

資料編

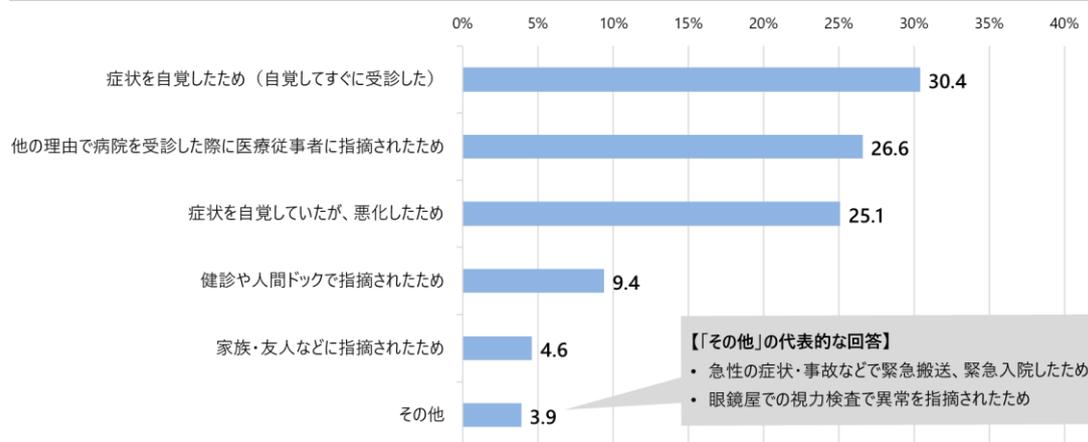
資料1：定量調査結果

パシエントジャーニーの基礎情報

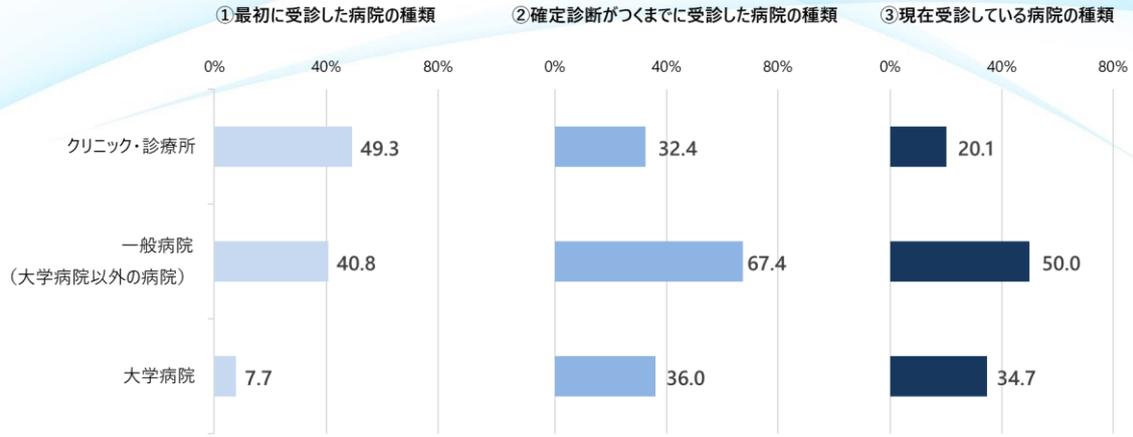
- 設問：ご自身の病気について、確定診断を受けた時期や、下記の図をご覧くださいながら各期間や診察を受けた医師数をお知らせください。
 ■ 対象：各時期のことを覚えている人 ① 414名、② 414名、③ 417名、④ 417名

	①体調異変を感じてから確定診断を受けるまでの期間 (②体調異変～最初の病院受診) / (③最初の病院受診～確定診断)	④治療期間
平均値	2.0 年 (0.9 年) / (1.2 年)	10 年
標準偏差	4.5 (2.3) / (3.4)	10
最小値	0.0 年 (0.0 年) / (0.0 年)	0.0 年
最大値	40 年 (20 年) / (38 年)	52 年

