復興予算、税金の無駄遣い、米軍への思いやり予算など国の予算の「使い方」に問題があると思います。厚労省として予算要求を強めてください。</p> <p>人数など「疾患による差別」、重症度など「状態による差別」を持ち込むことは新たな「谷間」を生むことになり、状態悪化につながります。「公平」を理由に給付縮小はしないでください。</p> <p>医療・福祉の実施を自治体まかせにせず国が責任をもってください。</p> <p>＜全体をとおして＞</p> <p>公平性、公正性、安定的な制度の制定とされる内容が、「低き方に合わせる公平、公正」であり「患者負担を増やして安定的な制度」を確保する内容となっています。</p> <p>患者の自己責任ではなく、「国の責任」で難病を「克服」し「社会参加」でき「尊厳を持って生きる」ことができるようにして下さい。</p> <p>・原因や根本的治療法が確立していないすべての疾患を国の難病と指定・研究し医療費の負担を軽減してほしい</p> <p>・医療、福祉において疾患による差別、重症度など症状による差別をしないでほしい</p> <p>・住環境の近くで必要な治療・療養ができる環境を確保してほしい。</p> <p>・患者が自立して生活できる支援策をもってほしい。</p> <p>・難病でも生きる希望を失わないよう「社会参加」できる機会、支援をしてほしい。</p> <p>・「現在の」難病患者の就職・就労実態を把握してほしい。</p> <p>・資格や技術取得への支援策、要求に沿った法律や制度確立など実効ある支援をしてほしい</p> <p>＜改革の基本理念・改革の柱＞</p> <p>疾患の「克服」とは完治です。再発時の対処療法、進行を遅らせる治療法ではないはずで、患者・家族の負担を減らし、真に「社会参加」ができ「尊厳を持って生きる」ための医療・福祉・就労支援の実効ある支援をのぞみます。</p> <p>「他制度との均衡」「公平」「公正」を理由に現行制度より後退させないで下さい。</p> <p>○対象疾患の拡大の一方で「適切」な負担の検討で、重症患者の医療費の有料化、所得区分による負担額が増加することのないようにして下さい。</p> <p>重症患者のほとんどが家族の支えで生活しています。有料化は受診抑制、悪化につながります。所得区分による医療費負担の増額も受診抑制による重症化をまねき、結果的に「医療、福祉など社会保障費増大」につながります。</p> <p>○「効果的な治療法」がある疾患として「入れ替え」をしないでください。</p> <p>発病・再発時の症状を緩和する対処療法や、進行を遅らせ・再発回数を減らし・症状を軽度にするようにとされる治療法・薬は個人で効力が違います。また、すべての患者に有効ではないこと、(※1) 重篤な副作用で使用できない患者もいます(※2)。疾患が「克服」できるまでの研究・医療費補助を望みます。医療費補助がなくなると注射・経口予防薬など高額負担のために投薬を中止しかねません。中止すれば一気に重症化することは明らかです(※3)。MS(NMO)の場合、失明、認知機能障害、身体機能障害、生死にかかわる症状もあることを理解してください。</p> <p>○研究をさらに促進し、根本的な治療法が確立できるようにして下さい。体への負担が少ない新薬の開発、外国で治療効果の認められている薬の保険適用を望みます。</p> <p>○治験について</p> <p>・医師主導の治験に協力する患者の医療費・交通費など負担がかからないようにして下さい。</p> <p>○医療費適正化について</p> <p>・治療の「適正化」によって、百人百様と言われ個人差の大きいMS患者が効果的な治療を受けられなくなることがないようにして下さい。処方できる薬剤の種類を限定しないでください。現在中医協で検討されている「費用対効果」で保険適用とするかの判断をしないでください。「電子レセプト」を利用し「適正化」として治療に必要な薬剤を受けられなくならないようにして下さい。</p> <p>○給付水準の在り方について</p> <p>・病変が発見した箇所でも症状が異なり、神経内科だけでなく、眼科、泌尿器科、精神科、整形外科など複数診療を受けざるをえない現状を理解し、負担軽減をはかってください。</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
					<p>ある)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・障害者総合支援法の障害者福祉サービスにかかる給付対象の難病とは何か。</li> <li>・難病独自の障害程度区分とは何か</li> <li>・現在、福祉サービスを受けていない・受けられない難病患者が受けられるようになるのか</li> </ul> <p>○難病手帳について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・難病手帳の目的は何か、何を明記しようとしているのか。障害者の制度と同様でないのならば、どんなメリットが期待できるのか。就労支援になるのか。</li> <li>・医療券以外に手帳取得のための診断を受けないといけないのか</li> <li>・手帳をもたない患者との差別がおきかないのか</li> </ul> <p>○難病研究の在り方について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究がすすめられたことにより、MSの対処療法、進行阻害薬の開発、外国で使用されている薬剤の保険適用がふえているが、根本的治療法が確立されていない。また、適用された薬を使用しても効果がない患者、副作用のために治療を中断している患者もいる。ひきつづき研究してほしい。</li> <li>・医師主導の治験をおこなう場合、協力する患者の医療費・交通費など負担を軽減してほしい。</li> </ul> <p>○医療・看護・介護サービスの提供について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・生活・就労環境と治療を受ける医療機関が近いことが症状安定にもつながる。</li> <li>・指定病院でしか治療が受けられなくなることがないようにしてほしい。</li> <li>・独立行政法人化、公立病院改革ガイドライン、介護保険、診療報酬の改定などにより、急性期治療に重点がおかれ在宅への移行がすすめられているが地域で療養できる環境は整備されていない。介護施設やベッド数は激減し治療も療養も困難になっている。</li> <li>・医師不足を生んだのは、医師数が増えすぎたと医師数抑制施策をおこなってきた結果</li> <li>・医学部定員の増加、医師や看護師の勤務実態の調査・就労環境の支援などおこない具体的な医師養成制度を、</li> </ul> <p>○就労支援の在り方について 実効ある支援、制度の確立を</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・非正規が増え収入が安定しない社会だから税収入も保険料も減る。正規雇用があたりまえの社会にしてほしい。</li> </ul>	<p>・就労や日常動作が困難な患者の生活を支える家族の肉体的、金銭的負担は大きい。患者が「尊厳を持って」一人の人間として生きるためにも医療費負担は本人の生計で判断すべきです。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・薬価を引き下げ、患者負担を軽減してください。</li> </ul> <p>○福祉の支援は疾患にあわせて「障害の程度」でおこなってください。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・MSは身体的障害だけでなく、認知機能、感覚、痛覚、倦怠などの「障害」があります。再発・緩解を繰り返したり、日内変動があるなど症状が不安定な者も含め、必要な時に必要な支援が受けられるようにして下さい。</li> <li>・現在の居宅生活支援事業の実施状況、すまない理由、実施している経験を明らかにしてください。</li> <li>・障害者総合支援法の実施にあたっては、福祉サービスを受けられなかった患者が受けられるようにして下さい。</li> <li>・障害者施策に合わせる(所得税→住民税による区分にする)ことで負担額が増えないようにしてください。</li> <li>・難病の住宅リフォーム制度など自立して生活できる支援策を強めてください。</li> </ul> <p>○医療・看護・介護サービスの提供について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・生活・就労環境と治療を受ける医療機関が近いことが症状安定にもつながります。</li> <li>・認定は拠点病院と限定せず、日常的な状態を把握している医師が、診断基準で判断できるようにしてください。</li> <li>・指定病院でしか治療が受けられなくなることがないようにしてください。</li> <li>・急性期治療に重点がおかれ在宅への移行がすすめられていますが、地域で療養できる環境は整備されていません。入院時のベッドの確保、介護施設の増設をのぞみます。</li> <li>・医師、看護師・医療従事者不足を解消してください。</li> </ul> <p>○就労支援の在り方について 実効ある支援、制度の確立を</p> <p>正規雇用を促進することで、患者の収入が増え、国への保険料も税収も増加します。「有期」が当たり前ではなく「正規雇用」があたりまえの社会にしてください。</p>
