

# 難病法による難病対策に対する当事者・家族の 評価に関するアンケート（1/3）

## 調査の概要

2022年12月に実施された難病法の改正による成人の難病対策について、当事者・家族視点で良かった点、および残された課題点を明らかにするためにアンケートを実施しました。

- 収集：WEBを通した無記名自記式アンケートを実施
- 期間：2023年9月30日～11月8日
- 対象：難病（希少・難治性疾患、長期慢性疾患）の患者または家族（指定難病かどうかは不問）
- 倫理的配慮：①調査目的・方法の紙面での説明、②同意取得、③個人情報情報を排して分析
- 質問：難病法改正による難病対策の
  - ①評価できる点（良かった点）、②評価できない点（課題点）を自由記述回答
- 解析方法：回答内容の類似性にて分類し、カテゴリを作成・命名

## 回答者の属性

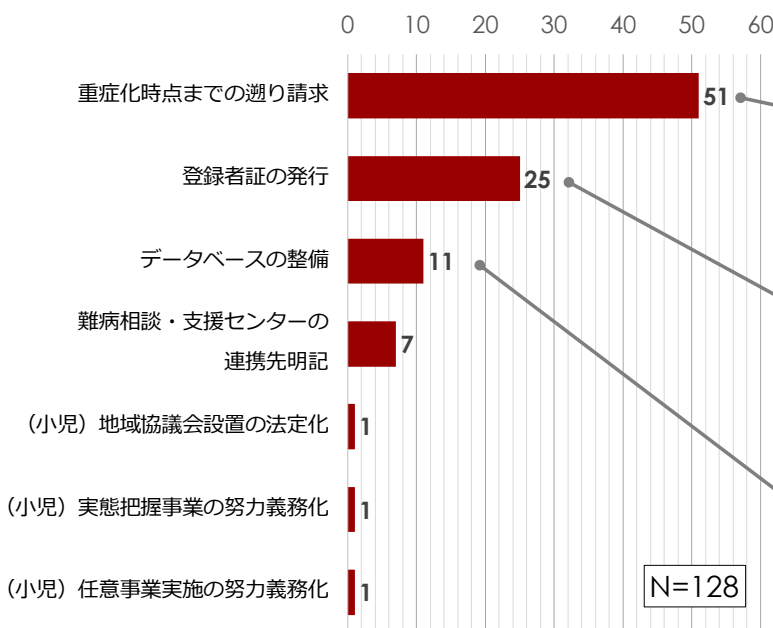
全体で128名の患者・家族らから回答を得た。

属性	患者本人	100 (78.1%)
	患者の親	15 (11.7%)
	その他	13 (10.2%)
医療費助成	指定難病かつ受給	62 (52.5%)
	指定難病だが未受給	28 (23.7%)
	指定難病でない	28 (23.7%)

性別	男性	41 (32.3%)
	女性	85 (66.9%)
	その他	1 (0.8%)
病歴	0～9年	39 (31.7%)
	10～19年	33 (26.8%)
	20～29年	15 (12.2%)
	30～39年	21 (17.1%)
	40年～	15 (12.2%)
障害者手帳	所持	56 (48.7%)

※ 欠損値を除く

## 成人の新しい難病対策の「良かった点」



重症と判断された時点から助成されるので、あわてて申請しなくてもよくなった。家族等のサポートがあればよいが、本人が申請書類を作成する場合は入院・通院しながら各機関での資料集めが負担になっていた。

私はまだ重症ではないため、現時点でも登録者証が発行されるのは、勤務先や初見の病院などで使えると思うので、助かる。

各疾患のデータベースはあるかもしれないが、難病という分類で作られると、よりわかりやすく患者も医療者も検索やデータベースを使いやすくなりそう。

「良かった点」のカテゴリごとの回答者数

※ 欠損値を除く

# 難病法による難病対策に対する当事者・家族の 評価に関するアンケート（2/3）

## 成人の新しい難病対策の「課題点」

カテゴリ	サブカテゴリ
対象者や認定の見直し	対象疾患の拡大
	トランジション問題
	難病指定プロセスの透明化
	認定方法の見直し
	認定タイミングの見直し
	軽症者の対象者からの除外
	重症度基準の実態との乖離
	重症化時点以前への遡り申請 「やむを得ない事情」の曖昧さ