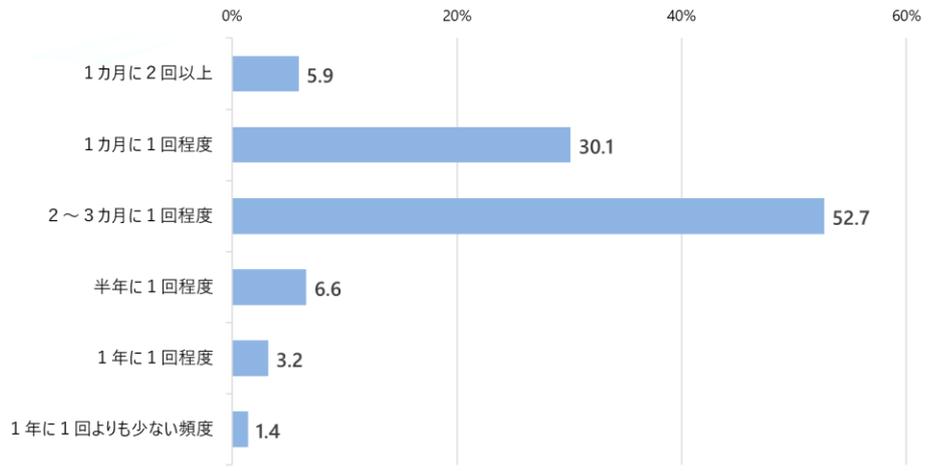
- 設問：ご自身の病気について、最初の病院を受診したきっかけをお知らせください。(単一回答)
 ■ 対象：「発症」の時期のことを覚えている人 414名



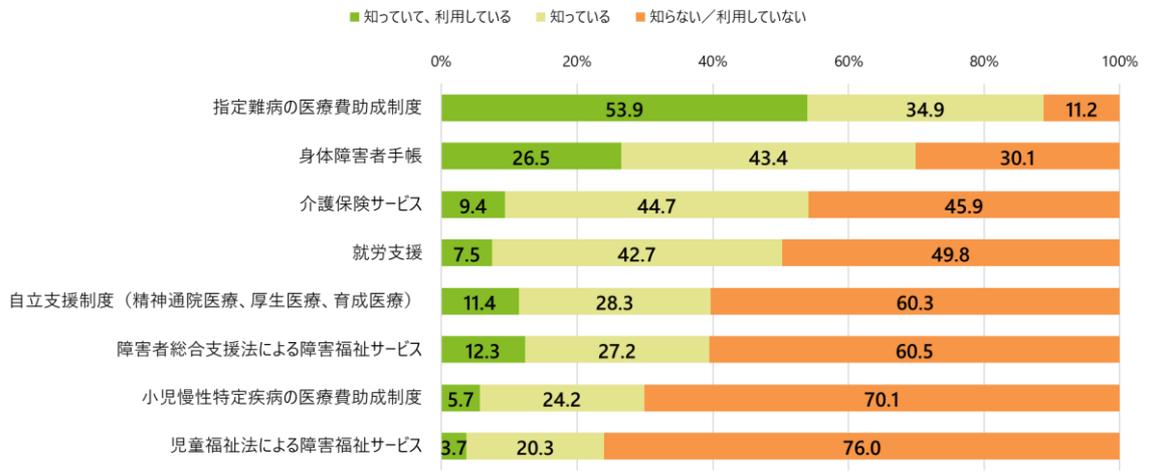
■ 設問：ご自身の病気で受診した病院の種類をお知らせください。／最初に受診した病院の種類（単一回答）／確定診断がつくまでに受診した病院の種類（複数回答）／現在受診している病院の種類（複数回答）
 ■ 対象：①「発症」の時期のことを覚えている人 414名、②「診断」の時期のことを覚えている人 417名、③ 回答者全体 438名



■ 設問：ご自身の病気について、現在の病院受診の頻度をお知らせください。（単一回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名

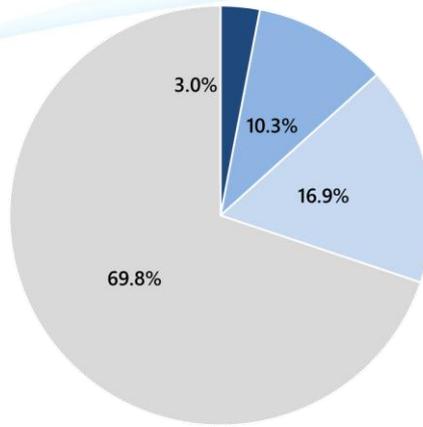


■ 設問：あなたは、下記に示す社会保障制度をご存知ですか？また、ご自身の病気について、現在利用している社会保証制度はありますか？（単一回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名



