

小児医療分野における指定難病制度の普及・啓発に関する研究

研究分担者 森 臨太郎

国立研究開発法人国立成育医療研究センター・政策科学研究部長

研究要旨

指定難病および小児慢性特定疾病制度の普及・啓発状況の実態調査をおこない、疾病（群）ごとに最適な普及・啓発方法を検討・開発し、実際にそれらの方法を用いて普及・啓発を推進することを目的として、指定難病制度の普及・啓発の状況を把握するために、日本小児科学会代議員への無記名のアンケート調査を実施した。今後小児医療分野において指定難病制度の普及のために、1) 制度にかかわる手続きの効率化、2) ホームページや学会などの普及活動、3) 必須検査項目の保険適用や文書料負担の軽減などの政策といった多面的な対策が必要と考えられた。

A. 研究目的

平成 27 年 1 月に施行された「難病の患者に対する医療等に関する法律」（難病法）に基づき、指定難病患者への医療費助成や、調査及び研究の推進、療養生活環境整備事業等が実施されている。特定疾患治療研究事業（旧事業）の対象疾病は 56 疾病から、平成 29 年 4 月（予定）からは 330 疾病にまで増加する見込みであるが、指定難病の申請率が想定を下回っている等、必ずしも普及・啓発が十分とはいえない現状がある。このため厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）「指定難病制度の普及・啓発状況の把握および普及・啓発のための方法論の開発」（研究代表者：和田隆志）研究班において、本研究分担では、日本小児科学会における、指定難病制度の普及・啓発の状況を把握するために、本研究班で、質問用紙を作成し、無記名のアンケート調査を実施する。このアンケート調査により指定難病の普及・啓発における問題点が明らかとし、今後はこの結果をもとに指定難病の普及・啓発の方法を開発し、推進していく。

B. 研究方法

日本小児科学会における、指定難病制度の普及・啓発の状況を把握するための実態調査をおこなった。実態調査には本研究班にて作成した質問用紙を使用し、各学会の評議員（又は代議員）を対象に、調査をおこなった。調査対象は日本小児科学会の代議員 575 名。

（倫理面への配慮）

本調査は、日本小児科学会の小児慢性特定疾病委員会の事業の一環として、会員向けの質問紙調査として、倫理的側面に関しては、理事会での審議のうえ、行った。ただし、国立成育医療研究センター倫理委員会においても承認を得た。

C. 研究結果

日本小児科学会の代議員 575 名のうち、284 名（49.2%）より有効回答を得た。当該分野において、指定難病制度の啓発が十分であると考えたものは 40 名であり、今後啓発の余地が十分にあると考えられた。申請にあたっての課題として、記載項目が多い、様式が疾病ごとに異なることで不便である、手続きにかかわる負担が大きいこと、認定ま

での時間がかかること、診断のために行うものの中で保険適用のない検査項目があるなど、さまざまな課題がしめされた。今後の対策として、記載項目の簡素化や様式の標準化、患者相談窓口、ホームページの改善、学会などを通じた啓発活動、必須の検査項目に関する保険適用、診断書のための文書料の自治体あるいは保険適用などが示された。その他の結果については、添付資料で示す。

D. 考察

日本小児科学会の代議員575名を対象に、指定難病制度の普及啓発に関する質問票調査を行った。調査の結果、ホームページなどによる啓発活動のほか、必須検査項目の保険適用や文書料の負担など、政策的な変更の必要性も示された。

E. 結論

今後小児医療分野において指定難病制度の普及のために、1) 制度にかかわる手続きの効率化、2) ホームページや学会などの普及活動、3) 必須検査項目の保険適用や文書料負担の軽減などの政策といった多面的な対策が必要と考えられた。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

H. 知的所有権の出願・取得状況

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし

公益社団法人 日本小児科学会 御中

平成 29 年 3 月

指定難病制度の普及・啓発状況の把握のためのアンケート実施についてのご依頼

謹啓

時下ますます御清栄のこととお喜び申し上げます。貴学会におかれましては、平素より指定難病制度および関連の指定難病の普及・啓発活動にご尽力いただきありがとうございます。

