

日医総研 ワーキングペーパー

新たな難病対策の概況

—平成27年1月 難病法の施行を受けて—

No. 334

2015年2月18日

公益社団法人日本医師会
総合政策研究機構
王子野 麻代

This page intentionally left blank.

新たな難病対策の概況 —平成 27 年 1 月難病法の施行を受けて—

日本医師会総合政策研究機構 研究員 王子野 麻代

キーワード

- ◆難病の患者に対する医療等に関する法律
- ◆指定難病
- ◆医療費助成
- ◆指定医
- ◆指定医療機関
- ◆療養生活環境整備事業

◆平成 27 年 1 月 1 日、「難病の患者に対する医療等に関する法律」が施行され、およそ 40 年ぶりに新たな難病対策が動き出した。

◆本稿は、難病法その他関係法令および厚生労働省の見解をもとに、新たな難病対策の概況を医師向けに取り纏めたものである。

◆意義は、次の 2 つである。

①「地域の医師」に対する新制度の普及

新制度への移行に伴い、今後、全国各都道府県において地域の医師に対する「指定医研修」が実施される。本稿は、地域の医師が新制度を知ることに資すること。

②「難病患者」の医療の質の維持向上

新制度が地域の医師に普及されることで、移行期の混乱を最小限に抑え、難病患者が引き続き良質な医療を享受できることに寄与するものと期待する。

目 次

はじめに	4
I 難病法制定までの経緯－「難病対策要綱」から「法律」へ－	7
1. 従来の難病対策と課題 －「難病対策要綱」の限界－	7
2. 立法化の契機 － 社会保障制度改革プログラム法・消費税増税 －	8
3. 「難病法」が目指すもの	10
(1) 従来の課題の解消 － 都道府県超過負担の解消 －	10
(2) 難病患者に対する施策の充実化	11
II 医療費助成の対象と範囲	13
1. 対象患者の認定基準 －「対象疾病」＋「重症度分類」－	13
(1) 要件①「対象疾病」の該当性 － 指定難病 110 疾病 －	14
(2) 要件②「重症度分類」の該当性	16
2. 助成の及ぶ範囲	17
III 新たな「診断」・「治療」・「療養生活支援」体制 － 医師の関与 －	19
1. 診断 －「指定医」制度への移行－	19
(1) 指定医とは － 2 区分・3 類型 －	20
(2) 指定医になるには －要件と手続き－	22
(3) 指定医になったら －指定の効果－	27
2. 治療 －「指定医療機関」制度への移行－	33
(1) 指定医療機関とは	34
(2) 指定医療機関になるには －要件と手続き－	34
(3) 指定医療機関になったら －指定の効果－	35
3. 療養生活支援 － 療養上の相談・訪問看護 －	41
おわりに	43

謝 辞	45
参 考 資 料	47
参考資料 1. 指定難病の「対象疾病」一覧（平成 27 年 1 月 1 日現在）	49
参考資料 2. 指定難病の 5 要件	54
参考資料 3. 「指定医」の要件を満たす「専門医資格」一覧	57
参考資料 4. 「指定医療機関」の欠格および除外要件	59
参考資料 5. 指定医療機関療養担当規程	62
参考資料 6. 自己負担上限額管理票	64

はじめに

我が国の難病対策は、平成 27 年 1 月「難病の患者に対する医療等に関する法律」の施行を受けて、およそ 40 年ぶりの大きな転換期を迎えた。

新制度の移行に伴い、今後、全国各都道府県では、地域の医師向けに「指定医に対する研修」が実施される。

本稿は、地域の医師に対する新制度の普及および難病患者に対する医療の質の維持向上に資するべく、従来の制度を踏まえた「新たな難病対策の概況」について医師向けに取り纏めたものである。新制度の執筆にあたっては、以下の法律等を精読し、解釈については厚生労働省に見解を照会した。

【法律】

- 難病の患者に対する医療等に関する法律（平成 26 年 5 月 30 日法律第 50 号）（以下、「法」という。）

【政令】

- 難病の患者に対する医療等に関する法律施行令（平成 26 年 11 月 12 日政令第 358 号）（以下、「政令」という。）

【省令】

- 難病の患者に対する医療等に関する法律施行規則（平成 26 年 11 月 12 日省令第 121 号）（以下、「省令」という。）

【告示】

- 厚生労働省告示第 393 号 難病の患者に対する医療等に関する法律第 5 条第 1 項の規定に基づき厚生労働大臣が指定する指定難病及び同法第 7 条第 1 項第 1 号の規定に基づき厚生労働大臣が定める病状の程度（平成 26 年 10 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 426 号 難病の患者に対する医療等に関する法律第 5 条第 2 項第 2 号の厚生労働大臣が定める額（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 427 号 難病の患者に対する医療等に関する法律第 5 条第 2 項第 3 号の厚生労働大臣が定める額（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 428 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行令第 1 条第 1 項第 2 号口の厚生労働大臣が定めるもの（平成 26 年 11 月 21 日）

- 厚生労働省告示第 429 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行令第 1 条第 1 項第 6 号の人工呼吸器その他の生命の維持に欠くことができない装置を装着していることについて特別の配慮を必要とする者として厚生労働大臣が定めるもの（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 430 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行令附則第 2 条の規定により厚生労働大臣が定める医療に関する給付が行われるべき療養を受けていた者及びその病状の程度が当該療養を継続する必要があるものとして厚生労働大臣が定めるもの（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 431 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行令附則第 3 条の規定に基づき厚生労働大臣が定める医療に関する給付（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 432 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行令附則第 3 条の規定により読み替えて適用される同令第 1 条第 1 項第 4 号ロに規定する厚生労働大臣が定めるもの（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 433 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行規則第 15 条第 1 項第 1 号イに規定する厚生労働大臣が定める認定機関が認定する専門医の資格（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 434 号 難病の患者に対する医療等に関する法律第 5 条第 3 項の規定による特定医療に要する費用の額の算定方法及び同法第 17 条第 2 項の規定による診療方針（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 435 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行令第 9 条第 1 項の規定により毎年度国が都道府県に対して負担する額の算定に関する基準（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 436 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行規則第 22 条の規定による指定難病に係る医療に要した費用の額の算定方法（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 437 号 指定医療機関療養担当規程（平成 26 年 11 月 21 日）
- 厚生労働省告示第 438 号 難病の患者に対する医療等に関する法律施行令第 9 条第 2 項の規定により毎年度国が都道府県に対して補助する額の算定に関する基準（平成 26 年 11 月 21 日）

【通知】

- 厚生労働省健康局長「指定難病に係る診断基準及び重症度分類等について」（平成26年11月12日健発1112第1号）
- 厚生労働省健康局疾病対策課長「指定難病に係る臨床調査個人票について」（平成26年11月12日健疾発1112第1号）
- 厚生労働省健康局疾病対策課長「指定医の指定について」（平成26年11月21日健疾発1121第1号）
- 厚生労働省健康局疾病対策課長「指定医療機関の指定について」（平成26年11月21日健疾発1121第2号）

【事務連絡】

- 厚生労働省健康局疾病対策課、雇用均等・児童家庭局母子保健課、保険局保健課「難病の患者に対する医療等に関する法律に基づく特定医療及び児童福祉法に基づく小児慢性特定疾病医療支援に係る高額療養費の支給に係る事務の取扱いについて」（平成26年12月5日）

I 難病法制定までの経緯－「難病対策要綱」から「法律」へ－

本章では、従来の難病対策を振り返り、難病法の立法化の契機とその内容について述べる。

1. 従来の難病対策と課題¹－「難病対策要綱」の限界－

従来、我が国の難病対策は、法律ではなく「難病対策要綱（昭和47年）」に基づく予算事業（裁量的経費）として位置づけられていた。その範囲は、「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」、「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」とされていた。国は、このような難病患者に対して、それぞれ患者のおかれている状況にかんがみ、①調査研究の推進、②医療施設の整備、③医療費の自己負担の解消の3つを柱とする総合的な施策を展開してきた。

一方、年々医療費助成の総事業費が増加する中、国の予算が十分に確保できずに、経費の膨張や都道府県の超過負担などの問題が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）で指摘されていた。従来、難病に係る医療費助成において国は都道府県が支出する費用の2分の1を補助するものであったが、裁量的経費であったため予算確保が困難な中、平成25年度では事業費1,342億円（推計）に対して国庫補助は440億円であり、補助金の交付率は65.2%となるなど、例年都道府県の超過負担が生じていた²。

すなわち、従来の「要綱」に基づく予算事業（裁量的経費）には一定の限界があった。医療費助成の対象疾病が限定されていることへの不公平感もあったことから、制度の「安定性」と「公平性」の観点から総合的な見直しが課題であった³。

¹ 藤田雄大「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

² 藤田雄大「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

³ 厚生労働省見解（平成27年1月27日照会）

2. 立法化の契機^{4,5} — 社会保障制度改革プログラム法・消費税増税 —

およそ 40 年の時を経て、難病対策に立法化の契機が訪れた。それは、社会保障制度改革プログラム法による「立法化の要請」と、消費税の増税を活用した「財源確保の実現」という政治的な後押しがあった（図 1）。

もとを辿れば、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」に遡る。大綱には、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姿勢が示された。

平成 25 年 8 月 6 日の「社会保障制度改革国民会議報告書」は、この姿勢を引き継ぐとともに、消費税増収分の活用を盛り込んだ。同報告書には、「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付け、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」旨、記されている。

さらに平成 25 年 12 月 5 日、これを継承した「持続可能な社会保障制度の確立を図るための改革の推進に関する法律（以下、「社会保障制度改革プログラム法」という）の成立によって、難病対策の立法化は法律の要請するところとなった。同法には、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、難病およ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を確立するため、新制度の確立に当たって必要な法律案を平成 26 年に開会される国会の常会に提出することを目指すことが明記されている。

こうして平成 26 年 5 月 23 日、「難病の患者に対する医療等に関する法律（以下、「難病法」という）は成立した。具体的な内容は、難病対策委員会において検討された「今後の難病対策の在り方（中間報告）」（平成 24 年 8 月 16 日）および「難病対策の改革に

⁴ 日本医師会「都道府県医師会難病・小児慢性特定疾病担当理事連絡協議会(平成 26 年 10 月 15 日)」資料

⁵ 藤田雄大「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

ついて（提言）」（平成 25 年 1 月 25 日）が反映されている。

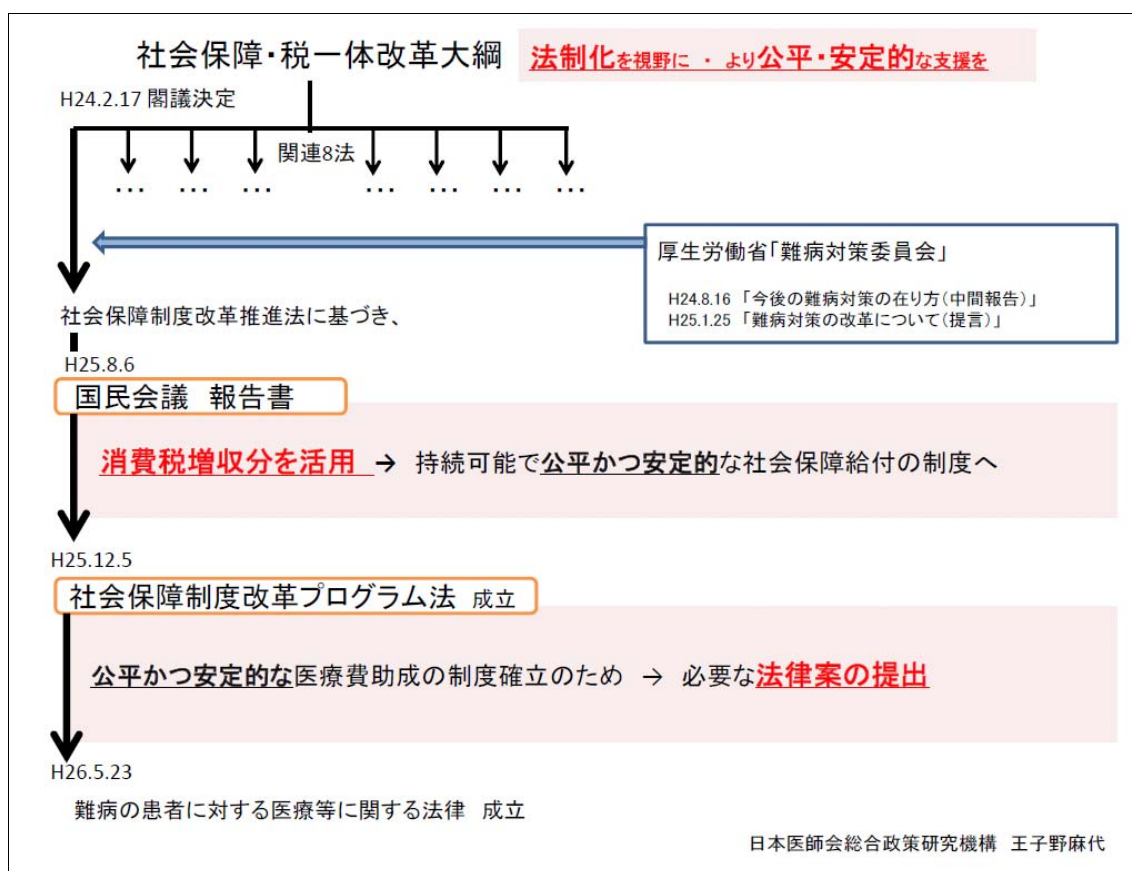


図 1 難病法成立に至るまでの経緯（筆者作成）

3. 「難病法」が目指すもの

難病法が制定されたことで、これまでの課題の一つであった都道府県超過負担が解消方向に向かうとともに、難病患者に対する施策の充実化が図られることとなった。12ページの表2は、従来の難病対策要綱との異同を整理したものである。

(1) 従来の課題の解消 — 都道府県超過負担の解消 —

ア 裁量的経費から義務的経費へ

前述7ページに述べたとおり、従来の難病対策は「裁量的経費」であったため、国の予算確保が困難という限界があった。難病法では、これを「義務的経費」に改め、国は都道府県が支出する費用の100分の50を負担し、その費用に消費税の収入を充てることで都道府県超過負担は解消の方向となった⁶。

