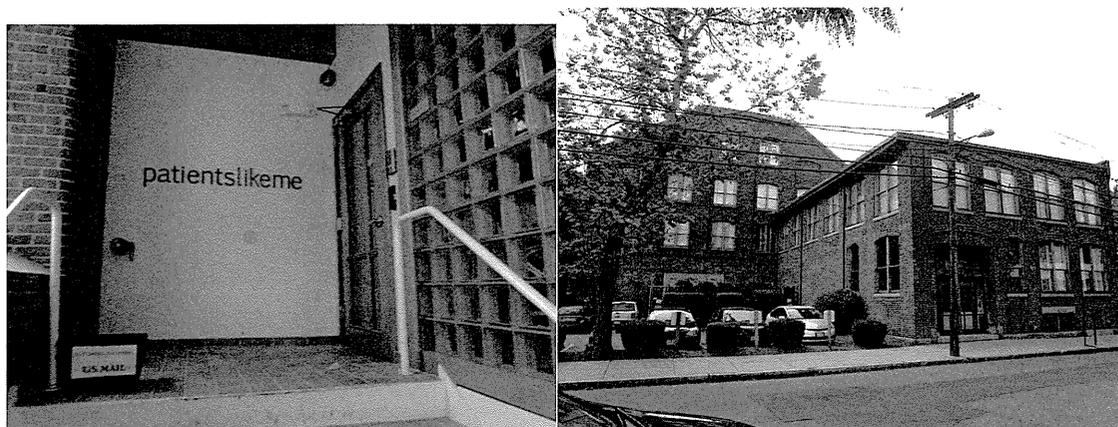


参考画像： PatientsLikeMe 社（米ボストン）



患者団体による患者レジストリ構築に関わる研究 研究協力者 織田 友理子 PADM 遠位型ミオパチー患者会 代表代行

研究要旨

患者レジストリ「WE ARE HERE」は、まさに文字通り患者の意見を取り入れ患者が主体となり進めた新しい試みである。遠位型ミオパチーは進行性の疾患で治療法や治療薬が一切存在しない。当レジストリは現代医療の、補完的な役割としての自然歴調査、患者間交流によって情報共有の効果が期待する。それを踏まえた上で、さらに有用な患者レジストリを実現するための方策を検討する。

A. 患者会の概要

1. 遠位型ミオパチー患者会

遠位型ミオパチー患者会（Patients Association for Distal Myopathies 以下、「PADM」とする。）は2008年4月に発足。正会員（患者）は38名から活動開始し、2013年2月末現在、正会員141名、賛助会員は43名である。発足当初より現在まで役員は全て患者である当事者である。学術顧問、相談役及び会計監査は多彩な専門家により構成される。

2. 遠位型ミオパチーとは

遠位型ミオパチーとは、遠位筋が好んで侵される遺伝性筋疾患の総称である。世界的には少なくとも9つの異なる疾患が含まれるとされているが、これまでのところ、本邦では「縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー」、「三好型ミオパチー」、「眼咽頭遠位型ミオパチー」の3疾患しか見出されていない。何れも本邦において発見された疾患である。

平成22年度における、国立精神・神経医療研究センター（以下、「NCNP」とする。）での筋病理診断件数からの推計では、本邦での患者数は「縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー（以下、「DMRV」とする。）」167～345人、「三好型ミオパチー」124～247人、「眼咽頭遠位型ミオパチー」44～88人と予測される。何れも「超」希少疾病であるが、他国と比較し本邦は患者数が多いと考えられる。

（出典：平成22年度 遠位型ミオパチーの実態

把握と自然歴に関する調査研究 [難治性疾患克服研究事業研究奨励分野])

3. 治療法開発

このうちのDMRVについては、NCNPの西野一三医師研究チームによりマウス実験で有効な物質が見つかった。（Nature Medicine, June 2009）しかし、希少疾病であるため簡単に製薬会社は見つからなかった。そこで、患者自身が製薬会社にお願ひし、結果日本のベンチャー企業が製薬に名乗りを上げた。2010年11月に東北大学にて第1相治験が開始されたが、資金難により第2相治験以降の目処は全くたっていない。

4. PADM 活動内容

発足当初2008年4月より全国で署名活動を開始した。署名は以下の項目を求めている。①「遠位型ミオパチー」の研究費増額による更なる研究推進 ②希少疾病の新薬開発を促進・支援する新たな制度確立 ③「遠位型ミオパチー」の難病指定及び特定疾患の認定

署名は要望書とともに年1度のペースで厚生労働省の大臣・副大臣・政務官に提出している。全国各地から寄せられた署名は2013年2月末現在で累計1,876,392筆となった。

また、医師・研究者・学者・行政・企業・議員等多岐に渡る関係者を招いてシンポジウムを開催するなど、遠位型ミオパチーの認知度の向上と希少疾病の創薬に向けた情報発信を積極的に取り組んでいる。

PADM は自分たちの病気に限らず、希少疾患における創薬のモデルケースとなることを目標としている。たとえ患者数が少なくても患者の手元に一日でも早く薬が届くようにと、全国の地方議会から、「特に患者数が少ない希少疾病用医薬品（ウルトラオーファンドラッグ：対象患者数が1000人未満に対する治療薬）開発促進のための法整備等を求める意見書の提出」に取り組んでいる。その意見書は2012年12月末現在67の地方議会で採択されるに至り、現在も継続中である。

B. 本研究に期待する効果

本研究の患者レジストリは、主に自然病歴調査と、患者間交流に分けられると考える。

1. 自然歴調査

ただ進行する疾患であっても、治りたいという患者の願いがある限り、自然歴の蓄積はすべきである。DMRVは治験実施段階に入った際、バイオマーカーの選定が非常に困難であった。病態として緩やかに進行する病気であることが一番の原因ではあるが、病気の発症から現在に至るまでの自然歴が蓄積されていないことも原因であると考えられる。治療法がなく、治療薬も存在しない患者にとって、病院は年々遠ざかるを得ない。各種福祉制度申請のタイミングで病院へ行くというのがほとんどであろう。治験段階になって、どのように進行していったかを患者の記憶を頼りにするのではなく、治験開始以前から患者レジストリにデータを蓄積し病体解明に努めることの必要性・重要性は非常に高い。

また、患者の声を集約していくことは、今まで埋もれていた患者の声を拾い上げ、各疾患の正確な病態を把握するために有効だと考える。例えばDMRVは長年、心肺機能は衰えないとされてきたが、人工呼吸器を必要とするPADM正会員が数名見られたことから、DMRVにおいても呼吸機能が衰え肺活量が減少するのではない

かとの推測が生まれた。その後、NCNPの森まどか医師により病気の進行が深刻な一定程度の患者には呼吸機能の衰えが起こりうるということが確認された。このことは、患者が生活をしていく中で知っておくべき、注意喚起に重要な項目である。まさに、患者の声が集まることによって疾患概念を深めるきっかけになった一つのケースと言える。

2. 患者間交流

利用する福祉制度、難病と共に生きるための知恵などは、患者間交流により有用な情報の共有が可能となる。それらは病気の受容へとつながるかもしれない。特に、専門医が近くに存在しない、相談がどこにもできない等、インターネット上での患者レジストリを活用することにより一定程度是正されることが期待できる。さらに、現代医療で問題となっている地域格差、希少疾患にとってはより問題が深刻であることは明らかである。患者間交流は地域格差の解消も一役となる。