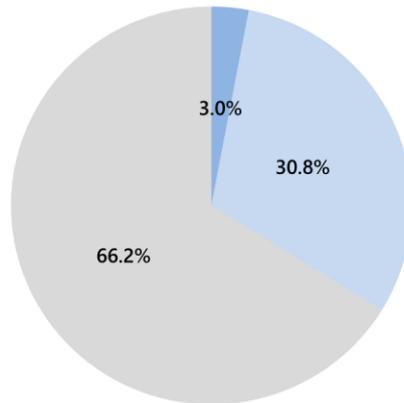
■ 設問：欧米では、医薬品開発に患者さんの声を反映させる患者参画の活動（PPI（Patient & Public Involvement））が盛んにおこなわれており、日本でもそうした動きが出てきています。このような活動を聞いたことがありますか？（単一回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名

■ よく知っていて、実際に取り組んでいる ■ よく知っているが、実際に取り組んだことはない ■ よく知らないが、聞いたことがある ■ 聞いたことがない

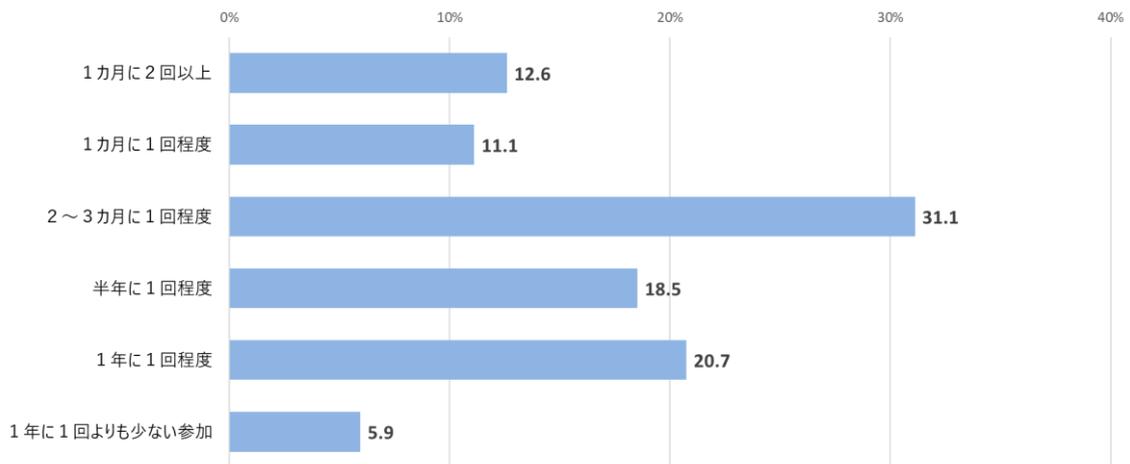


■ 設問：自身の希少疾患について、あなたは患者会とどのような接点を持っていますか？（単一回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名

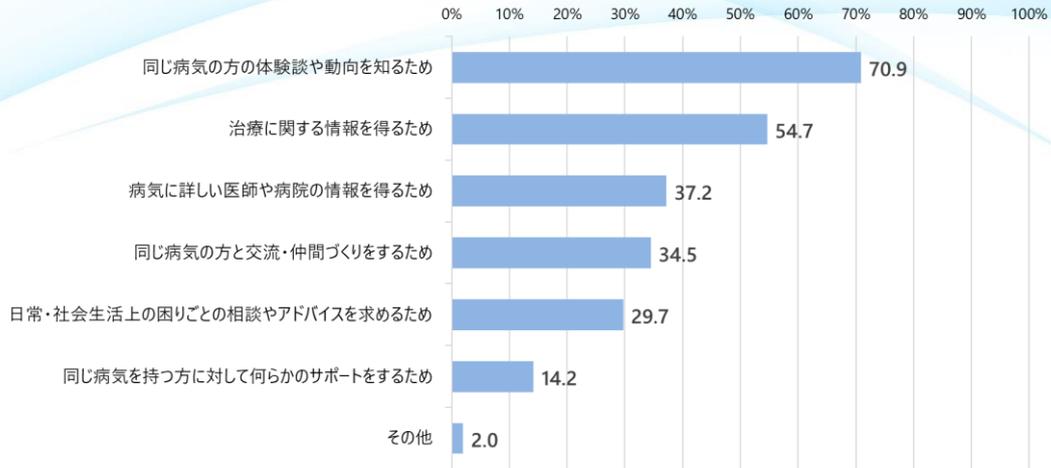
■ 運営側として参加している ■ 患者会が提供する情報に接する機会がある ■ 運営側として参加しておらず、患者会が提供する情報にも接する機会がない



