

201231/22A

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(難治性疾患克服研究事業)

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

平成24年度総括・分担研究報告書

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(JPA)

平成25年(2013年)3月

目次

I 総括研究報告

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	1
研究代表者 伊藤たてお（一般社団法人日本難病・疾病団体協議会代表理事）	

II 分担研究報告

1. 患者会と難病研究

(1) 国内患者会と難病研究に関する調査報告 その1	3
----------------------------------	---

研究分担者：永森志織（日本難病・疾病団体協議会、難病支援ネット北海道、
全国膠原病友の会）

森 幸子（日本難病・疾病団体協議会、全国膠原病友の会）

研究協力者：山崎洋一（日本難病・疾病団体協議会、全国筋無力症友の会）

馬上和久（日本難病・疾病団体協議会、全国腎臓病協議会）

大黒宏司（日本難病・疾病団体協議会、全国膠原病友の会）

西村由希子（日本難病・疾病団体協議会、PRIP Tokyo）

(2) 国内患者会と難病研究に関する調査報告 その2	7
----------------------------------	---

研究分担者：森 幸子（日本難病・疾病団体協議会、全国膠原病友の会）

永森志織（日本難病・疾病団体協議会、難病支援ネット北海道、
全国膠原病友の会）

研究協力者：山崎洋一（日本難病・疾病団体協議会、全国筋無力症友の会）

馬上和久（日本難病・疾病団体協議会、全国腎臓病協議会）

大黒宏司（日本難病・疾病団体協議会、全国膠原病友の会）

西村由希子（日本難病・疾病団体協議会、PRIP Tokyo）

(3) 海外患者会調査および連携に関する報告	13
------------------------------	----

研究協力者：西村由希子（日本難病・疾病団体協議会、PRIP Tokyo）

2. 患者レジストリの構築にむけての研究

(1) 国内の患者レジストリを対象としたアンケート調査	29
-----------------------------------	----

研究分担者 森田瑞樹（東京大学知の構造化センター）

荻島創一（東北大学東北メディカル・メガバンク機構）

西村邦裕（東京大学先端科学技術研究センター）

研究協力者 花岡秀樹（PRIP Tokyo）

共同研究者 百瀬理絵（PRIP Tokyo）

付ノ患者レジストリアンケート調査票	39
-------------------------	----

(2) 患者レジストリに関連する法制度の検討	45
------------------------------	----

研究分担者 安念潤司（PRIP Tokyo, 中央大学法科大学院）

共同研究者 百瀬理絵（PRIP Tokyo）

(3) 患者が主体となった患者レジストリに関する検討	51
研究分担者 森田瑞樹 (東京大学知の構造化センター)	
西村邦裕 (東京大学先端科学技術研究センター)	
荻島創一 (東北大学東北メディカル・メガバンク機構)	
研究協力者 織田友理子 (遠位型ミオパチー患者会)	
猪井佳子 (日本マルファン協会)	
永松勝利 (再発性多発軟骨炎患者会)	
近藤健一 (シルバー・ラッセル症候群ネットワーク)	
共同研究者 百瀬理絵 (PRIP Tokyo)	
(4) 患者主体の患者レジストリで収集する項目に関する検討	65
研究分担者 森田瑞樹 (東京大学知の構造化センター)	
森まどか (国立精神・神経医療研究センター病院)	
森崎隆幸 (国立循環器病研究センター)	
鈴木 登 (聖マリアンナ医科大学)	
有馬隆博 (東北大学大学院医学系研究科)	
研究協力者 清水 潤 (聖マリアンナ医科大学)	
織田友理子 (遠位型ミオパチー患者会)	
猪井佳子 (日本マルファン協会)	
永松勝利 (再発性多発軟骨炎患者会)	
近藤健一 (シルバー・ラッセル症候群ネットワーク)	
花岡秀樹 (PRIP Tokyo)	
付／日本版GRDRイメージ	71
付／橋本班との連携図	72
(5) 患者が執筆した闘病記の医学的な利用可能性に関する研究	73
研究分担者 荒牧英治 (京都大学デザイン学ユニット)	
森田瑞樹 (東京大学知の構造化センター)	
III 資料	
◇国内患者会と難病研究に関する調査報告その1 詳細報告	77
◇国内患者会と難病研究に関する調査報告その2 詳細報告	95
◇国内患者会と研究班アンケート調査票	111
◇海外患者会調査および連携に関する報告関連資料	123
◇研究成果報告会プログラム (全)	135
IV 研究成果の刊行に関する一覧表	189
◇班員リスト	190

I 総括研究報告

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

Ⅱ 分担研究報告

1. 患者会と難病研究

国内患者会と難病研究に関する調査報告 その 1

- 研究分担者： 永森志織(日本難病・疾病団体協議会、難病支援ネット北海道、全国膠原病友の会)
森幸子(日本難病・疾病団体協議会、全国膠原病友の会)
- 研究協力者： 山崎洋一(日本難病・疾病団体協議会、全国筋無力症友の会)
馬上和久(日本難病・疾病団体協議会、全国腎臓病協議会)
大黒宏司(日本難病・疾病団体協議会、全国膠原病友の会)
西村由希子(日本難病・疾病団体協議会、PRIP Tokyo)
- 研究代表者： 伊藤建雄(日本難病・疾病団体協議会、北海道難病連)

