

2. 今井靖、藤田大司、平田恭信：先天代謝異常症候群 マルフアン関連病（類縁疾患）。別冊日本臨床 新領域別症候群シリーズ 2012;20,716-720.
  3. 大山建司、深見真紀、緒方勤：性分化疾患の性自認に関する調査研究. 日小児会誌 117 (9): 1403-1409, 2013.
  4. 樋浦仁、有馬隆博、生殖補助医療とエピジェネティクス、エピジェネティクス・基礎研究から産業応用への展望、シーエムシー出版印刷中.
  5. 千葉初音、有馬隆博、生殖医療と児の奇形、エピジェネティクス異常、医学のあゆみ 医歯薬出版株式会社 印刷中.
  6. 千葉初音、岡江寛明、有馬隆博 ヒト生殖補助医療（ART）とエピジェネティクスの異常、遺伝子医学 MOOK25 号 178-183, メディカルドゥ 2013. Implications of Epigenetics in ART.
  7. 濱田裕貴、岡江寛明、有馬隆博、ART とエピジェネティックな異常、臨床婦人科産科医学書院 印刷中.
  8. 藤田大司、今井靖、平田恭信：先天代謝異常症候群 マルフアン症候群。別冊日本臨床新領域別症候群シリーズ 2012;20,712-715.
  9. 藤田大司、今井靖、平田恭信：【知っておきたい内科症候群】循環器《先天性疾患》 マルフアン症候群。内科 2012;109: 1059-1061.
  10. 森崎隆幸、森崎裕子：マルファン症候群（類縁疾患）最新医学・別冊 診断と治療の ABC42 大動脈瘤・大動脈解離 改訂第 2 版 p77-84, 2013
  11. 森崎裕子、森崎隆幸：マルファン症候群-診断と治療に関する最近の話題- 小児科臨床 66:1368-1374, 2013
  12. 森崎裕子、森崎隆幸：Marfan 症候群とその類縁疾患- 診断・健康管理・治療薬に関する最近の話題 小児科診療 76:1117-1122, 2013
- 6-2 学会発表  
学会発表（海外）
1. Morita M, Ogishima S, Nishimura K, Aramaki E, Ito T. Online population-based patient registry to collect and share health-related data of rare disease patients, AAAI 2012 Spring Symposium on Data Driven Wellness: From Self-Tracking to Behavior Change, 2012.
  2. International Human Epigenome Consortium (IHEC) Annual Meeting Single-base resolution DNA methylomes of human germ cells and blastocysts Arima T. Berlin, Germany. (11/12/2013)
  3. Morisaki H, Morisaki T: Phenotypes of Marfan syndrome and other related aortopathies with distinct genetic disorder. The 21st Annual meeting of the Asian Society for Cardiovascular and Thoracic Surgery. 2013.4.4-7.
  4. Y. Nishimura and M. Dunkle, GLOBAL COLLABORATION WITH / AMONG RARE DISEASE PATIENT ASSOCIATIONS –THEORY AND PRACTICE-, International Conference for Rare Diseases and Orphan Drugs, 2013, St. Petersburg, Russia
  5. Y. Nishimura, Y. Mori, S. Nagamori, H. Oguro, Y. Yamazaki and T. Ito, National Survey of NANBYO patient groups in Japan, International Conference for Rare Diseases and Orphan Drugs, 2013, St. Petersburg, Russia
  6. Y. Nishimura, CURRENT SITUATION REGARDING NANBYO POLICY IN JAPAN-, International Conference for Rare Diseases and Orphan Drugs, 2013, St. Petersburg, Russia (invited presentation)
- 学会発表（国内）

