

## 【製薬企業・保険者のアンメットニーズの探索研究】

令和3年度厚生労働科学研究費補助金（免疫・アレルギー疾患政策研究事業）  
難治性・希少免疫疾患におけるアンメットニーズの把握とその解決に向けた研究  
分担研究報告書

製薬企業・保険者のアンメットニーズの探索研究

研究分担者

森 雅亮 東京医科歯科大学 大学院医歯学総合研究科 教授

吉藤 元 京都大学 医学部附属病院 免疫・膠原病内科 講師

研究協力者

菊地 主税 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会

研究要旨

本研究の目的は、患者・医療者以外の医療利害関係者である製薬企業・保険者のアンメットニーズ（UMN）を明らかにすることである。本年度は、①昨年度協力体制を構築することができた日本製薬工業協会（製薬協）と共同で行った製薬企業者のUMN調査結果および記述回答（生の声）の解析を行うこと、②保険者のUMNについては、社会保険診療報酬支払基金の担当者と協議し実施実現を図ることを、目標とした。

製薬協の医薬品評価委員とともに、成人領域と小児領域に分別してリウマチ・膠原病のアンメットニーズ（UMN）に関するアンケートを、調査医薬品評価委員である各社代表メンバー（72社）に委託し、各企業に属する個人に対してアンケート調査を施行した。回答者の薬物治療の貢献度に関するUMNは成人、小児領域でそれぞれ37.8%、45.9%で小児により高いことが示された。小児領域では、成人発症疾患との病態の相違（小児発症例の特性）、医療経済評価の違い、エビデンスの低さなどが挙げられた。また、製薬企業が患者のUMNの把握が困難と感じていることが示された。保険者のUMNの探索については、保険者の協力が得られず断念した。

A. 研究目的

令和2年度の研究を継続し、患者・医療者以外にも医療を取り巻く利害関係者として存在する製薬企業・保険者のアンメットニーズ（UMN）を特に取り上げて研究を遂行することが本研究の目的である。

本年度は、①昨年度協力体制を構築することができた日本製薬工業協会（製薬協）のご協力のもとで施行した製薬企業者のUMN調査結果および記述回答（生の声）の解析を行うこと、②保険者のUMNについては、社会保険診療報酬支払基金の担当者と協議し実施実現を図ることを、研究の目標とした。

B. 方法

①製薬協医薬品評価委員とともに、成人領域と小児領域に分別してリウマチ・膠原病の

UMNに関するアンケート調査を施行した（資料1）。本年度は、記述回答でいただいた具体的なUMNを拾い上げ、整理・解析していくことで、製薬企業におけるUMNの実態を把握し、その解決を図るための方策を検討していくこととした。

②保険者のUMNを把握する目的で、多施設の社会保険診療報酬支払基金担当者に協力を要請し、調査実施に向けて調整をすすめた。

C. 結果

①アンケート実施期間は、2021年1月18日～2月5日に行った。最終的に、調査に同意をいただけた製薬企業社員203名から得られた多くのアンケート調査結果を集計し、詳細な解析を行った（資料2）。回答者の薬物治療の貢献度に関するUMNは成人、小児領域

でそれぞれ 37.8%、45.9%で小児により高いことが示された。小児領域では、成人発症疾患との病態の相違（小児発症例の特性）、医療経済評価の違い、エビデンスの低さなどが挙げられた。また、製薬企業が患者の UMN の把握が困難と感じていることが示された。

②今後の調整次第で、年度内でのアンケート調査実施を計画していたが、数回に及ぶ交渉の結果、残念ながらデータ提供の許諾が得られずに断念することになった。

#### D. 考察

①本研究は、これまで協働する機会が殆どなかった製薬協および製薬企業の方々のご協力を得て、製薬企業者の UMN について検討した稀有な研究といえる。本年度おこなった記述回答についての詳細な解析結果を含めて、患者や保険者をはじめとした医療者側からの UMN 探索結果と比較してみたい。その差異を浮き彫りにすることで、本研究班の目標である UMN の解決の一助になることを期待したい。