研究要旨

患者およ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。本研究では国内の患者会に研究協力に関するアンケート調査を実施し、患者会の運営実態を明らかにし、どのような支援が必要なのかについて検討を行った。これまでの研究協力の有無については「あり」が 92%と、予想を大幅に上回る回答を得た。また研究協力の希望では「協力できる」が 93%と圧倒的多数を占め、患者会が研究協力に大いに期待し協力意思を持っていることが伺えた。「研究費」の支出のあった団体が 8 団体あり、調査研究事業費として 17 万円から 873 万円の幅で数件計上されていた。研究者に助成金を授与しているのは 1 団体のみで、その他は実態調査等の調査費用と見られる。自分たちの病を知る・知ってもらうために必要な実態調査を自分たちで実施するという「研究」(むしろ調査)がメインであり、治療や診断、創薬開発などに関する研究もしくは研究助成を実施している患者会は日本ではごくわずかといえる。運営に関する基礎調査を通じて、患者会は財政的、人材的に非常に厳しい運営状況にあることがわかった。しかしそれでも研究協力には積極的に取り組みたいと考えていることも明らかになった。研究協力する際に必要と思われるサポートは「成果報告」が最も重要で、次いで「コミュニケーション」「丁寧な説明」「費用の負担」である。患者会への適切な支援と事前事後の丁寧な説明、報告等を充実させることにより、今後の患者会と研究者の協力関係をより良いものにしていくことができると考えられる。

社ニーズに絞ったものであり、患者会と研究に関するアンケート調査は本研究が初めてである。

A. 研究目的

国内の患者団体・患者会(以下患者会とする)の運営実態、研究協力に関する調査により難病研究支援実施体制構築に向けた課題を明らかにする。

患者会としての基本的な構成、設立、財政など、運営に必要な情報や患者会の実際の活動についての調査は、これまで「自治体の難病対策と地域難病連の概要(2009年、日本難病・疾病団体協議会)」等があるが、本調査のように地域難病連と全国規模の患者会に同じ設問で調査したものはなかった。

難病患者に対するアンケートに関しては、厚生労働省平成 22 年度障害者総合福祉推進事業報告書「難病患者等の日常生活と福祉ニーズに関するアンケート調査」(2011年3月 財団法人北海道難病連)がある。これは日常生活と福

B. 研究方法

下記の対象患者会から地域限定の患者会や、全国疾病団体の支部、各県難病連の地域支部等を除いた計 189 団体に郵送でアンケート調査を実施した。

[対象]

- ・日本難病・疾病団体協議会(JPA)の全加盟団体(患者会)
- ・難病・慢性疾患全国フォーラム参加団体
- ・難病情報センター掲載の患者会

[時期]

2012年9月27日発送、10月19日締切。

[設問項目] 下記の計 26 項目

I 団体の基本情報 (7 項目)

[名称、住所、電話、ファックス、メール、ホームページ、設立年月日]

II 団体の構成 (6 項目)

[代表者、対象疾病、構成員、職員、会員数、支部・加盟団体などの下部組織]

III 主な活動 (3 項目)

[団体の目的・理念、設立時と現在の活動内容、会員数の増減]

IV 研究協力 (4 項目)

[研究協力の有無、研究協力の希望、研究協力できない理由、研究協力する際に必要だと思われるサポート]

V 財政 (5 項目)

[収入の項目、支出の項目、決算書、年間収入額、年間支出額]

VI 運営の工夫 (1 項目)

IVで研究協力「あり」と回答した患者会への追加のアンケートを実施した。その結果は「国内患者会と難病研究に関する調査報告 その2」で報告する。

(倫理面への配慮)

アンケート調査票に、アンケート結果は研究以外には使用しないこと、集計時にも情報の漏洩には十分に気を付けることを記載して調査を実施した。

C. 研究結果及び D. 考察

調査票の送付数は 189 件であり、そのうち返送は 106 件、回収率は 56.0%であった。

資料ページに「国内患者会と難病研究に関する調査報告 詳細報告」として表とグラフを掲載したので併せて参照していただきたい。

I-2) 団体事務所について

事務所を持っている団体が 48.84%と半数近くある一方で、個人自宅を事務所に行っている団体が 37.8%と 3分の1以上を占めている。自宅事務所の場合、独立した部屋や離れを使って事務所として機能している場合と、郵便や電話の連絡先が代表者または事務局の自宅となっているだけで、事務所機能をほとんど持たないものとに分けられる。規模の小さい団体の多くは後

者であり、無回答の 13.4%にも同様のケースが含まれると考えられる。

I-7) 活動年数 (設立年月日の記載より)

団体の活動年数は、5-10 年が最も多く、23.2%であった。最短が 1 年、最長が 57 年、平均は 23.75 年であった。

10 年以下は、希少疾患の患者会が多かった。10 年から 40 年と回答した団体は、地域難病連及び慢性疾患など患者数の多い疾病の患者会が多い。40 年以上の団体は、約 40 年前の 1972 年に難病対策要綱による難病対策が始まる以前から活動している疾病団体の全国組織がほとんどである。

このアンケート調査の集計を行うに当たっては、1-10 年、11-40 年、40 年以上の 3つのグループに分類し、クロス集計を行ってその傾向の違いを捉えようと試みた。

II-3) 団体の構成員

団体の構成員は、予想した通り、患者本人が 80.5%と大多数を占めている。特に設立から 1-10 年のグループでは患者本人が 88.0%、患者の家族が 76.0%と多数であり、かつ支援者や専門職も多く、多様性に富んでいる。10-40 年のグループでは患者 40.0%、家族 40.0%で、団体加盟が 43.3%と多くを占めている。これは地域難病連などの連合体が多いことを示している。40 年以上のグループは患者 56.3%、家族 43.8%で他に支援者、専門職などが含まれ、どちらかというとも 10-40 年のグループに近い構成比になっている。

II-4) 職員の勤務形態と待遇

常勤・非常勤を含めて平均職員数は 3.73 名であった。ただし 0 と答えた団体が多数あり、0 から 2 名程度が最も多い。非常勤職員の半数以上が無給で、常勤でも半数近くが無給である。職員はおけず、役員数名が無報酬で事務局を担当しているという団体が 26.8%と、4分の1以上を占めた。