1. 森まどか、治療研究を目指したGNEミオパチー登録事業 第1回稀少疾患登録/国際ワークショップ、東京、2013年7月26-30日
2. 森まどか、GNEミオパチー(DMRV)の治療を目指して-臨床研究と患者登録-第1回筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク研修会、東京、2012年7月28日-29日
3. 森まどか、縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー(GNEミオパチー)患者登録事業の重要性 東京 20121110 第5回PADMシンポジウム 遠位型ミオパチーの理解を深めるために、東京、2012年11月10日
4. 森まどか、林由起子、村田美穂、西野一三、木村円. GNEミオパチー/縁どり空胞を伴う遠位型ミオパチー患者登録精神・神経疾患研究開発費「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」筋ジストロフィー患者登録に関する臨床研究班木村班、東京、2012年11月30日
5. 森田瑞樹、荻島創一、西村邦裕、荒牧英治. 研究から見た患者主導型の患者レジストリ. 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 研究班第3回研究班会議、2013年2月16日、東京大学.
6. 森田瑞樹、荻島創一、西村邦裕、荒牧英治、安念潤司、織田友理子、近藤健一、猪井佳子、永松勝利. JPA 研究班の患者レジストリ, 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 研究班第3回研究班会議、2013年2月16日、東京大学.
7. 森田瑞樹、荻島創一、西村邦裕、荒牧英治、安念潤司. 患者の研究参加のあり方を考える: 患者レジストリを例に. 全国難病センター研究会 第19回研究大会、2013年3月3日、鹿児島.
8. 西村邦裕、森田瑞樹、荻島創一、荒牧英治、安念潤司. 希少疾患の患者レジストリについて-情報系研究者の立場から. 全国難病センター研究会 第19回研究大会、2013年3月3日、鹿児島.
9. 森幸子、永森志織、馬上和久、山崎洋一、大黒宏司、西村由希子、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の報告、全国難病センター研究会 第19回研究大会、2013年3月3日、鹿児島.
10. 西村由希子、希少・難治性疾患患者会の海外動向調査および今後の連携についての検討、全国難病センター研究会 第19回研究大会、2013年3月3日、鹿児島.
11. 森まどか、林由起子、西野一三、村田美穂、木村円. GNEミオパチー(縁どり空胞を伴う遠位型ミオパチー)患者登録システムの設立と運用 第110回日本内科学会総会・講演会、2013年4月12日-14日、東京.
12. 有馬隆博、第116回日本小児科学会学術集会「生殖補助医療と小児科医療の接点」2013年4月20日(招待講演)、広島.
13. 有馬隆博、第54回日本卵子学会「生殖領域におけるエピジェネティクス研究の最前線」2013年5月25日、東京.(招待講演)
14. 有馬隆博、第31回日本受精着床学会総会・学術講演会「基礎から臨床へ、ARTとエピゲノム」2013年8月9日、別府.
15. 森田瑞樹. 患者中心の患者情報登録の設計と課題. 第2回生命医薬情報学連合大会、2013年10月30日、東京.
16. 大黒宏司、森幸子、永森志織、西村由希子、山崎洋一、伊藤たてお. 患者会と研究班間の研究協力に関する現状および意識に関する実態調査. 第1回日本難病医療ネットワーク学会学術集会、2013年11月9日、大阪.
17. 永森志織、森幸子、大黒宏司、西村由希

子, 山崎洋一, 伊藤たてお. 患者会と研究班間の研究協力に関する現状および意識に関する実態調査 (第2報)、全国難病センター研究会第20回研究大会、2013年11月10日、東京.

18. 有馬隆博、第58回日本生殖医学会 学術講演会・総会「ARTとゲノムインプリンティング」、2013年11月16日、神戸。(教育講演)

19. 森崎隆幸、山中 到、吉田晶子、Razia Sultana、白石 公、市川 肇、古庄知己、園田拓道、森崎裕子: フィラミン異常法による大動脈瘤・解離 日本人類遺伝学会第58回大会 2013年11月20日-23日

20. 有馬隆博、日本人類遺伝学会 第58回大会「ARTと先天異常」2013年11月22日、仙台(招待講演)

21. 森幸子, 永森志織, 大黒宏司, 西村由希子, 山崎洋一, 伊藤たてお. 患者会と研究班間の研究協力に関する現状及び意識に関する実態調査. 平成25年度 厚労科研費『稀少性難治性疾患患者に関する医療の向上及び患者支援のあり方に関する研究』(西澤班) 分科会(Ⅲ) 患者支援のあり方グループ(糸山分科会)、2013年12月13日、東京.

22. 森田瑞樹, 荻島創一, 西村邦裕, 伊藤たてお. 患者が主体となった希少疾患の患者レジストリ. 第34回日本臨床薬理学会学術総会、2013年12月6日、東京.

23. 大黒宏司, 森幸子, 永森志織, 西村由希子, 山崎洋一, 伊藤たてお, 患者会と研究班間の研究協力に関する現状および意識に関する実態調査 第3報、全国難病センター研究会 第21回研究大会、2013年3月9日、京都.

24. 西村由希子、海外希少・難治性疾患患者会・協議会の他組織間協力・連携状況について、全国難病センター研究会 第21回研究大会、2013年3月9日、京都.

7 知的所有権の出願・取得状況

7-1. 特許取得

・特願2010-126487, 特開2011-252784. 鈴木登 他、再発性多発軟骨炎の検査方法およびそれに用いられる検査キット.

