

令和4年度厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業
(免疫アレルギー疾患等政策研究事業(免疫アレルギー疾患政策研究分野))
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のアンメットニーズ (UMN) を明らかにすることである。

本研究班では、PRO/ICT 班で実施された各疾患の UMN 調査結果を、製薬協に共有し、本年度は、令和2年度に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)の結果解析に、製薬企業内での専門部署(基礎研究、臨床開発、市販後・メディカルアフェアーズ(MA))ごとのサブ解析を追加し、より詳細な現状の把握を行った。

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、さらに製薬企業内でも基礎研究に携わっている方の満足度が低い傾向が見出された。また製薬企業者に医療者や患者の集約された UMN を把握してもらう機会にも乏しいことが明らかとなった。

本解析結果を含め、今後製薬企業からの UMN の把握を何らかの形で継続し、患者や医療者からの UMN と対比することで、ステークホルダー特有の UMN、共通の UMN の識別が可能と考えられる。それぞれの UMN に適した、今後のよりよい UMN の把握の仕方を提起し、解決策を講じることが必要である。

UMN の把握に際し、欧米では様々な立場、ステークホルダーからの UMN の比較検討が行われているが、本邦の医療では製薬企業者の UMN の把握を行い、その結果を他のステークホルダーが知るこのような機会はほとんどない現況である。今後本邦での異なるステークホルダー相互の UMN を認識できる機会の増加が望まれる。

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、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）のご協力のもと施行した、製薬企業者の UMN 調査結果および記述回答を纏め、論文化を最終目的に検討を重ねた。

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、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）。記述回答でいただいた具体的な UMN を拾い上げ整理していくことにより、製薬企業における UMN 実態を把握することができたので、3 年間の纏めとして論文化および学会発表にて周知を図るように進めた。

C. 結果

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の集計に、製薬企業内での専門部署（基礎研究、臨床開発、市販後・メディカルアフェアーズ(MA)）ごとのサブ解析の結果を追加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、さらに製薬企業内でも基礎研究に携わっている方の満足度が低い傾向が見出された。

D. 考察

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。

UMN の把握に際し、欧米では様々な立場、ステークホルダーからの UMN を比較検討が行われているが、本邦の医療では製薬企業者の UMN の把握を行い、その結果を他のステークホルダーが知る機会はほとんどない現況である。また製薬企業者に医療者や患者の集約された UMN を把握してもらう機会にも乏しいことが、今回の調査で明らかとなった。

本年度おこなった記述回答についての解析結果を含めて、今後製薬企業からの UMN の把握を何らかの形で継続し、患者や医療者の UMN と対比することで、ステークホルダー特有の UMN、共通の UMN の識別が可能となる。それぞれの UMN に適した、今後のよりよい UMN の把握の仕方を提起し、解決策を講じる必要がある。

本研究班では、PRO/ICT 班で実施された各疾患の UMN 調査結果を、製薬協に共有し、意見を募る予定である。

E. 結論

令和 2 年度に、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、その製薬企業者の UMN 調査結果および記述回答（生の声）の結果解析に、製薬企業内での専門部署（基礎研究、臨床開発、市販後・メディカルアフェアーズ(MA)）ごとのサブ解析を追加し、より詳細な現状を把握することに努めた。今後は、本成果を国内外の学術集会で公表し、論文化を目指していく。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

なし（令和5年度に予定）

2. 学会発表

なし（令和5年度に予定）

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)	

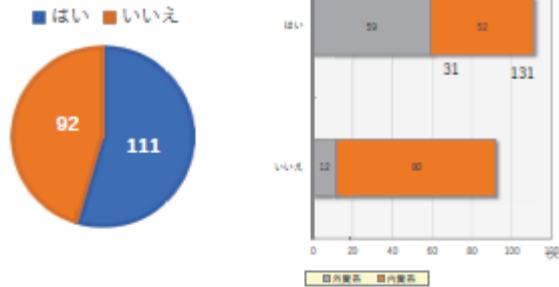
6. 患者本人や家族と主治医との関係	
7. 通学先や勤務先の理解	
8. 学校などの生活を送る上での悩み（運動など）	
9. 移行期加算	
10. 小児期と成人期での医療費助成の違い	