また、患者レジストリにおける患者間交流と、疾患ごとの患者会における患者間交流は、異なった効果をもたらすはずだ。世の中には数多くの疾患が存在する。たとえ病名が違う患者であっても、自らの疾患との共通項を見出す。同じ国、ひいては同じ星に住む難病患者との交流が容易に可能となれば、自らの立ち位置を確認し、共同体の構成員としての認識を深め、自分さえよければいいという自己中心的な考えも経ち消えることもありえる。疾患の枠を越えた患者の交流は難病と向き合い社会で生活していくための多くの気づきを与える。

希少疾患においては、ただでさえ患者が少ないため、一人でも多くの患者が長期に渡り病歴を継続記録することが理想だ。患者間交流は副次的な効果として、人との触れ合いや情報収集というメリットを確保する意味において、継続利用が期待される。

また、今回運用開始には取り入れられなかつ

たが、今後導入が予定されている、患者による主観的QOLの評価指標である「SEIQoL-DW」へは大きな期待を寄せている。

C. 登録状況

患者3名、家族1名。

D. 登録に際して特徴的・疾患固有な項目や背景

DMRVは、医師が主導となった患者登録システム Remudy がある。この事業は厚生労働省 精神・神経疾患研究開発費 23-4「遺伝性神経・筋疾患における患者登録システムの構築と遺伝子診断システムの確立に関する研究」、障害者対策総合研究事業「縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーの治療効果最大化のための研究」等の研究費により運営されている。RemudyのDMRV患者登録者数は2013年1月末現在91名。
(<http://www.remudy.jp/dmrv/>)

上記に加えてPADMは厚生労働科学研究 難治性疾患等克服研究事業における一般社団法人日本難病・疾病団体協議会（略称 JPA）の伊藤代表理事らの「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」にも参加している。

このような状況により、PADM内では当患者レジストリ対応について複数回に渡り協議した。レジストリ乱立は不要な混乱を招く恐れがあるとし、患者会正会員に向けたメールマガジンや掲示板、一般に向けたブログなどへのPRは理解を得ることができなかった。

なお、遠位型ミオパチーの登録項目は、進行する病気であり共通項の多い筋萎縮性側索硬化症の項目から削る方式で設定した。

E. Dの課題を解決するために必要な方策

1. データ分散の防止

現在はただでさえ mixi や facebook などの SNS が多く存在する。しかし患者レジストリは

事細かな病状を入力することになるため既存の SNS より数居は格段に高くなる。

一人の患者が複数の患者レジストリに登録することは考えにくく、一つの疾患について複数の患者レジストリが存在することは、データ収集に最適だとは考えにくい。特に患者数が少なくなればなるほど患者レジストリの乱立は、データの分散を招きそもそも患者レジストリを実行する意味が薄れる危険性が高い。

当レジストリの特質性、またはいずれ他のレジストリとの統合等の場合による整合性等、まだまだ議論の余地があると感じる。

2. 研究活用、透明性確保

また、新薬開発へ結びつけるのが目的なのであれば、いかに当該患者レジストリが有用であるかを登録者へわかりやすく提示すべきである。患者自らが研究へダイレクトに貢献できるイメージが明確となり透明性が確保できれば、苦勞もいとわない患者は多いはずである。逆に患者もシビアであるため、時間労力を使い登録するレジストリが、研究に役立てるシステムであるかどうかの評価は手厳しい。しかし一方で実績の浅いレジストリにそこまでの価値を求めるのは運営開始段階では酷であるかもしれない。それは実績を積み重ねてこそ説得力が増すからだ。どのようなレジストリが新薬開発へ有用なデータとなりうるかを常に求め探し問いかけ続けるべきである。

3. 継続性の確保

安定的なシステム環境であるからこそ、患者は多少項目が多くとも入力し、継続して利用しようとするものである。せっかく入力したデータが単年度で経ち消えてしまっただけは動機づけが低く信頼性も落ちる。よって、レジストリの継続性の担保は重要である。決して少なくはない運営費を厚労科研費で半永久的に賄えるとは一般人にとっても想像に難い。どう安定的に恒久的なシステムとして成り立つのか、運営側に非常に悩ましい問題では有るが、その問題

を解決することこそが登録者へのモチベーションアップとインセンティブにつながると考
える。

F. Eを遂行（実行）するために必要な支援 又は資源等

研究者や製薬会社関係者に、どのような患者
レジストリであるべきか、有用かを精査する必
要がある。

また、継続運営のための資金問題を解決し、
より安定した患者レジストリを実現するため
には単に民間の事業としてではなく、国の事業
である患者レジストリを民間が国から受託し
て行う方法が最も実現への近道だと考える。

G. 患者登録に関する課題

遠位型ミオパチーは治療薬や治療法が一切
存在しない。進行性の疾患であるため、登録す
る内容が主に病気の進行過程を示すものが大
半を占める。一度登録した患者が以降いかに継
続できるか、モチベーション維持が課題である。

H. 医師・研究者等の専門家に対する要望

単なる患者間交流を越えた、病気治療に何か
しら役立つデータを構築することができる患
者レジストリとはどうあるべきか、ご意見を頂
きたい。

I. その他

特になし

患者および患者支援団体等による研究支援体制の構築に関する研究 研究協力者 岸 紀子 CMT友の会 事務局

研究要旨

遺伝性・進行性・難治性の特徴を持つCMT患者は、医療機関とのアクセス頻度が少ないだけでなく通院などで医療関係者との接点を持っていたとしても新たな情報を得られにくい。患者が主体者となってデータを積み上げ、新たな治療法の研究につなげていくという本研究の試みにより「患者が主体者」であるという意識を患者自身が持つ意識変革の意味でも大きな意義がある。研究を成果につなげていくためには、まずは患者自身が本研究の意義を知ることが不可欠であり、そのための啓発活動を活発化させることが重要である。その一環としては、「患者が主体者」であるとはいえ医療機関関係者によるサポートは必要不可欠となる。ネットワークの拡充と情報交流の活発化により、患者が主体的に情報登録できる環境作りの整備が急務となろう。

共同研究者

大竹弘哲（CMT友の会・前橋赤十字病院リハビリテーション科医師）

栗原久雄（CMT友の会）

A. 患者会の概要

CMT友の会は、シャルコー・マリー・トゥース病（CMT）の患者ならびに家族が連携して活動し、様々な情報を知ることによって積極的に生活の質の向上を目指すとともに、医療機関や研究者との情報交換を行うことで最新の医療情報を収集し、また研究活動の促進を目指し、さらにCMTに関する情報を発信することで社会の理解を得ていくことを目的とする。CMTは治療法がないままゆっくりと進行していくため、診断を受けてからは病院に通院することもなくひとりで不安を抱えながら生活している患者が多い病気だが、CMT友の会が行っている交流会への参加がピア・サポートとしての効果を生み出している。

B. 本研究に期待する効果

現在症状を改善、或いは進行を抑制する薬剤は見つかっていないが、唯一アスコルビン酸の治療が世界各国で行われていて、その効果には

意差は認められなかった。本来進行がかなり緩徐な疾患であるため、わずかな症状の悪化を軽減していたとしても、それを敏感に検知できる評価指標が存在しないことが課題となっている。海外ではCMTNS(CMT neuropathy score)という、既にある本疾患のための臨床症状評価指標を更に見直す研究が進んでおり、本邦においても patient-reported outcome を基本として新たな指標を作成する意義は大きい。

