

平成 26 年度厚生労働科学研究委託費（創薬基盤推進研究事業）
研究課題名：産学官連携研究の促進に向けた創薬ニーズ等調査研究

平成 26 年度（2014 年度）

国内基盤技術調査報告書

「60 疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ」

公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

はしがき

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（HS 財団）では、昭和 61 年度（1986 年度）より、厚生科学研究費補助金を活用し、医療・医薬等いわゆるヒューマンサイエンス分野で、産学官が協力して実施する官民共同プロジェクトを推進してきました。平成 26 年度（2014 年度）は、厚生労働科学研究委託費（創薬基盤推進研究事業）「研究課題名：産学官連携研究の促進に向けた創薬ニーズ等調査研究」として実施しています。その一つである「分担課題 1：医療ニーズ等に関する調査研究・情報提供」を担当する「医療ニーズ調査班」では、創薬に取り組むべき疾患を明らかにし、その疾患の創薬ニーズや産学官が共同で実施すべき課題等を明らかにするために、医療ニーズ調査を行っています。

60 疾患の医療ニーズに関する調査は、1994 年度、2000 年度、2005 年度および 2010 年度とこれまで過去 4 回実施してきました。最近の医療を取り巻く環境の変化は極めて著しいことから、前回の調査からまだ 4 年しか経っていませんが、2014 年度に医療ニーズの調査を行うこととしました。

本調査報告書は、HS 財団医療ニーズ調査班が 2014 年度に実施した「60 疾患の医療ニーズ調査と新たな医療ニーズ」の結果をまとめたものです。本調査では、内科系の医師を対象に Web アンケート調査を行いました。新たな医療ニーズを掘り起こすことを目的に、新たな診断・治療、医薬品・医療機器の開発等の対応が急務な疾患を答えていただき、併せてその理由と対策をうかがいました。その他、定点観測の視点から、従来通り 60 疾患に対する治療満足度、薬剤貢献度についても調査しました。

調査班では医療に係わる方々にとって、極めて有用な調査結果が得られたのではないかと考えています。

ご多用のところ、アンケートにご協力いただいた諸先生方に深甚の謝意を表します。また、本報告書が関係する多くの分野でご活用いただければ幸いに存じます。

2015 年 3 月

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団

調査にご協力いただいた先生方（敬称略）

独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター
トランスレーショナル・メディカルセンター

臨床研究支援部 臨床研究支援室
センター病院 臨床研究推進部 臨床研究・治験推進室

室長 中村 治雅
室長

東都文京病院

副院長 須永 眞司

調査・執筆担当者

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団

医療ニーズ調査班

アステラス製薬株式会社	研究本部 研究統括部	玉起 美恵子 (リーダー)
旭化成ファーマ株式会社	薬事部	成瀬 寛俊 (サブリーダー)
持田製薬株式会社	研究企画推進部	天野 賢一 (サブリーダー)
株式会社エスアールディ		田澤 博実
NRI ワークプレイスサービス株式会社	インフォメーションサービスグループ	正路 章子
独立行政法人 科学技術振興機構 慶応義塾大学	イノベーション推進本部 産学連携展開部 先端生命科学研究所	清水 正樹 栗本 忠
ゼリア新薬工業株式会社	中央研究所 コンシューマーヘルスケア研究部	鈴木 将光
第一三共株式会社	研究開発本部 研究開発企画部	西田 健一
大日本住友製薬株式会社	研究本部 創薬開発研究所	長嶺 純
田辺三菱製薬株式会社	研究本部 研究企画部	稲村 直樹
中外製薬株式会社	プロジェクト・ライフサイクルマネジメントユニット プライマリ・ライフサイクルマネジメント部	小久保 博雅
中外製薬株式会社	研究本部 創薬企画推進部	須藤 正幸
東レ株式会社	医薬研究所	新田 亜衣子
東レ株式会社	医薬事業開発部	木綿 しのぶ
Meiji Seika ファルマ株式会社	医薬製品企画部	林 宏行
公立大学法人横浜市立大学		上西 憲明
株式会社リバルタス・コンサルティング		中村 誠
株式会社リバルタス・コンサルティング		菊池 雄一郎
株式会社リバルタス・コンサルティング		武石 和代
公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部	山下 剛一 (研究分担者)

目次

はしがき	i
第1章 調査の概要	1
1-1 調査の背景と目的	1
1-2 調査の方法	1
1-3 60 疾患	1
1-4 調査の概要	3
(1) アンケート調査 (第2章)	3
(2) アンケート結果 (第3章)	3
(3) まとめと考察 (第4章)	3
第2章 アンケート調査	4
2-1 調査の実施	4
(1) 調査実施時期	4
(2) 回収状況	4
2-2 回答者の属性	4
(1) 所属機関	4
(2) 病床数	5
(3) 診療科	6
第3章 アンケート結果	7
3-1 新たな診断・治療法、医薬品・医療機器の開発等の対応が望まれる疾患・症候	7
(1) 感染症および寄生虫症	13
(2) 新生物	15
(3) 血液および造血器の疾患ならびに免疫機構の障害	17
(4) 内分泌、栄養および代謝疾患	18
(5) 精神および行動の障害	20
(6) 神経系の疾患	21
(7) 耳および乳様突起の疾患	23
(8) 循環器系の疾患	23
(9) 呼吸器系の疾患	25
(10) 消化器系の疾患	26
(11) 皮膚および皮下組織の疾患	28
(12) 筋骨格系および結合組織の疾患	28
(13) 尿路性器系の疾患	30
(14) 先天奇形、変形および染色体異常	31
(15) 症状、徴候および異常臨床所見・異常検査所見で他に分類されないもの	32