21	全国尿素サイクル異常症患者と家族の会	朝美 あゆみ	OTC欠損症、アルギニノコハク酸尿症、シトルリン血症など	約50家族	<p>1. はじめに 難病対策の検討を一生懸命に行ってきた皆様、心よりお礼申し上げます。どうもありがとうございます。以下に、私ども患者会からの意見・提案を述べさせていただきます。どうかご検討をお願い致します。</p> <p>まず、尿素サイクル異常症について、概略を説明させていただきます。私たちの疾患だけを取り上げて頂きたいというわけではありません。患者が抱えている困難の実例を知って頂くことで、(1)なぜ、現行の難病対策が、有効に機能しないという状況が生まれているのか？そして(2)今回の制度改革において、どのような検討が必要であるのか？という二点を、抽象的な言葉の羅列ではなく、わかりやすいようにご説明したいと思います。また、尿素サイクル異常症患者と似たような状況にある他の難病の患者さんたちが、きつとらっしゃると思います。その方たちも、同じように現行の制度では必要な支援を受けることができず、とても苦しんでいらっしゃるのではないかと思います。具体的な議論につながりますことを願っています。</p> <p>2. 尿素サイクル異常症患者の現状 尿素サイクル異常症は、体内で発生するアンモニアを解毒する酵素が十分に働いていないために、高アンモニア血症および様々な症状を引き起こす病気です。高アンモニア血症は、脳細胞を破壊します。治療する方法がなく、また高アンモニア血症を防ぐ有効な治療法が未だない(一部の酵素欠損症では肝臓移植する場合があります)ために、亡くなる方や重い脳障害を負う方が多くいらっしゃいます。脳障害の後遺症として、寝たきり、手足の不自由、精神発達遅滞などの状態になってしまいます。特別支援学校や、特別支援学級を利用しながら普通学校に通学して、頑張っている患者さんもいます。高アンモニア血症を防止する有効な方法がないために、生涯、何度も高アンモニア血症を繰り返します。従って、常に命の危険、脳障害が悪化する危険と隣り合わせの日々です。体調が不安定で高アンモニア血症に陥ることが多く、また既に脳障害を負ってしまったために精神発達が遅れている(例:成人であるが、精神発達は小学生低学年レベルであるなど)ため、成人になっても定職につくことは難しく、アルバイトもできない方が多いです。高アンモニア血症を繰り返さないためには、定期健診で体調をよくモニターしながらしっかりと服薬と食事療法で高アンモニア血症を防止する。もし血中アンモニアが上がってきたら、すぐに病院に駆け込み、点滴や血液透析を受けて血中アンモニアを下げる必要があります。しかし(1)正しく診断されないことが多い、および(2)高アンモニア血症に陥った時に必要な治療は血液透析およびアンモニア除去剤の点滴(各病院が試薬を調達し、特別な手続きを経て院内で点滴用に調合する)であるのに、これらの治療ができる病院、治療の知識・経験がある医師が極めて限られる…という理由で、(A)診断・治療が遅れて、死亡、重度脳障害後遺症のケースが多発する、(B)治療可能な病院が遠く、患者の通院は身体的・精神的、および経済的負担が大変大きい…という状況になっています。さらに、成人に達すると医療費の助成がなくなってしまうため(小児慢性特定疾患に指定されています)、医療費が平均的な家庭にとっては高額に上ります。そのために、具合が悪くなっても病院に行かない、医師に入院するように言われても無理して帰宅する、薬の服用量を必要量よりも減らして長持ちするようにする…などしなければならぬ方が出ています。この結果、脳のダメージが進む、体調が常に悪いという状況に陥っています。このような状況は尿素サイクル異常症に限らず、私たちと似たような状況にある他の疾患の患者さんがいらっしゃるのではないかと思います。</p> <p>3. 中間報告への意見・質問 (1)医療費助成の対象疾患の4要素について(p.3, 10行目~13行目) 「②原因不明」という条件は必要でしょうか？ 例えば、遺伝子の変異が原因と考えられる疾患は多いのですが、これらは原因が判明しているとして、医療費助成の対象から除外されてしまうのでしょうか？ (2)対象患者の認定等の在り方(p.3, 下から6行目) 「自治体の指定を受けた専門医の診断を要件とする」緊急時を除き、自治体の指定を受けた医療機関</p>	<p>1. 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上について</p> <p>① 治療方法の開発の推進 患者と家族にとって、一番の願いは病気の苦しみから解放されて元気に生活ができることです。治療法の開発、治療する方法を見つけるための研究への投資、研究が進むための環境整備に力を入れて頂きたいとお願致します。</p> <p>A) 治療法開発にあたっては、行政担当者、研究者、医師、患者団体、製薬企業などが一緒に議論して、効果的に治療の開発が行われる方法を探し、迅速に開発・治験が進められるよう協力する体制をつくっていく必要があると考えます。</p> <p>B) 疾患の基礎研究や創薬研究のデータベースを作って公開することをご検討下さい。誰が、どのような研究をしているかの情報に、皆がアクセスできることにより、研究者間の協力、異分野の研究者とのコラボレーションなどが行われやすくなり、研究がより早く進歩すると思います。</p> <p>③ 国際協力の推進 A) 研究者、医療従事者、患者等の国際交流を推進するために、国際会議の開催を支援し、開催に必要な経費の助成をお願い致します。特に希少難病の場合、国際的に情報交換されていないことが、日本における疾患の知識や治療法が、欧米のそれから数十年も遅れてしまっている原因になっています。このような状態を一日も早く改善したいと思います。</p> <p>⑥ 医療の質の向上 A) 疾患ごとの標準的治療指針を作成して下さい B) 治療ガイドラインをウェブサイトに掲載し、全国の医師と患者家族がすぐに見つけられるような形で公表して下さい C) 文書の治療ガイドラインのみならず、専門医による講義の録画をウェブサイト上に載せて下さい。30分ぐらいで、その疾患の基礎知識、急性期にはどんな治療が必要か、日常の治療はどのように行われるべきか、どういう点に気をつけるべきかなどを専門医が解説するビデオ講義のようなものがあると、わかりやすく、記憶に残りやすいです。忙しい医療現場にいる医師が、スマホなどでビデオ講義を見て大事な点を迅速に学び、実行できるようにサポートして下さい。これが患者の生死や、後に重い後遺症を残すか否かを分けますので、是非実現して下さい。 D) 標準的治療指針を作成した疾患研究班に全国から症例が集まるようにし、治療指針や症例を定期的に議論し、必要に応じて指針を改訂していくようにして下さい。 E) 全国の医師から相談を受け付ける疾患治療アドバイザーを指定し、その名前と連絡先をウェブサイト内で公開して下さい。標準治療指針を参考に治療しても患者の状態が良くならない時に、多くの症例を知っている専門医に主治医がすぐに相談できることが必要です。アドバイザーは快く相談を受けつけますという雰囲気が必要ですし、そうなるためにはアドバイス業務に対して、何らかの報酬が支払われることも必要ではないかと思います。実際に、治療を受けている患者の症状が改善せず、主治医が「どうしたらいいかわからない」と言っているのに、専門医に相談して下さらないという状況が珍しくありません。患者の苦しんでいる様子に耐えられなくなった家族が、患者会に助けを求めて連絡してくることがあります。なぜ、主治医は専門医が誰であるかわかっていても、相談しないのでしょうか。ある先生によりまして「(1)自分の出身大学にしか相談せず、他の大学や専門医に相談してはいけない雰囲気が未だにある、そして(2)専門医に相談することを、とても敷居を高く感じている場合がある。そのために患者が被っている不利益は甚大である」とのことです。希少難病の場合、治療が不十分であると、死亡したり回復不可能な後遺症を残すことが少なくありません。医師同士が知識を共有しないことは、医療の進歩の大きな妨げにもなっています。このような状況が</p>



各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
					<p>で受診した場合に医療費助成を行う」という条件が妥当なのか、疑問を感じます。自治体に、難病の専門医を指定するために必要な知識や能力があるでしょうか。患者・家族自身が医師名を挙げる、医師自身も治療が可能であると認める、他の専門医が推薦する、患者団体が推薦する・・・など、病気とその治療をよく知っている人が、医師と医療機関を指定することができるようにした方が良いと思います。また、指定医療機関についても、例えば、重症化する前の比較的症状が軽い段階で、近くのクリニックや一般病院ができる治療を開始すれば、重症化が防げる場合があります。そのようなクリニックや一般病院での治療費用も、助成対象となるようにするべきだと思います。また、外出先や旅行先で発作が起きて治療を受けることもあります。そのような場合も、専門病院や認定医師でなくても、対象疾患の治療であると示すことができ、助成を受けられる等の対応が必要だと思います。要は、医療費の負担が原因で、必要な時にすぐに病院に行けない。そのために症状が悪化してしまう・・・という事態を防ぐことも、医療費助成の重要な目的であると思いますので、助成が受けられる病院、医師などを限定し過ぎて、助成がスムーズに受けられない、従って医療が受けられない・・・という事態が起きないように制度設計して頂きたいと思います。</p> <p>(3)「医療費助成を受ける前提として・・・患者データの提供が行われるようにする必要がある」について(p.4)</p> <p>①どのような患者データを提供することになりますでしょうか？                  ②疾患によっては、患者登録制度を創設しようという動きがありますが、これとリンクするものでしょうか？それとも医療費助成用のだけの患者データ提供でしょうか？                  ③患者データの提供によって治療法の開発研究に結び付けようとするのですから、医療費助成の患者登録情報が、まさに治療法研究を推進しようとしている患者登録制度に提供されるようにするべきだと思います。</p> <p>④現行の小児慢性特定疾患では、毎年、医師に診断書を書いてもらい、患者家族は診断書作成費用を支払わなければなりません、1年はあつという間です。疾患は治癒できず、治療法が全く進歩しない中で、現在可能な治療を継続しなければならない状況は全く変わりません。しかし診断書作成のために医師の時間をとっていること、患者は文書代の費用がかかっていること、その両方に無駄を感じます。期限を設けることが必要でしたら、例えば10年とか5年とか、長くして頂けませんでしょうか。</p> <p>(4)給付水準の在り方                  重症化を防止し、健康管理するために必要な費用を、疾患ごとに把握して、助成する対象の医療費を決めるべきだと思います。例えば尿素サイクル異常症の場合、高アンモニア血症の重症化を防ぐためには、以下が必要であり、それぞれに費用がかかります：                  ① 安息香酸ナトリウム：アンモニア上昇抑制、高アンモニア血症発症時の治療薬として使用されます。しかし試薬のため、保険適用されておらず、患者が購入費用を自己負担(薬剤としての開発・安全性試験がされていない工業用薬品です。従って、現在の購入費用は高くありません)しています。                  ② シトルリン：血中アンモニアの上昇を抑制する効果があるので、これはまさに薬です。しかし、サプリメント成分でもあるため、医薬品に指定されていません。患者が必要な量を摂取しようとすると、大変に高額(数万円/月)になってしまうので、現在は企業が患者にコストがかからないように提供してくれています。民間企業の善意に依存するのでは、長期的に安定供給される保証がありません。実質的に薬なので、このようなものも薬代として扱って頂きたいです。                  ③ 簡易血中アンモニア測定器：自宅で迅速に血中アンモニアを計測できる機器があります。