さて、指定難病については、「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「難病法」という）に基づき、指定難病患者への医療費助成や、調査及び研究の推進、療養生活環境整備事業等が実施されています。平成29年4月から330疾病となる見込みであり、今後更なる指定難病制度の充実が期待されているところです。一方、難治性疾患政策研究班を中心に普及・啓発が進められているところですが、指定難病の申請率が想定を下回っている等、必ずしも普及・啓発が十分に進んでいるとは言えない状況です。

こうした状況を鑑み、今回、平成 28 年度厚生労働科学研究費補助金難治性疾患政策研究事業にて、「指定難病制度の普及・啓発状況の把握および普及・啓発のための方法論の開発」研究（研究代表者 和田隆志）を実施することとなりました。本研究班は、厚生労働省健康局難病対策課が、日本専門医機構により指定された18の基本領域学会に対して実施した指定難病に関するアンケートに基づき、関連学会、研究班を通じて、普及・啓発を進めることなどを目標としています。

普及・啓発を進めるに先立ち、本研究班では、日常診療において指定難病の診療に携わる貴学会の評議員の先生方ならびに学会事務局の皆様を対象として、指定難病制度の普及・啓発状況の実態調査を実施させていただければ幸甚に存じます。

皆様におかれましては、御多用のことと存じますが、アンケート調査へのご回答にご協力賜りますよう、何卒宜しくお願い申し上げます。

謹白

厚生労働省健康局 難病対策課

厚生労働科学研究費補助金難治性疾患政策研究事業「指定難病制度の普及・啓発状況の把握および普及・啓発のための方法論の開発」研究 研究代表 和田隆志 拝

記

1. 研究の目的について

指定難病および小児慢性特定疾病制度の普及・啓発状況の実態調査を行い、疾病（群）ごとに最適な普及・啓発方法を検討・開発し、実際にそれらの方法を用いて推進することを目的とします。

2. 研究方法について

①指定難病制度（および小慢制度）の普及・啓発状況の実態調査

厚生労働省健康局難病対策課が、日本専門医機構が指定する18の基本領域学会に対して実施したアンケートに基づき、指定難病検討委員会委員の所属する主要学会に関連する疾病に関して、普及・啓発方法を把握するためのアンケートによる実態調査を行います。

②実態調査に基づいた、疾病（群）ごとに最適な普及・啓発方法の開発

疾病の性格や、患者数、指定難病指定の時期、関連する学会の状況、既存の普及・啓発方法等の状況に応じて、より効果的・効率的な方法を検討します。

3. 期待される成果について

実態調査に基づいて開発した方法を用いて、関連学会や研究班横断的に普及・啓発を行い、指定難病制度を推進することで、以下のような成果を期待しています。

- ・ 申請率の向上
- ・ 関連学会や研究班同士の連携の強化
- ・ 指定難病データベースへのデータ蓄積による病態解明や治療法開発等の更なる推進
- ・ 「難病診療連携拠点病院（仮称）」や「難病医療支援ネットワーク」の効率的な運用による、各疾病（群）の診療連携体制構築への貢献
- ・ 難病情報センターや小慢情報センターHPの改良
- ・ 難病指定医研修の効率的な開催に資するデータや、指定難病テキストの効果的・効率的な普及方法の提供
- ・ 小児成人移行期医療（トランジション）の推進

4. 運用窓口について

アンケート回答上の疑義照会等がある場合には、以下で受け付け回答させていただきます

ます。

研究代表：和田隆志（金沢大学医薬保健研究域医学系腎臓内科学 教授）

住所：〒920-8640 石川県金沢市宝町 13-1

電話：076-265-2499

FAX：076-234-4273

メールアドレス：lab-med@med.kanazawa-u.ac.jp

研究名： 指定難病制度の普及・啓発状況の把握および普及・啓発のための方法論の開発に関する研究

1. 研究の目的

指定難病および小児慢性特定疾病制度の普及・啓発状況の実態調査をおこない、疾病（群）ごとに最適な普及・啓発方法を検討・開発し、実際にそれらの方法を用いて普及・啓発を推進することを目的としています。

