

No. 42
2015.6

難病研究財団ニュース



公益財団法人 難病医学研究財団
Japan Intractable Diseases Research Foundation



目 次

巻頭の言葉「新しい「難病法」に思う」

評 議 員 金 澤 一 郎 2

1. 2015年から始まる難病対策

理 事 宮 坂 信 之 4

2. 財団の概要14

3. 平成 26 年度事業報告・決算16

(平成 26 年度の主な事業概要)

(1) 第 39 回医学研究奨励助成事業18

(2) 国際シンポジウム開催事業

「アジアにおける嚢胞性線維症－基礎から臨床へ－」

実行委員長 下 瀬 川 徹20

(3) 難病情報センター事業22

(4) 厚生労働科学研究（難治性疾患等実用化研究）推進事業

研究成果等普及啓発事業24

4. 平成 27 年度事業計画・予算26

5. 研究雑感「特発性造血障害と患者さんへの情報提供」

評 議 員 溝 口 秀 昭28

6. 新着情報

厚生労働省の難病対策に関する動向29



「新しい『難病法』に思う」

公益財団法人難病医学研究財団

評議員 金澤 一郎

(国際医療福祉大学大学院 教授)

<よくぞここまで来たものよ>

いわゆる難病に対して世界に先駆けて我が国が「光」を当て始めてから40年がすでに経過しました。ここで言う「光」とは、昭和47年10月に策定された難病対策要綱のことです。この光が差し始めるまでには、さらに数年以上の「薄日」のような状態がありました。奇病と言われたスモンに対する国からの援助などのことです。それは私がちょうど医学部を卒業した頃で、難病という名前を新鮮に感じたことを覚えています。その後、私は難病が多い神経内科を専門にしながら臨床医として過ごしてきました。誠に光栄なことに、40年ぶりの難病対策の大改定に際して、私は難病対策委員会の座長として直接関わりながら過ごしました。3年ほどかかりましたが、それが終了した今、よくぞここまで来たものよ、と感慨を深くしています。

<もうこれ以上はムリ>

いくら世界に先駆けて出発したとは言え、さすがに20年～30年も経てば、さしもの「難病対策」にもほころびが出始めます。難病指定における不透明さと医療費助成における地方自治体のなし崩しの負担増が最大の「ほころび」です。勿論その他にも、病名を含む登録患者の診療録の信頼度のなさも大きな問題でした。10年近く前から、こうした問題は囁かれはじめていて、当時の厚生省ではアドホックに委員会を設けて検討していました。ところが、残念ながら議論はすれども結論には至らず仕舞いという有様でした。それは無理もないことでした。なぜなら、もともと難病の定義さえ明確ではなく（このことは最後まで問題になりました）、また対象患者数がどこまで増加するのか全く不明なまま難病指定していた「ツケ」が回ってきたからです。ちょっとやそっとの「改訂」程度ではどうにもなくなっていたのです。さらに致命的なことは、難病対策の原資は国家予算ですから、青天井で増加させるわけにも行かず、基本的には「ゼロサム」状態でやりくりしているようなものだったからです。これでは根本的改革など出来ようはずはありません。さらに困ったことに、すでに指定されている病気の解明が進んである程度治療法が確立してきた難病であっても、患者が例え1人でもいる間は病気を難病から外して「卒業」させることはおよそ不可能だったことです。患者団体の立場に立ってみれば無理ないのですが、頭の痛いことでした。

こうした多くの問題を抱えながらも何とかやってきた難病対策も、どうにもならないと音を上げることになった要因は少なくとも2つあると思います。その一つは、難病指定から漏れた病気の患者団体からの強烈な「不満」です。何しろ、専門的に診れば細かいところで違うところがあるけれども臨床的にはほとんど違いがないのに、一方は医療費が援助されるのにもう一方は3割負担というのでは不満も爆発するでしょう。考えてみれば、もともと何千とも言われる難病のうち（これは、後に問題とされ、実際上は数百とみて良いと思われますが）、僅かに56疾患しか医療費の援助が受けられないという制度そのものに無理があったのだと言わざるを得ません。

もう一つの大きな問題は、先に触れた地方自治体の財政負担増の問題です。ご存じの方も多いとは思いますが、本来は国の医療費負担分は（国の財政が許す限りは、という条件付きで）50%で、残りの50%は地方自治体が負担するというようになっていました。ところが、国の財政事情が右肩下がり

であったために地方自治体の負担が増えて遂に70%を超えてしまったのです。ですから、もうこれ以上はムリというのが実情でした。

＜厚労省が本気で頑張る＞

ちょうどその頃、消費税を段階的に10%にまで増やし、社会保障を充実させるという「社会保障・税一体改革」という政府の方針が打ち出されました。この方向性を受けて、厚生労働省は本気になって、難病対策の大改革に乗り出すことになったわけです。こんなチャンスは二度とない、これを機会に難病対策の基本法を策定し、難病患者への医療費も社会保障の一つとして義務的経費扱いにしてもらおう、としたのです。けれども、この難病対策を社会保障に含めてもらうについても、かなりの努力が必要であった事は意外に知られていないように思います。厚労省の上層部で非常な努力をされたと聞いています。

こうした状況のなかで、厚労省の担当者が本当に良く頑張ってくれたおかげでこの度の大改革ができたと思います。勿論、歴代の担当者も良く頑張ってくれましたが、なにしろ「条件が整っていない」状況下での頑張りには限界がありました。でも、この度は色々と状況が整っていました。そこで、国政選挙がしばらくない状況になったところを見計らって、「法制化」を視野に入れた改革を、ということで突き進んだのです。それでも、色々と悩ましい問題はありました。例えば、難病の定義です。平成9年に審議会で「希少性」を打ち出したのは現実的なのですが、患者団体を納得させることは難しい状況でした。今回は、非常に政治的に「人口の0.1%程度以下」ということに落ち着きましたが、これも将来にわたって通用するかどうかには疑問があります。私にはむしろ「なぜ難病患者に医療費援助をするのか？（言い換えれば、なぜ同じように苦しんでいる「がん」患者達に医療費援助がないのか？）」という問いかけに対する答えがあまり明確でないのが気になっています。もちろん、「難病はその発症頻度が低いけれども、誰しもがかかる可能性がある疾患であり、こうした病気に対して光を当てることこそ、先進国としての国の在り方としてふさわしいのだ」と言い切って、法制化に向けてことを進めましたが、まだ、100点満点の答えではないように思えます。

さらに大きな問題は、医療費補助の対象疾患を具体的に56疾患からいくつにまで増やすのか、それを誰が選定するのか、透明性をどのようにして確保するのか、などにありました。けれども、これは別の委員会を設けて改めて検討することにして、まずは法制化に向けた動きを加速しました。私個人としては、現実的には我が国でいわゆる難病とされるものは数百程度であろう、それなら基本的にはその全てを医療費助成の対象としてはどうだろうか、但しその病気だからという理由で全ての患者を対象とするのではなく、ある一定以上の条件（日常生活に支障のある障害の程度、実際にかかる難病に対する医療費、収入のレベルなど）を満たす患者だけを対象とするのはどうだろうか、と色々な機会で発言してきました。平成27年1月1日から施行された「難病法」に基づいて、厚労省では特別の委員会を立ち上げ、対象とする疾患の選定を始め、最終的には300疾患程度になったと聞いています。また、「ある一定条件」についても、私の委員会ですでに基本路線は決めてありました。ですから、先に述べました私の考えは、基本的に受け入れて頂いたように思います。厚労省の方々を始めとして、法制化の実現に向けて活動して下さった各位に心からお礼申し上げたいと思います。ここまでの経過については、藤田雄大氏の「立法と調査」No.351, 68-86, 2014に詳しいので、ご参照下さい。

＜これからが大切＞

ここまでくると、何が大切なことであるかが良く分かってきます。当然ながらそれは新しい体制が実際にスムーズに作動するかどうか、と言うことです。特に、実際の難病患者に接する地方自治体の窓口での理解と厚労省の考え方との間に違いがあってはならないことです。そのためには、今からコミュニケーションを十分に取って欲しいと思います。さらに、指定医が正確な診断をしてくれることで蓄積されるデータベースが世界的にも通用する信頼に足るものであって欲しいと思います。5年後の「見直し」を経て、この平成の大改革がしっかりと根付くことを心から祈っています。

公益財団法人難病医学研究財団

理事 宮坂 信之

(東京医科歯科大学 名誉教授)

1) 難病とは？

我が国で「難病」という言葉がよく使われるようになったのは、いつ頃からのことでしょうか？それは昭和40年代で、スモンという病気が契機となっています。スモン（SMON; subacute myelo-optico-neuropathy）とは、視神経を侵し、同時に脊髄炎を合併する病気です。この病気は我が国にのみに見られ、しかも昭和42～43年頃に急増しました。しかし、当時は奇病と言われ、原因はわかっていませんでした。これを受けて、昭和44年に厚生省に調査研究協議会が組織され、研究班形式によるプロジェクト研究が行われた結果、翌年になってスモンと整腸剤キノホルムとの因果関係が初めて示唆されました。すなわち、全国的な疫学的調査などを行うことにより、キノホルムの服用によってスモンという病気が起こる可能性が示されたことになります。同年に厚生省がキノホルムの発売を中止したところ、その後の新規患者の発症は激減したことから、スモンの原因はキノホルムであると考えられるようになりました。

この事件そのものは、スモンの患者さんには大変お気の毒ですが、二つのことを示されたと思います。一つ目は、もしも難病の原因として「くすり」が関係をしているのであれば、この「くすり」を承認したのは国ですから、国として救済策を講ずるべきであるということです。二つ目は、難病といわれている病気でも、集中的にかつ多角的に研究を行えば、その原因が解明されるかも知れないということです。

このような流れの中で、難病に対する集中審議が国会で行われ、昭和47年に難病対策要綱が策定されました⁽¹⁾。この要綱の中において、難病は、1) 原因不明、治療方針未確定であり、かつ、後遺症を残すおそれが少なくない疾病、2) 経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず、介護等に等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、と定義されました。また、難病に対する対策の進め方としては、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つが挙げられ、難病の病因・病態の解明研究及び診療整備のみならず、難病に対する医療費の公費負担が初めて目指されることとなったのです。当初の調査研究の対象としては、スモン、ベーチェット病、重症筋無力症、全身性エリテマトーデス、サルコイドーシス、再生不良性貧血、多発性硬化症、難治性肝炎が選ばれ、特に前述の4つの病気が医療費助成の対象としてスタートしました。