II-5) 会員数 ※賛助会員等を含む

会員数は 101-500 人が最も多く、24.4%と 4分の1近くを占めた。2,000 人までの団体が過半数を占めている。100,000 人を超える団体は連合体と、患者数の多い疾病の団体である。

III-1) 団体の目的、理念

情報提供、情報収集、同病患者の支え合いが上位 3 位を占め、90%以上の高い割合を示した。

10年以下の団体はどの項目に関しても比較的高い割合を示している。ただし、差別の除去に関しては52.0%とやや低い結果であった。40年以上活動している患者会ではこの項目も他の項目と同程度の割合の回答があるのに比べると明らかに傾向が違う。

その他の記述欄においては、10年以下の患者会は研究に関連する活動が多いことがわかった。その記載は下記の通りである。

- ・日本〇〇病学会、国際〇〇病患者会との連携¹
- ・治る病気にするため研究者へ研究費の助成を実施
- ・調査研究
- ・研究者への助成、治療法の確立、QOLの向上
- ・△□病の原因究明と治療法の確立（基金による研究奨励他）¹
- ・推薦品マーク制度による安心安全の担保商品設定（有償）
- ・相談事業

III-2) 設立時と現在の活動内容

活動内容を問う設問では、海外の患者会との比較を行うために、「医療機関運営」「学校運営」「医薬品購入支援」「投資」等の項目を設けたが、今回の国内患者会調査ではその項目の回答はゼロであった。

活動内容の上位3位は総会、交流会、相談会であった。設立時と現在の活動を比較して2倍以上増えているものは「役員研修」「機関誌発行（WEB）」「SNS」「国の委託事業」「都道府県委託事業」「市町村委託事業」「データベース作成運営」「HP作成」「冊子発行」「製造販売」「作業所運営」「看護介護事業」であった。

情報収集、情報提供といった会員向けの事業から始まり、委託事業や事業所運営など会員及び会員外対象の事業に活動を拡大させていることが伺える。

III-3) 会員数の増減について（5年前または設立時と比べて）

5年前（設立5年未満の患者会は設立時）と比べての会員数の増減を聞いたところ、増加した団体が48.8%、減少した団体が36.6%、変化なしが12.2%であった。会員数の減少に悩んでいる患者会が多いとの予測に立った設問だったが、半数近くが増加しているとの結果となった。

IV-1) 研究協力の有無について

これまでの研究協力の有無について聞いたところ、「あり」が92%、「なし」が7%、「わからない」が0%、「無回答」が1%と「あり」が圧倒

的に多かった²。

IV-2) 研究協力の希望について

研究協力の希望では「協力できる」が93%と圧倒的多数を占め、「協力しているが難しい」が4%、「わからない」が2%、「協力できないが」が1%、無回答は0、という結果であった。患者会が研究協力に大いに期待し協力意思を持っていることが伺えた。

IV-3) 研究協力できない理由について

研究協力できない理由は「会の運営で手一杯だから」が3件で、「団体へのメリットが不明だから」が1件、「その他」が3件であり、協力したいが余裕がないためにできない、という状況が推測できる。

IV-4) 研究協力する際に必要だと思われるサポート

研究協力する際に必要だと思われるサポートについては、「成果報告」が最も多く78.8%であった。設立年数、団体の形態に関係なくこれが最も多く求められている。困難の多い団体運営の中で時間を割いて研究協力をするのは何らかの研究成果を期待しているわけであり、結果の報告が欲しいという意識の表れと見られる。

設立年数ごとに回答をみると、設立1-10年の新しい患者会は、特にコミュニケーションの充実を求めている。また、すべての項目に対して平均を上回る回答をしていた。設立11-40年の患者会は、全体的に回答比率が低かった。41年以上の患者会は丁寧な説明と成果報告という事前事後の説明を求めていることがわかった。

¹対象の特定を防ぐため病名の記載を伏せた。

²調査票には『この場合の「研究協力」とは、研究班、各種政府系委員会、学会、その他事業への参加を指します。』と記載した上での設問であるが、どの項目に関して「あり」と答えたのかはこの調査のみではわからない。これだけ「あり」の回答が多いのは、主治医や顧問の医師に対する協力を広く「研究協力」と捉えた可能性がある。

V-1) 団体の財政（収入項目） ※複数回答

収入項目に関しては、会費（賛助会費含む）が93.9%と最も多かった。次に一般篤志寄付、企業財団助成金、公的助成金が続く。

海外の団体と比較するために「投資収入」「特許収入」という項目を設けたが、今回の調査では0%だった。

V-1) 団体の財政（支出項目） ※複数回答

支出項目で最も多かったものは交通費の91.5%で、通信費、印刷製本費、一般活動費、雑費と続き、6番目によやく人件費が出てくる。事務局人件費の支出がある団体が42.7%と、半数以上の患者会では事務局人件費を支払う余裕がないことがわかる。日当が25.6%、役員人件費が12.2%とやはり人件費は低い。研究費という項目では、全体では9.4%あるが、A(1-10年)の団体では0%で、B(11-40年)が10.0%。C(41年-)が6.3%であった。

患者会支出状況から研究に対する傾向を考える。活動年数別に見ると、1-10年の団体は自分の団体での研究費の支出は0%であるが、研究に対する期待が高く、自由記述欄で研究活動への協力を記載した団体が多かった。一方11-40年の団体は研究費の支出が多い割に研究協力に求めることが少ないことがわかった。

「研究費」の支出があったのは8団体であった。アンケート調査票返送時に任意で提出していただいた決算書を精査したところ、調査研究事業費として計上されたものが数件あり、17万円から873万円の間の金額であった。研究者に助成金を授与している団体は1件のみで、その他は実態調査等の調査費用と見られる。

