

難病の患者に対する医療等に関する法律の概要

(目次)

- ・ 難病対策に関する経緯 … 1
- ・ 法律の概要 … 3
- ・ 指定難病の検討 … 5
- ・ 医療費助成制度の概要 … 16
- ・ 基本方針の概要 … 28

厚生労働省 健康局 難病対策課

難病対策に関する経緯

難病対策に関する経緯

平成23年	9月13日	第13回 難病対策委員会 「難病対策の見直し」について審議開始
平成24年	2月17日	社会保障・税一体改革大綱 難病患者の医療費助成について、法制化も視野に入れ、助成対象の希少・難治性疾患の範囲の拡大を含め、より公平・安定的な支援の仕組みの構築を目指す。
平成25年	1月25日	第29回 難病対策委員会 「難病対策の改革について」(提言)
	8月6日	社会保障制度改革国民会議 報告書 難病対策の改革に総合的かつ一体的に取り組む必要があり、医療費助成については、消費税増収分を活用して、将来にわたって持続可能で公平かつ安定的な社会保障給付の制度として位置づけ、対象疾患の拡大や都道府県の超過負担の解消を図るべきである。 ただし、社会保障給付の制度として位置づける以上、対象患者の認定基準の見直しや、類似の制度との均衡を考慮した自己負担の見直し等についても併せて検討することが必要である。
	12月5日	「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(プログラム法)」が第185回国会(臨時会)にて成立 難病等に係る医療費助成の新制度の確立に当たっては、必要な措置を平成26年度を目途に講ずるものとし、このために必要な法律案を平成26年に開会される国会の常会に提出することを目指す。
	12月13日	第35回 難病対策委員会 「難病対策の改革に向けた取組について」(報告書)
平成26年	2月12日	第186回国会(常会)に「難病の患者に対する医療等に関する法律案」を提出
	5月23日	「難病の患者に対する医療等に関する法律」成立(平成26年法律第50号)
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の施行(110疾病について医療費助成を開始)
	7月1日	指定難病に196疾病を追加して医療費助成を実施(指定難病306疾病)
	9月15日	「難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針について」(基本方針)告示
平成28年	10月21日	難病対策委員会「難病の医療提供体制の在り方について」(報告書)取りまとめ
平成29年	4月1日	指定難病に24疾病を追加して医療費助成を実施(指定難病330疾病)

法律の概要

難病の患者に対する医療等に関する法律(平成26年5月23日成立)

趣旨

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に基づく措置として、難病の患者に対する医療費助成(注)に関して、法定化によりその費用に消費税の収入を充てることができるようにするなど、公平かつ安定的な制度を確立するほか、基本方針の策定、調査及び研究の推進、療養生活環境整備事業の実施等の措置を講ずる。

(注)これまでは法律に基づかない予算事業(特定疾患治療研究事業)として実施していた。

概要

(1) 基本方針の策定

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

(2) 難病に係る新たな公平かつ安定的な医療費助成の制度の確立

- 都道府県知事は、申請に基づき、医療費助成の対象難病(指定難病)の患者に対して、医療費を支給。
- 指定難病に係る医療を実施する医療機関を、都道府県知事が指定。
- 支給認定の申請に添付する診断書は、指定医が作成。
- 都道府県は、申請があつた場合に支給認定をしないときは、指定難病審査会に審査を求めなければならない。
- 医療費の支給に要する費用は都道府県が支払い、国は、その2分の1を負担。

(3) 難病の医療に関する調査及び研究の推進

- 国は、難病の発病の機構、診断及び治療方法に関する調査及び研究を推進。

(4) 療養生活環境整備事業の実施

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

施行期日

平成27年1月1日

※児童福祉法の一部を改正する法律(小児慢性特定疾病の患児に対する医療費助成の法定化)と同日

指定難病の検討

難病の定義

難病

- 発病の機構が明らかでなく
- 治療方法が確立していない
- 希少な疾病であって
- 長期の療養を必要とするもの

患者数等による限定は行わず、他の施策体系が樹立されていない疾病を幅広く対象とし、調査研究・患者支援を推進

例:悪性腫瘍は、がん対策基本法において体系的な施策の対象となっている

指定難病

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で、以下の要件の全てを満たすものを、厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定

- 患者数が本邦において一定の人数^(注)に達しないこと
- 客観的な診断基準(又はそれに準ずるもの)が確立していること

(注)人口のおおむね千分の一(0.1%)程度に相当する数と厚生労働省令において規定している。

医療費助成の対象

指定難病の拡充について

平成26年7月28日 指定難病検討委員会の開催

56疾病

旧事業(特定疾患治療
研究事業)の対象疾病

10月 第一次実施分指定難病告示

平成27年 1月 1日 医療費助成を開始(第一次実施分)

110疾病

1月23日 指定難病検討委員会の再開(第二次実施分)

7月 医療費助成を開始(第二次実施分)

306疾病

追加 196疾病増

平成28年 3月 25日 指定難病検討委員会の再開(第三次実施分)

330疾病

追加 24疾病
※要件を満たすとされた疾病は38疾病
だが、整理により、告示上は24疾患となる。

平成29年4月 1日 医療費助成を開始(第三次実施分)

第一次実施分 指定難病(平成26年10月21日厚生労働省告示第393号)1/2

番号	病名	備考
1	球脊髄性筋萎縮症	特定疾患
2	筋萎縮性側索硬化症	特定疾患
3	脊髄性筋萎縮症	特定疾患
4	原発性側索硬化症	
5	進行性核上性麻痺	特定疾患
6	パーキンソン病	特定疾患
7	大脳皮質基底核変性症	特定疾患
8	ハンチントン病	特定疾患
9	神経有棘赤血球症	
10	シャルコー・マリー・トゥース病	
11	重症筋無力症	特定疾患
12	先天性筋無力症候群	
13	多発性硬化症／視神経脊髄炎	特定疾患
14	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	特定疾患
15	封入体筋炎	
16	クローウ・深瀬症候群	
17	多系統萎縮症	特定疾患
18	脊髄小脳変性症 (多系統萎縮症を除く。)	特定疾患
19	ライソゾーム病	特定疾患
20	副腎白質ジストロフィー	特定疾患

番号	病名	備考
21	ミトコンドリア病	特定疾患
22	もやもや病	特定疾患
23	プリオン病	特定疾患
24	亜急性硬化性全脳炎	特定疾患
25	進行性多巣性白質脳症	
26	HTLV-1関連脊髄症	
27	特発性基底核石灰化症	
28	全身性アミロイドーシス	特定疾患
29	ウルリッヒ病	
30	遠位型ミオパチー	
31	ベスレムミオパチー	
32	自己貪食空胞性ミオパチー	
33	シュワルツ・ヤンペル症候群	
34	神経線維腫症	特定疾患
35	天疱瘡	特定疾患
36	表皮水疱症	特定疾患
37	膿疱性乾癬(汎発型)	特定疾患
38	スティーヴンス・ジョンソン症候群	特定疾患
39	中毒性表皮壊死症	特定疾患
40	高安動脈炎	特定疾患