②保険者に対する UMN の探索については、現在保険者との調整を行ったが、協力を得られなかった。

#### E. 結論

①令和 2 年度（昨年度）は、製薬企業者の UMN について把握する目的で、製薬協医薬品評価委員会とともに成人領域および小児領域のリウマチ・膠原病に特化した UMN に関するアンケート案を検討し、製薬企業者に Web アンケート調査を実施した。本年度は、記述回答を詳細に解析して real-world の UMN 実態を把握することが可能となったので、今後は製薬企業者の UMN を解決するために必要な方策を講じることになる。令和 4 年度（来年度）は、本成果を国内外の学術集会で公表し、論文文化を目指す予定である。

②製薬協と各患者会との相談会の実施についても、研究班全体としても検討していくことを提案する。

③保険者の UMN は社会保険診療報酬支払基金担当者の協力が得られず断念したので、ロー

ドマップから外すこととした。

#### 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

なし

#### H. 知的財産権の出願・登録状況 (予定を含む)

##### 1. 特許取得

なし

##### 2. 実用新案登録

なし

##### 3. その他

なし

資料 1：製薬協で働かれている製薬会社の UMN アンケート調査内容

以下、アンケートへのご回答をお願い致します。

回答者の情報

男・女・その他

年齢：①20～29 歳、②30～39 歳、③40～49 歳、④50 歳～

- Q1 あなたが所属する会社（以下、貴社とします）は、外資系ですか内資系ですか。○をつけてください。  
外資系/内資系
- Q2 あなたの医薬品業界の経験年数を教えてください。
- Q3 貴社における、あなたの今の所属部署を教えてください。  
基礎研究/臨床開発/薬事/市販後/メディカルアフェアーズ/どちらでもない
- Q4 貴社では、成人領域のリウマチ・膠原病の治療薬をお持ちですか。  
はい/いいえ
- Q5 Q4で「はい」と答えた方に、ご質問です。  
その治療薬の内容について、○をつけてください（複数回答可）。  
差し支えないようでしたら、一般薬品名をカッコ内にお書きください。  
① 抗リウマチ薬：内服薬（ ）/皮下注射薬（ ）/静脈注射薬（ ）  
② 抗膠原病薬・抗血管炎薬：内服薬（ ）/皮下注射薬（ ）/静脈注射薬（ ）  
③ 抗自己炎症性疾患薬：内服薬（ ）/皮下注射薬（ ）/静脈注射薬（ ）
- Q6 Q5で回答した薬剤について、あなたが現在まだ対応が不十分で、UMNと考えている項目はどれですか。  
該当するものに○をつけてください（複数回答可）。  
現在行われている治療の満足度/薬剤（医薬品）の治療への貢献度/未承認薬の対応と開発/適応外薬の開発/医療経済性（後発品の扱い等）/剤型の問題/開発におけるインセンティブ/その他（ ）
- Q7 Q6で「現在行われている治療の満足度」に○をつけた方にご質問です。  
どの項目に対して、満足度が低いと感じられますか？（複数回答可）  
診断基準/治療の選択肢/治療法の効果/治療法の安全性/治療効果の判定方法/アドヒアランス/病態進行メカニズムの情報/その他（ ）
- Q8 Q6で「薬剤（医薬品）の治療への貢献度」に○をつけた方にご質問です。  
どの項目に対して、貢献度が低いと感じられますか？（複数回答可）  
有効性/副作用/利便性/その他（ ）
- Q9 貴社では、小児領域のリウマチ・膠原病に関する治療薬をお持ちですか。  
はい いいえ
- Q10 Q9で「はい」と答えた方に、ご質問です。  
その治療薬の内容について、○をつけてください（複数回答可）。  
差し支えないようでしたら、一般薬品名をカッコ内にお書きください。  
④ 抗リウマチ薬：内服薬（ ）/皮下注射薬（ ）/静脈注射薬（ ）  
⑤ 抗膠原病薬・抗血管炎薬：内服薬（ ）/皮下注射薬（ ）/静脈注射薬（ ）  
⑥ 抗自己炎症性疾患薬：内服薬（ ）/皮下注射薬（ ）/静脈注射薬（ ）
- Q11 Q10で回答した薬剤について、あなたが現在まだ対応が不十分で、UMNと考えている項目はどれですか。該当する