V-4) 年間収入額

年間収入額が500万円未満の小規模の財政の患者会が計53.6%と過半数を占めた。500万円以上1,000万円くらいの患者会は、仕事が多くなり見合う収入がなく苦しい運営を強いられている団体と推測できる。5,000万円を超えるくらいから運営が安定してくると思われる。

患者会を「全体」「地域難病連」「その他」で分けて分析したところ、「公的助成金」「広告収入」「企業団体助成金」に関して、難病連の数値が圧倒的に高かった。疾患の患者会に比べると難病連の方が幅広い収入源を持っていることが伺える。

V-4) 年間支出額

支出額も収入額とほぼ同じで、500万円未満が過半数を占める。難病連とそれ以外でのクロス集計を試みたところ、事務局人件費、日当、役員人件費は難病連の支出が多い。また研究費の支出もその他疾病団体よりも難病連の方が多かった。

E. 結論

運営に関する基礎調査を通じて、患者会は職員すら置けないような、財政的、人材的に非常に厳しい運営状況にあることがわかった。しかしそれでも研究協力には積極的に取り組みたいと考えていることも明らかになった。

患者会の「研究費」の支出状況から読み取れることは、自分たちの病気を知る・知ってもらうために必要な実態調査を自分たちで実施するという「研究」(むしろ調査)がメインであり、治療や診断、創薬開発などに関する研究もしくは研究助成を実施している患者会は日本ではごくわずかといえる。

研究協力する際に必要と思われるサポートは「成果報告」が最も重要で、次いで「コミュニケーション」「丁寧な説明」「費用の負担」である。患者会への適切な支援と事前事後の丁寧な説明、報告等を充実させることにより、今後の患者会と研究者の協力関係をより良いものにしていくことができると考えられる。

以上の基礎調査の結果を踏まえ、平成25年度は、患者会へのアンケート調査とインタビュー調査を実施し、研究協力を行う際に患者会が抱えている具体的な課題とその解決策を探りたい。また小児対象の患者会(親の会等)と成人対象の患者会での研究協力に対する意識や姿勢の違いについても明らかにしたい。

F. 研究発表

1. 論文発表 なし
2. 学会発表

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

G. 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

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

国内患者会と難病研究に関する調査報告 その2

- 研究分担者:** 森幸子(日本難病・疾病団体協議会、全国膠原病友の会)
永森志織(日本難病・疾病団体協議会、難病支援ネット北海道、全国膠原病友の会)
- 研究協力者:** 山崎洋一(日本難病・疾病団体協議会、全国筋無力症友の会)
馬上和久(日本難病・疾病団体協議会、全国腎臓病協議会)
大黒宏司(日本難病・疾病団体協議会、全国膠原病友の会)
西村由希子(日本難病・疾病団体協議会、PRIP Tokyo)
- 研究代表者:** 伊藤建雄(日本難病・疾病団体協議会、北海道難病連)

研究要旨

患者および患者支援団体等の研究推進・支援体制の構築の必要性が高まっている。本研究では、日本で初めて患者会と研究班の研究協力に関する現状や意識などの実態調査を実施し、患者会が研究支援を継続的に関わることのできる体制整備に向けた基礎的データを収集した。研究対象者は研究協力を行ったことがある国内の患者団体及び 2012 年度難治性疾患等克服研究事業研究班とし、研究協力に関するアンケート調査をそれぞれ実施した。患者団体と研究班、それぞれの回答を比較し、患者団体が研究協力をを行うにはどのような支援が必要なのか、また現在の課題について検討を行った。患者会側も研究班側も研究協力には大きな期待を持っており、今後ますます進展するものと思われる。一方で、研究協力に関して必要と思われるものは患者会、研究班双方ともにあまり相違がなかったが、研究協力内容や満足度については相違があり、その原因は研究そのものへの理解不足やコミュニケーション不足も考えられる。これらを解決するため、今後はガイドラインの作成を急ぐ。また、説明責任や利益相反については、患者会、研究班双方から「果たしていない」「必要性がわからない」との回答が多く、今後の検討課題となった。

A. 研究目的

本研究全体の目的は、患者および患者支援団体等が、研究・開発促進に向けて主体的かつ継続的に関わることのできる環境整備を行うことである。本目的を達成するため、研究協力者である国内の患者団体・患者会（以下患者会とする）の研究協力に関する調査を実施し、研究協力の現状ならびに意識について調査を実施した。また、研究実施者である難治性疾患等克服研究事業研究班(以下研究班とする)を対象とした患者会との研究協力について関する調査もあわせて実施した。これらの調査によって、難病研究支援実施体制構築に向けた双方の意識の共通点・相違点、ならびに今後の課題を明らかにする。

B. 研究方法

[研究協力有の患者会への調査]

最初に「国内の患者団体・患者会の運営実態、研究協力に関する調査」（国内患者会と難病研究に関する調査報告 その1で報告）を実施し、その中で、研究協力「有」と回答のあった患者会を対象として、郵送にてアンケート調査を配布、回収した。また、Web アンケートでの回答も可能とした。「国内の患者団体・患者会の運営実態、研究協力に関する調査」の対象は、日本難病・疾病団体協議会(JPA)に加盟しているすべての疾病団体および地域難病連等に加え、JPA非加盟であり難病・慢性疾患全国フォーラムに参加している患者会、また上述2点には当てはまらないが難病情報センターのウェブサイトに掲載されている患者会の総計 189 組織に対して行った。その中で、研究協力をしたことがあると回答した 70 組織を対象とした。調査時期は