番号	病名	備考
41	巨細胞性動脈炎	
42	結節性多発動脈炎	特定疾患
43	顕微鏡的多発血管炎	特定疾患
44	多発血管炎性肉芽腫症	特定疾患
45	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	
46	悪性関節リウマチ	特定疾患
47	バージャー病	特定疾患
48	原発性抗リン脂質抗体症候群	
49	全身性エリテマトーデス	特定疾患
50	皮膚筋炎／多発性筋炎	特定疾患
51	全身性強皮症	特定疾患
52	混合性結合組織病	特定疾患
53	シェーグレン症候群	
54	成人スチル病	
55	再発性多発軟骨炎	
56	ベーチェット病	特定疾患
57	特発性拡張型心筋症	特定疾患
58	肥大型心筋症	特定疾患
59	拘束型心筋症	特定疾患
60	再生不良性貧血	特定疾患

※ 備考に「特定疾患」と記載のあるものは、旧事業（特定疾患治療研究事業）において医療費助成の対象（56疾病）となっていた疾病。

第一次実施分 指定難病(平成26年10月21日厚生労働省告示第393号) 2/2

番号	病名	備考
61	自己免疫性溶血性貧血	
62	発作性夜間ヘモグロビン尿症	
63	特発性血小板減少性紫斑病	特定疾患
64	血栓性血小板減少性紫斑病	
65	原発性免疫不全症候群	特定疾患
66	IgA 腎症	
67	多発性嚢胞腎	
68	黄色靱帯骨化症	特定疾患
69	後縦靱帯骨化症	特定疾患
70	広範脊柱管狭窄症	特定疾患
71	特発性大腿骨頭壊死症	特定疾患
72	下垂体性ADH分泌異常症	特定疾患
73	下垂体性TSH分泌亢進症	特定疾患
74	下垂体性PRL分泌亢進症	特定疾患
75	クッシング病	特定疾患
76	下垂体性ゴナドトロピン分泌亢進症	特定疾患
77	下垂体性成長ホルモン分泌亢進症	特定疾患
78	下垂体前葉機能低下症	特定疾患
79	家族性高コレステロール血症 (ホモ接合体)	特定疾患
80	甲状腺ホルモン不応症	

番号	病名	備考
81	先天性副腎皮質酵素欠損症	
82	先天性副腎低形成症	
83	アジソン病	
84	サルコイドーシス	特定疾患
85	特発性間質性肺炎	特定疾患
86	肺動脈性肺高血圧症	特定疾患
87	肺静脈閉塞症／肺毛細血管腫症	特定疾患
88	慢性血栓塞栓性肺高血圧症	特定疾患
89	リンパ脈管筋腫症	特定疾患
90	網膜色素変性症	特定疾患
91	バッド・キアリ症候群	特定疾患
92	特発性門脈圧亢進症	
93	原発性胆汁性胆管炎 (注)	特定疾患
94	原発性硬化性胆管炎	
95	自己免疫性肝炎	
96	クローン病	特定疾患
97	潰瘍性大腸炎	特定疾患
98	好酸球性消化管疾患	
99	慢性特発性偽性腸閉塞症	
100	巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症	

番号	病名	備考
101	腸管神経節細胞僅少症	
102	ルビンシュタイン・テイビ症候群	
103	CFC症候群	
104	コステロ症候群	
105	チャージ症候群	
106	クリオピリン関連周期熱症候群	
107	全身型若年性特発性関節炎	
108	TNF受容体関連周期性症候群	
109	非典型溶血性尿毒症症候群	
110	ブラウ症候群	

計 110疾病

※ 備考に「特定疾患」と記載のあるものは、旧事業（特定疾患治療研究事業）において医療費助成の対象（56疾病）となっていた疾病。

(注) 平成29年●月●日厚生労働省告示●●号により疾病名変更。

疾病名対比表

疾病番号	特定疾患 (旧事業)	指定難病
1	ベーチェット病	ベーチェット病
2	多発性硬化症	多発性硬化症／視神経脊髄炎
3	重症筋無力症	重症筋無力症
4	全身性エリテマトーデス	全身性エリテマトーデス
5	スモン	—
6	再生不良性貧血	再生不良性貧血
7	サルコイドーシス	サルコイドーシス
8	筋萎縮性側索硬化症	筋萎縮性側索硬化症
9	強皮症、皮膚筋炎及び多発性筋炎	全身性強皮症
		皮膚筋炎／多発性筋炎
10	特発性血小板減少性紫斑病	特発性血小板減少性紫斑病
11	結節性動脈周囲炎	結節性多発動脈炎
		顕微鏡的多発血管炎
12	潰瘍性大腸炎	潰瘍性大腸炎
13	大動脈炎症候群	高安動脈炎
14	ビュルガー病	バージャー病
15	天疱瘡	天疱瘡
16	脊髄小脳変性症	脊髄小脳変性症 (多系統萎縮症を除く。)
17	クローン病	クローン病
18	難治性肝炎のうち劇症肝炎	—
19	悪性関節リウマチ	悪性関節リウマチ
20	パーキンソン病関連疾患	進行性核上性麻痺
		大脳皮質基底核変性症
		パーキンソン病

疾病番号	特定疾患 (旧事業)	指定難病
21	アミロイドーシス	全身性アミロイドーシス
22	後縦靭帯骨化症	後縦靭帯骨化症
23	ハンチントン病	ハンチントン病
24	モヤモヤ病(ウイルス動脈輪閉塞症)	もやもや病
25	ウェゲナー肉芽腫症	多発血管炎性肉芽腫症
26	特発性拡張型(うっ血型)心筋症	特発性拡張型心筋症
27	多系統萎縮症	多系統萎縮症
28	表皮水疱症(接合部型及び栄養障害型)	表皮水疱症
29	膿疱性乾癬	膿疱性乾癬(汎発型)
30	広範脊柱管狭窄症	広範脊柱管狭窄症
31	原発性胆汁性肝硬変	原発性胆汁性胆管炎(注)
32	重症急性膵炎	—
33	特発性大腿骨頭壊死症	特発性大腿骨頭壊死症
34	混合性結合組織病	混合性結合組織病
35	原発性免疫不全症候群	原発性免疫不全症候群
36	特発性間質性肺炎	特発性間質性肺炎
37	網膜色素変性症	網膜色素変性症
38	プリオン病	プリオン病
39	肺動脈性肺高血圧症	肺動脈性肺高血圧症
		肺静脈閉塞症／肺毛細血管腫症
40	神経線維腫症	神経線維腫症
41	亜急性硬化性全脳炎	亜急性硬化性全脳炎
42	バッド・キアリ(Budd-Chiari)症候群	バッド・キアリ症候群

