

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）  
分担研究報告書

ライソゾーム病患者に対する新規治療に対する意識調査

研究分担者 大橋十也 研究協力者 横井 貴之 東京慈恵会医科大学小児科学講座

研究要旨

近年の医療の進歩と社会情勢の変化により、今後、ライソゾーム病・ペルオキシゾーム病に対する遺伝子治療の臨床応用の可能性がある。それを効率的かつ効果的に推進していくため、治療を受ける患者およびその家族の知識、理解度および希望を把握することを目的とする。

A．研究目的

海外においてライソゾーム病・ペルオキシゾーム病に対する遺伝子治療の治療研究が実施されている。本邦でも遺伝子治療の臨床実施の実現性が出てきた。治療の実施には十分なインフォームド・コンセントが重要である。そこで、現時点における、遺伝子治療に対する、患者または家族の理解度、知識および希望などを調査し、今後、患者への情報提供の内容や方法を充実させるなど、遺伝子治療臨床実施を推進するための情報とする。

B．研究方法

有識者複数人により遺伝子治療に対する意識調査表を作成する。意識調査の内容は遺伝子治療に対する知識と理解度、暫定での希望を調査する内容となっている。患者またはその家族に患者会等を通して郵送による配布・回収する。その結果を項目ごとにデータとしてまとめる。回収・回答数より可能であれば統計的に解析する。本研究は昨年度で集計も終了しており、令和元年度は論文執筆など研究成果の公表準備に費やされた。

（倫理面への配慮）

意識調査表の中に患者会名や疾患の病型や重症度を問う内容が含まれる。また、個人への郵送のため、回収した時点では、調査票から個人の特定が可能である。それら個人情報の取り扱いに関して、研究分担者の所属する東京慈恵会医科大学において、倫理委員会に申請し、承認された。

平成 30 年 1 月 15 日、承認番号：30-183(9204)

。

C．研究結果

総数498に対し171の返信があった（34.3%）。主要項目である、現時点での遺伝子治療の希望に関して、希望は113件（66%）、希望しないは43件（25%）、不明15件（9%）であった。遺伝子治療に関する情報源としては受診している医療機関（124件）と患者会（133件）からが最も多かった。インターネット等のメディアの活用（18件）は少なかった。患者間で知識の偏りが大きく、インターネットを活用している患者は学術論文からも詳細な情報を得ているものがある一方で、全く知識がない者も少なくなかった（46件、26.9%）。効果に関する質問では、他の既存治療より効果が高いとの回答が53件であったが、一方で、効果がない可能性もあるとの回答が45件であった。医療や国に対する要望としては、費用軽減26件、早期実現件19件が目立った。

D．考察

現時点での遺伝子治療への希望は多いが、患者及びその家族間に、知識の偏りが大きく、十分理解した上での希望というよりも、期待が大きいということの現れであると考えられた。効果に期待していながらも、効果が得られない場合もあると認識しており、冷静に情報を受け止める態度があることも窺えた。情報源としてはインターネットを利用しているものは多くなかった。ネットでの情報へのアクセスの困難さと、収集したとしても理解するのが困難であるためと考えられた。

E．結論

遺伝子治療の実施にあたり、十分な情報提供を

行う必要がある。また、それ以前に、各患者に  
平等な事前情報を与える必要がある。既存の情  
報媒体を強化しつつ、インターネットでアクセ  
スしやすくかつ理解しやすい情報提供を行うこ  
とが効率的であると考えられた。

F．健康危険情報

G．研究発表

1. 論文発表  
論文投稿準備中。

2. 学会発表  
なし

H．知的財産権の出願・登録状況  
なし

1. 特許取得

2. 実用新案登録

3.その他