ものに○をつけてください（複数回答可）。

現在行われている治療の満足度/薬剤（医薬品）の治療への貢献度/未承認薬の対応と開発 適応外薬の開発/医療経済性（後発品の扱い等/剤型の問題/開発におけるインセンティブ/その他（ ））

Q12 Q11で「現在行われている治療の満足度」に○をつけた方にご質問です。

どの項目に対して、満足度が低いと感じられますか？（複数回答可）

診断基準/治療の選択肢/治療法の効果/治療法の安全性/治療効果の判定方法/アドヒアランス/病態進行メカニズムの情報/その他（ ）

Q13 Q11で「薬剤（医薬品）の治療への貢献度」に○をつけた方にご質問です。

どの項目に対して、貢献度が低いと感じられますか？（複数回答可）

有効性/副作用/利便性/その他（ ）

Q14 上記の薬剤に関して、成人領域と小児領域でUMNに違いがあると考えられる場合は、具体的な違いを教えてください。

回答（ ）

Q15 リウマチ性疾患領域以外も含め、担当領域での患者のUMNの把握はできていると考えていますか？

1. 非常にできている 2. できている 3. あまりできていない 4. 全くできていない  
5. どちらともいえない

Q16 Q14で「1. 非常にできている」あるいは「2. できている」と回答された方は、どのような方法で患者のUMNの把握をされていますか？

回答（ ）

Q17 患者のUMNの把握を向上させたい場合、どのような方法が望ましいと考えますか？

回答（ ）

Q18 リウマチ性疾患領域以外も含め、担当領域での医療者のUMNの把握はできていると考えていますか？

1. 非常にできている 2. できている 3. あまりできていない 4. 全くできていない 5. どちらともいえない

Q19 Q14で「1. 非常にできている」あるいは「2. できている」と回答された方は、どのような方法で医療者のUMNの把握をされていますか？

回答（ ）

Q20 医療者のUMNの把握を向上させたい場合、どのような方法が望ましいと考えますか？

回答（ ）

Q21 社会貢献として該当疾患に罹患している患者を支援する活動に関する知識はどのように得ていますか？ ○をつけて下さい。（複数回答可）

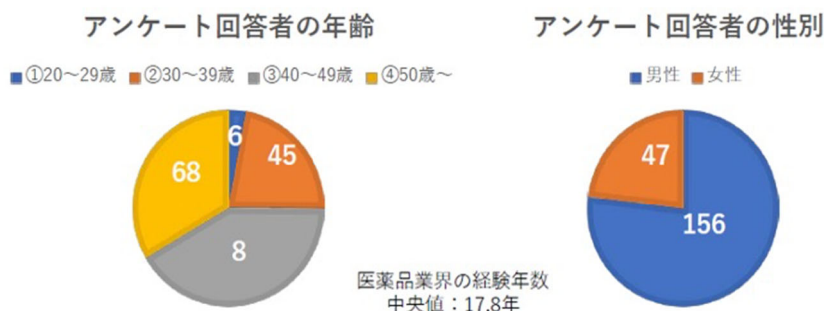
- ( ) 1) 診療ガイドライン  
( ) 2) 市販されている書籍  
( ) 3) 企業等が作成したパンフレット  
( ) 4) インターネット情報  
( ) 5) 関連学会・リウマチ財団研修会への参加  
( ) 6) 講演会や研究への参加  
( ) 7) 担当施設の医師やメディカルスタッフ・勉強会  
( ) 8) 文献、二次媒体  
( ) 9) 患者からの情報  
( ) 10) その他（ ）  
( ) 11) 勉強の機会がない