疾病番号	特定疾患 (旧事業)	指定難病
43	慢性血栓性肺高血圧症	慢性血栓性肺高血圧症
44	ライソゾーム病	ライソゾーム病
45	副腎白質ジストロフィー	副腎白質ジストロフィー
46	家族性高コレステロール血症(ホモ接合体)	家族性高コレステロール血症(ホモ接合体)
47	脊髄性筋萎縮症	脊髄性筋萎縮症
48	球脊髄性筋萎縮症	球脊髄性筋萎縮症
49	慢性炎症性脱髄性多発神経炎	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
50	肥大型心筋症	肥大型心筋症
51	拘束型心筋症	拘束型心筋症
52	ミトコンドリア病	ミトコンドリア病
53	リンパ脈管筋腫症(LAM)	リンパ脈管筋腫症
54	重症多形滲出性紅斑(急性期)	スティーヴンス・ジョンソン症候群
		中毒性表皮壊死症
55	黄色靭帯骨化症	黄色靭帯骨化症
56	間脳下垂体機能障害(PRL分泌異常症、ゴナドトロピン分泌異常症、ADH分泌異常症、下垂体性TSH分泌異常症、クッシング病、下垂体性ゴナドトロピン分泌亢進症、先端巨大症、下垂体機能低下症)	下垂体性ADH分泌異常症
		下垂体性TSH分泌亢進症
		下垂体性PRL分泌亢進症
		クッシング病
		下垂体性ゴナドトロピン分泌亢進症
		下垂体性成長ホルモン分泌亢進症
下垂体前葉機能低下症		

※ 第一次実施分の指定難病として告示された疾病名と旧事業の医療費助成(特定疾患治療研究事業)における対象疾病(特定疾患)との名称の比較
 ※※ 網掛けの疾病は、旧事業の医療費助成(特定疾患治療研究事業)における疾病名と異なっているもの。
 ※※※ 疾病番号は、旧事業の医療費助成(特定疾患治療研究事業)によるもの。
 (注) 平成29年●月●日厚生労働省告示●●号により疾病名変更。

第二次実施分 指定難病(平成27年5月13日厚生労働省告示第266号により追加) 1 / 4

番号	病名
111	先天性ミオパチー
112	マリネスコ・シェーグレン症候群
113	筋ジストロフィー
114	非ジストロフィー性ミオトニー症候群
115	遺伝性周期性四肢麻痺
116	アトピー性脊髄炎
117	脊髄空洞症
118	脊髄髄膜瘤
119	アイザックス症候群
120	遺伝性ジストニア
121	神経フェリチン症
122	脳表ヘモジデリン沈着症
123	禿頭と変形性脊椎症を伴う常染色体劣性白質脳症
124	皮質下梗塞と白質脳症を伴う常染色体優性脳動脈症
125	神経軸索スフェロイド形成を伴う遺伝性びまん性白質脳症
126	ペリー症候群
127	前頭側頭葉変性症
128	ビッカースタッフ脳幹脳炎
129	痙攣重積型(二相性)急性脳症
130	先天性無痛無汗症
131	アレキサンダー病
132	先天性核上性球麻痺
133	メビウス症候群

番号	病名
134	中隔視神経形成異常症/ドモルシア症候群
135	アイカルディ症候群
136	片側巨脳症
137	限局性皮質異形成
138	神経細胞移動異常症
139	先天性大脳白質形成不全症
140	ドラベ症候群
141	海馬硬化を伴う内側側頭葉てんかん
142	ミオクロニー欠神てんかん
143	ミオクロニー脱力発作を伴うてんかん
144	レノックス・ガストー症候群
145	ウエスト症候群
146	大田原症候群
147	早期ミオクロニー脳症
148	遊走性焦点発作を伴う乳児てんかん
149	片側痙攣・片麻痺・てんかん症候群
150	環状20番染色体症候群
151	ラスムッセン脳炎
152	PCDH19関連症候群
153	難治頻回部分発作重積型急性脳炎
154	徐波睡眠期持続性棘徐波を示すてんかん性脳症
155	ランドウ・クレフナー症候群
156	レット症候群
157	スタージ・ウェーバー症候群

第二次実施分 指定難病(平成27年5月13日厚生労働省告示第266号により追加)2/4

番号	病名
158	結節性硬化症
159	色素性乾皮症
160	先天性魚鱗癬
161	家族性良性慢性天疱瘡
162	類天疱瘡(後天性表皮水疱症を含む。)
163	特発性後天性全身性無汗症
164	眼皮膚白皮症
165	肥厚性皮膚骨膜炎
166	弾性線維性仮性黄色腫
167	マルファン症候群
168	エーラス・ダンロス症候群
169	メンケス病
170	オクシピタル・ホーン症候群
171	ウィルソン病
172	低ホスファターゼ症
173	VATER症候群
174	那須・ハコラ病
175	ウィーバー症候群
176	コフィン・ローリー症候群
177	有馬症候群
178	モワット・ウィルソン症候群
179	ウィリアムズ症候群
180	A T R - X 症候群
181	クルーゾン症候群

番号	病名
182	アペール症候群
183	ファイファー症候群
184	アントレー・ビクスラー症候群
185	コフィン・シリス症候群
186	ロスムンド・トムソン症候群
187	歌舞伎症候群
188	多脾症候群
189	無脾症候群
190	鰓耳腎症候群
191	ウェルナー症候群
192	コケイン症候群
193	プラダー・ウィリ症候群
194	ソトス症候群
195	ヌーナン症候群
196	ヤング・シンプソン症候群
197	1 p36欠失症候群
198	4 p欠失症候群
199	5 p欠失症候群
200	第14番染色体父親性ダイソミー症候群
201	アンジェルマン症候群
202	スミス・マギニス症候群
203	22q11.2欠失症候群
204	エマヌエル症候群
205	脆弱X症候群関連疾患
206	脆弱X症候群

第二次実施分 指定難病(平成27年5月13日厚生労働省告示第266号により追加)3/4

番号	病名
207	総動脈幹遺残症
208	修正大血管転位症
209	完全大血管転位症
210	単心室症
211	左心低形成症候群
212	三尖弁閉鎖症
213	心室中隔欠損を伴わない肺動脈閉鎖症
214	心室中隔欠損を伴う肺動脈閉鎖症
215	ファロー四徴症
216	両大血管右室起始症
217	エプスタイン病
218	アルポート症候群
219	ギャロウェイ・モワト症候群
220	急速進行性糸球体腎炎
221	抗糸球体基底膜腎炎
222	一次性ネフローゼ症候群
223	一次性膜性増殖性糸球体腎炎
224	紫斑病性腎炎
225	先天性腎性尿崩症
226	間質性膀胱炎(ハンナ型)
227	オスラー病
228	閉塞性細気管支炎
229	肺胞蛋白症(自己免疫性又は先天性)
230	肺胞低換気症候群
231	α 1-アンチトリプシン欠乏症