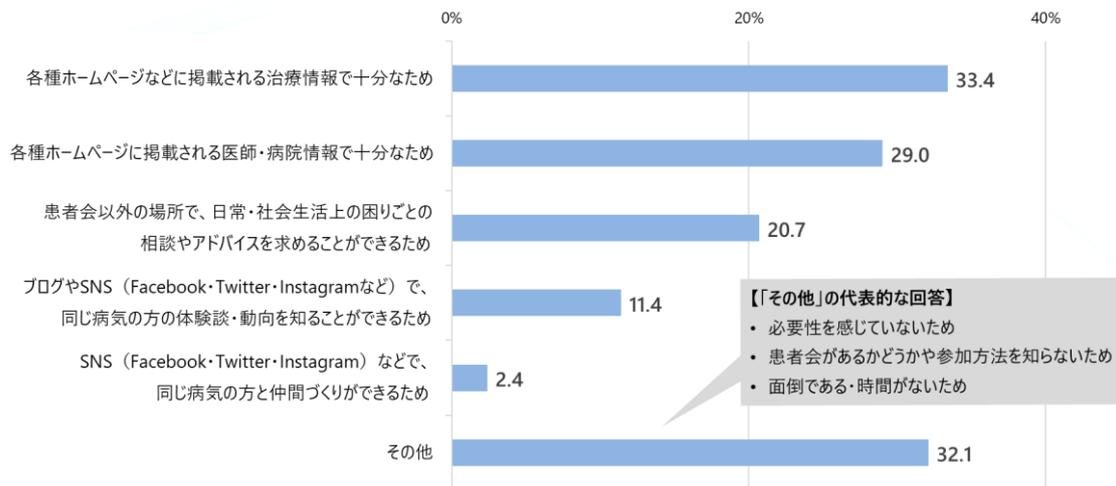
■ 設問：自身の希少疾患の患者会が提供する情報に接する機会ほどの程度をお知らせください。（単一回答）
 ■ 対象：「患者会に運営側として参加している」または「患者会が提供する情報に接する機会がある」人 135名



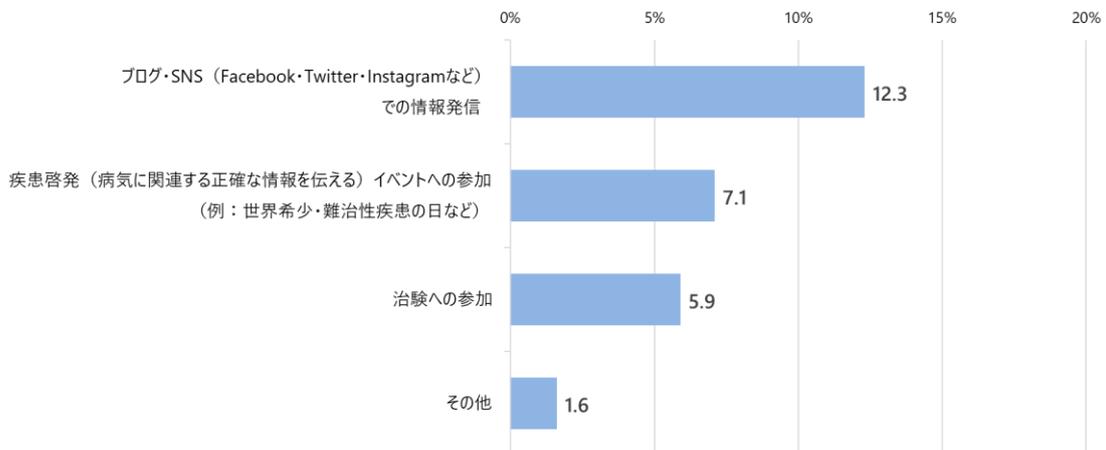
■ 設問：ご自身の病気について、患者会との接点に関して「運営側として参加している」または「患者会が提供する情報に接する機会がある」と以前お聞きした質問でご回答いただけていますが、その関与理由をお知らせください。（複数回答）
 ■ 対象：患者会に「運営側と参加している」または「患者会が提供する情報に接する機会がある」と回答した人 148名



■ 設問：ご自身の病気について、患者会との接点に関して「運営側として参加しておらず、患者会が提供する情報にも接する機会がない」と以前お聞きした質問でご回答いただけていますが、その理由をお知らせください。（複数回答）
 ■ 対象：患者会に「運営側として参加しておらず、患者会が提供する情報にも接する機会がない」と回答した人 309名