イ 予算⁷の拡充

平成27年度の難病対策の予算案は1,231億円で、平成26年度のそれ(719億円)に比して拡充した。その内訳は、「医療費助成」に1,119億円(H26:608億円)、「国民の理解促進と社会参加のための施策の充実」に9億円(H26:8億円)、「調査・研究の推進」に103億円(H26:104億円)が計上されている(表1)。

表1 難病対策(厚生労働省疾病対策課)に係る予算比較(筆者作成)

	平成26年度	平成27年度(案)	
総事業費	719億円	1,231億円	+512億円
医療費助成	608億円	1,119億円	+511億円
国民の理解促進と社会参加のための施策充実	8億円	9億円	+1億円
調査・研究の推進	104億円	103億円	-1億円

⁶ 藤田雄大「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

⁷ 厚生労働省健康局「平成27年度予算(案)の概要(平成27年1月)」

(2) 難病患者に対する施策の充実化

ア 定義

「難病」の定義は、「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もの（法第1条）」に整理された。

イ 目的・基本理念

新たな目的・理念は、これまでの治療研究の推進という目的に加え、福祉的な目的を併せもつ⁸。難病患者に対する良質かつ適切な医療の確保及び療養生活の質の維持向上を図ることで国民保健の向上を図ることを目的とし（同法第1条）、難病の克服を目指し、難病患者の社会参加の機会の確保、地域社会における尊厳の保持、他の人々と共生することを妨げられないことを旨として、難病の特性に応じて関連施策との有機的な連携に配慮しつつ、総合的に行う（同法第2条：基本理念）。

ウ 施策 — 基本方針8本柱—

難病法は、以下の8項目につき「基本的な方針」を定めるよう国に要請している。この具体化にあたっては、今後、難病対策委員会において検討される予定である⁹。

- ①難病患者に対する医療等の推進の基本的な方向
- ②医療提供体制の確保に関する事項
- ③人材の養成に関する事項
- ④調査及び研究に関する事項
- ⑤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療養生活の環境整備に関する事項
- ⑦福祉サービスに関する施策、就労支援に関する施策その他の関連施策との連携に関する事項
- ⑧その他重要事項

⁸ 厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会「難病対策の改革に向けた取組みについて（概要）」平成25年12月13日

⁹ 厚生労働省見解（平成27年1月27日照会）

表2 「難病対策要綱」と「難病法」の主な異同（筆者作成）

	難病対策要綱（昭和47年）	難病法（平成27年1月）
難病とは （定義）	<p>○「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い疾病」</p> <p>○「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」</p>	<p>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</p>
目的・理念	<p>（治療研究の推進）</p> <p>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</p>	<p>（治療研究の推進＋福祉的目的）</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 良質かつ適切な医療の確保 ・ 療養生活の質の維持向上 ・ 社会参加の機会確保
施策	3つの柱	8つの柱
	—	①難病医療等の推進の基本的な方向
	①調査研究の推進	②調査及び研究に関する事項 ③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
	②医療施設の整備	④医療提供体制の確保に関する事項 ⑤人材の養成に関する事項
	—	⑥療養生活の環境整備に関する事項 ⑦福祉サービス・就労支援に関する施策 ⑧その他
	③医療費の自己負担の解消	自己負担割合を3割から2割に引き下げ、自己負担上限額の設定
予算	719億円（平成26年度）	1,231億円（平成27年度（案））

II 医療費助成の対象と範囲

本章では、難病法下の医療費助成の対象と範囲について従来を踏まえつつ述べる。

1. 対象患者の認定基準 —「対象疾病」＋「重症度分類」—

対象患者の認定基準は、①「対象疾病」の該当性と、②「重症度分類」の該当性で判断する（図2）。各要件については、次頁以降に後述する。

医師が診断書（臨床調査個人票）を作成する際には、厚生労働省の定めた診断基準等に基づき、それぞれの該当性を判断することとなる。

なお、「②重症度分類」に該当しない方でも、特例（高額な医療を継続することが必要な軽症者：後述 17 ページ参照）に該当する場合は医療費助成の対象となる。

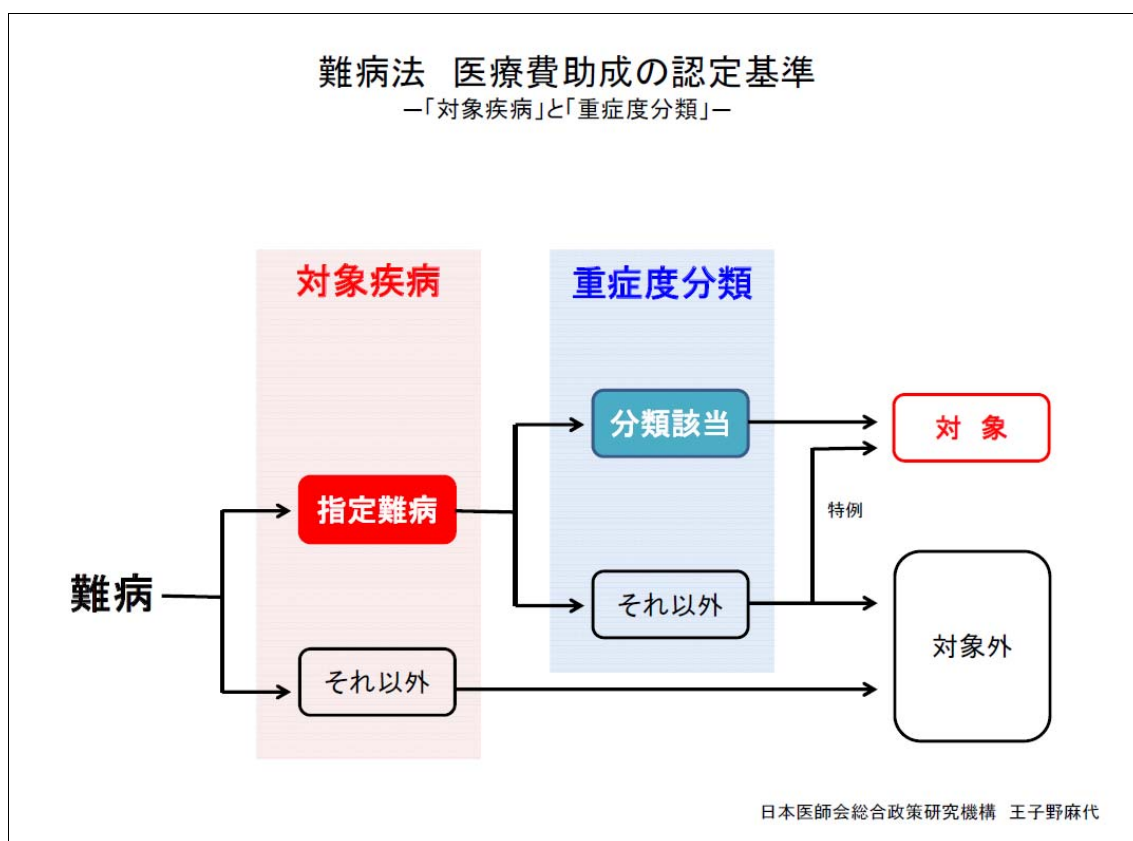


図2 難病法 医療費助成の認定基準（筆者作成）

（１）要件①「対象疾病」の該当性 — 指定難病 110 疾病 —

「対象疾病」とは、厚生労働省が指定した「指定難病」のことであり、現在 110 疾病がこれに該当する（参考資料 1 参照）。これらは、難病のうち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（法第 5 条第 1 項）、以下の 5 つの要件（参考資料 2）に基づき指定された。

【指定難病の 5 要件（参考資料 2 参照）】

- ①発病の機構が明らかでないこと
- ②治療方法が確立していないこと
- ③長期の療養を必要とすること
- ④患者が本邦において一定の人数に達しないこと
- ⑤診断に関し客観的な指標による一定の基準が定まっていること

従来との関係を全体的にみれば、現在（平成 27 年 1 月時点）指定されている「対象疾病」の数（110 疾病）は、従来のおよそ倍に拡大している（表 3）。

表 3 「対象疾病」に関する従来との異同：平成 27 年 1 月時点（筆者作成）

	従来（難病対策要綱）	新制度（難病法）
①対象疾病	56 疾病	110 疾病

しかしながら、これまで対象疾病とされてきた 56 疾病すべてが指定難病の 110 疾病に移行したものではない（図 3）。これまで対象とされてきた 56 疾病のうちスモン、難治性肝炎のうち劇症肝炎、重症急性膵炎（以下、「スモン他 2 疾病」という）は、上記要件を満たさない¹⁰ことから「指定難病」には移行されなかった。

指定難病の 110 疾病とは、従来 53 疾病（スモン他 2 疾病を除く）が最新の医学的知見に基づき分類整理されたところに、新たに 45 疾病を追加したものである。

¹⁰ 指定難病の 5 要件のうち、スモンは①、難治性肝炎のうち劇症肝炎と重症急性膵炎は③を満たさない（厚生労働省見解、平成 27 年 1 月 30 日照会）。

平成 27 年夏には、さらに新規疾病が加わり、「指定難病」は約 300 疾病にまで拡大することが予定されている。

患者数でみると、これまで約 78 万人であった対象患者は、平成 27 年 1 月には約 120 万人、同年夏には約 150 万人に増加すると見込まれている¹¹。

すなわち、上記対象疾病の見直しと拡大に伴い、難病法に基づく「指定難病」患者と要綱に基づく「特定疾患」患者の 2 種類に大別され、そのうちスモンについては、従来どおり「要綱」に基づく「特定疾患」として存続する。なお、難治性肝炎のうち劇症肝炎・重症急性膵炎については、平成 26 年 12 月 31 日までに当該疾患により特定疾患治療研究事業の対象患者として認定され、その後も継続的に認定基準を満たしている者に限る。後者には、新たに設けられた指定医制度による留保は及ばない。

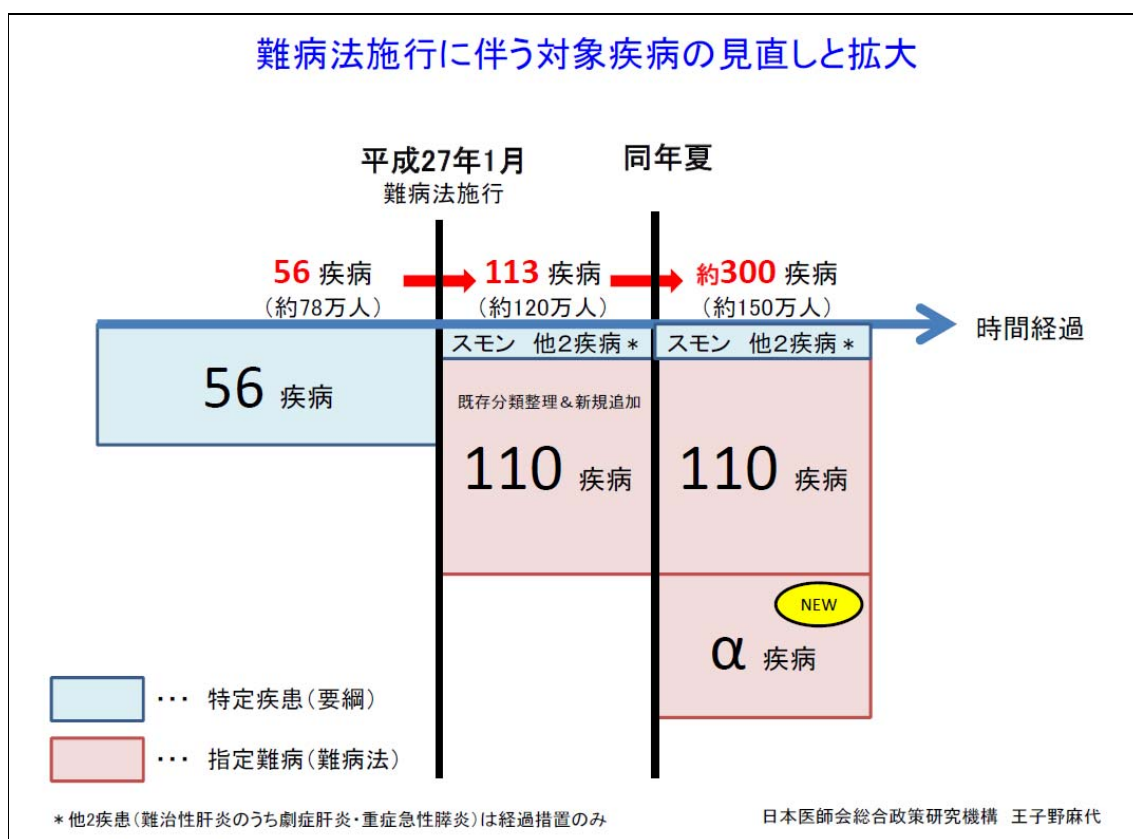


図3 難病法施行に伴う対象疾病の見直しと拡大 (筆者作成)

¹¹ 厚生労働省見解 (平成 27 年 1 月 27 日照会)

(2) 要件②「重症度分類」の該当性

「重症度分類」は、すべての「対象疾病」に設けられ、疾病ごとに異なる（以下の厚生労働省ホームページ参照）。これは、「日常生活又は社会生活に支障があると医学的に判断される程度」という考え方を、疾病の特性に応じて医学的な観点から反映させて定められている。

*厚生労働省ホームページ「指定難病一覧（概要、診断基準等・臨床調査個人票）」
<http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000062437.html>

従来との関係を見れば、重症度分類はこれまで 12 疾病にのみ設定されていたが、すべての疾病に設定されることとなった（表 4）。

表 4 「重症度分類」に関する従来との異同：平成 27 年 1 月時点（筆者作成）

	従来（難病対策要綱）	新制度（難病法）
②重症度分類	12 疾病（※）のみ	すべての疾病

※劇症肝炎、パーキンソン病、後縦靭帯骨化症、表皮水疱症、広範脊柱管狭窄症、原発性胆汁性肝硬変、重症急性膵炎、特発性間質性肺炎、網膜色素変性症、神経線維腫症 I 型、バッド・キアリ症候群、黄色靭帯骨化症の 12 疾病。