番号	病名
232	カーニー複合
233	ウォルフラム症候群
234	ペルオキシソーム病(副腎白質ジストロフィーを除く。)
235	副甲状腺機能低下症
236	偽性副甲状腺機能低下症
237	副腎皮質刺激ホルモン不応症
238	ビタミンD抵抗性くる病/骨軟化症
239	ビタミンD依存性くる病/骨軟化症
240	フェニルケトン尿症
241	高チロシン血症1型
242	高チロシン血症2型
243	高チロシン血症3型
244	メープルシロップ尿症
245	プロピオン酸血症
246	メチルマロン酸血症
247	イソ吉草酸血症
248	グルコーストランスポーター1欠損症
249	グルタル酸血症1型
250	グルタル酸血症2型
251	尿素サイクル異常症
252	リジン尿性蛋白不耐症
253	先天性葉酸吸収不全
254	ポルフィリン症
255	複合カルボキシラーゼ欠損症
256	筋型糖原病

第二次実施分 指定難病(平成27年5月13日厚生労働省告示第266号により追加)4/4

番号	病名	番号	病名
257	肝型糖原病	282	先天性赤血球形成異常性貧血
258	ガラクトース-1-リン酸ウリジルトランスフェラーゼ欠損症	283	後天性赤芽球癆
259	レシチンコレステロールアシルトランスフェラーゼ欠損症	284	ダイヤモンド・ブラックファン貧血
260	シトステロール血症	285	ファンコニ貧血
261	タンジール病	286	遺伝性鉄芽球性貧血
262	原発性高カイロミクロン血症	287	エプスタイン症候群
263	脳髄黄色腫症	288	自己免疫性後天性凝固因子欠乏症(注)
264	無βリポタンパク血症	289	クロンカイト・カナダ症候群
265	脂肪萎縮症	290	非特異性多発性小腸潰瘍症
266	家族性地中海熱	291	ヒルシュスプルング病(全結腸型又は小腸型)
267	高IgD症候群	292	総排泄腔外反症
268	中條・西村症候群	293	総排泄腔遺残
269	化膿性無菌性関節炎・壊疽性膿皮症・アクネ症候群	294	先天性横隔膜ヘルニア
270	慢性再発性多発性骨髄炎	295	乳幼児肝巨大血管腫
271	強直性脊椎炎	296	胆道閉鎖症
272	進行性骨化性線維異形成症	297	アラジール症候群
273	肋骨異常を伴う先天性側弯症	298	遺伝性腭炎
274	骨形成不全症	299	嚢胞性線維症
275	タナトフォリック骨異形成症	300	IgG4関連疾患
276	軟骨無形成症	301	黄斑ジストロフィー
277	リンパ管腫症/ゴーハム病	302	レーベル遺伝性視神経症
278	巨大リンパ管奇形(頸部顔面病変)	303	アッシャー症候群
279	巨大静脈奇形(頸部口腔咽頭びまん性病変)	304	若年発症型両側性感音難聴
280	巨大動静脈奇形(頸部顔面又は四肢病変)	305	遅発性内リンパ水腫
281	クリッペル・トレノネー・ウェーバー症候群	306	好酸球性副鼻腔炎

(注) 平成29年●月●日厚生労働省告示●●号により疾病名変更。

計 196疾病 (一次+二次)合計 306疾病

第3次実施分 指定難病(平成29年3月31日厚生労働省告示第124号により追加)

	病名
307	カナバン病
308	進行性白質脳症
309	進行性ミオクローヌステんかん
310	先天異常症候群
311	先天性三尖弁狭窄症
312	先天性僧帽弁狭窄症
313	先天性肺静脈狭窄症
314	左肺動脈右肺動脈起始症
315	ネイルパテラ症候群(爪膝蓋骨症候群)／LMX1B関連腎症
316	カルニチン回路異常症
317	三頭酵素欠損症
318	シトリン欠損症

	病名
319	セピアプテリン還元酵素(SR)欠損症
320	先天性グリコシルホスファチジルイノシトール(GPI)欠損症
321	非ケトーシス型高グリシン血症
322	β -ケトチオラーゼ欠損症
323	芳香族L-アミノ酸脱炭酸酵素欠損症
324	メチルグルタコン酸尿症
325	遺伝性自己炎症疾患
326	大理石骨病
327	特発性血栓症(遺伝性血栓性素因によるものに限る。)
328	前眼部形成異常
329	無虹彩症
330	先天性気管狭窄症

計 24疾病 (一次～)合計 330疾病

既存の指定難病のうち、疾病の名称を変更するもの

告示番号	旧病名
93	原発性胆汁性肝硬変
288	自己免疫性出血病ⅩⅢ

告示番号	新病名
93	原発性胆汁性胆管炎
288	自己免疫性後天性凝固因子欠乏症(注)

(注) 「後天性血友病A(自己免疫性第Ⅷ/8因子欠乏症)」及び「自己免疫性von Willebrand病」を含めるため、疾病の名称を変更するものである。

医療費助成制度の概要

指定難病患者への医療費助成の概要

- 指定難病にかかっている患者の医療費の負担軽減を図るため、その医療費の自己負担分の一部を助成する。

医療費助成の概要

- 対象者の要件
 - ・指定難病(※)にかかっており、その病状の程度が厚生労働大臣が定める程度であること。
※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希少な疾病であること、④長期の療養を必要とすること、⑤患者数が本邦において一定の人数に達しないこと、⑥客観的な診断基準が確立していること、
の全ての要件を満たすものとして、厚生労働大臣が定めるもの。
 - ・指定難病にかかっているが、その病状の程度が厚生労働大臣が定める程度ではない者で、申請月以前の12ヶ月以内に、その治療に要した医療費総額が33,330円を超える月が3月以上あること。
- 自己負担 患者等の所得に応じて、治療に要した費用について一部自己負担がある。
- 実施主体 都道府県(平成30年度より政令指定都市へ事務を移譲予定)
- 国庫負担率 1/2(都道府県:1/2)
- 根拠条文 難病の患者に対する医療等に関する法律第5条、第31条第1項

対象疾病

110疾病(平成27年1月) → 306疾病(平成27年7月) → 330疾病(平成29年4月)

予算額

- ・平成28年度予算額 : 1,148億円
- ・平成29年度予算額 : 1,155億円(+6億円)