7-2. 実用新案登録

なし

7-3. その他

なし

資料1 ガイドライン (25 ページ)

資料2 患者レジストリの機能概要 (45 ページ)

## II 資料



# 研究協力・連携ガイドライン（患者会向け）

第一版（2013年12月31日）

作成：厚労科研JPA研究班調査研究グループ

# はじめに

---

本ガイドラインは、学術研究などに協力もしくは連携をおこないたいと考える患者会もしくは患者関連組織に向けて作成されたものです。現在既に行っている組織だけでなく、今後予定している組織にとってもわかりやすい内容となっています。このガイドラインを読んでもらうことで、研究協力もしくは連携に関する抵抗感を薄めたいと、正しい姿勢で臨んでいただくことを期待しております。

作成グループは希少・難治性疾患（難病）関連患者会関係者です。そのため、本ガイドラインの第一対象者はこれらの方々該当します。一部の記述については他の疾患関係者には該当しない箇所もあります。しかしながら、全体としては一般的な記載を心がけ、多くの方々にご理解いただけるような内容にいたしました。

本ガイドラインを作成するにあたっては、研究班に所属している研究者や、既に研究協力を実施している希少・難治性疾患（難病）関連患者会関係者に対して複数のヒアリング調査を行いました。ここに改めて感謝の意を表します。また、作成グループが2012・2013年度に実施したアンケート調査結果も参考にしております（作成スタッフ紹介ページから内容を確認することができます）。

本ガイドラインには、本文に加えて参考資料の掲載サイトがリンクされております。本文はなるべく簡潔かつ平易に記載し、その上で更なる詳細情報を得たい方はリンク先を参照してください。

本ガイドラインは公開した段階で完成というわけではなく、これからも貴重な情報を付加・編集していくことを予定しております。皆様のご協力が、本ガイドラインをますます有益なものへと変化させることを期待しております。ご意見を是非お寄せください。

なお、内容は予告なしに改訂されることがあります。改訂する際にはバージョンを変更いたしますので、事前にご確認ください。

本ガイドラインは、本文をPDFバージョン（印刷して紙媒体で読むことが可能）とWebバージョン（インターネット上で読むことが可能）の両方で提供しております。PDFバージョンをご希望の方はこちら (/pdf)からダウンロードしてください

# 目次

- はじめに
- 【1】研究協力・連携とは
- 【2】研究協力・連携の種類
- 【3】研究協力・連携を開始するには
- 【4】研究協力・連携の過程
- 【5】研究協力・連携を続けていくには
- 【6】研究協力・連携について気をつける点
- さいごに
- 作成スタッフ紹介・問い合わせ先

# 1. 研究協力・連携とは

本ガイドラインでは、「患者会（もしくは患者個人）による研究協力・連携」の定義を「患者会（もしくは患者・患者家族個人）が、大学をはじめとした高等教育機関等が実施する学術研究に、「協力もしくは連携」という何らかの形で広義に参画し貢献すること」とします。協力と連携の違いは、どのように研究に関わるのかにより違い、前者は研究サイドからのリクエストによる受け身な形を、後者はより積極的な形を指します。どちらも大切な関係ですので、以降も両語を併記します。内容の詳細は【2】研究協力・連携の種類を確認してください。

研究協力・連携には様々な形があります。例えば研究内容を知るための勉強会を患者会が開催することも、研究内容を社会ならびに対象者に知らしめる行為という点では広義の協力といえます。

これらの行為によって、

- 研究を促進させる、
- 研究を世に知らしめる、
- 研究が正しい方向に向かっているかを確認する（結果的に導く）、

などの効果が考えられます。

こういった協力・連携は、患者側からの要請によるものだけでなく、研究実施者側からの要請がある場合もあります。これは、上述のような研究を発展させていくことは研究実施者だけではなし得ないことも多いことの現れです。協力・連携の形は、今後ますます多様化していくことでしょう。言い換えれば、これらの多様性は研究実施者もこういった（広義の）参画を期待していることを指し、患者会もしくは患者個人でできることはたくさんあるということと同義であるといえます。

## 用語解説

### 学術研究とは

学術研究と一口に言ってもその範囲は非常に広く、希少・難治性疾患領域の場合、基礎研究から応用研究、臨床開発研究に至るまで多岐にわたります。例えば、基礎研究実施者には理学・工学系研究者等も多く含まれますが、臨床開発研究実施者には医学系研究者が中心となることも多いのです。

### 学術研究支援体制

国内の学術研究支援は、一般的には文部科学省・厚生労働省といった政府機関によりおこなわれます。研究者は、研究テーマや計画、新規性や発展可能性についての記載を含めた申請書類を作成し、審査を経て採択された後に、単年（1年）もしくは複数年間にわたって研究を実施します