2. 助成の及ぶ範囲

医療費助成の対象は、前述 13 ページで述べたとおり、認定基準（①対象疾病＋②重症度分類）に該当することが原則である。ただし、特例により、重症度分類に該当しない軽症者であっても、高額な医療を継続することが必要な場合にはその対象となる。具体的には、月ごとの医療費総額が 33,330 円を超える月が年間 3 回以上ある場合（例えば医療保険の 3 割負担の場合、医療費の自己負担が 1 万円以上の月が年間 3 回以上）である。

以下は、上記対象患者に対して、医療費助成が及ぶ範囲について述べる。

（1）原則 — 患者の特性に応じた自己負担上限額 —

患者の自己負担は 2 割である（従来は 3 割）。自己負担上限額には、外来と入院の区別なく、複数医療機関を受診した場合にはすべてを合算する。入院等の標準的な食事療養及び生活療養に係る費用は全額患者負担となった。

新制度における自己負担上限額は、「一般」患者と「高額な医療が長期に継続する患者（高額かつ長期）」に分類され、所得区分に応じた設定がなされている（表 4）。

「高額な医療が長期に継続する患者（高額かつ長期）」とは、月ごとの医療費総額が 5 万円を超える月が年間 6 回以上ある者（例えば医療保険の 2 割負担の場合、医療費の自己負担が 1 万円を超える月が年間 6 回以上）である。これは、自立支援医療の「重度かつ継続」を参考に負担上限月額が設定されている。

ただし、「高額かつ長期」患者のうち「人工呼吸器等装着者」として、「継続して常時生命維持管理装置を装着する必要がある者」かつ「日常生活動作が著しく制限されている者」に該当する場合には、自己負担上限額は所得区分に関わらず月額 1,000 円とされている。

(2) 例外 — 既認定者に対する経過措置 —

既認定者には、3年間の経過措置が設けられ（表5）、この期間内に上記原則は及ばない。「一般」患者と「現行の重症患者」に分類され、新制度の移行に伴う変化に対して一定の配慮がなされている。

「一般」の負担上限月額、上記の「高額かつ長期」患者の負担上限月額と同様である。「現行の重症患者」の負担上限額は、生活保護・低所得者Ⅰ・一般所得Ⅰを除き、「一般」患者より負担が軽減されている。入院等の標準的な食事療養及び生活療養に係る費用については、その1/2が公費負担となる。

表5 新たな医療費助成における自己負担上限額（月額）（厚生労働省作成）（単位：円）

階層区分	患者自己負担割合：2割					
	自己負担上限額（外来＋入院）					
	原則			既認定者（経過措置3年間）		
	一般	高額かつ長期	人工呼吸器等装着者	一般	現行の重症患者	人工呼吸器等装着者
生活保護	0	0	0	0	0	0
低所得Ⅰ（※1）	2,500	2,500	1,000	2,500	2,500	1,000
低所得Ⅱ（※2）	5,000	5,000		5,000		
一般所得Ⅰ（※3）	10,000	5,000		5,000	5,000	
一般所得Ⅱ（※4）	20,000	10,000		10,000		
上位所得（※5）	30,000	20,000		20,000		
入院時の食費	全額自己負担			1/2自己負担		

※1 市町村民税非課税（世帯）本人年収80万円以下

※2 市町村民税非課税（世帯）本人年収80万円超

※3 市町村民税 課税以上7.1万円未満（約160万円から約370万円）

※4 市町村民税 7.1万円から25.1万円（約370万円から約810万円）

※5 市町村民税 25.1万円以上（約810万円超）

Ⅲ 新たな「診断」・「治療」・「療養生活支援」体制 — 医師の関与 —

1. 診断 — 「指定医」制度への移行—

難病の「診断」について、従来はかかりつけ医がその役割を担ってきた。すなわち、いかなる医師であっても診断（診断書の作成）は可能とされてきたが、新制度では難病医療に専門性を有する医師として都道府県が指定した「指定医」に限定する形態に見直された。

その趣旨は、より早期に正確な診断と正しい治療方針の決定ができるようにすることにある（図 4）¹²。これまでの難病対策委員会における議論の中で、診断の正確性に関する問題が指摘され、できる限り早期に正しい診断をつけることが重要であるという方向性が打ち出されており¹³、今回の制度移行はこれを踏まえたものである。

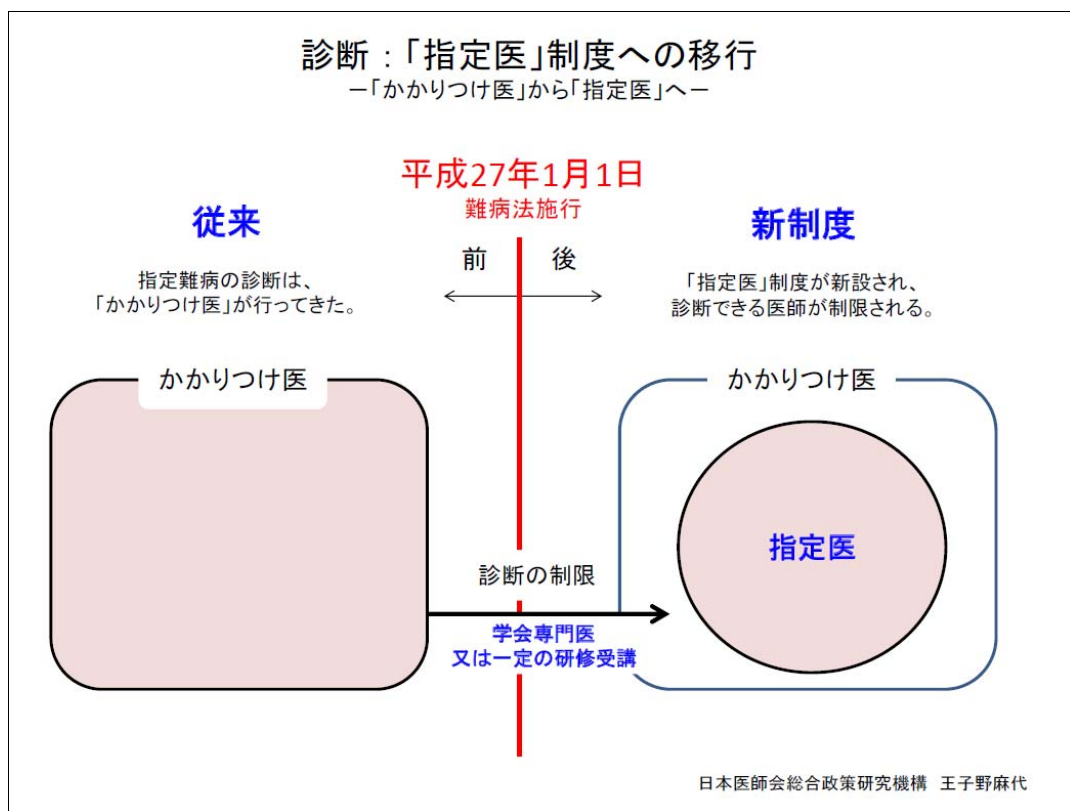


図 4 「指定医」制度への移行（筆者作成）

¹² 厚生労働省見解（平成 27 年 1 月 16 日照会）

¹³ 厚生労働省見解（平成 27 年 1 月 16 日照会）

（１）指定医とは — 2 区分・3 類型 —

「指定医」とは、患者が特定医療費の支給申請にあたり必要となる「診断書（臨床調査個人票）」の作成を行う者として都道府県知事が定めた医師である（法第6条第1項）。

「指定医」には、「難病指定医（以下、「指定医（狭義）」という。）」と「協力難病指定医（以下、「協力医」という）」の2区分あり、両者は作成可能な診断書（臨床調査個人票）の範囲が異なる。すなわち、「指定医（狭義）」は新規申請および更新申請の両方の診断書を作成することができるのに対し、「協力医」は更新申請の診断書のみに限られる（省令第12条第3項）。

両者を分けた意義について、厚生労働省は、前述（19 ページ）の制度趣旨（早期の正確な診断と治療方針の決定）を前提としつつ、「新規申請の診断」と「更新申請の診断」の性質上の相違に着目したとしている。すなわち、新規申請の診断は専門性を有する医師が作成することが重要であると考えられた¹⁴。一方で、更新申請の診断は主に当該疾病の重症度について評価を行うものであることから、患者の負担軽減に配慮し、定期的に通院しているかかりつけ医が担うことも可能ではないかと考えられた¹⁵。

以降、便宜上、専門医資格の有無の点から、指定医を3類型（Type I、II、III）に大別して述べる（図5）。

¹⁴ 厚生労働省見解（平成27年1月16日照会）

¹⁵ 厚生労働省見解（平成27年1月16日照会）

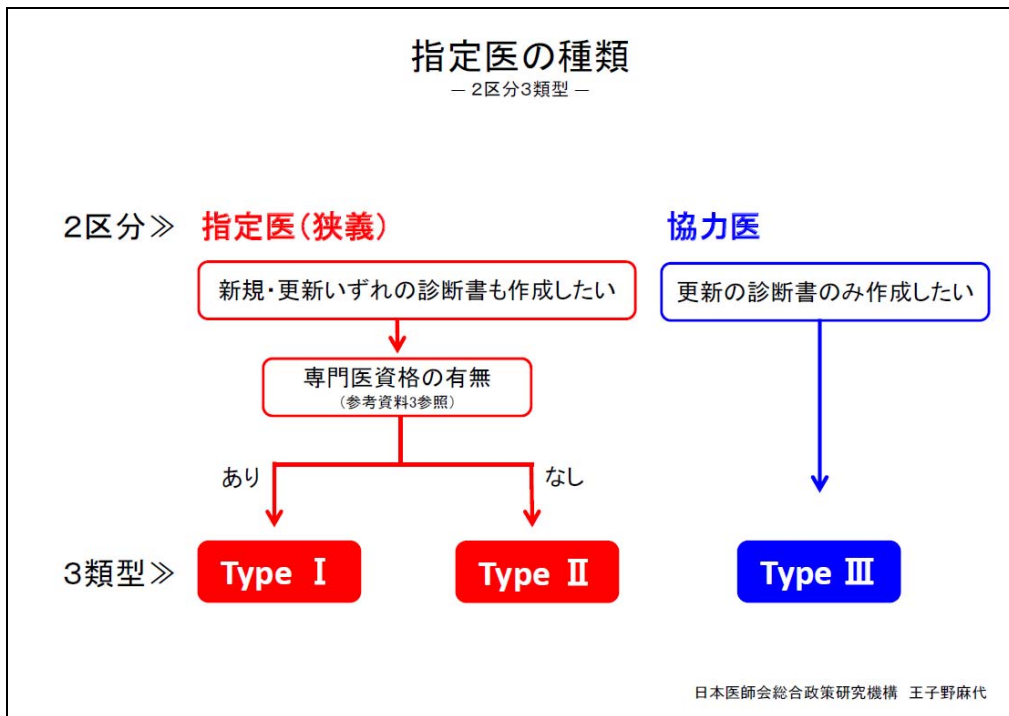


図5 指定医の種類 — 2区分3類型 — (筆者作成)

(2) 指定医になるには —要件と手続き—

① 要件

ア 原則 — 「基本要件」 + 「個別要件」 —

「指定医」になるには、「基本要件」と「個別要件」を満たす必要がある（省令第15条第1項、告示第433号、課長通知1121第1号）（図6）。

「基本要件」は、診断又は治療に5年以上従事した経験（実務経験）を有していることであり、これはすべての類型（TypeⅠ・Ⅱ・Ⅲ）に共通する。ここでいう「経験」は、難病に対する診断や治療に限らない。また、「5年以上」には診断または治療に全くあたっていない期間は除き、医師法に規定する臨床研修期間はこれに含めてよいとされている。

「個別要件」は、類型（TypeⅠ・Ⅱ・Ⅲ）ごとに異なる。TypeⅠは厚生労働大臣が定める認定機関が認定する「専門医（参考資料3参照）」の資格を有すること、TypeⅡは都道府県知事が行う「指定医向けの研修」の修了、TypeⅢは都道府県知事が行う「協力医向けの研修」を修了していることが必要である。さらに、TypeⅢは更新の診断書を作成するのに必要な知識と技能を有することも付加されているが、これは（指定難病審査会で却下されるような）不適切な診断書を頻繁に作成する等、研修を受けた医師等であっても、知識・技能が十分でなく、指定医として著しく不相当と都道府県が認める場合に取消し等を行う根拠としての¹⁶消極的要件である。

なお、上記要件を満たした場合であっても、指定の取消等（30ページ⑤：省令第20条第2項・第3項）を受けた後5年を経過していない者その他指定医として著しく不相当と認められる者は、都道府県の裁量により指定されない場合がある（省令第15条第2項、課長通知1121第1号）。

