

有病率が高い common disease でかつ難治性疾患に対する大プロジェクトが必要ではないか。

- ・ 神経難病の治療薬の開発拠点を決めて、その拠点に対して集中的な資本を投資して整備を進めるべきである。
- ・ 神経疾患の新しい治療を目指すためには、基礎研究のなかでも、創薬を目指した研究を積極的に支援すべきである。特に知的財産権の獲得や産学連携の実現をサポートすること、さらにすでにそのようなステージにある研究を積極的に支援することが大切である。現在のように論文発表が第一目標となってしまうと、期待できる創薬シーズがあっても論文発表により公知となり、権利化できずそのまま埋もれてしまう。アカデミア発の創薬シーズをいかに産学連携につなげるかが今後の課題と思われる。
- ・ 行政、製薬メーカーがより重点を持って神経難病に対する治療開発を試みるべきである。一方、大学や研究機関はその病態解明を急ぐべきである。
- ・ ある程度対象を絞って資源を集中したほうがよい。5～10 年くらいの期間で評価をくだす。日本単独ではなく国際協力を考える。

1)－d 薬価、患者負担に関する意見・要望（4 件）

- ・ 新規医薬品が高額になるのは仕方がないが、薬価が高すぎると結局使えない患者もでてくる。
- ・ 新自由主義経済下、患者の自己負担がどんどん増えないようにお願いしたい。セイフティネットが保険会社による医療保険のサポートでは寂しすぎる。
- ・ すでに有効な治療薬があっても以下の理由で使用できない現状を放置して、どんどん新規の治療薬を開発することに予算を投ずるのは不公正である。①地域格差（有効な治療があっても享受できない患者はたくさんいる）、②薬価が高い。たとえば生物製剤などを慢性的に使用する際の負担の現状をもっと理解すべき。有効な治療薬があるにもかかわらず金銭的余裕がないために治療断念した結果、障害が遺ってしまうのは社会的な大きな損失である。現在進行形の難病対策の改革に大変な懸念がある。高額療養費制度での対応は不公正である。生活習慣病や喫煙が原因の肺がんなどへの対策と難病患者への対策を同じに考えるべきではないと強く感じる。
- ・ パーキンソン病は難病指定 3 以上の重症度でないと認定されない現状に不満がある。発症早期から治療介入していく必要があるが、治療薬が高価なためある程度の収入がないと困難な状態である。このため選択の幅が狭い。ADL 維持のためにデイサービスなどの介護サービスや、リハビリテーションが重視されているが、上記理由で認定されない限り、若年の場合、介護サービスも受けられない。薬剤が有効な数少ない変性疾患であり治療対象者を広げるためにも重症度にとらわれず認定してほしい。

1)－e 技術に関する意見・要望 (2 件)

- ・ 医師の技能、診断力などの個人的能力への評価が低い。特に、ボツリヌス毒素療法は、施注技術が高度であるため、現在の施注時の資格認定ではなく、施注技術に対する何らかの資格認定が必要と考える。資格に応じて、技術料の支払いがなされる必要がある。このことは、医師の評価として技術評価法の再検討を意味している。高度の技術を反映して、薬剤の治験開発が進むように思う。
- ・ 行政の許認可をもっとフレキシブルにすべき。だいぶ改善されたといっても、まだまだ日本初の技術を認めてもらうのは非常に困難（海外で実績があることが求められることが多い）。

1)－f その他の意見・要望 (7 件)

- ・ 後発品ばかりにとらわれず、新薬開発を産学共同で望む。
- ・ 薬剤は 15 年間くらいの特許期間があってもよい。すぐにジェネリックが出てしまうと、せっかく苦心して新薬を開発しても報われないから。さらに、患者数の少ない疾患に関する新薬開発が遅れると思われるため。
- ・ 各種遺伝性疾患の患者由来 iPS 細胞を多くの研究施設で利用できる環境が整備されるといい。
- ・ 細胞移植治療だけでなく、遺伝子治療を推進していただきたい。
- ・ 診療報酬を DPC で請求することで、大学病院など総合病院が外来診療中心、早期入退院を行っている。神経疾患では薬剤調整などを含めて困難な状況にあると思われる。入院治療、若手育成・教育から考えても早期に改善すべきと思われる。
- ・ 海外のメーカーが国内での利益を本国で使用しているので、国内での利益還元に何かよい方策はないか。
- ・ 大学の医師は忙し過ぎ、かつ、報酬があまりに安い。臨床・教育・研究それぞれを分業すべきである。

2) 大学や研究所への意見・要望

大学や研究所への意見・要望で最も多かったのは「研究体制に関する意見・要望」(8 件)であった。

2)－a 研究体制に関する意見・要望 (8 件)

- ・ 大学間の研究を強化する。縦割りや学閥の影響を排除する。
- ・ 今や、研究を各大学ごとにしている時代ではなくなって久しい。海外の多くの優れた論文は、久山町研究と同じレベルの内容を各疾患において、国中の症例を登録して解析して得られている。ビッグデータなしにこれからの医療研究は進まないため、大学、拠点病院を横断する、データベースの構築が今回挙げられた各疾患ごとすべてに必要な

と思われる。そのため、①入力を容易にする電子カルテの開発（今の電子カルテはどれも機能が貧弱すぎるため、データベース入力に割かれる医師の時間が膨大）、②MRIなど医療機器の互換性の向上、③医療補助事務スタッフ雇用の充実、彼らの教育体制の充実（膨大な事務作業が必要）、④髄液、血清、遺伝子などを長期間保存し、いつでも症例と突き合わせられるシステムの構築、が急務と考える。

