

## 筋ジストロフィー治療研究への患者・市民参画

### — 治療薬の開発における情報のあり方 —

○ 竹田 保<sup>1</sup>、中岡 良司<sup>2</sup>

1 一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会

2 ホップ福祉問題研究所

## 1. 研究の背景と目的

背景

- ① 日本筋ジストロフィー協会は1964年の設立以来、常に「根本治療法の確立」を最優先課題と考えている。
- ② 2020年3月、我が国で初の筋ジス治療薬「ビルトラルセン」が承認された。一方、2021年1月、治験を終えた他の筋ジス新薬は有効性が認められず承認されなかった。
- ③ 今後、筋ジス協会は、「希少疾患における新薬の承認手続きの改善」と「新薬開発における患者参画」への取り組みを強化する。

目的

- ① 今後の情報ツールとしてのインターネットに関して患者の利用環境および利用状況を把握すること。
- ② 患者が望む医療情報の入手方法、新薬への関心、どのような新薬の開発情報を知りたいか、誰の情報を信用しているか等を知ること。
- ③ ペイシェント・ジャーニーの観点から、希少疾病患者が抱える課題の所在と程度を明らかにすること。

## 2. 調査の概要

■ 調査対象: 筋ジス協会会員および北海道難病連所属の希少疾病患者

■ 調査方法: 無記名アンケート調査  
① Web回答、② 郵送配布・回収

■ 調査期間: 令和5年10月10日～11月10日

■ 回答人数: 196人(回収率算定不可)

※ 調査内容、調査方法は筋ジス協会の倫理審査委員会の審査、承認を受けて実施。

■ 調査内容:

- ① 属性(性別、年齢、住所、病名)
- ② インターネットの利用状況
  - ・利用できる情報機器
  - ・電子メールの所有
  - ・インターネットの利用目的
- ③ 医療情報の入手
  - ・新薬への関心
  - ・新薬情報の入手方法
  - ・信頼できる情報の発信者
  - ・新薬開発段階への関心
- ④ ペイシェント・ジャーニーへの反応
  - ・8つの課題に対する患者の反応

3

## 3. 回答者の属性1

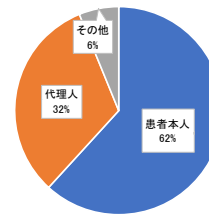


図1 記入者の確認

患者本人の回答が約6割

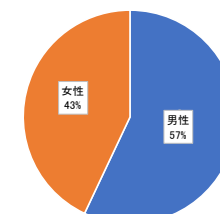


図2 性別

男女ほぼ同数

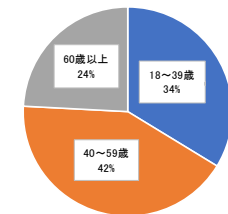


図3 年齢

若年、中年の回答が多い

4

### 3. 回答者の属性2

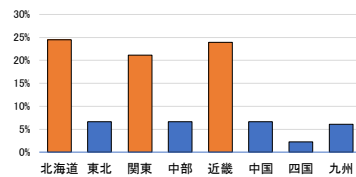


図4 回答者の住所

全国から回答があったが、北海道、関東、近畿ブロックからの回答が多い。

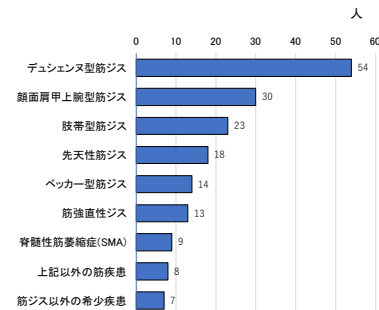
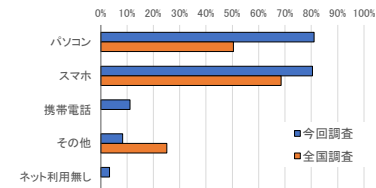


図5 回答者の病名

デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者が全体の30%で最も多かった。回答者の約9割は筋ジストロフィー患者だった。

5

### 4. インターネットの利用状況1



全国調査：総務省「通信利用動向調査2021」

図6 利用している情報機器(複数)

パソコンとスマートフォンの利用率は約8割。全国調査と比較するとパソコン所有率が極めて高い。

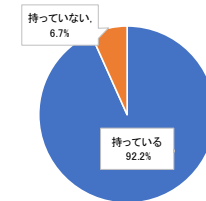


図7 電子メールアドレスの所有

回答者の92%が自分専用の電子メールアドレスを持っている。

6

### 4. インターネットの利用状況2

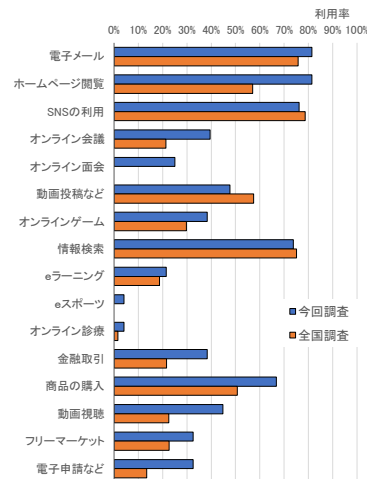


図8 インターネットの利用目的(複数)