一方、本疾患の症例は全国に散在しており、患者会でピアサポートに触れるには日常生活動作や経済状態によって限定されてしまっている。いわゆるエビデンスは明らかになっていないが、症状進行や合併症に対する対策はそれぞれの症例が独自に行っていて、インターネット上でそれらを閲覧できるシステムの構築を進める、本研究は療養生活の安全管理や身体能力の維持に有用であると予想される。

C. 登録状況

現在、CMT患者による登録はわずか2名と研究班の方々には大変申し訳ない結果となっている。テスト版運用中ということから患者会メンバーに対しては積極的に広報をしてこなかったことが主な原因であり、役員に対しても

協力を呼びかけているがあまり研究内容について理解を得ていないように思える。引き続き協力を呼びかけていく。

D. 登録に際して特徴的・疾患固有な項目や背景

患者会交流会参加者の病歴を聞く限りにおいては、CMTは遺伝性とされているものの家族（特に両親）に同様の症状は見られず自分だけがCMTの症状を持っているというケースはかなりある。両親のどちらかがCMT当事者であって遺伝によるものとして明確な場合と、自分だけがCMTとして診断されたという場合では、発症時期における自覚の程度には大きな差があると思われる。また、ゆっくりと進行することから、どの時点が発症時期かは分かりにくく、進行してからようやく病院に行くというケースが多い。このため、症状の変化についてはその時期を特定しにくいという問題がある。また、診断を受けても治療法がないことから病院からは通院の必要を示されないケースが多く、医療に関しても書きにくいのではないかと思われる。

E. Dの課題を解決するために必要な方策

以上のように自分でもいつその症状が出たかは明確にはできないことが多いことから、現状がどうなのか、最近の進行の状況はどうかということでの質問内容に設定し直し、症状の自覚についてはサブ項目とした方が書きやすいのではないか。また、現在CMTに関しては登録状況が少ないために「模範例」が示されないことも書きにくさの原因となっていると思われるため、「同サイトの意義と登録方法」を周知するためのCMT向けの資料作りを行ったうえで啓発に努めることが肝要と考えている。

F. 略

G. 患者登録に関する課題

役員が患者会活動に専任できているわけではないため、日常的に啓発活動を行えないことが課題である。交流会などの機会を通じて説明をしているところだが、限られた時間の中でどこまで理解を得られているかは不安である。

H. 医師・研究者等の専門家に対する要望

医師・研究者においても、日頃の活動の中で患者に接する機会があれば本活動についての啓発に積極的に努めていただきたい。また、本研究に関わっている医師・研究者からそれ以外の医師・研究者に対して本研究の意義について積極的に伝えていただき、ネットワークの拡充に努めていただきたい。

「患者情報登録サイトの発足とその効果」

協力研究者 小林 貴代 日本 ALS 協会近畿ブロック 副会長

(koba レディースクリニック理事・森ノ宮医療大学非常勤講師・作業療法士)

研究要旨

「神経筋難病 ALS が難病でなくなる日が来ますように」、そんな願いを叶えるために、情報の共有・集約・公開は重要である。原因不明であり治療法が確立されていないからこそ、かけはしとなる当サイトの果たす役割は大きい。医療・療養・介護全てにおいての患者情報登録サイトとして、その効果を期待したい。そのために、サイトの登録内容の充足と難病全般で共有すべき課題について多くの仲間達と共に検討を加えたい。

共同研究者

和中勝三(日本 ALS 協会近畿ブロック会長)

水町真知子(日本 ALS 協会近畿ブロック事務局長)

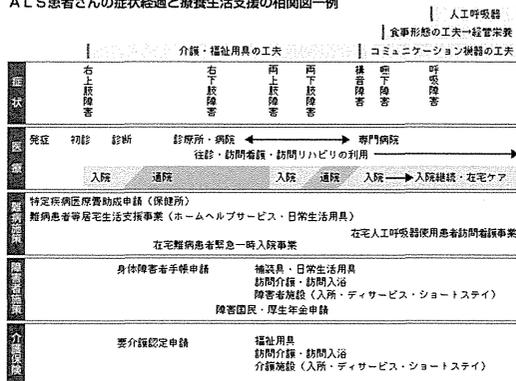
A. 患者会の概要

i) 疾患について

筋萎縮性側索硬化症（ALS：Amyotrophic Lateral Sclerosis）は、国の難治性疾患克服研究事業、特定疾患治療研究事業対象 56 疾患に含まれ、50 代以上が 8 割を占める壮年の病気である。発症率は交通事故より少なく「希少難病」と呼ばれ、10 万人に 7 人程度といわれる。マスコミに取り上げられて知られるようになり、診断も早期につくようになった。「特定疾患（難病）医療受給者証」（窓口は保健所）の申請をした ALS 患者数は、協会発足当時は 3,000 人に及ばなかったが、2010 年の統計では全国で 8,406 人となった。初発症状は上肢麻痺、下肢麻痺、球麻痺の順に多く、呼吸筋麻痺で発症することも少なくない。上肢筋の筋力低下は指先などの遠位筋から始まる場合と、上肢挙上困難など近位筋から始まる場合がある。下肢の麻痺は、下位運動ニューロン障害による下腿の筋萎縮で始まる場合と、上位運動ニューロン障害による下肢の痙性によるつまづきやすさで始まる場合がある。病初期には脳梗塞や頸椎症等との鑑別が困難なことがある。治療薬としてリルテック（一般名リゾール）が認可され進行を遅らせる目的で使用されているが、症状の進

行は避けられない。筋力低下は初発部位から他の部位に広がり、呼吸筋麻痺は発症から 3～5 年で出現することが多く見られる。症状や進行に個人差が大きく、1 年以内に呼吸不全にいたる例から、10 年以上自発呼吸で保つことができる例までである。眼球運動や顔面筋が長く保たれる例もあるが、眼球運動を含め全ての筋が麻痺する状態（TLS: Totally Locked-in State）にいたる例が数%あるとされる。

ALS 患者さんの症状経過と療養生活支援の相関図一例



ii) 患者会設立年月日、現在の会員数、支部、運営など

ALS の患者会は病気の困難さから、長く患者会は成立しなかった。1986 年に「ALS と共に闘い、歩む会」として、患者と家族を中心に、遺族・専門医・医療関係者や一般有志が集まり、東京において日本 ALS 協会が設立され、各地に府県単位に支部設立の動きが始まった（現在 39

支部会員数 6200 名余）。日本 ALS 協会各支部内訳は、近畿（近畿・滋賀）、中国四国（岡山・島根・広島・山口・徳島・愛媛・高知）、九州・沖縄（福岡・長崎・大分・熊本・宮崎・鹿児島・沖縄）、中部（新潟・山梨・長野・富山・石川・福井・岐阜・静岡・愛知）、関東（茨城・栃木・群馬・埼玉・千葉・東京・神奈川）、北海道・東北（北海道・青森・秋田・岩手・山形・宮城・福島）。

1988 年に日本 ALS 協会近畿ブロックが設立、近畿圏の 2 府 5 県を範囲にスタートした。（現在は滋賀県支部ができ、みえ als の会があり、近畿ブロックの活動範囲は 2 府 3 県になった）