- ・ 研究グループを疾患単位のみではなく、基礎医学研究者も含めて変性、炎症、機能性など病態を横断的に見渡せる研究グループの促進を促して欲しい。
- ・ 神経疾患およびその症候の病態機序の解明および治療法の開発に関して、分野横断的かつ専門的な研究体制（人材、研究費、設備など）の構築が重要と思われる。
- ・ 再生医療、遺伝子医療などを用いても、近い将来に（短時間で）神経難病に対する薬剤（特に発症・進行予防薬）が開発されるものとは思われない。臨床に根差した地道な臨床研究が望まれる。大学や研究所においては、個別に研究を行うのではなく、集約的な臨床研究体制の構築が望まれる。
- ・ 治療薬開発に向けて共同研究体制の整備、特に、臨床研究体制の整備が望まれる。全国協同研究体制を構築しないと、国際競争に立ち向かっていけない。これらの活動に向けて、財政的な支援も必要である。COI（利益相反）を明らかにし、オープンな活動で進めることが肝要である。制限が過ぎるとうまく進まないし、精度の高い臨床研究が進む体制の構築が必要である。
- ・ 治療法の開発には研究の重点化が必要で、幾つかの拠点を決めて、人材と研究費を集中するシステムが望まれる。その際どこを拠点とするかについてはきちんとした評価システムの構築が望まれる。一部のボスが研究費の配分を決めるようなことがあれば研究の進展はおぼつかない。人材の集中については研究機関の間での人材の移動がしやすい環境を整える必要がある。プロジェクト毎に機材が整っている施設にそれを活用できる人材が集中し、そのプロジェクトが終われば他へ移るようなキャリアパスができれば良いのではないか。施設間の移動が身分の不安定化になるようではこのようなことは実現できないと思われる。
- ・ 大学は、研究を主に行う組織に変えて行ったほうがよいと思う。

2)－b 研究対象に関する意見・要望（3件）

- ・ 神経変性疾患の多くは、オートファジー系の機能障害、toxic RNA など共通した分子機構があるので、そこに焦点を絞った研究は、複数の疾患の治療法として役立つ可能性がある。
- ・ 脳梗塞の治療に関しては、最近血栓溶解療法（t-PA）や新規血栓回収デバイスによる治療などの進歩が話題をよび、華やかではあるが、その恩恵を受けることのできる患者は脳梗塞患者のほんの一部であり、大多数の患者に対する治療は旧態依然としていることを認識する必要がある。より根本的で、多数の患者のためになる治療法の開

発をめざし、動物実験や基礎的な研究を地道に積み重ねていく必要がある。

- ・ iPS 細胞を使った研究を早急に進めて欲しい。

2)－c その他の意見・要望 (2 件)

- ・ COI が厳密な意味では守られておらず、少なくともガイドライン委員は、中立な人選が必要である。
- ・ 神経疾患に関して、遺伝子検査や酵素活性測定、特殊な神経抗体の測定など多くの大学で施行されていると思うが、ホームページなどで探すのが難しく、大学ごとに依頼の方法が異なるため、できれば検査方法や依頼方法を統一していただけるとありがたい。CJD のプリオン病の診断シートなどは統一されていてさらに分かりやすかった。

3) 学会への意見・要望

学会への意見・要望で最も多かったのは「臨床試験に関する意見・要望」(7 件)であった。

3)－a 臨床試験に関する意見・要望 (7 件)

- ・ 学会には、臨床試験の支援、疾患毎の治験支援グループの整備、臨床試験に参加している医師に対するインセンティブ（脳卒中学会などの専門医更新単位の付与）を期待する。
- ・ 学会が中心となって臨床試験、registration の仕組みを作ることが必要である。正確な患者数や動向の把握、中立的な立場での臨床試験による治療法の開発を期待したい。
- ・ 日本神経治療学会は、症例報告や少数例のまとめに終わっているのが現状だが、医師主導の臨床試験など、もっとエビデンスを作る動きに出るべきである。
- ・ 学会主導で医師主導型臨床試験などを行うべき。臨床試験の質の担保が必要と思われる。ディオバンで失墜した日本の臨床試験の名誉回復が急務と思われる。
- ・ 学会主導の臨床治験を増やすために、システムの構築を希望する。
- ・ それぞれに相談するのではなく、神経疾患に関しては、日本神経治療学会がまとめ役となり、窓口を一本化できれば、協力してくれる医師も増え、軌道に乗ってくると思う。
- ・ 大学や研究施設では個々に治験をして、その情報をホームページに掲載しているが、神経内科疾患の治験に関しては学会でもまとめて、どのような治験をどこでやっているのか一目瞭然で分かるように日本神経治療学会のホームページに載せられないか検討して欲しい。

3)－b その他の意見・要望 (3 件)

- ・ 学会は、行政、製薬会社、医療機器メーカー、大学や研究所同士が、自由闊達にコミ

コミュニケーションできるような場を提供しては如何だろうか。

- ・ 関連学会がリーダーシップを発揮して、基礎的な遺伝子・分子研究からフィールドワークまで幅広く横断的チームが実施、発信するような 10～20 年単位のプロジェクトを多く提案してもらいたい。
- ・ 公的サービスのあり方についても議論する必要があると思われる。たとえば DLB（レビー小体型認知症）では PD（パーキンソン病）に比べ介護に多くのマンパワーが必要となることがあるが、難病申請は行えない。認知症患者に対する胃瘻造設、ALS への対応などは、担当医と患者家族の意見によって決まることがほとんどである。学会の場でもコメディカルや看護の立場からの意見をこれまで以上に上げて欲しい。

4) 製薬会社への意見・要望

製薬会社への意見・要望で最も多かったのは「治療薬開発に関する意見・要望」（7 件）であった。

4)－a 治療薬開発に関する意見・要望（7 件）

- ・ 根本的治療薬の開発を望む。
- ・ いわゆる神経難病の治療において、せめて 1 疾患に 2 つは治療薬のオプションが欲しい。現在、パーキンソン病治療薬の種類が突出している。
- ・ 神経難病（希少疾患）の治療法の開発に力を入れる製薬会社が出てきて欲しい。
- ・ 製薬会社には患者数が少なく治療薬を開発しても採算に合いにくい場合でも企業の社会的貢献という意味で何とか頑張っていただきたい。
- ・ 企業には、CSR（企業の社会的責任）として、希少疾患にも目を向けた取り組み、関心を期待している。
- ・ 希少疾患への製薬会社の対応を望む。
- ・ Kennedy 病に対して、TRH（Thyrotropin-releasing hormone）療法が保険適用になればと思っているが、保険適用にするためには経済的な問題があり、困難と言われている。患者のためにも、製薬会社などに協力して欲しい。