2012年11月16日に全組織に対して郵送アンケートを一斉発送し、また同一内容をウェブアンケートとしても回答可能とした。締め切りは11月30日とし、締め切り4日前に未回答組織に電話にて再度案内をおこなった。

[研究班への調査]

2012年度難治性疾患等克服研究事業を実施したすべての研究班(162件)を対象とした。締め切りは11月30日とし、調査時期は2012年11月12日に全組織に対して郵送アンケートを一斉発送し、また同一内容をウェブアンケートとしても回答可能とした。締め切りは11月30日とし、締め切り4日前に未回答組織に電話にて再度案内をおこなった。

[設問項目]

主な調査項目は以下とした。

- ・研究対象(基礎・応用・臨床 他)
- ・患者会/研究班との関わりの有無
(無と回答した場合)患者会/研究班との関わりのない理由
- ・患者会/研究班との関わりの内容
- ・現在の関係に対する満足度
- ・研究協力に必要なこと、および相手側にしてほしいと感じていること
- ・説明責任について
- ・利益相反について 等

アンケート本文は別添にて掲載した。

(倫理面への配慮)

両アンケートともに、アンケート調査票にはアンケート結果は研究以外には使用しないこと、集計時にも情報の漏洩には十分に気を付けることを記載して調査を実施した。

C. 研究結果 および D. 考察

[研究協力有の患者会への調査]

送付70件のうち、返送された回答は36(郵送30、Web6)件であり、回収率は51.4%であった。(設問番号 患1)～患14))

[研究班への調査]

送付162件のうち、返送された回答は95(郵送80、Web15)件であり、回収率は58.6%であった。(設問番号 研1)～研15))

詳細な結果は次ページ以降の「国内患者会と難病研究に関する調査報告 その2 詳細報告」に表とグラフも加えて記載した。以下、特に検討すべき項目についての調査結果を示し、あわせて考察も記載した。

研究協力をどのような対象に対して実施しているかを聞いたところ、「研究班」が55.6%、次いで「研究班に属している研究者・医師」41.7%であった。返送のあった患者会は何らかの形で研究班に関わりを持ち、関心の高い患者会が多いことがわかった。一方で、アンケート調査を受け取った患者会の内、「医師からの依頼でアンケートに協力しただけで、研究班には直接関わってはいない」「医師からの情報を機関紙に掲載している程度」などの声が寄せられ、アンケート調査への問い合わせはあったものの返送にまで至らなかった患者会もあり、「研究協力」に対する意識や認識はさまざまであることがわかった。(設問番号 患1))

一方、研究班に患者会との関わりについて聞き、研究班を臨床80件、非臨床15件に分類しクロス集計を行った結果を示した。臨床を実施している研究班は非臨床を実施している研究班に比べ、患者会との関わりが圧倒的に多いことがわかった。

研究対象	現在ある	過去にあった	現在も過去もある	過去も現在もない	わからない	患者個人とある
臨床(80)	21	2	9	31	1	16
非臨床(15)	2	1	4	3	2	3

一方で、関わりがないと回答した研究班も多かった。現在も過去も関わりがあるという研究

班はあまり多くなく、患者会との関わりはここ数年で増加していることがわかった。また、研究班が患者会と研究協力を行っている経験はまだ少ないことが明らかとなった。(設問番号 研1)、研2))

研究班が今後患者会との関わりを持つ予定が「ある」と回答した研究班は、臨床44件、非臨床8件となり、現在に比べると増加している。(設問番号 研1)、研3))

	ある	ない	わからない
臨床(80)	44	13	20
非臨床(15)	8	1	6

また「ない」と答えた研究班の理由は、「患者会の情報が少ないから」、「患者会がない」、「よくわからないから」などとなっている。(設問番号 研12))

「ない」「わからない」と答えた研究班に今後どのような連携が増えてくると思うかを聞いたところ自由記述の回答には以下のような記述があった。(設問番号 研15))

- ・現時点では特に患者会との関わりはないが研究についての情報提供等を、患者会を含めて正しく広く進めていきたいと考えている。
- ・海外の患者会のように医師、患者が協力して新しい治療や診断基準を作っていくような動きが増加していくことを望む
- ・私たちの扱っている疾患分野では患者会すら立ち上がっていないのが現状だと思う。今後患者会の整備や患者会を通じての研究は必要になると思う。

以上のことから、今後更に患者会が関わることについて進展が見込まれる。

患者会の研究班もしくは研究者との現在の関わりの内容については、「アンケート回答」、「実態調査の協力」がそれぞれ38.9%を占めており、次いで「研究班の会議の傍聴」27.8%となっている。また、「臨床試験・治験へのデータ協力」は22.2%であった。(設問番号 患6))

一方で、研究班側に患者会との現在の関わり

の内容について質問したところ、「実態調査の協力依頼・実施」が22.1%と最も多く、次いで「疫学基礎情報の収集依頼・実施」、「生体資料提供依頼・実施」、「研究班の会議の傍聴依頼・実施」がそれぞれ18.9%となっている。また、「臨床試験・治験へのデータ協力」は10.5%であった(設問番号 研6))

双方の結果を比較すると、同じ設問項目にもかかわらず患者会側が挙げている研究協力の内容と研究班側の内容とは多少食い違いが生じていることがわかった。理由として以下の3点を考えた。1) 患者側が疫学などの専門用語を理解できなかったため、「実態調査」もしくは「臨床試験・治験へのデータ協力」と理解して回答した。2) 研究者(医師)側が「疫学基礎情報の収集依頼・実施」「生体資料提供依頼・実施」などについて患者側にきちんと説明していなかった。3) 研究者(医師)側が最初に研究協力を依頼する際にはきちんと説明したが、二回目以降は説明をしなかったため患者が失念し、自分の理解範囲で回答した。また、「生体資料提供依頼・実施」については、患者会側が「これは患者個人が実施していることなので患者会として推奨していない」と判断して回答を避けたという可能性もある¹⁾。