しかし機器購入費用が約10万円/台、検査用ストリップ購入費用が1万5千円/箱と高額であるため、ほとんどの患者さんが買えません。この機器を使って、必要な時にアンモニア値を家庭で検査し、重篤化する前に病院に行くことができれば、救命、後遺症防止に大きく役立つのです。                  ④ 低たんぱく食品・栄養添加食品：血中アンモニアは①私たちの身体が常にたんぱく質の合成と分解を繰り返しており、その過程で発生する、そして②食品から摂取するたんぱく質の分解過程で発生する、のです。①は、コントロールできません。従って、②について、できるだけたんぱく質の摂取量を減らさなければなりません。このため、患者の多くは低たんぱくご飯や低たんぱく麺を主食として利用しています。低たんぱくご飯は、成人患者の場合、3万円/月の負担に上ることが珍しくありません。また、たんぱく質の摂取を厳しく制限することによって、食品からの必須アミノ酸、カルシウム、ミネラル、ビタミンなどの摂取が大きく低下してしまいます。これらの栄養素の不足は、代謝のバランスを狂わせ、高アンモニア血症の原因となる上、発達障害や他の疾患を引き起こす原因となってしまいます。従って、患者は、これらの栄養素を添加した治療用の栄養食品を買わなければなりません。これにも費用がかかります。低たんぱく食品や治療用の栄養添加食品は、高アンモニア血症の発症防止のために使用されますので、まさに医薬品と同じです。</p> <p>上記①～④のようなものにかかる費用の助成も検討して頂けますようご検討をお願い致します。</p> <p>(5)難病相談・支援センターの在り方(p.5)                  難病相談・支援センターがもっと効果的に機能を発揮できるように、以下を議論して頂きたいです。                  ① 患者団体との連携                  ② 勉強会・相談会の機能強化                  (A) 患者団体が企画・実施する勉強会に対して費用の助成をして頂きたい                  例えば、東京都の難病相談・支援センターは、年に何度か勉強会を開催していますが、代謝疾患の勉強会はありません。また、代謝病は疾患ごとに、治療法・健康管理法、そして専門医も、かなり違います。患者会が主催する勉強会が、まさに患者のニーズに応えるものとなっています。しかし、例えば私どもの場合、一部の患者家族が、専門医に来て頂く費用、会場使用料などを負担して、患者家族みんなのために勉強会を開催しています。参加費でまかなおうとすると、ひとりあたりの金額が大きくなり、参加できなくなってしまうからです。例えば、講師招聘費用や会場使用料を助成して下さるとか、勉強会場として、自治体の(低コストな)会議室を優先的に使わせて頂くなどの支援を得られることができれば、勉強会・相談会はかなり開催しやすくなります。                  (B) 勉強会を開催する際、他の難病相談・支援センターで、テレビ会議で参加できるようにして頂きたい                  例えば東京で勉強会や専門医への相談会を開催した場合、地方にお住まいの方は、東京までの旅費が高額である、遠方への外出がそもそもできない/体調悪化の危険が大きい・・・などの理由で参加が難しい状況です。このような場合、患者家族が、自宅でインターネットを利用してテレビ会議のようなかたちで勉強会に参加できるようにサポートして頂く、または、その方がお住まいの難病相談・支援センターに行けば、テレビ会議参加できるような設定を準備して頂く・・・といった具体的支援をご検討頂けると大変</p>	<p>一刻も早く改善するように具体的な施策が必要だと思います。                  F) 専門医支援ネットワークに「先天性代謝異常症」分野も加えて下さい                  (2) 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築                  ② 対象疾患及び対象患者の考え方                  A) 尿素サイクル異常症につきましては、下記の疾患を対象疾患にして頂きますようお願い致します                  ・ OTC欠損症(オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症)                  ・ CPS1欠損症(カルバミルリン酸合成酵素欠損症)                  ・ シトルリン血症                  ・ アルギニノコハク酸尿症                  ・ アルギニン血症(小児慢性特定疾患病名：高アルギニン血症、またはアルギナーゼ(AS)欠損症)                  ・ NAGS欠損症(N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症)                  ・ HHH症候群(高オルニチン血症高アンモニア血症ホモシトルリン尿症候群)                  ・ リジン尿性たんぱく不耐性                  ・ シトルリン欠損症                  ・ オルニチンアミノ転移基酵素欠損症(脳回状網)                  B) 「原因不明」という表現の条件は適切でしょうか？原因は遺伝子の変異と考えられている疾患は多いです。しかし、同じ疾患を引き起こす遺伝子の変異には様々なタイプがあったり、同じ疾患、または同じ変異でありながら症状が異なったりすることは多いので、「原因不明または疾患のメカニズムが不明」という表現の方が良いのではないのでしょうか？</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
					<p>助かります。勉強会に参加したり、専門医に相談できたりしますと、治療や健康管理の質が向上します。それは、救急や入院の必要性を減らし、医療費の削減にもつながります。</p> <p>(6)難病研究の在り方(P.6)</p> <p>(1)臨床調査研究分野と研究奨励分野は、何が違うのでしょうか？ご説明頂けませんでしょうか？民間が実施する患者団体の支援活動には、臨床調査研究分野の130疾患に限定されているものがあります。これら以外は難病ではないかのような扱いで、疑問を感じています。</p> <p>また、尿素サイクル異常症には10の酵素欠損症があるのですが、このうち研究奨励分野には2つの欠損症しか指定されていません。これも、なぜそうなっているのでしょうか？</p> <p>(2)基礎研究および創薬研究を促進するための議論に、患者団体および製薬メーカーも加えて下さい。</p>	
22	一般社団法人 全国パーキンソン病友の会	中村 博	パーキンソン病	8,000名	<p>①難病の定義・範囲について、今の範囲から後退しては困る。特定疾患の認定から、ある重傷度の患者を外すという意見が出ていることに困惑しております。難治性の疾患であり、患者が増えたから、希少性の制約で特定疾患から外されるというのは耐え難い。</p> <p>②新・難病医療拠点病院(仮称)と現行の認定医による認定がどうなるか不明で現行でよいのではないかと。特に、地方では過疎・遠方になる患者も多く不便である。</p> <p>③難病手帳(カード)については、手続きの簡素化をお願いしたい。</p> <p>④別の病気で入院した際に、パーキンソン病の服薬を止められ、体調悪化や死に至るケースもある。こういう難しい病気であることをご理解いただき、総合的な治療の必要性があることを訴え、このような観点からの医療費助成の維持・拡大をお願いします。</p> <p>i)パーキンソン病など難病患者は、投薬前の状態で身障者手帳交付要件を判定するようにお願いします。</p> <p>ii)特定疾患治療研究事業において、投薬が開始されたパーキンソン病患者を対象範囲に入れるようお願いいたします。</p> <p>iii)障害者に対する助成制度に、新規対象の65歳年齢制限を廃止してください。</p> <p>iv)就労支援事業の対象者として、難病患者を含めてください。</p> <p>v) iPS細胞研究所の研究の更なるご支援に格段のご配慮をお願いします。</p>	
23	竹の子の会 ブラダー・ウィリー症候群児者親の会	東尾 雅史	ブラダー・ウィリー症候群	588家族 (2012年8月)	<p>難病対策委員会が昨年12月「今後の難病対策の検討に当たって(中間的な整理)」で、「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」ことを基本的な認識としたとありますが、今後の難病対策の基本概念として「全ての難病と言われる人や障害のある人が自立出来る事、家族を含めた全てが安心してこの社会で生活出来る事と、普通に人生を全う出来る事」をあげて各項目についての議論を進めて欲しい。竹の子の会では、ブラダー・ウィリー症候群(PWS)にとって成長ホルモン(GH)補充治療が疾患の自然歴改善に大きな働きがある事が研究で判って来ているので、小児慢性特定疾患の適用認可を体組成改善の為に治療として認めて全てのPWS患者が治療を受けられる様にしたい事と、18歳以上に成っても、継続的に体組成改善の為に低容量使用のGH補充治療を行える様な研究とは別の医療費助成を考慮して頂けたらと思います。その為にも小慢から成人への継続的移行がスムーズに計れる様な体制の構築は必要だと思います。難病の人が自立して社会で生活して行く為には、福祉サービスが必要不可欠です。平成25年4月「障害者総合支援法」が施行されますが、難病も障害児・者の範囲に加えられる事に成っています。加えられる難病の範囲については、「今後の難病対策のあり方に関する研究班」において障害者総合支援法施行の向け検討する事に成っています。全ての難病と言われる疾患が加えられる事を望みます。また、障害程度区分認定について、全ての難病・障害の特性・実情を配慮して頂きたいと思っております。最後に、難病と言われる人が、全国どこでも同じ様に治療、支援を受けられる様に成れば良いと思っております。</p>	<p>「今後の難病対策の在り方に関する研究」中間報告において、希少・難治性疾患の類型化等を行なう事により、難病対策の在り方を検討する基礎的資料を提供する対象疾患として、難治性疾患克服研究事業130疾患と研究奨励分野、平成22から24年度を含め482疾患となっているが、ブラダー・ウィリー症候群(PWS)の様に23年度で研究奨励分野の研究期間が終了した疾患や研究者がいない為研究分野に加われない疾患は、この報告を基に話し合われた医療費助成の対象から離れていくのではなか。</p> <p>また、小児慢性特定疾患の成人移行(トランジション)についての検討が始められたことを歓迎します。竹の子の会では、小慢において低身長要件でのみ成長ホルモン補充治療が行なわれているが、体組成改善を要件による成長ホルモン補充治療を望み、18歳を超えても継続的な体組成改善の為に低容量の成長ホルモン補充治療を望んでいるからです。</p> <p>医療費助成については、対象疾患が拡大されると言う事ですが、対象疾患の認定及び見直し、重傷度の基準、負担の在り方など今後検討される基準は、個々の疾患の特性を考慮する事や患者が一人で自立して生活していける事を重要視してほしいと思っております。</p>