難病に係る医療費助成の制度

【ポイント】

- 自己負担の割合：3割⇒2割
- 自己負担の限度額（月額）：
 - ・症状が変動し入院を繰り返す等の難病の特性に配慮し、外来・入院の区別を設定しない。
 - ・受診した複数の医療機関等（※1）の自己負担をすべて合算した上で自己負担限度額を適用。

※1 薬局での保険調剤及び医療保険における訪問看護ステーションが行う訪問看護を含む。

- 入院時の標準的な食事療養等に係る負担：患者負担。
- 軽症高額該当者：軽症者であっても高額な医療（※2）を継続することが必要な者は、医療費助成の対象とする。
※2 月ごとの医療費総額が33,330円を超える月が年間3回以上ある場合とする。
- 所得を把握する単位：医療保険における世帯。
- 所得を把握する基準：市町村民税（所得割）の課税額。
- 同一世帯内に複数の対象患者がいる場合：世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分。
- 難病療養継続者：経過措置（H29.12.31まで）を設ける。

☆医療費助成における自己負担上限額（月額）

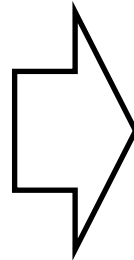
（単位：円）

階層区分	階層区分の基準 （（ ）内の数字は、夫婦2人世帯の場合における年収の目安）		自己負担限度額（患者負担割合：2割、外来＋入院）					
			原則			難病療養継続者（H29.12.31まで）		
			一般	高額かつ長期（※）	人工呼吸器等装着者	一般	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	市町村民税 非課税 （世帯）	（本人年収～80万円）	2,500	2,500	1,000	2,500	2,500	1,000
低所得Ⅱ		（本人年収80万円超～）	5,000	5,000		5,000		
一般所得Ⅰ	市町村民税 課税以上7.1万円未満 （約160万円～約370万円）		10,000	5,000		5,000	5,000	
一般所得Ⅱ	市町村民税 7.1万円以上25.1万円未満 （約370万円～約810万円）		20,000	10,000		10,000		
上位所得	市町村民税25.1万円以上 （約810万円～）		30,000	20,000		20,000		
入院時の食費			全額自己負担			1/2自己負担		

※「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）。

難病の患者の自己負担額の比較

高額療養費制度（※） （70歳未満）（単位：円）	
自己負担割合：3割	
	外来+入院
低所得者 （住民税非課税）	35,400円 [多数該当24,600円]
標準報酬月額 26万円以下	57,600円 [多数該当44,400円]
標準報酬月額 28万～50万円	80,100円 + (医療費 - 267,000円) × 1% [多数該当44,400円]
標準報酬月額 53万～79万	167,400円 + (医療費 - 558,000円) × 1% [多数該当93,000円]
標準報酬月額 83万円以上	252,600円 + (医療費 - 842,000円) × 1% [多数該当140,100円]



原則 （単位：円）			
自己負担割合：2割			
	外来+入院		
	一般	高額 かつ 長期	人工 呼吸器等 装着者
低所得Ⅰ 市町村民税非課税 （～本人年収80万）	2,500	2,500	1,000
低所得Ⅱ 市町村民税非課税 （本人年収80万超～）	5,000	5,000	
一般所得Ⅰ 市町村民税 課税以上 7.1万未満 （年収約160～約370万）	10,000	5,000	
一般所得Ⅱ 市町村民税 7.1万以上 25.1万未満 （年収約370～約810万）	20,000	10,000	
上位所得 市町村民税 25.1万以上 （年収約810万～）	30,000	20,000	

【参考】障害者医療 （更生医療）（単位：円）		
自己負担割合：1割		
	外来+入院	
	一般	重度 かつ 継続
低所得Ⅰ 市町村民税 非課税 （～本人年収80万）	2,500	2,500
低所得Ⅱ 市町村民税 非課税 （本人年収80万1～）	5,000	5,000
中間所得Ⅰ 市町村民税 課税以上 3万3千円未満	医療保険に おける高額 療養費の自己 負担限度 額	5,000
中間所得Ⅱ 市町村民税 3万3千円以上 23万5千円未満	高額療養費 適用の場合 例：44,400 （多数回該当）	10,000
一定所得 市町村民税 23万5千円以上	自立支援医療の 対象外 （医療保険に よる給付） 例：83,400 （多数回該当）	20,000

食費：全額自己負担

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

食費：全額自己負担

食費：全額自己負担

※ 平成27年1月1日以降の算定基準額。

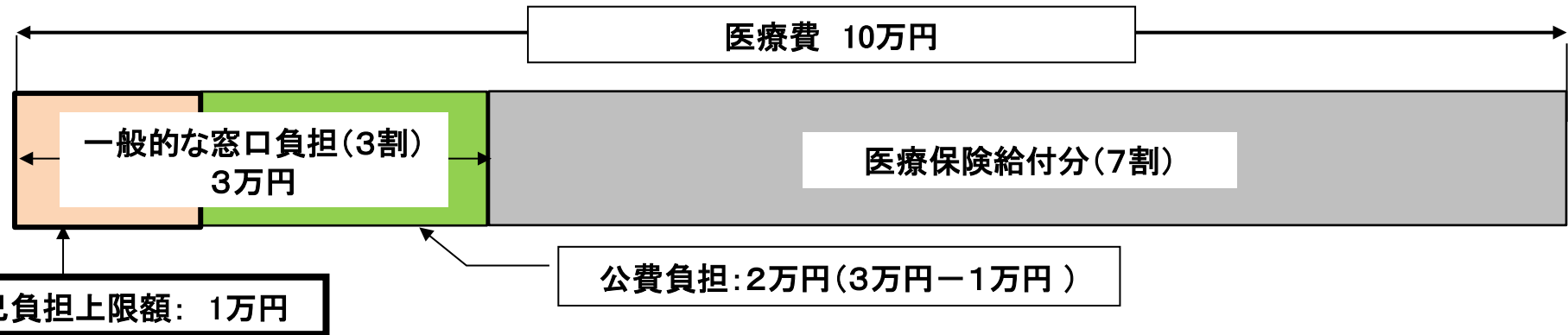
特定医療費(難病の医療費助成)の支給について(自己負担の考え方)