今回、難治性疾患等克服研究事業を実施している研究班側へのアンケートで、最初に研究内容を臨床・応用・基礎にわけて回答してもらったが、76%の研究班が自身の研究を「臨床」と記載した。患者会側は、この「臨床」のための研究の意味を、従来の意味である「よりよい診断や治療のために医学的なデータを得るさまざまな試験であり、得られた知見は、学会や専門雑誌への発表を通じ、医学の水準向上に役立つ」

¹⁾ 生体試料とはヒト、動物、または植物から得た、尿、血液、組織、細胞、DNA、蛋白などの材料のサンプルを指すが、アンケートに回答した患者会によってはこの言葉も耳慣れない言葉として回答を控えたところがあるのではないかと。「生体資料」「疫学」などの専門研究で普通に使われている用語でも、今後は患者に対するガイドラインに丁寧に盛り込んでいく必要がある。なお、今回は患者会が調査をしたこともあり、複数の患者会からは聞き慣れない内容の調査項目に関して問い合わせが複数あったことも付記する。

研究ではなく、上述の中の一部である「新しい薬が政府の承認を得て一般の診療で使えるように、客観的なデータを集める」である臨床試験ととらえている場合もあるのではないか。実際に、研究班側の回答のうち、「臨床試験・治験へのデータ協力」を患者会側に依頼している研究班は少なく、彼らの「臨床研究」の意味が広義のそれであることがみてとれる。一方で、患者（会）側は臨床試験のためと考えて情報を提供している可能性は否めない。患者側の認識不足と言われればそれまでであるが、実際に専門用語や似たような言葉（臨床研究と臨床試験など）をきちんと理解することは専門家以外では至難の業である。そして、どのような理由にせよ、協力内容の理解が協力者一実施者間で異なっていることは明らかであり、今後はこの相違をどのようにして埋めていくかが課題となる。また、患者会側は研究班の研究内容について今一度理解把握に努めると同時に、自分たちが関わる病気に対してどのように役立っているのか、また役立っていないと感じるならばどのように声を挙げていくのか検討する必要がある。

患者会と研究班もしくは研究者との関係に満足しているかを患者会に聞いたところ、「大変満足」16.7%、「満足」50.0%となり、両回答を加えると満足は66%を超えた。また、「普通」19.4%、「満足していない」11.1%であり、患者会から見た満足度は高いと言える。（設問番号 患7）

満足の理由（複数回答）は、「信頼関係がある」58.3%、「患者会のニーズに研究班が役立っている」52.8%、「真剣に患者会の状況を理解してくれる」50.0%、「研究に期待できる」44.4%となっており、患者会との関わりの半数が個々の医師や研究者との関わりであることから、個々の信頼関係も大きく影響している。（設問番号 患8）

一方、研究班に患者会との関係の満足度を聞いたところ、「大変満足」11.6%、「満足」16.8%、「普通」18.9%、「満足していない」3.2%、「わからない」10.5%であった。また39%は無回答であり、患者会に関わっていないもしくは満足度を考えるところまでの関係性に至っていないと思われる。（設問番号 研7）

満足の理由については、「信頼関係がある」21.1%、「研究に対して期待してくれている」18.9%、「患者会のニーズに研究班が役立っているから」16.8%、「真剣に研究を理解してくれる

13.7%と並んでいる。（設問番号 研8）

患者会と研究班にそれぞれ研究協力に必要なだと思っていることを聞いたところ、「研究終了後の患者会に対する成果の公開・報告」、「研究に関する事前の説明」が最も重要で次いで「密なコミュニケーション」、「研究の疾患に対するインセンティブの説明」、「研究協力を行った際の不利益に関する説明」「金銭的助成」という項目が多く選択された。これは患者会、研究班共にほぼ同じ結果となり、考えは近いことがわかった。（設問番号 患10）、研10）

この満足度に関する回答の差は、先に述べた研究内容に関する理解の差につながると推察する。患者（会）側は「研究者（医師）に（何の研究かよくわからないが）協力している」行為に対して満足度を覚えている可能性が高い。言い換えれば、そこに留まってしまっているからこそ、研究内容への理解を深めようとする意欲も薄れていることも考えられる。一方で、研究班側は、患者（会）の求めていることはあくまでも「病気を迅速に確定するための診断方法や治すための治療法、新薬などの開発を望んでいる」と考えているため、実際にその段階まで至っていない研究段階にいた場合には、患者側のニーズを満足させることがまだできていない、と感じているのではないか。従って、患者（会）側は、ただ研究の理解に努めるだけでなく、その研究が自分たちの求めている目的までの過程のどこに位置しているかについてもあわせて把握する必要がある。と同時に、研究班側はこのような患者の知ろうとする意欲に対して積極的に情報開示や意見交換を実施する必要があると考える。

患者会が研究協力を実施する際、研究班もしくは研究者が患者会側に実施してほしいと感じていることは何だと思うかについて聞いた結果、「患者会内部の取りまとめ・意見集約」55.6%、「研究協力に適した患者の選定」52.8%、「機関誌・ホームページ等からの協力に関する発信」47.2%、「締め切りを守ったデータ提出」41.7%の順となった。（設問番号 患11）

一方で、研究班が患者会に研究協力を仰ぐ際、患者会側にしてほしいと感じていることについては、「患者会内部の取りまとめ・意見集約」は38.9%とこちらも最も多かった。しかし、次に多

いのは「定期的意見交換会の実施」24.2%、「機関誌・ホームページ等からの協力に関する発信」18.9%、「報告会・班会議での発言・発表」14.7%となっており、患者会側との相違があった。(設問番号 研11)