このような包括的な難病対策の施行は世界に類をみない画期的なものであり、我が国の希少難病の病因・病態研究や新規治療法の開発に大きな貢献をしたことは間違いありません。従来、難病の新規治療法の開発研究は、1) マーケットが小さいこと（治療薬の対象となる患者さんが少なく、開発のメリットが少ないということ）、2) 病因が不明であるために治療薬の開発が難しいこと、などの理由から製薬会社からは敬遠されてきた傾向が否めませんでした。しかし、国が総合的な難病対策を実施することによって、初めて希少難病の治療法の開発にも光が当てられることとなったのです。

2) 難病対策の推移

その後、難病研究は進展をしましたが、同時に研究対象とする病気の数はいくつかに増加し、数百の病気について疾患概念の確立や治療法の開発などの研究が進められることとなりました⁽²⁾。また、医療費助成の対象疾患としては、「診断基準が一応確立し、かつ難治度、重症度が高く、患者数が比較的少ないため、公費負担の方法をとらないと原因の究明、治療法の開発などに困難をきたすおそれのある疾患」として、56疾患が特定疾患治療研究事業（医療費助成事業）の対象となりました。すなわち、この56疾患については、患者さんが申請をして担当医が調査票を書き、所定の審査をパスすれば、医療費は公費負担となったのです。

しかし、その後も対象とする病気の数はいくつかに増加したばかりか、対象患者数も増加の一途を辿り（図1）、平成23年度末の時点では対象患者数は78万人にまで増加しました。したがって、難病対策に掛かる経費はこの間に急速に増大したことになります。また、難治性疾患克服研究事業（研究費助成事業）の総予算が舩添大臣（当時）の時代に100億円にまで増額をされましたが、特定疾患治療研究事業（医療費助成事業）に要する予算はいくつかに必要となり、総計で400億円を超える状況となったのです。すなわち、難病研究の4倍にあたる金額が難病医療費助成に必要なになったわけです。また、本事業は都道府県が実施主体であったことから、国の財政悪化に伴って都道府県の超過負担が発生するという事態も発生し、予算事業としての限界を迎えつつあったのも事実です。さらに、公平性の観点より、難病に悩む患者さんとその家族から医療費助成の対象疾患のさらなる拡大と見直しの声も強く上がっていました。

3) 「難病の患者に対する医療等に関する法律」の成立と施行

このような状況を克服するため、平成26年5月23日に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として「難病の患者に対する医療等に関する法律」が成立し、施行期日は平成27年1月1日とされました（図2）⁽³⁾。これによって、難病の患者に対する医療費助成に消費税などの財源が充てられることとなり、安定的な医療費助成の制度が確立することとなったのです。具体的には、医療費の支給に関する費用は都道府県の支弁とし、国はその半分を負担することが明記されました。すなわち、治療費の公費負担分に関しては、国と都道府県で半分ずつ負担することになったのです。このほか、この法律の制定によって、国は難病の発症の機構、診断及び治療方法に関する調査及び研究を推進し、療養生活環境整備事業の実施することなども継続的かつ安定的に可能となりました。

4) 指定難病とは？

この法律の中では、医療費助成の対象とする疾患は新たに指定難病と呼ばれることとなりました。難病は、1) 発症の機構が明らかでなく、2) 治療方法が確立していない、3) 希少な疾患であって、4) 長期の療養を必要とするもの、という4つの条件を必要としています。指定難病にはさらに、5) 患者数が本邦において一定の人数（人口の約0.1%程度）に達しないこと、6) 客観的な診断基準（またはそれに準ずるもの）が成立していること、という2条件が加わっています（図3）。すなわち、指定難病は、難病の中でも患者数が一定数を超えず、しかも客観的な診断基準が揃っていること（さらに重症度分類で一定程度異以上であること）が要件としてさらに必要になります。

指定難病の選定にあたっては、厚生労働省指定難病検討委員会において上記の要件を満たし、な

おかつ重症度分類のあるものについて討議をし、さらにパブリックコメントを求めた後、厚生科学審議会疾病対策部会で承認をするというプロセスが取られました。まず、第1次実施分として110疾病が選定され、平成27年1月1日から医療費助成が開始されています（表1）⁽⁴⁾。さらに、5月13日には第2次実施分196疾病が決まり、合計306疾病が対象となることになり、これら追加分と併せて本年7月1日から医療費助成が開始されることとなっています（図4）（表2）⁽⁵⁾。これに伴って、指定難病患者は平成27年度には約150万人となり、医療費助成の事業規模は約1820億円となるものと推測されています。

5) 難病の診療体制

これまでは特定疾患（難病）の診断は、医師であれば誰でも行うことができました。しかし、今後は難病指定医のみが指定難病の新規診断を行うこととなったので、注意が必要です。難病の申請を最初にする際には、患者さんはまず難病指定医のところに行く必要があります。大学病院や大きな病院には、必ず難病指定医の先生がいます。難病指定医の役割は、1) 難病の医療費助成の支給認定申請に必要な診断書（臨床個人調査票）を作成すること、2) 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、の2点です。これによって、難病に関して正確な診断が可能になるばかりか、難病患者さんに対する正しい疫学データベースが構築されることになります。

上記の306の病気については、それぞれの病気の診断基準と重症度分類がすでに決められており、難病指定医は診断書（臨床個人調査票）に診断基準と重症度分類に関する判定結果を記入することになります。最終的な判定は、都道府県において所定のしくみで行われます。また、それぞれの病気の診断基準、重症度分類については、難病情報センターのホームページから見ることができます（<http://www.nanbyou.or.jp/entry/3643>）。

難病指定医の要件としては、1) 難病の診断または治療に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) 難病の診断または治療に5年以上従事した経験があり、一定の研修（1～2日間）を修了していること、が必要とされています。また、難病指定医の指定は5年毎に更新することとなっています。

協力難病指定医は、指定難病の更新の際に必要な診断書を作成できるようになっています。協力難病指定医の要件としては、難病の診断または治療に5年以上従事した経験があり、一定の研修（1～2時間）を修了していること、となっています。ただし、移行措置があります。法施行時の経過措置として、5年以上の診断・治療経験があり、指定難病の診断等に従事したことがある医師については、平成29年3月31日までに研修を受けることを条件に難病指定医となることができるとされています。

6) 難病の研究体制

これまで難病の研究体制は厚生労働省がつかさどってきました。難病に対する効果的な治療方法の開発と診療の質の向上を担保するための事業としては、難治性疾患政策研究事業と難治性疾患実用化研究事業の二つが行われてきました。

難治性疾患等政策研究事業では、難病患者の疫学調査に基づいた実態把握、客観的診断基準・重症度分類の確立、エビデンスに基づいた診療ガイドライン等の確立、診断基準・重症度分類・診療ガイドライン等の普及及び改訂などを行い、難病の医療水準の向上を図ることを目的としています⁽⁶⁾。

このためには、難病指定医が入力をする難病患者データベースがきわめて重要な役割を果たすことになります。

難治性疾患実用化研究事業については、日本医療研究開発機構が行う9つの推進分野（プロジェクト）の中の1つである「難病克服プロジェクト」として行われることになっています。ちなみに、日本医療研究開発機構では、国の健康・医療戦略推進本部が策定した戦略に基づくトップダウンの研究を目指して研究費の一元管理を行っており、9つの推進分野ごとにPD/PS（プログラムディレクター/プログラムスーパーバイザー）を中心とした課題管理体制が整備されることとなっています⁽⁷⁾。実際には、PD/PSの下にPO（プログラムオフィサー）を置き、事業運営を行います。すなわち、トップダウンで研究の質を管理することになります。

難治性疾患実用化研究事業では、遺伝子治療及び医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指した臨床研究、医師主導治験等の整備（新規治療法の開発・既存薬剤の適応拡大等）などが行われます⁽⁸⁾。このほか、「難病克服プロジェクト」の中では、疾患特異的iPS細胞を樹立、分化誘導、解析する技術を有する拠点の整備や創薬支援ネットワークを用いた創薬開発研究などを行うことを目指しており、平成32年頃までに難病をターゲットにした医薬品・医療機器の薬事承認や適応拡大を11件以上達成することを目標として掲げています。したがって、本プロジェクトでは、難病の病因・病態研究というよりは、新規治療法の開発研究を目指した方向性がより明確となっています。

難病に関するこの二つの事業は、両者はお互いに連携をしながら、治療方法の開発に向けた難病研究の推進に取り組むことが期待されています。平成27年度からは、前者の事業は厚生労働省が、後者は日本医療研究開発機構が担当をすることとなりました。

7) 難病の普及・啓発活動

難病の普及・啓発活動を行っている組織として、難病情報センターと難病相談・支援センターなどがあります。

難病情報センターは、厚生労働省の支援・指導のもとに公益財団法人難病医学研究財団が運営をしている組織です。難病患者及び家族および医療関係者に対して、療養生活あるいは診療上に必要な情報（疾患解説、診断・治療指針など）を、インターネットのホームページを通じて提供しています（<http://www.nanbyou.or.jp/>）。この他、国の難病対策、各種制度・サービス概要、難治性疾患研究班、患者会などに関する状況も提供しており、アクセス数は月250万件を超える最大の難病情報提供サイトとなっています。

難病相談・支援センターは、厚生労働省の支援のもとに平成15年度より各都道府県に設置された組織であり、実施主体は都道府県です。地域で生活する難病患者・家族などの日常生活上における悩みや不安などの解消を図り、療養生活の支援を行っています。

文 献

1. 難病対策要綱.
http://www.nanbyou.or.jp/pdf/nan_youkou.pdf
2. 難治性疾患克服研究事業臨床調査研究分野の対象疾患.
<http://www.nanbyou.or.jp/entry/511>
3. 難病の患者に対する医療等に関する法律.
http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/kenkou/nanbyou/
4. 指定難病第一次認定.
<http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000062437.html>
5. 指定難病第二次認定.
<http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-10601000-Daijinkanboukouseikagakuka-Kouseikagakuka/0000078463.pdf>
6. 難治性疾患政策研究事業.
<http://www.nanbyou.or.jp/entry/3626>
7. 日本医療研究開発機構.
<https://nk.jiho.jp/servlet/nk/release/pdf/1226638751248>
8. 難治性疾患実用化研究事業.
<http://www.nanbyou.or.jp/entry/3627>

