

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

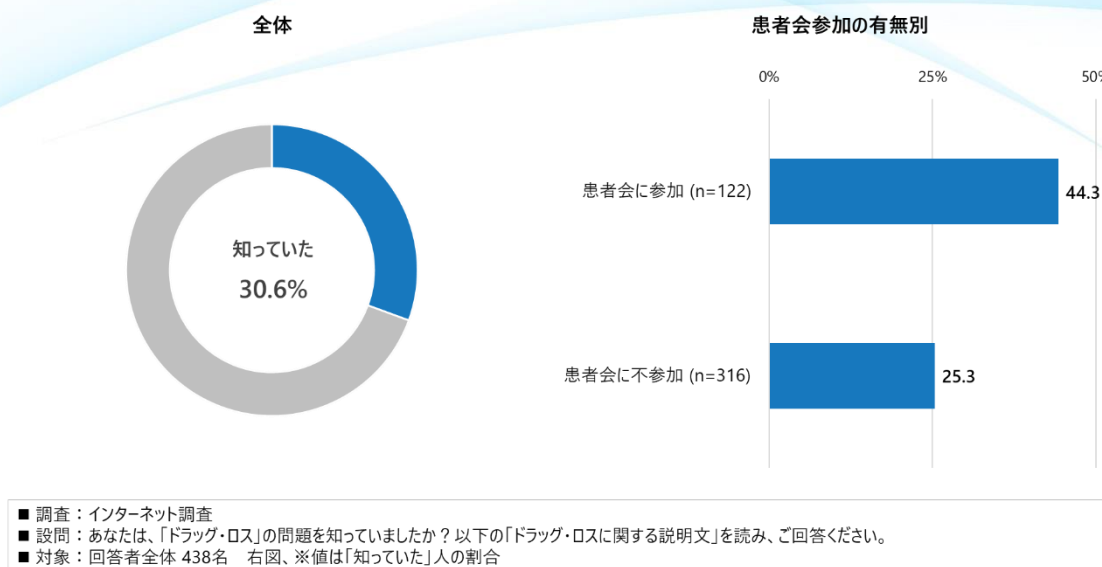
- ドラッグ・ロスの認知度は 30.6%であった。患者さんやご家族のインタビューでは、「（海外と比較し）使える薬の差は死活問題になる」といった声があり、患者さんにとってドラッグ・ロスが喫緊の課題であることが明らかとなった。
- 患者さん自身の希少疾患の治療薬が海外では使用できるが日本では使用できない（ドラッグ・ロス）と仮定した場合の治療に関する意見を確認すると、81.3%の患者さんが「日本で治療できるようになるまで待ちたい」と考えていることが明らかとなった。
- 日本で治療を行いたいという患者さんの強い期待や要望を踏まえると、ドラッグ・ロスを社会課題として捉え、関連するステークホルダーで連携して課題解決を図る必要がある。
- 患者数が少なく、日本で治験の実施が困難なことが多い希少疾患の治療薬においては、アジアを含む海外の治験データ（有効性・安全性データ）を活用して治療薬を承認し、適切な情報に基づき患者さん自身が治療薬を選択できる環境を整備する等、患者さんの治療薬へのアクセスを確保する柔軟な仕組みの必要性が示唆された。
- 患者さんの行政機関や製薬企業への要望を確認したところ、新薬を待ち望む多くの声が挙げられた。患者さんを含めた各ステークホルダーが有機的に連携し、治療薬の開発を推進する環境整備が求められる。

治療薬開発に関する課題 - ドラッグ・ロス -

海外で使われている治療薬が、日本で承認されて使えるようになるまでの時間差のことを『ドラッグ・ラグ』という。また、海外ですでに使われている治療薬が日本では開発が行われず、日本で使うことができない状況を『ドラッグ・ロス』という¹⁹。近年では、欧米で承認された医薬品の72%が日本では使えない状況である、という調査報告²⁰がある。今回の調査では、希少疾患の患者さんのドラッグ・ロスの認知とドラッグ・ロスに対する意見を聴取することにより、患者さんやご家族の目線から当課題を分析した。調査の結果、ドラッグ・ロスの認知度は 30.6%であった