Q22 あなたが、社会貢献として患者支援の活動を検討する際に「重要と考える事」は何ですか。○をつけてください。

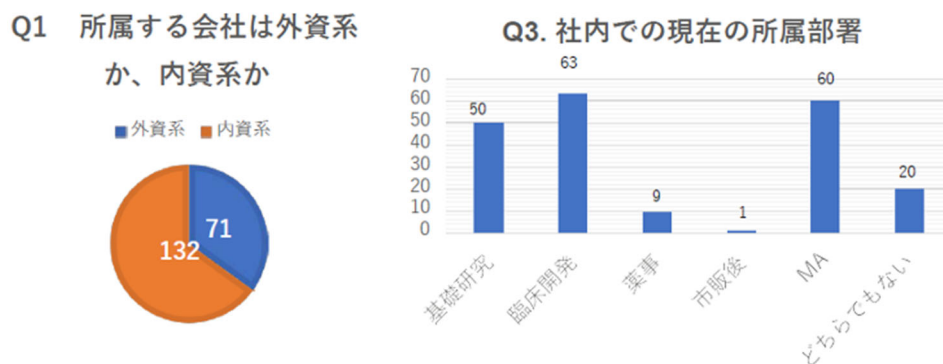
項目	重要と考える事
1. 患者本人の病気の知識	
2. 患者家族の病気の知識	
3. 治療薬について	
4. 小児期と成人期での承認薬剤の違い	
5. 患者本人や家族の副作用や合併症の知識（成長障害、感染など）	
6. 患者本人や家族と主治医との関係	
7. 通学先や勤務先の理解	
8. 学校などの生活を送る上での悩み（運動など）	
9. 移行期加算	
10. 小児期と成人期での医療費助成の違い	

Q23 あなたや会社が患者支援の活動を検討する上で困っていることや知りたいことを自由に記載してください。

資料 2. アンケート集計結果  
アンケート回答者

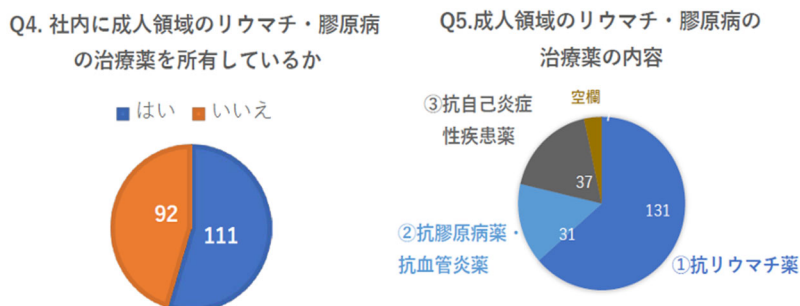


- Q1 あなたが所属する会社（以下、貴社とします）は、外資系ですか内資系ですか。○をつけてください。  
Q2 あなたの医薬品業界の経験年数を教えてください。  
Q3 貴社における、あなたの今の所属部署を教えてください



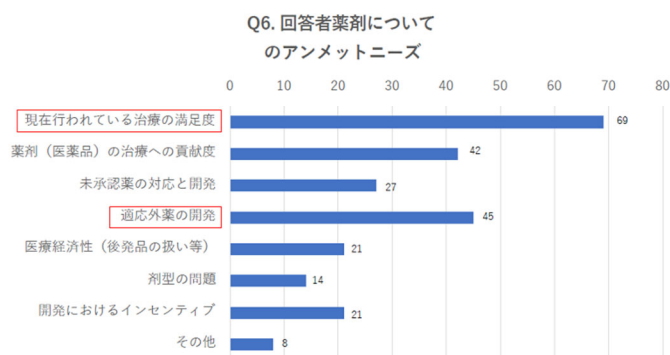
\* メディカルアフェアーズ:製品を販売活動を担当するMR職から独立し、医学的・化学的に高度な専門性、学術知識を持ち、社内外において製品の医学的価値の早期最適化（育薬）を促進する職種

- Q4 貴社では、成人領域のリウマチ・膠原病の治療薬をお持ちですか。  
Q5 Q4で「はい」と答えた方に、ご質問です。その治療薬の内容について、○をつけてください（複数回答可）。



- Q6 Q5 で回答した薬剤について、あなたが現在まだ対応が不十分で、UMN と考えている項目はどれですか。該当するものに○をつけてください（複数回答可）。  
現在行われている治療の満足度/薬剤（医薬品）の治療への貢献度/未承認薬の対応と開発/適応外薬の開発/医療経済性（後発品の扱い等）/剤型の問題/開発におけるインセンティブ/その他（ ）
- Q7 Q6で「現在行われている治療の満足度」に○をつけた方にご質問です。  
どの項目に対して、満足度が低いと感じられますか？（複数回答可）