24	胆道閉鎖症の子どもを守る会	竹内 公一	胆道閉鎖症	1,030人	<p>1、「難病」定義、範囲の在り方と医療助成の在り方について 中間答申は、難病の定義について幅広くとらえるべきとしながら、一方で比較的可成な疾患を基本とすべきとしているが、まれな疾患の定義、基準は何なのか、患者数を基準とすると患者数の多い難病は対象にならないということにならないか、また、医療費助成の対象疾患は4要素を基本として重症度の基準を設定する必要があるとしているが、疾患名で対象範囲を決めると、難病の範囲にありながら医療費の助成を受けられる疾患と受けられない疾患がでることになり、公平性という観点から疑問がある。透明性の観点から「今後の難病対策の在り方研究班」の調査、分析のプロセスを公表すべきと思う。医療費の助成の対象は病名によって決めるのではなく、それぞれの難病患者の状況により柔軟に対応できる制度にすべきと思う。</p> <p>2、成人移行期(トランジション)する場合の支援の在り方について 中間答申では小児から成人にかけてシームレスな支援の在り方を検討すべきとあるが、胆道閉鎖症で成人を迎えた患者は年々増加しているが、成人後の支援はない。早急に小児期から成人の支援に移行できる具体的な制度設計をお願いしたい。</p>	<p>1、対象疾患の4要素の効果的治療法について、委員会では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は除外するとしていますが、胆道閉鎖症については「葛西術」という手術があり、延命効果があるという点では、一定程度の治療法が確立し効果的であるともいえます。しかし、延命という効果はあるものの治療ではなく、軽快と憎悪を繰り返し治療を継続しなければなりません。このことから報告書の「効果的な治療法」CとDの区分については、病気の実態を十分に把握し判断することが求められる。</p> <p>2、重症度基準について、胆道閉鎖症の場合、軽快期は医療費の負担は大きくないが、突然重症になり多額の医療費がかかる場合がある。このような軽快と憎悪を繰り返し疾患の重症度分類の適用はどうか、固定的な分類ではなく病態に応じた適用を求められる。</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
25	中枢性尿崩症(CDI)の会	大木 里美	中枢性尿崩症	115名	<p>どのような難病を患っても、安心して最善の治療が受けられ、地域で生活ができるように、必要とする医療・福祉制度が平等に受けられることを望みます。</p> <p>たとえば、特定疾患を例にあげると、間脳下垂体機能障害の1つ「中枢性尿崩症」は、2009年10月に特定疾患に指定されたこともあり、指定される前と後では、患者にとって天国と地獄であることを身を持って知っています。下記は、患者の生の声です。</p> <p>【特定疾患に指定される前の患者の声】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「薬価が高くこの先自殺を考えるほど切実に困っています」</li> <li>「就労中、トイレと飲水を繰り返し職場を解雇されました」</li> <li>「薬のコントロールが難しく激しいだるさから寝込む日も多いです(就業困難)」</li> <li>「お金が無いので薬だけはもらい検査は全て断っています。もう何年も検査を受けていないので不安です」</li> </ul> <p>【特定疾患に指定された後の患者の声】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「家計が苦しく通院をやめていたので、ずっとトイレとお水で死にそうだったけど、これで安心して病院に行けます(注:中枢性尿崩症の主症状は尋常ではない多尿・口渴・多飲)」</li> <li>「うちは自営業なので収入が不安定です。息子は高校生なので、20歳を過ぎた後、治療を受けさせてやれるか心配で心配でたまらなかったけど、親として本当に安心しました」</li> <li>「いい制度ですね。薬代の心配をしなくて良くなったし入院もできる。ありがたいです」</li> </ul> <p>これは、ごく一部の患者の声にすぎませんが、患者にとって制度は、難病を患っても安心して治療を受け、生活する為の「命綱」なのです。たとえ、難病を患っていても、指定される前は「切羽詰った不安」を口にする患者が多かったのに対し、指定された後は「安心」を口にする患者が多かったのが現実です。特定疾患だけではなく、全ての医療・福祉制度に当てはまることだと思います。どうか、制度の谷間を無くし、難病患者が平等に必要なとする医療・福祉制度の恩恵を受けられるよう、ご検討をお願いいたします。</p> <p>幸いにも、間脳下垂体機能障害は特定疾患には指定されたものの、他の制度(内部障害など)には指定されていないので、生きにくいことには変わりありません。地域での生活、就労のことなど、さまざまな困難を抱えています。</p>	
26	つくしの会(全国軟骨無形成症患者家族の会)	水谷 嗣	軟骨無形成症(軟骨異常栄養症)、軟骨低形成症等	160人	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 難病対策の必要性と理念 <ul style="list-style-type: none"> <li>必要性と理念について、基本的な考え方には同意します。</li> </ul> </li> <li>2. 「難病」の定義、範囲の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>昭和47年の要綱は現代に合わなくなっているのではないかと。</li> <li>対象とする患者数が大きいことから難病の定義から外れる疾患も現実存在する。</li> <li>今後、医療技術の進歩により従来の難病の定義が合わなくなってくる疾患も出てくると思われる。</li> </ul> </li> <li>3. 医療費助成のあり方 <ul style="list-style-type: none"> <li>特定疾患や小慢など、対象となる制度により助成が異なる不公平感がある。また、4、11ともかかわる点ではあるが、同じ生活上の不都合がある「障害者」との違い、小児難病患者が20歳を超えた場合の助成打ち切り等、将来にわたって安心して病気と関わっていける環境の整備を検討してほしい。</li> </ul> </li> <li>4. 福祉サービスの在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>「政令で定めるもの」、「障害程度区分」について、患者側の実情にも配慮して検討を進めてほしい。</li> </ul> </li> <li>5. 難病相談・支援センター <ul style="list-style-type: none"> <li>現状ではあまり機能していないと感じられる。利用者の意見を反映させるなどして利用しやすく、機能の充実を図るよう検討を進めてほしい。</li> <li>難病相談における入り口として、乳幼児への対応が可能ないようにしてほしい(新たに難病児を育てることになった若い親への対応など)。</li> </ul> </li> <li>6. 難病カードの在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>障害者手帳と同様の制度はぜひ必要と考えている。</li> </ul> </li> <li>7. 難病研究の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>基本的な方針に関しては同意する。</li> <li>iPS細胞の開発にみられるように、近年の医療技術の進展は大きく、難病治療の可能性は高まっていると考えられる。これらの技術は難病への対応にとどまらず、他の疾患への応用も可能と考えられることから、その効果は大きいと思われる。財源の問題もあると思われるが、費用対効果を考えても推進する必要があると考えている。</li> <li>現状での難病の治療研究は、特定の医師の関心により、また患者との関係から進められている部分があり、全国的に組織的に行われているとは言い難い。したがって、これらの特定の医師がいなくなった場合治療研究の継続は困難な状況にある。継続的な難病への対応が可能な体制の構築が必要と考えられる。</li> </ul> </li> <li>8. 難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>基本的な考え方については同意見である。</li> </ul> </li> <li>9. 就労支援の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>難病者であっても自立して生活でき、納税者として社会的立場をはっきりと確保できることが必要と思われる。この目標の実現に対する支援の在り方を考えてほしい。</li> </ul> </li> <li>10. 難病を持つ子どもへの支援の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>子ども時代に形成される事からは、その後の人生に大きく影響することから、難病による障害から将来の可能性が奪われることのないような環境を作ることができる支援を望む。</li> </ul> </li> <li>11. 小児慢性特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患しているものが成人移行する場合の支援の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>基本的な考え方には同意する。制度的な切れ目があることが、問題のひとつであると考えられる。難病に関する統一的な制度が必要ではないか。</li> </ul> </li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 難病対策の必要性と理念 <ul style="list-style-type: none"> <li>必要性と理念について、基本的な考え方には同意します。