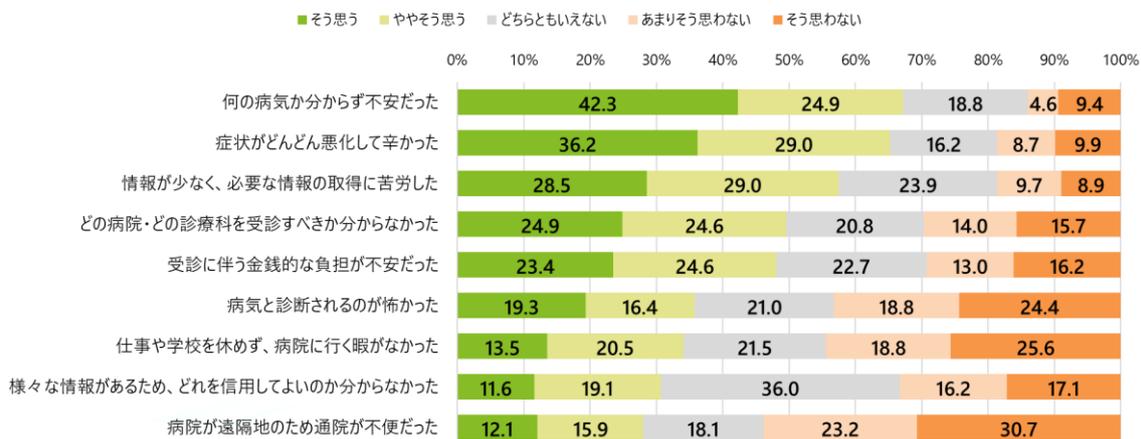
■ 設問：ご自身の病気に関連して、あなたが現在取り組んでいる活動をお知らせください。（複数回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名



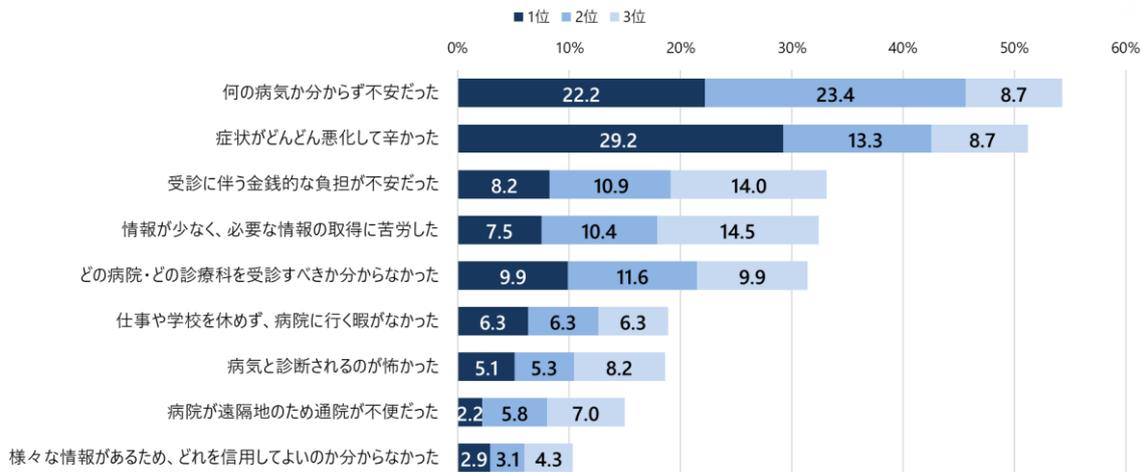
各パシエントジャーニーの困りごと

発症

■ 設問：「発症」における、ご自身の病気のお困りごとに対して、あなたの同意の程度をお知らせください。（単一回答）
 ■ 対象：「発症」の時期のことを覚えている人 414名

