



立法化された難病対策事業

一般財団法人難病治療研究振興財団 代表理事
東京医科大学医学総合研究所 所長
西岡久寿樹

難病の定義

厚生労働省は本年から新たに難病医療費助成制度を実施するにあたり、難病と助成対象となる疾患（指定難病）の定義を発表しました。難病の定義は以前このニュースレターでも取り上げましたが、1972年に難病対策事業を当時の厚労省が実施する際に発表したものが昨年まで改訂されずにいました。

厚生労働省が今回発表した難病及び指定難病の定義は下記の通りです。この指定難病にはこれまで特定疾患であったスモン、劇症肝炎、重症急性膵炎は含まれていません。

| 難病の定義 | |
|--|----------------------------|
| 1972年（昭和47年） | 2015年（平成27年） |
| 原因不明、治療方針未確定であり、かつ、後遺症を残す恐れが少ない疾病 | 発病の機構が明らかではなく、治療方法が確立していない |
| 経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護など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 | 希少疾病であって、長期療養を必要とするもの |

| 指定難病の定義 | |
|--|--------------------------------|
| 難病のうち、以下の要件の全てを満たすものを患者の置かれている状況からみ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、厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定する | |
| 1 | 患者数が本邦において一定の人数に達しないこと |
| 2 | 客観的な診断基準（またはそれに準ずるもの）が確立していること |
| # | 一定の人数とは、人口の0.1%程度以下であること |

指定難病について

昨年まで実施されていた特定疾患治療研究事業対象疾患（特定疾患）は、法律に基づかない予算事業でしたが、本年1月より法律に基づき、新たに難病対策事業として難病に係る新たな医療費助成の制度（難病医療費助成制度：指定難病）が発足しました。

対象疾患は、これまでの特定疾患56疾患から大幅に拡大され300疾患となると発表されています。すでに本年1月から110疾患が指定難病として実施されており、本年度中には190疾患が指定され、300疾患となる予定です。

これにより、医療費補助金の受給者は約78万人（平成23年度）から約150万人（平成27年度）に増加すると見込まれており、総事業費予算も約1,190億円（内国費約280億円、平成23年度）から約1,820億円（平成27年度）に増加すると厚労省は試算し、国費からは約910億円が計上されています。

新制度と旧制度の違い

受給者である患者様にとっての大きな違いは、自己負担額の算定方法の改定と負担額増加です。自己負担額の算定対象者は、その世帯の生計中心者1名であった旧制度に対して、新制度では、医療保険上の世帯全員、つまり同一の公的医療保険に加入している家族全員が対象となります。また、算定対象の税金も所得税から市町村民税いわゆる地方税になり、収入によってその負担額が変わります。

医療側にとっての大きな違いは指定医療機関と指定医の設置です。旧制度では医師であれば臨床調査個人票の作成が可能であったのに対し、新制度からは定められた要件を満たし、都道府県に登録された医師のみが指定医として作成することができます。また、指定難病の治療については、同様に定められた要件を満たし、都道府県に登録された医療機関のみが指定医療機関としてその治療にあたることができ、受給者は指定医療機関以外を指定難病で受診しても医療補助の対象にはならないため注意が必要です。

| | 旧制度 | 新制度 |
|------------|-----------------|--------------------------------------|
| 算定の対象者 | 生計中心者1名 | (医療保険上の)世帯全員 #同じ公的医療保険加入者 |
| 算定対象の税金 | 所得税 | 市町村民税(所得割) |
| 入院・外来の区別 | 入院・外来の区別あり | 入院・外来の区別なし |
| 自己負担限度額 | 0円~23,100円(月額) | 0円~30,000円(月額) |
| 入院時の食費 | 上記の自己負担限度額に含まれる | 全額自己負担 (経過措置3年間は2分の1) |
| 院外薬局における薬代 | 自己負担なし | 月額自己負担限度額に含まれる |
| 重症患者 | 自己負担なし | 自己負担あり (経過措置3年間は過ぎると重症という区分がなくなる) |
| 市町村民税非課税者 | 自己負担なし | 自己負担あり |
| 人工呼吸器など装着者 | | 月額自己負担額1,000円 |
| 生活保護受給者 | | 月額自己負担額0円 |

| 階層区分 | 階層区分の基準 | 患者負担割合2割 | | | |
|-------|---------------------|---------------------------|--------|-----------|-------|
| | | 自己負担上限額(外来+入院) | | | |
| | | 一般 | 高額かつ長期 | 人工呼吸器等装着者 | |
| 生活保護 | — | 0 | 0 | 0 | |
| 低所得Ⅰ | 区市町村民税 非課税世帯 | 本人年収 ~8万円 | 2,500 | 2,500 | 1,000 |
| 低所得Ⅱ | | 本人年収 8万円超~ | 5,000 | 5,000 | |
| 一般所得Ⅰ | 区市町村民税 課税以上1万円未満 | | 10,000 | 5,000 | |
| 一般所得Ⅱ | | 区市町村民税 7.1万円以上25.1万円未満 | 20,000 | 10,000 | |
| 上位所得 | 区市町村民税 25.1万円以上 | 30,000 | 20,000 | | |