（図 23）。ドラッグ・ロスは、直面している患者さんやご家族、医療関係者でない方にとっては馴染みのない課題であると想定されるため、患者さんのドラッグ・ロスへの高い関心が伺えた。特に患者団体等の活動に積極的に関与している患者さんでは、ドラッグ・ロスをより認知している傾向があった（図 23）。患者さんやご家族のインタビューでは、「ドラッグ・ロスは知っていて、日本は遅れているという認識がある。子供の希少疾患でも、併発症状の治療薬のうち国内で使えないものがある。患者は様々な制限がある中で生活しているので、使える薬の差は死活問題になる」といった声があり、ドラッグ・ロスを喫緊の問題と捉えている切実な声もあった。

図 23：ドラッグ・ロスの認知度

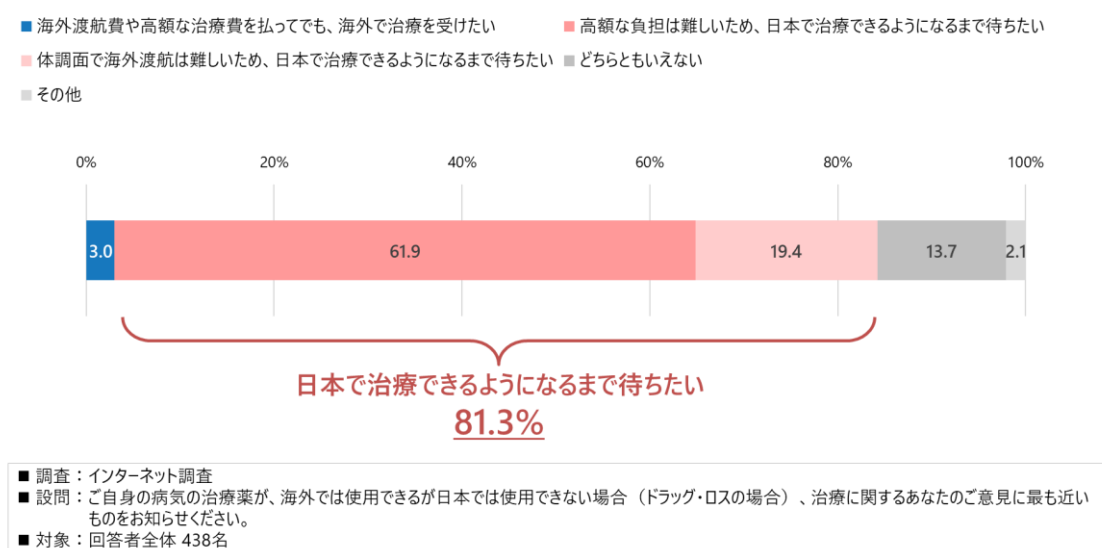


海外では使用できるが日本では使用できない 治療薬の日本導入に対する期待

患者さんに、自身がドラッグ・ロスの状況であったと仮定した場合の治療に関する意見を確認すると、「高額な負担は難しいため、日本で治療できるようになるまで待ちたい」が 61.9%、「体調面で海外渡航は難しいため、日本で治療できるようになるまで待ちたい」が 19.4%で、合

計で 81.3%の患者さんが、「日本で治療できるようになるまで待ちたい」と考えていることが明らかとなった（図 24）。日本で治療を行いたいという患者さんの強い期待や要望を踏まえれば、ドラッグ・ロスを社会課題として捉え、関連するステークホルダーで連携し、課題解決に取り組んでいくことが益々重要になる。