4)－b その他の意見・要望（4 件）

- ・ 製薬会社には、希少疾患における公知申請の推進（希少疾患であっても公知申請を行うことはその薬剤を販売している製薬企業の社会的責任である）を期待する。
- ・ 企業や大学研究者には厳しい薬剤治験の報道が続いているが、それぞれ大変、真摯で地道な研究・開発をされている方ばかりであることも承知しており、ごく一部のことで悪貨は良貨を駆逐する、という事態かと理解している。
- ・ 製薬会社はフェアな治験を行うように指導する。
- ・ 製薬会社はあまりにも自社製品の販売向上だけを考え過ぎである。

5) 各機関の連携やシステム構築に関する意見・要望

各機関の連携やシステム構築に関する意見・要望は 15 件であった。

- ・ 神経難病や筋ジストロフィーを長期に丁寧診療できる病院の多くは大病院でなく、CRC もいない。このような病院でも臨床試験にもっと参加できる仕組みがあれば、患者の試験へのリクルートを含め貢献できるのではないかと考えている。
- ・ 学会、行政、製薬会社、医療機器メーカーなどがともに協力して、我が国がこの分野の新しい治療法の開発で世界をリードしていけるようになることを望んでいる。
- ・ 主要疾患、希少疾患ともに、重点疾患を選択し、各疾患ごとの治療開発のための共通の場のようなものを設けて、学会、行政、製薬会社、医療機器メーカー、あるいは大学や研究所など、また患者団体、および臨床医（一般の神経疾患専門診療医）が参画できるようにすべきと思う。その際には、関連学会が協調して機構を作って主導し、会社と研究者が能動的に活動できるよう、行政が組織と資金を提供すべきと思われる。今後日本が世界に向けて輸出すべきものの一つに新薬を含む先端医療技術があり、認知症や脳卒中、パーキンソン病を含む神経疾患は巨大な市場を潜在させている。行政も旧来の製造業との関係とは異なり、十分な学術的視点を備えた機構を創設する必要がある。
- ・ 特に神経疾患には希少疾患が多い。医療経済的な観点から、治療開発が進みにくい分野でもある。このために希少疾患全体の開発研究をリードするコンソーシアム的な体制が望まれる。北米・欧州を中心とした IRDiRC（International Rare Diseases Research Consortium）との協調をしつつ、我が国でも学会が調整役として、行政、アカデミア、製薬・医療機器業種の知恵を出していく体制が望まれる。
- ・ 希少疾患の治療に関して学会や行政、大学、企業などが協力して難治性疾患の治療法の開発にあたる必要があると考える。
- ・ 神経難病を絞り込み、大学・研究所で統一した方向性を見極め、学会が窓口となり、その疾患の治療薬を製薬会社に集中的に開発して欲しい。
- ・ 幾つかの難治性疾患にターゲットを絞り、産学協同で治療薬の開発に当たるべきである。
- ・ 行政、研究機関、学会や製薬会社などの組織が連携して活動するためのよりよい方策や問題点を議論する場を設けて欲しい。
- ・ COI に配慮しながら産官学で協働して治療法の開発ができる仕組みの構築が必要である。
- ・ 製薬会社との社会的に正当とみなされる関係での開発協力体制を作ることが必要である。
- ・ シーズを企業につなげる機構が必要である（コーディネートする役割をどこがもつの

か)。企業とアカデミアの共同研究がもっと積極的におこなわれるべきであり、そのような情報交換の場の提供、企業のアカデミアでの研究などの相互乗り入れが利益相反にならないシステムが必要である。

- ・ 産官、産学だけでなく、臨床との交流促進により、希少疾患での研究促進、患者登録、臨床試験実施体制など、translational research 推進に向けた基盤整備が重要である。
- ・ トランスレーショナルリサーチの推進が必要である。
- ・ 臨床研究（疫学・臨床試験）を専門にする医師・研究者を育成する必要がある、そのためには若手研究者のインセンティブに十分な配慮が必要である（臨床試験の実施が業績として反映される、など）。今後医師が行う臨床試験も ICH-GCP 基準となっていくものと思われるため、アカデミアにおいて高い品質で臨床試験を行うことのできる体制を整備していくこと、およびそれを持続可能な体制としていくことが必要であり、そのためにはアカデミア・行政の双方が協力して今後の長期的な方針を考えていく必要がある。製薬企業は、医師が行う臨床試験に対し、試験薬の提供などの協力を積極的に行って欲しい。
- ・ 各機関・組織の有効な協力体制が必要だと思う。諸外国との協力も作っていく必要があると思う（特にアジア諸国）。

6) ドラッグ・ラグに関する意見・要望

ドラッグ・ラグに関する意見・要望は 5 件であった。

- ・ 海外で有効性が証明された薬剤が国内治験なしでも使用できるようにして欲しい。
- ・ 治療薬使用において海外との時間差をなくすべし。日本国内だけで治験を行うのは困難であり、海外のデータを持って申請可能となることを望む。
- ・ 海外で標準的に使用されている薬剤を国内に導入するためのハードルが高すぎる。もっと簡便に認可していただけるようお願いしたい。
- ・ 諸外国で標準的に使用される薬剤が、国内でも速やかに導入できるよう、関係各所には更に努力してほしい。
- ・ 韓国のまねをせよとのことではないが、海外にて開発された新薬の導入をもっと早めるべきである。

7) その他の意見・要望

その他の意見・要望は 4 件であった。

- ・ 神経内科に対する社会の認知度の向上（精神科と誤解される、など）を望む。
- ・ 希少疾患も大事だが、社会に多大な影響がある増加している疾患の治療を重点的に考えると良いと思う。

- ・ 慢性頭痛の支障度に対する認識を深める必要がある。
- ・ この調査結果が有効に活用され、明日への進歩につながる事を切に望む。

第3章 考察とまとめ

3-1 考察

2-2 節のアンケート調査結果のうち、(4) 治療の満足度、(5) 薬剤（医薬品）の治療への貢献度、および(6) 治療の満足度と薬剤（医薬品）の治療への貢献度の相関について、以下に考察する。考察にあたって、アンケート調査結果から必要に応じて作図した。