利用率が50%を超えていたのは、電子メール、ホームページの閲覧、SNSの利用、情報検索、商品の購入であった。

全国調査と比較すると、全体に回答者の利用率は高く、インターネットの利用が浸透している。

全国調査：総務省「通信利用動向調査2021」

※ 全国調査には「オンライン面会」、「eスポーツ」の項目は無い。

7

### 5. 患者が望む医療情報1

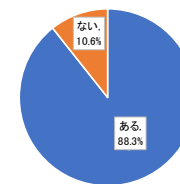


図9 新薬への関心

「関心がある」が約9割。しかし1割は「関心がない」。

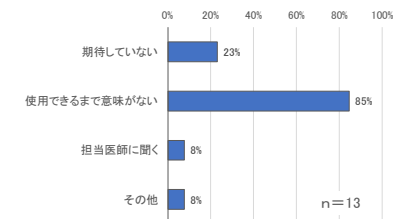


図10 関心がない理由

「使用できるまで意味がないから」が最も多い。

8

## 5. 患者が望む医療情報2

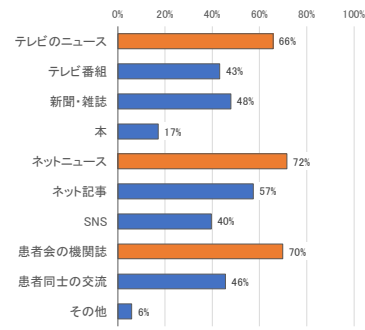


図11 医療情報の入手方法

最も多かったのは「ネットニュース」。「患者会の機関誌」、「テレビのニュース」と続く。

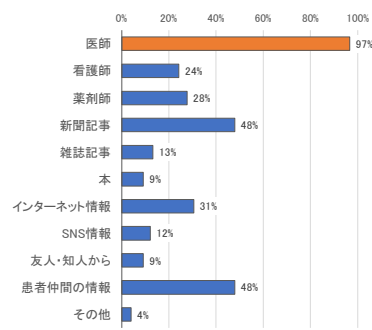


図12 信頼できる情報源

「医師」が97%と圧倒的に信頼されている。

## 6. ペイシエント・ジャーニーとは

- ペイシエント・ジャーニーは直訳すれば「患者の旅」という意味。発案者は定かではないが、2000年ごろから患者視点で医療ケア全体を考える概念として広まってきた。
- ペイシエント・ジャーニーには共通の定義はないが「患者の旅」を4~5段階で把握するのが一般的。本研究では『日本における希少疾患の課題』で使用された4つの段階および8つの課題に基づき患者の置かれた状況を把握した。