図 24：ドラッグ・ロスの状況下における治療への要望



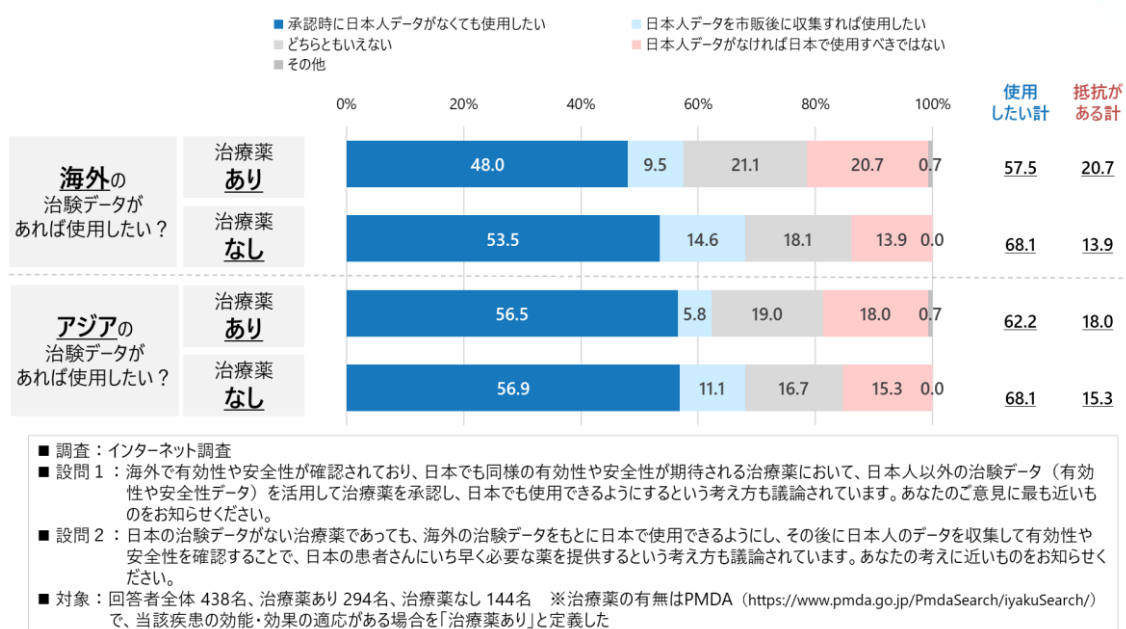
治療薬開発における日本人データの必要性に関する考え方

海外でのみ承認・使用されている治療薬を日本に導入するためには、日本人の治験データ（有効性・安全性データ）が必要である²¹。ここで治療薬の開発における日本人データの必要性について、患者さんがどのような考えを持っているのかを考察する。今回の調査では、海外またはアジアの治験データがあれば、治療薬を使用したいかどうかを確認した。さらに、追加質問として、「どちらともいえない」、「やや抵抗がある」、「抵抗がある」と回答した人に対して、日本人データを承認時ではなく、市販後に収集することの是非について確認した。なお、治療薬の有無で回答の傾向を分析している。治療薬の有無については、独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）^jの医療用医薬品情報検索（<https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/>）で、当該

疾患の効能・効果の適応がある場合を「治療薬あり」と定義した。

調査の結果、「日本人データがない場合であっても、海外の治験データ（有効性・安全性データ）があれば治療薬を使用したい」人が48.0%（治療薬あり）、53.5%（治療薬なし）で約半数であった。「日本人データを承認時ではなく市販後に収集するのであれば使用したい」人まで含めると57.5%（治療薬あり）、68.1%（治療薬なし）であり、3人に2人が、「海外の治験データ（有効性・安全性データ）を活用して治療薬を承認し、日本で使用したい」と回答している。また、「日本人データがない場合であっても、アジアの治験データ（有効性・安全性データ）があれば治療薬を使用したい」人は、「海外の治験データの場合」よりも使用意向が高く、抵抗感もより少ない傾向となった。（図25）。

図 25：承認時における日本人データの必要性



^j 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA）。健康被害に対する迅速な救済を図り（健康被害救済）、医薬品等の品質、有効性および安全性の指導・審査（承認審査）を行い、市販後における安全性情報の収集、分析、提供（安全対策）を主業務とする機関。

患者さんやご家族のインタビューでは、「有効性があるなら使っても良いが、今の薬が効いているので積極的に使わない」という声があった一方、「人種間の違いがあるか等の研究をまずは進めることが大事であるが、海外で使用されているものは日本でも使用できるように進めてほしい」、「治療の選択肢がない現状は変えなければならない。承認した上で、治験のように患者個人が承諾すれば使える仕組みが望ましい」のように、海外の治験データを基に承認し、最終的に患者自身が治療薬の使用に関して意思決定できる仕組みを要望する意見が複数あった。

海外の治験データをもとに、日本で承認して使用できる環境を整備した上で、最終的に患者自身が使用に関して意思決定できる仕組みが必要である。

(属性：患者、60代、循環器疾患)