¹⁶ 厚生労働省見解（平成27年1月16日照会）

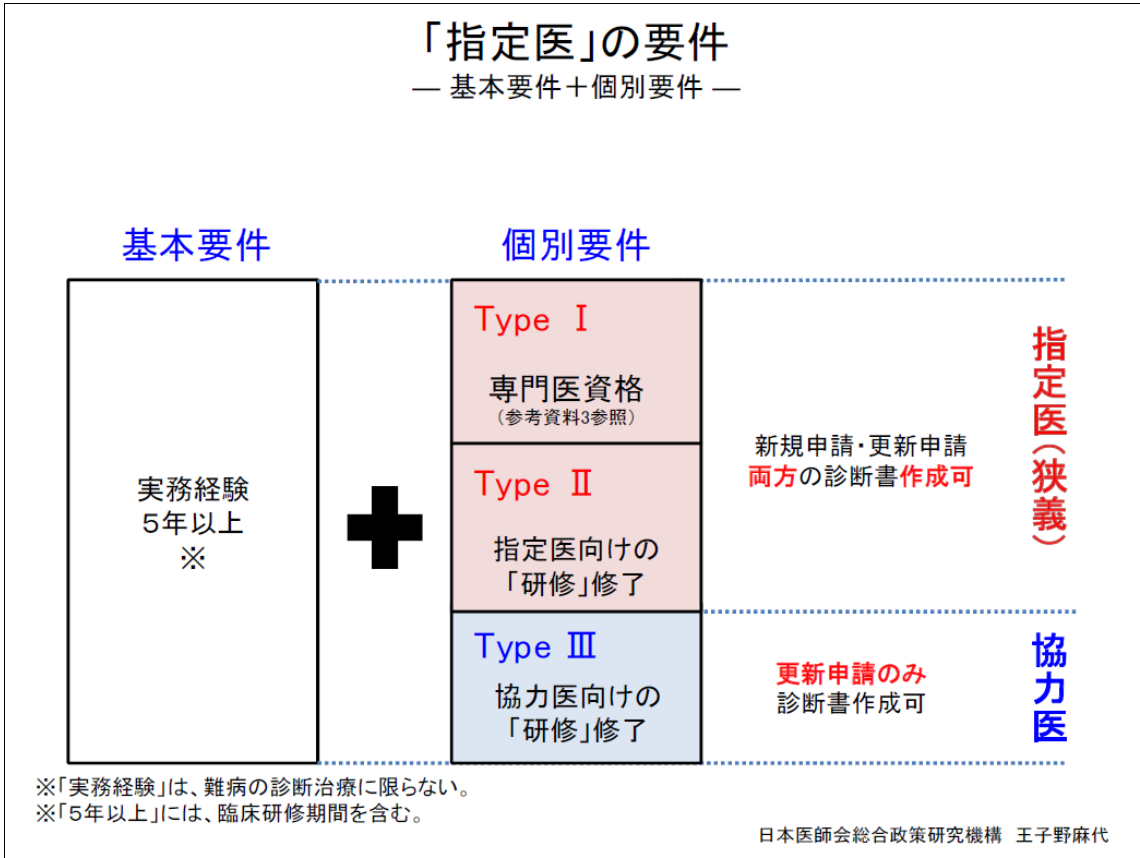


図6 「指定医」要件 —基本要件+個別要件—（筆者作成）

イ 特例 — Type II の指定医に対する経過措置 —

新制度への円滑な移行に期するため¹⁷、Type II の指定医に対して経過措置が設けられた。原則は、前述のとおり「基本要件（実務経験）」と「個別要件（研修の修了）」を満たすことが必要であるが、特例は、今後研修を受講する意向があれば、平成 29 年 3 月 31 日までの間は「個別要件（研修の修了）」を猶予するというものである（省令附則第 3 条第 1 項）。この場合、平成 29 年 3 月 31 日までに「個別要件（研修の修了）」を満たさなければ、特例期間満了に付随して指定の効力は失効する（省令附則第 3 条第 2 項、課長通知 1121 第 1 号）。

図 7 は、Type II の医師が平成 27 年 1 月 1 日付けで指定を受けた場合の特例について示した具体例である。

特例期間内（平成 29 年 3 月 31 日まで）に、「個別要件（研修の修了）」を満たした場合、指定の効力は指定日から 5 年間とされ、以降は 5 年ごとに「更新申請」を行うことになる。

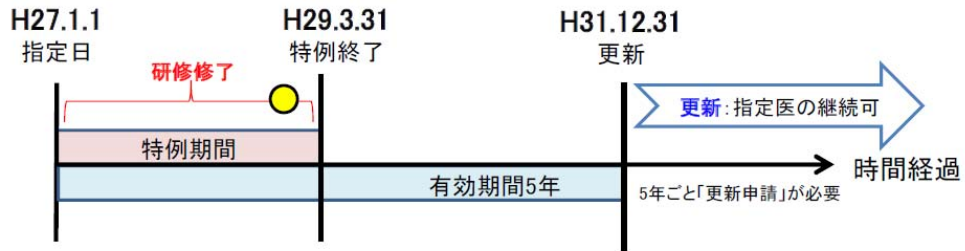
他方、特例期間内（平成 29 年 3 月 31 日まで）に「個別要件（研修の修了）」を満たさなければ、指定の効力は失効するので、当該日をもって指定医ではなくなる。指定の効力が失効した後（平成 29 年 4 月 1 日以降）に再び指定を受ける場合には、更新ではなく「新規申請」の届出が必要とされている¹⁸。

¹⁷ 厚生労働省見解（平成 27 年 1 月 16 日照会）

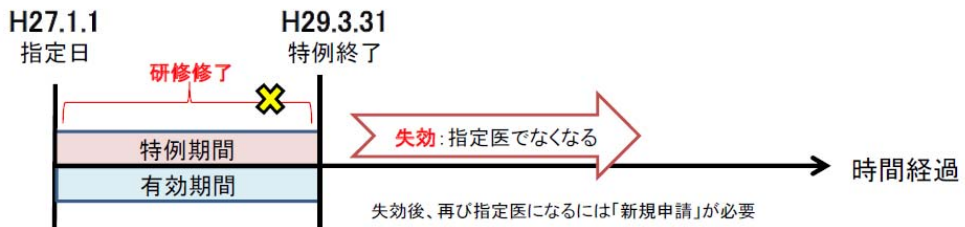
¹⁸ 厚生労働省見解（平成 27 年 1 月 16 日照会）

Type II の指定医に対する特例

平成27年1月1日に指定医となり、特例期間内に研修を修了した場合



平成27年1月1日に指定医となり、特例期間内に研修を修了しなかった場合



日本医師会総合政策研究機構 王子野麻代

図7 Type II の指定医に対する特例 (筆者作成)

② 申請手続き

「指定医」の指定を受けようとする医師は、「指定医指定申請書」に必要事項を記入の上添付書類と合せて（表 6）、主たる勤務地（主として指定難病の診断を行う医療機関）の都道府県への申請が必要である（省令第 16 条、課長通知 1121 第 1 号）。

ただし、Type II の指定医申請をする場合、特例期間中（平成 29 年 3 月 31 日まで）は、「申請時に」研修の修了を証明する書面はなくてもよい（省令附則第 3 条第 1 項）が、特例期間内に研修を修了する必要がある（前述 24 から 25 ページ参照）。

指定医を受けた際、指定医には都道府県より指定通知書が交付されるとともに、氏名や勤務する医療機関名等が公表される（課長通知 1121 第 1 号）。指定を受けることができなかつた場合にはその旨を記載した通知書が都道府県から申請者に対して交付される（課長通知 1121 第 1 号）。

表 6 「指定医」の指定申請に必要な書類（筆者作成）

Type I・II・III の類型説明は 21 ページ参照。

		Type I	Type II	Type III
指定医指定申請書		○	○	○
添付書類 (※1)	①経歴書(※2)	○	○	○
	②医師免許証の写し	○	○	○
	③専門医の資格を証明する書面	○	×	×
	④「指定医向け」研修の修了を証明する書面(※3)	×	○	×
	⑤「協力医向け」研修の修了を証明する書面	×	×	○

※1 添付書類は、「都道府県が当該書類に証明すべき事実を公簿等によって確認することができるときは、当該書類を省略することができる（省令第 16 条第 2 項）」とされているため、各都道府県によって必要とする書類が異なる可能性がある。

※2 「③専門医の資格を証明する書面」を提出する場合には、「①経歴書」の提出は不要（課長通知 1121 第 1 号）。

※3 ④は、特例期間中（平成 29 年 3 月 31 日まで）は猶予。

(3) 指定医になったら ー指定の効果ー

① 職務 ー診断書の作成等ー

「指定医」の職務は、主として診断書（臨床調査個人票）の作成である。本来であれば、診断書の内容（患者データ）を登録管理システムへ登録することまで職務として求められているが（省令第18条）、現在システムが開発段階にあるため、その運用が開始されるまでは登録の必要はないとされている¹⁹。

② 更新 ー5年ごとー

「指定医」指定の効力の有効期間は5年であり（課長通知1121第1号）、5年ごとにその更新を受けなければその期間の経過によって効力を失う（省令第17条第2項、課長通知1121第1号）。そのため、指定医は5年を超えない日までの間に、「指定医更新申請書」に必要事項を記入の上添付書類と合せて、都道府県に更新申請をする必要がある（表7）。

更新または更新しない、いずれの決定であってもその旨記載した通知書が都道府県より交付される（課長通知1121第1号）。

表7 「指定医」の更新申請に必要な書類（筆者作成）

Type I・II・IIIの類型説明は21ページ参照。

		Type I	Type II	Type III
指定医指定「更新」申請書		○	○	○
添付書類	①専門医の資格を証明する書面	○	×	×
	②「指定医向け」研修の修了を証明する書面	×	○	×
	③「協力医向け」研修の修了を証明する書面	×	×	○

¹⁹ 厚生労働省見解（平成27年1月27日照会）

たとえば、特例を活用して平成 27 年 1 月 1 日に新規申請をして、特例期間満了前に研修を修了した場合には、その研修修了証を都道府県に届け出ることによって指定の効力は平成 31 年 12 月 31 日まで及ぶ（指定日から 5 年間有効）。平成 32 年 1 月 1 日以降に更新申請をする際には、前述で届け出た研修修了証と同じものを添付することが可能である。ただし、指定を受けた日から 5 年を超えない日までの間に研修を受ける必要があるため（課長通知 1121 第 1 号）、この場合の有効期間 5 年（平成 32 年 1 月 1 日～平成 36 年 12 月 31 日）の間に改めて研修を受ける必要がある。

ただし、当該 5 年を超えない日までの間に実施されるいずれの研修も受けることができないことについて、災害、傷病、長期の海外渡航その他のやむを得ない理由が存すると都道府県が認めたときはこの限りではない（省令第 17 条第 1 項、課長通知 1121 第 1 号）。

③ 変更

「指定医」は、以下の枠内の事項（省令第16条第1項第1号又は第3号）に変更があった場合は、変更のあった事項およびその年月日を「指定変更届出書」に記載の上、指定通知書を添えて当該指定医の指定をした都道府県に対して速やかな届け出が必要である（省令第19条、課長通知1121第1号）。手続き後には、都道府県により変更後の新たな指定通知書が交付される（課長通知1121第1号）。

特に、勤務する医療機関の所在地が変更した場合は、変更後の勤務地が同一県内か県外かで手続きが異なる（図8）。主たる勤務地が県外に変更になった場合には、既に指定を受けている都道府県への「変更届」の届出²⁰のみならず、新たな勤務地の都道府県への「新規申請」の届出が必要である²¹（課長通知1121第1号）。

- ・勤務する医療機関の名称や所在地（図8参照）
- ・氏名（婚姻等により姓が変わった場合等）、生年月日、連絡先、担当する診療科名
- ・医籍登録番号および登録年月日

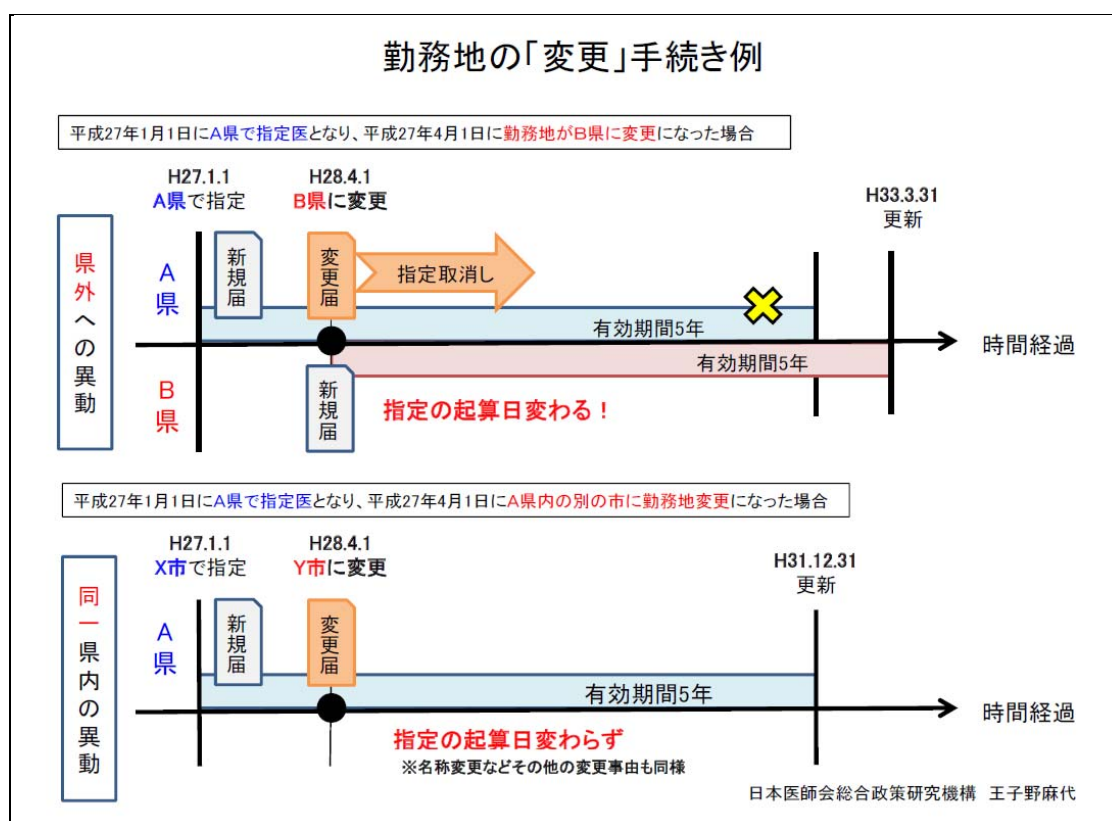


図8 勤務地の「変更」手続き例（筆者作成）

²⁰ 勤務する医療機関の所在地のある都道府県に変更があった旨の届出をした場合、都道府県の裁量によりその指定は取り消される（省令第20条第4項）。

²¹ 厚生労働省見解（平成27年1月16日照会）

④ 辞退

「指定医」は、「辞退届」の提出によりその指定を辞退することができる（省令第20条第1項）。

指定医が死亡した場合には、その者の家族または診療に従事していた医療機関の管理者が都道府県に届け出ることとされている（課長通知1121第1号）。

⑤ 都道府県による「指定医」の取消し等

指定医が医師免許の取消し又は期間を定めて医業停止を命ぜられた場合、都道府県によってその指定が取り消される（必要的取消し：省令第20条第2項、課長通知1121第1号）。法や命令に違反したとき又は指定難病の診断や治療に関し著しく不当な行為を行ったときその他指定医として著しく不相当と認められる指定医については、都道府県の裁量により指定の取消し又は一年以内の期間を定めた効力停止となる。（任意的取消し又は効力停止：省令第20条第3項）。

- ・ 医師免許の取消し又は医業停止を命ぜられたとき
- ・ 法や命令に違反したとき又は、指定難病の診断や治療に関し著しく不当な行為を行ったとき等

⑥ 指定・変更・辞退・取消し等の「公表」

「指定医」の指定を受けた際、指定医の「氏名」、「勤務先の医療機関の名称および所在地」、「担当する診療科名」が都道府県によって公表される。以降は、変更・辞退・取消しなど指定状況に変動が生じた場合に、その旨公表される（省令第21条、課長通知1121第1号）。

