

## Q&A



### Q 指定難病の申請をしないと、どうなりますか？

A 通常の保険診療となり、治療費の3割相当（サラリーマンの場合）を自己負担します。自己負担額の大きい治療を受けられる場合は、治療開始前に申請を済ませておくようにしましょう。

### Q 申請した場合、いつから医療費の公費負担の対象となりますか？

A 申請日からさかのぼり、原則1ヵ月以内の「重症度分類を満たしていることを診断した日」からとなります。ただし、診断日から1ヵ月以内に申請を行わなかったことについて、やむを得ない理由があるときは最長3ヵ月まで延長されます。

### Q どの医療機関の治療費でも負担してもらえますか？

A 都道府県知事等が指定した医療機関（指定医療機関）を受診した場合のみ、公費負担の対象となります。指定医療機関については、都道府県・指定都市のホームページ等をご確認ください。

### Q 同じ月に2ヵ所の医療機関にかかった場合、自己負担上限額はどうなりますか？

A 例えば、指定医療機関の病院を受診して、そこで交付された処方箋を指定医療機関の薬局で調剤してもらう場合、病院と薬局の2ヵ所で自己負担が発生します。このように2ヵ所で医療費を支払った場合は、それらの合計が自己負担上限額を超えれば、その分が公費負担となります。複数の医療機関（病院及び診療所、薬局、訪問看護ステーション等）にかかる場合は、「自己負担上限額管理票」を使用して、月単位の自己負担額の合計を管理する必要があります。

### お問い合わせ先

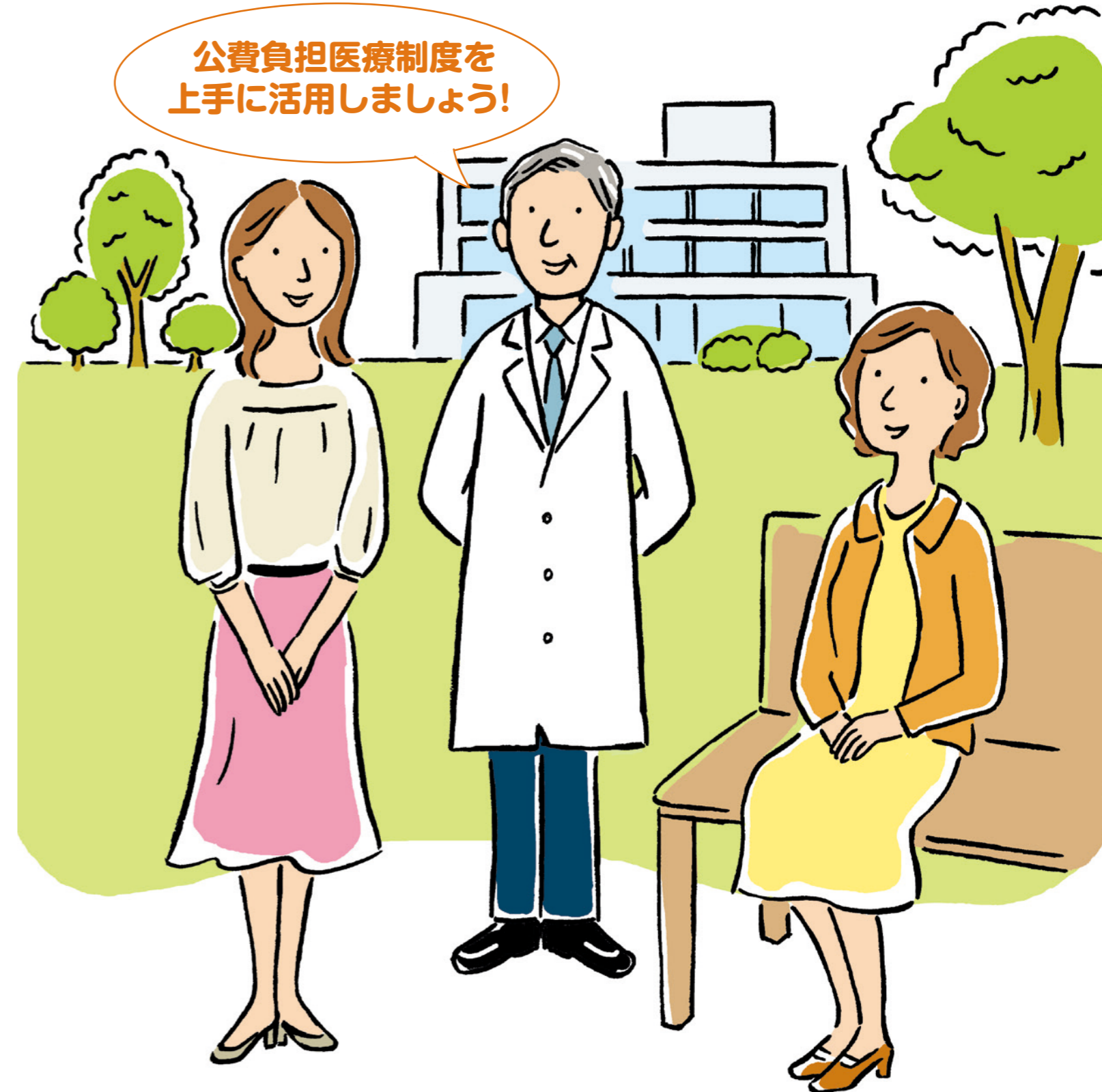
各都道府県あるいは市区町村では、それぞれの政策に基づいて医療費等の公費負担を行っています。詳細は、市区町村あるいは都道府県の窓口にお問い合わせください。