「求めがあれば、府県の境を超えて患者さんの支援を行いましょ」という木村謙太郎医師（呼吸器科）の言葉が、設立の理念になり、それから 27 年が経過した。近畿ブロックの会員数は 264 名、会員とは有料購読会員をいい、当事者および家族から支援者まで多岐にわたる。会員中の専門職の職種は多様で、医師・保健師・看護師・医療ソーシャルワーカー・理学療法士・作業療法士・言語聴覚士・介護福祉士・ホームヘルパー・臨床心理士・ケアマネジャー・管理栄養士・ボランティア等、1 人の ALS 患者に他職種の関わりが必要であることが伺える。近畿圏の全保健所や相談機関にも提供している。

近畿ブロックを支えるスタッフには、会長：和中勝三（患者・和歌山市）・副会長：杉本孝子（患者・奈良市）・副会長：小林貴代（作業療法士・大阪府）・事務局長：水町真知子（遺族・大阪府）・監事：中島悠子（介護支援専門員・大阪府）・運営委員：木村謙太郎（医師・老人保健施設けあぱる）・黒田研二（医師・大阪府立大学）近藤清彦（医師・公立八鹿病院）・田原邦明（理学療法士・公立八鹿病院）・中嶋啓子（医師 なかじま診療所）・畑 伸弘（医師・和歌山生協病院）・幹事：井上静江（保健師 奈良県）・井上尚武（患者 兵庫県）・岡崎艶子（コピーライ

タ 大阪府）・加藤恵美子（社会福祉士 神戸市）・上村久美子（介護支援専門員 大阪府）・柴田真理子（藍野学院短大 茨木市）・真並恭介（ライブストーン(株)大阪府）・利光純子（遺族 大阪市）豊浦保子（保健師 大阪市）・中江康智（患者 大阪市）・日又芳子（介護福祉士 豊中市）・樋上 静（保健師 奈良市）・増田英明（患者 京都市）・森 富美子（遺族 大阪市）・加藤豊子（遺族 豊中市）・顧問：橋本みさお（NPO)ALS/MND サポートセンターさくら会）・西村 泰直（電気エンジニア パソコン訪問支援 京都府）・寺田 猛志（患者 大阪市）・久住 純司（患者 パソコン訪問支援 大阪府）が役員として参加している。

iii) これまでの活動実績

1. 会報の発行

会報を年 3 冊発行、患者の情報発信を支え、患者自身が自己決定できる材料を情報提供することを基本テーマとしている。

2. コミュニケーション訪問支援事業

筋力低下や気管切開のため発語障害が出現すると、コミュニケーションが不可能になり闘病意欲が保てず、生命の安全も保てない場合がある。会員の患者や家族の要請に応じ、自宅や入院先を訪問する。呼び鈴やナースコール、スイッチの設置、「意志伝達装置」の申請等の支援を行っている。

3. 相談・情報提供

事務局において、メール、電話等で、患者や家族からの相談に応じる。ケアマネジャーや保健師等等、患者に関わる専門職からの相談が半数を占める。

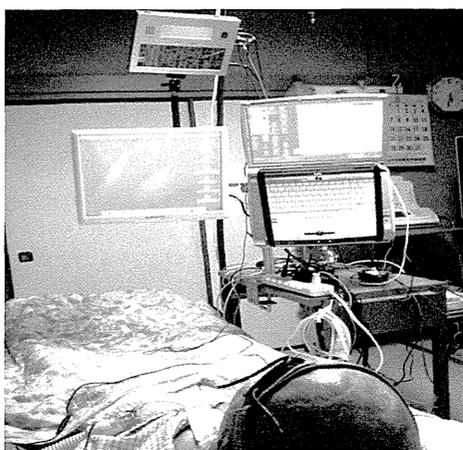
4. 研究・調査・研修等協力

・未来医療臨床研究（未来医療プロジェクト）「フ

レイン・マシ・インターフェイスによる運動機能・意志伝達機能補填装置の臨床研究」適正判定委員：小林貴代、その他各種研究に協力。



＜車椅子に呼吸器・吸引器と、意思伝達装置を搭載して外出＞



＜携帯用会話補助装置と重度意思伝達装置でメール&インターネットを駆使する：和歌山市の和中勝三会長＞



＜患者同士のメール交換でピアサポート：奈良市の杉本孝子副会長＞

iv) 療養状況の推移

- ① 年々在宅療養の比率が増え、入院者は減少（診療報酬の変更により、長期入院可能な病院が少ない。介護環境が整わない患者には入院の希望は多い）
- ② 09年調査では発語に支障がない人は15%のみ。発語障害あり、「慣れた人にも聞き取りにくい」「聞き取れない」は75%。コミュニケーション支援の重要性を示す。
- ③ 09年調査では、経管栄養は70%を超えた。経鼻管は減り、胃ろうの経管栄養が大多数となった。
- ④ 鼻マスク式人工呼吸器の使用は、09年調査で在宅は12名、入院患者ではゼロであった。
- ⑤ 09年調査では、回答者の約半数が人工呼吸器を装着している。人工呼吸器装着者が増えると、療養は長期化することになる。在宅サービスの充実や、医療的ケアが在宅で行われる必要性を高めた。

・療養状況の推移

	1992年	1996年	2000年	2002年	2004年	2009年
回答者	72名	158名	176名	182名	141名	128名
平均年齢	57.4歳	58.7歳	60.2歳	61.4歳	—	61.7歳
平均診断時期	6年10月	6年7月	6年7月	6年7月	—	6年10月
10年以上の患者	14(19.0%)	36(22.6%)	39(22.2%)	37(20.3%)	—	38(26.4%)
長期入院患者数	22(30.6%)	41(25.8%)	35(19.8%)	33(18.1%)	20(14.1%)	18(14.4%)
在宅療養者	50(69.4%)	118(74.2%)	138(76.7%)	149(81.9%)	121(85.8%)	107(85.6%)
経管栄養(胃ろう)	5(6.9%)	27(17.0%)	78(43.2%)	88(48.4%)	—	86(68.8%)
経管栄養(経鼻管)	23(31.9%)	43(27.0%)	30(17.0%)	23(12.6%)	—	5(4.0%)
入院 気管切開人工呼吸器	16(22.2%)	30(18.9%)	29(16.3%)	30(16.5%)	—	13(10.1%)
在宅 気管切開人工呼吸器	13(18.0%)	50(31.4%)	80(45.6%)	89(48.9%)	88(62.4%)	62(57.8%)

v) 療養で困っていること

ALS患者のケアは難しい、こまかい、妥協がない、ケアの意味合いが他者には理解できない、等々により、介護職が定着できず、また介護事業所からALS患者は敬遠されがちである。その上、必要な介護時間が行政から支給されず、家族介護が当たり前の認識がケアマネージャーや地域の保健師、行政にもまだ根強い。

患者自身も自ら介護者を育て、家族介護を脱しようという意欲が、周囲に理解者を広げる。

難病患者自らが自分の体験を登録すること

で、一人一人の貴重な経過や経験が積み重なり、共通した事実の蓄積が、共有できうる支援のノウハウとなり、新たな課題と対策を生み出す。本研究に期待する効果は大きく、今後の難病における新しい研究の架け橋となり得る。

