

県単指定難病 原発性慢性骨髄線維症の見直しについて

1 事業の概要について

患者数が比較的少ない疾患について、その原因を究明し、治療方法の開発等に資することを目的として、県が独自に4疾患（橋本病、特発性好酸球増多症候群、原発性慢性骨髄線維症、溶血性貧血）を指定し、医療費の自己負担分を所得の状況に応じて補助している。原発性慢性骨髄線維症については、平成20年10月から疾患追加となった。

2 県単指定難病の指定基準

県単指定難病は、国の難治性疾患克服研究事業（臨床調査研究分野）（H25まで）の対象疾病（130疾病）のうち、国の難病に係る医療費給付対象外であって、

- ① 重症化し家族の介護等が必要となる可能性がある
- ② 手術等の治療により多額の治療費がかかる等経済的負担が大きい
- ③ 働き盛りの者がかかると就労が困難になることの3条件の該当性を踏まえ、

患者及びその家族の生活面全般の変更を余儀なくされる等の観点から、難治性、重篤度の高い疾患を選定している。

3 埼玉県における原発性慢性骨髄線維症の受給者数

H23	H24	H25	H26	H27	H28	H29	H30	R1	R2	R3	R4
0	9	13	17	17	13	28	30	40	71	79	84

4 見直し理由

(1) 制度開始から約13年が経過し、近年の医学的知見を反映していない。

→近年の医療技術の進歩により、遺伝子解析による早期診断が可能となり、2017年改訂のWHO分類において、prePMF（前線維期PMF、線維化やdrytapの有無は問わない）が設けられた。

(2) 専門審査委員、臨床調査個人票を記入する医師から近年の医学的知見を反映していない等の意見があがっている。

5 見直しの基本方針

(1) 難病の概念、県単指定難病の指定基準に沿って見直す。

(2) 見直しにあたっては、先行して見直しにあたった東京都を参考にする。