2. 研究の方法

- ① 研究対象：当センターの日本小児科学会、日本腎臓学会、日本神経学会、日本皮膚科学会、日本外科学会の評議員（代議員）および学会事務局
- ② 研究期間：倫理審査委員会承認後～2021年3月
- ③ 研究方法：この研究では、上記対象者に対して、本研究班（責任者：金沢大学・和田隆志、分担研究者：成育・森臨太郎）で作成した質問票をもとに、アンケート調査を実施します。アンケートの回収期間は2017年2月15日～4月10日です。無記名で回答するため個人情報を取り扱うことはないと考えますが、記名された情報を入手した場合は、お名前などの個人情報を削除します。その後、2017年3月1日～4月31日の期間で集計・解析を行います。このアンケート調査により指定難病の普及・啓発がうまくいっていない問題点を明らかとし、この結果をもとに指定難病の普及・啓発の方法を開発し、推進できればと考えております。アンケート用紙については研究班が委託している株式会社アドレスに送付と回収を依頼します。

3. 研究に用いる情報の種類

本研究では、アンケートの回答を用いて研究を行います。

4. 試料・情報の公表

集めたデータは学会や論文などに発表されることがありますが、個人情報が特定されることはありません。

5. 研究実施機関

国立成育医療研究センター

金沢大学

東京慈恵会医科大学
北海道大学大学院
日本大学医学部

6. お問い合わせ先

本研究に関するご質問等がありましたら下記の連絡先までお問い合わせ下さい。ご希望があれば、他の研究対象者の個人情報及び知的財産の保護に支障がない範囲内で、研究計画書及び関連資料を閲覧することが出来ますのでお申出下さい。

○照会先の連絡先：

国立成育医療研究センター 政策科学研究部 森 臨太郎（担当者氏名）
電話：03-3416-0181（内 4230）

○研究責任者：

国立成育医療研究センター 政策科学研究部 森 臨太郎

○代表責任者：

金沢大学 医薬保健研究域医学系 腎臓内科学 教授 和田 隆志

指定難病制度の普及・啓発状況の把握のためのアンケート

対象： 日本小児科学会代議員(577名)
 期間： 平成29年3月13日～3月27日
 回答数： 284/577 49.20%

問1：貴学会・研究班に関連する指定難病について、普及啓発が十分と考えますか？

1)十分である	40 件
2)十分でない	237 件

問2：難病医療費助成制度において、あなたは都道府県知事の定める医師(「指定医」)ですか。

1)「難病指定医」である	218 件
2)「協力難病指定医」である	1 件
3)指定医ではない	61 件

問3：勤務地の所在地はどこですか？

1)北海道地区	7 件
2)東北地区	18 件
3)関東地区	97 件
4)中部地区	48 件
5)近畿地区	55 件
6)中国地区	21 件
7)四国地区	8 件
8)九州・沖縄地区	32 件

問4：別紙が指定難病に指定されていることについて 知っていますか？

1)よく知っている	29 件
2)おおむね知っている	182 件
3)あまり知らない	68 件
4)ほとんど知らない	4 件

問5：問4で1)「よく知っている」または2)「おおむね知っている」を選んだ方にお聞きます。

問5-1：どのようにして指定難病について知りましたか？(複数選択可)

1)厚生労働省のホームページや資料	101 件
2)都道府県のホームページや資料	48 件
3)難病情報センターのホームページや資料	123 件
4)学術集会や学会のホームページ、学術誌	65 件
5)その他 まとめをご覧ください	24 件

問5-2：これまでにご自分の担当患者のなかで日本小児科学会に関係のある疾患を指定難病に申請したことはありますか？

1)申請したことがある	168 件
2)申請したことがない	43 件

問6：問5-2で1)「申請したことがある」を選んだ方にお聞きます。申請に当たって問題点はありませんでしたか？(複数選択可)