診断基準/治療の選択肢/治療法の効果/治療法の安全性/治療効果の判定方法/アドヒアランス/病態進行メカニズムの  
 情報/その他 ( )

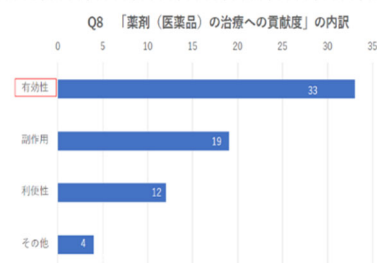


Q8 Q6で「薬剤（医薬品）の治療への貢献度」に○をつけた方にご質問です。

どの項目に対して、貢献度が低いと感じられますか？

（複数回答可）

有効性/副作用/利便性/その他 ( )



Q9 貴社では、小児領域のリウマチ・膠原病に関する治療薬をお持ちですか。

Q10 Q9で「はい」と答えた方に、ご質問です。

その治療薬の内容について、○をつけてください（複数回答可）。

差し支えないようでしたら、一般薬品名をカッコ内にお書きください。

抗リウマチ薬：内服薬 ( ) /皮下注射薬 ( ) /静脈注射薬 ( )

抗膠原病薬・抗血管炎薬：内服薬 ( ) /皮下注射薬 ( ) /静脈注射薬 ( )

抗自己炎症性疾患薬：内服薬 ( ) /皮下注射薬 ( ) /静脈注射薬 ( )

Q9. 社内に小児領域のリウマチ・膠原病  
 の治療薬を所有しているか



Q10.成人領域のリウマチ・膠原病の



Q11 Q10で回答した薬剤について、あなたが現在まだ対応が不十分で、UMNと考えている項目はどれですか。該当するものに○をつけてください（複数回答可）。

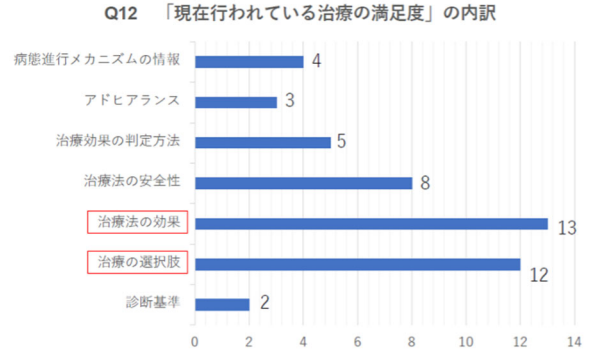
現在行われている治療の満足度/薬剤（医薬品）の治療への貢献度/未承認薬の対応と開発 適応外薬の開発/医療経済性（後発品の扱い等/剤型の問題/開発におけるインセンティブ/その他 ( )

Q12 Q11で「現在行われている治療の満足度」に○をつけた方にご質問です。

どの項目に対して、満足度が低いと感じられますか？（複数回答可）



診断基準/治療の選択肢/治療法の効果/治療法の安全性/治療効果の判定方法/アドヒアランス/病態進行メカニズムの  
 情報/その他 ( )



Q13 Q11で「薬剤（医薬品）の治療への貢献度」に○をつけた方にご質問です。

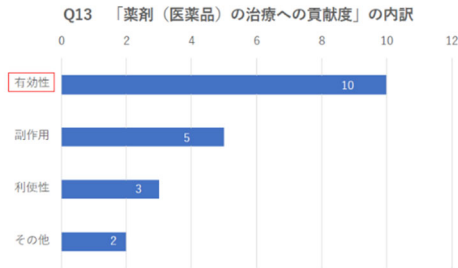
どの項目に対して、貢献度が低いと感じられますか？（複数回答可）

有効性/副作用/利便性/その他 ( )

Q14 上記の薬剤に関して、成人領域と小児領域でUMNに違いがあると考えられる場合は、具体的な違いを教えてください。

回答 ( )