また、指定難病における各疾病の詳しい内容は、「難病情報センター」([www.nanbyou.or.jp](http://www.nanbyou.or.jp))もご参照ください。

# 知っておきたい公費負担医療制度

～指定難病制度について～

公費負担医療制度を  
上手に活用しましょう！



## 難病の治療費を公費で負担してもらえる制度があります

指定難病で一定以上の重症度の患者さんは、公費負担(医療費助成)を受けられることになっています。指定難病とは①発病の機構が明らかでなく、②治療方法が確立していない、③希少な疾病であって、④長期の療養を必要とするものという「難病」一般の定義に加えて、⑤患者数が本邦において人口の0.1%程度以下で、⑥客観的な診断基準が確立している」という定義に基づく疾病です。

### 次の疾病は指定難病で、公費負担の対象です

令和3年11月1日現在、次の338疾病が指定難病として公費負担の対象となっています。

番号	病名
1	球脊髄性筋萎縮症
2	筋萎縮性側索硬化症
3	脊髄性筋萎縮症
4	原発性側索硬化症
5	進行性核上性麻痺
6	パーキンソン病
7	大脳皮質基底核変性症
8	ハンチントン病
9	神経有棘赤血球症
10	シャルコー・マリー・トゥース病
11	重症筋無力症
12	先天性筋無力症候群
13	多発性硬化症／視神経脊髄炎
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
15	封入体筋炎
16	クロー・深瀬症候群
17	多系統萎縮症
18	脊髄小脳変性症(多系統萎縮症を除く)
19	ライソゾーム病
20	副腎白質ジストロフィー
21	ミトコンドリア病
22	もやもや病
23	プリオン病
24	亜急性硬化性全脳炎
25	進行性多巣性白質脳症
26	HTLV-1関連脊髄症
27	特発性基底核石灰化症
28	全身性アミロイドーシス
29	ウルリッヒ病
30	遠位型ミオパチー
31	ベスレムミオパチー