### 研究班の構成

研究に関わる研究者数は、研究規模によって個人または複数の場合があります。複数の場合は、主に以下のような役割があります。（なお、助成プログラムによって多少役割名は異なります）



- **研究代表者**：研究計画の遂行（研究成果の取りまとめを含む。）に関して全ての責任を持つ研究者。大学等の高等教育機関に属する研究者が着任する 경우가ほとんどです。
- **分担研究者**：代表者と責任を分担して研究実施します。
- **協力研究者**：研究に協力します。

大型研究によっては事務局機能が存在し、一般的には研究代表者組織に属します。

## 参考文献

基礎研究とは

[http://www.mext.go.jp/a\\_menu/kagaku/kihon/06032816/001/001/006.htm](http://www.mext.go.jp/a_menu/kagaku/kihon/06032816/001/001/006.htm)  
([http://www.mext.go.jp/a\\_menu/kagaku/kihon/06032816/001/001/006.htm](http://www.mext.go.jp/a_menu/kagaku/kihon/06032816/001/001/006.htm))

研究分類

<http://www8.cao.go.jp/cstp/tyousakai/seisaku/haihu03/kanazawa6.pdf>  
(<http://www8.cao.go.jp/cstp/tyousakai/seisaku/haihu03/kanazawa6.pdf>)

研究者の種類について（科研費ハンドブック）

[http://www.jsps.go.jp/j-grantsinaid/15\\_hand/data/kakenHB1106A5.pdf](http://www.jsps.go.jp/j-grantsinaid/15_hand/data/kakenHB1106A5.pdf) ([http://www.jsps.go.jp/j-grantsinaid/15\\_hand/data/kakenHB1106A5.pdf](http://www.jsps.go.jp/j-grantsinaid/15_hand/data/kakenHB1106A5.pdf))

\*なお、一般的に政府機関に研究を申請する場合には、研究代表者ならびに分担研究者は応募資格を有していないと応募できません。事前に応募資格条件を確認する必要があります。

## 2. 研究協力・連携の種類

研究協力・連携には様々な種類があります。ここでは主な種類を紹介します。

患者・患者会が関わる (研究)協力の種類	内容	患者（会）側 メリット	研究者(班)側もしくは医 師側のメリット
アンケート回答・実態 調査回答	<ul style="list-style-type: none"> <li>・疾患や居住地域別といったいくつかの分類による日常生活についての調査回答</li> <li>・患者の生活実態調査</li> <li>・治療などに関するアンケート調査といった各種調査への回答</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・疾患をかかえた患者がどのような生活をしているか、患者が地域でどのような暮らし方をしているのか、などの調査に参加することにより、自分の状況を直接回答に反映させることができる。</li> <li>・普段は言いにくい意見などを届けることができる。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・医師に言いにくいことなどを明確にして提案できる患者がどのように思っているのかを、知ることができる</li> </ul>
疫学情報収集	<ul style="list-style-type: none"> <li>・疫学研究で使用する基礎情報の提供</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・情報を提供することで、疾患の原因や予防法、治療の有効性などの検証に役立てることができる。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・疾患の成因を探り、疾患の予防法や治療法の有効性を検証することができる。</li> <li>・環境や生活習慣と健康とのかかわりを明らかにすることができる。</li> </ul>
生体試料提供	<ul style="list-style-type: none"> <li>・血液や尿、組織など、患者身体の試料を提供する。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・血液、尿などを提供することにより、疾患の原因を究明して、治療にいかしてもらうことができる。</li> <li>・通常の検査時に追加で協力できる。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・患者本人の試料を提供してもらい、分析研究することにより、対象疾患の原因の究明、治療法の確立に向けた研究することができる。</li> </ul>
臨床試験・治験へのデ ータ協力	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ヒトを対象として新しい治療薬の有効性および安全性を調べる試験への</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・個人情報を提供することにより、より効果が高く安全性も高い治療薬の</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・政府の承認を得るために必須の試験を経て、一般社会に新しい治療薬を</li> </ul>

