

6. おわりに

本書では、希少疾患の患者さんやご家族が医療や日常・社会生活において、どのように考え、感じ、行動してきたのかをパイシエントジャーニーに沿って洗い出し、情報収集や情報発信における困りごと、国内における治療薬の開発環境や動向に対する考えや要望について確認した。

今回の調査では、10 項目の困りごとが抽出された。その中で、製薬業界として取り組むべき特に重要な課題として、以下の3つの課題を特定した。

- 情報が少なく、必要な情報の取得に苦勞する
- 社会による疾患への理解・知識が不足している
- 治療選択肢が限られている・根本治療がない

希少疾患であるために疾患や治療薬等の情報が少なく、必要な情報の取得に苦勞する課題に対して、製薬業界として直接的または間接的に患者さんやご家族に科学的根拠に基づく分かりやすい情報を提供する必要がある。各ステークホルダーと情報提供の在り方を再検討し、希少疾患の関連情報にアクセスしやすい環境整備を行うことが必要である。また患者さんの声に、より積極的に向き合う PPI 等のコミュニケーションの在り方も検討する必要がある。

社会による理解が不足している課題については、製薬業界が各ステークホルダーと連携し、社会に対して、希少疾患に関するリテラシー向上の取り組みを進めていくことが極めて重要である。

治療薬の開発については、未だ疾患の治療薬がなく、新薬を待ち望む患者さんやご家族が多く存在しており、その期待度も高いことを踏まえると、製薬業界は関連するステークホルダーと連携し、治療薬の研究開発環境を整備するとともに、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、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整備を検討すべきである。

今回の調査で明らかとなった希少疾患の課題に対して、製薬業界は患者さんやご家族、行政、医療機関、アカデミア、患者団体、他産業等と有機的に連携して解決に取り組み、患者さんやご家族がより暮らしやすい社会の実現に向け、尽力していく決意である。

また、製薬協では、希少疾患だけでなく、他のマイノリティの疾患や疾患タイプ（希少がんや遺伝子変異がある等）の大小さまざまな課題に関しても、患者さんに寄り添い幅広く解決に取り組んでいく所存である。