</li> </ul> </li> <li>2. 「難病」の定義、範囲の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>昭和47年の要綱は現代に合わなくなっているのではないかと。</li> <li>対象とする患者数が大きいことから難病の定義から外れる疾患も現実存在する。</li> <li>今後、医療技術の進歩により従来の難病の定義が合わなくなってくる疾患も出てくると思われる。</li> </ul> </li> <li>3. 医療費助成のあり方 <ul style="list-style-type: none"> <li>特定疾患や小慢など、対象となる制度により助成が異なる不公平感がある。</li> <li>また、4、11ともかかわる点ではあるが、同じ生活上の不都合がある「障害者」との違い、小児難病患者が20歳を超えた場合の助成打ち切り等、将来にわたって安心して病気と関わっていける環境の整備を検討してほしい。</li> </ul> </li> <li>4. 福祉サービスの在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>「政令で定めるもの」、「障害程度区分」について、患者側の実情にも配慮して検討を進めてほしい。</li> </ul> </li> <li>5. 難病相談・支援センター <ul style="list-style-type: none"> <li>現状ではあまり機能していないと感じられる。利用者の意見を反映させるなどして利用しやすく、機能の充実を図るよう検討を進めてほしい。</li> <li>難病相談における入り口として、乳幼児への対応が可能ないようにしてほしい(新たに難病児を育てることになった若い親への対応など)。</li> </ul> </li> <li>6. 難病カードの在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>障害者手帳と同様の制度はぜひ必要と考えている。</li> </ul> </li> <li>7. 難病研究の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>基本的な方針に関しては同意する。</li> <li>iPS細胞の開発にみられるように、近年の医療技術の進展は大きく、難病治療の可能性は高まっていると考えられる。これらの技術は難病への対応にとどまらず、他の疾患への応用も可能と考えられることから、その効果は大きいと思われる。財源の問題もあると思われるが、費用対効果を考えても推進する必要があると考えている。</li> <li>現状での難病の治療研究は、特定の医師の関心により、また患者との関係から進められている部分があり、全国的に組織的に行われているとは言い難い。したがって、これらの特定の医師がいなくなった場合治療研究の継続は困難な状況にある。継続的な難病への対応が可能な体制の構築が必要と考えられる。</li> </ul> </li> <li>8. 難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>基本的な考え方については同意見である。</li> </ul> </li> <li>9. 就労支援の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>難病者であっても自立して生活でき、納税者として社会的立場をはっきりと確保できることが必要と思われる。この目標の実現に対する支援の在り方を考えてほしい。</li> </ul> </li> <li>10. 難病を持つ子どもへの支援の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>子ども時代に形成される事からは、その後の人生に大きく影響することから、難病による障害から将来の可能性が奪われることのないような環境を作ることができる支援を望む。</li> </ul> </li> <li>11. 小児慢性特定疾患治療研究事業の対象者等小児期から難病に罹患しているものが成人移行する場合の支援の在り方 <ul style="list-style-type: none"> <li>基本的な考え方には同意する。</li> <li>制度的な切れ目があることが、問題のひとつであると考えられる。難病に関する統一的な制度が必要ではないか。</li> </ul> </li> </ol>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
27	特定非営利活動法人東京難病団体連絡協議会	坂本 秀夫	膠原病、多発性硬化症、パーキンソン病、肝臓病、進行性筋萎縮症、腎臓病、リウマチ、ベーチェット病、ALS、心臓病、血液疾患、筋無力症、網膜色素変性症、肺高血圧症、脊柱靭帯骨化症など	7100名 11,000	「私たち難病患者は、生涯、原因も治療方法も不明の病気を抱えて生きて行かなければなりません。このような難病患者を社会全体が支えるためには、医療は勿論、福祉、介護、就労など様々な支援制度が必要です。是非とも、難病患者の実態にあった中間報告に基づく難病対策推進基本法(仮称)を成立させてください」	厚生科学審議会疾病対策部会第24回難病対策委員会についてのご意見について難病対策の法制化や対象疾患の大幅な拡大(300以上)を目指すなどの大きな改善面がある反面で、とくに「公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築」では、次のような問題点(1~3)があります。また、法制化(4)や福祉サービスの充実(5)に関する意見を申し上げます。 1)「対象患者」が、「重症度が一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障がある者」となっています。しかし、進行する神経難病などは、軽症のうちから治療を開始して、病気の進行を遅らせたり、再発回数を減らしたりすることが必要です。重症化してからでは十分な治療効果ができません。治療が必要な軽症者も「対象患者」に加えてください。また、どこからが「重症度が一定以上等」なのか、考え方を明らかにしてください。 2)「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疾患は、定期的に評価し、見直す」となっています。効果的な治療方法の評価にあたっては、全ての患者に対して効果があるのか、一部の患者に対してなのか。また、病気の進行を止めることができるのかなど、患者・が納得できる評価基準を明確にして実施してください。 3)「給付の考え方」で、「他制度(高齢者、障害者等)の給付との均衡を図る」として負担増が提起されました。その内容は、「一部負担額が0円となっている重症患者の特例を見直し、所得等に依りて一定の自己負担を定める」「入院時の食事療養・生活療養は自己負担」「薬局での保険調剤の自己負担は、月額限度額に含める」としています。病気を抱えて働けない難病患者にとっては、これ以上の負担増は耐えられないとの実情もあり、慎重な検討をお願いします。 4) 難病患者が病気を抱えて地域で生きて行けるよう医療を土台に、福祉・介護・就労などの社会的な支援が得られるような難病対策の法制化をお願いします。法制化にあたっては、制度の谷間にとり残された難病患者や難病疾患がでないようにしてください。 5) 障害程度区分の認定にあたっては、難病ごとの特性(病状の変化や進行等)についてきめ細かく配慮してください。
28	認定NPO法人難病のこども支援全国ネットワーク	山城 雄一郎	難病や慢性疾患、障害のある子どもとその家族	約800名	残されている課題 ①対象疾患の見直しを定期的に行なうこと ②重症患者認定基準の見直し ③研究への注力による治療法の開発 ○もちろん病気が20歳で治るわけではない。いわゆる「トランジション(キャリアオーバー)」の問題をどうするのか、これは小児慢性特定疾患治療研究事業制度だけではなく、難病対策や障害者施策とあわせた全体的な問題として検討を進める必要がある。 2. 新たな障害の範囲・定義について ○経管による栄養注入や胃ろう、気管切開、導尿、人工呼吸器の利用など、一定の状態によっても障害認定が受けられるよう検討する必要がある。 ○長期にわたって薬を飲んだり注射したりすることや、痛みやだるさなど、難病や慢性疾患に特有の状態によっても障害認定が受けられるよう検討する必要がある。 ○進行性の疾患の場合、病気が進行し後遺症としての障害が現れる前の段階で予防的に補装具や日常生活用具などを利用することによって、障害の重症化を未然に防ぐことができることもあるため、疾患名による障害認定が必要となることもあり得る。 ○疾患によっては、増悪や寛解、再発を繰り返すこともあるため、障害=固定という概念では括れないこともあり得る。 ○内部障害において、臓器の種別によって障害の認定の有無が決まるのは著しく不公平。 ○難病や慢性疾患による活動制限や参加制約も包含する新たな障害認定の基準という視点が必要。 4. 医療的ケアの問題について ○たんの吸引、経管栄養、導尿などの、いわゆる「医療的ケア」の必要な子どもたちが医療機関を退院し、在宅へ移行するケースが増えているが、現行の障害福祉サービス、とくに居宅系サービスには、医療に分類されている行為を必要としている子どもが使うことのできるサービスが制度上存在せず、これは日常生活において介護者たる家族の大きな負担となっている。 ○家族による丸抱えの生活は、子どもの発達や成長にも大きな影響を与えるため、その自律(autonomy)や社会参加の制約要因となっていることにも目を向ける必要がある。 ○医療的ケアがあるため、幼稚園や保育所、学校への受入れに制約が生じたり、集団活動や学習活動等から排除されたりする例は後を絶たない。 ○難病や慢性疾患を原因とする障害については、医療と福祉を切り離して考えることが難しい。医療保険制度と障害福祉制度の谷間を作らない制度の構築が必要。 5. 未承認薬の適応問題の早期解決 ○難病・慢性疾患の治療薬には、ドラッグ・ラグや小児への効果拡大の困難さなどによって保険適応されていないものもあり、個人輸入に頼らざるを得ない未承認薬も少なくない。オーファンドラッグ制度も以前と比較すると十分に機能していないため、未承認薬の適応問題の早期解決を望む。 6. その他 ○子どもに対する訪問看護は、医療保険制度のひとつとして実施されているが、診療報酬上の制約が多く長時間や頻回の利用は難しい。障害福祉制度において、訪問看護サービスを新たに位置付け、現在、必要な障害福祉制度の利用に結びついていない医療依存度の高い利用者への支援を確保する必要がある。 ○障害福祉制度や難病対策にかかる利用者負担金については、社会保険料や医療費と同様に税法上の控除とされるべき。 ○親の会やピアカウンセリングなど、「素人専門家」(レイ・エキスパート)と専門職による協働によって、難病や障害のある子どもとその家族の生活を支えることが必要。家族支援という立場に基づき、家族が難病や障害のある子どもの将来に対して見通しや安心感を得られる支援が求められている。 ○障害者福祉制度や難病対策においては、事業の実施主体たる地方自治体の政策理念や財政力によって、あまりに大きな地域格差が生じることは望ましくない。	