⑦ 指定医でない医師が作成した診断書の効力

都道府県からの指定を受けていない医師の診断書は、原則無効である²²。ただし、平成 26 年度中に都道府県に申請を行った医師が、指定を受ける前に作成した診断書は有効である²³。

指定後の後発的事由（特例期間や更新期間の経過など）によりその効力が消滅した後に、指定医であるものとして作成した診断書の作成等の行為は取り消すことができ、それに伴い、当該診断書は指定医であるものとして作成した診断書としての効力を失うことになる²⁴。

すなわち、特例期間（平成 29 年 3 月 31 日）までに研修要件を満たさなかった医師や指定の有効期間（5 年）を超えて更新申請をしなかった医師が当該期間を超えて作成した診断書は、都道府県の裁量によって取り消しうる。ただし、患者に不利益が生じる場合にはこの限りではない²⁵。

なお、指定の効力の発生時期については明確な定めはないことから、上記は厚生労働省の一定の見解である（表 8）。

表 8 指定医でない医師が作成した診断書の効力（筆者作成）

指定医でない医師（例）	診断書の効力
都道府県からの指定を受けていない医師	【原則】無効 【例外】平成 26 年度中に都道府県に申請を行った医師が、指定を受ける前に作成した診断書は有効
特例期間（平成 29 年 3 月 31 日）までに研修要件を満たさなかった医師	平成 29 年 4 月 1 日以降に作成した診断書の効力 【原則】取消可（都道府県の裁量） 【例外】患者に不利益が生じる場合には取り消せない
指定の有効期間（5 年）を超えて更新申請をしなかった医師	有効期間以降に作成した診断書の効力 【原則】取消可（都道府県の裁量） 【例外】患者に不利益が生じる場合には取り消せない

²² 厚生労働省見解（平成 27 年 1 月 16 日照会）

²³ 施行時の経過的取扱いとして、法施行前に申請が行われた場合は平成 27 年 1 月 1 日から、平成 26 年度中に申請が行われた場合は申請日に遡って指定の効力が発生するとされている（厚生労働省見解、平成 27 年 1 月 16 日照会）。

²⁴ 厚生労働省見解（平成 27 年 1 月 29 日照会）

²⁵ 厚生労働省見解（平成 27 年 1 月 16 日照会）

「指定医」に係るまとめ一覧（筆者作成）

		Type I	Type II	Type III	詳細
名称		難病指定医	難病指定医	協力難病指定医	p.20-21
職務		診断書作成(新規・更新)	診断書作成(新規・更新)	診断書作成(更新のみ)	p.20-21
指定前	要件	実務経験 (診断又は治療に5年以上)	実務経験 (診断又は治療に5年以上)	実務経験 (診断又は治療に5年以上)	p.22-23
	個別要件	「専門医資格」を有すること	指定医向けの「研修の修了」	協力医向けの「研修の修了」	
	場所	主たる勤務地の所在する都道府県	主たる勤務地の所在する都道府県	主たる勤務地の所在する都道府県	p.26
	必要書類	①指定医指定申請書 ②経歴書 ③医師免許証の写し ④専門医の資格を証明する書面	①指定医指定申請書 ②経歴書 ③医師免許証の写し ④研修の修了を証明する書面	①指定医指定申請書 ②経歴書 ③医師免許証の写し ④研修の修了を証明する書面	p.26
	特例	—	平成29年3月31日までは、「申請時に」上記書類④はなくてもよい。期間内に研修を受けること。	—	p.24-25
平成29年3月31日までに必要な手続き		—	研修の修了 (これを証明する書面の提出)	—	p.24-25
指定後	更新				
	時期	5年ごと(満了前の手続き可)	5年ごと(満了前の手続き可)	5年ごと(満了前の手続き可)	p.27
	必要書類	①指定医指定「更新」申請書 ②専門医の資格を証明する書面	①指定医指定「更新」申請書 ②研修の修了を証明する書面	①指定医指定「更新」申請書 ②研修の修了を証明する書面	p.27
	変更事由	勤務医療機関の名称や所在地、氏名、連絡先、担当する診療科名、医籍登録番号・登録年月日	勤務医療機関の名称や所在地、氏名、連絡先、担当する診療科名、医籍登録番号・登録年月日	勤務医療機関の名称や所在地、氏名、連絡先、担当する診療科名、医籍登録番号・登録年月日	p.29
変更	指定変更届書	指定変更届書	指定変更届書		
必要書類	(勤務医療機関が県外に変更になった場合には、①指定を受けた都道府県に「変更届」、②新しい勤務地のある都道府県に「新規申請書」を届け出ること)	(勤務医療機関が県外に変更になった場合には、①指定を受けた都道府県に「変更届」、②新しい勤務地のある都道府県に「新規申請書」を届け出ること)	(勤務医療機関が県外に変更になった場合には、①指定を受けた都道府県に「変更届」、②新しい勤務地のある都道府県に「新規申請書」を届け出ること)	p.29	
辞退・死亡	辞退届	辞退届	辞退届	p.30	

※上記手続きは都道府県によって異なる場合がある。

2. 治療 — 「指定医療機関」制度への移行—

指定難病の「治療（特定医療²⁶）」を行う医療機関は、従来、都道府県との間で委託契約を締結していたが、新制度では医療機関の申請により都道府県が指定（法第5条第1項）をする形態に見直された（図9）。見直しの理由について、厚生労働省は、公費によって実施される医療の質を担保するとともに、患者等の利便性向上の観点から医療機関における医療費の代理受領を可能とするため、適切に特定医療を実施する医療機関を指定する必要があるとしている²⁷。

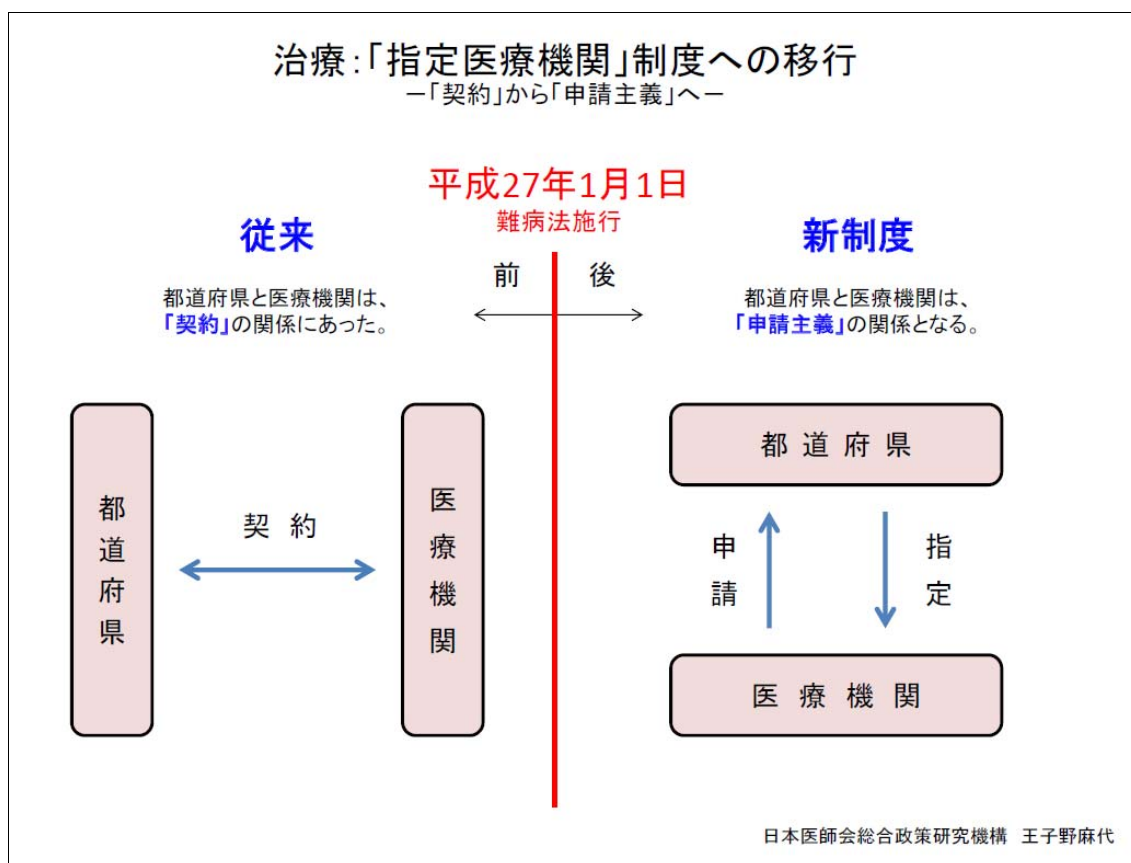


図9 「指定医療機関」制度への移行（筆者作成）

²⁶ 特定医療は、指定難病及び当該指定難病に付随して発生する傷病に関する医療のこと（省令）。

²⁷ 厚生労働省見解（平成26年11月10日照会）

(1) 指定医療機関とは

「指定医療機関」とは、厚生労働省令で定めるところにより良質かつ適切な特定医療を行う（法第 16 条、省令第 40 条）ものとして、都道府県によって指定された病院または診療所、薬局、指定訪問看護事業者²⁸、指定居宅サービス事業者²⁹（訪問看護を行う者に限る）や指定介護予防サービス事業者³⁰（介護予防訪問看護を行う者に限る）のことである（法第 14 条第 1 項、政令第 5 条）。

以下、病院と診療所に特化して述べる。

(2) 指定医療機関になるには 一要件と手続き一

① 要件

「指定医療機関」になるには、保険医療機関であり（法第 14 条第 1 項、政令第 5 条）、かつ、欠格要件（参考資料 4）に該当しないこと（法第 14 条第 2 項）が求められる。

ただし、除外要件（参考資料 4）に該当する場合は都道府県の裁量で指定されないこともある³¹（法第 14 条第 3 項）。

② 申請手続き

指定医療機関の指定を受けようとする医療機関の開設者は、指定医療機関指定申請書に必要事項を記入の上役員名簿を添えて、当該医療機関の所在する都道府県への申請が必要である（法第 14 条第 1 項、省令第 35 条、課長通知 1121 第 2 号）。

申請書の届出後、都道府県において所要の審査が行われ、審査結果の通知が速やかに申請者に通知される（課長通知 1121 第 2 号）。

²⁸ 健康保健法第 88 条第 1 項に規定する指定訪問看護事業者（政令第 5 条第 1 号）

²⁹ 介護保健法第 41 条第 1 項に規定する指定居宅サービス事業者（同法第 8 条第 4 項に規定する訪問看護を行う者に限る）（政令第 5 条第 2 号）

³⁰ 介護保健法第 53 条第 1 項に規定する指定介護予防サービス事業者（同法第 8 条の 2 第 4 項に規定する介護予防訪問看護を行う者に限る）（政令第 5 条第 2 号）

³¹ 欠格要件に該当する場合は指定の禁止（法第 14 条第 2 項）、除外要件に該当する場合は都道府県の裁量により指定されないことがある（法第 14 条第 3 項）。

(3) 指定医療機関になったら ー指定の効果ー

① 責務等

「指定医療機関」は、指定特定医療を提供するに当っては、支給認定を受けた指定難病の患者の療養生活の質の維持向上を図るため、健康保険の診療方針の例によるほか、「指定医療機関療養担当規程（参考資料5）」により良質かつ適切な医療を提供しなければならない（法第16条・第17条、省令第40条、告示第437号）。

② 自己負担上限額管理票への記入

特定医療費の受給者については、所得により月々の自己負担限度月額が定められている。厚生労働省は、病院や薬局等2箇所以上の指定医療機関を利用する場合を考慮し、自己負担上限額の管理を行うこととした。

これにより、指定医療機関では、患者が持参する「自己負担上限額管理票（参考資料6）」に、当該指定医療機関における医療費の自己負担額や自己負担累積額等を記入することが求められる。自己負担累積額が自己負担限度月額まで達した場合は、その月においてそれ以上の自己負担がなくなる。すなわち、指定医療機関は患者に自己負担を請求することなく、要した医療費を請求することとなる。

③ 更新 ー6年ごとー

「指定医療機関」の指定は、6年ごとにその更新を受けなければ、その期間の経過によって、指定の効力を失う（法第15条1項）。更新にあたっては、「指定医療機関指定更新申請書」を都道府県に提出しなければならない（課長通知1121第2号）。ただし、指定を受けた日からおおむね引き続き、開設者である保険医・保険薬剤師又はその家族等のみが診療・調剤に従事している場合は、6年間の指定の効力を失う日前6ヶ月から同日前3ヶ月までの間に別段の申出がないときは申請したものとみなされるため³²（自動更新）、更新手続きは不要である。

申請書の届出後、都道府県において所要の審査が行われ、審査結果の通知が速やかに申請者に通知される（課長通知1121第2号）。

³² 厚生労働省見解（平成27年1月21日照会）

④ 変更

「指定医療機関」は、当該指定医療機関の名称及び所在地、開設者の住所・氏名または名称、保険医療機関である旨、標榜している診療科名、役員の氏名および職名等申請書に記載すべき事項³³に変更があったとき、当該医療機関の業務を休止・廃止・再開したとき又は医療法等³⁴に基づき当該医療機関に係る処分（病院等の開設許可の取消し等）を受けたときは、「指定医療機関変更届出書」を速やかに都道府県に提出しなければならない（法第 19 条、省令第 41 条・第 42 条・第 43 条、課長通知 1121 第 2 号）。

- ・ 当該指定医療機関の名称及び所在地
- ・ 開設者の住所、氏名または名称
- ・ 保険医療機関である旨
- ・ 標榜している診療科名
- ・ 役員の氏名および職名 等

⑤ 辞退

「指定医療機関」は、1 ヶ月以上の予告期間を設けて、指定医療機関の指定を辞退することができる（法第 20 条）。辞退をするときは、その旨を当該指定医療機関の所在する都道府県に「辞退届」を申し出る必要がある（省令第 44 条）。

⑥ 医療機関名等の公示

「指定医療機関」の指定（法第 24 条第 1 号）、更新（課長通知 1121 第 2 号）、変更（法第 24 条第 2 号）、辞退（同法第 3 号）、取消し（同法第 4 号）があったとき、その旨都道府県により公示される（法第 24 条）。