特定医療費の支給に当たっては医療保険制度、介護保険制度による給付を優先する(保険優先制度)。

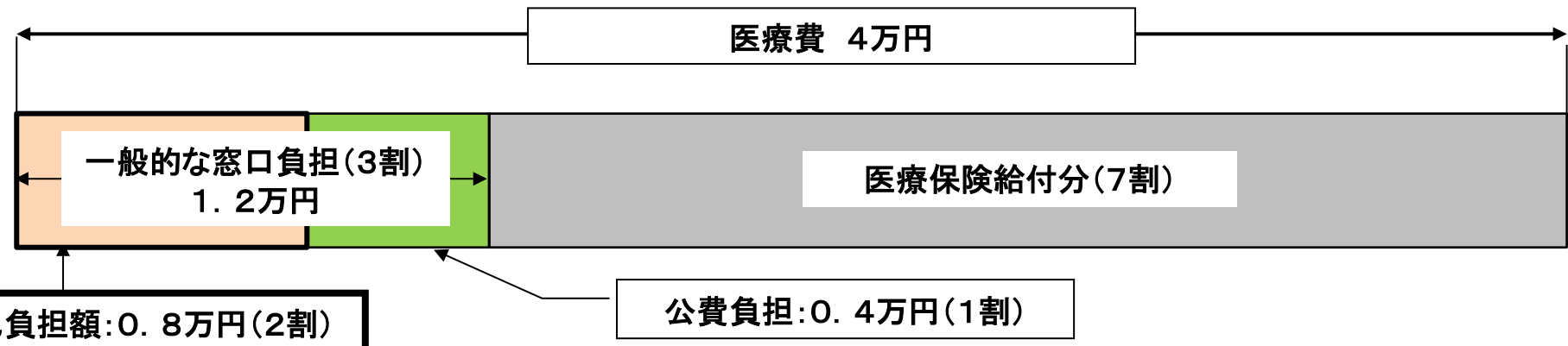
通常、医療機関の窓口では、医療費の7割を医療保険が負担し、残りの医療費の3割を患者が自己負担することになるが、特定医療費の支給認定を受けた場合は、指定医療機関での窓口負担が、自己負担上限額(月額)までとなる。

ただし、自己負担上限額と医療費の2割を比較して、自己負担上限額の方が上回る場合は、医療費の「2割」が窓口での負担額となる。

例1) 一般所得 I の者が自己負担上限額(月額: 1万円)まで負担する場合 (自己負担上限額: 1万円 < 医療費の2割: 2万円)



例2) 一般所得 I の者が医療費の「2割」まで負担する場合 (自己負担上限額: 1万円 > 医療費の2割: 0.8万円)



支給認定の手続について

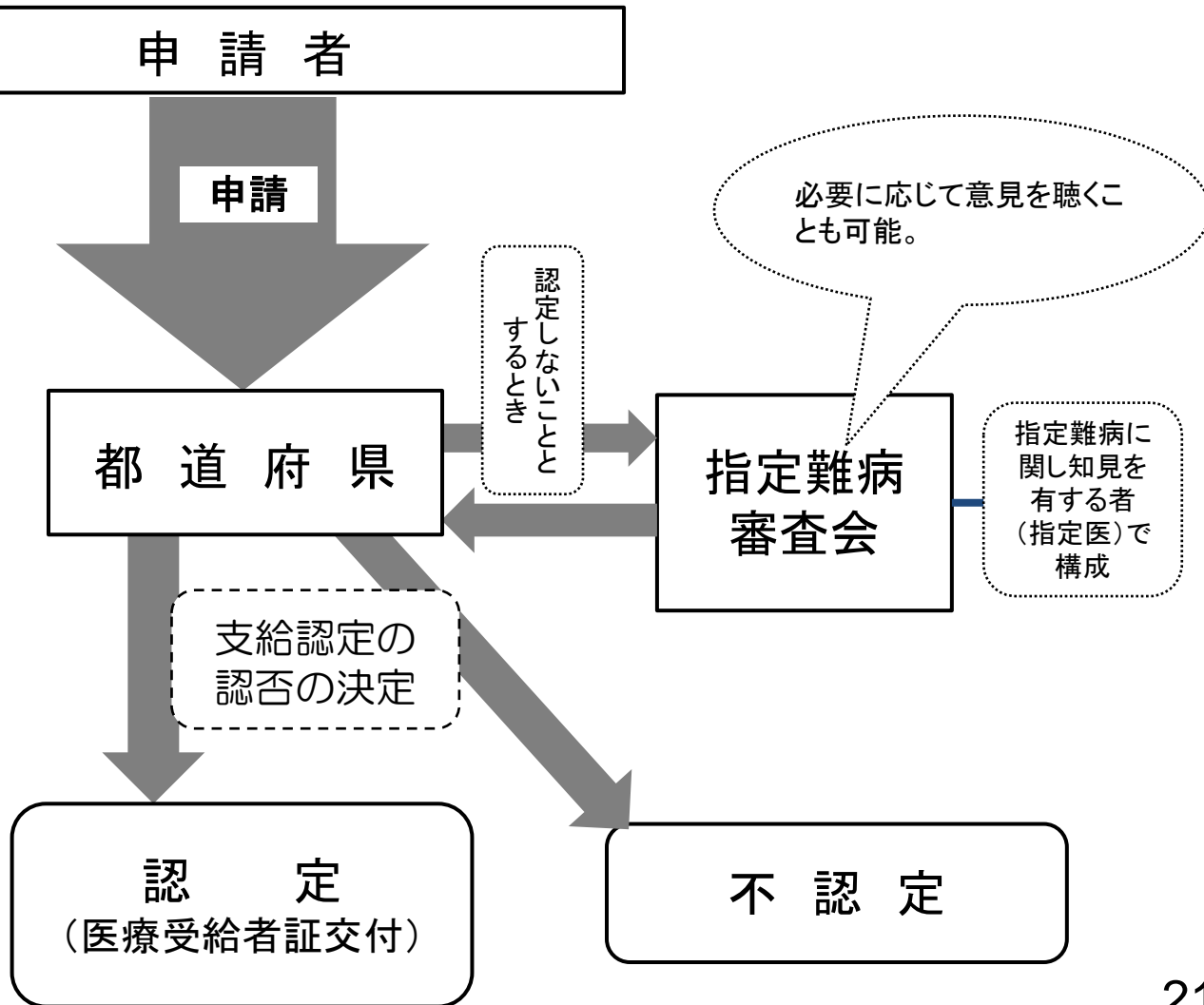
○ 都道府県は、指定難病の患者又はその保護者からの申請に基づき、当該患者が特定医療の対象になると認められる場合には支給認定を行う。

支給認定の申請手続

《申請書の記載事項》

- ・ 患者の氏名、性別、居住地、生年月日、連絡先
- ・ 患者の保護者が申請する場合は、保護者の氏名、居住地、連絡先、患者との続柄
- ・ 指定難病の名称
- ・ 患者が加入する医療保険等に係る情報
- ・ 支給認定基準世帯員の氏名
- ・ 治療先として希望する指定医療機関の名称、所在地
- ・ 「高額かつ長期」等の自己負担上限額に関する事項に該当するかの別
- ・ 医療保険の同一世帯内の指定難病患者及び小児慢性特定疾病児童等の有無