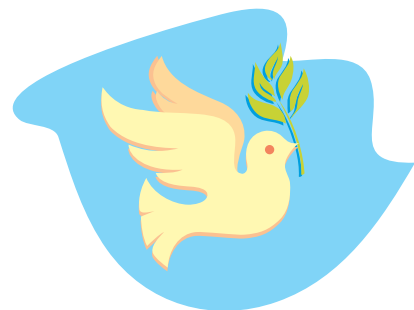


图 1

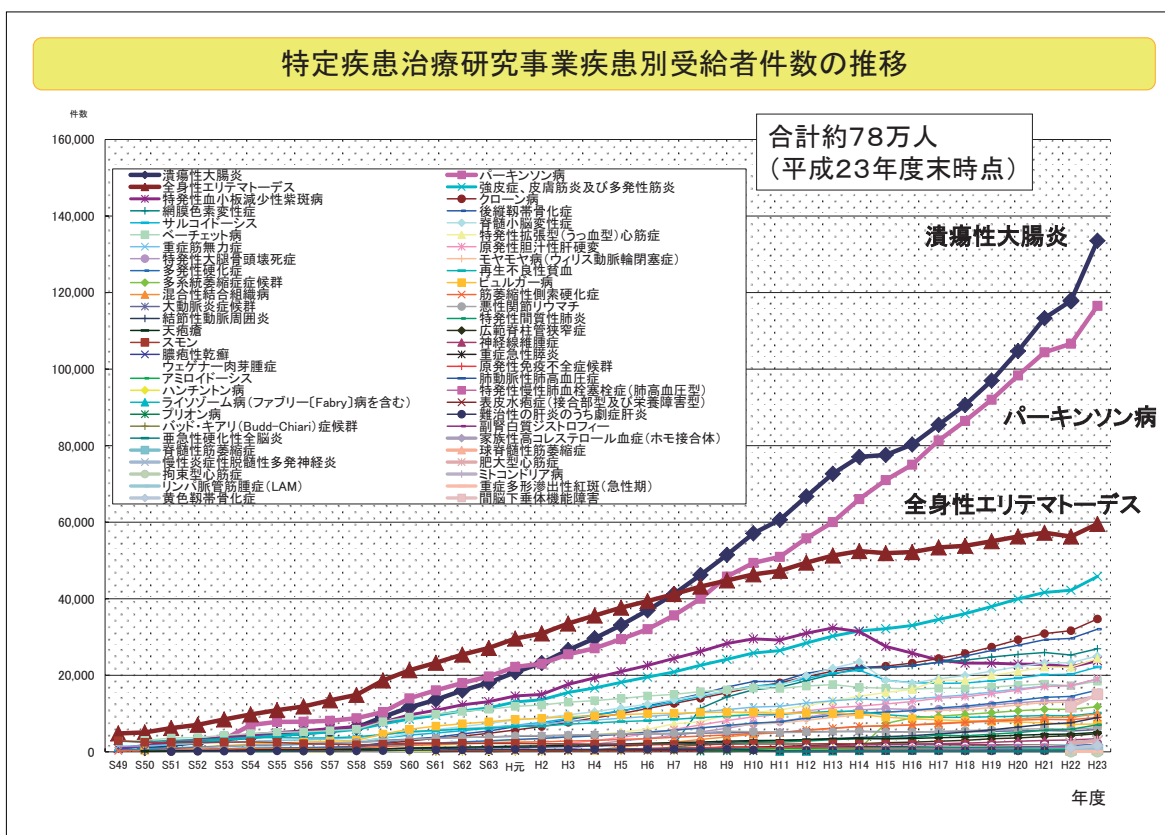


图 2

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)平成26年末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。

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、申請があっ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の支弁とし、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

図 3

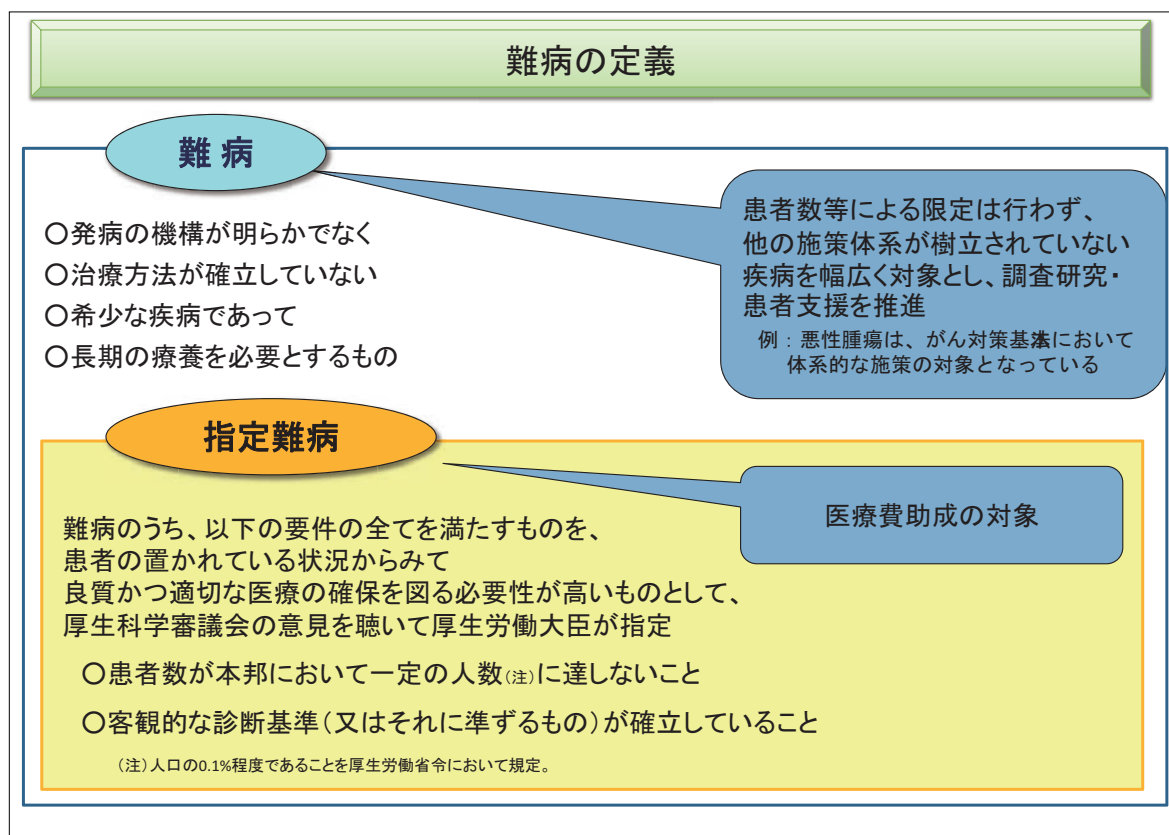


図 4

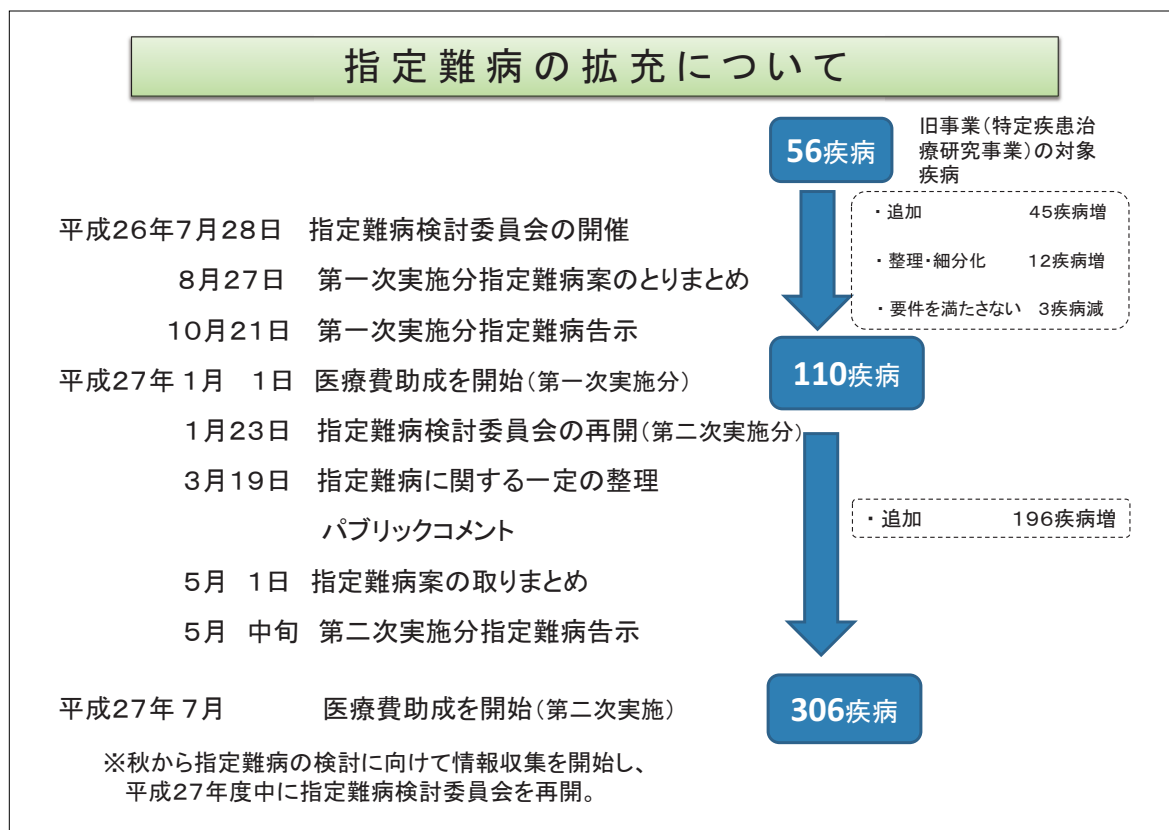


表1 難病の患者に対する医療等に関する法律第5条第1項に規定する指定難病
(1～110については平成27年1月から医療費助成を開始)