研究班もしくは研究者は研究に関する説明責任を果たしているかについて聞いた。

患者会からの回答では72.3%が「果たしている」と答えているが、「十分に果たしているとは言えない」13.9%、「果たしていない」が11.1%あり、「説明責任の必要性がわからない」と答える患者会もあった。(設問番号 患12) また、研究班に説明責任を果たしているか聞いたところ、「果たしている」44.2%、「十分に果たしているとは言えない」9.5%、「果たしていない」1.1%、その他の4.2%は患者会がないと答えている。(設問番号 研13)

利益相反(債務相反)に関する検討を行っているか聞いたところ、患者会側は「行っている」33.4%、「十分とは言えない」30.6%、「行っていない」16.7%、「研究班側が行っているので行っていない」11.1%、「利益相反の必要性がわからない」との回答も5.6%あった。(設問番号 患13) また、研究班側では、「行っている」27.3%、「十分とは言えない」9.5%、「行っていない」11.6%、「利益相反の必要性がわからない」4.2%となっている。(設問番号 研14) 利益相反に関しては、患者会・研究班ともにまだ意識が低いと言わざるを得ない。厚生労働省では平成20年から「厚生労働科学研究における利益相反(Conflict of Interest:COI)の管理に関する指針²⁾」を施行しているが、いまだ周知していないというのが現状であろう。特に患者会側は「研究班側が行っているので行っていない」ではなく、むしろウォッチャー機能を有すべきだと考え、そのためには利益相反について一層理解に努めるべきである。

E. 結論

²⁾ 厚生労働科学研究における利益相反(Conflict of Interest:COI)の管理に関する指針(平成20年3月31日科発第0331001号厚生科学課長決定)

<http://www.mhlw.go.jp/general/seido/kousei/i-kenkyu/rieki/txt/sisin.txt>

患者会と研究班の研究協力に関する現状や意識などの実態調査を実施し、患者会が研究支援を継続的に関わることのできる体制整備に向けた基礎的データを収集することが出来た。

患者会側も研究班側も研究協力には大きな期待を持っており、今後ますます進展するものと思われる。一方で研究協力に関して必要と思われるものは患者会、研究班双方ともにあまり相違がなかったが、研究協力内容や満足度については相違があり、その原因は研究そのものへの理解不足やコミュニケーション不足も考えられる。研究協力という言葉自体も患者会によってとらえ方が異なっている可能性があり、文言の整理も重要である。

患者会の多くは自らが病を抱え、日々相談活動等を実施しており、研究協力を行うにあたっては経験も少ないことから財政、人材において極めて重い負担となっている。また、患者会の情報が少ないために研究班とつながりが持ていない患者会や患者会のない疾患についても実態を把握し、研究に積極的に関わり患者の思いや体験から得た知識が研究・開発促進に生かされるよう、患者会と研究班との橋渡しができる等の支援が必要である。

そのため、すでに研究貢献活動を実施している海外患者組織の実例もふまえて、今後は患者会向けに「研究協力ガイドライン」を作成し、患者側のより一層の理解促進をおこなう。ガイドライン作成の際には、様々な疾患の研究班所属研究者や医師、そして患者(会)からのフィードバックを得ながら作業を進めていく。あわせて研究班の研究内容(概要)の把握に努め、患者会の求めている目的までの過程のどこに位置しているか、見極めていく必要がある。

説明責任や利益相反についても、患者会、研究班双方から「果たしていない」「必要性がわからない」との回答があったが、公正性、信頼性を確保するためには適正に対応する必要がある。また、近年では患者会や属するメンバーが研究班の実施主体もしくは研究分担者・協力者になる事例も増えている。その場合、患者・関係者は自身の立場が研究「協力」側だけではなく研究「実施」側の一員でもあることを忘れてはならない。説明責任や利益相反についても、患者会側からの視点も踏まえて検討していくことも今後の課題として検討したい。

F. 研究発表

1. 論文発表 なし
2. 学会発表

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

G. 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

海外患者会調査および連携に関する報告 その1

研究協力者: 西村由希子(日本難病・疾病団体協議会、PRIP Tokyo)

研究代表者: 伊藤建雄(日本難病・疾病団体協議会、北海道難病連)

研究要旨

本研究では、既に研究貢献活動を実施している海外患者組織（協議会）の実態を調査し、日本のそれらとの類似点および相違点について検討した。

国・地域レベルの協議会における疾患対象は各地域（国）が定義している「希少疾患」もしくは「難病」であり、設立のきっかけが患者主導型であること、形態が非営利組織であること、情報発信対象が広く全体に周知する開放型であることなどは、すべての協議会に共通した特徴であった。一方で、主な活動内容として、日本国内協議会以外のすべての協議会は創薬開発までを含めた研究促進・支援活動を実施しており、また専門職などを対象とした教育プログラムの作成・提供もおこなっていた。本調査により、世界全地域の協議会活動は数年前と比べて活性化しており、存在の重要度もさらに増していることが明らかとなった。活動の幅の広がり、他のステイクホルダーからの要望の多様化および期待の表れであるといえる。また、個別患者会との関係も、例えばオーファンドラッグ開発などに関する政策提言能力や希少疾患という大きなくくりでの発信力といった、個別患者会では難しい活動は協議会の一員として実施するなど、個別疾患患者会でできることと協議会のそれとの違いを双方が認識できると、より良い連携ができることがわかった。

個別患者会調査については、今回は研究貢献活動を世界的に見ても特に活発に実施していると認知されている3組織について調査をおこなった。各組織とも設立時から研究貢献を念頭に置いているだけでなく、対象研究者も国内ではなく世界に目を向けていることが大きな特徴であった。また、助成をするだけでなく、その成果を披露する学会の開催や、毎年実施している研究功労者の表彰など、研究者のモチベーションを途切れさせないための工夫が随所になされていることは、今後日本国内患者会でこういった研究貢献活動を実施するうえで参考になる点といえる。

