

<発行> 一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会（JPA）事務局
発行責任者／斉藤幸枝

〒170-0002 東京都豊島区巣鴨 1-11-2 巣鴨陽光ハイツ 604 号
TEL03-6902-2083 FAX03-6902-2084 jpa@ia2.itkeeper.ne.jp
JPAホームページ <http://www.nanbyo.jp/>

第58回難病対策委員会・第31回小慢専門委員会（合同開催） 及び第59回難病対策委員会が開催されました

10月18日に第58回難病対策委員会・第31回小児慢性特定疾患児への支援の在り方に関する専門委員会（合同開催）及び第59回難病対策委員会が都内で開かれました。

JPAからは難病対策委員会の委員として森代表理事が出席しました。

なお、当日の資料につきましては、下記よりダウンロードいただけます。

https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-kousei_127746.html

初めに難病対策委員会と小慢専門委員会の合同開催での委員会が行われ、

- ①指定難病患者データベース及び小児慢性特定疾病児童等データベースにおけるNDB、介護DBとの連結解析について
 - ②指定難病患者データベースの信頼性・有用性に関する研究について
- 上記2点について話し合いが行われました。

これまで指定難病患者データベース（以下難病DB）と小児慢性特定疾病児等データベース（以下小慢DB）の連結については何度も話し合いが行われてきましたが、今回は更に範囲を広げ、NDBや介護DBとの連結も視野に入れた議論が行われました。

委員からは、長期的な視点で見れば両データベースと連結することは概ね賛成だが、やはり難病・小慢は患者数も少なく、特定がされやすいということ、現在、それぞれのDBが他のDBとの連結を前提としたものではないので、連結の項目や連結することの課題に対するリスク回避等も慎重に精査していく必要があるといった意見が述べられました。

患者側の視点に立つと、これらのデータベースの連結が進むことで、研究が進み、病態の解明や新薬の開発等の可能性に期待をしたいと思いますが、データの匿名化、安全性が必須であることはもちろんのこと、さらに連結することで、現状の制度やサービスが利用しやすくなるといったことにまでなるには、多くの課題解決が必要であると思われます。

まずは、難病DBと小慢DBの連結ができるようにすることが当面の課題ですので、引き続き注視していきたいと思っています。

続いて、指定難病患者データベースの信頼性・有用性に関する研究について議論がなされました。

これは、今年の3月に開催された難病・小慢の合同委員会において、難病DBの信頼性及び経年データの有用性を検討すべきではないかとの意見があり、研究班において調査を行いたいとのことで、案が示されました。今回の調査は、HTLV-1関連脊髄症（HAM）とウェルナー症候群の2つのレジストリを用いて行われる予定で、難病DBと研究班の持つデータの項目等が同一ではないものが多く、信頼性を比較できるものが少ない中、この2疾病においては比較的しっかりとレジストリを持っているとの判断がなされ、選出されたとのことです。

この研究（案）に対し、JPAの森代表理事は、「データベースの信頼性については、医療費助成と直結しているところに大きな課題があり、その課題が表面化してきている。患者レジストリは、疾病の特色や研究の内容で項目が定められていると思うが、それが患者の日常生活の状態が十分に反映されているものだとすれば、現状の臨床調査個人票の項目が患者の日常生活を反映できているのかどうかという観点でも、調査を行っていただきたい」と意見を述べました。続けて、研究に協力していただく患者への同意書についても「患者が改めて説明を受け、同意をするということが、非常に理解しづらく研究協力へのハードルも高い。患者にとって分かりやすく丁寧な説明の上で同意を取っていただきたい」と言及しました。

この研究が実施された場合の結果については、来年春以降の難病対策委員会において発表される予定とのことです。

合同委員会終了後、休憩を挟んで第59回難病対策委員会が開催されました。

第59回難病対策委員会においては、下記の2点が報告が行われました。

- ①患者からの申出を起点とした指定難病の検討について
- ②経過措置終了後の特定医療費の支給認定について

これまで指定難病に追加されるためには、研究班において研究が進展し、指定難病に資すると判断された疾病が指定難病検討委員会に報告され、審議をされるというプロセスを踏んでいましたが、今回その従来の方法に加えて、これまで通り満たさなければいけない条件等はあるものの、患者本人からの申出により（本人の状況によっては家族や主治医、患者会からの代理での申出も可能）、指定難病としての追加を検討されるようになるとの報告がありました。これは、これまでの難病対策委員会で検討されてきたものが、さらに指定難病検討委員会で議論された結果によるものです。

この申出の受付については、年度内に47都道府県へ配置することを目標として進めている、難病診療連携拠点病院の設置ができ次第、開始できるように考えているとのことです。開始時期等の詳細が判明しましたら、このニュースやHP等でもお知らせしたいと思います。

続いて、経過措置終了後の特定医療費の支給認定状況について報告が行われました。

全体の支給認定状況については、前々回6月に行われた第57回難病対策委員会において暫定の状況が発表され、このニュースのNo.231でも報告した通りですが、今回は各都道府県ごと及び疾病ごとの認定状況について報告がなされました。都道府県ごと、疾病ごと、それぞれに共通して各項目ごとの格差が大きく、経過措置対象者の86%が引き続き認定されている県もあれば、約69%にとどまっている県もあり、疾病ごとに見ても、認定率・不認定率に大きくバラつきが見られます。また、各都道府県ごとの認定状況において、軽症高額による認定者が特に多い、愛知、山口、鹿児島県の3県については、軽症高額に該当するか否かの審査をまず行い、これに該当しなかった方のみ重症度分類にて審査をしているため、この値になっているとの説明がありました。

森代表理事からは、「医学が進歩したとはいえ、経過措置前後で医療費助成を受けることが出来なくなった患者が2割近くにも及ぶことに驚いている。軽症者と判断され不認定となった人の中にはその後、入院されているため再申請に行けず困っている。といった相談も寄せられており、また申請されていない方についても、「臨床調査個人票の記載を医師に依頼したが、軽症となるから申請してもメリットがないと言われた。とかお願いしても書いていただけなかった。提出書類が複雑でわからず、申請をあきらめた。」などという相談や患者会でのアンケート調査もある。経過措置前後の比較については、都道府県や疾病によっても条件が違うため単純にパーセンテージの数値だけでは比較が出来ないということは理解できるが、都道府県、疾病別共にこれらの結果については、今後の見直しに向けても検討の必要がある。」との発言があり、今後の難病法の見直しに向けても医療費助成は重要な課題であり十分な議論が必要であることを示しました。

最後に指定難病が331に拡大されたことに伴い、旧特定疾患経過措置対象者以外で新しく医療費助成の支給認定を受けた人数が約26万人に上るとの報告があり、審議は終了しました。

文責：大坪