小児慢性特定疾病であるが成人では指定難病に該当しない疾病の患者が、一律に支援を受けられないのは問題。病態や生活上の支障を考慮して、支援をすべき。

難病指定のプロセスの透明化。指定されない疾患などの理由の開示や議論のプロセスがもっと開かれるべきである。

重症度分類の見直しを行ってほしい。（重症度を判定する）質問項目が生活実態、症状の実態にあっていない。

難病の診断には時間がとてもかかり、その間の患者の負担は大きい。今回助成の開始が、申請日でなく判断された日から遡れるようにはなったが、診断日よりも病名疑いの時点で軽症と同等の助成が得られたらよい。

カテゴリ	サブカテゴリ
助成費用の拡充	交通・移動手段への助成
	医療費補助の拡充
	入院時の食事代の負担軽減
	高い診断書料
	入院・入所者への日常生活支援用具の給付・貸与
軽症者登録	メリットの不明瞭さ
	軽症者登録の広報不足

遡りの申請で「やむを得ない事情」の証明方法や解釈が不明瞭である。

入院または施設入所の方には日常生活支援用具の給付・貸与ができない地域がある。在宅でないことを理由に支給を断られることがあります。

軽症者の把握、データベース登録について、軽症者が登録に同意するメリットが薄い。どの程度の軽症者が把握できるのが中途半端である。

カテゴリ	サブカテゴリ
医療提供体制	専門医の不足
	難病診療可能な医療機関の拡充
	専門医・病院間の連携
	オンライン診療の推進
受給申請・更新手続き	申請の簡素化
	有効期間の延長
	申請のデジタル化

これまで埋もれていた軽症者全員を掘り起こす手立てが必要。そうでないと病態の全体像把握までに至らず、「軽症で推移する要因」を明らかにできない。

毎年の更新作業が大変。体調が悪い時に役所へ必要書類を持っていくことは辛いので、郵送なども検討してほしい。

ずっと続く難病なのに、1年更新の診断書が必要で手間がかかる。

カテゴリ	サブカテゴリ
調査・研究	研究環境の整備
	医薬品開発企業への支援
	新薬研究開発への補助
	データ共有
	実態把握調査の実施
	軽症者のデータ蓄積・研究
	日常生活データの活用
	データ利活用前の確実な本人同意 先進的な研究成果の広報

希少疾患ゆえにデータが集まらず、疾患の研究ができない。そのため指定難病に新たに指定されたり、さらなる研究の促進が期待できず、希少疾患は悪循環をたどるばかり。

現行の障害者全体への実態調査では難病の特性やニーズが正しく把握できず、難病の特性に沿った支援計画の立案に結び付いていない。

医師が診察を行う上ではあまり重視されない患者の日常生活の傾向やデータ、健診結果の傾向など、患者のQOLを向上させるための新たな発見ともなり得るデータがどこにも蓄積できていないことが残念に感じる。

データベースの作成は患者本人と家族にとって大変センシティブな情報となる。希少疾患は特定されやすい。ほかのデータベースとの連結も含めて、事前に患者の同意を必須にしてほしい。

# 難病法による難病対策に対する当事者・家族の評価に関するアンケート (3/3)

## 成人の新しい難病対策の「課題点」

カテゴリ	サブカテゴリ
就労・就学支援	難病当事者の法定雇用率への算入
	適切な合理的配慮の推進
	介護との両立
	インクルーシブ教育の充実
他の制度との公平性・連携	障害者施策との公平性
	がん・慢性疾患施策との公平性
	難病とがん制度の狭間
	民間医療保険への加入困難

難病があるが障害者手帳未所持の場合、就労で配慮が必要だが法定雇用率には算定されない現状がある。そのため、企業もメリットを感じにくく、まず就労することへのハードルが非常に高い。

合理的配慮を適切に受けられるかどうかという観点で、就労できても無理なく働き続けることが難しい。

今年、難病ではない病気で障害者手帳を取得したが、難病の指定難病医療受給者証と比べてはるかにサービスが充実しており驚いた。難病でも、障害者並みのサービスが受けられるように改善して欲しい。

疾患により難病対策とがん対策の両方に該当し、制度の狭間で適切な対策がなされない。

カテゴリ	サブカテゴリ
制度運用	相談支援窓口の一本化
	相談支援窓口の増加
	難病相談・支援センターの拡充
	自治体による格差
	マイナンバーカード連携情報不足
	マイナンバーカード連携における情報保護の徹底
	他制度との情報連携

介護保険や障害福祉をまたぐなど、難病療養においては他部門連携が大切だと思うが、縦割り役所仕事が多く、他部門に回されてしまう現実がある。情報共有をして、一つの窓口で様々なことを相談できるようになると良い。