³³ 病院や診療所は省令第 35 条第 1 項（第 1 号と第 5 号除く）、薬局は同条第 2 項各号（第 1 号と第 4 号除く）、指定訪問看護事業者等は同条第 3 項各号（第 1 号と第 4 号除く）。

³⁴ 医療法第 24 条・第 28 条・第 29 条、健康保険法第 95 条、介護保険法第 77 条第 1 項、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律第 72 条第 4 項・第 75 条第 1 項。

⑦ 都道府県知事の指導

「指定医療機関」は、特定医療の実施に関し、都道府県知事の指導を受けなければならない（法第 18 条）。

⑧ 都道府県への「報告等」

都道府県知事が必要と認めるとき、都道府県は指定医療機関の開設者等に対し報告や診療録、帳簿書類等の提出や提示を命じ、出頭を求め、又は職員や関係者に対し質問させ、診療録、帳簿等につき検査をする（法第 21 条第 1 項）。正当な理由なく、命ぜられた報告や提出、提示に従わず、若しくは虚偽の報告をし、又は同検査を拒み、妨げ、忌避したときは、都道府県によって特定医療費の支払いを一時差し止められることもある（法第 21 条 4 項）。

⑨ 都道府県による「勧告、命令等」

都道府県は、「指定医療機関」が健康保険の診療方針に沿って（法第 17 条第 1 項、第 2 項）良質かつ適切な特定医療を実施（法第 16 条）していないと認めるときは、都道府県によって期限を定めた勧告（法第 22 条 1 項）、勧告に従わない場合にその旨の公表（法第 22 条 2 項）、期限を定めた措置命令が下される（法第 22 条 3 項）。当該命令は、都道府県によってその旨公示される（法第 22 条 4 項）。

⑩ 都道府県による「指定医療機関」の取消し等

都道府県知事は、次の各号のいずれかに該当する場合においては、当該指定医療機関に係る指定を取消し、又は期間を定めてその指定の全部若しくは一部の効力を停止することができる（法第 23 条）。

- 1) 指定医療機関が、欠陥要件（参考資料 4 参照）の(1)(2)(8)(9)のいずれかに該当するに至ったとき。
- 2) 指定医療機関が、除外要件（参考資料 4 参照）のいずれかに該当するに至ったとき。
- 3) 指定医療機関が、その責務（法第 16 条）又は診療方針（法第 17 条）の規定に違反したとき。
- 4) 特定医療費の請求に関し不正があったとき。

- 5) 指定医療機関が、報告若しくは診療録、帳簿書類その他の物件の提出若しくは提示（法第 21 条第 1 項）を命ぜられてこれに従わず、又は虚偽の報告をしたとき。
- 6) 指定医療機関の開設者又は従業員が、出頭（法第 21 条第 1 項）を求められてこれに応ぜず、同項の規定による質問に対して答弁せず、若しくは虚偽の答弁をし、又は同項の規定による検査を拒み、妨げ、若しくは忌避したとき。ただし、指定医療機関の従業員がその行為をした場合において、その行為を防止するため、指定医療機関の開設者が相当の注意及び監督を尽くしたときを除く。
- 7) 指定医療機関が、不正の手段により指定医療機関の指定を受けたとき。
- 8) 前記 1-7 に掲げる場合のほか、指定医療機関が、難病の患者に対する医療等に関する法律その他国民の保健医療に関する法律³⁵又はこれらの法律に基づく命令若しくは処分に違反したとき。
- 9) 前記 1-8 に掲げる場合のほか、指定医療機関が、特定医療に関し不正又は著しく不当な行為をしたとき。
- 10) 指定医療機関が法人である場合において、その役員等のうちに指定医療機関の指定の取消し又は指定の全部若しくは一部の効力の停止をしようとするとき前 5 年以内に特定医療に関し不正又は著しく不当な行為をした者があるに至ったとき。
- 11) 指定医療機関が法人でない場合において、その管理者が指定医療機関の指定の取消し又は指定の全部若しくは一部の効力の停止をしようとするとき前 5 年以内に特定医療に関し不正又は著しく不当な行為をした者があるに至ったとき。

³⁵ 健康保険法、身体障害者福祉法（昭和 24 年法律第 283 号）、児童福祉法、医師法（昭和 23 年法律第 201 号）、歯科医師法（昭和 23 年法律第 202 号）、保健師助産師看護師法（昭和 23 年法律第 203 号）、医療法（昭和 23 年法律第 205 号）、精神保健及び精神障害者福祉に関する法律（昭和 25 年法律第 123 号）、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号）、薬剤師法（昭和 35 年法律第 146 号）、介護保険法、障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律（平成 17 年法律第 123 号）、再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号）（政令第 6 条・第 7 条）

⑪ 罰則

厚生労働大臣は、特定医療費の支給に関して緊急の必要があると認めるときは、当該都道府県の知事と密接な連携の下に、特定医療費を行った者やその使用者に対し、その行った特定医療に関し、報告若しくは当該特定医療の提供の記録、帳簿書類その他の物件の提出若しくは提示を命じ、又は当該職員に関係者に対し質問させることができる（法第36条2項）。第36条第2項の規定による報告若しくは物件の提出若しくは提示をせず、若しくは虚偽の報告若しくは虚偽の物件の提出若しくは提示をし、又は同項の規定による当該職員の質問に対して、答弁せず、若しくは虚偽の答弁をした者は、10万円以下の過料に処する（法第46条）とされている。

⑫ 難病患者と医療機関との関係 — 特定医療費の支給可否 —

患者が難病の治療（特定医療）を受ける指定医療機関は、医療機関との適切な治療関係の構築や質の高い医療の継続的な提供の観点から、患者の申し出により、都道府県によってあらかじめ指定医療機関の中から個々の患者ごとに選定されている³⁶（法第7条第3項、省令第24条）（以下、「選定医療機関」という）。

すなわち、患者からみると、「①（特定医療費受給者証に記載された）選定医療機関」、「② ①以外の指定医療機関」、「③いずれでもない保険医療機関」の3つが存在することになる。

①から③までの3者は、その医療機関における難病の治療（特定医療）が都道府県による支給対象となるか否かの相違がある（表9）。「①（特定医療費受給者証に記載された）選定医療機関」における難病の治療（特定医療）は、都道府県の支給対象となる。

「② ①以外の指定医療機関」における難病の治療（特定医療）は、緊急その他やむを得ない場合に支給が認められる。「③いずれでもない医療機関」における難病の治療（特定医療）は、支給対象とはならない³⁷。

表9 指定医療機関に対する支給可否（筆者作成）

難病患者が…	支給の可否
① 特定医療費受給者証に記載された、「選定医療機関」を受診した場合	当該指定医療機関への支給可
② ①以外の「指定医療機関」を受診した場合	緊急その他やむを得ない場合は、当該指定医療機関への支給可
③ ①・②以外の医療機関を受診した場合	特定医療費の支給不可

³⁶ 法第7条第3項「都道府県は、厚生労働省令で定めるところにより、指定医療機関の中から、当該支給認定を受けた指定難病の患者が特定医療を受けるものを定めるものとする」

³⁷ 厚生労働省見解（平成27年1月21日）

3. 療養生活支援 — 療養上の相談・訪問看護 —

難病患者に対する療養生活の支援については、従来行われてきたいくつかの事業が法制化され、今後も継続される³⁸（法第 28 条：療養生活環境整備事業、法第 32 条：地域協議会は旧難病患者地域支援対策推進事業）。

以下には、その代表的なものとして、「難病相談支援センターにおける相談事業」と「訪問看護事業」についてとりあげた。

難病患者の療養生活の質の維持向上のため、医師には、患者がこのようなサービスにアクセスできるよう橋渡しとしての役割が期待されている（法第 28 条第 3 項）。

（1）療養生活上の「相談」 — 難病相談支援センター —

難病患者の療養生活の質の維持向上を支援するため、全国に「難病相談支援センター（法第 29 条）」が 72 箇所（※）設置されている（平成 25 年度末現在）。このセンターでは、難病患者の療養生活に関する各般の問題につき難病患者及びその家族その他関係者からの相談に応じ、必要な情報の提供や助言並びに相談及び指導その他の難病患者及びその家族に必要な支援を行っている（法第 28 条第 1 項 1 号、省令第 46 条）。

* 「都道府県難病相談・支援センター一覧」 難病情報センターホームページ URL 参照

<http://www.nanbyou.or.jp/entry/1361>

（2）訪問看護

適切な医療の確保の観点から定められた以下 3 つの基準（省令第 47 条）に照らして、訪問看護³⁹を受けることが必要と認められる難病の患者に対して、訪問看護を行うことができる（法第 28 条第 1 項 3 号）。

³⁸ 従来の「神経難病患者在宅医療支援事業」は、指定難病のうち神経難病のみを対象とした事業であったため、当該事業の対象とならない疾病との公平性の観点から法定化の対象には至らなかった（厚生労働省見解（平成 27 年 1 月 21 日照会））。

³⁹ 「訪問看護」とは、「難病の患者に対し、その者の居宅において看護師その他厚生労働省令で定める者（保健師、助産師、准看護師、理学療法士、作業療養士、言語聴覚士：省令第 48 条）により行われる療養上の世話又は必要な診療の補助」をいう。

これは、従来の在宅人工呼吸器使用特定疾患患者訪問看護治療研究事業を法定化したものである⁴⁰。

【訪問看護事業の3つの基準】

- ①病状が安定し、又はこれに準ずる状態にあり、かつ、居宅において看護師等⁴¹が行う療養上の世話及び必要な診療の補助を要すること
- ②指定難病の患者であること
- ③指定難病を主たる要因として在宅で人工呼吸器を使用していること

⁴⁰ 厚生労働省見解（平成27年1月21日照会）

⁴¹ 「看護師等」とは、「看護師その他保健師、助産師、准看護師、理学療法士、作業療養士、言語聴覚士」（省令第48条）。

おわりに

本稿では、平成 27 年 1 月施行の難病法に基づく新制度の概況を明らかにした。

新制度開始から丸一ヶ月が経過し、既に、地域医療の現場ではいくつかの問題が浮上している。特に、診断書（臨床調査個人票）や自己負担上限額管理票の煩雑さに対して改善を求める声は大きい。以下にあげた事項に対して危惧する声がある。このような顕在化した問題意識に対しては、その判断や対処を全面的に都道府県の裁量に一任するのではなく、国において早急に改善策を検討して見解を提示することが求められる。

さらに今後、時間経過や社会情勢の変化等によって顕在化する将来的な問題に対しては、難病対策委員会等において、地域医療の現場に立脚した問題点の抽出を行うとともに、定期的かつ継続的に制度の見直しを行うことが重要であると考え。これに伴い、制度に新規または変更などの見直しが生じた場合には、十分な周知期間を確保した上で、患者や医師、都道府県等の関係者（関係団体）に対して丁寧な説明を行う配慮も不可欠といえる。

（１）かかりつけ医と患者間の信頼関係への配慮

難病患者の診断は、都道府県が指定した「指定医」のみに限定されるということとなった。厚生労働省は、「指定医」以外の医師が作成した診断書は原則無効とする見解を示している（31 ページ参照）。

この見解に従うと、患者にとって負担が生じるのみならず、医療の質を低下させてしまう可能性があるのではないか。そもそも「指定医」制度の趣旨は、早期かつ正確な診断および治療方針の決定を図る点にある。かかりつけ医は、既に趣旨に則った対応力を有しているのみならず、患者との信頼関係の下、診断・治療・ケアまで地域の中で包括的かつ連続的な医療を提供している。これは、長期療養を要する難病患者にとって、医療の質に関わる重要なものであると解する。

したがって、「指定医」以外の診断書であった場合でも、形式的な判断によって一律に排除するのではなく、前述のような実質的な判断の下で逆指定を認め、かかりつけ医と患者との間の信頼関係に配慮した制度運用が重要となると考える。

(2) 医療現場の負担軽減

地域医療の現場では、診断書（臨床調査個人票）についてはその簡素化を、自己負担上限額管理票についてはその煩雑さから、早急な改善策の提示を求める声がある。

(3) 地域の実情に応じた柔軟な運用

新制度では対象疾病がおよそ倍に拡大し、今夏にはさらに約 300 疾病にまで増える予定であり、その運用にあたってはこれまで以上に都道府県や地域の医師の負担が増幅すると思われる。たとえば、指定難病審査会は都道府県ごとに設置し（法第 8 条）、指定医で構成することとされているが、専門医が少ない都道府県では県内で審査を完結することが困難と推測する。そこで、近隣県と連携して広域的な審査体制とするなど地域の実情に応じた柔軟な運用ができるような体制づくりの検討が必要であると考えている。

謝 辞

本ワーキングペーパーの執筆にあたり、資料提供や見解の提示にご協力いただきました厚生労働省健康局疾病対策課の皆様、かかりつけ医でもあり専門医でもある立場から難病患者に対する医療の現状をお話くださいました八女筑後医師会の大橋輝明理事（日本整形外科学会専門医）、かかりつけ医のお立場から難病患者に対する医療の現状をお話くださいました福岡県医師会の寺澤正壽常任理事、若松区医師会の山内孝監事、関連する情報や資料をご提供くださいました国立保健医療科学院健康危機管理研究部の金谷泰宏部長、大局的な見地から地域医療の現場と制度的調整についてご指南くださった日本医師会の横倉義武会長、道永麻里常任理事、石井正三常任理事、石川広己常任理事、小森貴常任理事、日医総研の澤倫太郎研究部長、佐藤敏信主席研究員、さらに統括部長の尾崎孝良弁護士には関係法令等の読み込みにあたりリーガルアドバイスもいただきました。厚生労働省との実務的な調整や情報提供いただいた日本医師会地域医療第三課の皆様へ心より感謝申し上げます。

This page intentionally left blank.

参 考 資 料

This page intentionally left blank.