(16) 損傷、中毒およびその他の外因の影響	33
(17) 遺伝性疾患	33
(18) 難治性疾患	33
(19) 放射線障害	34
(20) その他	34
(21) 疾患以外	34
3-2 治療の満足度	35
(1) 治療の満足度	35
(2) 治療の満足度において特筆すべき疾患	39
3-3 薬剤（医薬品）の治療への貢献度	44
(1) 薬剤（医薬品）の治療への貢献度	44
(2) 薬剤（医薬品）の治療への貢献度において特筆すべき疾患	48
3-4 治療の満足度と薬剤（医薬品）の治療への貢献度の相関	50
(1) 治療満足度（「十分満足」＋「ある程度満足」）と薬剤貢献度（「十分貢献」＋「ある程度貢献」）	50
(2) 「十分満足のいく治療が行えている」と「十分に薬剤が貢献している」	54
3-5 自由意見	56
第4章 まとめと考察	62
(1) 目的等	62
(2) アンケート調査方法	62
(3) 回答者の属性	62
(4) 新たな診断・治療法、医薬品・医療機器の開発等の対応が望まれる疾患・症候	63
(5) 60疾患の治療の満足度	64
(6) 薬剤（医薬品）の治療への貢献度	64
(7) 治療の満足度と薬剤（医薬品）の治療への貢献度の相関	65
(8) 60疾患の治療満足度・薬剤貢献度の推移	65
(9) 新たな診断・治療法、新たな医薬品・医療機器の開発等の対応が望まれる疾患・症候と60疾患	66
(10) 自由意見	67
(11) まとめ	67
資料-1 疾患名とICD-10分類の対応表	69
資料-2 治療満足度と薬剤貢献度（5回調査結果）	72
(1) 治療満足度と薬剤貢献度の相関図および回答者属性	72
(2) 疾患群別治療満足度と薬剤貢献度	83
資料-3 Web アンケート調査票	95

第1章 調査の概要

1-1 調査の背景と目的

HS 財団では厚生労働科学研究委託費の交付を受けて創薬基盤推進研究事業を行っており、本調査はその一環である。本調査が、創薬に取り組むべき疾患等を行政、医療関係者（医師、製薬企業）等に提供し、医療技術、治療法・治療薬等の開発における産学官のマッチングを加速させることが期待される。

HS 財団医療ニーズ調査班では、医療に求められる要素を医療ニーズと定義しているが、その医療ニーズを明らかにすることによって、関係者がそれぞれの立場で的確に対応し、医療に関する満足度を向上させ、医療および医療産業が発展することが本調査の目的である。

本調査班では、1994 年度から約 5 年ごとに過去 4 回、60 疾患に対する治療満足度、薬剤貢献度等について医師に対するアンケート調査を実施してきている。しかしながら、医療を取り巻く環境の変化が近年極めて著しいことから、1 年早く 2014 年度に、現在の医療ニーズを明らかにすることを目的に本調査を行うこととした。

また、医療ニーズの中でも医療現場のアンメットメディカルニーズに基づいた創薬シーズの探索と実用化が急務であることから、今回の調査では、まず、疾患等を特定することなく、新たな診断・治療、医薬品・医療機器の開発等の対応が望まれる疾患・症候を挙げてもらい、その理由および対策について記入していただくことで、埋もれている実際の医療現場の創薬ニーズ等の一端を明らかにできるものと考えた。また、これまでの医療ニーズに関する定点観測の位置付けで 60 疾患に対する治療満足度および薬剤貢献度について調査し、分析等を行った。

1-2 調査の方法

本調査では、HS 財団医療ニーズ調査班において、調査方法、調査項目、調査内容について検討し、アンケート調査票を作成した。内科系医師を対象に、インターネットを利用した Web アンケート調査を実施した。調査対象者は、医育機関名簿、一般病院名簿から、地域ブロック比率（地域ブロック内の医師数）に相対した二階層無作為抽出法にて、医師 2,500 名を選定した。電子調査票へ入る方法および URL を記載した調査協力依頼状を郵送し、Web 画面上で回答をいただいた。その結果を集計・整理し、分析した。

1-3 60 疾患

治療満足度、薬剤貢献度調査の対象疾患は、これまでのアンケート調査と同様、調査班で議論して重要と考える 60 疾患とした。なお、重要と考える疾患とは、具体的には重篤な疾患、QOL を著しく損なう疾患、患者数の多い疾患、社会的に影響の大きい疾患等で

ある。

今回 2014 年度は、前回 2010 年度の医療ニーズ調査で対象とした 60 疾患のうち、内科医が診療することの少ない加齢黄斑変性を調査対象から除外した。また、前回の調査で意見が多く寄せられた高血圧症を調査対象疾患に加え、60 疾患とした。調査対象疾患一覧(60 疾患)を図表 1-3-1 に示す。