B. 本研究に期待する効果

ALS は進行性であり、数年の経過の間に呼吸機能・嚥下機能の低下を来し、人工呼吸器や胃瘻の選択が迫られる。生活背景や個別性の要素も高く、その中でハードルを乗り越えてきた患者の体験は貴重である。タイムレコードを記入することにより、苦労したこと、工夫したこと等の情報発信で、同じ疾患の仲間達のピアサポートは基より、医療的なデータとしても臨床研究の発展に寄与できようし、原因の究明や治療・新薬の開発などにも繋がる可能性がある。新薬の開発や創薬に関して、また再生医療に関しての患者の期待は大きい。

C. 登録状況

平成 25 年 3 月発行の近畿ブロック会報に「かけはし班」患者登録サイトの紹介記事を掲載し、パソコン操作可能な会員に個別に紹介・協力依頼をおこなった。研修会には配布チラシを持参し、当事者以外に支援者にも広く広報し、サイトへのアクセスを依頼した。β版であり、入力後の要望や不具合など、多くのご意見を聞くため専門職種にも広報している。現在登録者 223 名の内、ALS 関係者としての登録は、本人 30 名、配偶者 11 名、父母 1 名、子ども 9 名、家族 4 名、親戚 1 名、友人 4 名、その他 11 名 合計 56 名の登録である。平成 24 年 12 月の一般公開から未だ登録者の数は少なく、今後も引き続き広報予定である。

D. 登録に際して特徴的・疾患固有な項目や背景

ALS では、確定診断に及ぶ時期にも差がみら

れ、正確な発症時期が確定しにくい場合もある。初発症状である上肢・下肢の筋力低下が他の疾患との鑑別に時間を要したりもする。複数の医療機関を経由する場合も多く、情報が多岐にわたっている。また、家族介護力と関係性や価値観など、ナラティブの語りにも多くの要素を含むこととなる。当初の医療機関の対応やインフォームドコンセントにも大きな影響を受ける。

増田英明さん・京都市在住「私は 2004 年、腕に力が入らなくなり、手ぬぐいがしぼれなくなったり、また、歩いているとふらついて転倒も数回ありました。医師の診断は ALS で、即刻入院となり、最初の手術は嚥下障害のため胃に直接栄養補給、そして間もなく、肺筋の劣化により呼吸ができなくなり、医師より選択を迫られたのは、生命維持装置を着けるのか着けないのか、また延命処置をするのかしないのかでした。もし何もしなければ余命半年。私は生命維持装置の装着を拒否して念書まで書かされ、体力も精神力も限界になったとき、娘の『少しでも長く生きて、孫たちの成長を見守ってほしい』の一言で、人工呼吸器を着けるために気管切開をしました。」増田さんは 2012 年では、1 か月 1000 時間以上の介護時間を活用して、在宅療養、外出活動ができるようになった。



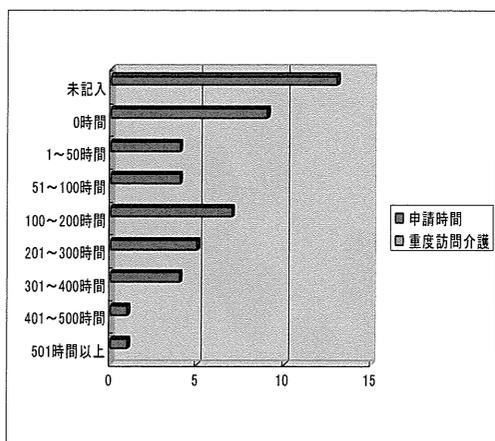
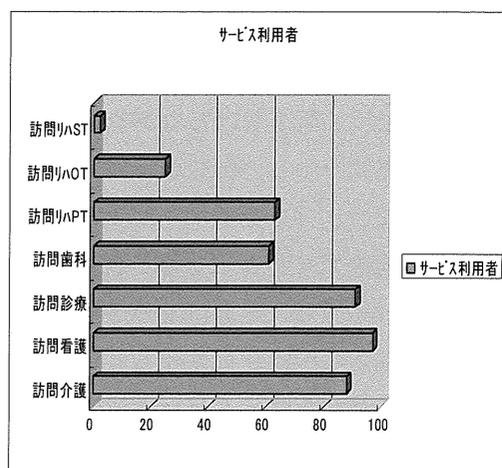
〈近畿ブロック総会で家族と共にメッセージを披露する：京都市の増田英明幹事〉

E. Dの課題を解決するために必要な方策

登録サイト内で疾患別のより詳細な項目設定も必要ではないか。(マイカルテ)

病態の解明や症状について、研究者側からの要望や項目が提示されると、登録項目として反映されやすいのではと考える。研究者サイドからの最新情報や、協力依頼・広報など幅広く告知・活用できるページが必要であり、接点として必須である。（トップページ）

また、生活を支援するための、具体的なサービス提供内容（利用サービスの種類・時間数等）・地域特性でもある社会資源の実態等は蓄積されデータ化されることにより、これからの施策への提案や実現に向けた対策に展開するであろう。（一覧・難病知恵袋など）



〈2009年近畿ブロックアンケートより〉

F. Eを遂行（実行）するために必要な支援 又は資源等

登録サイトに関する紹介に加え、実践的な訪問による入力支援とサポートが必要である。パ

ソコンなどの入力が高齢な場合も想定し、代理で入力支援する体制作りも必要である。マイカルテの簡易な登録のみで終了してしまうと、データとして活用困難であるので、支援体制の継続は必須である。サイト上に語られることが日常化するまでの一定の期間には、導入期としての人的な支援が重要であろう。対象者管理・把握・支援体制の構築・人材の確保・これらに伴う発生費用の確保が望まれる。制度等の変革が予想される中、行政と民間双方の協力と理解が、新たなアイデアを生み出し、患者および家族などの当事者に不利益を起ささないよう、あらゆる情報が共有できる本サイトの定着化が期待される。

G. 患者登録に関する課題

ALS患者において、急速に進行し、生命維持に関する切迫した状況下では、なかなか現状についてゆっくり語ることが出来ず、また情報を発信できず、収集に徹している場合もある。呼吸器を装着し、状態が比較的安定した患者においては、コミュニケーション支援を受け、重度意思伝達装置などを導入して、スイッチ入力によって自分のペースでナラティブを語れる。人工呼吸器を装着した患者は全国では約3割と言われる。患者の何名の登録が現実的に可能かは、支援体制の充足によると思われる。

H. 医師・研究者等の専門家に対する要望

ips細胞の研究により、病態の解明や対応、新薬の開発など大きな期待が寄せられている。支援者として関わる中、当事者全員が回復への期待を忘れることはなく、早くその日が訪れることを、自分たちの命をかけて日々闘病している。個々の事例から、サイト登録内の多くのデータとして活用可能な情報・項目の提案を期待したい。