患者関連団体のインタビューでは、「米国や欧州で有効性や安全性が確認されているのであれば、特に進行性の疾患の場合は特例で承認し、後から検証というプロセスも検討すべき」といった、患者さんやご家族と同様の声がある一方、「重篤か軽傷かで、日本人データの必要性の議論は分かれてくる。国が責任をもって有効性や安全性を確認するシステムがある以上は、慎重な議論が必要である」といった慎重な意見もあった。

患者数が少なく、日本で治験の実施が困難なことが多い希少疾患の治療薬においては、アジアを含む海外の治験データ（有効性・安全性データ）を活用して治療薬を承認し、適切な情報に基づき患者さん自身が治療薬を選択できる環境を整備する等、希少疾患の患者さんの治療薬へのアクセスを確保する柔軟な仕組みの必要性が示唆された。

治療薬の開発への参画／興味・関心

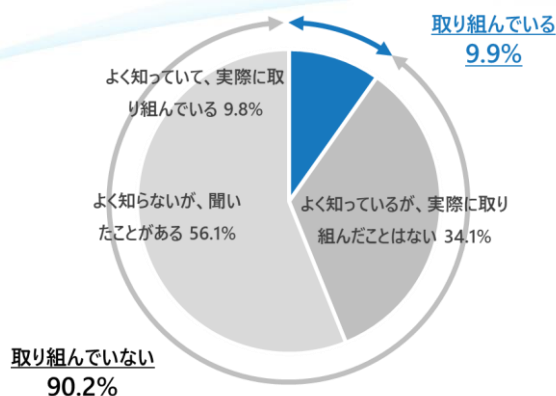
患者さんの治療薬の開発への参画／興味・関心について考察する。治療薬の開発に患者さんの声を反映させる患者参画の活動（以下、PPI）の取り組み状況について聴取した。なお、PPIは英国で初めて採用された考え方で、「患者・市民のために、または患者・市民について研究が行われることではなく、患者・市民と共に、または患者・市民によって研究が行われること」という定義がある²²。広義には、「研究分野（医学研究や臨床試験など）に限らず医療政策全般において、その意思決定の場に患者・市民の関与を求めること」という考え方がある。本稿では対象範囲について研究分野を中心として、医療政策全般における意思決定等の場に患者さんやご家族・市民が関与していく方向性を踏まえ、広義にPPIを考えることにする。調査の結果、PPIを知っている人のうち、PPIに取り組んでいる人は、9.9%と少数であり（図26）、治療薬の開発に関与する人は、まだ一握りであることが明らかになった。

治療薬の開発に関与する人が少数であった一方で、新薬・治験薬の情報を調べている人が2人に1人おり（図27）、新薬・治験薬に対する高い関心が伺えた。患者さんやご家族のインタビューでは、「治験情報を入手してすぐに申し込んだ」、「もし治験があったら参加する。自分は遺伝性疾患で、子供や孫の代にも発症する可能性があるので、根治できる治療薬がほしい」、「もっと自分のデータを医療に生かしてほしい。自身が辛かった経験もあり、子供にも遺伝している可能性があることから、治療の選択肢が将来あってほしい」といった、治療薬の開発への参画に対して前向きな声が多かった。

遺伝性疾患のため、子供や孫の代にも発症する可能性があるため、根治できる治療薬がほしい。

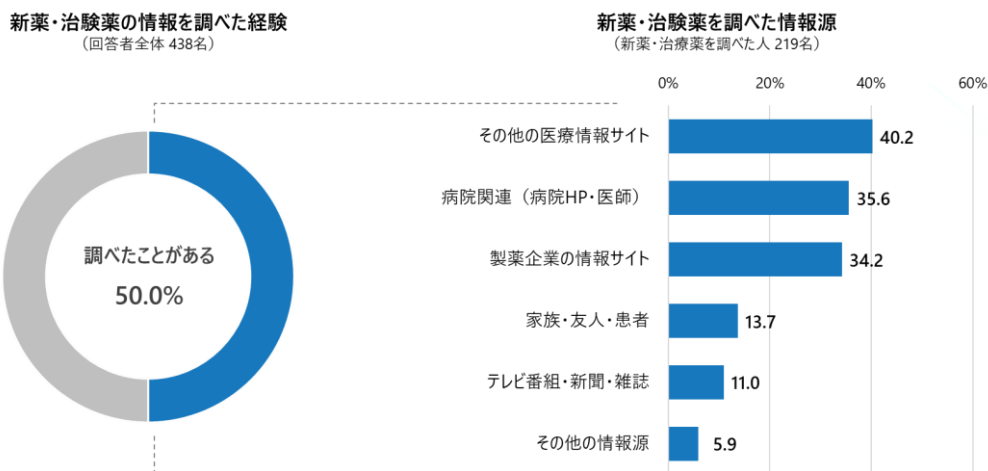
(属性：患者、70代、神経・筋疾患)