Q14 上記の薬剤に関して、成人領域と小児領域でのUMNの違い



- ✓ 病態の違いを感じる
- ✓ 小児の特性（内服が困難、内服への嗜好がある、剤型、忌薬の問題）
- ✓ エビデンスとなるデータが少ない
- ✓ 小児では用法用量がない薬品が多い
- ✓ 適応のある皮下注がない
- ✓ 有用性が疑問
- ✓ 安全性に疑問、とくに長期安全性に関する不安
- ✓ 家族の同意取得やケアが難しそう
- ✓ 未承認の検査がある臨床試験へのハードルが高い
- ✓ 医療経済評価の違い

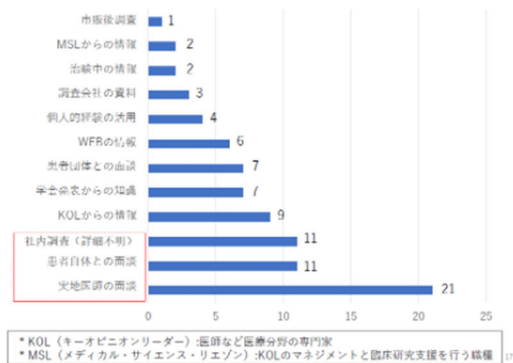
Q15 リウマチ性疾患領域以外も含め、担当領域での患者のUMNの把握はできていると考えていますか？