	協力もしくは個人情報提供。	開発に協力できる。	提供できる。 ・患者会と連携することで、より多くの試験参加者を集めることができる。
研究班への直接参加 (実施者・分担者等)	・研究班に具体的に参加し、研究発表や報告書を作成する。	・患者・関係者が有している専門性を班内で研究の一部として発揮できる。 ・患者・関係者の視点から研究（の一部）に関わることができる。 ・研究者側と日頃から交流を深めることができる。	・患者・関係者に、より責任のある貢献を依頼することで、患者視点の研究を実施することができる。 ・患者に対するアンケート調査など、患者ならではの項目設定や分析結果が収集できる。
班会議傍聴・発表	・班会議を聴講する。もしくは班会議内で発表する。	・班会議にて直接研究発表や質疑応答を聞くことで、研究の進捗状況を理解することができる。 ・研究者に直接質問をすることができる。 ・自ら発表することで患者視点の考えを直接研究者に届けることができる。	・研究対象者でもある患者に直接研究内容を伝えることができる。 ・その場で意見交換を行うことで、不必要な誤解や理解不足を防ぐことができる。 ・直接対話の中から新たな研究アイデアを見出すことができる。

## 用語解説

### 疫学研究

疫学研究は、疾病などの事象の頻度や分布を調査し、その要因を明らかにする科学研究を指します。疾病の成因を探り、疾病の予防法や治療法の有効性を検証し、又は環境や生活習慣と健康とのかかわりを明らかにするために、疫学研究は欠くことができません。医学の発展や国民の健康の保持増進に多大な役割を果たしている研究です。疫学研究では、多数の研究対象者の心身の状態や周囲の環境、生活習慣等について具体的な情報を取り扱います。また、疫学研究は医師以外にも多くの関係者が研究に携わるという特色を有しています。

### 臨床研究（治験）

患者に協力してもらい、病気の原因の解明、病気の予防・診断・治療の改善、患者さんの生活の質の向上などのために行う医学研究を指します。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目的の臨床研究は、別に臨床試験あるいは「治験」と呼びます。

## 参考文献

疫学研究に関する倫理指針

<http://www.mhlw.go.jp/general/seido/kousei/i-kenkyu/ekigaku/0504sisin.html>  
(<http://www.mhlw.go.jp/general/seido/kousei/i-kenkyu/ekigaku/0504sisin.html>)

臨床研究とは

[http://www.ccr.med.keio.ac.jp/patients/about\\_clinical/](http://www.ccr.med.keio.ac.jp/patients/about_clinical/)  
([http://www.ccr.med.keio.ac.jp/patients/about\\_clinical/](http://www.ccr.med.keio.ac.jp/patients/about_clinical/))

## 3. 研究協力・連携を開始するには

### ・研究および研究者を知ろう、つながろう

- 自分達の病気について研究している研究者、研究班を調べてみましょう。例えば、難病情報センターウェブサイトの中の「サイト内検索」に病名を入れて検索したり、研究班のリストから探したりすることができます。または主治医の先生に尋ねてみるのも良いでしょう。
- 研究者、研究班がわかったら、連絡を取ってみましょう。研究者側に会のパンフレットや会報などを送ることや、ウェブサイトなども通じて自分達の活動内容をお知らせすることも効果的です。患者会として連絡をとることで、より公式な回答を得ることもできます。

### ・研究協力・連携の内容を検討しよう

- 研究者側の希望を聞き、どのような研究協力・連携ができるか考えましょう。可能であれば、実際に会った上で質問すると、より本音を教えてもらえます。
- 最初に、研究者側から、これまでの研究の趣旨や具体的な内容について患者や家族が理解できるように説明していただきましょう。わからない場合に質問をしても問題ありません。わかった「ふり」は、その後の関係構築に影響を及ぼすことがあります。納得のいくまで説明を受けましょう。
- 一方で、研究者側があなたの患者会について十分な知識を得ていない可能性があります。そのため、会の活動内容や自分たちの患者会に何の病気の人が何名くらいいるのかなどを伝えましょう。先ほどの反対で、患者側がわかりやすく説明することを心がけましょう
- 希望と現状を考慮したうえで、具体的にどのような協力・連携ができそうか、話し合いました。その場合、患者側にどのような責任や負担が生じるかについて、きちんと確認しましょう。

### ・患者会内部で話し合って結論を出しましょう

- 具体的にどのような協力・連携を求められているのか、また自分たちの希望を確認したうえで、できることを検討しましょう。可能であれば、研究者側から役員会に来ていただいて、内容について説明していただくことも効果的です。
- 具体的にどのような協力・連携を求められているのか、また自分たちの希望を確認したうえで、できることを検討しましょう。可能であれば、研究者側から役員会に来ていただいて、内容について説明していただくことも効果的です。
- 一方で、デメリットもよく検討しなければいけません。会にとって人的、経済的、時間的な負担がどの程度あるのか、それを実際に実施できる体制かどうか、また協力する患者の負担はどんなものかを具体的に考え、検討しましょう。
- メリット、デメリットをよく踏まえた上で、研究協力・連携を実施するかどうか、またどのような内容にするかを決定して研究者側に伝えましょう。

