

児童福祉法6条の2第1項の規定に基づき厚生労働大臣が定める小児慢性特定疾病及び同条第2項の規定に基づき当該小児慢性特定疾病ごとに厚生労働大臣が定める疾病の状態の程度の一部を改正する件（令和4年厚生労働省告示第102号）に関するQ&A

No.	大項目	中項目	質問	回答
○ 平成26年厚生労働省告示第475号（以下「告示」という。）各表備考欄（第八表を除く。）「疾病の状態の程度に定める症状を呈していない者に対する治療を行う場合であって、当該治療が当該症状を呈すると予測されるものに対して行う治療として保険適用されている場合は、疾病の状態の程度を満たすものとする。」について				
1	小児慢性特定疾病 医療支援	共通	どの疾病が対象となるのか。	告示で定める疾病の状態の程度において「症状」で規定されている疾病。現状、第十一表「脊髄性筋萎縮症（告示番号40）」のみを想定している。
2	小児慢性特定疾病 医療支援	共通	「症状を呈すると予測される者」の判断はどのように行うのか。	遺伝子検査により告示で定める疾病と診断されること。
3	小児慢性特定疾病 医療支援	共通	「症状を呈すると予測される者に対して行う治療」とは何をさすのか。	現時点では第十一表「脊髄性筋萎縮症（告示番号40）」のうち、臨床所見は発現していないが、遺伝子検査により発症が予測される者に対する薬剤治療を想定している。
4	小児慢性特定疾病 医療支援	共通	「予測される」時点で医療費助成の申請があった場合、疾病の状態を満たしていなくても認定して良いか。	差し支えない。ただし、遺伝子検査により、第十一表「脊髄性筋萎縮症（告示番号40）」のうち、発症が予測され、かつ見込まれる治療内容が医療意見書に明確に記載されていることが必要である。
5	小児慢性特定疾病 医療支援	共通	遡りの申請が可能か。	不可。遺伝子検査で診断された際、速やかに医療意見書を記載し、申請いただくこと。
6	小児慢性特定疾病 医療支援	共通	第十一表「脊髄性筋萎縮症（告示番号40）」に対する遺伝子治療薬である「ゾルゲンスマ」は対象となると整理して良いか。	お見込みのとおり。