1)特段の問題はない	50 件
2)様式が疾患毎に異なり、不便である	53 件
3)記載項目が多く、煩雑である	92 件
4)申請書の取り寄せや提出などの手続きにかかる負担が大きい	23 件
5)申請から認定までに時間がかかりすぎる	19 件
6)文書料が高額である	10 件
7)診断のために行うものの中で、保険適用のない検査項目がある	39 件
8)その他 まとめをご覧ください	18 件

問7:問5-2で2「申請したことがない」を選んだ方にお聞きします。

問7-1:これまで申請を行っていない理由は何ですか？(複数選択可)

1)対象疾患であることを知らない	1件
2)まだ確定診断に至っていない	3件
3)患者は存在するが、申請の仕方が分からない	4件
4)これまで指定難病に指定された疾患の患者がいない	21件
5)年に一度の受診であるため、記載するための検査が間に合わない	2件
6)申請の方法が煩雑だから	3件
7)指定難病について理解が十分でないため	2件
8)透析の障害者や小児関連医療費助成制度(例:乳幼児医療費助成制度)等他の施策に対して申請しているため	11件
9)医薬品医療機器総合機構(PMDA)の副作用被害救済制度で医療費助成を受けているから	#REF! 件
10)患者に勧めたが、診断書料金(文書料)がかかるので断られた	0件
11)指定医の申請を行っていない	9件
12)その他 まとめてご覧ください	9件

問7-2:選択された上記理由のうち、最も重要と考えられる項目番号を一つ挙げて下さい

選択肢	1	4件
	2	1件
	3	1件
	4	16件
	6	2件
	7	2件
	8	8件
	11	1件
	12	3件

問8:問7-1で8)を選んだ方にお聞きします。指定難病に該当する患者のうち、どのくらいの割合の方に
対して指定難病の申請と他の施策への申請とを行われていますか？指定難病名ごとにご回答ください。
※まとめてご覧ください。

問9:今後さらに指定難病の普及啓発を進めていくために、どのような点を改善すべきと考えますか？(複数選択可)

1)申請書類の様式を統一する	88件
2)申請書類への記載項目を簡素化する	163件
3)病院内に患者相談を受け付ける窓口を設置する	102件
4)学会HPを改良する	24件
5)難病情報センターや小児慢性特定疾患情報センターのHPを改良する	111件
6)行政(都道府県)における申請窓口を担う担当課のHPを改良する	54件
7)各疾患のパンフレット・リーフレットを作成する	70件
8)全指定難病を網羅するテキストを作成する	80件
9)学会や研究班ごとに関連する指定難病に対するパンフレットを作成する	45件
10)学会や研究会が主催するシンポジウムを開催する	41件
11)一般・患者向けの勉強会を開催する	41件
12)申請書の検査項目を保険適用とする	116件
13)診断書料金を厚生労働省(診療報酬)や自治体が負担する	67件
14)その他 まとめてご覧ください	28件

問10:現在、あなたの所属する医療機関・教育機関において、指定難病や関連制度についての卒前教育はありますか？

1)ある	15 件
2)ない(不明含む)	256 件

問11:現在、あなたの所属する医療機関・教育機関において、指定難病や関連制度について、卒後教育に含まれていますか？

1)含まれている	41 件
2)含まれていない(不明含む)	234 件

まとめ

問5-1: その他意見

- 病院からの通知(×5件)
- 外来にリストをおいている
- 学会としての取り組み(×4件)
- 行政からの連絡(×3件)
- 難病審査会の審査員にため(×4件)
- 小慢疾患が、指定難病となるよう、審査申請をした
- 自治体からの直接連絡、メール配信
- 難病情報センターのホームページや資料の作成にかかわっているため
- 研究班より