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。

主な結果と考察

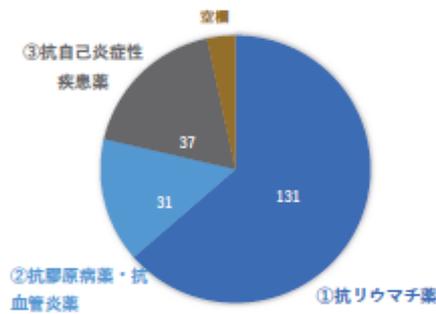
Q4. 社内に成人領域のリウマチ・膠原病の

治療薬を所有しているか



- ・ 半分以上の回答者が所属している企業で、成人領域の治療薬を所有していた。
- ・ 社内に成人領域の治療薬を所有していない企業としては、内資系が多かった。

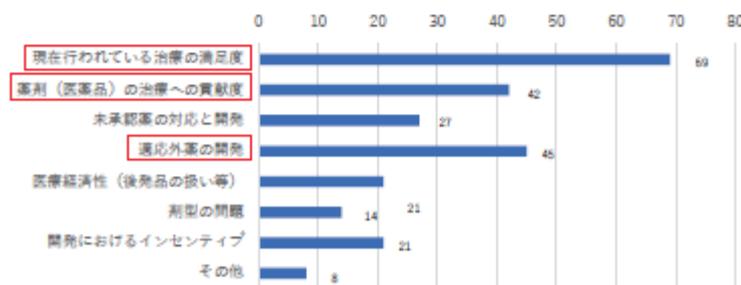
Q5. 成人領域のリウマチ・膠原病の治療薬の内容



- ・ その治療薬の内訳は、抗リウマチ薬：抗膠原病薬/抗血管炎薬：抗自己炎症性疾患薬≒4:1:1であった。

2

Q6. 成人領域のリウマチ・膠原病治療薬について、 現在まだ対応が不十分で、UMNと考えている項目は？



- ・ UMNとして、①現在行われている治療への満足度が低い、②適応外薬に対する開発が不十分である、③薬剤の治療への貢献度が十分でない、がトップ3であった。

3

Q10.小児領域のリウマチ・膠原病の治療薬の内容



・その治療薬の内訳は、抗リウマチ薬：抗膠原病薬/抗血管炎薬：抗自己炎症性疾患薬＝6:1:2であった。

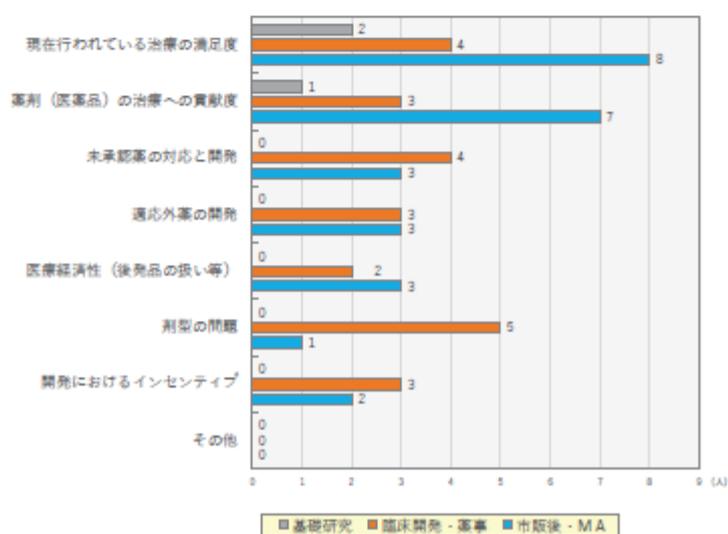
7

Q11 小児領域のリウマチ・膠原病治療薬について、
現在まだ対応が不十分で、UMNと考えている項目は？

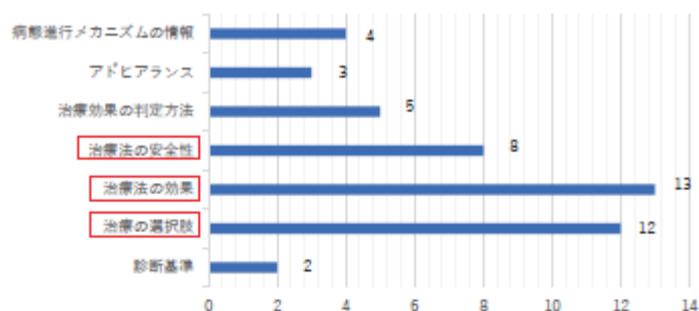


・UMNとして、①現在行われている治療への満足度が低い、②薬剤の治療への貢献度が十分でない、③未承認薬の対応と開発が不十分である、④薬剤開発のためのインセンティブが不足している、との回答が多かった。

成人領域との大きな違いは、『薬剤開発のためのインセンティブが不足している』であった。



Q12 「現在行われている治療の満足度」のどの項目に対して、満足度が低いと感じられるか？



・現在行われている治療において満足できていない点は、①治療法の効果が十分に伝えられていない、②治療の選択肢に明確には挙げられていない、③治療法の安全性が伝えられていない、であった。