(出典) 武田薬品工業株式会社：日本における希少疾患の課題、提言書、2020.4

## 6. ペイシエント・ジャーニーの分析1

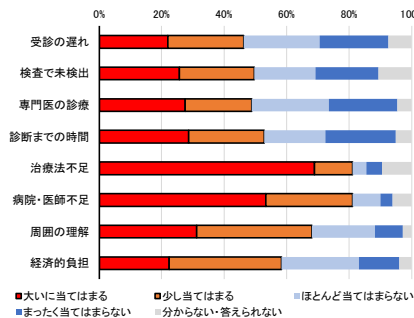


図13 ペイシエント・ジャーニー 回答の素集計

回答者の選択肢を素集計したグラフ。このままではクロス集計が複雑になるため、「大いに当てはまる」と「少し当てはまる」を合計し不満の割合を数値化した。

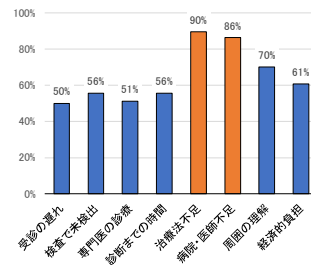


図14 患者の不満の所在

筋ジス患者の不満が「治療法不足」と「病院・医師不足」にあることが明らか。

## 6. ペイシエント・ジャーニーの分析2a

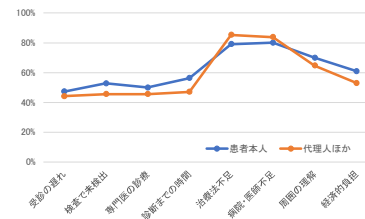


図15 患者の不満 回答者別

代理人よりも患者本人の不満の割合が高いが、「治療法不足」と「病院・医師不足」に関しては代理人の方が高い。

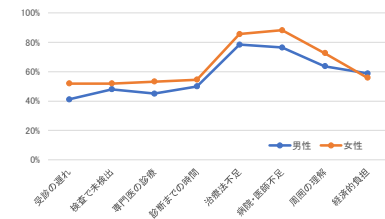


図16 患者の不満 性別

男性よりも女性の方が不満の割合は高い。

## 6. ペイシエント・ジャーニーの分析2b

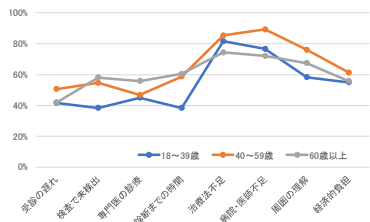


図17 患者の不満 年齢別

40~59歳の中年の不満が高い傾向が見られる。

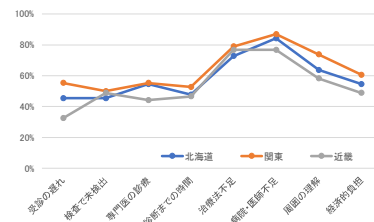


図18 患者の不満 地域別

関東ブロックの不満の割合が高い傾向が見られた。

## 6. ペイシエント・ジャーニーの分析3a

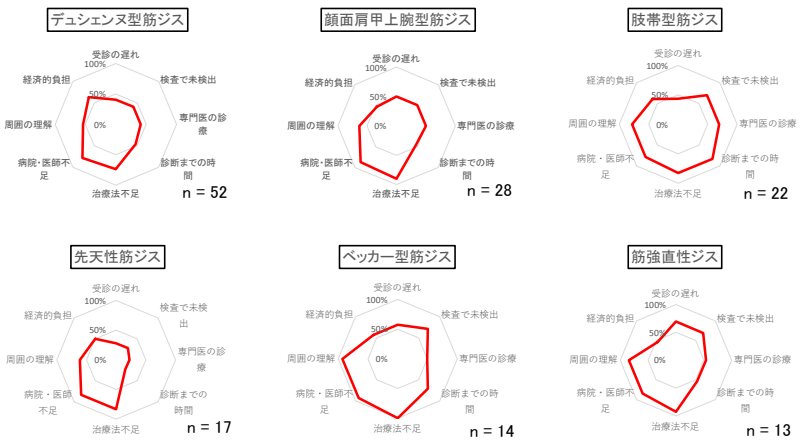


図19 患者の不満 病名別

## 6. ペイシエント・ジャーニーの分析3b

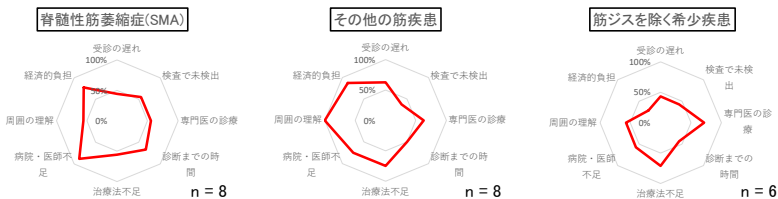


図19 患者の不満 病名別

患者の不満を8項目のレーダーチャートで表示し総合的に把握。

- ・ 総合的に不満の割合が高かったのはベッカー型筋ジス
- ・ 肢帯型筋ジス、ベッカー型筋ジス、筋強直性筋ジスでは、「検査で未検出」の不満
- ・ 脊髄性筋萎縮症(SMA)とその他の筋疾患は「経済的負担」が大きいという不満

## 7. まとめ

### インターネットの利用状況

- ・ 筋ジス患者のパソコンとスマホの所有率は8割以上。電子メールの利用は9割以上。
- ・ 半数以上が、電子メール、ホームページ閲覧、SNS、情報検索、商品の購入を利用。
- ・ 全国平均よりも、オンライン会議、金融取引、商品の購入、動画の視聴、電子申請の利用率が高い。
- ➡ 今後は、インターネットを通じた医療情報の提供に積極的に取り組む必要がある。

### 医療情報の入手

- ・ 筋ジス患者の9割が新薬開発に関心を持っている。
- ・ ネットニュース、患者会の機関誌、テレビのニュースでの広報に期待している。
- ・ 患者の97%が医者からの情報を信用している。
- ➡ 新薬開発に関わる医療情報の発信を製薬会社および医師へ働きかける必要がある。

### ペイシエント・ジャーニーによる分析

- ・ 筋ジス患者の9割が「治療法不足」、「病院・医師不足」に不満を持っている。
- ・ 筋ジス患者の7割が「周囲の理解が得られない」と感じている。
- ・ 「初期の検査」や「診断」そして「経済的負担」への不満は比較的少ない。
- ・ 属性別では、女性、中年、関東圏の不満の割合が高かった。
- ・ 病型では、ベッカー型筋ジストロフィーの不満が多かった。
- ➡ 今後もペイシエント・ジャーニーの観点から患者中心の医療ケアのあり方を検討する必要がある。

ご清聴ありがとうございました