問6: その他意見

- 事務まかせになっているためよくわからない
- 関係資料が添付されていないと戻ってきたがホームページや書類をみてもどこにも資料を添付しろとは書かれていなかった。
- 継続申請の際の案内がなく、遅れると新規扱いになってしまう。
- 認定基準が厳しい
- 記入日でなく、申請受け付日を開始日となっている点
- 更新の書式に問題点がある(×2件)
- 疾患毎に指定される日が異なる
- 重症度分類の記載が難しい
- 重症度分類を満たさなくても軽症高額医療費負担の制度対象になることを周知すべき
- 小児慢性疾患その他の制度内での整合性、統一性が必ずしも明確でない(×2件)
- 小児慢性特定疾病から指定難病への移行がスムーズでない場合がある
- 小児慢性との違い全国統一になっていない
- 重症度分類を満たさないことが多い
- 診療が忙しく申請書を記載する時間がない
- 小慢認定との継続性が必要。
- 手書きはやめてほしい
- 申請したが認定されないことがある
- 臨床と合致していない部分がある
- 認定までに時間がかかる

問7-1: その他意見

- 15才まで医療費助成があるため
- 当地区では小児医療費が助成されるため、いつ行うべきなのか忘れてしまうことが多い。事務で管理(コンピュータシステム)して欲しい。
- 一つの疾患の小児期の申請基準(例えば小児慢性特定疾患)と指定難病の申請基準(こちらの方が基準が厳しい)の重症度に差がありすぎる。
- 別の制度があり患者自身に対するメリットが示せない(×2件)
- 指定難病で出すより、まず小児慢性特定疾病があり小児ではそれが多い(×2件)
- すでに申請されているため
- 院内は各専門分野にわかれているため、各々が申請している
- 一般開業小児科医であるため診断をすることはない(×4件)

問8

21水酸化酸素欠損症
IgA腎症
SLE
拡張型心筋症
筋緊張性ジストロフィー
クローン病
再生不良性貧血
先天異常症候群
特発性血小板減少性紫斑病
乳幼児梅毒血管腫
ネフローゼ症候群
パーキンソン病
肺動脈性肺高血圧症
ファブリー病
プラダーウィリ症候群
モワットウィルソン症候群
ライゾゾーム病
原発性免疫不全症候群
高安動脈炎
心室中隔欠損を伴わない肺動脈閉鎖症

乳幼児医療費助成小児慢性特定疾病 障害年金 更生医療

問9:その他意見

- 「診断書料金を厚生労働省(診察報酬)や自治体が負担する」に関して、情報提供料が算定出来ないか？実際の患者数と申請数との調整をしていない
- 医師のクラークワークがへる制度をつくる(×2件)
- 一般小児科も含めて、情報が伝わること。啓発が重要
- ホームページの改良
- 行政から患者へ案内をする(特に更新時)
- 県の担当者の教育と患者目線での対応が重要。
- 更新が1年毎は頻雑で2年毎もしくは変更点のみとしてほしい
- こども医療費助成の制度が大きく影響していると考え(×2件)
- 小慢が使える場合は小慢を使わずに子ども医療助成制度が使えない様にする
- 様々な制度が有って、非常に判り難い。330もの病名を記憶しておくのも無理。レセプト等で病名が挙がった時に県や市単位でもチェックして欲しい。
- 自己負担額の軽減
- 疾患毎の診断費がインターネットで検索しやすくなる
- 資料が入手できる窓口(HPなど)どこにあるかをよく広報すること。
- 電子申請化
- 診断基準が雑
- 診断書等費用負担が大きい
- 地域の公費助成(小児)より難病に申請させるような対策をとる
- データベースとして利用するなら、軽症者も申請できるしくみが必要
- 電子カルテ上で、疾患名を入力すると難病であるとの知らせが来るようなシステム(×2件)
- 難病疾患の検索が容易になるようなシステム
- 未診断の対象患者が自らその疾患の情報や申請方法について情報を入手できるようなHPを工夫する。
- マスメディアなどの利用
- 小児医療の医療費助成が拡大しているためメリットがない