番号	病名	番号	病名
1	球脊髄性筋萎縮症	56	ベーチェット病
2	筋萎縮性側索硬化症	57	特発性拡張型心筋症
3	脊髄性筋萎縮症	58	肥大型心筋症
4	原発性側索硬化症	59	拘束型心筋症
5	進行性核上性麻痺	60	再生不良性貧血
6	パーキンソン病	61	自己免疫性溶血性貧血
7	大脳皮質基底核変性症	62	発作性夜間ヘモグロビン尿症
8	ハンチントン病	63	特発性血小板減少性紫斑病
9	神経有棘赤血球症	64	血栓性血小板減少性紫斑病
10	シャルコー・マリー・トゥース病	65	原発性免疫不全症候群
11	重症筋無力症	66	Ig A 腎症
12	先天性筋無力症候群	67	多発性嚢胞腎
13	多発性硬化症／視神経脊髄炎	68	黄色靱帯骨化症
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	69	後縦靱帯骨化症
15	封入体筋炎	70	広範脊柱管狭窄症
16	クロウ・深瀬症候群	71	特発性大腿骨頭壊死症
17	多系統萎縮症	72	下垂体性 ADH 分泌異常症
18	脊髄小脳変性症（多系統萎縮症を除く。）	73	下垂体性 TSH 分泌亢進症
19	ライソゾーム病	74	下垂体性 PRL 分泌亢進症
20	副腎白質ジストロフィー	75	クッシング病
21	ミトコンドリア病	76	下垂体性ゴナドトロピン分泌亢進症
22	もやもや病	77	下垂体性成長ホルモン分泌亢進症
23	プリオン病	78	下垂体前葉機能低下症
24	亜急性硬化性全脳炎	79	家族性高コレステロール血症（ホモ接合体）
25	進行性多巣性白質脳症	80	甲状腺ホルモン不応症
26	HTLV-1 関連脊髄症	81	先天性副腎皮質酵素欠損症
27	特発性基底核石灰化症	82	先天性副腎低形成症
28	全身性アミロイドーシス	83	アジソン病
29	ウルリッヒ病	84	サルコイドーシス
30	遠位型ミオパチー	85	特発性間質性肺炎
31	ベスレムミオパチー	86	肺動脈性肺高血圧症
32	自己食空腔性ミオパチー	87	肺静脈閉塞症／肺毛細血管腫症
33	シュワルツ・ヤンペル症候群	88	慢性血栓性肺高血圧症
34	神経線維腫症	89	リンパ管筋腫症
35	天疱瘡	90	網膜色素変性症
36	表皮水疱症	91	バッド・キアリ症候群
37	膿疱性乾癬（汎発型）	92	特発性門脈圧亢進症
38	スティーヴンス・ジョンソン症候群	93	原発性胆汁性肝硬変
39	中毒性表皮壊死症	94	原発性硬化性胆管炎
40	高安動脈炎	95	自己免疫性肝炎
41	巨細胞性動脈炎	96	クローン病
42	結節性多発動脈炎	97	潰瘍性大腸炎
43	顕微鏡的多発血管炎	98	好酸球性消化管疾患
44	多発血管炎性肉芽腫症	99	慢性特発性偽性腸閉塞症
45	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	100	巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症
46	悪性関節リウマチ	101	腸管神経節細胞減少症
47	パージャール病	102	ルビンシュタイン・ティビ症候群
48	原発性抗リン脂質抗体症候群	103	CFC 症候群
49	全身性エリテマトーデス	104	コステロ症候群
50	皮膚筋炎／多発性筋炎	105	チャージ症候群
51	全身性強皮症	106	クリオピリン関連周期熱症候群
52	混合性結合組織病	107	全身型若年性特発性関節炎
53	シェーグレン症候群	108	TNF 受容体関連周期性症候群
54	成人スチル病	109	非典型溶血性尿毒症症候群
55	再発性多発軟骨炎	110	ブラウ症候群

表2 難病の患者に対する医療等に関する法律第5条第1項に規定する指定難病
(111～306については平成27年7月から医療費助成を開始)

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
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
158	結節性硬化症

番号	病名
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	ATR-X 症候群
181	クルーゾン症候群
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	ブラダー・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	1p36 欠失症候群
198	4p 欠失症候群
199	5p 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
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

番号	病名
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	$\alpha 1$ -アンチトリプシン欠乏症
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	メーブルシロップ尿症
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
257	肝型糖原病
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

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

設立の経緯

現代医学の進歩は、多くの病気の原因を解明するとともに、その治療方法を確立して人々の健康の増進に大きく寄与してまいりましたが、今日なお原因が究明されず、治療方法も確立されていない病気は多く、その患者も相当数おられます。このため、患者の方々の苦しみやその家族の方々の経済的、精神的負担は大きく、また、誰がいつどこで罹患するかもしれないという不安があり、国民の関心は高くなっております。

このような難病の原因を解明し、治療方法を開発するには、医学はもちろん薬学をはじめ関連諸科学の連携と協力が重要です。より幅広い研究体制づくりや研究開発の方途を講ずるためには、政府の行う研究の助成にとどまることなく、民間資金による積極的な協力活動が望まれてまいりました。

このような情勢の中で、経済界をはじめ各方面からも積極的な協力を進めようとする気運が高まり、難病に関する研究の推進とその基礎となる医学研究の振興を図るために、各方面のご賛同を得て、昭和48年10月、財団法人医学研究振興財団が設立され、昭和59年9月には財団法人難病医学研究財団と名称を変更いたしました。その後、公益法人制度改革に伴い平成23年4月1日に、内閣府から公益財団法人としての認定を受け、公益事業への更なる取り組みを行っております。

財団の目的

本財団は、難治性疾患等に関する調査研究の実施及び助成、関係学術団体等との連携並びに関係情報の収集・提供及び知識の啓発・普及などの公益活動等の推進により、科学技術の振興並びに国民の健康と公衆衛生及び福祉の向上に寄与することを目的とする。

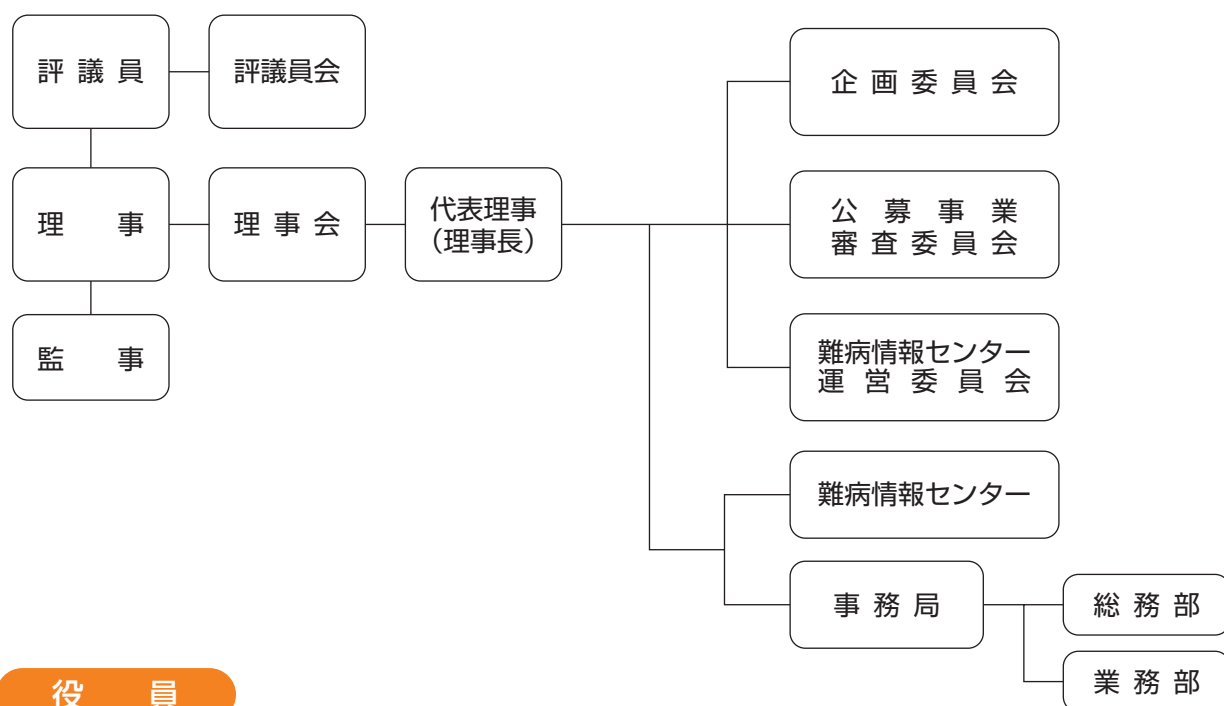
事業内容

本財団の目的を達成するため、難治性疾患等に関する次の事業を行う。

- (1) 調査研究の実施及び調査研究事業への助成
- (2) 注目すべき研究業績等に対する顕彰
- (3) 学術団体との連携及び協力
- (4) 情報の収集及び提供
- (5) 知識の啓発、普及
- (6) 医療従事者等に対する技術研修の実施
- (7) 書籍及び電子媒体等の編集、発行及び販売
- (8) その他本財団の目的を達成するために必要な事業

組 織

(平成27年6月30日現在)



役 員

理事長 (代表理事)	吉原 健二
専務理事 (代表理事)	遠藤 弘良
理事	北村 聖
〃	工藤 翔二
〃	宮坂 信之
〃	山本 一彦
監事	鹿毛 雄二
〃	松本 欣一

東京女子医科大学国際環境・熱帯医学講座 教授

東京大学大学院医学系研究科附属医学教育国際研究センター 教授

(公財) 結核予防会 理事長

東京医科歯科大学 名誉教授

東京大学医学部アレルギー・リウマチ内科 教授

ブラックストーン・グループジャパン (株) 特別顧問

公認会計士・税理士松本欣一事務所

評議員会

会長	高久 史磨
評議員	青木 清
〃	稲葉 裕
〃	金澤 一郎
〃	葛原 茂樹
〃	猿田 享男
〃	谷口 克
〃	仲村 英一
〃	廣瀬 和彦
〃	松谷 有希雄
〃	御子柴 克彦
〃	溝口 秀昭
〃	吉倉 廣

日本医学会 会長

(公財) 生存科学研究所 理事長

救世軍清瀬病院 副院長

国際医療福祉大学 名誉大学院長

鈴鹿医療科学大学大学院医療科学研究科 研究科長

慶應義塾大学 名誉教授

国立研究開発法人理化学研究所統合生命医科学研究センター 特別顧問

前(公財)結核予防会 理事長

城西病院附属クリニック 所長

国立保健医療科学院 院長

国立研究開発法人理化学研究所 脳科学総合研究センター

発生神経生物研究チーム シニアチームリーダー

東京女子医科大学 名誉教授

国立感染症研究所 名誉所員

1. 事業報告

(1) 公募事業

平成26年度医学研究奨励助成事業公募要領と平成27年度国際シンポジウム開催事業公募要領を定め、財団ホームページでのインターネットによる公募を行った。

応募期間 平成26年 6 月15日～7 月20日

応募件数 医学研究奨励助成事業（一般枠）38件、（臨床枠）19件
国際シンポジウム開催事業 3 件

採 択 医学研究奨励助成事業（一般枠） 6 件、（臨床枠） 4 件
国際シンポジウム開催事業 1 件
会議名「アジア太平洋プリオンシンポジウム2015」

実行委員長：山田 正仁（金沢大学医薬保健研究域医学系 教授）

(2) 国際シンポジウムの開催（公募事業）

- 1) 会 議 名 アジアにおける嚢胞性線維症－基礎から臨床へ－
- 2) 開 催 期 間 平成26年 9 月29日（月）～ 30日（火） 2 日間
- 3) 会 場 名古屋大学野依記念学術交流館
- 4) 参 加 人 員 104名（うち海外からの参加者 7 ヶ国、23名）
- 5) 実行委員長 下瀬川 徹（東北大学大学院医学系研究科消化器病態学 教授）
- 6) 後 援 厚生労働省