(1) 治療満足度と薬剤貢献度

治療満足度（「十分満足」と「ある程度満足」の合計）と薬剤貢献度（「十分貢献」と「ある程度貢献」の合計）は概ね相関するものの、治療満足度 50%付近が疎らで右上側と左下側にポイントが集中して 2 極化している傾向が認められた（図表 2-2-10）。その 2 極化の理由は明確ではないが、一因として、今回の調査が神経内科の専門医を対象としたアンケートであったことが考えられる。つまり、何らかの治療手段があると感じている疾患と、ほとんど治療手段がないと感じている疾患が神経内科の専門医の共通理解としてあり、今回調査した対象疾患がバラつかず二者択一的に集約してしまった可能性が推察された。

例えば、パーキンソン病、多発性硬化症の 2 疾患はそれぞれの治療満足度が 83.6%、67.7%、薬剤貢献度は 95.6%、91.1%と高かった。しかし、「新規治療法の開発が急務な疾患」として取り上げられた 46 疾患の中でパーキンソン病は 8 位、多発性硬化症は 13 位と上位に位置し、治療満足度の結果と乖離していると思われた。事実、日本神経治療学会の医療ニーズ調査プロジェクト運営委員からはこの 2 つの疾患の治療満足度は高過ぎる印象との意見を頂いた。そこで、治療満足度と薬剤貢献度がともに 50%以上の 29 疾患について、「十分満足」と「十分貢献」の割合を散布図に示し検討した（図表 3-1-1）。

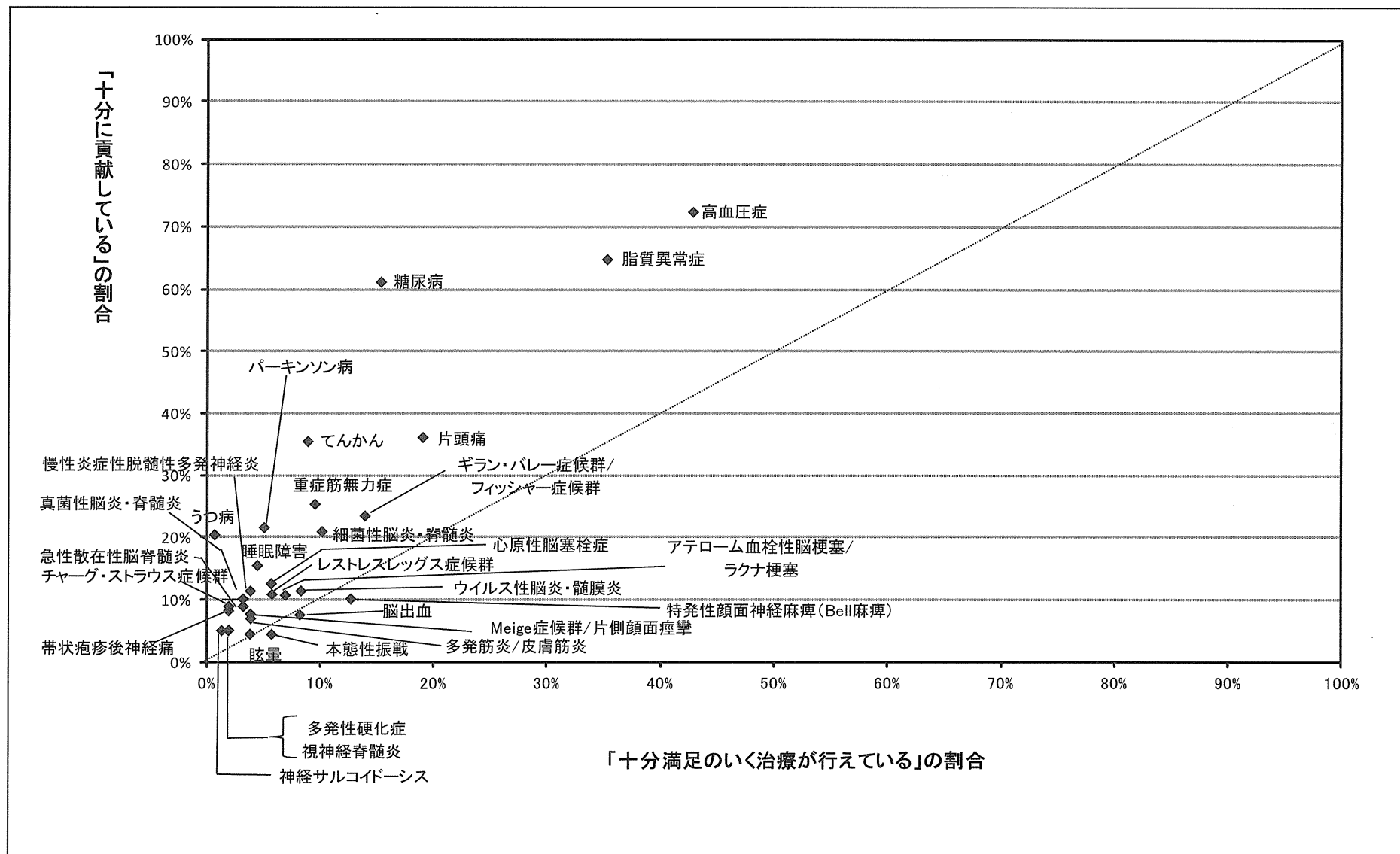
「十分満足」が最も高い疾患は高血圧症の 42.8%、次いで脂質異常症の 35.2%で、ともに対照疾患であった。さらに片頭痛（19.0%）、糖尿病（15.3%）、ギラン・バレー症候群/フィッシャー症候群（13.9%）、特発性顔面神経麻痺（Bell 麻痺）（12.7%）、手根管症候群（11.4%）と続いていた。他の疾患は全て 10%以下であった。