1. 非常にできている
2. できている
3. あまりできていない
4. 全くできていない
5. どちらともいえない

Q16 Q14で「1. 非常にできている」あるいは「2. できている」と回答された方は、どのような方法で患者のUMNの把握をされていますか？

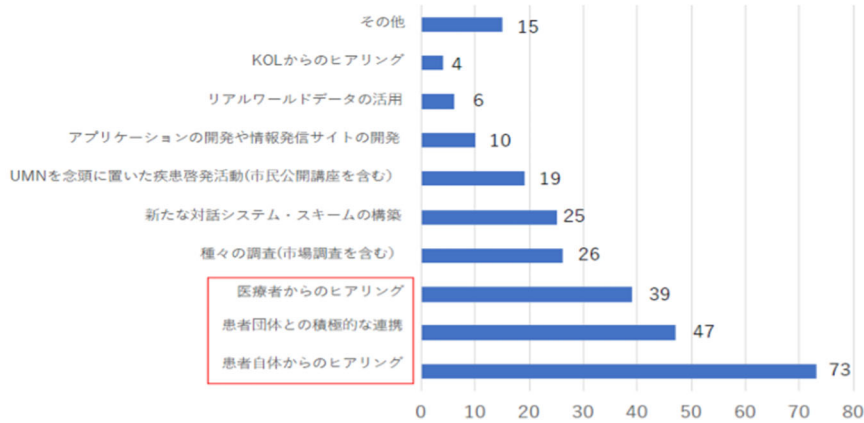


Q16. Q15で「1. 非常にできている」「2. できている」点は？（複数回答あり）



Q17 患者のUMNの把握を向上させたい場合、どのような方法が望ましいと考えますか？

Q17 患者のUMNの把握を向上させる方法は？-1



Q17 患者のUMNの把握を向上させる方法は？-2

<具体的な意見>

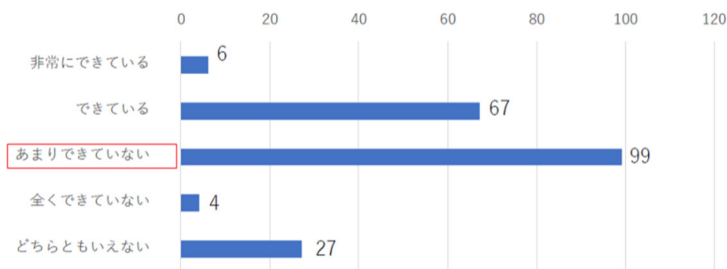
- ✓「製薬企業による閲覧・利用が前提の」患者専用SNSの立ち上げ
- ✓大学病院だけでなく、小さなクリニックとも連携し、**民間医が患者の詳細な情報を企業へも共有できるシステム**
- ✓**患者さんから直接ニーズを収集するシステムの構築** (多くの場合のニーズは、医療従事者のレンズで収集されている)
- ✓患者自身が、アンメットメディカルニーズがあることを訴えること、訴える機会を設けることも必要か
- ✓難治性・希少免疫疾患における**アンメットニーズに対して利益を無視して検討すること**
- ✓既に実施された患者団体の報告からバリデーションされた患者PROsの収集を前向きに行う横断研究を実施する
- ✓幅広い世代の医師の意見を匿名性でも良いので、患者さんが悩まれていること、あったらうれしい薬剤の特長について、すべて洗い出し、それを整理した資料等を共有・公開する、
- ✓**患者さんと本社機能との交流**、患者と製薬会社が直接つながるようなスキームが必要
- ✓可能であれば、治療をしている医師と患者のペアで意見を聞きたい。医師が思う事と患者が思う事、望んでいる事が違うことがあるように思える。
- ✓一定のフォーマットを考案し、患者の回答を得ることで、疾患別にUMNを比較する

Q18 リウマチ性疾患領域以外も含め、担当領域での医療者のUMNの把握はできていると考えていますか？

1. 非常にできている 2. できている 3. あまりできていない 4. 全くできていない 5. どちらともいえない

Q18. 担当領域での医療者のUMNの把握はできているか？

(リウマチ性疾患領域以外も含め)



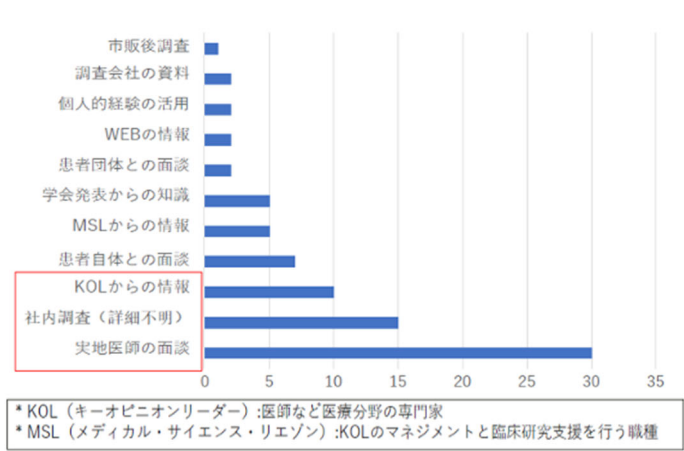
ない

Q19 Q18で「1. 非常にできている」あるいは「2. できている」と回答された方は、どのような方法で医療者のUMNの把握をされていますか？

Q20 医療者のUMNの把握を向上させたい場合、どのような方法が望ましいと考えますか？

Q19. Q18で「1. 非常にできている」「2. できている」点

Q20 医療者のUMNの把握を向上させる方法は？ -1

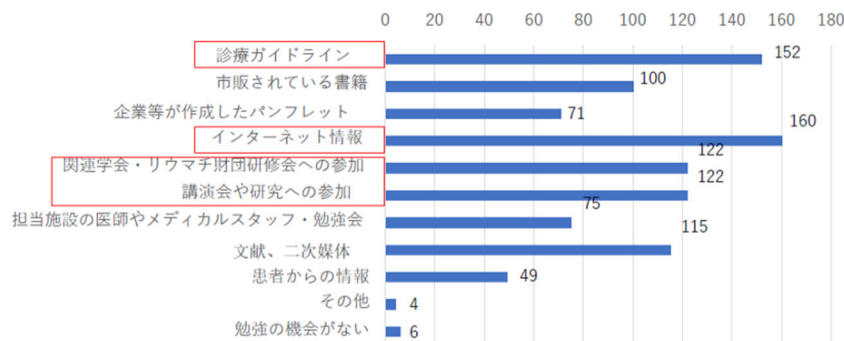


- ✓ 本人との面談
- ✓ 患者会への働きかけ
- ✓ 医師以外の医療従事者との面談
- ✓ 種々の社内調査
- ✓ 産官学連携の情報共有
- ✓ 学会セミナーアンケート
- ✓ 学会・講演会からの情報収集
- ✓ 医療関係者同士の情報共有
- ✓ アドバイザリーボード会議
- ✓ MSLの聞き取り
- ✓ KOL意見聴取
- ✓ MRによる情報収集
- ✓ SNSの活用
- ✓ インターネットなどの情報共有サイト