(3) 難病情報センター事業（厚生労働省からの補助事業）

- 1) 国の難病対策、病気の解説、各種制度・サービス概要、難治性疾患克服研究班情報などのコンテンツの更新、その他難病関連情報を収集、掲載した。アクセス総数は2,871万件（月平均239万件）、前年度比130%となった。
- 2) メールによる相談は、371件、電話等による相談は、190件あった。
- 3) アクセス集中対応のため、回線の増強や臨床研究へのリンクの開発を行った。
- 4) 既存パンフレットを改訂し、各都道府県の保健所、難病相談・支援センターなどの関係機関へ配布した。

(4) 難病相談・支援センター間のネットワーク支援事業（厚生労働省からの補助事業）

- 1) インターネット回線のSSL対応、疾患名検索機能の追加などのシステム開発を行った。
- 2) 各都道府県及び各難病相談・支援センター担当者等を対象としたワークショップを開催した。
 - ① 日時及び場所 平成26年10月16日（木）10：00～15：30 東京大学医学図書館会議室
 - ② 概 要 相談票・掲示板の説明、「相談援助職の記録の書き方」の講演、難病相談支援センターの役割についてのグループワーク、参加者22名

(5) 厚生労働科学研究（難治性疾患等実用化研究）推進事業（厚生労働省からの補助事業）

- 1) 厚生労働省の実施要綱に基づき、難治性疾患等実用化研究代表者を対象とし、下記の 3 事業について申請書類の郵送提出による募集を行った。

応募期間 平成26年 6 月11日～7 月 7 日

応募件数 外国人研究者招へい事業 3 件、日本人研究者派遣事業 2 件
若手研究者育成活用事業15件

採 択 外国人研究者招へい事業 1 件、日本人研究者派遣事業 1 件
若手研究者育成活用事業 6 件

2) 研究成果普及啓発事業

① 研究発表会「これからの難病研究～新しい治療法の開発～」

ア. 日時及び場所 平成27年1月25日(日) 13:00～17:30 JA共済ビルカンファレンスホール
イ. 概 要 患者、家族、難病に関わる研究機関、行政機関等を対象に実用化研究の状況や成果、今後の展望について講演、来場者127名

② アレルギーシンポジウム「子どものアレルギーを克服しよう!」、リウマチシンポジウム「リウマチ診療はここまで進歩した!」

ア. 日時及び場所 平成27年 2 月 8 日 (日) 9:30～16:30 津田ホール
イ. 概 要 患者、家族、医療、保健、学校関係者を対象に市民公開講座として、免疫アレルギー疾患に関する講演、来場者390名

(6) 広報事業

- 1) 財団独自のホームページを運営し、事業内容及び財務内容等を一般に開示した。
- 2) 財団ニュース第40号、41号を発刊し、厚生労働省難治性疾患克服研究班や賛助会員及び寄付者等に配布した。

2. 決 算

平成 26 年度貸借対照表 (平成27年3月31日現在)

(単位：円)

科 目	金 額	科 目	金 額
I 資産の部		II 負債の部	
1. 流動資産	35,373,852	1. 流動負債	8,112,021
2. 固定資産	2,353,165,870	2. 固定負債	2,707,000
(1) 基本財産	10,000,000	負債合計	10,819,021
(2) 特定資産	2,339,340,660	III 正味財産の部	
(3) その他固定資産	3,825,210	1. 指定正味財産	501,315,574
		2. 一般正味財産	1,876,405,127
		(うち基本財産)	(10,000,000)
		正味財産合計	2,377,720,701
資産合計	2,388,539,722	負債及び正味財産合計	2,388,539,722

平成 26 年度正味財産増減計算書 (平成26年4月1日～平成27年3月31日)

(単位：円)

科 目	金 額	科 目	金 額
I 一般正味財産増減の部		II 指定正味財産増減の部	25,350,612
1. 経常増減の部		III 正味財産期末残高	2,377,720,701
(1) 経常収益	139,071,667		
(2) 経常費用	143,118,540		
事業費	138,663,197		
管理費	4,455,343		
特定資産評価損益等	43,770,273		
当期経常増減額	39,723,400		
2. 経常外増減の部			
(1) 経常外収益	0		
(2) 経常外費用	0		
当期経常外増減額	0		
当期一般正味財産増減額	39,723,400		
一般正味財産期首残高	1,836,681,727		
一般正味財産期末残高	1,876,405,127		

(1) 第39回医学研究奨励助成事業 医学研究奨励助成金

本財団では、難治性疾患の本態解明と治療方法の研究開発等の推進を図るため、難病に関する基礎・臨床・予防分野において、その研究成果が難病の成因と治療の研究に有効な影響をあたえるものと期待される研究に携わる若手研究者（40才未満）に対し、医学研究奨励助成事業を実施しており、第39回を迎えました。

一般枠

〔助成対象研究の内容〕

厚生労働省が難治性疾患に指定している難病に関する基礎的研究で、その研究成果が難病の成因や病態の解明及び治療の原理に関わる研究

〔受賞者6名〕

吉崎 歩（東京大学医学部附属病院皮膚科・皮膚光線レーザー科 助教）

（受賞課題）強皮症におけるex vivo誘導性制御性B細胞の病態抑制作用と自己反応性に関する検討
（研究疾患）強皮症

丸山 健太（大阪大学免疫学フロンティア研究センター 特任助教）

（受賞課題）無痛症における感染性関節炎の病態生理に関する研究
（研究疾患）先天性無痛症

山下 雄也（東京大学大学院医学系研究科臨床医工学部門 特任研究員）

（受賞課題）孤発性筋萎縮性側索硬化症の薬剤治療法の確立
（研究疾患）筋萎縮性側索硬化症

松井 秀彰（宮崎大学医学部 助教）

（受賞課題）ゼブラフィッシュを用いたパーキンソン病のin vivo薬剤スクリーニング
（研究疾患）パーキンソン病

一瀬 邦弘（長崎大学病院第一内科 助教）

（受賞課題）イムノコンプレキソーム解析による中枢神経ループスにおける新規標的分子の解析
（研究疾患）全身性エリテマトーデス、中枢神経ループス

定方 哲史（群馬大学先端科学研究指導者育成ユニット 助教）

（受賞課題）クラス II ARFノックアウトマウスがライソゾーム病の症状を示すメカニズムを解明する
（研究疾患）ライソゾーム病

臨床枠

〔助成対象研究の内容〕

厚生労働省が難治性疾患に指定している難病の治療を目指す研究（限定）

〔受賞者4名〕

兼子 裕規（名古屋大学大学院医学系研究科 助教）

（受賞課題）不飽和脂肪酸摂取が加齢黄斑変性に与える影響

（研究疾患）加齢黄斑変性

笠木 伸平（神戸大学医学部附属病院 特定助教）

（受賞課題） γ 線照射療法と間葉系幹細胞を使った抗原特異的な免疫抑制療法の確立

（研究疾患）多発性硬化症

乃村 俊史（北海道大学病院皮膚科 助教）

（受賞課題）先天性魚鱗癬様紅皮症に対する新規治療法の開発

（研究疾患）先天性魚鱗癬様紅皮症

片岡 雅晴（慶應義塾大学医学部循環器内科 特任講師）

（受賞課題）日本最大規模患者サンプルネットワーク構築を通じた肺動脈性肺高血圧症における
long non-coding RNAの機能の解明

（研究疾患）肺動脈性肺高血圧症



第39回医学研究奨励助成金贈呈式 平成27年1月15日

(2) 国際シンポジウムの開催事業

「アジアにおける嚢胞性線維症－基礎から臨床へ－」

“Cystic fibrosis in Asia from basics to clinics”

実行委員長 下瀬川 徹

嚢胞性線維症 (cystic fibrosis) は、CFTR遺伝子変異を原因とする劣性遺伝性疾患である。粘膜上皮細胞のアニオンチャネルであるCFTRの機能不全のため、繰り返す肺炎、膵液の分泌不全による栄養不良、胎便性イレウス、男性不妊など多臓器の障害をきたす難病である。欧米に多く日本を含むアジアでは稀な疾患であり、主治医となった医師が参考のできる情報が最近まで国内にほとんどなく、基本的な治療薬が承認されていなかった。厚生労働省の難治性膵疾患に関する調査研究班は、5年毎に疫学調査を実施して受療患者数を把握するとともに、診断体制を整え、2012年には主治医を含む医療関係者、患者と家族、研究者、製薬会社の間で診療に関する情報を共有する嚢胞性線維症登録制度を立ち上げた。その間、家族会をはじめとする各方面の尽力により、嚢胞性線維症の基本薬が、国内で使えるようになった。このように、現在わが国では、嚢胞性線維症の診療体制が整いつつあり、嚢胞性線維症とCFTRに関する長い研究の歴史を持つ欧米から専門家を招いて診療と研究の方向性に関する意見交換を行うのに良いタイミングと考え、この国際シンポジウムを企画した。トピックスとしては、アジアにおける嚢胞性線維症の疫学と病態、嚢胞性線維症の栄養状態の評価と栄養管理、アジア型CFTR遺伝子変異の特徴と変異CFTRの生物学、CFTRの発現調節、アジアにおけるCFTR関連疾患を選び、18名のopinion leaderから個別化医療、チーム医療、肺理学療法まで幅広い内容を含む口演を聴くことができた。また、国内で嚢胞性線維症の診療にあたっている主治医から13演題（14症例）の症例報告（ポスター発表）をしていただいた。国内でこれほど多くの主治医が集まり症例呈示が一度にされたことはなく、基礎研究者を交えて診療における課題を共有することができただけでなく、欧米のopinion leaderの意見を聞く貴重な機会となった。本シンポジウムには、23名（7ヶ国）の国外参加者を含む104名が参加した。

シンポジウムでは2日間にわたり29題の口演が行われ、20題のポスター発表（うち13題が症例呈示）が行われた。CFTRの基礎生物学のセッションでは、Riordan氏（米国North Carolina大学）により嚢胞性線維症の原因遺伝子としてCFTRが同定された歴史的研究について、Hwang氏（米国Missouri大学）によりCFTRチャネルの分子構造と運動力学的モデルについて、相馬氏（慶應義塾大学）により原子間力顕微鏡を用いたCFTRの1分子観察について口演が行われた。ヨーロッパ人種とアジア人種