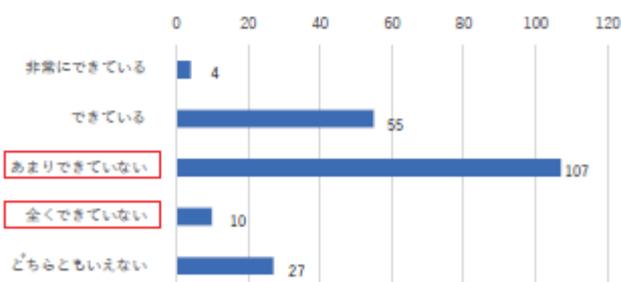
成人領域・小児領域でも、満足度が低いと感じられる項目は同じであった。

Q14 リウマチ・膠原病の治療薬に関して、成人領域と小児領域でのUMNにどのような違いがあると思うか？

- ✓ 病態に違いがあるよう
- ✓ 小児の特性（内服が困難、内服への嗜好がある、剤型、怠業の問題）
- ✓ 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

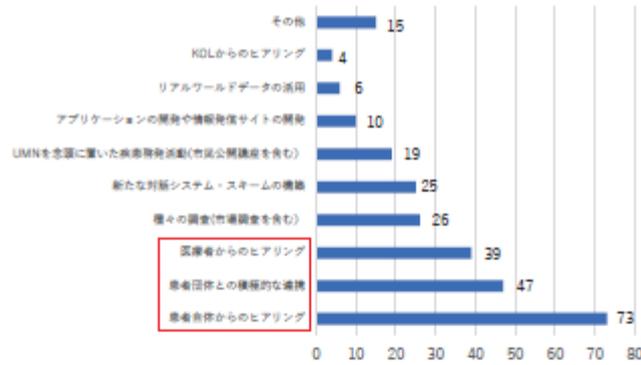
・回答者は、上記のように多岐にわたって成人領域と小児領域でのUMNの違いを認識していた。

Q15. 患者のUMNの把握はできていると考えているか？
(リウマチ性疾患領域以外も含め)



・回答者の半分以上が、患者のUMNの把握を「全くorあまりできていない」と回答しており、製薬企業では患者のUMNの把握のための直接的な対話が率先して行うべきだと考えられた。

Q17 患者のUMNの把握を向上させる場合、どのような方法が望ましいか？



・患者のUMNを把握する方法として、①患者ご本人からの聴取、②患者団体との積極的な連携、③医師を含めた医療者からのヒアリングが、トップ3であった。

Q18. 医療者のUMNの把握はできていると考えているか？
(リウマチ性疾患領域以外も含め)



・回答者の約半分が、医療者のUMNの把握を「全くorあまりできていない」と回答しており、医療者のUMNを把握する方策も講じるべきだと考えられた。

14

Q20. 医療者のUMNの把握を向上させる場合、どのような方法が望ましいか？

- ✓ 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

・上記のように、多彩な方法でのアプローチを講じている。

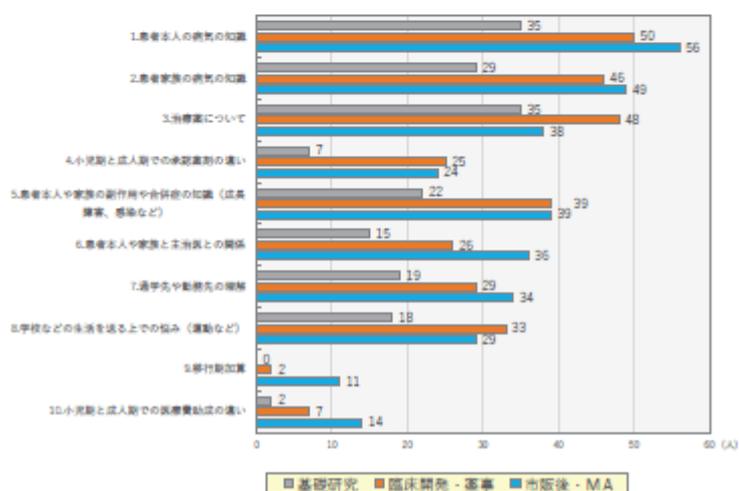
15

Q22. 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」は何か？（複数回答可）



・製薬企業に所属する回答者にとって「重要と考える事」は、
①患者本人の病気の知識、②患者家族の病気の知識、③治療薬についての十分な情報提供、④治療薬の副作用や合併症の知識であった。

16



17