

## 希少疾患における以上従事者の困りごと調査

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ます。それら課題の背景や要因を把握するために、製薬協では「希少疾患患者さんの困りごと調査（2023年2月公開）」を実施し、その調査結果から明らかになった様々な課題の中でも、特に製薬企業が取り組むべき重要な課題に対して、「難病・希少疾患に関する提言（2023年7月公開）」として取りまとめ、希少疾患を取り巻く課題の解決に取り組んでまいりました。

一方で、希少疾患に関わる患者さんやご家族にとっては多くの課題が未だに解決されていないことが改めて浮き彫りとなり、日本における希少疾患医療を支える医療従事者の声を取り上げ、より具体的な取り組みを加速させる必要がありました。

そこで今回は、「希少疾患に関わる医療従事者の課題を特定し、解決策を提案・実行することで、難病・希少疾患に関わる医療や研究の質向上に寄与し、患者さんやご家族へ貢献する」ことを目的に、製薬協、IRUD、RDCJ、EY（企画・運営支援）で協働し、「希少疾患における医療従事者の困りごと調査」を実施しました。

本書では、本調査で特定した課題に対して、希少疾患医療における課題解決の方向性とステークホルダー毎に求められるアクションを整理しています。製薬協は、希少疾患における課題を多くの方々が認識し、希少疾患と共に生きる患者さん・ご家族が安心して生活できる社会の実現に向け、様々なステークホルダーと協働して希少疾患を取り巻く課題の解決に取り組んでまいります。

希少疾患患者における医療従事者の困りごと調査 全文（xxxMB） PDF

### 【要旨・背景・目的・希少疾患の概要・調査方法】

> 要旨・背景・目的・希少疾患の概要・調査方法について

### 【調査結果】

> 希少疾患における医療の実態と課題

> 課題解決の方向性

> コラム：希少疾患医療における今後の期待

### 【おわりに】

> おわりに

> 引用文献

> 謝辞・関係者一覧

## 【資料編】

> 定量調査結果

> 定性調査結果

(前回のコンテンツ)

MENU 製薬協 注目コンテンツ くすりについて 委員会からの情報発信 製薬協について ニュースルーム 医薬産業政策研究所



希少疾患  
患者さんの困りごとに関する調査

日本製薬工業協会  
製薬協 希少疾患部

### 希少疾患患者さんの困りごとに関する調査 全文 (9.7MB) PDF

#### I 背景・目的・希少疾患概要・調査概要

- ▶ 背景・目的・希少疾患概要・調査概要について PDF

#### II 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 PDF
- ▶ 各ペイシエントジャーニーにおける困りごと PDF
- ▶ 情報収集および情報発信に関する困りごと PDF
- ▶ 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 PDF

#### III おわりに

- ▶ 調査の限界 PDF
- ▶ おわりに PDF

#### IV 調査結果資料一覧

- ▶ 定量調査結果 PDF