図 26：PPI の取り組み状況



- 調査：インターネット調査
- 設問：欧米では、PPIが盛んにおこなわれており、日本でもそうした動きが出てきています。このような活動を聞いたことがありますか？
- 対象：PPIを知っている人 132名

図 27：新薬・治験薬の情報収集の状況



- 調査：インターネット調査
- 設問：発症から現在に至るまでに、ご自身の病気について何か調べましたか？また、その際にどの情報源を利用しましたか？調べて見つからなかった場合も含めて、調べた項目を選択ください。
- 対象：左図、回答者全体 438名 右図、新薬・治験薬の情報を調べた人 219名

インタビューに参加した患者さんやご家族で治療薬の開発に課題感を持っている人の中には、「研究と治療薬の開発を進めてほしいと思っているが、相談の場がない」、「患者側が医療知識に乏しく、共通言語がないため進まない。患者側のヘルスリテラシーを向上させる必要がある」

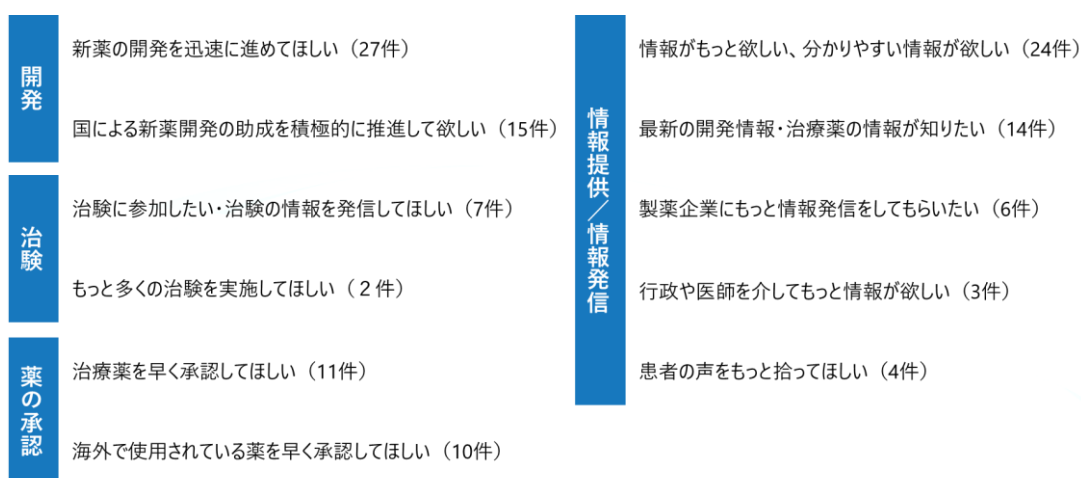
といった患者さんに求められる行動について言及する声があった。ステークホルダーの中でも特に製薬企業は、こうした患者さんの声に耳を傾け、患者さんが治療薬の開発等に積極的に参画できる環境を整備する必要がある。

患者さんの治療薬の開発に関する行政機関や製薬企業への要望

治療薬の開発に関して、患者さんの行政機関や製薬企業への要望を確認したところ、新薬を待ち望む多くの声が挙げられた（図 28）。「新薬の開発を迅速に進めてほしい」といった開発に関する要望や、「治療薬を早く承認してほしい」、「海外で使用されている薬を早く承認して

ほしい」、「海外で使用されている薬を早く承認してほしい」といった承認に関する要望も多く挙げられた。開発や承認に関する要望以外に、情報提供／情報発信についても多くの要望が挙げられた。患者さんを含めた各ステークホルダーが有機的に連携し、治療薬の開発を加速する環境整備が求められる。

図 28：治療薬の開発に関する行政機関や製薬企業への要望



- 調査：インターネット調査
- 設問：治療薬の開発に関して、行政機関(国や自治体など)や製薬企業などへの要望があればお知らせください。（自由記述）
- 対象：回答者全体 438名（うち、回答数210名）