細胞の提供や、治験・研究の協力などに積極的な協力者は多数存在する。患者のよりよい状

態を維持する生活のあり方について、専門的な技術として確立してゆく必要がある。

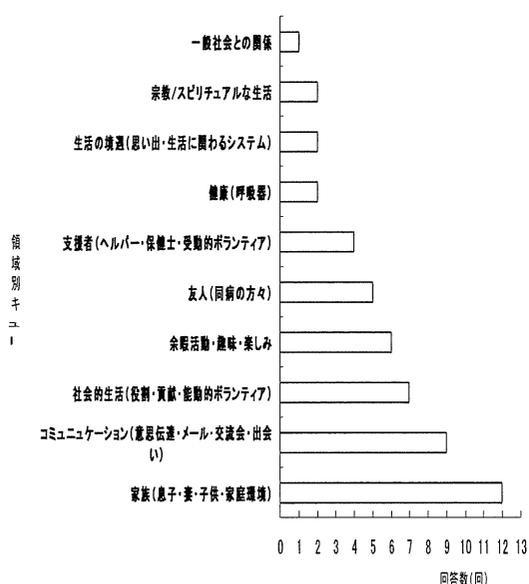
人工呼吸器を使用し、胃瘻を増設し、重度障害者意思伝達装置でコミュニケーションを図る ALS 患者の QOL は非常に高い。人間と社会との関係作りや施策への提案、教育現場の講師として社会的役割を持つ人もいる。

SEI-QOL にて、重度障害者の ALS 患者の領域別キューの回答数をみると、人間がそこに存在し、関わり、共鳴し反応し合う関係が必須である。大切に思う事項には必ず誰かがそこにいる。そして何かを生み出し、感じ合える関係性を保っている。そんな支援が大切であり、求められている。

双方向に学び合える仲間として、共に歩みたい。

I. その他

ALS 当事者が班長を務める「かけはし班」は、難病セブン（7 団体）から始まる。様々な疾患から、共有し共通した解決策が展開されることを期待したい。



今回の研究にご協力・ご理解・ご指導いただいた多くの皆様に御礼・感謝いたします。

多発性硬化症患者の体験談を集積し、治療環境の改善をねらう 研究協力者 中田 郷子 特定非営利活動法人 MS キャビン 理事長

研究要旨

多発性硬化症（MS）は中枢神経系の自己免疫疾患で、特定疾患に指定されている。症状の出方や経過・予後、そして治療効果の出方には個人差が大きい。患者数が少ないことからこの病気を専門に診ている医師が多いとはいえず、治療環境に差が生じている。本研究では患者自身が体験談を入力し、生の声を蓄積していく登録サイトを構築しており、患者の体験談のみならず、当事者と専門家が互いの経験・知恵を交換できる場も作ろうとしている。入力された体験談や知恵の中には、治療や薬に関する重要なことが含まれている可能性があり、個人差や治療環境の差が大きいMSにおいては特に期待している。MSの特定疾患医療受給者証交付件数は16,140人だが、2012年に解説したサイトのβ版への登録者は18人である。大きな理由はサイトの分かりづらさ・使いづらさにあると考えている。これが解消されれば登録者は増えるだろうし、我々も積極的に周知していきたい。

A. 患者会の概要

特定非営利活動法人 MS キャビンは、多発性硬化症（Multiple Sclerosis; MS）と視神経脊髄炎（Neuromyelitis Optica; NMO）の患者と家族を支援している。医療、行政、企業と連携を取りながら項目末の活動を行っている。現理事長がMS患者であり、この病気を発症した1993年、患者向けの情報が不足していることを痛感し、米国の情報を翻訳したものをホームページにて提供し始めたのが発足のきっかけである。任意団体として数年活動し、2004年に特定非営利活動法人格を取得した。

組織メンバーの中では、理事長のみが患者であり、その他は家族・友人である。活動にあたっては、神経内科医を中心とした全国およそ130人の協力者が存在し、活動の主体は情報提供である。当事者同士の励まし合い・交流の機会・友だち作りの場はほとんど提供しておらず、そのうえ最近注目されているピア・カウンセリングは行っていない。つまり一般的に連想される患者会らしい活動をしているかどうかは定

かではなく「患者支援団体」といったほうがふさわしいかもしれない。

【事業内容】

- 1) 情報誌・パンフレットの発行：病気の基本から最新情報まで提供している。パンフレットは不定期に、情報誌は年6回発行している。2013年2月現在で購読者数は2,000人である。
- 2) 講演会の開催：開催地に合わせた規模で開催している。開催地は全国各地を対象にしており、一部の講演会は大学や研究所、また多発性硬化症の患者会や難病相談・支援センターと共催している。年末には東京にて500人規模の講演会を開催している。
- 3) ホームページの運営：疾患の基本情報と講演会の開催情報を提供している。インターネットでは情報が一人歩きする可能性が高いため、ホームページから提供する情報は最低限知っておきたい内容に留めている。また子供が保護者の認知なくホームページを閲覧した場合を想定し、小学生・中学生向けの解説ページを

作っている。

B. 本研究に期待する効果

MS も NMO も原因不明で根治療法がない難病である。患者数が少ない分、これらの病気を専門に診ている医師は多いとはいえない。専門に診ている医師がいない地域においては特に、治療環境のみならず情報流通も充分とはいえず、診療において地域格差が生じている。また地域によっては難病に対する差別的な考え方があり、医療施設への通院はもちろんのこと、特定疾患医療費公費負担制度の手続きを取るために保健所や役所に行くのを控えている人たちもいると聞いている。

我々の団体は全国を対象にしており、活動を通じて多くの患者・家族から、疾患の質問のほか、体験談や医療・主治医への不満が寄せられている。2012 年は 2029 件のメールと 648 件の電話があった。講演会や情報誌への申込み関連が大半を占めるものの、治療や医師の相談の中には深刻な内容もあり、これをいかに活用していくかが課題だと考えている。

MS の再発予防治療の一つに、インターフェロン・ベータ 1b (ベタフェロン®) がある。2000 年に発売され、今でも多くの患者に用いられている注射薬だが、発売まもない頃、この薬で悪化する人たちがいた。病気を予防するはずの薬なのにも関わらず、病状が進んでいくのである。しかし当時の我々は、治療をしていなければさらに進行していたものを、その程度で抑えたのだという認識であった。

しかしその後の数年間で研究が進み、その悪化する一群は「視神経脊髄炎 (NMO)」だと分かってきた。今では NMO の患者をインターフェロン・ベータで治療することは、まずない。しかしそう分かるまでの間、研究の進捗をただ待つ

のではなく、悪化したという話が届いていた我々自身はその時点で何かできたのではないかと、悔やまれてならない。

そのような反省の中、2011 年、新たな MS の経口薬が発売された。新薬が発売されたのは喜ばしいことではあるが、今でも MS にはいくつかのタイプがあると言われている。この薬で悪化する一群が今後出て来ないとは限らず、インターフェロン・ベータと NMO のような状況を繰り返す可能性はなくはない。過去の教訓を活かしたいと考え、我々は今、患者・家族からの体験談を整理し、蓄積しているところである。

本研究では患者自身が患者情報登録サイトに体験を入力し、蓄積されたものを専門家が分析し、医療の向上に役立てていくものと理解している。我々の団体では相談があった際、相談員の認識と感性で相談内容をまとめているため、その時点でバイアスがかかっている可能性がある。しかし本研究では患者自身が入力を行うようになっている。これは生の声が純粹に蓄積されていくことを示し、その中には治療や薬に関する重要なことも含まれるかもしれない。大いに期待している。

また、多くの患者が孤立感を抱えており、精神面に問題がある人や、引きこもりの生活を送らざるを得ない人も少なくない。海外においては MS 患者の自殺率は一般人よりも高いという報告がある。本研究では登録を通じて同じ病気・似た立場の患者や家族と友人になれる機会も提供されると理解しており、それが患者同士の励まし合い・助け合いにつながればと期待している。それが療養生活におけるヒントを分かち合うことにつながれば、そして人生を諦めずに生きていく気持ちにつながれば、さらに幸いである。