## 参考文献

難病情報センター

<http://www.nanbyou.or.jp/> (<http://www.nanbyou.or.jp/>)

一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会 (JPA)

<http://www.nanbyo.jp> (<http://www.nanbyo.jp/>)

(なお、希少・難治性疾患（難病）患者会の方が海外の研究者にコンタクトをとりたい場合は、日本最大の難病協議会である日本難病・疾病団体協議会国際交流部へご連絡いただければ可能な限り対応いたします。)

## 4. 研究協力・連携の過程

研究協力・連携を実施することが決まったら、次の基本プロセスを参考にして進めていきましょう。

### ・研究者側と具体的に打ち合わせをおこなしましょう

- 何をいつまでにどのように行うか、研究側とよく打ち合わせましょう。研究期間内に予定されている各種会議開催日程（説明会や報告会など）、調査が必要な場合には調査時期、報告書の発送時期などを確認します。患者会の機関誌発行や総会、交流会等と合わせて実施できるものがあればお互いの手間と費用を減らすことができます。
- 問い合わせがあった場合の窓口担当者、質問への回答内容や分担などについて打ち合わせおきましょう。
- 経費についても検討しましょう。例えばアンケート調査票の郵送料や返送料、会議やインタビューの交通費、会議室料など、必要な経費を研究側と患者側のどちらが負担するか、支払い方法をどうするかなどを確認しましょう。

### ・情報の取り扱いについて確認しましょう。

- 会員の情報（名前、病名、住所その他）をどう扱うかの取り決めをしましょう。名簿を研究者側に提供する形にするか、名簿は会が管理して対象者に研究協力を依頼する形にするか、などについても話し合しましょう
- 調査によって得た情報をどう取り扱うかについては、口頭だけでなく文書の形で取り決めを行いましょう。
- 患者の情報を集める研究者側だけでなく、協力・連携する患者側にも守秘義務が発生します。守秘義務の内容、範囲を事前に明確にして、責任を持って研究協力・連携を実施しましょう。

### ・患者会側対象者へ説明をしましょう。

- 会員への説明と協力依頼をする際には、正確に伝えることが重要です。研究者側に概要を簡潔に1～2枚にまとめていただき、その用紙を利用して会員に説明したり、機関誌や調査用紙と一緒に送ったりすると良いでしょう。
- 対象を限定する場合には、その理由などについてもあわせて記載しましょう。
- 説明の仕方は、あなたの会の状況に応じて検討しましょう。（対面式説明会開催、患者会メーリングリストなどを利用、理事会などの機会を利用、など）

### ・実際に研究協力・連携を実施しましょう

- 取り決めたスケジュールに従って、実際の研究協力・連携を実施します。必要に応じて随時、研究側との意見交換の場を作り、会員からの疑問、要望、苦情等にはできるだけ迅速に対応できるようにしましょう。

### ・成果を報告しましょう

- 成果の報告の仕方には、研究発表や学術論文投稿、班会議などでの発表や報告書作成など様々な

方法があります。研究者側と相談して報告の仕方を決めましょう。

- 患者会ウェブサイトなどで報告する際には、事前に研究者側に内容の確認をしてもらいましょう。【6】研究協力・連携について気をつける点も確認してください。

## 参考文献

作成スタッフコメント欄に、実際に連携をおこなった感想が記載されています。ご興味のある方はこちらからご覧ください。

α



## 5. 研究協力・連携を続けていくには

研究の内容によっては短時間で成果がでるとは限りません。もちろん患者にとっては一日も早く結果の出ることが望ましいのですが、長期間の研究協力・連携の継続によってより良い成果を生む場合があります。研究協力・連携の継続にはどのようなことが必要でしょうか。皆さんもぜひ考えてみてください。

### ・研究者側との関係性：お互いの信頼関係を構築していくよう努力しましょう

- 長期にわたり協力・連携を継続させるためには、研究だけのお付き合いではなく、患者会の活動等についても理解していただく必要があります。そのためには研究者を患者会の総会に招待したり、意見交換会や勉強会を開催したり、お互いの思いを率直に届けることも大切です。
- 患者会が社会から見て理解されやすい存在になれば、もちろん社会からの協力も得やすくなるでしょう。研究側に対してだけでなく、社会に対して幅広く患者会側からの情報提供を積極的に行うことにより、お互いの関係はより円滑により深くなると考えられます。
- 研究者側からの患者会に対する成果報告会を定期的にぜひ開催していただきましょう。研究者側にすべてをお任せするのではなくて、研究の進捗状況を患者会側もある程度は理解しなければ、長期間の協力・連携は目的を見失ってしまいます。
- 研究者側との信頼関係はお互いの人間関係を深めるだけでは構築できません。研究にはある一定の社会的ルールが存在します。一例として、研究成果の取扱、説明責任、利益相反等についてです。このガイドラインでも紹介していますので、ぜひルールを確認しておきましょう。