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
29	難病をもつ人の地域自立生活を確立する会	林 幹泰	腎臓病、全身性エリテマトーデス、1型糖尿病、癌	50	<p>3. 医療費助成の在り方について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>治療研究への参加は、患者が自分の意思で決めることである。研究へ参加しなければ医療費の助成が受けられない仕組みを廃止し、医療費助成は福祉施策として位置付けること。</li> <li>高額医療費制度を見直し、月に一定額以上を控除するだけでなく、年単位での一定額以上の控除をすること。</li> </ul> <p>4. 福祉サービスの在り方について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>難病対策委員会、また、難病対策に関する意見交換会では「研究と福祉は分けるべき」、「福祉の対象は幅広くするべき」というご意見が複数あったが、分けられないまま議論が続いている。福祉サービスの対象には、「希少性」などの条件を設ける必要はない。</li> <li>政令で特定の疾患名を例示列挙すれば、対象にならない疾患をもち、日常生活、社会生活上に制限が生じている人が救済されず、社会的障壁は残り続ける。</li> <li>サービスの必要性は障害程度区分認定で判定されるため、病名で排除するのではなく、実状に応じてサービスが受けられる仕組みにすべき。障害者総合支援法の対象には「医師の診断書でその他の機能障害(長引く病気)が確認できる者」を加え、入り口の規制をなくすこと。</li> <li>対象を明確にする必要があるのであれば、平成23年12月に厚生労働省が実施した「生活のしづらさなどの調査」の結果も参考にすべき。調査は「制度の谷間を生まない新たな福祉法制の実施するための基礎資料として活用します」として実施されている。また、既存の制度の対象にならない人を対象とする「制度の谷間解消モデル事業」(仮称)等を実施すること。</li> </ul> <p>6. 難病手帳(カード)(仮称)の在り方について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>手帳制度は典型的な医学モデルであり、その反省の上で新たな障害者施策が講じられている。去年の障害者基本法の改正は、手帳制度の対象にならずに苦しんでいる私たちの声が届いて実現したはずである。同じ過ちを繰り返してはならない。</li> <li>縦割りの手帳制度をいくつ作っても制度の谷間はなくなり、社会的障壁が残り続ける。</li> <li>同じ種類の病気や身体障害であっても、生活上の困難さは人それぞれである。共生社会の実現には、病名・障害名を問わず生活上の困難さに着目する仕組みが必要であり、手帳制度ではない。</li> </ul> <p>8. 難病医療の質の向上のための医療・看護・介護サービスの提供体制の在り方について</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>私たちが当たり前で暮らすためには、在宅医療がかかせない。往診医や訪問看護だけではなく、慣れたヘルパーが医療的介助を行う仕組みが必要である。</li> </ul>	<p>1. この度の別紙、意見募集について</p> <p>別紙の募集をお知らせいただいたのは10月31日でした。締め切りが11月4日というスケジュールは、既存の制度の対象にならずに何とか生活している人にとって、多大な無理を強いています。厚生労働省のペースに巻き込まれることは迷惑です。私たちの健康状態を考え、余裕をもって募集してください。</p> <p>2. 第24回難病対策委員会について</p> <p>(1) 厚生労働省障害保健福祉関連主管課長会議と同様に、無料動画配信を実施していただきたい。理由:既存の制度の谷間にある私たちは傍聴すらままなりません、私たちが知らない内に私たちのことを決められることには反対です。体力的な制限のある私たちが情報をえて、意見を述べるための負担を軽減してください。</p> <p>(2) 医療費助成の対象が「今後の難病対策のあり方に関する研究」のみを根拠に論じられるのは不公平です。大阪市が小児慢性特定疾患の範囲を見直し、11月から独自に対象を広げたこともふまえ、病名で排除するやり方を止めていただきたい。理由:「今後の難病対策の在り方に関する研究」の対象疾患のうち、研究奨励分野の該当疾患は、手上げ方式で実施されています。深刻な労働環境におかれているため、手を挙げられる医師の数にも制限がかかっています。声を上げられる人だけが救われる仕組みは不平等です。</p> <p>(3) 難病対策の改革の全体像(案)に、障害者権利条約への批准に向けた国内法の整備であること、および、社会モデルが障害者基本法に反映されたことを含めていただきたい。理由:この度の難病対策の改革は、「制度の谷間をなくす」という各政党のマニフェスト、障害者自立支援法訴訟の基本合意、障がい者施策推進会議の元に置かれた総合福祉部会の骨格提言に基づいて行われているはずですが、事務局から委員の方々へその背景が十分に説明されておらず、私たちの状況をふまえて出された骨格提言は、その一部が過去の難病対策委員会の資料になっただけでした。骨格提言では障害者の範囲にあらゆる慢性疾患を含めることの理由が述べられ、支給決定の過程についても丁寧に提言していますが、難病対策委員へ紹介されておらず、行政の怠慢と言わざるをえません。第24回難病対策委員会では、対象条件の1つである「生活面への長期にわたる支障」についての指標について、議論が混乱していましたが、制度や慣行を含む「社会的障壁」の概念が共有されておらず、事務局からその説明がないことに対して憤りさえ感じました。難病対策委員会の議論は医学的な指標に終始しているため、説明がつかない病態をもつ人の実状を無視していると思いました。平成24年4月18日衆議院厚生労働委員会津田大臣政務官は、医学モデルへ批判を今後の検討の中でしっかり反映していかなければならないと述べていますが、難病対策委員会は医学モデルを進められています。医学モデルへの批判はもちろん、社会モデルへの転換をふまえて共生社会の実現をめざすために、改革の背景を委員および国民へ丁寧に説明してください。</p>
30	認定特定非営利活動法人日本IDDMネットワーク	井上 龍夫	1型糖尿病	約2500人	<p>○20歳を越えた小慢からの成人移行(トランジション)患者への対応については、その検討や配慮の必要性は説いているが、具体的な方向性や内容についての議論を早急に開始してほしい。一方で母子保健課の方では「小慢患児への支援の在り方に関する専門委員会」をこの9月に立ち上げているが、この委員会と難病対策委員会は連携を密にとり、これまで置き去りになってきた本議論を両課で協調し、積極的に進めてほしい。</p> <p>○難病対策委員会の案件ではないが、以下の問題の存在も認識していただきたい。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>高齢者介護施設での「インスリン自己注射」を介護職員が実施できるような措置対応の実現</li> <li>海外での使用可能になっている先進的医療デバイス類の薬事承認のスピードアップ(デバイスラゲの解消)</li> <li>特別児童扶養手当制度の周知徹底</li> </ul>	
31	日本ALS協会	長尾 義明	筋萎縮性側索硬化症	5,346名	<p>1. 医療体制の整備について</p> <p>地域で包括的に医療、看護、介護サービスを受けるための課題を整理し、難病患者が安心して地域で生活できるようにしてほしい。</p> <p>難病医療コーディネーター、保健所中心の難病対策協議会(仮称)の設置をお願いしたい。</p> <p>2. 福祉サービスの給付について</p> <p>①介護給付時間の不足、支給時間と介護者数の地域格差の是正をお願いしたい。(介護保険、障害者自立支援法)</p> <p>②重度障害者のQOL向上のためのコミュニケーション支援を充実してほしい。(機器の早期給付、スイッチ等設置支援、入院時のヘルパーによるコミュニケーション支援の実施、BMIの早期実用化など)</p> <p>3. 研究の推進・新薬の開発について</p> <p>①IPS研究、遺伝子治療等の最先端科学の難病克服のための、国家の大規模支援を行って欲しい。</p> <p>②希少疾病の治療薬候補シーズが発見されてから、治療薬を作るまでの費用支援を行って欲しい。(ベンチャー企業、大規模製薬会社などへの支援)</p>	<p>1. 自己負担(応能負担)の所得は、世帯ではなく患者個人を基準にして下さい。</p> <p>2. 重度患者の自己負担について、経管栄養、吸引など、医療的ケアが必要なケースは最重度とし、自己負担無しとして下さい。</p> <p>3. 利用額の合算については、介護・医療・福祉の全てを合算して、負担上限を設定して下さい。</p> <p>4. 書類申請や相談窓口を保健所へ一本化し、保健師による訪問活動を充実することにより、医療と保健福祉の総合的な提供と、地域ケア体制を確立して下さい。</p> <p>5. 医療費助成の対象となる医療の範囲に、全身に現れる症状を広く含めて下さい。</p> <p>例)中耳炎(呼吸器装着の場合)、皮膚炎、目の乾燥など。</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