参考資料 1. 指定難病の「対象疾病」一覧（平成 27 年 1 月 1 日現在）

50音順。囲みは、平成27年1月に新規追加された疾病。

厚生労働省よりの情報をもとに筆者作成

	指定難病	cf.小児慢性特定疾病
あ	1 IgA 腎症	○ ※1
	2 亜急性硬化性全脳炎	○ ※2
	3 悪性関節リウマチ	
	4 アジソン病	○ ※3
	5 ウルリッヒ病	○ ※4
	6 HTLV-1関連脊髄症	
	7 遠位型ミオパチー	
か	8 黄色靭帯骨化症	
	9 潰瘍性大腸炎	○ ※5
	10 下垂体性ADH分泌異常症	○ ※6
	11 下垂体性ゴナドトロピン分泌亢進症	○ ※7
	12 下垂体性成長ホルモン分泌亢進症	○ ※8
	13 下垂体性TSH分泌亢進症	○ ※9
	14 下垂体性PRL分泌亢進症	○ ※10
	15 下垂体前葉機能低下症	○ ※11
	16 家族性高コレステロール血症(ホモ接合体)	○ ※12
	17 球脊髄性筋萎縮症	
	18 巨細胞性動脈炎	
	19 巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症	○ ※13
	20 筋萎縮性側索硬化症	
	21 クッシング病	○ ※14
	22 クリオピリン関連周期熱症候群	○ ※15
	23 クロウ・深瀬症候群	
	24 クローン病	○ ※16
	25 結節性多発動脈炎	○ ※17
	26 血栓性血小板減少性紫斑病	○ ※18
	27 原発性硬化性胆管炎	○ ※19
	28 原発性抗リン脂質抗体症候群	○ ※20
	29 原発性側索硬化症	
	30 原発性胆汁性肝硬変	○ ※21
	31 原発性免疫不全症候群	○ ※22
	32 顕微鏡的多発血管炎	○ ※23
	33 好酸球性消化管疾患	
	34 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	○ ※24
	35 後縦靭帯骨化症	
	36 甲状腺ホルモン不応症	○ ※25
	37 拘束型心筋症	○ ※26
	38 広範脊柱管狭窄症	
	39 コステロ症候群	○ ※27
	40 混合性結合組織病	○ ※28
さ	41 再生不良性貧血	○ ※29
	42 再発性多発軟骨炎	○ ※30
	43 サルコイドーシス	
	44 CFC症候群	○ ※31
	45 シェーグレン症候群	○ ※32
	46 自己貪食空胞性ミオパチー	○ ※33
	47 自己免疫性肝炎	○ ※34
	48 自己免疫性溶血性貧血	○ ※35
	49 シャルコー・マリー・トゥース病	○ ※36
	50 重症筋無力症	○ ※37
	51 シュワルツ・ヤンベル症候群	○ ※38
	52 神経線維腫症	○ ※39
	53 神経有棘赤血球症	
	54 進行性核上性麻痺	
	55 進行性多巣性白質脳症	

50音順。囲みは、平成27年1月に新規追加された疾病。

厚生労働省よりの情報をもとに筆者作成

	指定難病	cf.小児慢性特定疾病
	56 スティーヴンス・ジョンソン症候群	○ ※40
	57 成人ステル病	
	58 脊髄小脳変性症(多系統萎縮症を除く。)	○ ※41
	59 脊髄性筋萎縮症	○ ※42
	60 全身型若年性特発性関節炎	○ ※43
	61 全身性アミロイドーシス	○ ※44
	62 全身性エリテマトーデス	○ ※45
	63 全身性強皮症	○ ※46
	64 先天性筋無力症候群	
	65 先天性副腎低形成症	○ ※47
	66 先天性副腎皮質酵素欠損症	○ ※48
た	67 大脳皮質基底核変性症	
	68 高安動脈炎	○ ※49
	69 多系統萎縮症	
	70 多発血管炎性肉芽腫症	○ ※50
	71 多発性硬化症／視神経脊髄炎	○ ※51
	72 多発性嚢胞腎	○ ※52
	73 チャージ症候群	○ ※53
	74 中毒性表皮壊死症	
	75 腸管神経節細胞僅少症	○ ※54
	76 TNF受容体関連周期性症候群	○ ※55
	77 天疱瘡	
	78 特発性拡張型心筋症	○ ※56
	79 特発性間質性肺炎	○ ※57
	80 特発性基底核石灰化症	
	81 特発性血小板減少性紫斑病	○ ※58
	82 特発性大腿骨頭壊死症	
	83 特発性門脈圧亢進症	○ ※59
な	84 膿疱性乾癬(汎発型)	○ ※60
	85 パーキンソン病	
	86 パージャール病	
	87 肺静脈閉塞症／肺毛細血管腫症	
	88 肺動脈性肺高血圧症	○ ※61
	89 バッド・キアリー症候群	○ ※62
	90 ハンチントン病	
	91 肥大型心筋症	○ ※63
	92 非典型溶血性尿毒症症候群	○ ※64
	93 皮膚筋炎／多発性筋炎	○ ※65
	94 表皮水疱症	○ ※66
	95 封入体筋炎	
	96 副腎白質ジストロフィー	○ ※67
	97 フラウ症候群	○ ※68
	98 プリオン病	
	99 ベーチェット病	○ ※69
	100 ベスレムミオパチー	○ ※70
	101 発作性夜間ヘモグロビン尿症	○ ※71
ま	102 慢性炎症性脱髄性多発神経炎／多巣性運動ニューロパチー	○ ※72
	103 慢性血栓性肺高血圧症	
	104 慢性特発性偽性腸閉塞症	○ ※73
	105 ミトコンドリア病	○ ※74
	106 網膜色素変性症	
	107 もやもや病	○ ※75
ら	108 ライソゾーム病	○ ※76
	109 リンパ脈管筋腫症	
	110 ルビンシュタイン・テイビ症候群	○ ※77

参考資料 1 の表中「Cf. 小児慢性特定疾病」に該当するものの脚注

- ※1 IgA 腎症
- ※2 亜急性硬化性全脳炎
- ※3 副腎皮質刺激ホルモン (ACTH) 単独欠損症、ACTH 不応症、先天性副腎低形成症、グルココルチコイド抵抗症、左に掲げるもののほか慢性副腎皮質機能低下症 (アジソン病を含む。)
- ※4 ウルリヒ型先天性筋ジストロフィー (類縁疾患を含む。)
- ※5 潰瘍性大腸炎
- ※6 抗利尿ホルモン (ADH) 不適合分泌症候群、中枢性尿崩症
- ※7 ゴナドトロピン依存性思春期早発症、下垂体腺腫、頭蓋咽頭腫
- ※8 下垂体性巨人症、先端巨大症、下垂体腺腫、頭蓋咽頭腫
- ※9 下垂体腺腫、頭蓋咽頭腫
- ※10 高プロラクチン血症、下垂体腺腫、頭蓋咽頭腫
- ※11 先天性下垂体機能低下症、後天性下垂体機能低下症、カルマン症候群、低ゴナドトロピン性性腺機能低下症 (カルマン症候群を除く。)
- ※12 家族性高コレステロール血症
- ※13 巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症
- ※14 クッシング病、下垂体腺腫、頭蓋咽頭腫
- ※15 クリオピリン関連周期熱症候群
- ※16 クローン病
- ※17 結節性多発動脈炎
- ※18 血栓性血小板減少性紫斑病
- ※19 原発性硬化性胆管炎
- ※20 抗リン脂質体症候群
- ※21 肝硬変症
- ※22 52 疾病 (部分的に一致する疾病も対応表に示している)
- ※23 顕微鏡的多発血管炎、急速進行性糸球体腎炎 (顕微鏡的多発血管炎によるものに限る。)
- ※24 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症
- ※25 甲状腺ホルモン不応症
- ※26 拘束型心筋症
- ※27 コステロ症候群
- ※28 混合性結合組織病
- ※29 再生不良性貧血
- ※30 再発性多発軟骨炎
- ※31 CFC 症候群
- ※32 シェーグレン症候群
- ※33 ムコ多糖症 I 型、II 型、III 型、IV 型、VI 型、VII 型、フコシドーシス、マンノシドーシス、アスパルチルグルコサミン尿症、シアリドーシス、ガラクトシアリドーシス、GM1-ガングリオシドーシス、GM2-ガングリオシドーシス、異染性白質ジストロフィー、ニーマン・ピック病、ゴーシェ病、ファブリー病、クラッペ病、ファーバー病、マルチプルスルファターゼ欠損症、ムコリピドーシス II 型 (I-cell 病)、ムコリピドーシス III 型、ポンペ病、酸性リパーゼ欠損症、シスチン症、遊離シアル酸蓄積症、神経セロイドリポフスチン症、左に掲げるもののほかライソゾーム病

- ※34 自己免疫性肝炎
- ※35 寒冷凝集素症、発作性寒冷ヘモグロビン尿症、左に掲げるもののほか自己免疫性溶血性貧血（AIHAを含む）
- ※36 遺伝性運動感覚ニューロパチー
- ※37 重症筋無力症
- ※38 シュワルツ・ヤンペル症候群
- ※39 レックリングハウゼン病（神経線維腫症Ⅰ型）
- ※40 スティーヴンス・ジョンソン症候群
- ※41 脊髄小脳変性症
- ※42 脊髄性筋萎縮症
- ※43 若年性特発性関節炎
- ※44 アミロイド腎
- ※45 全身性エリテマトーデス、ループス腎炎
- ※46 強皮症
- ※47 先天性副腎低形成症
- ※48 リポイド副腎過形成症、 3β -ヒドロキシステロイド脱水素酵素欠損症、 11β -水酸化酵素欠損症、 17α -水酸化酵素欠損症、 21 -水酸化酵素欠損症、P450 酸化還元酵素欠損症
- ※49 高安動脈炎
- ※50 多発血管炎性肉芽腫症、急速進行性糸球体腎炎（多発血管炎性肉芽腫症によるものに限る。）
- ※51 多発性硬化症
- ※52 多発性嚢胞腎
- ※53 チャーヅ症候群
- ※54 腸管神経節細胞僅少症
- ※55 TNF 受容体関連周期性症候群
- ※56 拡張型心筋症
- ※57 特発性間質性肺炎
- ※58 免疫性血小板減少性紫斑病、左に掲げるもののほか血小板減少性紫斑病
- ※59 門脈圧亢進症（バンチ症候群を含む。）
- ※60 膿疱性乾癬（汎発型）
- ※61 肺動脈性肺高血圧症
- ※62 門脈圧亢進症（バンチ症候群を含む。）
- ※63 肥大型心筋症
- ※64 非典型溶血性尿毒症症候群
- ※65 皮膚筋炎／多発性筋炎
- ※66 表皮水疱症
- ※67 副腎白質ジストロフィー
- ※68 ブラウ症候群 / 若年発症サルコイドーシス
- ※69 ベーチェット病
- ※70 ウルリヒ型先天性筋ジストロフィー（類縁疾患を含む。）
- ※71 発作性夜間ヘモグロビン尿症
- ※72 慢性炎症性脱髄性多発神経炎／多巣性運動ニューロパチー
- ※73 慢性特発性偽性腸閉塞症
- ※74 ピルビン酸脱水素酵素複合体欠損症、ピルビン酸カルボキシラーゼ欠損症、フマラーゼ欠損症、スクシニル-CoA リガーゼ欠損症、ミトコンドリア呼吸鎖複合体

欠損症、ミトコンドリア DNA 枯渇症候群、ミトコンドリア DNA 突然変異（リー（Leigh）症候群、MELAS 及び MERRF を含む。）、ミトコンドリア DNA 欠失（カーンズ・セイヤー症候群を含む。）、左に掲げるもののほかミトコンドリア病

※75 もやもや病

※76 ムコ多糖症 I 型、II 型、III 型、IV 型、VI 型、VII 型、フコシドーシス、マンノシドーシス、アスパルチルグルコサミン尿症、シアリドーシス、ガラクトシアリドーシス、GM1-ガングリオシドーシス、GM2-ガングリオシドーシス、異染性白質ジストロフィー、ニーマン・ピック病、ゴーシェ病、ファブリー病、クラッペ病、ファーバー病、マルチプルスルファターゼ欠損症、ムコリピドーシス II 型（I-cell 病）、ムコリピドーシス III 型、ポンペ病、酸性リパーゼ欠損症、シスチン症、遊離シアル酸蓄積症、神経セロイドリポフスチン症、左に掲げるもののほかライソゾーム病

※77 ルビンシュタイン・テイビ症候群

参考資料 2. 指定難病の 5 要件

(厚生労働省疾病対策部会指定難病検討委員会資料「指定難病の要件について(平成 26 年 10 月 8 日)より)

(1) 「発病の機構が明らかでない」 ことについて

- ① 原因が不明または病態が未解明な疾病が該当するものとする。
- ② 原因遺伝子などが判明している場合であっても病態の解明が不十分な場合は、①に該当するものとする。
- ③ 外傷や薬剤の作用など、特定の外的要因によって疾病が発症することが明確であり、当該要因を回避・予防することにより発症させないことが可能な場合は①に該当しないものとする。
- ④ ウイルス等の感染が原因となって発症する疾病については、原則として①に該当しないものとする。ただし、ウイルス等の感染が契機となって発症するものであって、一般的に知られた感染症状と異なる発症形態を示し、症状が出現する機序が未解明なものなどについては、個別に検討を行うものとする。
- ⑤ 何らかの疾病(原疾患)によって引き起こされることが明らかな二次性の疾病は、原則として①に該当しないものとして、原疾患によってそれぞれ判断を行うものとする。

(2) 「治療方法が確立していない」 ことについて

- 以下のいずれかの場合に該当するものを対象とする。
- ① 治療方法が全くない。
 - ② 対症療法や症状の進行を遅らせる治療方法はあるが、根治のための治療方法はない。
 - ③ 一部の患者で寛解状態を得られることはあるが、継続的な治療が必要。
- 治療を終了することが可能となる標準的な治療方法が存在する場合には、該当しないものとするが、臓器移植を含む移植医療については、機会が限定的であることから現時点では完治することが可能な治療方法には含めないこととする。

(3) 「長期の療養を必要とする」ことについて

- ① 疾病に起因する症状が長期にわたって継続する場合であり、基本的には発症してから治癒することなく生涯にわたり症状が持続もしくは潜在する場合を該当するものとする。
- ② ある一定の期間のみ症状が出現し、その期間が終了した後は症状が出現しないようなもの（急性疾患等）は該当しないものとする。
- ③ 症状が総じて療養を必要としない程度にとどまり、生活面への支障が生じない疾患については、該当しないものとする。