Q21 社会貢献として該当疾患に罹患している患者を支援する活動に関する知識はどのように得ていますか？ ○をつけて下さい。(複数回答可)

- 1) 診療ガイドライン 2) 市販されている書籍 3) 企業等が作成したパンフレット 4) インターネット情報 5) 関連学会・リウマチ財団研修会への参加 6) 講演会や研究への参加 7) 担当施設の医師やメディカルスタッフ・勉強会 8) 文献、二次媒体 9) 患者からの情報 10) その他 ( ) 11) 勉強の機会がない

Q21. 社会貢献として該当疾患に罹患している患者を支援する活動に関する知識はどのように得ているか？



Q22 あなたが社会貢献として患者支援の活動を検討する際に「重要と考える事」は何ですか。○をつけてください。

項目	重要と考える事
1. 患者本人の病気の知識	
2. 患者家族の病気の知識	
3. 治療薬について	
4. 小児期と成人期での承認薬剤の違い	
5. 患者本人や家族の副作用や合併症の知識 (成長障害、感染など)	
6. 患者本人や家族と主治医との関係	
7. 通学先や勤務先の理解	
8. 学校などの生活を送る上での悩み (運動など)	
9. 移行期加算	
10. 小児期と成人期での医療費助成の違い	

## Q23 患者支援の活動を検討する上で困っていることや知りたいこと-1

### <具体的な意見>

- ✓ 社のPatient Centricityの取り組みを進める必要がある。
- ✓ どうやったら、より社会に希少疾患などの知識を届けることが出来るのか。希少疾患の患者さんは、職場の方からの理解の不足に悩んでいることが多いため、より多くの人に希少疾患を認知してもらう機会を創出したい。
- ✓ COI
- ✓ 製薬業界が患者支援に具体的にかかわる活動機会が少ないので患者支援団体との交流が深まるといいと思う
- ✓ グローバルデータのオープン化の進行状況
- ✓ 治療に困っている患者さんに何とか手を差し伸べたい。しかしあったらいいとか、あった方がいいとかいう言葉は現実的ではない。お金とリソースを投じて、使用されないのであればダメだと思う。本当に必要であればある程度医療者でリスクベネフィットを評価する研究を実施していただきたい。
- ✓ 実際の患者さんの声を聴く機会は少ない
- ✓ コンプライアンス
- ✓ そもそも機会が少ない
- ✓ コンプライアンスや規制を準ずることが重要なので、活動に時間がかかる

## Q23 患者支援の活動を検討する上で困っていることや知りたいこと-2

### <具体的な意見>

- ✓ 慢性免疫疾患患者さんの苦しみに対する社会の理解が足りないので、もっと啓発を実施すべき。
- ✓ 効率的なアクセスの方法がわからない
- ✓ 患者が病気で困っている点
- ✓ 人員不足
- ✓ 患者団体等の認可制度等があれば良いように思います。
- ✓ 他社の活動状況について知りたい
- ✓ 支援を求めている患者会などとのつながりが無い
- ✓ 正しいUMNを掘り起こすのは難しい。
- ✓ 企業が行う患者支援がコンプライアンス違反にならないかどうかの知識、企業による患者支援が医療向上に役立っていることを示すエビデンスなど
- ✓ UMNに応えたいと思う一方、薬剤開発をするうえで事業性を無視できない。希少疾患については、診断基準、治療指針、効果指標などが未確定なものも多く、臨床試験の実施が困難なものも多い。企業・医療現場・当局が協力して作り上げる必要がある。
- ✓ 製薬企業としての活動は常に、プロモーション、適応外使用推進、プレプロモーション、とのそしりを受けない形で行わなければならないが、社会的圧力が強すぎて何もできなくなっている面がある。
- ✓ 患者支援に対する活動についていろいろと規制があるため活動範囲が制限されること