C. 登録状況

2013年2月の時点で、MSとNMO合わせて18名の登録があった。内訳は、患者本人17人、友人1人である。

D. 登録に際して特徴的・疾患固有な項目や背景

MSは中枢神経系（脳、脊髄、視神経）の自己免疫疾患で、20～40代の働き盛りに多く発症する。免疫システムが誤って中枢神経線維を覆う「ミエリン」を攻撃することで起こると考えられており、攻撃された箇所を「病巣」と呼ぶ。MSでは病巣が中枢神経系のあちこちに、いろいろな時期にできるのが特徴である。特定疾患医療受給者証交付件数は、平成23年度で16,140人である（難病情報センターより）。

症状はミエリンが壊された部位に応じるが、壊される部位は患者によって違うため、MSの症状は一人一人異なる。また病巣は中枢神経系のどこにでもでき得ることから、非常に多くの症状が存在する。さらに症状は、時期により、そして日毎、時間毎にも変化する。一人の患者でもいろいろな症状を経験することが多い。病巣の出来方には個人差があり、自力歩行できる人から寝たきりの人まで、状態は患者によって異なる。

比較的良好にみられる症状は、視力障害、感覚障害、運動障害、しびれ、疲労、排尿障害、ふるえ、物忘れなどである。体温が上がると一時的に症状が悪化することもある。NMOにおいては「しゃっくり・吐き気」を生じることがある。この場合のしゃっくりとは、1日以上続くほどで、通常のしゃっくりとは異なるものである。延髄にできた病巣が原因とされ、呼吸障害につながる可能性もあり、見逃せない重要な症状である。

診断・経過観察においてはMRI検査、誘発電位検査、髄液検査が行われるが、中でも最も重要なのがMRI検査である。診断後も経過観察のために3か月から1年に1回ほど行われる。

MSにおいては病巣ができていても自覚症状がない病巣が多く、これは「無症候性病巣」と呼ばれる。10個ある脳病巣のうち、自覚症状を生じる病巣は1個ほどの割合だと言われる。つまりほとんどの脳病巣は自覚症状を伴わない。脳病巣が増えるに連れて脳萎縮が生じ、一度萎縮したものは元に戻ることはない。一方近年、脳萎縮は病初期のうちから始まっているという報告もある。NMOにおける脊髄病巣は、脊椎3椎体分に渡る長い病巣を呈することが多く、これはNMOに特徴的だとされている。

治療は病巣による炎症を鎮めるための急性期治療と、慢性期の再発予防治療、そして残された症状を緩和する対症療法の3つに分けられる。急性期治療ではステロイド療法あるいは血液浄化療法（血漿交換療法・免疫吸着療法）が行われる。再発予防治療はMSにおいては注射薬のインターフェロン・ベータ（ベタフェロン®、アボネックス®）、経口薬のフィンゴリモド塩酸塩（イムセラ®、ジレニア®）が保険適用されており、NMOにおいてはステロイド薬、免疫抑制剤が用いられる。治療効果は人によって異なる。

経過は様々で予後の予測は難しい。MSにおいては何年も安定して普通の生活を維持できる人、年に1回程度の再発が起きる人、いつの間にか徐々に進行していく人など様々だが、海外の統計では、早期治療によって良い状態を長く維持できることが示されている。ストレス、風邪、過労、出産が再発の引き金になることが多い。

経過観察においてはMRI検査が重要だと述

べたが、身体障害の具合を調べる際には「拡大標準障害度評価尺度（Expanded Disability Status Scale; EDSS）」が世界的に用いられている。これは障害の程度を0から10まで、0.5ポイントずつ数値化したものである。数値が増えるのに比例して障害の程度が増していく。

E. Dの課題を解決するために必要な方策

患者情報登録サイトへの症状の入力についてはMSに多い「視力障害」「感覚障害」「運動障害」を最初に入力できるようにした。またMSに多くみられる「疲労」と、最近注目されている脳萎縮により生じる「認知機能障害」も加えた。NMOにおいては、放置すれば呼吸障害につながりかねない特徴的な症状として「しゃっくり・吐き気」を入力できるようにした。

検査結果の入力については、MSもNMOもMRIが最も重要な検査になるため、部位毎に「脳」「頸髄」「胸髄」「腰髄」と入力できるようにした。NMOに特徴的な「3椎体以上の病巣」も入力できるようにした。そして身体障害尺度として世界的に使われている「EDSS」の値も入力できるようにした。再発することが特徴で、その度に治療が必要なこと、そして予防治療が重要だということから、当然のことながら「再発記録」「服薬」を加えた。

またMSは20～40代の働き盛りの世代に多く発症することから、就労に影響を与えることが多いため、「発症当時の就労状況」「現在の就労状況」「休職の経験」の項目を、また人生における大事な出来事を記せるよう、「結婚・出産・離婚」の項目を用意した。

F. Eを遂行（実行）するために必要な支援又は資源等

本研究班は患者の体験談をインターネットの登録サイトにて募集するようにしているが、

初心者にはしくみがわかりづらいかもしれないと考え、本研究班の目的と登録サイトについて簡潔に説明したA4版裏表のチラシを作成した。チラシには研究班の目的と参加方法を記し、携帯電話からでも参加しやすいようにQRコードも記した。

また正式名称が長く、親しみが得られない可能性を考え、「かけはし（か：患者、け：研究者、は：橋渡し、し：新薬）研究班」という呼称を決めた。当事者と研究者と一緒に病気に向き合う気持ちを込めて「We are here」「体験談を研究に役立てよう」というキャッチフレーズも考えた。チラシは本研究に協力している7団体がそれぞれ配布することになっている。同時に講演会などのイベントで使えるよう、ポスターとのぼり旗も作成した。

当団体においては2012年12月9日に六本木アカデミーヒルズで開催した「第9回MS/NMOフォーラム（国立精神・神経医療研究センター神経研究所免疫研究部共催）」において、チラシ100枚を自由に持ち帰られるように展示した。またホームページにおいて、日々の活動を紹介する業務日誌「デイリーチップス」において、この研究班に参加していることを度々報告し、登録を促せるようにしている。

G. 患者登録に関する課題

2012年12月に当研究班の患者登録サイトのβ版をオープンした。患者自身の病状や生活状況を記録する「ライフヒストリー」、プロフィールを記録する「MYカルテ」、そして互いの療養生活に役立ちそうな事項を記録する「難病知恵袋」の3つが大きな柱となっている。

課題としてまず、このサイトが何のサイトなのかがわかりづらい（図1）。現段階ではこのサイトを訪れる人は、前項目に示したチラシを見た人

が大半だと思われるが、それ以外の人がこのサイトを見た場合、目的や内容の説明が不十分である。2012年12月25日のサイト構築に関する会議でその旨の指摘があり、解説の動画を作る案が出された。



(図1)