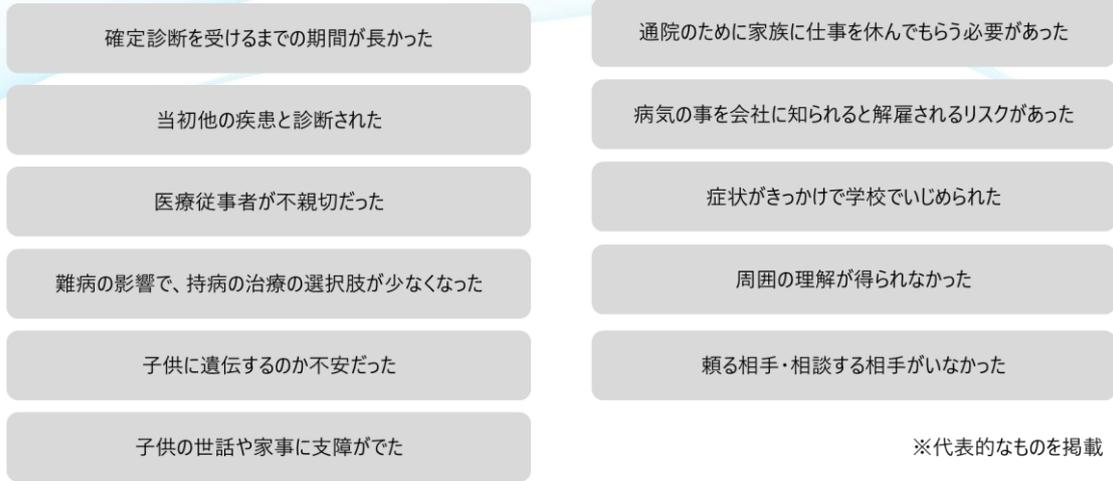


■ 設問：「発症」における、ご自身の病気のお困りごとに対して、あなたが特に支援が必要と考える上位3つを教えてください。（単一回答）
 ■ 対象：「発症」の時期のことを覚えている人 414名



■ 設問：ご自身の病気について、「発症」の時期で、これまでご回答いただいた以外に、あなたが直面したお困りごとがあればお知らせください。
 (自由記述)

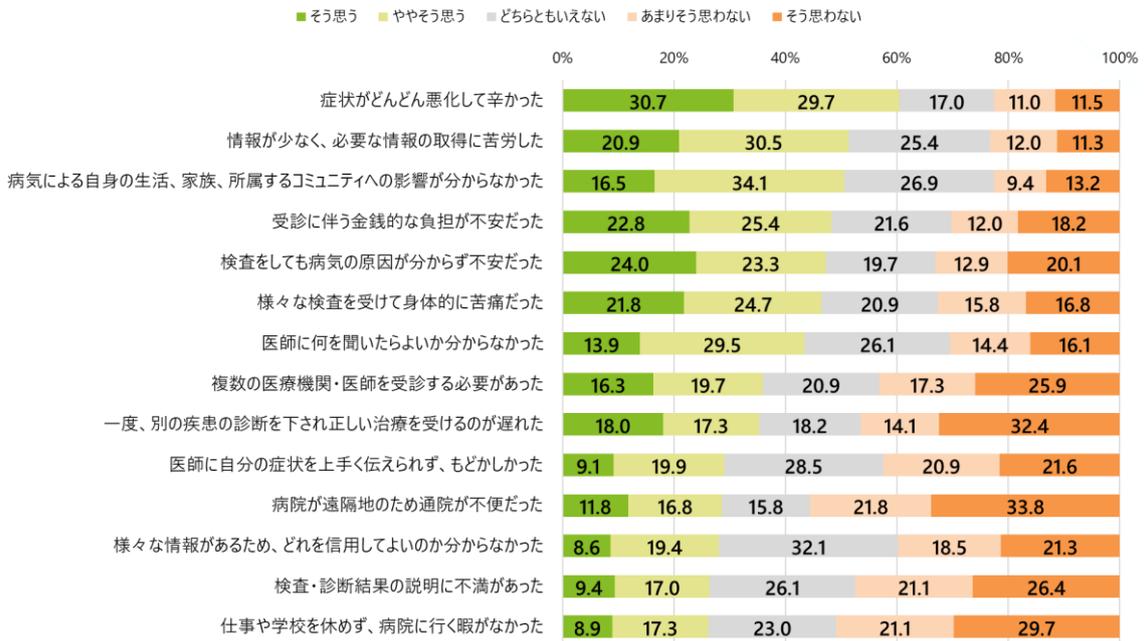
■ 対象：回答者全体 438名 (うち、回答数196名)



診断

■ 設問：「診断」における、ご自身の病気のお困りごとに対して、あなたの同意の程度をお知らせください。(単一回答)

■ 対象：「診断」の時期のことを覚えている人 417名



■ 設問：「診断」における、ご自身の病気のお困りごとに対して、あなたが特に支援が必要と考える上位3つを教えてください。
 ■ 対象：「診断」の時期のことを覚えている人 417名