32	日本コケイン症候群ネットワーク	土屋 正一	コケイン症候群	凡名 12	広く、公正な制度と、研究班による継続的な研究ができる体制の確立を望みます。	10月27、28日に千葉で、恒例の「集い」をもつことができました。現在参加しているCSの子は12人と10家族そして子どもを亡くした家族が6家族です。今年の集いには、5歳から28歳まで、9人のCSの患者が参加しました。参加できなかったのは6歳の女子、8才と10歳の兄弟の3人です。研究や診療の先生方は9人参加されました。3年前の研究班の報告によれば、統計学的には100万人に2.5人程度、実際には75人から100人程度の患者がいるだろうといわれています。しかし、福岡の例ですが、出生から17歳まで、脳性まひと診断され、係わる医師も、PTも、教師も「少しおかしい」と思いながら脳性まひとしての対応をしてきました。今年一月、TVでのコケイン症候群の子どもの放送を視たお母さんの「うちの娘とおなじ」という直感から、半年後ようやくCSと診断された例があります。しかし、「難病指定」されていないCSと診断されたため、いま大きな困難を抱えています。また、同じ病院の患者で、あの子がCSなら、この子も間違いないでしょうと診断された子もいます。最初に診断された子どもは、東京の病院で、セカンドオペニオンによって、4歳でCSと診断されました。このような例は、たくさん報告されています。医療従事者でさえ、まず会う事なく、あるいは名前すら知らない先生方が多くあります。子どものほとんどは、15歳から18歳程度で、亡くなります。CSネットワークも知らず、知っていても間に合わないのが現実です。「CS?」と疑いさえ持たれば、診断方法の確立した現在、時間も早く診断され、多くの遅発型の例も報告されています。(遅発型の多くは、長い間、間違った病名で診断されています)300が新しく「難病指定」と言われているけれど、指定されているものと、されていないものとの不公平感はどうなるのでしょうか。どの子の命も、等しいのです。まず、公正で公平な制度であってほしいこと、子どもを抱えた親たちが、さらに署名活動や要望など、さらなる労苦を背負うことなく、支援の手が届く制度で会ってほしいと願います。 21年度から23年度までの研究奨励分野での研究で、多くの事が明らかになってきましたが、根本的な病態の解明や治療への道はまだこれからです。これからも継続して研究がなされる体制や、診断のための検査体制の確立(もちろん患者負担の軽減です)、医療的な支援(CSの場合、全員が障害者手帳に福祉的支援は受けています)医療従事者への広報活動など多くの事が求められます。そのために「難病指定」は最初の一步であると思います。
33	社団法人 日本てんかん協会(波の会)	鶴井 啓司	てんかん	約1,000人(本人による登録のみ)	定義、範囲の議論に際して、てんかんなど慢性疾患の中でも「難治」例にも対象を拡大し、適切な治療研究や医療費助成制度を拡充すべきである。 《難治てんかん》⇒ てんかんと一括りにとらえず、「薬剤抵抗性てんかん(仮称)」、「脳外科手術や食事療法などの不適応てんかん」のような難治性のてんかんに、小児期および成人期での好発を鑑みて対象を拡大する。 ex.) 大田原症候群、早期ミオクロニー脳症、West(ウエスト)症候群、Lennox-Gastaut(レンノックス・ガストー)症候群、Doose(ドーゼ)症候群、CSWSあるいはESES(徐波睡眠期てんかん放電重積状態)症候群、Landau Kleffner(ランドウ・クレフナー)症候群、Rasmussen(ラスムッセン)症候群、片側巨脳症、SME(乳児重症ミオクロニーてんかん)、などが対象と考える。	定義、範囲の議論に際して、てんかんなど慢性疾患の中でも「難治」例にも対象を拡大し、適切な治療研究や医療費助成制度を拡充すべきである。 《難治てんかん》⇒ てんかんと一括りにとらえず、「薬剤抵抗性てんかん(仮称)」、「脳外科手術や食事療法などの不適応てんかん」のような難治性のてんかんに、小児期および成人期での好発を鑑みて対象を拡大する。 ex.) 大田原症候群、早期ミオクロニー脳症、West(ウエスト)症候群、Lennox-Gastaut(レンノックス・ガストー)症候群、Doose(ドーゼ)症候群、CSWSあるいはESES(徐波睡眠期てんかん放電重積状態)症候群、Landau Kleffner(ランドウ・クレフナー)症候群、Rasmussen(ラスムッセン)症候群、片側巨脳症、SME(乳児重症ミオクロニーてんかん)、などが対象と考える。
34	一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会(JPA)	伊藤 たてお	広義の難病、長期慢性疾患、小児慢性疾患全般	71団体構成 員総数約30万人	○40年ぶりの難病対策の総合的見直しによりやく扉が開いたと受けとめる。 ○「必要性と理念」を基本に法制化も視野に入れた総合的対策の見直しを打ち出している点の評価し、患者のための新たな総合的施策の実現に期待したい。 ○なお「中間報告」の記述について、患者会等で危惧や不安の声もあがっている。そのいくつかを指摘しておく。 <定義> ・「難病」の定義については「対策の対象範囲をできるだけ幅広くとらえるべきである」としつつ、一方で個別施策については「比較的にまれな疾病を基本に選定すべき」としている点について、支援を必要とする患者が施策からはずれることが起きるのではないかと。 <医療費助成> ・医療費助成の対象疾患について、効果的な治療法が確立するなど治療成績等の面で状況の変化が生じたものは定期的に評価、見直しを行うとしている点について、治療のための医療費負担が大変な人がはずされるのではないかと。 ・医学的な側面だけで重症でないとして、対象からはずれるのではないかと。重症度等の基準の決め方について、医学的な側面だけでなく、投薬治療等により重症にならずに状態を維持している患者の経済的、精神的負担の側面も十分に考慮してほしい。 ・受給対象を決める際に自治体指定の専門医の診断を要件とすること、また、緊急時を除き、自治体指定医療機関での受診の場合に医療費助成を行うとしているが、患者の利用しやすさへの配慮はどのように行うのか。専門医が遠くにいる場合、受給対象の診断は受けたとしても、地域での治療には公費が適用されないということにならないか。 ・医療費助成を受ける前提としての患者データ収集と、重症度の設定(軽症者はデータに加えない)ということも矛盾しないか。研究のためのデータ収集であれば、軽症者も含めて対象とするべきではないか。 ・給付水準の見直しについて、新しい制度では患者の負担が大幅に増えてしまうのではないかと。この点では、必要性と理念で述べられている「生涯にわたる長期間の療養を必要とすることから、生活面における制約や経済的な負担が大きい」点を十分に考慮して、慎重に検討してほしい。 <福祉サービス> ・「難病」と言われる疾患間に、支援の受けられる疾患とそうでない疾患との不公平感が生じるのではないかと。福祉サービスが必要な疾患とそうでない疾患を医学的に分けることはできない。「難病」と判断される疾患はすべて対象に加える必要があるのではないかと。具体的な施策の認定については、難病の特性に配慮しつつ、個別に生活実態で判断すべきと考える。	○40年ぶりの総合的で抜本的な見直しが一日も早く実現するよう、早急に必要予算確保と法制化の準備をすすめてください。 ○以下、具体的にいくつかの基本的な意見を述べます。 1. 「重症度」の決め方については、対症療法による治療等に効果があがり、症状は緩和・改善されても、高額かつ長期にわたり医療費がかかる人が対象にならないなどのことが起こらないよう、慎重に検討してください。 2. 「軽度」と判断された患者にも、研究の対象となること(その場合、データの登録と収集はどのようにするのでしょうか)や就労支援、福祉、相談事業などの支援が引き継ぎうけられるよう、対象疾患患者であることを証明するものを交付してください。 3. 給付水準について、自立支援医療は基本的には急性期に対応した医療費助成制度であり、例外として人工透析や移植後の免疫抑制療法は「重度かつ継続」の扱いとされています。「他の制度との均衡」という場合に、難病の医療費助成制度は長期療養が必要な慢性期に対応した医療費助成制度であることを十分に考慮して、給付水準の比較、均衡を考えてください。 4. これまで負担がなかった重症患者にあらたに負担を求めることについては、患者に新たな負担をもたらすという点で、十分な説明なしに認めるわけにはいきません。現在の制度でこれまで「特例」として実施してきた理由、その人数および今回特例をなくすことの基本的な考え方の説明をお願いします。 5. 入院時の標準的な食事療養及び生活療養に係る負担の患者負担、薬局での保険調剤に係る自己負担についても同様に、これまで患者負担なしとしてきた理由、および今回患者負担とすることの基本的な考え方の説明をお願いします。 6. 障害者総合支援法における対象範囲の選定については、難病対策委員会での検討をふまえてとのことでしたが、福祉サービスが必要であるか否かは疾患で区切ることは不可能です。したがって疾患名に関しては、現在、難病患者等居宅生活支援事業において現在対象とされている疾患(130疾患+関節リウマチ)はもとより、医療費助成における対象疾患の選定で「難病」の枠に入る疾患をすべて対象としてください。また今後もあらたに「難病」の枠に入る疾患が出てきた場合に速やかに対象疾患として取り入れることができるよう、政令の書きぶりを工夫してください。 7. 障害程度区分を2014年4月から障害支援区分とすることについては、精神障害と知的障害については特性を考慮して見直すことが決まっていますが、難病については新規に入る対象であり、同様に特性を考慮した見直しを施行(2014年4月)までに行ってください。

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
35	NPO法人日本ブラダー・ウィリー症候群協会	庄司 敬	ブラダー・ウィリー症候群	200名	<p>1.親なき後の生活の保障 PWSは医療面、心のケアが生涯を通して必要です。親なき後のPWS者の生活・支援の保障がなされていないことが共通の不安です。親なき後PWS者が孤立することなく医療・介護・支援が確立されることを強く望みます。希少疾患ということで認知度も低く、支援の体制も不十分です。</p> <p>2.親の高齢化にともなう支援の体制の拡充PWS者が自立を目指していますが、生涯を通して支援が必要なことが(1)で述べた通りです。実際のところ親への依存度も高く、親の高齢化にともない生活して行く上での限界に達しています。親子共々支援が必要です。</p> <p>3.患者会に対する支援 PWS親子の生活、将来を案じ自主的に親と専門家を中心とした会を立ち上げて運営しています。しかしながら資金が乏しく、運営において限界に近いのが実情です。医療関係者、福祉行政とも連携の必要性を感じつつもまったく不十分です。患者会への支援の仕組み、体制が確立するようなバックアップを強く求めます。</p>	<p>1.多岐にわたっての疾患があるブラダー・ウィリー症候群は、各方面での治療法や対処法が確立されておらず、その対応は様々です。 周知がされにくく、周りから誤解・偏見を受けやすいため、家庭での24時間の管理を余儀なくされるケースが多々あります。 家族の精神的・肉体的・金銭的負担は非常に大きく、本人の行動の問題にもつながりやすくなってきます。</p> <p>医療・福祉・教育・患者会の連携を確固たるものにするための総括的な支援体制が必要です。</p> <p>2.既存の施設などの入所が困難な場合が多いため、PWSに特化した専門のケア(グループ)ホームと専門家(医)の育成への支援が重要です。</p> <p>3.今年度より「先天性奇形症候群」として指定研究となったが、生涯ホルモン補充療法を必要とするためキャリアオーバーの問題も含め検討してほしい。</p>