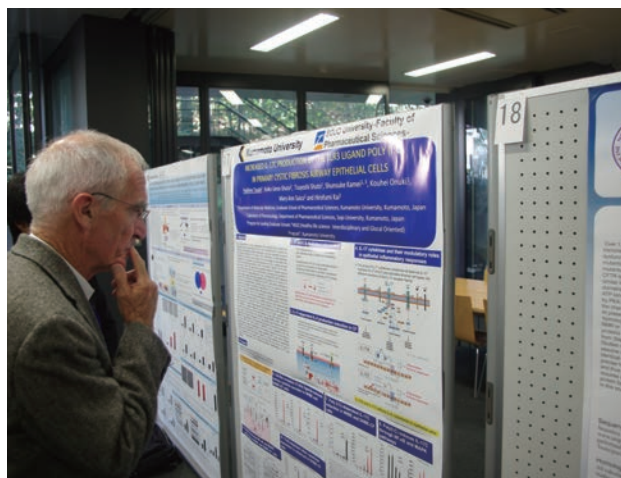
における嚢胞性線維症のセッションでは、Cutting氏（米国Johns Hopkins大学）により遺伝型表現型連関のデータベース（cftr2.org）について、Kim氏（韓国Yonsei大学）により韓国の最近の症例の詳細について、石黒氏（名古屋大学）により日本の症例の特徴と疫学および登録制度について、吉村氏（大森赤十字病院）により日本の症例の遺伝子変異と呼吸器病変の特徴について口演が行われた。膵外分泌とCFTRのセッションでは、Muallem氏（米国NIH）によりCFTRをkey moleculeとする細胞内調節メカニズムについて、山本氏（名古屋大学）により嚢胞性線維症モデル動物の膵導管細胞



下瀬川 徹 実行委員長



機能について、Lee氏（韓国Yonsei大学）によりCFTRのイオン選択性調節メカニズムについて、洪氏（慶應義塾大学）よりCFTRとSLC26アニオン交換輸送体との機能連関におけるARHGAP9の役割について口演が行われた。CFTRの病態生理のセッションでは、Chan氏（中国香港大学）により精巣および卵巣におけるCFTRの役割について、首藤氏（熊本大学）により β ENAC遺伝子改変により作成した嚢胞性線維症の肺病変動物モデルについて、沖米田氏（関西学院大学）により分子治療薬の作用機序と新規薬物の可能性について口演が行われた。嚢胞性線維症の新しい治療のセッションでは、Jaffe氏（豪州New South Wales大学）



により気道感染の早期診断の必要性和診断方法の開発について、Ratjen氏（カナダToronto大学）により慢性的な緑膿菌感染状態に至らないようにする治療法について、McElvaney氏（アイルランドBeaumont病院）により肺病変形成における好中球の機能低下の関与について、Powe氏（米国Vertex Pharmaceuticals社）により分子治療薬（CFTR corrector, potentiator）について、Rowe氏（米国Alabama大学）により分子治療薬を用いた個別化医療と効果判定の現状についての口演が行われた。嚢胞性線維症の診療では、栄養管理、肺理学療法、遺伝カウンセリングを含むチーム医療が必要であり、わが国でも早急に専門チームを作る必要がある。嚢胞性線維症のマネジメントのセッションでは、Wainwright氏（豪州Queensland大学）によりBrisbaneにおけるチーム医療の現状、Button氏（豪州Alfred病院）により最新の肺理学療法についての口演が行われ、専門家チームの構築と技量向上についての具体的な方策についてディスカッションすることができた。また、栄養療法のセッションでは、Matel氏（米国Stanford大学病院）により乳幼児期からの栄養維持の重要性、藤木氏（名古屋学芸大学）により日本における栄養指導の取り組みについての口演が行われた。CFTRの発現調節のセッション

では、Harris氏（米国Northwestern大学）によりCFTR遺伝子の転写調節部位と各種転写因子による調節ネットワーク、中荻氏（名古屋大学）により鼻粘膜スワブからのCFTR mRNAの解析、Amaral氏（ポルトガルLisboa大学）によりCFTR遺伝子変異のクラス分類と分子治療薬の作用機序についての口演が行われた。アジアにおけるCFTR関連疾患のセッションでは、Wei氏（中国南京中医科大学）により中国における慢性気管支炎とCFTR遺伝子多型の関連、正宗氏（東北大学）により日本における膵炎の遺伝的背景、成瀬氏（名古屋大学）により日本における慢性膵炎とCFTR遺伝子多型の関連についての口演が行われた。

全体討論としては、わが国の嚢胞性線維症のCFTR遺伝子変異の特徴、チーム医療の展開、将来の個別化医療の見通しについて話し合った。また、現在、登録制度事務局で把握されている国内の嚢胞性線維症患者は30名に満たない。軽症例が見逃されている可能性があり、稀な疾患を効率よく早期に診断するスクリーニングの手法について話し合った。

（東北大学大学院医学系研究科消化器病態学 教授）

International Symposium
"Cystic fibrosis in Asia from basics to clinics"
アジアにおける嚢胞性線維症
—基礎から臨床へ—

Date: September 29-30, 2014
Venue: Noyon Conference Hall,
Nagoya University, Japan

Overseas Invited Speakers:

Adam Jaffe (Sydney)	Noel G McElvaney (Dublin)
Tzyh-Chang Hwang (Columbia)	John Riordan (Chapel Hill)
Min Goo Lee (Seoul)	Hsiao Chang Chan (Hong Kong)
Shmuel Muallem (Bethesda)	Ann Harris (Chicago)
Felix Ratjen (Toronto)	Claire Wainwright (Herston)
Julie Matel (Palo Alto)	Garry Cutting (Baltimore)
Margarida Amaral (Lisbon)	Steven Rowe (Birmingham)
Muxin Wei (Nanjing)	Brenda Button (Prahran)
Jeong-Ho Kim (Seoul)	Fredrick Van Goor (Cambridge)

トピックス1: アジアにおける嚢胞性線維症の疫学と病態
トピックス2: 嚢胞性線維症の重症化の予測と栄養管理
トピックス3: アジア型CFTR遺伝子変異の特徴と変異CFTRの生物学
トピックス4: CFTRの発現調節
トピックス5: アジアにおけるCFTR関連疾患

主催: 公益財団法人 難病医学研究財団
アジアにおける嚢胞性線維症—基礎から臨床へ— 実行委員会
後援: 厚生労働省
共催: 名古屋大学総合保健体育科学センター

実行委員長: 下瀬川 徹 (東北大学大学院医学系研究科 消化器病態学)

事務局: 名古屋大学総合保健体育科学センター 石黒 洋
〒464-8601 名古屋市千種区不老町E5-2 (130)
Tel/Fax: 052-744-2183 E-mail: ishiguro@htc.nagoya-u.ac.jp
http://www.htc.nagoya-u.ac.jp/~ishiguro/hn/symposium.html

(3) 難病情報センター事業

「難病情報センター」では、厚生労働省が難治性疾患克服研究事業の対象としている疾患の解説や各種制度の概要及び各相談窓口、連絡先などの情報を厚生労働省などの支援によりインターネットで広く国民の皆さんに提供しています。

難病情報センターのホームページは<http://www.nanbyou.or.jp>で閲覧できます。

平成26年度において、当ホームページには月平均239万件のアクセスがあり、患者さんやその家族をはじめ、医療関係者など多くの方々にご利用頂いております。(図1)

また、利用者の利便性を図るため次の事業を実施しました。

1 トップページを改善し、検索欄を設置しました。

①「キーワードから探す」(図2①)

(入力欄に探したい情報を入力し、横にあるサイト内検索ボタンをクリックする。)

②「病名を50音索引から探す」(図2②)

(病気について知りたい、病気に関するいろいろな情報を得たいとき。)

2 急激なアクセスにも対応できるよう機器等を整備しました。

アクセス集中時により早く対応できるように回線契約を変更しました。

3 難病法施行に伴い、指定難病一覧情報を掲載(図2③)、またパンフレットを改訂し(図2④)、都道府県をはじめ各保健所等に配布しました。

4 「治験／臨床研究(試験)情報」へのリンク開発を行いました。

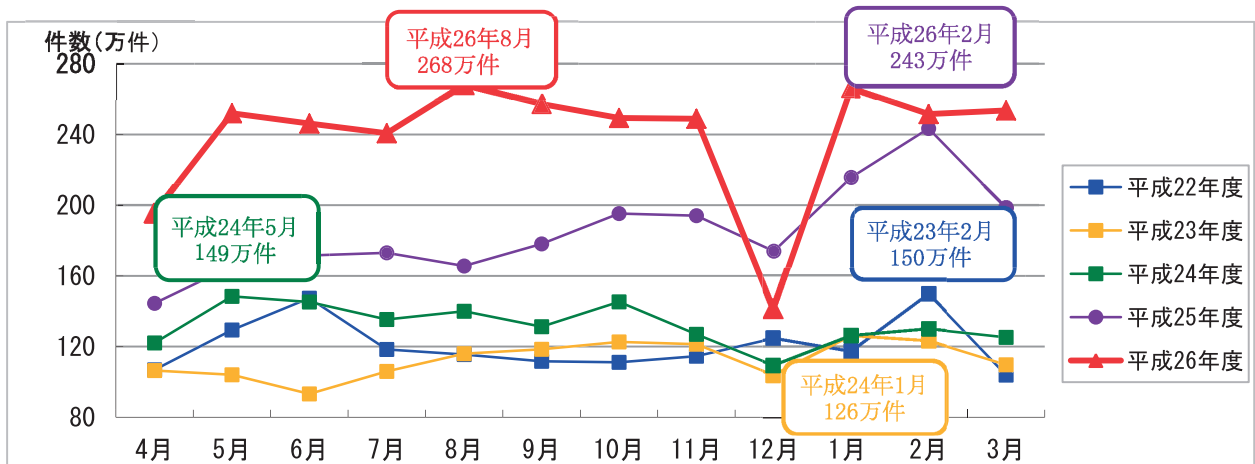
病気ごとの治験／臨床研究(試験)情報が確認できます。(図2⑤)

難病情報センターでは、今後も有用な情報の提供のため、内容の充実と利便性の向上などに努めながら、事業を遂行してまいります。

(図1)

○難病情報センターホームページアクセス件数の動向

平成26年度合計: 2,871 万件(月平均 239 万件)