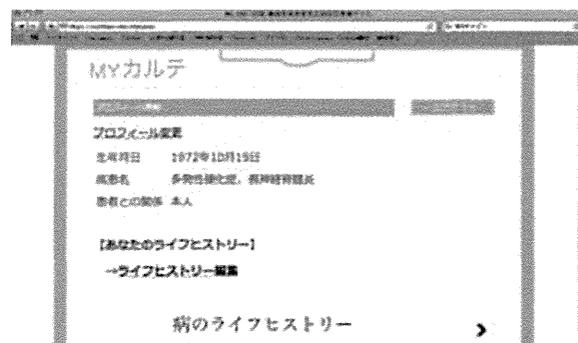
ログイン後の画面は全体に「ライフストーリー」「MYカルテ」「難病知恵袋」の新着状況が記されており、絞り込みのボタンをチェックすると、チェックした項目のみが表示されるようになっている。アニメーションとしては見栄えが良いが、新着項目のタイトルが内容の下に記載されるようになっていることもあり、何がどう絞り込まれたのかわかりづらい(図2)。



(図2)

次に、大項目を順に追っていく。病状や生活状況を記録する「ライフストーリー」は、疾患名や年齢・性別、確定診断の時期などの基礎データを入力するページ、そして症状の変化や医療・福祉・生活環境を入力していくページに分かれている。しかし入力にあたってこのライフストーリー

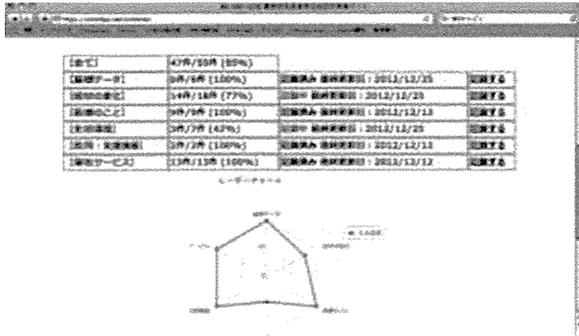
は「MYカルテ」の一部から始まるようになっており、両者の区別が分かりづらい(図3)。サイト構築会議でその旨を指摘し、「MYカルテ」の名称を「プロフィール」と変える案が出された。



(図3)

また、ライフストーリーの各項目の入力の際に「難病知恵袋への記載」を選択する部分があるが、ここへの入力内容の大部分は個人の記録であり、他者に役立つことは少なく、知恵袋に該当しない記載が多い。また記載内容は非常にプライバシー性が高く、ここに記載したことが誰にどこまで公開されるのかわからない。最初の設定で「公開/非公開」を選べるようになってはいるが、項目毎に「公開/非公開」を選択できるようにすべきだと考える。

ライフストーリーへの入力は多岐に渡り、時間がかかる。入力状況は項目毎にレーダーチャートに示されるようになっているが(図4)、自身の希望で入力したのにも関わらず、他者に評価されている気にならなくもなり、レーダーチャートの目的が不明確である。そもそも「ライフストーリー」という言葉もわかりづらく、別の日本語名を考えることも検討材料の一つになっている。



(図 4)

「MY カルテ」とは、ここではプロフィールを指す。しかし「MY カルテ」という言葉から連想されるのは「自分の病状記録」であり、これはすでに「ライフヒストリー」で記録するようになっている。MY カルテとライフヒストリーの区別が明確でなく、改善が必要である。

「知恵袋」についてはさらに、「難病知恵袋」「苦労話」「自慢話」と分かれるようになっている(図 5)。しかしそれぞれの内容は単なる病状記録であり、苦労話なの自慢話なのか、どこが知恵袋なのか明確ではない。「知恵袋」から連想されるのは、当事者と専門家が立場を超えて、科学的根拠にこだわらず、それぞれの経験や知識を元に、互いに教え合うしくみである。当サイトにおいては当事者自身の病状記録がシステム内で公開されているだけであり、知恵袋の機能を果たしているとはいえない。



(図 5)

これについてサイト構築会議で指摘し、知恵袋の本来の機能を発揮できるように、「知恵袋」は

「ライフヒストリー」とは分け、知恵袋のページを掲示板に移行する案が出された。質問者に対して同じ疾患の患者・家族、別の疾患の患者・家族、そして専門家も回答できるようにする予定である。

技術的な面としては、入力内容を変更する際に、変更作業をしたのにも関わらず、入力内容が残る現象が生じている。変更内容が瞬時に分からず、作業に時間がかかるのが難点である。

またチラシには「友だちを見つけ、相談することも」という記載をしたが、友だちを見つけて相談できるページが用意されていない。掲示板でそれを実行するか、別のしくみを用意するか、今後の課題である。

そのほか気づいた点としてはまず、記載にあたって解説が必要なページがある。例えば MS の場合、「D. 登録に際して特徴的・疾患固有な項目や背景」の項で解説した「拡大標準障害戸評価尺度 (EDSS)」については、この用語の意味を知らない人や、知っているも自分がどの数値の状態にあるのか主治医から説明を受けていない患者が存在する。症状や治療も含めて、各疾患に必要な用語を解説するページがあることが望ましい。あるいは各協力団体にリンクを張ることも一つの方法である。

また入力項目の修正・追加の必要性が生じる可能性がある。例えば MS においては、NMO との鑑別に重要な血液中の抗体の有無を記載できる項目を追加する必要がある。現在のβ版が終了し、正式版を始める際には抗体の有無を記載できる項目を追加したい。

また、日々の活動を通じて分かっていることだが、患者は、他の患者がどの病院で診断され、通院しているかを知りたく、病院・医師の情報を求めている。どの疾患の人がどの病院に通院してい

るかという情報提供は、患者が主体になっている本研究班だからこそできることなのではないかと考える。そのような情報の提供を検討していくことも、今後の課題だと考えられる。

このように課題は山積みだが、早急に、閲覧も入力も分かりやすいサイトにリニューアルしてから正式版をはじめることが求められる。MS は特に、疾患特有の認知機能障害を抱える人が少なくない。今のサイトのままでは、仮に周知を広げてもまず登録せず、登録をはじめたとしても最後まで入力できる人は非常に少数だろうと想像できる。入力作業そのものがストレスになる可能性もあり、疾患に与える影響も懸念される。これが、当団体の利用者に当サイトを積極的に周知していない大きな理由である。

H. 医師・研究者等の専門家に対する要望

現在はまだβ版ということもあるが、正式版をオープンする際には、医師・研究者等の専門家の立場からの参加をお願いしたい。療養生活を相談できる掲示板に専門家からのコメントが必要な場合は、豊富な経験・知識に基づいたアドバイスがあれば、患者にとって何よりの相談の場になると思われる。とはいえそのような時間は取れないことも容易に想像でき、また主治医との信頼関係に影響を生じる懸念もある。専門家からのアドバイスの方法については、使用にあたってのルールを詳細に明確化しておくなど、慎重な検討が求められる。

I. その他

患者自身が体験を登録し、データベースを構築して医療に役立てていくしくみは、本研究班の他にもいくつか存在すると聞いている。本研究班の協力団体の中には、別の患者情報登録サイトに関わっていることから、本研究班と今後、どのように関われば良いかを悩むことがあるとも聞いている。対象は患者数が少なく、原因不明で根治療

法のない難病患者である。似たような内容の複数の研究に何度も登録することは、そのような難病患者にとって負担につながる可能性がある。

本研究班は、筋萎縮性側索硬化症（ALS）の患者が代表を務めているのが大きな特徴であり、研究班発足後もずっと、患者主導で研究を進めている。このような特徴をより一層際立たせるシステム構築も今後必要になると考えている。