等



支給認定事務の手順について

【基本的な流れ】

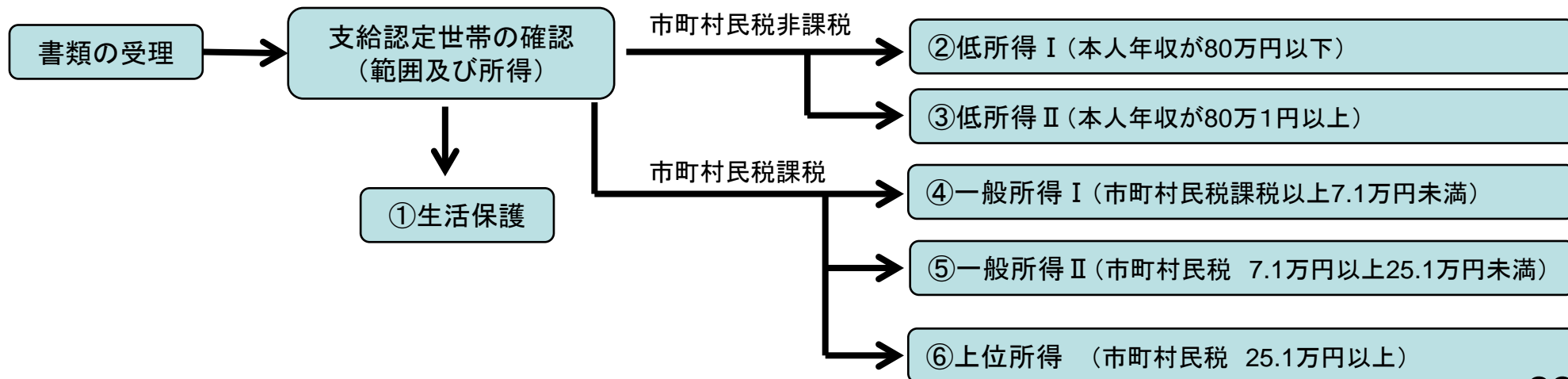
- ◆ 特定医療費の支給認定に当たっては、特定医療を受ける者の支給認定世帯(※)の所得に応じて、月ごとの自己負担上限額を定める。

※ 支給認定世帯とは、指定難病の患者と当該患者の支給認定基準世帯員から成る。

- ◆ 支給認定世帯の範囲の確認を行う。この場合、範囲は同一の医療保険を単位とする。
- ◆ 支給認定世帯の所得は、医療保険の保険料の算定対象となっている者の所得を確認する。

- ◆ 特定医療を受ける者の支給認定世帯の所得に応じて、月ごとの自己負担上限額を決定する。

(参考) 提出された書類に基づき支給認定世帯の範囲、所得の確認作業を行い、月ごとの自己負担上限額を定める。



難病の医療費助成に係る「支給認定世帯」について

- 支給認定世帯の単位については、同じ医療保険に加入している者によって範囲を設定する。
- 医療保険の加入関係が異なる場合には、税制における取扱いに関係なく、別の支給認定世帯として取り扱う。

【被用者保険】

- ・ 被保険者及びその被扶養者を一つの加入単位とする。
- ・ 被扶養者は被保険者の申告に基づいて決定される。その際、被扶養者となる者が被保険者の直系尊属、配偶者、子、孫及び弟妹であれば、住民票上の同一の世帯に属しているかを問わない。
- ・ 一定以上の収入がある者は、被扶養者となることはできず、その者は別の単位として医療保険に加入する。

【国民健康保険】

- ・ 保険料は、世帯内の加入者数及び所得等に応じて決まる。
- ・ 保険料の納付義務者は、住民票上の世帯主となる。

《住民票上の世帯》

被保険者本人(母)
+
被扶養者(子)
【被用者保険加入】

支給認定世帯

被保険者(父)

【国民健康保険加入】

支給認定世帯

被保険者(祖父)

【後期高齢者医療制度】

支給認定世帯

- 医療保険に基づく支給認定世帯を単位にした場合、住民票上の世帯と対象者が異なる。

- 左の図では、祖父・父・母・子の4人が住民票上の同一世帯となるが、医療保険を単位にした支給認定世帯の場合、同一世帯になるのは母と子のみ。

世帯内で複数の患者が存在する場合の自己負担上限額の按分方法について

- 本制度では、世帯内(※)に複数の患者が存在する場合、患者が複数となっても世帯の負担が増えないよう世帯内の対象患者数を勘案して負担上限額を按分する。

※ 按分の対象となる世帯・・・患者と同じ医療保険に属する者

<参考>

・難病対策委員会報告書(抜粋)

同一世帯内に複数の難病の医療費助成の対象患者がいる場合、負担が増えないよう、世帯内の対象患者の人数で負担限度額を按分する。

[旧事業]:「1人の患者の自己負担限度額+他の患者の自己負担限度額×1/10×人数」が世帯における負担限度額

- また、同一世帯内に難病と小児慢性特定疾病の患者がいる場合にも、世帯の負担上限額が増えないようにする。

【按分の計算方法】

各患者の負担上限額=患者本人の負担上限額×(世帯で最も高い者の負担上限額/世帯における負担上限額の総額)

*「世帯内の対象患者の中で最も高い負担上限額」が世帯全体の負担上限額になるように、各患者の負担上限額を設定する。

<具体例> ※ 世帯の所得階層が上位の場合とし、括弧内の金額は自己負担上限額を指す。

●A(難病【原則:3万円】)、B(難病【高額かつ長期:2万円】)

A: 3万円×(3万円/5万円)=18,000円

B: 2万円×(3万円/5万円)=12,000円 世帯の総額 3万円

●A(難病【高額かつ長期:2万円】)、B(小慢【原則:1.5万円】)、C(小慢【高額かつ長期:1万円】)

A: 2万円×(2万円/4.5万円)=8,880円

B: 1.5万円×(2万円/4.5万円)=6,660円

C: 1万円×(2万円/4.5万円)=4,440円 世帯の総額 19,980円

自己負担上限額の管理について

- 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上限額が定められているが、病院、薬局等2か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必要がある。
- このため、都道府県から医療受給者証と併せて「自己負担上限額管理票」を交付することとする。患者の方は、指定難病に係る治療等を指定医療機関で受ける度に、その機関が徴収した額を各機関において管理票に記入してもらい、自己負担の累積額が月間自己負担上限額まで達した場合には、その旨をその時に受診した指定医療機関に確認してもらう。
- 自己負担上限額に達した場合は、その月においてそれ以上の自己負担がなくなる。

平成 年 月分自己負担上限額管理票					
受診者名		受給者番号			
月間自己負担上限額 _____ 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
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
月 日					