### ・患者会内部の役員間で慎重に検討しましょう

- 研究協力・連携が始まった当初は具体的な研究の内容までは患者会側はわからず、患者会役員からの意見として「まずは始めてみよう」という状況も考えられます。しかし、その活動を継続するとすると、研究協力・連携の必要性について患者会内部の役員間の同意や確認が必要になってきます。
- それでは、研究協力・連携を継続するためには、どのような判断基準があるのでしょうか。一例として、患者会への研究のメリット、研究の将来性、個々の患者への成果の還元、研究外のことも含めたインセンティブ（動機づけ）などが考えられます。
- しかし、患者会内部だけで研究のメリットや将来性を正しく議論することは困難です。場合によっては研究者側からの説明が必要になることもあります。研究側との関係性を深める意味でも、役員会や理事会において、研究者側からの説明を受けることも検討する必要があります。
- 研究協力・連携が進んでいくと、多くの研究者側からの申し出がくる可能性も出てきます。すべての研究に協力できる状況ではない場合に、取舍選択のための判断基準も必要になるでしょう。しかし患者会内部だけの判断では難しい場合には、顧問の先生など第三者的な専門家の意見も参考になるかもしれません。

### ・会員への呼び掛けや説明をおこないましょう

- アンケートの回答、実態調査の依頼、臨床試験・治験の協力など、研究協力・連携には個々の会

員の協力も必要になってきます。人によっては自分のデータが研究材料になることを嫌う方もおられるでしょう。個人情報の保護はもちろんのこと、研究協力・連携の継続には会員の理解も不可欠になります。

- 例えば、臨床試験（治験）は治療薬の開発のためには不可欠なことです。患者の協力なくして医療の発展は望めません。しかし、研究の必要性は認めながらも自身との関わりについてはとても遠い存在であることは確かです。研究の意義などを会員に伝えていくことも患者会の役割ではないでしょうか。
- 会員への呼び掛けには機関誌やメールの活用が考えられますが、該当者の選定能力や迅速な対応能力も研究側との信頼関係を高める大切な要素です。そのためには、データベースによる情報の整理も必要になるかもしれません。研究面だけではなく、情報のデータベース化は患者会にとって大切な財産になると考えられます。

## ・ 患者会の基礎体力の充実をはかりましょう

- 医療の発展のために患者会がどのように貢献できるかは、患者会の存在意義として非常に重要です。ただし、研究協力・連携が患者会の役割のすべてではありません。人的に、時間的に、経済的に、研究協力・連携にどの程度の労力を使えるかを考えなければ、長期に渡る継続は不可能です。
- 例えば、アンケートの回答や実態調査の依頼がきても、実際には労力がなければ対応できません。特に継続的な事業の場合には、研究側に金銭的補助の確認も必要です。患者会の基礎体力の充実が必要ですが、患者会からの持ち出しだけでは継続は不可能です。
- 患者会の基礎体力がついてくれば、患者会主導の研究が可能になるかもしれません。患者会の具体的なニーズの実現のために患者会がお金を取ってきて、専門家と共同研究することもあり得るということです。例えば、生活実態調査について研究者を巻き込んで行えば、より正しく詳しい調査結果を導き出せるでしょう。

## ・ 国内、海外の成功事例を知りましょう

- 海外の患者会では、医師と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ます。海外のみならず、日本においても研究協力・連携の成功事例を共有することで、より良い成果を出すことができるようになるでしょう。
- また、研究協力・連携の問題点や課題を克服するために、患者会同士の意見交換も有用と考えられます。アンケートの調査項目など具体的な部分についても、他の患者会の活動は非常に参考になります。成功事例を増やすためにも、患者会同士の連携を深めていくことも大切です。

希少・難治性疾患は「病気」です。解明を試みている研究者がいる限り、「治す」ために尽力している人の存在を知り、「治る」ためにできることを一緒に考えていきましょう。

## 6. 研究協力・連携について気をつける点

### 成果の取り扱い

研究側からの患者会に対する成果の公開・報告は必要ですが、研究である以上は患者会側にも守秘義務を伴う場合があるという理解が必要です。また場合によっては、患者会へはすべてを開示できないこともあると思われます。お互いの信頼関係を保ちながら、研究成果を最大限に活かすためには、研究に関する事前の丁寧な説明が不可欠です。