図表 1-3-1 60 疾患

	疾患名		疾患名
感染症	1 慢性B型肝炎	循環器疾患	33 高血圧症
	2 慢性C型肝炎		34 心筋梗塞
	3 HIV・エイズ		35 心不全
	4 MRSA		36 不整脈
新生物	5 胃がん		37 脳出血(含むも膜下出血)
	6 大腸がん		38 脳梗塞
	7 肝がん		39 PAD/末梢動脈疾患
	8 膵がん		40 副鼻腔炎
	9 肺がん		41 アレルギー性鼻炎
	10 乳がん	42 喘息	
	11 子宮頸がん	43 COPD/慢性閉塞性肺疾患	
	12 前立腺がん	44 睡眠時無呼吸症候群	
	13 白血病	45 機能性胃腸症	
	14 悪性リンパ腫	46 IBD/炎症性腸疾患	
代謝疾患	15 糖尿病	47 IBS/過敏性腸症候群	
	16 糖尿病性神経障害	48 NASH/非アルコール性脂肪肝炎	
	17 糖尿病性網膜症	49 アトピー性皮膚炎	
	18 糖尿病性腎症	50 乾癬	
	19 脂質異常症	51 関節リウマチ	
精神疾患	20 アルツハイマー病	52 高尿酸血症・痛風	
	21 血管性認知症	53 変形性関節症	
	22 統合失調症	54 SLE/全身性エリテマトーデス	
	23 うつ病	55 骨粗鬆症	
	24 不安神経症	56 CKD/慢性腎臓病	
	25 むずむず脚症候群	57 過活動膀胱症候群	
神経疾患	26 パーキンソン病	58 腹圧性尿失禁	
	27 多発性硬化症	59 前立腺肥大症	
	28 てんかん	60 子宮内膜症	
	29 片(偏)頭痛		
	30 神経因性疼痛		
	31 線維筋痛症		
眼	32 緑内障		

1-4 調査の概要

(1) アンケート調査 (第2章)

内科系の医師を対象にアンケート調査を実施し、158名から回答を得た。その回答者の属性を所属機関、病床数、診療科について分析した。

(2) アンケート結果 (第3章)

アンケートの調査項目は、問1：新たな診断・治療、医薬品・医療機器の開発等の対応が急務と思われる疾患・症候およびその理由と方策、問2：60疾患に対する治療の満足度、問3：60疾患に対する薬剤（医薬品）の治療への貢献度、問4：自由意見、とし、その結果を設問ごとに示した。なお、アンケート調査票は資料-3として添付した。

(3) まとめと考察 (第4章)

本調査を概括するとともに、調査方法および調査結果等について調査班として考察を行い、取りまとめた。考察に利用した過去調査の一部（治療満足度と薬剤貢献度の散布図、回答者の属性）および疾患群別治療満足度と薬剤貢献度の推移の図表を資料-2として添付した。

第2章 アンケート調査

2-1 調査の実施

(1) 調査実施時期

2014年10月14日～2014年11月24日

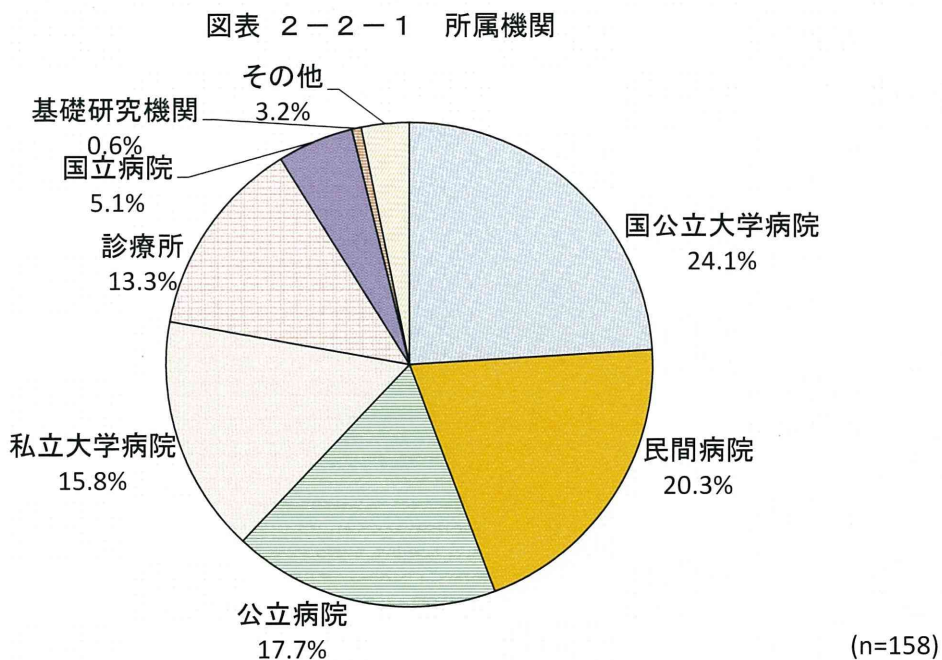
(2) 回収状況

回答者数は158名であり、全例について解析を行った。

2-2 回答者の属性

(1) 所属機関

回答者の所属機関は、「国公立大学病院」が最も多く24.1%、次いで「民間病院」(20.3%)、「公立病院」(17.7%)、「私立大学病院」(15.8%)、「診療所」(13.3%)であった。これらの5機関で全体の約9割を占めた。