番号	病名
32	自己貪食空胞性ミオパチー
33	シュワルツ・ヤンベル症候群
34	神経線維腫症
35	天疱瘡
36	表皮水疱症
37	膿疱性乾癬(汎発型)
38	スティーヴンス・ジョンソン症候群
39	中毒性表皮壊死症
40	高安動脈炎
41	巨細胞性動脈炎
42	結節性多発動脈炎
43	顕微鏡的多発血管炎
44	多発血管炎性肉芽腫症
45	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症
46	悪性関節リウマチ
47	バージャー病
48	原発性抗リン脂質抗体症候群
49	全身性エリテマトーデス
50	皮膚筋炎／多発性筋炎
51	全身性強皮症
52	混合性結合組織病
53	シェーグレン症候群
54	成人スチル病
55	再発性多発軟骨炎
56	ベーチェット病
57	特発性拡張型心筋症
58	肥大型心筋症
59	拘束型心筋症
60	再生不良性貧血
61	自己免疫性溶血性貧血
62	発作性夜間ヘモグロビン尿症
63	特発性血小板減少性紫斑病

番号	病名
64	血栓性血小板減少性紫斑病
65	原発性免疫不全症候群
66	IgA 腎症
67	多発性嚢胞腎
68	黄色靱帯骨化症
69	後縦靱帯骨化症
70	広範脊柱管狭窄症
71	特発性大腿骨頭壊死症
72	下垂体性ADH分泌亢進症
73	下垂体性TSH分泌亢進症
74	下垂体性PRL分泌亢進症
75	クッシング病
76	下垂体性ゴナドトロピン分泌亢進症
77	下垂体性成長ホルモン分泌亢進症
78	下垂体前葉機能低下症
79	家族性高コレステロール血症(ホモ接合体)
80	甲状腺ホルモン不応症
81	先天性副腎皮質酵素欠損症
82	先天性副腎低形成症
83	アジソン病
84	サルコイドーシス
85	特発性間質性肺炎
86	肺動脈性肺高血圧症
87	肺静脈閉塞症／肺毛細血管腫症
88	慢性血栓性肺高血圧症
89	リンパ管筋腫症
90	網膜色素変性症
91	バッド・キアリ症候群
92	特発性門脈圧亢進症
93	原発性胆汁性胆管炎
94	原発性硬化性胆管炎
95	自己免疫性肝炎
96	クローン病
97	潰瘍性大腸炎
98	好酸球性消化管疾患
99	慢性特発性偽性腸閉塞症
100	巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症
101	腸管神経節細胞減少症
102	ルビンシュタイン・テイビ症候群
103	CFC症候群
104	コステロ症候群
105	チャージ症候群
106	クリオピリン関連周期熱症候群
107	若年性特発性関節炎
108	TNF受容体関連周期性症候群
109	非典型型溶血性尿毒症症候群
110	ブラウ症候群
111	先天性ミオパチー
112	マリネスコ・シェーグレン症候群

番号	病名
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



番号	病名
158	結節性硬化症
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	ジュベール症候群関連疾患
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・シリズ症候群
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	プラダー・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

番号	病名
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
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

番号	病名
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
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	脳髄黄色腫症
264	無 $\beta$ リポタンパク血症
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	自己免疫性後天性凝固因子欠乏症
289	クローンカイト・カナダ症候群
290	非特異性多発性小腸潰瘍症
291	ヒルシュスブルング病(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

番号	病名
296	胆道閉鎖症
297	アラジール症候群
298	遺伝性腭炎
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
307	カナバン病
308	進行性白質脳症
309	進行性ミオクローヌスてんかん
310	先天異常症候群
311	先天性三尖弁狭窄症
312	先天性僧帽弁狭窄症
313	先天性肺静脈狭窄症
314	左肺動脈右肺動脈起始症
315	ネイルパテラ症候群(爪膝蓋骨症候群)/ LMX1B関連腎症
316	カルニチン回路異常症
317	三頭酵素欠損症
318	シトリン欠損症
319	セピアプテリン還元酵素(SR)欠損症
320	先天性グリコシルホスファチジルイノシトール (GPI)欠損症
321	非ケトーシス型高グリシン血症
322	$\beta$ -ケトチオラーゼ欠損症
323	芳香族L-アミノ酸脱炭酸酵素欠損症
324	メチルグルタコン酸尿症
325	遺伝性自己炎症疾患
326	大理石骨病
327	特発性血栓症 (遺伝性血栓性素因によるものに限る)
328	前眼部形成異常
329	無虹彩症
330	先天性気管狭窄症/先天性声門下狭窄症
331	特発性多中心性キャスルマン病
332	膠様滴状角膜ジストロフィー
333	ハッチンソン・ギルフォード症候群
334	脳クレアチン欠乏症候群
335	ネフロン癆
336	家族性低 $\beta$ リポタンパク血症1(ホモ接合体)
337	ホモシスチン尿症
338	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症