特に患者会側が成果を開示する際、何を開示していいか、また何をしてはよくないかについて、慎重に検討する必要があります。

- **自分の情報を提供する場合の注意点**：例えば、どういった情報を提供するのか、誰がそれを見るのか、何に使用されるのか（研究期間内、期間後）、必要であれば削除依頼が出せるのか、などがあります。協力・連携の種類によっては研究者側に相談し、事前もしくは実施期間中にまとめておくことが大切です。
- **研究側の情報取扱いを取り扱う場合の注意点**：例えば、班会議での議論をどこまで患者会レポートとかに入れていいか、私見をどこまで入れていいか（事実と感想は違う）、などが予想される検討点です。委員会等の議事録と違い、研究は一般的には学会発表や論文といった公開以前には内容を明らかにしません。特に内輪で開催される会議での議論内容については、勝手に患者側で判断して公開してしまうと後々大変な事態となります。また、たとえ期待される成果をあげたからといって、成果を主観的に伝えてしまうことも研究者側に迷惑がかかります。どのような公開・紹介が適切か、研究者側に確認をとってみましょう。無難な方法としては、研究者側でウェブサイトアップされた内容にリンクを張って紹介する、患者向け説明資料を作成していただきそれを紹介する、などがあります。

以下に検討すべき点をまとめました。事前に研究班側と話し合っておくようにしましょう。

- 研究成果の取り扱いを含む契約内容について、一定のルールを定める。
- 患者会側もそのルールに則り、研究成果を取り扱う。
- 研究成果の帰属や守秘義務等を事前に明確にしておく。
- 患者側も研究に参加しているという意識啓発により適正な行動が必要です。

### 患者会として関わるか、個人として関わるか、を意識しましょう

- 患者会として関わる場合は、組織（団体）として協力・連携となるので、当然組織に対して責任が生じます。参画する人を選ぶ際にも、組織としての方向性を説明する必要がありますので、事前に検討しておきましょう。また、発言の際には、会としての発言であることを十分に意識しておこないましょう。患者会の中で担当者を決定した後も、その人だけに任せるのではなく、協力内容、発言内容に会として気を配りましょう。
- 個人として関わる場合は、すべてが個人の責任となってしまう可能性がありますので慎重に対応しましょう。わからないことがあれば、研究者側に事前に問い合わせることも必要です。患者会が既にある状態で個人として関わる場合には、患者会として関わる場合とどちらが適切かを考慮し、必要に応じて患者会側に確認を取るようにしましょう。

### 患者本人が関わることに同意するか、患者家族ら関係者が同意するか

- 小児患者や意思決定が困難な患者の場合、本人ではなく家族が研究に協力したいと思う場合があります。患者自身と家族の意見は必ずしも同一ではないことを念頭に置きつつ、患者との対話に努めましょう。

## 研究遂行には時間がかかるということ、また成功だけでなく失敗の可能性もあることを十分に理解しましょう。

- 新薬は、長い研究開発期間をかけて新しい成分の有効性・安全性が確認された後、国の承認を受けて初めて発売されます。研究開始から販売開始までの期間は10年とも15年とも言われており、とても長い期間を必要とします。
- 専門家によると、ヒトでの臨床試験に100個の候補化合物が入ってきたとしても、最終的に「くすり」になるのはわずか8個にすぎません。また、臨床試験前には多くの前臨床試験（実験動物を用いたin vivo試験や、試験管の中〈in vitro〉の試験）が行われており、候補化合物が選ばれる確率は1/3000程度です。さまざまなデータの裏付けに基づいて開発を進めているにもかかわらず、8%しか成功しないのが医薬品開発の現状です。

(本項目は後日追記記載を予定しています)

### 参考文献

杉山雄一氏講演「大学における革新的創薬技術の開発と現状」要旨  
製薬協ウェブサイト内

[http://www.jpma.or.jp/event\\_media/forum/repo\\_32.html](http://www.jpma.or.jp/event_media/forum/repo_32.html)  
([http://www.jpma.or.jp/event\\_media/forum/repo\\_32.html](http://www.jpma.or.jp/event_media/forum/repo_32.html))

新薬のはなし

製薬協ウェブサイト内

[http://www.jpma.or.jp/event\\_media/campaign/campaign2006/cont01.html](http://www.jpma.or.jp/event_media/campaign/campaign2006/cont01.html)  
([http://www.jpma.or.jp/event\\_media/campaign/campaign2006/cont01.html](http://www.jpma.or.jp/event_media/campaign/campaign2006/cont01.html))