#「高額かつ長期」とは、難病の医療費助成を受け始めてから後、月ごとの医療費総額が5万円を超える月が年6回以上ある方を言います。

難治性疾患からみえるもの

治療法が確立されていない疾患（難治性疾患）は、厚労省が定義した難病に入らない疾患にも多数あります。その中には疫学調査により推定患者数が約200万人の難治性線維筋痛症（FM）も含まれています。

FMIは厚生労働省の研究班が中心となって検討をしていますが、未だ病因、病態、治療法は確立されておらず、また、この疾患の存在を否定する医療従事者も少なからずいるというのが実態であり、その早急な政策が急がれます。

FMはその主症状が疼痛であるため、類似疾患が紛れ込んでいることが多く見受けられます。小生の外来を受診したFM患者様の中にも、IgG4関連疾患、混合性結合組織病、多発性筋炎、リウマチ性多発筋痛症、シェーグレン症候群などが多数あります。これは、FMの3大病型の筋緊張亢進型、筋付着部炎型、中枢神経（自律神経）障害型に類似した症状があるため、その鑑別診断に苦慮することから起こるのではないかと推測されます。

最近特に、アイザックス症候群（7月から指定難病となる予定）、掌蹠膿疱症性関節炎/SAPHO症候群が、FMと診断された患者様から多数見つかっており、FMとの鑑別方法の確立が急がれます。また、昨年から話題になっているHPVワクチン接種後の副反応に関連して若年性線維筋痛症と診断された少女達から見つかった全く新しい疾患であるHPVワクチン関連神経免疫症候群（HANS）も同様です。

HPVワクチン関連神経免疫症候群（*Human Papillomavirus (HPV) Vaccination Associated with Neuro-immunopathic Syndrome* : HANS）

HANSは、一昨年末より線維筋痛症外来に若年性線維筋痛症と診断されて紹介を受け受診する少女達の一部に、HPVワクチンを接種した後に若年性線維筋痛症の症状の他にFMではみられない下垂体異常、中枢神経異常、ホルモン異常などの多彩な症状が出現している患者様がいたことから、本財団の調査研究チームが昨年6月にモスクワで開催された国際学会で提唱した全く新しい疾患概念です。

多くの医療機関では、HPVワクチン接種後の副反応であるにも関わらず、厚生労働省が定義している接種後30日以内発症という縛りに捉われて、患者様がHPVワクチン接種との関係を訴えても時間的経過が長いということから副反応と認めず、疼痛の治療をするのみで、多彩な神経免疫症状については心因性のものであると診断をしています。

これにより多くのHANS患者様が適切な治療を受けることができずにいると考え、本財団では医療相談の窓口を開設し、現在110名を超える患者様の対応をしております。しかしながら、HANSの概念を理解し、診療をすることができる医療機関、臨床医はまだわずかであり、本財団研究チームの臨床医は関東に集中しているのが現実です。今後、治療を推進していく上で全国にこの概念を広げることが急務であり、この疾患に苦しんでいる少女達を救済するために必要不可欠であると考えております。

厚生労働省副反応検討委員会は、海外でHANSの症状を訴える患者様はいないという見解を示していましたが、本財団の調べによりヨーロッパ諸国、アメリカ、インド、ロシアなど世界各国で同様の症状を訴える患者様がいることが明らかになってきました。

昨年末、本財団が発表したHANS診断基準を知ったデンマークのコペンハーゲンにある国立Frederiksberg病院から、デンマーク国内でも同様の症状で苦しんでいる患者様が多数おり、この病院でも80名以上のHANSの患者様の治療に苦慮していることから病態解明・治療法の確立に向け、本財団と共同研究を行いたいと要請があり、昨年12月に共同研究を進めることになりました。

またこれを受け、本年1月にデンマーク国立Frederiksberg病院から担当医が来日し、本財団の研究チームと症例の検討を行い、共通プロトコルを用いた病態調査を実施することが了承されました。

現在、デンマークと日本の2国間でこの共通プロトコルによる病態調査を実施しており、順調にデータが集積され、解明が進んでいます。