指定医について

1. 指定医の要件

	要件	患者の新規の認定の際に必要な診断書の作成	患者の更新の認定の際に必要な診断書の作成
(1) 難病指定医(*)	① 診断又は治療に5年以上従事した経験があり、申請時点において、関係学会の専門医の資格を有していること。 ② 診断又は治療に5年以上従事した経験があり、一定の研修(※)を修了していること。 ※1～2日程度の研修	○	○
(2) 協力難病指定医	③ 診断又は治療に5年以上従事した経験があり、一定の研修(※※)を修了していること。※※1～2時間程度の研修	×	○

2. 指定医の役割

- 難病の医療費助成の支給認定申請に必要な診断書(臨床調査個人票)を作成すること。
- 患者データ(診断書の内容)を登録管理システムに登録すること。

(指定医の職務) 指定医は、指定難病の患者が指定難病にかかっていること及びその病状の程度を証する臨床調査個人票の作成の職務並びに法第3条第1項の規定に基づき国が講ずる難病に関する情報の収集に関する施策に資する情報の提供の職務を行うこと。

3. 指定の有効期間

「指定医」の指定は、5年ごとの更新制とする。

指定医療機関について

1 指定について

- 指定医療機関の指定対象としては、難病の患者に対する医療等に関する法律に規定する病院、診療所、薬局のほか、政令において、訪問看護事業所等を規定している。
- 病院、診療所、薬局等の開設者の申請により、都道府県知事が指定を行う。
- 指定申請に必要な事項は、名称、所在地、保険医療機関であること等が厚生労働省令で定められている。
- 申請者が保険医療機関等でないとき、特定医療費の支給に関して重ねて勧告等を受けているとき、役員・職員が禁固・罰金刑を受けてから5年を経過していないとき等には、都道府県知事は指定をしないことができる。
- 指定は6年ごとに更新を受けなければならない。

2 責務について

- 指定医療機関の診療方針は健康保険の診療方針の例によるほか、指定医療機関は、良質かつ適切な特定医療を行わなければならない。

3 監督について

- 都道府県知事は、必要があると認めるときは、医療機関の開設者等に対し報告や帳簿書類等の提出を命じ、出頭を求め、又は職員に関係者に対し質問させ、診療録等につき検査させることができる。
- 診療方針等に沿って良質かつ適切な特定医療を実施していないと認めるときは、期限を定めて勧告することができ、勧告に従わない場合に公表、命令することができる。

4 取消しについて

- 診療方針等に違反したとき、特定医療費の不正請求を行ったとき、命令に違反したとき等において、都道府県知事は指定を取り消すことができる。

基本方針の概要

難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針 概要

難病の患者に対する医療等に関する法律(平成26年法律第50号。以下「法」という。)第4条第1項に基づき、
難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針を定める。

1 難病の患者に対する医療等の推進の基本的な方向

○難病は、一定の割合で発症することが避けられず、その確率は低いものの、国民の誰にでも発症する可能性があり、難病の患者及びその家族を社会が包含し、支援していくことがふさわしいことを基本認識として、広く国民の理解を得ながら難病対策を計画的に推進。
○法の基本理念にのっとり、難病の克服を目指し、難病の患者が長期にわたり療養生活を送りながらも社会参加の機会が確保され、地域で尊厳を持って生きることができるよう、共生社会の実現に向けて、社会福祉その他の関連施策と連携しつつ、総合的に施策を実施。
○社会の状況変化等に的確に対応するため、難病対策の実施状況等を踏まえ、少なくとも5年ごとに本方針に再検討を加え、必要があると認めるときは見直しを実施。

2 難病の患者に対する医療費助成制度に関する事項

○難病の患者に対する医療費助成制度は、法に基づいて適切に運用するとともに適宜見直し。
○指定難病については、定められた要件を満たす疾病を対象とするよう、疾病が置かれた状況を踏まえつつ、指定難病の適合性について判断。併せて、医学の進歩に応じ、診断基準等も随時見直し。
○医療費助成制度が難病に関する調査及び研究の推進に資するという目的を踏まえ、指定難病の患者の診断基準や重症度分類等に係る臨床情報等を適切に収集し、医療費助成の対象とならない指定難病の患者を含む指定難病患者データに係る指定難病患者データベースを構築。

3 難病の患者に対する医療を提供する体制の確保に関する事項

○できる限り早期に正しい診断ができる体制を構築。
○診断後はより身近な医療機関で適切な医療を受けることのできる体制を確保。
○難病の診断及び治療には、多くの医療機関や診療科等が関係することを踏まえ、それぞれの連携を強化。

4 難病の患者に対する医療に関する人材の養成に関する事項

○難病に関する正しい知識を持った医療従事者等を養成することを通じて、地域において適切な医療を提供する体制を整備。

5 難病に関する調査及び研究に関する事項

○難病対策の検討のために必要な情報収集を実施。
○難病の医療水準の向上を図るため、難病患者の実態を把握。
○難病の各疾病について実態や自然経過等を把握し、疾病概念の整理、診断基準や重症度分類等の作成や改訂等に資する調査及び研究を実施。
○指定難病患者データベースを医薬品等の開発を含めた難病研究に有効活用できる体制を整備。

6 難病の患者に対する医療のための医薬品、医療機器及び再生医療等製品に関する研究開発の推進に関する事項

○難病の克服が難病の患者の願いであることを踏まえ、難病の病因や病態を解明し、難病の患者を早期に正しく診断し、効果的な治療が行えるよう研究開発を推進。
○患者数が少ないために開発が進みにくい医薬品、医療機器及び再生医療等製品の研究開発を積極的に支援。

7 難病の患者の療養生活の環境整備に関する事項

○難病の患者の生活上の不安が大きいことを踏まえ、難病の患者が住み慣れた地域において安心して暮らすことができるよう、難病相談支援センター等を通じて難病の患者を多方面から支えるネットワークを構築。
○地域の様々な支援機関と連携して難病の患者に対する支援を展開している等の先駆的な取組を行う難病相談支援センターに関する調査及び研究を行い、全国へ普及。

8 難病の患者に対する医療等と難病の患者に対する福祉サービスに関する施策、就労の支援に関する施策その他の関連する施策との連携に関する事項

○難病の患者が地域で安心して療養しながら暮らしを続けていくことができるよう、医療との連携を基本としつつ、福祉サービスの充実などを図る。
○難病の患者の雇用管理に資するマニュアル等を作成し、雇用管理に係るノウハウを普及するとともに、難病であることをもって差別されない雇用機会の確保に努めることにより、難病の患者が難病であることを安心して開示し、治療と就労を両立できる環境を整備。

9 その他難病の患者に対する医療等の推進に関する重要事項

○難病に対する正しい知識の普及啓発を図り、難病の患者が差別を受けることなく、地域で尊厳をもって生きることのできる社会の構築に努める。
○保健医療サービス、福祉サービス等についての周知や利用手続の簡素化を検討。