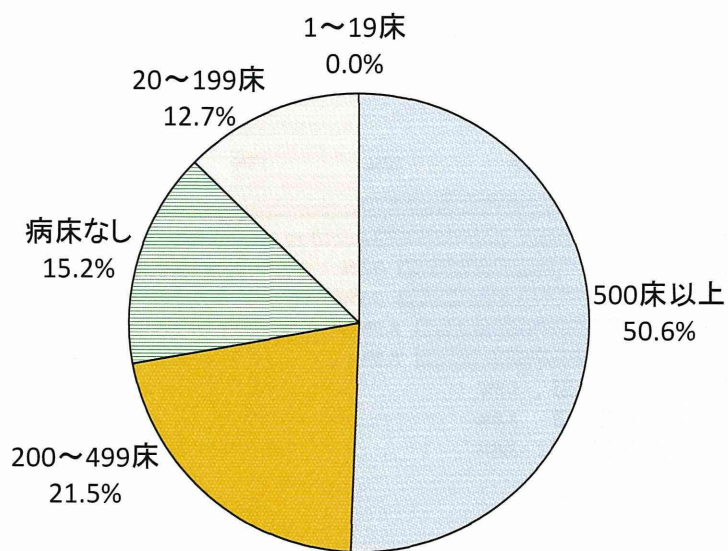


項目	回答数	回答率(%)
国公立大学病院	38	24.1
民間病院	32	20.3
公立病院	28	17.7
私立大学病院	25	15.8
診療所	21	13.3
国立病院	8	5.1
基礎研究機関	1	0.6
その他	5	3.2
合計	158	100.0

(2) 病床数

回答者の所属機関の病床数は「500床以上」が最も多く約半数（50.6%）であり、次いで「200～499床」（21.5%）であった。

図表 2-2-2 病床数



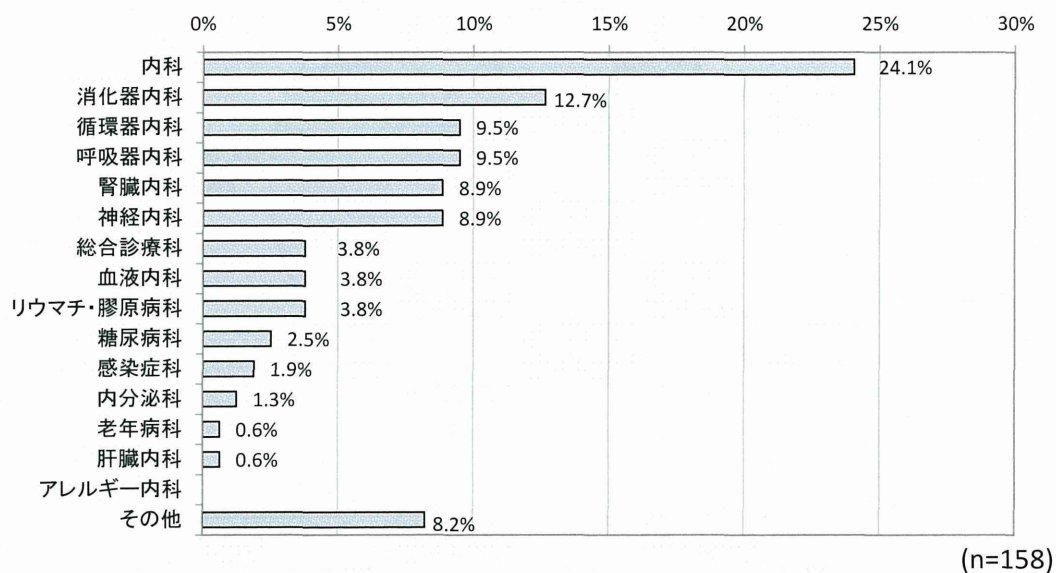
(n=158)

項目	回答数	回答率(%)
500床以上	80	50.6
200～499床	34	21.5
病床なし	24	15.2
20～199床	20	12.7
1～19床	0	0.0
合計	158	100.0

(3) 診療科

回答者の所属する診療科は、「内科」が最も多く 24.1%、次いで「消化器内科」が 12.7%であった。続いて「循環器内科」(9.5%)、「呼吸器内科」(9.5%)、「腎臓内科」(8.9%)、「神経内科」(8.9%)であった。「その他」は、小児科 4 名、腫瘍内科、心療内科等であった。

図表 2-2-3 診療科



項目	回答数	回答率(%)
内科	38	24.1
消化器内科	20	12.7
循環器内科	15	9.5
呼吸器内科	15	9.5
腎臓内科	14	8.9
神経内科	14	8.9
総合診療科	6	3.8
血液内科	6	3.8
リウマチ・膠原病科	6	3.8
糖尿病科	4	2.5
感染症科	3	1.9
内分泌科	2	1.3
老年病科	1	0.6
肝臓内科	1	0.6
アレルギー内科	0	0.0
その他	13	8.2
合計	158	100.0