また、互いの国（地域）の患者会情報や患者会同士の交流・連携促進を目的として、具体的な海外ネットワークを促進した2012年度はNORD（米国）とのMOU（連携覚書）を締結した。これは日本国内協議会では初の事例である。また、EURORDIS（欧州）との連携協議も開始され、日米欧の協議会レベルでの連携が具体的に開始される運びとなった。これによってさらに個別患者会へのフィードバックなどが可能となると期待される。

A. 研究目的

本研究は、既に研究貢献活動を実施している海外患者組織（協議会）の実態を調査し、日本のそれらとの類似点および相違点について検討することが目的である。近年、本分野における個別疾患や地域を超えた患者会連携の重要性が指摘されている（J. Forman, 2012¹）が、日本国内

内に紹介されている事例は殆どない。今後のナショナルレベルでの海外連携を考えるうえで、複数の疾患患者もしくは患者会が集まって構築されている広域組織である協議会の動向調査は日本国内患者会にとっても有益である。また、個別患者会の研究促進支援といった研究貢献活動は、今後日本国内でも活発になってくること

¹ J. Forman, D. Taruscio, V. Llera, L. Barrera, T. Coté, C. Edfjäll, D. Gavhed, M. Haffner, Y. Nishimura, M. Posada, E. Tambuyzer, S.

Groft and J. Henter, The need for worldwide policy and action plans for rare diseases, ACTA PAEDIATRICA, 101, 8, 805-807, 2012.

が予想されるが、同様の活動を既に実施している患者会、特に他疾患の患者会活動については情報を得る機会がなかなかない。研究貢献活動は、同一疾患患者会だけでなく、それ以外の患者会の活動も参考になる事例が多く、日本国内個別患者会の参考とするにはより多くの優れた事例を検討する価値があるといえる。これらの活動について、調査を実施するだけでなく、研究実施者自らが具体的連携を図ることは、実際に連携を実施する際の成果や課題の洗い出しをおこなう上で有益である。

以上の目的に沿って、本研究は以下の具体的事項について調査・実装をおこなう。1) 希少・難治性分野 (Rare and Intractable Diseases; 以下 RD とする²⁾) における海外の協議会、および、2) 海外患者組織の現状調査を実施し (1 年目)、日本国内協議会および患者会との比較・分析をおこなう (2 年目)。その結果をもとに、日本国内患者会への具体的変革に向けた課題を浮き彫りにする (2 年目)。また、3) 日本ではまだまだ不足している海外関連組織とのネットワーク構築を実際におこなうことで、国際連携活動を活性化させるとともに、日本患者会へのフィードバックをおこなう (1, 2 年目)。

B. 研究方法

研究期間を通して、以下に記載する 3 つについて研究もしくは活動を実施した。

1) 海外患者協議会調査

近年、RD 分野における患者会活動については、個別のみならず、複数の疾患患者もしくは患者会が集まって構築されている協議会の設立および活動範囲拡大も顕著である。基本的に協議会は国もしくは地域 (欧州など) レベルで設立されており、広域組織であるが故の幅広い活動や、個別疾患を超えた政策提言などへの影響

² いわゆる「難病」の定義もしくは意味は各国・地域で異なっており、日本のように希少・難治性・慢性疾患までを包含する意味合いを持つ国もある一方、希少疾患のみを定義している国もある。また、希少疾患の対象患者数の定義も人口の違いなどにより異なる。本稿では、各国・地域での定義における「希少疾患」もしくはそれに類する対象疾患群呼称 (難病等) に該当する領域をまとめて「RD」と記載し、統一性をはかった。

力を強めている。本研究では、協議会の中でも顕著な動きを示している組織を対象として現状調査を実施した。

調査対象：以下に記載する本分野における海外の著名な患者協議会 (6)、および日本国内患者協議会 (2) の合計 8 組織 (正式名称 (日本国内組織について正式名称ならびに英語名)、本部 (事務局) 所在地 (組織活動対象範囲)、設立年、会員数を記載)

1. EURORDIS (European Organization for Rare Diseases、フランス・パリ (欧州)、1997 年、561 組織 (52 か国))

2. NORD (National Organization for Rare Disorders、米国・コネチカット (全世界)、1983 年、200 組織)

3. TFRD (Taiwan Foundation of Rare Disorders、台湾・台北 (台湾)、1999 年、15 組織 (4500 名))

4. NAPRD (Bulgarian Association for Promotion of Education and Science、ブルガリア・ソフィア (ブルガリアおよび欧州)、2007 年、27 組織 (49 疾患)) なお、ブルガリアは医師主導型 RD 協議会である BAPES (National Alliance of People with Rare Diseases) もあわせて調査を実施した。

5. NZORD (New Zealand Organisation for Rare Disorders、ニュージーランド・ウェリントン (ニュージーランド)、2000 年、146 組織)

6. Geiser (Geiser (Grupo de Enlace, Investigación y Soporte -Enfermedades Rares), Foundation、Foundation、アルゼンチン・ブエノスアイレス (南米)、2002 年、50 組織)

7. 難病のこども支援全国ネットワーク (日本・東京 (日本の小児難病慢性疾患)、1998 年、53 組織)

8. JPA (日本難病・疾病団体協議会、日本・東京 (日本の成人難病疾患)、2005 年、72 組織 (約 30 万人))

調査方法：2013 年冬までにすべての組織の代表に直接会い、信頼関係を構築した。協議会によってはその際、もしくは後日調査の趣旨を説明し理解を得た。その後、対面ヒアリング調査も