

平成 24 年度 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等克服研究事業
患者支援団体等が主体的に難病研究支援を実施するための体制構築に向けた研究
(J P A 研究班)

研究代表者 伊藤たてお(一般社団法人日本難病・疾病団体協議会、北海道難病連)

研究要旨

難治性疾患研究の一層の推進に当たり、患者及び患者支援団体等の研究推進体制の構築の必要性が高まっている。関係団体等の研究協力体制とはどのようなものか、またどのような支援が必要なのか、その可能性と望ましい支援体制の構築について検討を行った。さらに患者団体ができる支援体制の一つの可能性として、患者団体による「難病患者レジストリ」について初年度は4疾患をモデルとしてその構築を試みた。

A. 研究組織

＜研究分担者＞

別紙

＜研究協力者＞

別紙

B. 研究目的

いわゆる難病地言われる疾患は 5,000 とも 7,000 ともいわれているが、現在の難病対策で難治性疾患克服研究の対象となっている疾患は 300 に過ぎず、研究奨励分野で研究が取り組まれている疾患は、3 年間でおおよそ 300 余に過ぎない。それらの疾患は患者数が極めて少なく、研究の推進体制を構築するには至らない疾患も多い。しかし多くの患者・家族は一日も早い病気の原因の究明と治療法の開発・創薬を切実な思いで心待ちにしている。

それらの研究の推進にあたって患者、患者団体が自ら研究の協力体制を構築することは極めて重要な課題であり、その方法と支援の体制について研究と実際の研究支援体制の構築を図る。

C. 研究方法

研究グループを 3 つに分け、それぞれのグループ間の連携による検討を行った。

- ① 国内の患者団体の研究協力に関する意識調査及び難治性疾患等克服研究事業研究班における患者協力に関する意識調査
- ② 欧米における患者団体等の研究協力における実際の体制に関する調査

- ③ 希少難治性疾患の患者レジストリの構築の試みと法的課題及びプライバシーの保護

初年度としての具体的取り組み

- ① 国内調査はさらに二つのグループとし、患者会の「研究協力」に対する意識調査と、厚労科研費難治性疾患克服研究の研究班の患者会との研究協力に関する意識調査をそれぞれ郵送によるアンケート方式による調査を実施し、さらにそれぞれの回答の比較を行った。
- ② 欧米の患者支援団体の研究協力に関する調査及び患者会の運営と事業内容に関する調査と検討を行った。
- ③ 日本における患者主体のレジストリ構築についての検討と実際の構築の試みを通して、患者会主体の研究協力の在り方とその可能性を検討した。検討にあたっては当面協力を可能とした希少 4 疾患を対象に各疾患ごとの患者会も参加して、新たな患者レジストリの構築を試みた。
- ④ また患者レジストリの個人情報保護や同意などの面での法的実態と課題についての検討を行った。

(倫理面への配慮)

患者レジストリにおけるプライバシーの保護について検討を行い、連結可能匿名化によるプライバシーの保護と患者情報の漏えい防止及び法的対策についての検討を行った。

D. 研究結果

- ① グループは国内患者団体への発送 189 件、回

収 106 件 (回収率 56.0%) であった。そのうち研究協力をしたことがあると回答した団体へ 2 次調査を行った。アンケートの送付は 70 件、回答は 36 件 (回収率 51.4%) であった。研究班への調査は発送 162 件、回収は 95 件 (回収率 58.6%) であった。回答の中で同じ質問に対する患者団体と研究班の回答の比較を行った結果、それぞれの研究協力に対する認識の違いや、患者団体の「研究協力」に対する意識・認識はさまざまであり、経験が少ないことが明らかとなった。

②海外の患者団体の研究協力の調査においては、欧米における患者団体等による研究協力体制は極めて旺盛であり、患者団体の研究協力なしでは希少疾患の研究は進めることができないほどの大きな影響力を持っていることが明らかとなっている。また患者団体は大きなファンドを構築して研究と団体活動を展開しており、携わる職員も多数となっている。

⑤ 患者レジストリの構築は以下の 4 疾患 (マルフアン症候群、再発性多発軟骨炎、遠位型ミオパチー、シルバー・ラッセル病) の 4 疾患をモデルとして進められており、2 年度はさらに疾患数を増やす予定となっている。またレジストリにおける患者の記入内容とレジストリの側からの情報提供、研究における必要情報、および患者情報の保護と実際の運用についての検討を行った。

E. 考察及び結論

実際に患者団体が研究協力を行うに当たっては、必要とする協力の内容を明確にしなければならない。また、患者団体が主体となった研究協力体制の構築は、患者数の少ない疾患の患者団体にとっては極めて重い負担となることや、患者数の多い団体としても、資金的にも人的にも経験が乏しいことなどから極めて大きな負担であることは明らかであり、社会の理解とともに国としての支援体制が必要であることが明らかとなった。

また患者団体によるレジストリの構築は可能性が大きいことから、実施に向けて各疾患の共通の入力項目の作成と運用の体制づくりや情報の提供体制、法的課題、個人情報保護などの課題があきらかになった。

研究協力については医師等専門家が多用する専門用語についての患者会側の理解は難しいものが多く、意識の相互理解において齟齬がみられることから実際に患者主体または協力における研究体制を今後構築するとなれば、患者側の理解を深め、支援するためにも「研究協力ガイドライン」の作成が必要である。

また患者の求める研究協力の形式の中には SNS のような形での患者参加を求めているレジストリとの連携または統合などの課題も見られることから、これらの統合、もしくは共通の利用が望ましいとの結論を得た。この共通のゲート部分のあり方と内容についての研究が引き続き必要である。そのためには現在同じ患者レジストリを検討している研究班同士の連携また新たな課題として実際の運用を含めた研究が必要となっている。

F. 健康危険情報 なし

G. 研究発表

1. 論文発表 なし

2. 学会発表

Ito Tateo. Patient groups and research in Japan, 7th International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs 2012.

森幸子、永森志織、馬上和久、山崎洋一、大黒宏司、西村由希子、伊藤たてお、平成 24 年度厚生労働科学研究費補助金・難治性疾患等克服研究事業「患者支援団体等が主体的に難病研究支援を実施するための体制構築に向けた研究」(JPA 研究班) 国内アンケート調査 中間報告、全国難病センター研究会第 19 回研究大会 (鹿児島)、2013 年 3 月

H. 知的財産権の出願・登録状況(予定含む)

1. 特許取得 なし

2. 実用新案登録 なし

3. その他 なし