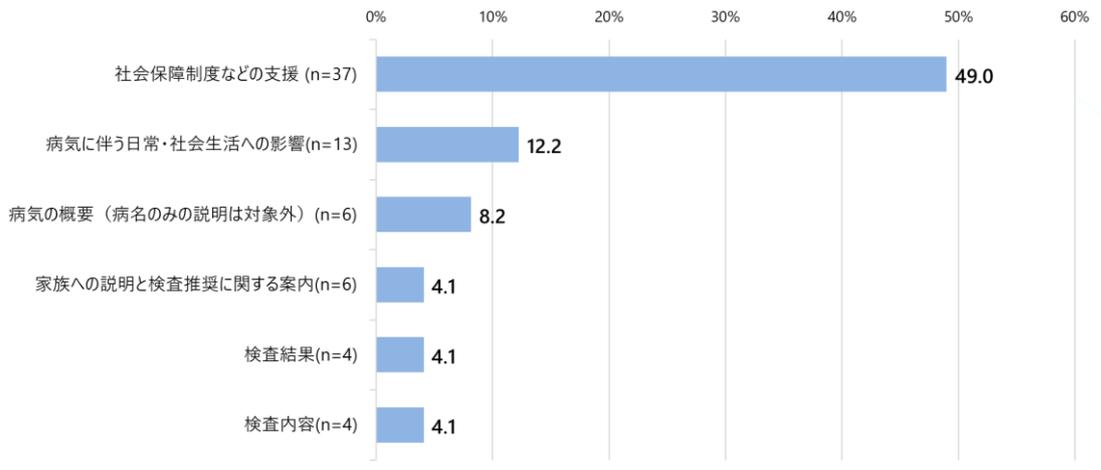
■ 設問：ご自身の病気について、「診断」の時期で、これまでご回答いただいた以外に、あなたが直面したお困りごとがあればお知らせください。
 (自由記述)
 ■ 対象：回答者全体 438名 (うち、回答数150名)

- | | |
|------------------------|------------------------------|
| 医師により見解が違った | 入院のお見舞いなどで家族へ負担をかけた |
| 医療従事者が不親切だった | 家族や職場に伝える際に、相手に苦しい思いをさせてしまった |
| 以前の治療が無駄であったと感じた | 周囲からどう思われるか怖かった |
| 将来への不安を感じた | 周囲の理解が得られなかった |
| 難病指定を受けるため手続きが分かりにくかった | 頼る相手・相談する相手がいなかった |
| 休職せざるを得なかった | |
- ※代表的なものを掲載

■ 設問：確定診断を受けた時、ご自身の病気について医師や医療従事者（看護師・遺伝カウンセラーなど）からどのような説明がありましたか？
また、その満足度をお知らせください。（単一回答）
■ 対象：「診断」の時期のことを覚えている人 417名



■ 設問：「診断」の時期における、ご自身の病気について、前問で説明がなかった項目について伺います。以下の項目のうち、説明を受けたかたのものをお知らせください。（複数回答）
■ 対象：「診断」の時期に医師または医療従事者から説明を受けなかった項目がある人 49名
（各項目のn数は、説明がなかった人数。n数が30未満は参考値）