自治体により、身体障害者手帳と難病の受給者証の両方で支援や補助を受けられるところと、身体障害者手帳のみが対象の自治体があり、統一してほしい。

マイナンバーにおいて、指定難病名が連携されない点。健康保険証などの連携において、どのような疾病であるか別途手動で連携することによるデメリットが気になります。

カテゴリ	サブカテゴリ
制度の周知・啓発	難病の現状の社会への発信
	難病法改正内容の社会への周知
	医療者の法律理解不足
	役所の法律理解不足
	相談窓口情報の広報
	患者会情報の広報

難病には遺伝的な疾患もあり、個人情報の保護には万全を期してほしい。その上で、社会全体に向けて難病に対する啓発をさらに進めてほしい。

主治医の難病法の理解が乏しいと、難病の患者が利用できる様々なサービスにアクセスしにくくなるのではないかと。広く医師に対して啓発活動を行って欲しい。

カテゴリ	サブカテゴリ
その他	改正が遅い
	附帯決議の実現
	当事者意見の取り込み
	患者会の支援
	難病対策という言葉の見直し

指定難病認定プロセスで、入り口である自治体によって、指定難病の該当者でも閉ざされる。自治体担当者のやる気、意思、理解不足など、主観で左右されることは改善すべき。

医師、支援者の意見を反映はできるが、患者さん自身の意見の数が少なく、患者さんの目線からの、意見反映が今後必要になると思う。

日本の患者団体・当事者団体の位置付けがきちんとしておらず、活動が社会から理解を得られにくい。社会制度のひとつとしての位置づけを明確にいただければ、PPI（患者・市民の医療参画）や障害者雇用促進法における情報提供など、参画できる機会が増えていく。

「難病対策」という言葉は難病にならないようにするものという印象を感じる。遺伝性疾患も多いため、難病対策という言葉は不適切である。

回答にご協力いただきました皆様、ありがとうございました。  
 こちらのパネルは右の二次元コードから電子ファイルをご覧ください。  
 また、本内容はJPAの仲間に掲載するほか、  
 Rare Disease Day2024 にてパネルを展開いたします。



# 小児の難病対策に対する当事者・家族の評価に関するアンケート（1/2）

## 調査の概要

2022年12月に実施された児童福祉法の改正による小児の難病対策について、当事者・家族視点で良かった点および残された課題点を明らかにするためにアンケートを実施しました。

- 収集：WEBを通した無記名自記式アンケートを実施
- 期間：2023年9月30日～11月8日
- 対象：難病（希少・難治性疾患、長期慢性疾患）の患者または家族  
（小児慢性特定疾病かどうかは不問）
- 倫理的配慮：①調査目的・方法の紙面での説明、②同意取得、③個人情報等を排して分析
- 質問：児童福祉法改正による難病対策の  
①評価できる点（良かった点）、②評価できない点（課題点）を自由記述回答
- 解析方法：回答内容の類似性にて分類し、カテゴリを作成・命名

## 回答者の属性

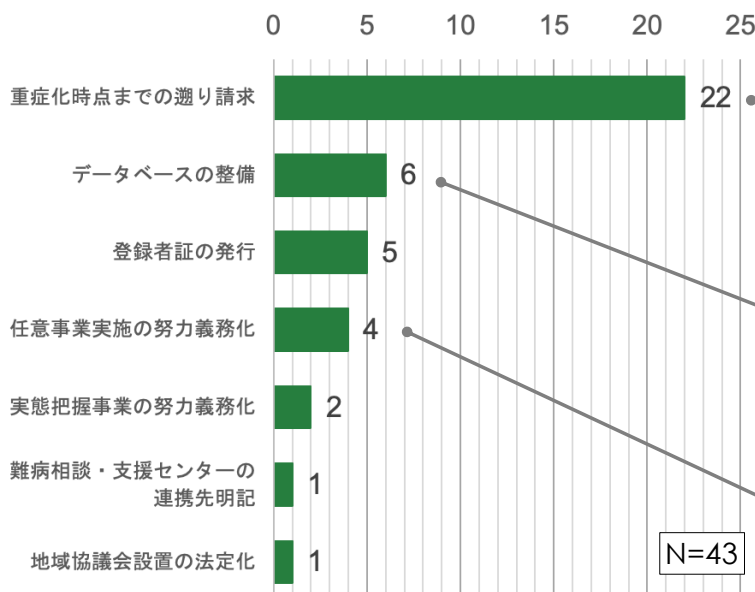
全体で43名の患者・家族らから回答を得た。

属性	患者本人	1 (2.3%)
	患者の親	39 (90.7%)
	その他	3 (7.0%)
医療費助成	対象疾患かつ受給	20 (51.3%)
	対象疾患だが未受給	13 (33.3%)
	非対称疾患で他の制度利用	2 (5.1%)
	年齢上限に達し非受給	4 (10.3%)

