

4. 希少疾患における患者さんの困りごと

患者さんの困りごと全体像

希少疾患の患者さんやご家族は、疾患の発症、検査／確定診断、治療開始を経て現在に至るまでに様々な困難に直面している。本調査では、発症から現在に至るまで、患者さんが医療や日常・社会生活においてどのように考え、感じ、行動するかという概念であるペイシエントジャーニーに沿って、患者さんやご家族の困りごととその背景・要因を把握した。また、情報収集や情報発信（患者さんの声をステークホルダーに届けること等）、国内にお

ける治療薬の開発環境や動向に対する考え方や要望について調査した。

本調査を通じて、患者さんやご家族が抱える主要な困りごととして、主要な 10 項目の課題が特定された（図 3）。本章以降では、これらの項目に関連する患者さんやご家族の課題の詳細やその要因、要望等について考察する。

図 3：患者さんの困りごと全体像