一方、パーキンソン病の「十分満足」は 5.0%、多発性硬化症の「十分満足」は 1.9%と低く、ほとんどが「ある程度満足」を選択していた。また、薬剤貢献度についても、パーキンソン病の「十分貢献」は 21.5%、多発性硬化症の「十分貢献」は 5.1%と低く、ほとんどが「ある程度貢献」であった。

多くの神経内科医は、筋萎縮性側索硬化症などに比べると何らかの治療手段があるパーキンソン病や多発性硬化症のような神経疾患を、「ある程度満足」と評価したために「十分満足」と「ある程度満足」の合計で表わされる治療満足度が高くなったものと推察される。しかし、現実的には患者にとって必ずしも満足の行く治療が行われているとは言えないという思いもあり、「新規治療法の開発が急務な疾患」として取り上げられたのであらうと推察される。今後は、パーキンソン病、多発性硬化症などの治療の「十分満足」、薬剤の「十分貢献」の割合を飛躍的に増やす継続的な努力が必要と考える。

図表 3-1-1 「十分満足のいく治療が行えている」と「十分に貢献している」

(治療満足度(十分満足+ある程度満足の割合)50%以上、および薬剤貢献度(十分に貢献+ある程度貢献の割合)50%以上の疾患)



(2) 「治療が行えているとはいえない」疾患と「効く薬がない」疾患

治療満足度が 50%以下で薬剤貢献度も 50%以下の 24 疾患の「治療が行えているとはいえない」と「効く薬がない」の割合を散布図で示した (図表 3-1-2)。

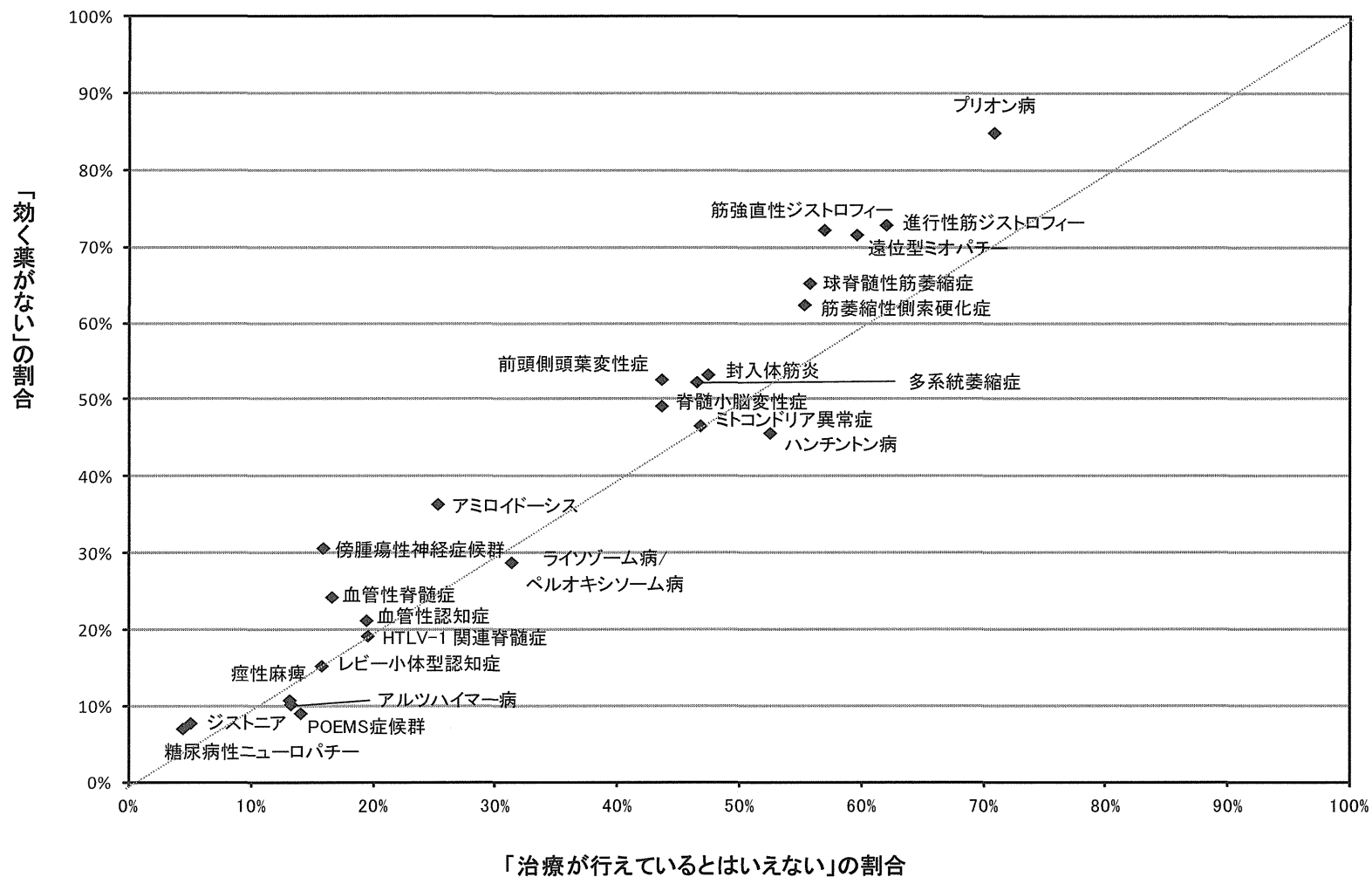
これらの疾患は治療満足度が極めて低く、いわゆる医療ニーズの高い難治性神経疾患と考えられる。

「治療が行えているとはいえない」が最も多い疾患はプリオン病 (70.9%) で、次いで進行性筋ジストロフィー (62.0%)、遠位型ミオパチー (59.6%)、筋強直性ジストロフィー (57.0%) 球脊髄性筋萎縮症 (55.8%)、筋萎縮性側索硬化症 (55.3%) およびハンチントン病 (52.5%) であった。