(註) 平成23年2月、平成24年1月及び平成26年8月は芸能人、平成24年5月、平成26年2月はスポーツ選手などの疾患に関する報道による影響と思われる。

国の難病対策

病気の解説

お知らせ

患者団体一覧

お問い合わせ

当ホームページでは、患者さん、ご家族の皆様および難病治療に携わる医療関係者の皆様に参考となるような情報を厚生労働省健康局疾病対策課と協力して提供しています。

キーワードから探す

1

サイト内検索

病名を50音索引から探す

2

あ行

か行

さ行

た行

な行

は行

ま行

や行

ら行

※索引方法 例) パーキンソン病(ぱーきんそんびょう)→は行
※英略称の索引も可能です。例) ALS(えーえるえす)→あ行

国の難病対策

病気の解説

各種制度・サービス概要

難治性疾患研究班情報

患者会情報

FAQ 代表的な質問と回答例

画面を下方方向にスクロールすると、以下のように各主要コンテンツへのリンクボタンが表示される。



国の難病対策

- 難病対策の概要
- 「2015年から新たに始まる難病対策」
- 難治性疾患克服研究事業の概要
- 特定疾患治療研究事業の概要
- 難病特別対策推進事業
- 障害者総合支援法の対象疾病(難病等)
- 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
- 厚生労働省の難病対策に関する関係通知
- 次世代遺伝子解析装置を用いた難病の原因究明・治療法開発プロジェクト
- 特定疾患医療受給者証所持者数 年次推移 都道府県別
- 厚生労働省「政策について」審議会・研究会等
- 平成27年1月1日から難病法の施行の指定難病一覧
- 平成27年7月1日から難病法の施行の指定難病一覧



病気の解説

- 一般利用者向け(50音順・疾患群別索引)
- 診断・治療指針(医療従事者向け)(50音順・疾患群別索引)
- ※各疾患解説にFAQ(よくある質問と回答)もあります。

用語集



各種制度・サービス概要

- 相談窓口情報
- 難病支援関連制度一覧
- ▶ 制度の利用案内アニメ
- 就労支援関連情報
- 福祉機器関連情報
- 災害時関連支援情報
- 治験／臨床研究(試験)情報
- 参考情報

ドキュメンタリー 今を生きる



難治性疾患研究班情報

- 厚生労働省難治性疾患克服研究事業に関する情報(平成26年度～平成27年度)
- 臨床研究分野など
- 研究奨励分野(平成21年度～平成25年度)

患者会情報

難病情報センターのパンフレットダウンロード

公益財団法人難病医学研究財団
Japan Intractable Diseases Research Foundation
難病医学研究財団のその他の事業並びに賛助会員及び寄付などに関することはこちらをクリックしてください。

PDFをご覧になるにはAcrobat readerのプラグインが必要です。お使いのパソコンにAcrobat readerがインストールされていない場合はダウンロードして下さい。



※上記の画面右側のメニューは、随時変更される場合があります。

(4) 厚生労働科学研究（難治性疾患等実用化研究）推進事業 研究成果等普及啓発事業

1. 研究発表会「これからの難病研究～新しい治療法の開発～」

平成27年1月25日（日）13：00～17：30 JA共済ビルカンファレンスホール

来場者数 127名

☐はじめに

「国の難病対策について」

松倉 遊（厚生労働省健康局疾病対策課課長補佐）

「難病情報センターによる難病情報の提供の現状と展望」

宮坂 信之（公益財団法人難病医学研究財団難病情報センター運営委員長／
東京医科歯科大学名誉教授）

☐公開講座【第 1 部】

講演1「iPS細胞を用いた心筋再生医療の開発」

福田 恵一（慶應義塾大学循環器内科 教授）

講演2「産学官の連携による難治性疾患治療薬開発における課題点について」

稲垣 治（日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 委員長）

講演3「アカデミアにおける難病に対する医薬品・医療機器開発の現状と展望」

福島 雅典（公益財団法人先端医療振興財団臨床研究情報センター長／
京都大学名誉教授）

☐公開講座【第 2 部】

講演4「難治性神経疾患における病態機序解明と治療法開発への展望」

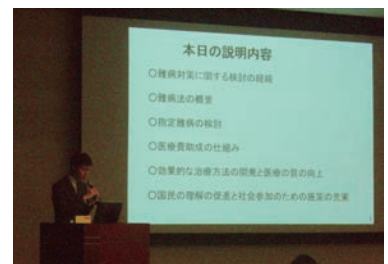
水澤 英洋（国立精神・神経医療研究センター理事・病院長／
東京医科歯科大学特任・名誉教授）

講演5「培養腸上皮幹細胞を用いた難治性炎症性腸疾患治療法の開発」

渡辺 守（東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科消化器病態学／
消化器内科 教授）

講演6「難病治療における患者連携・支援」

荻野 美恵子（北里大学医学部附属新世紀医療開発センター
横断的医療領域開発部門 講師）



2. アレルギーシンポジウム「子どものアレルギー疾患を克服しよう！」

平成27年2月8日（日）9：30～12：30 津田ホール

来場者数 123名

☐司 会

河野 陽一（独立行政法人労働者健康福祉機構千葉労災病院 院長）

□公開講座Ⅰ

講演 1 「アトピー性皮膚炎の上手な外用薬の使い方」

佐伯 秀久（日本医科大学大学院皮膚粘膜病態学 教授）

講演 2 「子どもの喘息治療のこつ」

荒川 浩一（群馬大学大学院医学系研究科小児科学分野 教授）

□公開講座Ⅱ

講演 3 「アレルギー性鼻炎の薬物療法と免疫療法」

岡本 美孝（千葉大学大学院医学研究院耳鼻咽喉科・
頭頸部腫瘍学 教授）

講演 4 「食物アレルギーの食事療法の進め方」

宇理須 厚雄（藤田保健衛生大学医学部 客員教授）



3. リウマチシンポジウム 「リウマチ診療はここまで進歩した！」プログラム

平成27年 2月8日（日）13：30～16：30 津田ホール

来場者数 267名

□司 会

宮坂 信之（公益財団法人難病医学研究財団難病情報センター運営委員長／
東京医科歯科大学名誉教授）

□公開講座【第 1 部】「リウマチ診療はここまで進歩した！」

講演 1 「薬剤師からみた安全なクスリの使い方とは？」

酒井 良子（東京医科歯科大学大学院薬害監視学講座 寄附講座助教）

講演 2 「リウマチの早期診断・早期治療とは？」

川上 純（長崎大学大学院展開医療科学講座リウマチ・膠原病内科学
（第一内科）教授）

講演 3 「関節破壊は止められますか？」

田中 良哉（産業医科大学第1内科学 教授）

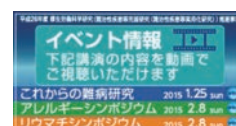
講演 4 「リウマチの手術とリハビリ」

田中 栄（東京大学大学院医学系研究科整形外科学 教授）

□公開講座【第 2 部】パネルディスカッション「リウマチ治療の更なる展望」



「難病研究発表会」「アレルギーシンポジウム」「リウマチシンポジウム」の講演は、
財団ホームページ（<http://www.nanbyou.jp/>）から動画で視聴できます。



1. 事業計画

(1) 公募事業

公募要綱及び要領を定め、平成27年6月15日～7月20日を応募期間とし、インターネットによる公募を行う。

- ① 贈呈予定者は一般枠と臨床枠を合わせて10名程度とし、助成金額は1名につき200万円
- ② 応募にあたっては厚生労働省難治性疾患政策研究事業研究代表者等の推薦を要する。
- ③ 女性研究者が出産や育児のため、これまでの期間に研究の中断期間がある場合は、満45才未満まで可能とする。

1) 医学研究奨励助成事業（一般枠）

難病に関する基礎的研究で、その研究成果が難病の成因や病態の解明及び治療の原理に関わる研究を対象とし、難病の専門分野における満40才未満の国内の研究者とする。

2) 医学研究奨励助成事業（臨床枠）

難病について患者を対象とした診断や治療を行う臨床研究あるいは疫学研究を対象とし、現に難病の診療に携わっている国内の医師とする。

3) 国際シンポジウム開催事業（平成28年度事業分）

難病の病態解明と治療法開発などの調査研究を推進し、医学研究の積極的な振興を図るため、国内外の研究者等が一堂に会し、研究成果等の発表や意見交換等を行う国際シンポジウム開催計画の課題等を公募する。

- ① 採択予定件数は原則1件とし、財団負担限度額は1,000万円の範囲内（負担限度額の200万円は、シンポジウムに参加する外国の若手研究者へのトラベルグラントとして使用）
- ② 平成28年4月1日から平成29年3月31日を開催対象期間とする。

(2) 国際シンポジウムの開催（公募事業）

- 1) 会 議 名 アジア太平洋プリオンシンポジウム2015
- 2) 開 催 目 的 プリオン病の疫学、診断や他疾患との鑑別、プリオン病の分子病態解明・治療法開発などのプログラムを企画し、プリオン病診療に貢献する。
- 3) 日 時 平成27年9月4日（金）～9月5日（土）2日間
- 4) 会 場 石川県立音楽堂
- 5) 主 催 公益財団法人難病医学研究財団
アジア太平洋プリオンシンポジウム2015実行委員会
〔実行委員長：山田 正仁（金沢大学医学保健研究域医学系 教授）〕
- 6) 参加予定人員 約150名（国外からの招待・参加候補者50名）

(3) 難病情報センター事業（厚生労働省からの補助事業）

難病患者及びその家族等の療養上の悩みや不安の解消を図るため、「難病情報センターホームページ」にて、国の難病対策、病気の解説、各種制度・サービス概要、難治性疾患克服研究班情報などの情報提供を行うとともに、メール等による問い合わせへの回答、パンフレットの作成、配布を行う。

(4) 難病相談・支援センター間のネットワーク支援事業（厚生労働省からの補助事業）

都道府県難病相談・支援センターにおける相談、支援業務の充実と効率化に資するため、難病相談・支援センター間のネットワークの運営を行う。

(5) 広報事業

- 1) 財団のホームページのリニューアルを行い、事業目的を明示し、事業概要や財務内容などを見やすく掲載することで、公益法人としての透明性、情報開示に務める。
- 2) 財団活動状況や助成金受賞者の研究報告概要等について掲載した機関誌「財団ニュース」を年2回発行し、賛助会員及び寄付者等に配布し広報を行う。

2. 予 算

(単位：千円)

1. 収入の部		2. 支出の部	
①賛助会費	1,060	①国際シンポジウム開催費	10,730
②受取会費	1,900	②医学研究奨励助成事業	46,695
③資産運用収入等	20,010	③難病情報センター事業	30,170
④国庫補助金等	28,415	④難病相談・支援センター間のネットワーク支援事業	9,451
⑤寄付金（一般及び事業用）	37,100	⑤その他法人運営費等	5,491
計	88,485	計	102,537



公益財団法人難病医学研究財団

評議員 溝口 秀昭

(東京女子医科大学 名誉教授)

特発性造血障害というのは病気の名前ではありません。いくつかの血液難病をまとめた総称です。

昭和47年（1972年）に再生不良性貧血が難病に指定されたのに引き続き、昭和48年（1973年）に特発性血小板減少性紫斑病（ITPと略されます）が難病に指定され、昭和49年（1974年）に溶血性貧血が難病に指定されました。ただし、難病の研究には調査研究と治療研究がありますが、当時、治療研究の対象となると医療費が全額補助されました。血液難病のうち治療研究の対象となったのは再生不良性貧血とITPだけでした。