(4) 「患者数が本邦において一定の人数に達しないこと」について

○ 「一定の人数」として示されている「人口の0.1%程度以下」について、以下のよう
に整理する。

- ① 本検討会で議論を行う時点で入手可能な直近の情報に基づいて、計算する。

※本邦の人口は約1.27億人、その0.1%は約12.7万人（「人口推計」（平成26年
1月確定値）（総務省統計局）より）

- ② 当面の間は、0.15%未満を目安とすることとし、具体的には患者数が18万人
（0.142%）未満であった場合には「0.1%程度以下」に該当するものとする。
- ③ この基準の適用に当たっては、上記を参考にしつつ、個別具体的に判断を行う
ものとする。

○ 患者数の取扱いについては、以下のように整理する。

- ① 希少疾患の患者数をより正確に把握するためには、(a)一定の診断基準に基づい
て診断された当該疾患の(b)全国規模の(c)全数調査という3つの要件を満たす
調査が望ましいものとする。

- ② 医療費助成の対象疾患については、上記3つの要件を最も満たし得る調査とし
て、難病患者データベース（仮称）に登録された患者数（※）をもって判断す
るものとする。

※ 医療受給者証保持者数と、医療費助成の対象外だが登録されている者の数の
合計

- ③ 医療費助成の対象疾患ではない場合などは、研究班や学会が収集した各種データを用いて総合的に判断する。当該疾患が指定難病として指定された場合などには、その後、難病患者データベースの登録状況を踏まえ、本要件を満たすかどうか、改めて判断するものとする。

(5) 「診断に関し客観的な指標による一定の基準が定まっていること」について

- ① 血液等の検体検査、画像検査、遺伝子解析検査、生理学的検査、病理検査等の結果とともに、視診、聴診、打診、触診等の理学的所見も、客観的な指標とする。
- ② 「一定の基準」とは、以下に該当するものとする。
- i. 関連学会等（国際的な専門家の会合を含む）による承認を受けた基準や、すでに国際的に使用されている基準等、専門家間で一定の合意が得られているもの。
- ii. iには該当しないものの、専門家間で一定の共通認識があり、客観的な指標により診断されることが明らかなもので、iの合意を得ることを目指しているなどiに相当すると認められるもの。この場合、関連学会等のとりまとめ状況を適宜把握する。

参考資料3. 「指定医」の要件を満たす「専門医資格」一覧

厚生労働省告示第433号

学会名	専門医名
日本内科学会	総合内科専門医
日本小児科学会	小児科専門医
日本皮膚科学会	皮膚科専門医
日本精神神経学会	精神科専門医
日本外科学会	外科専門医
日本整形外科学会	整形外科専門医
日本産科婦人科学会	産婦人科専門医
日本眼科学会	眼科専門医
日本耳鼻咽喉科学会	耳鼻咽喉科専門医
日本泌尿器科学会	泌尿器科専門医
日本脳神経外科学会	脳神経外科専門医
日本医学放射線学会	放射線科専門医
日本麻酔科学会	麻酔科専門医
日本病理学会	病理専門医
日本臨床検査医学会	臨床検査専門医
日本救急医学会	救急科専門医
日本形成外科学会	形成外科専門医
日本リハビリテーション医学会	リハビリテーション科専門医
日本消化器病学会	消化器病専門医
日本循環器学会	循環器専門医
日本呼吸器学会	呼吸器専門医
日本血液学会	血液専門医
日本内分泌学会	内分泌代謝科（内科・小児科・産婦人科）専門医
日本糖尿病学会	糖尿病専門医
日本腎臓学会	腎臓専門医

学会名	専門医名
日本肝臓学会	肝臓専門医
日本アレルギー学会	アレルギー専門医
日本感染症学会	感染症専門医
日本老年医学会	老年病専門医
日本神経学会	神経内科専門医
日本消化器外科学会	消化器外科専門医
日本胸部外科学会	呼吸器外科専門医
日本呼吸器外科学会	
日本胸部外科学会	心臓血管外科専門医
日本心臓血管外科学会	
日本血管外科学会	
日本小児外科学会	小児外科専門医
日本リウマチ学会	リウマチ専門医
日本小児循環器学会	小児循環器専門医
日本小児神経学会	小児神経科専門医
日本小児血液・がん学会	小児血液・がん専門医
日本周産期・新生児医学会	周産期（新生児）専門医
	周産期（母体・胎児）専門医
日本婦人科腫瘍学会	婦人科腫瘍専門医
日本生殖医学会	生殖医療専門医
日本頭頸部外科学会	頭頸部がん専門医
日本放射線腫瘍学会	放射線治療専門医
日本医学放射線学会	
日本医学放射線学会	放射線診断専門医
日本手外科学会	手外科専門医
日本脊髄外科学会	脊椎脊髄外科専門医
日本脊椎脊髄病学会	
日本集中治療医学会	集中治療専門医

参考資料 4. 「指定医療機関」の欠格および除外要件

欠格要件（法第 14 条第 2 項）

都道府県知事は、申請者が次の各号のいずれかに該当するときは、指定医療機関の指定をしてはならない。

- (1) 申請者が、禁錮以上の刑に処せられ、その執行を終わり、又は執行を受けることがなくなるまでの者であるとき。
- (2) 申請者が、難病の患者に対する医療等に関する法律その他国民の保健医療に関する法律⁴²の規定により罰金の刑に処せられ、その執行を終わり、又は執行を受けることがなくなるまでの者であるとき。
- (3) 申請者が、指定医療機関の指定を取り消され（法第 23 条）、その取消しの日から起算して 5 年を経過しない者であるとき。ただし、当該取消しが、指定医療機関の指定の取消しのうち取消しの処分の理由となった事実その他の事実に関して当該指定医療機関の開設者が有していた責任の程度を考慮して、この号本文の規定による指定医療機関の指定の取消しに該当しないとすることが相当であると認められるもの⁴³を除く。

【指定を取り消された者が法人である場合】

当該取消しの処分に係る行政手続法（平成 5 年法律第 88 号）第 15 条の規定による通知があった日前 60 日以内に法人の役員又は医療機関の管理者（以下「役員等」という。）であった者で、取消しの日から起算して 5 年を経過しないものを含む。

【指定を取り消された者が法人でない場合】

当該取消しの処分に係る行政手続法第 15 条の規定による通知があった日前 60 日以内に当該者の管理者であった者で取消しの日から起算して 5 年を経過しないものを含む。

⁴² 児童福祉法、医師法（昭和 23 年法律第 201 号）、歯科医師法（昭和 23 年法律第 202 号）、保健師助産師看護師法（昭和 23 年法律第 203 号）、医療法（昭和 23 年法律第 205 号）、精神保健及び精神障害者福祉に関する法律（昭和 25 年法律第 123 号）、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号）、薬剤師法（昭和 35 年法律第 146 号）、介護保険法、障害者の日常生活及び社会生活を総合的に支援するための法律（平成 17 年法律第 123 号）、再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号）（政令第 6 条）

⁴³ 厚生労働大臣又は都道府県知事が法第 21 条第 1 項その他の規定による報告等の権限を適切に行使し、当該指定の取消しの処分の理由となった事実及び当該事実の発生を防止するための当該指定医療機関による業務管理体制の整備についての取組の状況その他の当該事実に関して当該指定医療機関が有していた責任の程度を確認した結果、当該指定医療機関が当該指定の取消しの理由となった事実について組織的に関与していると認められない場合。

- (4) 申請者が、指定医療機関の指定の取消しの処分に係る行政手続法第 15 条の規定による通知日から処分をする日又は処分をしないことを決定するまでの間に指定医療機関の指定の辞退の申出をした者（指定の辞退について相当の理由がある者を除く。）で、申出の日から起算して 5 年を経過していないものであるとき。
- (5) 申請者が難病の患者に対する医療等に関する法律の規定による検査（法第 21 条第 1 項）が行われた日から聴聞決定予定日までの間に指定医療機関の指定の辞退の申出をした者（指定の辞退について相当の理由がある者を除く。）で、申出の日から起算して 5 年を経過していないものであるとき。聴聞決定予定日は、当該検査の結果に基づき指定の取消処分に係る聴聞を行うか否かの決定をすることが見込まれる日として厚生労働省令で定めるところにより都道府県知事が当該申請者に当該検査が行われた日から 10 日以内に特定の日を通知⁴⁴した場合における当該特定の日をいう。
- (6) (4) に規定する期間内に指定医療機関の指定の辞退の申出があった場合において、申請者が、通知日前 60 日以内にその申出に係る法人（指定の辞退について相当の理由がある者を除く。）の役員等又はその申出に係る法人でない者（当該指定の辞退について相当の理由がある者を除く。）の管理者であった者で、申出の日から起算して 5 年を経過していないものであるとき。
- (7) 申請者が、指定の申請前 5 年以内に特定医療に関し不正又は著しく不当な行為をした者であるとき。
- (8) 申請者が、法人で、その役員等のうちに(1)から(7)までのいずれかに該当する者があるとき。
- (9) 申請者が、法人でない者で、その管理者が(1)から(7)までのいずれかに該当する者であるとき。

⁴⁴ 法第 21 条第 1 項の規定による検査が行われた日から 10 日以内に、当該検査日から起算して 60 日以内の特定の日を通知する（省令第 37 条）。

除外要件（法第 14 条第 3 項）

都道府県知事は、申請者が次の(1)から(4)のいずれかに該当するときは、指定医療機関の指定をしないことができる。

- (1) 当該申請に係る病院、診療所又は薬局が、健康保険法第 63 条第 3 項第 1 号に規定する保険医療機関若しくは保険薬局又は訪問看護ステーション等（省令第 38 条）でないとき。
- (2) 当該申請に係る病院・診療所、薬局又は申請者が、特定医療費の支給に関し診療又は調剤の内容の適切さを欠くおそれがあるとして重ねて都道府県知事による指導（法第 18 条）又は勧告（法第 22 条第 1 項）を受けたものであるとき。
- (3) 申請者が、都道府県知事による命令（法第 22 条第 3 項）に従わないものであるとき。
- (4) (1)から(3)のほか、当該申請に係る病院若しくは診療所又は薬局が、指定医療機関として著しく不相当と認めるものであるとき。

参考資料5. 指定医療機関療養担当規程

(厚生労働省告示第437号)

(指定医療機関の義務)

第一条 難病の患者に対する医療等に関する法律(平成二十六年法律第五十号。以下「法」という。)第五条第一項に規定する指定難病の患者に対し特定医療を行う指定医療機関(同項に規定する指定医療機関をいう。以下同じ。)は、法及び難病の患者に対する医療等に関する法律施行規則第四十条に定めるところによるほか、この規程に定めるところにより、法の規定による特定医療を担当しなければならない。

(診療の拒否の禁止)

第二条 指定医療機関は、指定特定医療を受ける指定難病の患者(以下「受診者」という。)の診療を正当な理由なく拒んではならない。

(診療開始時の注意)

第三条 指定医療機関は、指定難病の患者又はその保護者(法第五条第一項に規定する保護者をいう。)から法第七条第四項に規定する医療受給者証を提示して受診者の診療を求められたときは、その医療受給者証が有効であることを確かめた後でなければ診療をしてはならない。

(診療時間)

第四条 指定医療機関は、自己の定めた診療時間において診療をするほか、受診者が、やむを得ない事情により、その診療時間に診療を受けることができないときは、その者のために便宜な時間を定めて診療をしなければならない。

(診療録)

第五条 指定医療機関は、受診者に関する診療録に健康保険の例によって医療の担当に関し必要な事項を記載しなければならない。

(帳簿)

第六条 指定医療機関は、診療及び診療報酬の請求に関する帳簿及びその他の物件をその完結の日から五年間保存しなければならない。

(通知)

第七条 指定医療機関が受診者について次の各号のいずれかに該当する事実のあることを知った場合には、速やかに、意見を付して医療受給者証を交付した都道府県に通知しなければならない。

- 一 受診者が正当な理由なく、診療に関する指導に従わないとき。
- 二 受診者が詐欺その他不正な手段により診療を受け、又は受けようとしたとき。

(指定訪問看護事業者等に関する特例)

第八条 指定医療機関である健康保険法（大正十一年法律第七十号）第八十八条第一項に規定する指定訪問看護事業者又は介護保険法（平成九年法律第二百二十三号）第四十一条第一項に規定する指定居宅サービス事業者（同法第八条第四項に規定する訪問看護を行う者に限る。）若しくは同法第五十三条第一項に規定する指定介護予防サービス事業者（同法第八条の二第四項に規定する介護予防訪問看護を行う者に限る。）にあつては、第五条中「関する診療録」とあるのは「対する指定訪問看護又は指定居宅サービス（訪問看護に限る。）若しくは指定介護予防サービス（介護予防訪問看護に限る。）の提供に関する諸記録」と、「健康保険の例によって」とあるのは「健康保険又は後期高齢者医療の例によって（指定居宅サービス事業者又は指定介護予防サービス事業者にあつては介護保険の例によって）」と、それぞれ読み替えて適用する。

(薬局に関する特例)

第九条 指定医療機関である薬局にあつては、第五条中「診療録」とあるのは「調剤録」と読み替えて適用する。

参考資料6. 自己負担上限額管理票

(厚生労働省健康局疾病対策課「特定医療費に係る自己負担上限額管理票等の記載方法について(指定医療機関用)」平成26年12月26日より)

別紙様式第3号						
特定医療費(指定難病) 平成〇〇年〇月分 自己負担上限額管理票						
受診者名	厚労 二郎		受給者番号	001123		
月間自己負担上限額 <u>10,000</u> 円						
日付	指定医療機関名	医療費総額(10割分)	自己負担額	自己負担の累積額(月額)	徴収印	
〇月 〇日	〇〇〇病院	10,000円	2,000円	2,000円	(印)	
〇月 〇日	□□薬局	15,000円	3,000円	5,000円	(印)	
〇月 〇日	〇〇〇病院	10,000円	2,000円	7,000円	(印)	
〇月 〇日	□□薬局	10,000円	2,000円	9,000円	(印)	
〇月 〇日	〇〇〇病院	15,000円	1,000円	10,000円	(印)	
〇月 〇日	〇〇〇病院	10,000円				
〇月 〇日	□□薬局	5,000円				
月 日						
月 日						
月 日						
月 日						
月 日						
上記のとおり、当月の自己負担上限額に達しました。						
日付	指定医療機関名					確認印
〇月 〇日	〇〇〇病院					(印)