これら疾患の薬剤の治療への貢献度の選択肢のうち「効く薬がない」割合は、85~45%であり、治療法がない現状にあると言える。一日も早く、症状を改善する治療法、治療薬の開発が急務の課題である。さらに少しでも病態が解明され、新規根本治療薬の開発が望まれる。

図表 3-1-2 「治療が行えているとはいえない」と「効く薬がない」

(治療満足度(十分満足+ある程度満足の割合)50%以下、および薬剤貢献度(十分に貢献+ある程度貢献の割合)50%以下の疾患)



(3) 重み付けによる治療の満足度と薬剤の治療への貢献度の指数化

医療ニーズ調査では、従来よりアンケートの選択肢のうち、「十分満足」と「ある程度満足」の合計を治療満足度、「十分に貢献」と「ある程度貢献」の合計を薬剤貢献度としてきた。

今回、「不満足な治療」、「治療が行えているとはいえない」および「あまり貢献していない」、「効く薬がない」の割合も加味した相対的な治療の満足度と薬剤の治療への貢献度の指標として、4つの選択肢の割合に係数を乗じて治療の満足度と薬剤の治療への貢献度の指数化を試みた。指数化は下記の係数で行った。

治療の満足度指数

$$= \text{「十分満足」} \times 3 + \text{「ある程度満足」} \times 2 + \text{「不満足な治療」} \times 1 + \text{「治療が行えているとはいえない」} \times 0$$

(十分満足が 100%の時、300 ポイント)

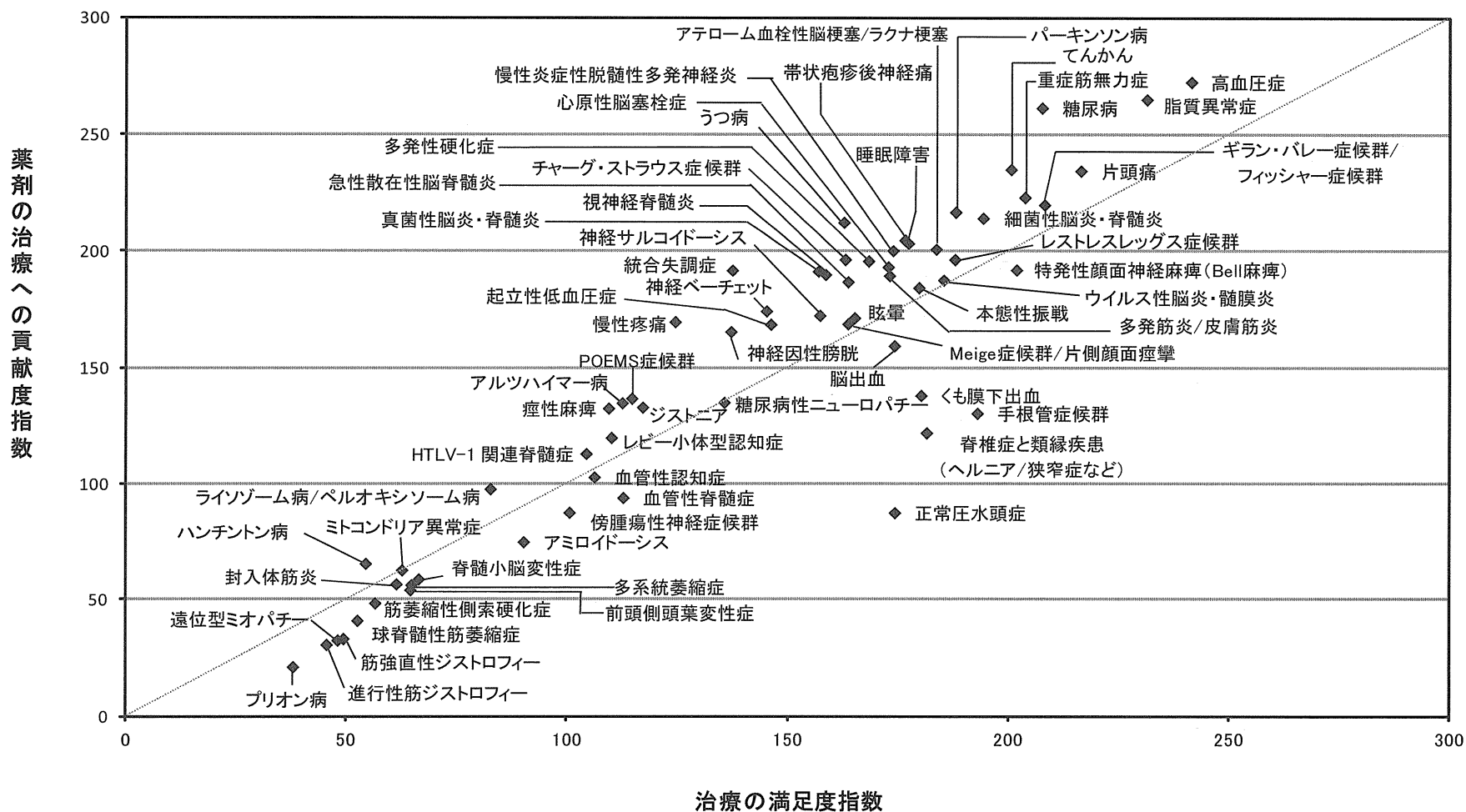
薬剤の治療への貢献度指数

$$= \text{「十分に貢献」} \times 3 + \text{「ある程度貢献」} \times 2 + \text{「あまり貢献していない」} \times 1 + \text{「効く薬がない」} \times 0$$

(十分貢献が 100%の時、300 ポイント)

治療の満足度の指数化による順位は、従来の治療満足度の順位とほぼ一致し、大きな変動はなかった。薬剤の治療への貢献度の指数との相関を散布図（図表 3-1-3）とした場合、従来の散布図（図表 2-2-10）で見られた 2 極化が見られず全体的に分布して、各疾患の相対的な順位関係が読み取りやすくなったと言える。ただし、ポイントが高いからといって新たな治療法の開発が不要というわけではない。