第3章 アンケート結果

3-1 新たな診断・治療法、医薬品・医療機器の開発等の対応が望まれる疾患・症候

問1. 新たな診断・治療法、新たな医薬品・医療機器の開発等の対応が望まれる疾患・症候

先生が患者さんを診療され、新たな診断・治療法、新たな医薬品・医療機器の開発等の対応が急務と思われる疾患・症候を3つ挙げて下さい。また、そうと思われる理由、および新たな治療法等の具体的な方策等を自由にご回答下さい。

問1では、新たな診断・治療法や新たな医薬品・医療機器の開発等の対応が望まれる疾患・症候を尋ね、併せてその理由と新たな治療法等の具体的な方策を尋ねた。疾患・症候は最大3件までの複数回答とした。その結果、227件の回答が得られた。

回答された疾患を「疾病および関連保健問題の国際統計分類 第10版 (ICD-10)」の大分類に従って分類すると、「新生物」に分類された回答が最も多く35件であり、次いで「筋骨格系および結合組織の疾患」が31件、「消化器系の疾患」が24件、「精神および行動の障害」が22件であった。また、特定の疾患・症候に関してではなく、「遺伝性疾患」、「難治性疾患」、「放射線障害」に関する意見や、医療全体に関する意見も数件挙げられていた。

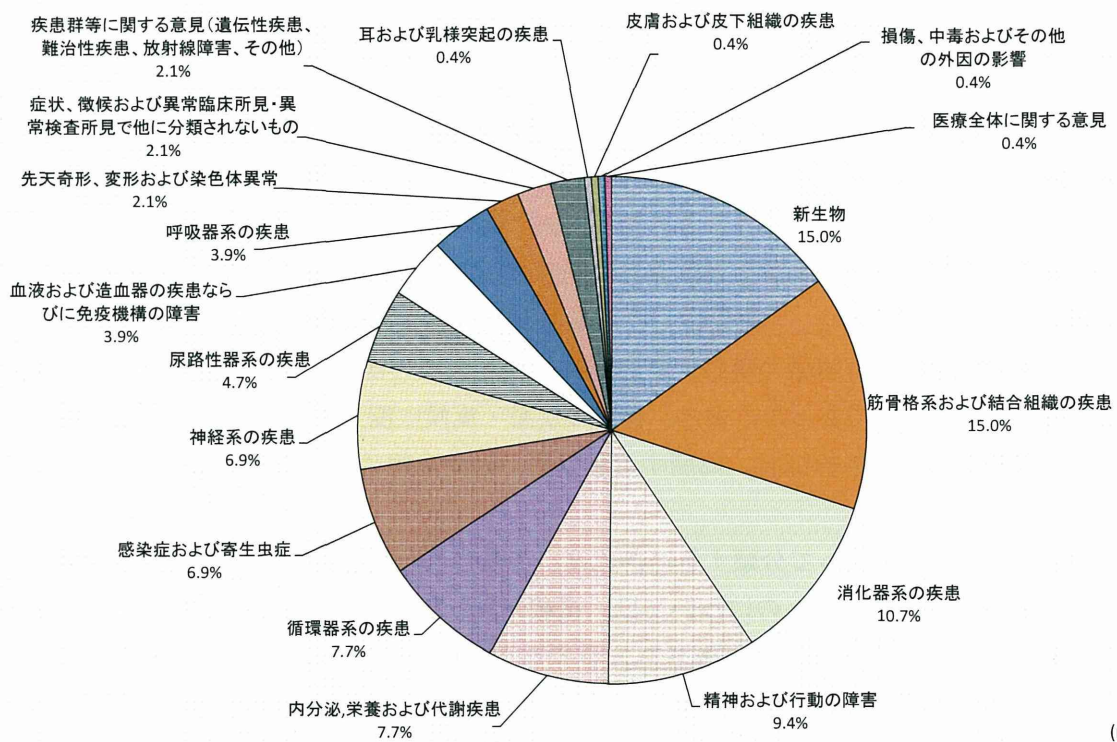
なお、ICD-10に従って分類するにあたり、記載された疾患名のうちICD-10に掲載された疾患名と一致しないものについては、掲載された疾患名に読み替え、読み替えた疾患名の分類に従って、元の記載疾患名を分類する、という手順を取った。「認知症」との回答については、ICD-10分類上の疾患名「認知症」として「精神および行動の障害」に分類した。「アルツハイマー病」、「アルツハイマー型認知症」との回答については、ICD-10分類上の疾患名「アルツハイマー病」、「アルツハイマー型認知症」として「神経系の疾患」に分類した。資料-1に、記載された元の疾患名と読み替え後の疾患名、および対応する分類名の対応表を掲載している。