※令和3年11月1日より番号334~338の疾病が新たに「指定難病」として追加されました。

# 公費負担を受けるには

## 1 都道府県等の窓口(最寄りの保健所など)に、以下の書類を提出します

申請に必要な書類(詳細は最寄りの保健所などの窓口にお問い合わせください)

- ・特定医療費支給認定申請書(ご自身で記入)
- ・個人番号(マイナンバー)を確認できる書類  
※提出時、窓口において、個人番号(マイナンバー)の確認ができる書類(マイナンバーカード等)やその方の身元が確認できる書類(運転免許証等)の提示が必要
- ・臨床調査個人票(診断書)(難病指定医が記入)
- ・住民票(世帯全員がのっているもの)
- ・市町村民税課税証明書(課税状況あるいは非課税を確認できる書類)
- ・健康保険証等(公的医療保険の被保険者証)のコピー

(該当する場合のみ必要な書類の例)

- ・介護保険被保険者証のコピー
- ・医療保険上の同一世帯内で小児慢性特定疾病として医療費助成を受けている小児等の受給者証のコピー
- ・医療保険上の同一世帯内で指定難病として医療費助成を受けている人の受給者証のコピー
- ・保険者からの情報提供についての同意書(高額療養費の区分に関する照会时使用)



## 2 医療受給者証が交付されます(申請から約2~3ヵ月後)

都道府県等が申請内容を審査し、認定されれば医療受給者証が交付されます。非認定の場合は、その旨の通知があります。



## 3 医療受給者証を指定医療機関の窓口で提示します

都道府県等が指定した医療機関(指定医療機関)を受診し、窓口で医療受給者証を提示した場合に限って、公費負担(医療費助成)を受けることができます。

医療受給者証により助成を受けられるのは、

**重症度分類を満たしていることを診断した日からです。**

**医療費助成の申請日から原則1ヵ月まで**さかのぼって支給されます。

※診断日から1ヵ月以内に申請を行わなかったことについて、やむを得ない理由があるときは最長3ヵ月まで延長されます。



### 注意

#### 医療受給者証の有効期間は申請日から1年後の月末までです

医療受給者証の有効期間は、申請日から1年後の月末までのため、1年ごとに更新する必要があります。

#### 医療受給者証が届くまでは療養証明書を交付してもらいましょう

申請から医療受給者証が届くまでに約2~3ヵ月かかります。その間は、受診した医療機関に療養証明書を交付してもらいましょう。後日、医療受給者証が届いたら、その療養証明書を都道府県等の窓口で提出し、差額となる医療費について還付請求の手続きをしましょう。

# 一部自己負担が生じる場合と、全額公費負担になる場合があります

## [1] 一部自己負担金あり

医療保険上の世帯での所得に応じて6区分の自己負担上限額(月額)が設定されています。入院及び外来で支払う自己負担額(月額)のうち、月単位での規定の自己負担上限額(外来+入院)を超える部分が助成(公費負担)の対象となります。

医療保険 70%	一部負担	公費
----------	------	----

## [2] 全額公費負担対象

生活保護を受けている場合に限り、全額が助成の対象となります。

医療保険 70%	公費 30%
----------	--------

## 自己負担上限額(月額)

(単位:円)

階層区分	階層区分の基準 (()内の数字は、夫婦2人世帯の場合における年収の目安)		患者負担割合:2割		
			自己負担上限額(外来+入院)		
			一般	高額かつ長期*	人工呼吸器等装着者
生活保護	—		0	0	0
低所得I	市町村民税 非課税 (世帯)	本人年収 ~80万円	2,500	2,500	1,000
低所得II		本人年収 80万円超~	5,000	5,000	
一般所得I	市町村民税 課税以上7.1万円未満 (約160万円~約370万円)		10,000	5,000	
一般所得II	市町村民税 7.1万円以上25.1万円未満 (約370万円~約810万円)		20,000	10,000	
上位所得	市町村民税25.1万円以上 (約810万円~)		30,000	20,000	
入院時の食費			全額自己負担		