図表 3-1-3 「治療の満足度指数」と「薬剤の治療への貢献度指数」



(4) 2010 年度の調査結果との比較

今回調査した疾患のうち、下記の 14 疾患が 2010 年度に実施した一般の 60 疾患医療ニーズ調査でも調査対象となっていた。調査時期と調査対象（前回是一般の内科医）が異なるので、単純な比較はできないが、すべての疾患の治療満足度は今回の方が高かった。その理由として、今回のアンケートの回答者は、神経疾患や症候を熟知した専門医であり、何らかの治療法があることをポジティブに捉えて回答した可能性が考えられた。

対照疾患の脂質異常症、糖尿病、うつ病、統合失調症では、今回の治療満足度がそれぞれ 14.5 ポイント、5.2 ポイント、16.0 ポイント、19.0 ポイント高かった。

また、神経疾患の中では、多発性硬化症とレストレスレッグス症候群の治療満足度の年度間の差が、それぞれ 43.9 ポイント、54.7 ポイントと他の神経疾患と比較して大きく、薬剤貢献度の差もそれぞれ 53.2 ポイント、40.4 ポイントと他の疾患との差と比較して大きかった。この原因の一つとして、2010 年度から 2013 年度の間に多発性硬化症では初の経口剤であるフィンゴリモド塩酸塩[平成 23 年 9 月]、レストレスレッグス症候群では、ガバペンチンエナカルビル[平成 24 年 1 月]、および経皮吸収型製剤であるロチゴチン[平成 24 年 12 月]が承認されて、使用できるようになった影響が考えられた。

脂質異常症

糖尿病

うつ病

統合失調症

脳出血

心原性脳梗塞（2010 年度は脳梗塞）

アテローム性脳梗塞/ラクナ梗塞（2010 年度は脳梗塞）

アルツハイマー病

パーキンソン病

多発性硬化症

糖尿病性ニューロパチー（糖尿病性神経障害）

片頭痛

てんかん

レストレスレッグス症候群（2010 年度はむずむず脚症候群）

(5) 日常遭遇する疾患と治療満足度・薬剤貢献度

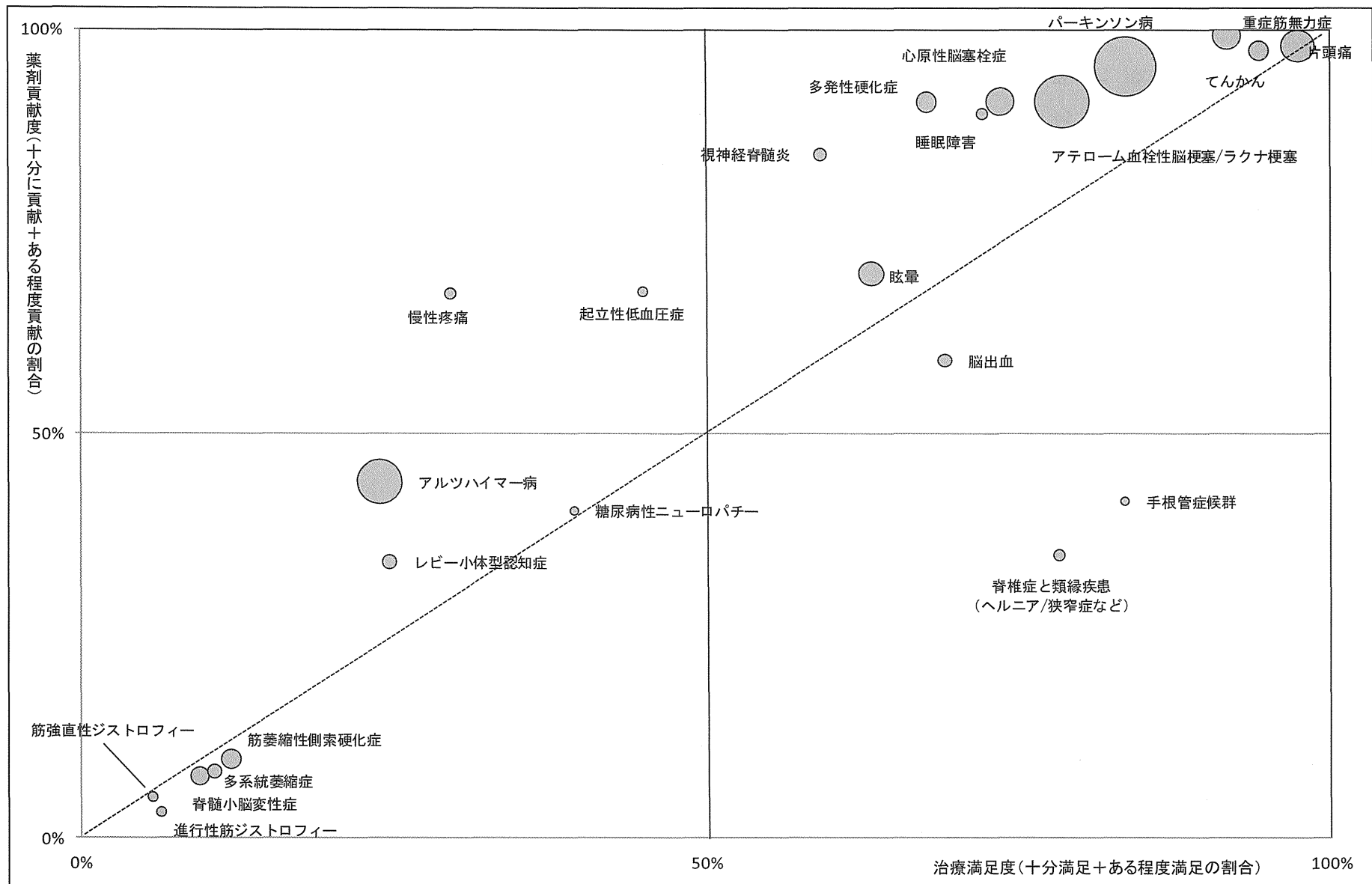
日常遭遇すると回答のあった 36 疾患のうち、回答数が 1 の疾患を除いた 23 疾患について、横軸に「治療満足度（「十分満足」＋「ある程度満足」）」を、縦軸に「薬剤貢献度（「十分貢献」＋「ある程度貢献」）」をプロットしたのが図表 3-1-4 である。日常遭遇する疾患の回答数を、バブル（丸）の大きさで示している。データを図表 3-1-5 に示す。