指定難病に関しては27疾患に関して47件の意見があった(20.1%)。指定難病⁽¹⁾に関する回答件数が最も多かった疾患分類は「筋骨格系および結合組織の疾患」(31件中11件、35.5%(8疾患))であった。指定難病に関する回答の割合が多かった疾患分類は「神経系の疾患」(16件中10件62.5%(5疾患))、「消化器系の疾患」(24件中12件50.0%(4疾患))であった。これらの疾患分類では、指定難病に対する新たな診断・治療法の開発への関心が高いと考えられる。

(1) 「難病の患者に対する医療等に関する法律第5条第1項に規定する特定医療費の支給対象となる指定難病」(<http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10900000-Kenkoukyoku/0000061955.pdf>)に掲載されている疾患(110疾患)。分析にあたっては、ICD-10の疾患分類に基づいて分類したため、上記リストで同一疾患とされていた疾患4件を疾患名ごとに分け、114疾患として扱った。

また、「症状、徴候および異常臨床所見・異常検査所見で他に分類されないもの」、「損傷、中毒およびその他の外因の影響」等の症状、徴候に関する意見、ICD-10 の疾患分類では定義できない疾患領域に関する意見や、疾患以外に関する意見も挙げられていた（6件）。今回新たに問1の質問を加えたことにより、医師の関心や要望は疾患以外の所見・症候にもあることが示唆された。

図表 3-1-1 回答された疾患の疾患分類別件数⁽²⁾



項目	回答数	回答率 (%)
新生物	35	15.0
筋骨格系および結合組織の疾患	35	15.0
消化器系の疾患	25	10.7
精神および行動の障害	22	9.4
内分泌、栄養および代謝疾患	18	7.7
循環器系の疾患	18	7.7
感染症および寄生虫症	16	6.9
神経系の疾患	16	6.9
尿路性器系の疾患	11	4.7
血液および造血器の疾患ならびに免疫機構の障害	9	3.9
呼吸器系の疾患	9	3.9
先天奇形、変形および染色体異常	5	2.1
症状、徴候および異常臨床所見・異常検査所見で他に分類されないもの	5	2.1
疾患群等に関する意見(遺伝性疾患、難治性疾患、放射線障害、その他)	5	2.1
耳および乳様突起の疾患	1	0.4
皮膚および皮下組織の疾患	1	0.4
損傷、中毒およびその他の外因の影響	1	0.4
医療全体に関する意見	1	0.4
合計	233	100

⁽²⁾ 227件の回答の中には、同時に複数疾患を挙げて意見を記載した回答もあった。それらについては疾患ごとに1件の回答として本集計を行った。その結果、疾患別に見た場合の回答総数は233件となった。

図表 3-1-2 回答で挙げられた疾患と指定難病との対応

ICD-10分類	挙げられた疾患（括弧内の数字は回答件数）	
	指定難病以外 ^③	指定難病
感染症および寄生虫症	ウイルス感染症（5件）（エボラ、SARS、インフルエンザ等を含む）、HIV感染症、敗血症（2件）、肺非結核性抗酸菌症（2件）、非結核性抗酸菌症（2件）、薬剤耐性菌感染症（2件）（薬剤耐性菌（特にカルバペネム耐性菌）感染症、耐性菌に対する抗菌薬）	HTLV-1 関連脊髄症（HAM）、進行性多巣性白質脳症
新生物	膵がん（7件）、肺がん（6件）（IV期肺がん、肺がん、非小細胞肺がん、扁平上皮がん、小細胞肺がん）、がん全般（5件）（早期発見、早期治療、終末期の呼吸困難、悪性腫瘍全般のゲノム解析を含む）、白血病（5件）（急性白血病、若年性骨髄単球性白血病、急性骨髄性白血病、急性リンパ性白血病（Ph-））、胸膜中皮腫（2件）（胸膜中皮腫、悪性胸膜中皮腫）、原発不明がん（2件）、大腸がん（2件）、多発性骨髄腫（2件）、肝がん、食道がん、胆管がん、胞巣状軟部肉腫	
血液および造血器の疾患ならびに免疫機構の障害	骨髄異形成症候群（3件）、褐色細胞腫（転移性褐色細胞腫）、キャッスルマン病、心サルコイドーシス（有効な確定診断法）、ファンコニー貧血	血小板減少性紫斑病、リンパ脈管筋腫症
内分泌、栄養および代謝疾患	糖尿病性腎症（4件）、心アミロイドーシス（2件）、ファブリー病（2件）、アミロイドーシス、アルファアンチトリプシン欠損症、原発性アルドステロン症、脂質異常症、若年2型糖尿病（小児2型糖尿病）、内分泌疾患（小児内分泌疾患）、糖尿病性末梢神経障害、糖尿病、肥満症、メタボリックシンドローム	
精神および行動の障害	認知症（16件）、ニコチン依存症（2件）、非定型神経性無食欲症（神経性やせ症）、慢性疲労症候群、精神疾患全般（2件）（社会的行動障害（種々の中枢神経疾患による）等）	

③ 読み替え後の ICD-10 の疾患名を記載し、大きく読み替えた疾患については括弧内に回答として記載された疾患名を記載した。また、各疾患の詳細（ウイルス名やがんのステージなど）が併記されている場合も、括弧内に記載した。