36	日本ムコ多糖症親の会	秋山 武之	ムコ多糖症、ムコリピドーシス、ガラクトシアリドーシス	160名		<p>先天性の疾患であるが、その人数はウルトラオーファンの規模です。希少性からこの病気の診断が遅れることが多いです。出生の多くは近隣のかかりつけ医に委ねる事が多いと思いますが、地域のかかりつけ医に対して、病気の啓蒙等について取り組む考えはありますか？</p>
37	公益社団法人日本リウマチ友の会	長谷川 三枝子	関節リウマチ	18,000人	<p>1.「難病に関する調査・研究の推進」に重点を置く 原因解明に至らなくても、治療法が進むことにより、患者の症状の改善により、医療費軽減や制度活用等でよい結果につながる。</p> <p>2.「難病」の定義に該当する疾患は、総て施策の対象とする。数が多い少ないでの考え方は無い。ただし、制度を運用するには重症度や経済的背景を条件に入れる必要がある。</p>	
38	PADM 遠位型ミオパチー患者会	辻 美喜男	遠位型ミオパチー	135名	<p>可能であれば、ウルトラオーファンドラッグにつきまして、今後どのような対策を予定されているかをお聞かせ頂けますと幸いです。</p>	
39	NPO法人 PNH倶楽部	村上 早代子	PNH(発作性夜間ヘモグロビン尿症)	49名	<p>PNHは再生不良性貧血(特定疾患)とMDSと密接に関係し、時に合併・相互移行する病気です。現状再生不良性貧血のみが特定疾患に認められています。 中間報告における、対象疾患のあり方の中で、「同じ疾患にも関わらず、疾患名の違いにより対象疾患の選定に差が事実上ないようにする必要はある」とはまさにMDS(骨髄異形成症候群)とPNHの現状そのものと言えます。同じように生涯にわたり多額の医療費が必要となるMDS・PNHについても特定疾患の認定を強く希望致します。</p>	
40	フェニルケトン尿症親の会連絡協議会	仙田 猛	フェニルケトン尿症、メープルシロップ尿症、ホモシステニン尿症等の先天性代謝異常症	236名(H12・7月現在)	<p>(注:以下は、「今後の難病対策のあり方に関する研究班」における調査・分析などの結果・内容が不明である段階で記述しています)</p> <p>① 11項 成人移行(トランジション)関連 ・“生涯治療”が必要である慢性疾患にとって、「切れ目のない支援の在り方」を早急に具体化し、その実現を切望いたします。 ・トランジション問題については、“生涯ローン”とも言われる医療費問題をはじめ様々な課題があります。その一つとして、フェニルケトン尿症の治療用特殊ミルクの「薬価収載品(保険適用)」とは別に、「登録品」特殊ミルクがあります(助成金+企業負担により20歳未満無償)。成人患者の治療上でも必要であり、また、現存する特殊ミルクにもかかわらず、供給対象が「20歳未満に限られる」という不合理な現状があります(「登録特殊ミルク安定供給事業の運用について」)。</p> <p>② 3項 医療費助成の在り方 (2)基本的な枠組み ① 対象疾患の在り方 関連 ・「効果的な治療法未確立」について・・・フェニルケトン尿症等の治療の中心は特殊ミルクの飲用ですが、ミルクといっても実体は各種アミノ酸の配合粉末です。一般的な食品による食事に代えて、数百グラムのアミノ酸粉末を摂取し続けることが不可欠な「食事療法」が現在のところ唯一の“治療法”です。それを生涯にわたって継続しなければならない状態は、とても「効果的な治療法が確立している」とはいえないと考えます。 ・重症度について・・・フェニルケトン尿症等は、誕生直後から食事療法を継続することによって発症を抑えられますが、そのために毎日、毎回の“食事”について懸命に努力している患者・家族のことも考えてみてください。もし重症度を言うなら、現在の状態とともに、治療をしなかった場合、治療を中断した場合ほどのような症状を呈するか、という点も尺度としてください。対象疾患の選定や重症度の基準については、機械的な規定、解釈、運用が新たな「制度の谷間」を作り出すことがないようにしてください。</p>	<p>1 資料2「難病対策の改革の全体像(案)」について 「中間報告」に比して記述が整理されていること、『「治りたい」、「病気の進行を抑えたい」、「機能を回復したい」という患者の切なる願いに応えるため・・・』や『効果的な治療方法が確立されるまでの間、対症療法によらざるを得ず、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・・・』のような、従前より具体的、あるいは一歩踏み込んだ形の表現、文言となっていることは評価したいと思えます。ただ、患者や家族が直面しているさまざまな問題に手を差し伸べてくれる具体的な個別施策の具体化はこれからのだと理解します。抽象的な物言いになりますが、「時代に合った新たな難病対策」が構築されることを切に願っています。</p> <p>2 同上委員会を傍聴できなかったために伺います。 各紙報道によると、「医療費助成の難病 56疾患⇒300以上に(「朝日」)など、対象疾患数が具体的な数字で報じられています。この数字は何に由来するものなのでしょうか?「研究班」が調査対象とした482疾患が対象疾患の外枠として既に決まっているということでしょうか?</p>

各患者団体等からの厚生労働省に対する意見等

NO	患者団体名	代表者	主な疾患名	加入患者数	「今後の難病対策の在り方(中間報告)」についての意見等	第24回難病対策委員会「難病対策の改革の全体像(案)」についての意見等
41	復生あせび会	佐藤エミ子	神経線維腫1型など	約800人	<p>(1) あせび会は神経線維腫症2型患者の治療について、聴性脳幹インプラント及びがん用医薬のベシズマブの健康保険適用を要望しています。この病気は典型的な進行性の難病で、患者家族の期待と焦りは日ごと強まるばかりです。ごく一部の患者は個人輸入していますが、かなりの高額であり、誰にも使えるというものではありません。2つの薬の健康保険適用を強く望みます。</p> <p>(2) (1)と関連しますが、こうした新薬などの保険適用の可否はどのようにして決めるのですか。他の疾患に比べて、難病患者の場合は原因不明で治療方法なども著しく限られる場合が多いため、それだけ認可への期待も高いわけですが、現状はその期待に十分応えていただいているとは思えません。</p>	
42	財団法人北海道難病連	高田 泰一	IBD、パーキンソン病、リウマチ、ALS等32団体	10,000家族	<p>①対象疾患のあり方については、症状が似ているにも関わらず、疾患名が違っただけで対象外になる疾患があり、疾患名だけで対象疾患を線引きし差別を生むような制度を改め、大きな枠組みで、全ての難病疾患を網羅することができる仕組みを構築してほしい。</p> <p>②重症度等の基準を設定すると言われていたが、難病でおこる症状はさまざまで全ての患者に同じ症状がでるわけではなく、炎症が活発におこり激しい症状がでたり、症状が安定したりを繰り返すため、どのような経過をたどるのかを予想することは難しいと言われており、難病の特性に十分考慮してほしい。</p> <p>③新拠点病院や基幹病院構想については、都道府県は難病拠点病院や難病医療協力病院を発展させ、2次医療圏に1か所を整備するとしているが、北海道においては、21の圏域に区分されたうち、札幌、上川中部以外は医師数が全道平均の70%未満で、医師不足の問題を抱えており、地域の実情を踏まえた上で病院構想の議論を進めてほしい。</p>	<p>資料2「難病対策の改革の全体像(案)」</p> <p>(2) 公平・安定的な医療費助成の仕組みの構築</p> <p>○対象患者は、上記対象疾患に罹患している者のうち、重症度が一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障がある者とする。</p> <p>○対象疾患の選定及び見直しについては、広く国民の理解を得られる公平な仕組みとし、第三者的な委員会において決定する。</p> <p>以上の記載について下記に2点の意見を述べたい。</p> <p>①対象患者は「重症度が一定以上等」としているが、重症度を設定することにより、発症期の患者が対象から外れ、有効な早期治療が受けられなくなり、重症化に至る恐れがあるのではないか。また、「第1回難病対策に関する意見交換会」において外山健康局長(当時)より「現行56疾患の軽症者を外して、財源として新たにレアな重症者にシフトすることはない。」との発言(JPAホームページ参照)があった。以上のことを踏まえ、「重症度が一定以上等」の考え方について意見をうかがいたい。</p> <p>②上記「第三者的な委員会」とはどのような構成委員を予定しているのか。難病患者家族団体等の当事者が委員となることは可能か。</p>
43	もやもや病の患者と家族の会	脇田 和美	もやもや病	1320	<p>3.医療費助成の在り方</p> <p>(2) 基本的な枠組み</p> <p>②「対象疾患の認定等の在り方」についての意見</p> <p>医療費助成の対象疾患に罹患しているかどうかについては、それぞれの対象疾患の専門医(モヤモヤ病の場合は脳神経外科学会が認定した専門医)が診断基準に基づき的確に診断すべき事は当然である。しかし「自治体の指定を受けた専門医の診断を要件とする事が必要である」とありますが、たとえばモヤモヤ病の場合、脳神経外科学会が認定した専門医がいる施設は、全て自治体の指定を受けられるようにしてほしい。もし、指定病院の数が制限されるようなことになれば、患者にとって通院等で困難が生じる事になる。また、多くの難病で共通して言えることは、現在も「良質かつ適切な医療」を受けるために、越県して専門医を受診することが多い。従って、従来同様、今後も越県して専門医を受診した場合も医療費の助成を行う必要がある。</p> <p>8.難病医療の質の向上のため医療、看護、介護サービスの提供体制の在り方</p> <p>(1)「『新・難病医療拠点病院(仮称)』の整備」についての意見</p> <p>都道府県が「新・難病医療拠点病院(仮称)」を整備することには、患者の利用しやすさという観点から基本的に賛成である。しかし、全ての都道府県が全ての難病に対応できる「良質かつ適切な医療」を保障する「新・難病医療拠点病院(仮称)」を整備することは不可能であると思われる。従って各都道府県によりいくつかの難病に特化した「新・難病医療拠点病院(仮称)」を整備し、全体として全ての難病に対応できるようにしてほしい。また各都道府県の「新・難病医療拠点病院(仮称)」が全国的に医療連携をして、それぞれの難病患者が必要とする医療をすみやかに受診できるようにしてほしい。</p>	

※団体順は、法人格を除いた50音順