片頭痛、てんかん、重症筋無力症、パーキンソン病、アテローム血栓性脳梗塞/ラクナ梗塞、心原性脳塞栓症などが、治療満足度、薬剤貢献度ともに高い疾患として挙げられた。しかしながら、パーキンソン病は、今回の調査で神経内科医が日常遭遇する疾患として一番多い疾患であり、治療満足度、薬剤貢献度ともに高いものの、本節（1）で述べたように十分満足、十分貢献の割合は低く、より有効な治療法、治療薬の開発が望まれる。

一方、治療満足度、薬剤貢献度ともに低い疾患として筋萎縮性側索硬化症、脊髄小脳変性症、多系統萎縮症、筋強直性ジストロフィー、進行性筋ジストロフィーが挙げられたが、これらはいずれも日常遭遇する頻度が低い疾患である。しかしながら、例えば筋萎縮性側索硬化症は、2-2 節（7）にあったように新規治療法の開発が急務な疾患の 1 位に挙げられており、有効な治療法の開発が急務と言える。

日常遭遇する頻度が高い疾患で治療満足度、薬剤貢献度ともに低い疾患には、アルツハイマー病がある。厚生労働省によると、アルツハイマー病の有病率は 65～69 歳では 1.5% であるが、以後 5 歳ごとに 2 倍に増加し、85 歳では 27% に達している。また、2010 年には患者数は 200 万人程度といわれたが、高齢者人口の急増とともに増加し、2020 年には 325 万人に達するとされている。アルツハイマー病では診断技術の進展に伴い、比較的早期からの治療開始が期待されている。そのため、有用な治療薬の開発が待たれる。

図表 3-1-4 日常遭遇する疾患と治療満足度（十分満足＋ある程度満足の割合）・薬剤貢献度（十分に貢献＋ある程度貢献の割合）



図表 3-1-5 日常遭遇する疾患と治療満足度・薬剤貢献度（データ表）

疾患名	治療満足度 (%)	薬剤貢献度 (%)	日常遭遇する疾患 (件)
パーキンソン病	83.6	95.6	113
アテローム血栓性脳梗塞/ラクナ梗塞	78.6	91.2	90
アルツハイマー病	23.9	44.0	63
片頭痛	97.5	98.1	33
てんかん	91.8	99.4	25
心原性脳塞栓症	73.6	91.2	24
眩暈	63.3	69.9	18
多発性硬化症	67.7	91.1	13
筋萎縮性側索硬化症	11.9	9.7	12
重症筋無力症	94.3	97.5	12
脊髄小脳変性症	9.5	7.5	10
レビー小体型認知症	24.7	34.2	6
多系統萎縮症	10.7	8.2	6
脳出血	69.2	59.1	5
視神経脊髄炎	59.2	84.6	5
脊椎症と類縁疾患口ヘルニア/狭窄症など	78.3	35.0	4
睡眠障害	72.2	89.7	4
慢性疼痛	29.6	67.5	4
進行性筋ジストロフィー	6.3	3.2	3
筋強直性ジストロフィー	5.7	5.1	3
起立性低血圧症	44.9	67.7	3
糖尿病性ニューロパチー	39.5	40.5	2
手根管症候群	83.5	41.7	2
ウイルス性脳炎・髄膜炎	77.7	76.6	1
前頭側頭葉変性症	7.6	6.3	1
ギラン・バレー症候群/ロイッシャー症候群	94.3	96.2	1
慢性炎症性脱髄性多発神経炎	71.3	89.2	1
POEMS症候群	28.2	42.9	1
多発筋炎/皮膚筋炎	73.1	85.4	1
遠位型ミオパチー	6.4	3.8	1
Meige症候群/片側顔面痙攣	62.4	64.1	1
レストレスレッグス症候群	82.2	86.6	1
血管性認知症	25.2	23.7	1
ジストニア	22.3	39.1	1
痙性麻痺	22.8	41.1	1
神経因性膀胱	39.1	65.2	1

(6) 疾患原因別の治療満足度と薬剤貢献度

治療満足度と薬剤貢献度の相関を疾患原因別に色分けしてプロットし、一定の傾向が見られるかどうか検討した（図表 3-1-6）。疾患原因分類表を図表 3-1-7 に示す。

治療満足度の高い原因別神経疾患は、発作性疾患（片頭痛、てんかん）、血管障害（脊髄除く：アテローム血栓性脳塞栓/ラクナ梗塞、心原性脳塞栓症、くも膜下出血、脳出血）、脱髄疾患（中枢：多発性硬化症、急性散在性脳脊髄炎、視神経脊髄炎）の順であった。

逆に治療満足度が低いのは、重症筋無力症、多発筋炎/皮膚筋炎を除く 4 つの筋疾患、代謝性疾患（ミトコンドリア異常症、ペルオキシソーム病）、次いでパーキンソン病を除く 7 つの変性疾患であった。重症筋無力症、多発筋炎/皮膚筋炎を除く 4 つの筋疾患は、筋強直性ジストロフィー、進行性筋ジストロフィー、遠位型ミオパチー、封入体筋炎で、治療満足度は 10%以下で、最も治療満足度の低い疾患群であった。

代謝性疾患は、治療満足度 10～20%前後と低かったが、日本神経治療学会医療ニーズ調査プロジェクト運営委員からは、ライソゾーム病では不十分ながら酵素補充療法である程度治療でき、治療満足度、薬剤貢献度とも低すぎる印象との意見を頂いた。これは使える酵素製剤の種類がまだ少ないことや、投与法が不便なことなどが影響している可能性が考えられた。

変性疾患のうち、特にハンチントン病、前頭側頭葉変性症、脊髄小脳変性症、多系統萎縮症および筋萎縮性側索硬化症の 5 疾患の治療満足度は 10%前後であり、最も治療満足度の低い疾患群の一つであった。

(疾患原因別)