神経系の疾患	アルツハイマー病 (3 件) (アルツハイマー病、アルツハイマー型認知症)、ジストニア、自律神経障害、白質脳症 (遺伝性)	筋萎縮性側索硬化症 (5 件)、多系統萎縮症 (2 件)、シャルコー・マリー・トゥース病、パーキンソン病、ハンチントン病
耳および乳様突起の疾患	感音難聴	
循環器系の疾患	脳梗塞 (3 件)、急性心筋梗塞 (2 件)、動脈硬化症 (2 件)、拡張相肥大型心筋症、肺高血圧症 (原発性肺高血圧症)、心筋症、不整脈、ブルガダ症候群、末梢動脈疾患、慢性心不全	特発性拡張型心筋症 (2 件)、肺動脈性肺高血圧症 (肺高血圧症)、肥大型心筋症
呼吸器系の疾患	慢性閉塞性肺疾患 (3 件)、間質性肺炎 (2 件)、特発性肺線維症	特発性間質性肺炎 (3 件)
消化器系の疾患	過敏性腸症候群 (3 件)、機能性ディスぺプシア (3 件)、肝硬変症 (2 件)、肝不全、非閉塞性腸間膜虚血、便秘症 (2 件)、薬物性肝炎	潰瘍性大腸炎 (5 件)、クローン病 (4 件)、原発性硬化性胆管炎 (2 件)、好酸球性消化管疾患
皮膚および皮下組織の疾患	そう痒	
筋骨格系および結合組織の疾患	関節リウマチ (5 件) (関節リウマチ、膠原病が疑われる発熱、関節痛、炎症所見の上昇等)、多発性血管炎 (5 件)、強皮症 (2 件) (強皮症、強皮症による皮膚硬化)、骨粗鬆症 (2 件)、膠原病 (2 件)、川崎病、神経痛、線維筋痛症、変形性関節症、腰痛症	全身性エリテマトーデス (2 件)、全身性強皮症 (2 件) (消化管病変を含む)、皮膚筋炎 (2 件)、ベーチェット病 (2 件)、混合性結合組織病、再発性多発軟骨炎、成人スチル病、多発性筋炎、結節性多発動脈炎、大動脈炎症候群 (高安動脈炎)

尿路性器系の疾患	腎不全（5件）（腎不全治療薬、人工透析を必要とする慢性腎不全、末期腎不全、透析患者の高 P・高 Ca 血症等）、ネフローゼ症候群（2件）、慢性腎臓病（2件）、腎硬化症（非侵襲的診断）	IgA 腎症
先天奇形、変形および染色体異常	先天性角化異常症、中隔視神経形成異常症、プラダー・ウィリー症候群	多発性嚢胞腎（2件）
症状、徴候および異常臨床所見・異常検査所見で他に分類されないもの	嚙下障害、顕微鏡的血尿、疼痛、便潜血、慢性疼痛	
損傷、中毒およびその他の外因の影響	アレルギー	
遺伝性疾患	遺伝病、様々な遺伝性希少難病	
難治性疾患	難治性疾患	
放射線障害	放射能被曝に関して	
その他	日常生活における社会的役割の遂行機能低下	
疾患以外	情報共有システム	

各疾患を挙げた理由として、どの疾患分類でも共通して「現在の治療に関する問題（有効な治療・治療薬がない、根治療法がない等）」が多く、次いで「患者数が多い、あるいは増加している」が目立った。その結果、具体的な方策に関しても「新たな治療法の開発」、「新たな診断法の開発」が期待されていた。他に、件数は多くないが、疾患分類横断的に見られた理由として、「医療費・医療負担の問題」、「日常生活・QOL への影響」があり、望まれる対策としては、「症例データの集積・解析」も見られた。

上記の疾患分類共通の意見以外の、各疾患分類について特徴的な意見を整理すると、「感染症および寄生虫症」では、エボラ出血熱やウイルス感染症のパンデミックによる社会的なインパクトの大きさに関する意見が 4 件あり、ワクチン開発等の対策の重要性が指摘されていた。

「新生物」では、予後の悪さを理由とする意見が 10 件と多く、治療法の選択肢を増やして予後を改善することが求められていると考えられた。

「血液および造血器の疾患ならびに免疫機構の障害」では、指定難病を含む病態解明が進展していない疾患が多く挙げられ、研究・開発における産学連携や各組織の役割の明確化に関する意見があった。

「内分泌、栄養および代謝疾患」では、有効な診断法の不足を問題とする意見が 3 件あり、対策としては診断法の開発や診療方針の確立が挙げられていた。

「精神および行動の障害」では、社会的影響の大きさを理由とする意見が 5 件あり、対策としては早期診断や評価法の確立が挙げられていた。

「神経系の疾患」では、予後の悪さ・症状の重篤さに関する意見が 4 件あり、対策に関する意見の半数が具体的な技術・治療ターゲット・研究テーマを挙げていた。

「循環器系の疾患」では、予後の悪さを挙げる意見が 3 件あり、治療法としては画期的・革新的医療技術の開発に対する期待が大きく、また歯周病対策から疾患そのものを予防する戦略の提案が特徴的であった。