性別	男性	22 (55.5%)
	女性	18 (45.5%)
病歴	0～4年	16 (40.0%)
	5～9年	8 (20.0%)
	10～14年	5 (12.5%)
	15年～	11 (27.5%)
障害者手帳	所持	14 (32.6%)

※ 欠損値を除く

## 小児の新しい難病対策の「良かった点」



申請日から重症の診断を受けた日まで遡ってもらえるのはありがたい。急に難病かもしれないと言われ、仕事を休んで入院に付き添ったり、経済的に変化が起こるのは、病院で検査し始めた頃なので。

難病はデータが少なく、患者が得られる情報も少ない。医師の知識も少なく、データベースで新たな治療法の発見につながる可能性がある。

小慢の自立支援事業の強化について、努力義務であると明記されたことで、一歩進めることができると思う。

「良かった点」のカテゴリごとの回答者数

※ 欠損値を除く

# 小児の難病対策に対する当事者・家族の評価に関するアンケート（2/2）

## 新しい小児の難病対策の「課題点」

カテゴリ	サブカテゴリ
対象者や認定の見直し	対象疾患の拡大
	トランジション問題
	重症化時点以前への遡り申請
	「やむを得ない事情」の曖昧さ
助成費用の拡充	入院食費や個室代への助成
	食事療法への助成
	医療機器への助成
	診断書料の助成

小慢の医療費軽減が、20歳までとなっているが、今や大学や専門学校に進学するのが当たり前になりつつある中、20歳は学生で、収入がない状態で医療費支出負担が大きい。

小慢から成人の難病に移行する際に、同条件での移行が出来ない疾患については、生死に関わる場合もあるので基準を統一して欲しい。

〇〇病(内分泌疾患)は発症した時はまだ重症化していない。(発症時点から重症化を防ぐべく医薬品を飲むのであって、)遡り適応が重症と判断された時点では意味がない。

治療用の低たんぱく食品が一般的な製品より高い。生活必需品なので、小児慢性に対して広く理解がされて補助が広がると良いと思う。

カテゴリ	サブカテゴリ
医療提供体制	病院間の連携強化
	指定医療機関の増加
療養生活	医療と福祉との連携
	地域社会・学校との連携
	親なき後のフォローアップ
	成人後の重症心身障害者の受け入れ施設の少なさ
受給申請・更新手続き	受給者手続きの簡素化
	日常生活用具手続きの簡素化

コロナの時のようにいつもかかっている病院に出かけて受診できなかった時に、近所の病院で使えるように、全ての病院が小児慢性疾患や難病指定の受給者証を使えるようにしてほしい。

特別支援学校に入った場合、地域の子供たちと関わる機会がほとんどなくなると思う。地域社会から隔離されて思春期を過ごすことで、健常児の子供たちは健常児しかいない世の中に慣れてしまう。地域の小中学校と交流会が盛んに行われるようになると嬉しい。

カテゴリ	サブカテゴリ
調査・研究	研究開発の加速
	新旧データベースの引き継ぎ
就学支援	医療と学校との連携
	就学後の情報の少なさ
他の助成制度との兼ね合い	他の助成制度との兼ね合い

医療機器の購入時に、助成を使用しても一般販売価格と変わらず、更に手続きに時間を要するため手元に届くのにかなり時間がかかると言われた。すぐに使用したかったのもあり、結局助成は使わずに自己負担で購入した。

新設されたデータベースに、既存のデータも引き継いで格納されるのかも知りたい。

自治体の保健師が講演会や療養相談会を行なっているが、テーマが就学前が中心で就学後だと興味あるものがない。

カテゴリ	サブカテゴリ
制度運用	難病の管轄拠点の少なさ
	十分な運用予算配分
	マイナンバーカードへの不信感
制度の周知・啓発	法改正内容の周知
その他	法律制定時の附帯決議の実現
	特別児童扶養手当の収入制限撤廃

診察料金も乳幼児医療費で賄えるため、手続きをしてまで(小慢を)取得することのメリットを感じにくいです。

小児慢性を理解している保健所などの役所の拠点が少なすぎる。

附帯決議の内容は下記二次元コードから確認いただけます。



衆議院  
附帯決議



参議院  
附帯決議

回答にご協力いただきました皆様、ありがとうございました。  
こちらのパネルは右の二次元コードから電子ファイルをご覧ください。

また、本内容はJPAの仲間に掲載するほか、  
Rare Disease Day2024 にてパネルを展開いたします。