※「高額かつ長期」とは、月ごとの医療費総額が5万円を超える月が年間6回以上ある者(例えば医療保険の2割負担の場合、医療費の自己負担が1万円を超える月が年間6回以上)。

## 人工呼吸器等装着者や重症患者の認定について

指定難病の制度では、人工呼吸器等を装着している人の自己負担上限額が、「一般」と比べると低く設定されています。人工呼吸器等を装着している人は、別途、人工呼吸器等装着者用診断書を提出するようにしましょう。



## 次のような費用は指定難病の制度において 給付対象外となります

- 医療受給者証に記載されている有効期間以外にかかった医療費
- 指定医療機関以外を受診した場合の医療費
- 介護保険制度で支払った費用
- 認定申請時等に提出した診断書(臨床調査個人票)の作成費用
- 認定されている病気以外の治療(風邪や虫歯など)にかかった医療費や薬代
- 健康保険や国民健康保険など公的医療保険の適用が受けられない、保険診療外の治療や薬の費用
- 入院中に支払った差額ベッドの代金や、シーツ、電気、テレビなど保険適用外の料金
- 高額療養費制度によって各医療保険組合等からの払い戻しを受けられる金額
- 往診などで医療機関に支払う保険適用外の交通費や手間賃、手数料など
- 診断書などの各種証明書料金
- めがねやコルセット、車椅子などの補装具・治療用装具の費用
- 海外での治療に支払った医療費用
- 鍼灸、マッサージ、柔道整復にかかった治療費

上記は例示です。このほか給付の対象となるか分からない場合は、かかりつけの医師または都道府県等の窓口へお問い合わせください。



## 軽快した場合、公費負担医療の対象外 になることがあります

指定難病の制度では、多くの場合、重症度あるいは障害の程度が中等度以上に相当する場合に限って公費負担(医療費助成)が受けられる仕組みになっています。よって、軽度の場合は助成の対象外となるのがほとんどです。

毎年1回、指定難病の更新のために難病指定医あるいは協力難病指定医を受診し、更新のための診断書を交付してもらうこととなりますが、この段階で病気が軽快していたら、医療費助成の対象にならない可能性があります。

ただし、軽症者に対する特例もありますので、その仕組みも知っておきましょう(下記参照)。

### 軽症者の特例

指定難病で軽症者(公費負担の対象外)であっても「高額な医療を継続すること」が必要な場合は、医療費助成の対象となります。「高額な医療を継続すること」とは、月ごとの医療費総額(自己負担分以外を含む)が33,330円を超える月が年間3回以上ある場合、とされています。例えば、普段は健康保険を使って3割の自己負担をしているのであれば、その自己負担が1万円以上の月が年間で3回以上ある場合、軽症者の特例が適用されます。

## 【参考】特発性血小板減少性紫斑病の重症度分類

### 〈重症度分類〉

StageⅡ以上を対象とする。

(血小板)

### 特発性血小板減少性紫斑病重症度基準

血小板数	臨床症状			
	無症状	皮下出血*1	粘膜出血*2	重症出血*3
5万/μL以上 10万/μL未満	I	I	II	IV
2万/μL以上 5万/μL未満	II	III	IV	V
2万/μL未満	III	IV	IV	V

\*1 皮下出血:点状出血、紫斑、斑状出血

\*2 粘膜出血:歯肉出血、鼻出血、下血、血尿、月経過多など

\*3 重症出血:生命を脅かす危険のある脳出血や重症消化管出血など

※なお、症状の程度が上記の重症度分類等で一定以上に該当しない者であるが、高額な医療を継続することが必要な者については、医療費助成の対象とする。

〈出典〉「難病情報センター」特発性血小板減少性紫斑病(<http://www.nanbyou.or.jp/entry/303>) (2023年11月)