「呼吸器系の疾患」でも予後の悪さを理由とする意見が 3 件で、対策として専門医の育成や医師のレベルアップが求められていた。

「消化器系の疾患」では、予後の悪さや QOL・社会への影響に関する意見が 2 件ずつあった一方、生物学的製剤の上市等、治療選択肢が拡大した「潰瘍性大腸炎」と「クローン病」に関する意見が多く、対策としても抗 TNF- α 抗体以外の分子標的薬を求める意見が 3 件あった点が特徴的であった。

「筋骨格系および結合組織の疾患」では、予後の悪さを挙げた意見が 7 件あり、ステロイド使用による副作用の問題も指摘されていた。QOL の改善や維持のため早期の診断を求める意見も見られた。

「尿路性器系の疾患」では、疾患に共通した課題として透析への移行が挙げられ、もとに戻らない重篤な疾患であることから、対策に対する具体的な意見は少なく画期的な治療法が期待されていた。

「先天奇形、変形および染色体異常」では、疾患の進行や合併症の問題が 4 件挙げられていた。

(1) 感染症および寄生虫症

感染症および寄生虫症領域の疾患では 16 件が挙げられた。最も多かったのは「非結核性抗酸菌症（肺非結核性抗酸菌症）」（4 件）であり、以降「ウイルス感染症（全般）」（3 件）、「エボラ出血熱」、「バンコマイシン耐性腸球菌感染症（薬剤耐性菌）」、「敗血症（エンドトキシン）」（各 2 件）、「進行性多巣性白質脳症」、「HTLV-I 関連脊髄症」、「HIV 感染症」（各 1 件）であった。また、2 疾患（「進行性多巣性白質脳症」、「HTLV-I 関連脊髄症」）が指定難病であった。

各疾患を通して、疾患を取り上げた理由として最も多かったのは「治療に関する問題（有効な治療・治療薬がない、根治療法がない等）」（11 件）であり、次いで「患者が多い、または増加」（4 件）であった。2014 年に西アフリカで感染が拡大した「エボラ出血熱」に関しては、「人類滅亡の危機」（2 件）という理由も挙げられていた。

望まれる対応としては、「有効な治療薬の開発」、「診断法や抗ウイルス薬の開発」、「資金と人の注力」などが挙げられた他、「HTLV-I 関連脊髄症」に関しては、欧米先進国に患者が少ないため「日本で有効な薬剤を開発する必要性」が挙げられていた。

図表 3-1-3 感染症および寄生虫症に関する意見

疾患	理由（括弧内の数値は回答件数）	望まれる対応（明記されたもののみ）
非結核性抗酸菌症（肺非結核性抗酸菌症）	<ul style="list-style-type: none"> ・ 有効な治療・治療薬の不足（2 件） ・ 患者が増加（この 10 年で著しく患者数が増加しており、生活環境が大いに影響していると思われる） ・ 診断はそれほど難しくないが、環境にいる菌に感染する人とならない人等、病態においてわからないことが非常に多い ・ 罹患率も高く、高齢者で免疫状態が低下すると生命にもかかわる ・ 結核菌と異なり人から人へ感染はしないが、現状での標準治療である RFP（リファンピシン）+EB 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 有効な抗菌薬の開発（2 件） ・ NHO（国立病院機構）系列の病院を中心に、かなり研究が進んでいるが、資金面でのバックアップがかなり少ないと聞くので、研究が先行している施設に資金と人を注力することが重要 ・ 全国的なサーベイランスもようやく行われたところであり、厚生労働省の介入が更に必要

	(エタンブトール) +CAM (クラリスロマイシン) の効果は乏しく副作用も強い	
ウイルス感染症 (全般)	<ul style="list-style-type: none"> ・ ウイルス疾患に対するもの (治療薬) が少ない ・ パンデミックになれば人類の破滅や国家間の対立を引き起こす 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 診断法や抗ウイルス薬の開発が必要 ・ CRS (先天性風疹症候群) 予防のための風疹治療薬 ・ 抗ウイルス薬やワクチンの開発に地道に取り組む
エボラ出血熱	<ul style="list-style-type: none"> ・ 完全な治療が確立されていない ・ 人類滅亡の危機 	
バンコマイシン耐性腸球菌感染症 (薬剤耐性菌)	<ul style="list-style-type: none"> ・ 患者数が増加傾向 ・ 副作用の少ない有効な薬剤がない ・ 耐性菌が増えているが、抗菌薬の開発が滞っている 	
敗血症 (エンドトキシン)	<ul style="list-style-type: none"> ・ 敗血症で免疫が過剰に活性化された場合、それを適度にコントロールすることは予後の改善になるが現在有効な治療に乏しい 	
進行性多巣性白質脳症	<ul style="list-style-type: none"> ・ 治療法がない 	
HTLV-I関連脊髄症	<ul style="list-style-type: none"> ・ 進行性の病気であり、患者の生活は深刻であるが、有効な治療薬が存在しない 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 病態解明が比較的進んでおり新薬を開発できる可能性が高い。しかしながら、欧米の先進国に患者が少ないことから欧米先進国で承認された薬剤も存在せず公知申請も望めない。そのため、日本で有効な薬剤を開発する必要性が高い
HIV感染症	<ul style="list-style-type: none"> ・ コントロールは可能であるが、根治できない 	