昭和52年（1977年）に当時京都大学の教授であった内野治人先生がこれまでの血液難病の研究班をまとめられ特発性造血障害調査研究班を作られました。したがって、特発性造血障害には再生不良性貧血、溶血性貧血とITPが含まれますが、内野先生は新たに不応性貧血を加えられました。この不応性貧血が現在高齢化社会をむかえ増加し問題となっている骨髓異形成症候群（MDSと略されます）です。その後、ITPは血液凝固異常症の研究班に移り、新たに骨髓線維症が加わっています。

その後の研究で溶血性貧血のうち発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNHと略します）の一部は再生不良性貧血と近縁の病気であることがわかり、不応性貧血の一部は再生不良性貧血と近縁の疾患であることがわかりました。このような例では血液の幹細胞の異常に免疫的な機序が加わって起こり、免疫抑制剤が効くことがわかってきました。初めは関連がないように思われた疾患の総称として特発性造血障害という言葉が使われましたが、今となってはまとめた意味は大きかったと考えられます。海外では同様の疾患群を骨髓不全症候群としてまとめています。

この分野の治療の進歩は著しいものがあります。骨髓バンクや臍帯血バンクの設立、PNHの溶血を止めるエクリズマブ、輸血による鉄過剰症を治療するデフェラシロクス、MDSに対するレナリドミドやアザシチジンの開発など日進月歩であります。このような情報を適切に患者さんたちに伝える必要があります。

難病を含め多くの病気には患者さんの会があります。再生不良性貧血に関係する患者さんの会の「再生つばさの会」は各地で講演会を開催し、患者相談会を開催しています。平成5年（1993年）に特発性造血障害調査研究班の班長になった時に厚生労働省の意向もあり、研究班を社会とつなげようと考えました。そこで、患者さんの会の方々に年2回行われる班会議に参加してもらえないか声をかけましたところ喜んで参加するとのことでした。それによって各地の専門家と患者さんとの結びつきもできよかったと思いました。

以前から基礎的な研究を臨床的な患者さんの治療に結びつけることの重要性は言われてきましたが、さらに患者さんの会などを通じ社会へと結びつけることが重要であると考えています。その点で、難病医学研究財団のホームページからアクセスできる難病情報センター（<http://www.nanbyou.or.jp/>）の役割は大きいと思います。ぜひご利用ください。

⇒ 厚生労働省の難病対策に関する動向 ⇐

注) 詳細については、厚生労働省ホームページをご参照ください。

1. 政策関係

(1) 難病対策の改革に関する経緯

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
	12月1日	第18回難病対策委員会「今後の難病対策の検討に当たって」(中間的な整理)
平成24年	2月17日	社会保障・税一体改革大綱
	8月16日	第23回難病対策委員会「今後の難病対策の在り方」(中間報告)
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
	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
平成26年	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)
	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)
	10月21日	指定難病(第一次実施分)を告示(厚生労働省告示第393号)
	11月12日	「難病の患者に対する医療等に関する法律施行令及び施行規則」公布(政令第358号、厚生労働省令第121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)
	5月13日	指定難病(第二次実施分)を告示(厚生労働省告示第266号)
	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)

(2) 国の平成27年度予算が平成27年4月9日に成立

(参考) <http://www.mhlw.go.jp/wp/yosan/yosan/15syokanyosan/dl/gaiyo-03.pdf>

平成27年度難病対策に関する主な予算 【計1,231億円】

○難病医療費等負担金など 【1,119億円】

難病患者への新たな医療費助成については、平成26年5月に成立した「難病の患者に対する医療等に関する法律」に基づく新たな制度として平成27年1月から施行されたが、平成27年夏には更に対象疾病を拡大し、本格実施を図る。

○難病相談支援センター事業 【3.1億円】

各都道府県に難病相談支援センターを設置し、難病患者が社会生活を送る上での療養上及び日常生活上の問題についての悩みや不安を取り除く支援や相談・助言を行い、難病患者の社会参加を推進する。(47ヶ所)

○難病医療提供体制整備事業 【1.3億円】

新たに都道府県が指定する「難病医療拠点病院」(総合型)に「難病医療コーディネーター」を配置し、難病患者の医療提供支援や就労支援をはじめとした社会参加を支援する。

○難病患者地域支援対策推進事業 【1.2億円】

保健所を中心に「難病対策地域協議会」を設置するなど、地域の医療機関、市町村等の関係機関との連携の下に、保健、医療及び福祉の総合的なサービスの提供を要する難病患者に対し、療養上の不安解消を図り適切な支援を実施する。

○難病対策の推進のための患者データ登録整備事業 【0.6億円】

難病患者データの精度の向上と有効活用を図るため、患者・医療現場に成果を還元できる患者データ登録システムを構築する。

○難病情報センター事業 【21百万円】

難治性疾患克服研究事業等の成果、専門医・専門医療機関の所在、公的サービス、最新の認定基準、治療指針及び症例等の情報を収集・整理し、難病患者、家族及び医療関係者等に対する情報の提供等を行う。

○難病相談・支援センター間のネットワーク支援事業 【8百万円】

在宅での医療・介護を必要とする難病患者を支援し、難病患者が安心・安全な生活が営めるようにするため、都道府県難病相談・支援センター間のネットワークの構築等を行う。

○難病に関する調査・研究などの推進 【103億円】

難病研究を総合的・戦略的に実施するため、全国規模のデータベースにより集められた難病患者の情報を活用するなどして、疫学調査、病態解明、新規治療法の開発、再生医療技術を用いた研究を行う。

また、極めて患者数の少ない疾病等に対する医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発に対する支援を実施する。

2. 厚生労働省における難病対策の審議状況

平成27年6月16日に開催された「厚生科学審議会疾病対策部会第40回難病対策委員会」において「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 骨子案」が提示された。

(参考) <http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000088883.html>

基本的な事項について

1. 難病の患者に対する医療等の推進の基本的な方向
2. 難病の患者に対する医療費助成制度に関する事項
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
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
5. 難病に関する調査及び研究に関する事項
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
7. 難病の患者の療養生活の環境整備に関する事項
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
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

当財団の賛助会員・ご寄付をいただいた方々

当財団の事業にご賛同をいただき、賛助会員へのご加入、ご寄付を賜りました。
ご支援、ご協力ありがとうございました。

(平成27年4月1日現在)

賛助会員（法人）

旭化成ファーマ株式会社
株式会社アンテリオ
株式会社オズ・インターナショナル
小野薬品工業株式会社
杏林製薬株式会社
協和発酵キリン株式会社
大中物産株式会社
田辺三菱製薬株式会社
中外製薬株式会社
東京女子医科大学
公益社団法人日本看護協会
一般社団法人日本血液製剤機構

賛助会員（個人）

医療法人回生会熊本回生会病院
榎並 和廣 河原 慎一
侯 殿昌 佐山 高一
宗前 健造 富樫 尚夫
中田 肇 野崎 悟志
野谷 恵 安永 成志

(平成26年度)

ご寄付をいただいた方々

一般社団法人津守病院 様	株式会社タケショウ 様
株式会社フジトランスコーポレーション 様	からだケアルーム クオリア 様
京都ともいき司法書士事務所 様	東京三軒茶屋ライオンズクラブ 様
青本 忠彦 様	秋山 勝弘 様
安藤 俊 様	五十嵐 邦明 様
河野 公俊 様	小比類巻 敏 様
齋藤 恵美 様	笹子 勇 様
品川 淳 様	白石 洋子 様
寺内 由佳 様	永井 拓 様
西山 豊一 様	野崎 悟志 様
箱田 久則 様	福原 卓也 様
フリーマーケットバード 様	フリマガーデン 様
古屋 文男 様	松井 まり子 様
山本 勝利 様	余郷 達也 様
吉村 嶺 様	渡辺 信子 様
匿名ご希望 26名様	
	阿部 円香 様
	大西 瞳 様
	小山 大 様
	佐藤 元基 様
	武田 哲也 様
	長澤 美恵 様
	野谷 恵 様
	藤山 修 様
	古澤 佑介 様
	毛筆筆耕専門ゆかり筆耕 様
	吉野 剛史 様
	藁谷 定夫 様

賛助会員へのご加入及びご寄付のお願い

当財団は、主に難治性疾患等に関する調査研究及び研究奨励助成並びに関係情報の提供などを行っている公益財団法人であり、事業運営は、主に賛助会員による会費、一般の方々及び法人様からの善意のご寄付並びに国庫補助金及び資産運用益によって賄われております。

円滑な事業運営により、難病で御苦勞をされておられる患者さん及びご家族のご期待にお応えするべく極力努力しております。

つきましては、皆様方のご理解とご支援、ご協力をお願い申し上げます。

■ご寄付について

ご寄付はすべて公益事業に使用いたします。

金額は問いませんので、当財団へご連絡をお願いいたします。

また、規程に基づき当財団からの感謝状の贈呈があります。

■寄付等に関する所得税、法人税、相続税の取り扱いについて

当財団は公益財団法人となっており、当財団へのご寄付や賛助会費は、所得税、法人税、相続税についての税法上の優遇措置が受けられます。なお、個人の方からのご寄付につきましては「所得控除」または「税額控除」のいずれか一方を選択することができます。

※詳しくは、納税地の税務署にお尋ねください。

■手続きについて

		寄付等の種類	申込手続き	お振込先
賛助会員 (年間)	法人 (団体)	1口 10万円 (1口以上何口でも結構です)	入会申込書 (ご送付いたします) ※当財団ホームページ からも申込書を ダウンロードできます	【三井住友銀行】 麹町支店 普通預金 No. 0141426 【みずほ銀行】 神田支店 普通預金 No. 1286266 【三菱東京UFJ銀行】 神田駅前支店 普通預金 No. 1125491 【郵便振替口座】 00140-1-261434 ≪口座名義人≫ コーポレーション 公益財団法人 ナビゲーション・カンファレンス・イノベーション 難病医学研究財団
	個人	1口 1万円 (1口以上何口でも結構です)		
寄付 (随時)		金額は問いません	寄付申込書 (ご送付いたします) ※当財団ホームページ からも申込書を ダウンロードできます	

◎ご不明の点は、財団事務局までお問い合わせ下さい。

発行所 公益財団法人 難病医学研究財団

〒101-0063 東京都千代田区神田淡路町 1 丁目 7 番地
ひまわり神田ビル 2 階

電 話 03 - 3257 - 9021

<http://www.nanbyou.jp>

【難病情報センター】

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