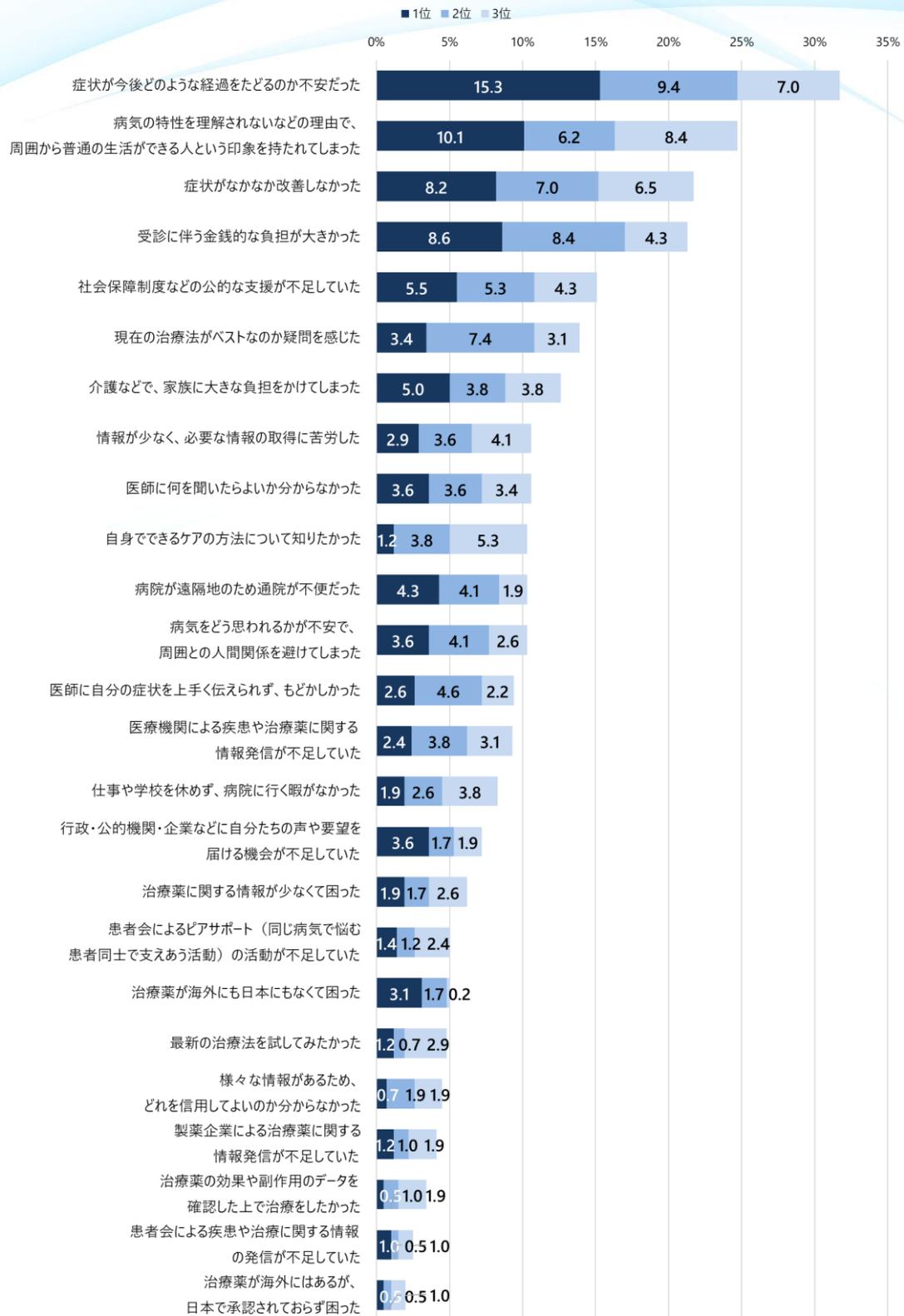


治療開始直後

■ 設問：「治療開始直後」における、ご自身の病気のお困りごとに対して、あなたの同意の程度を教えてください。（単一回答）
 ■ 対象：「治療開始直後」の時期のことを覚えている人 417名

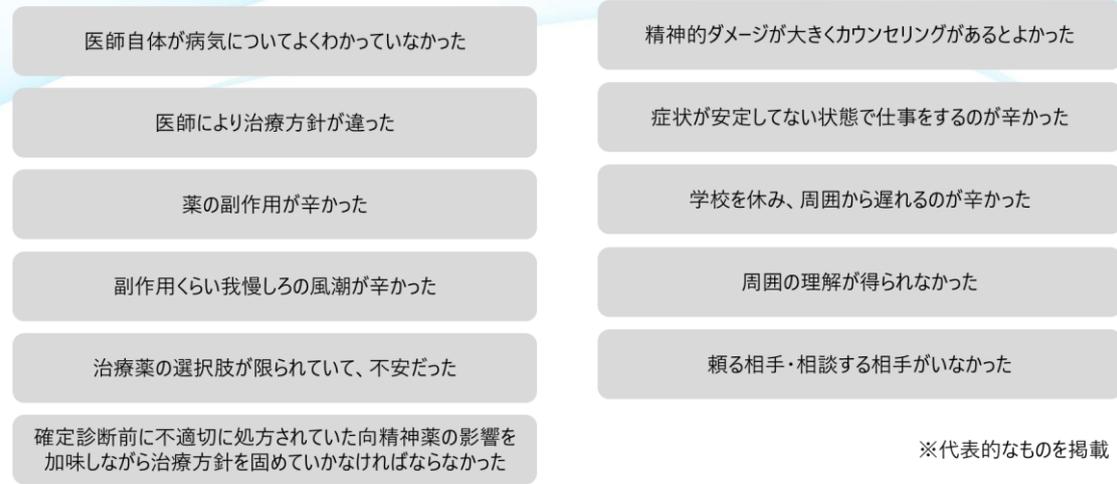


■ 設問：「治療開始直後」における、ご自身の病気のお困りごとに対して、あなたが特に支援が必要と考える上位3つを教えてください。（単一回答）
 ■ 対象：「治療開始直後」の時期のことを覚えている人 417名



■ 設問：ご自身の病気について、「治療開始直後」の時期で、これまでご回答いただいた以外に、あなたが直面したお困りごと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142名）



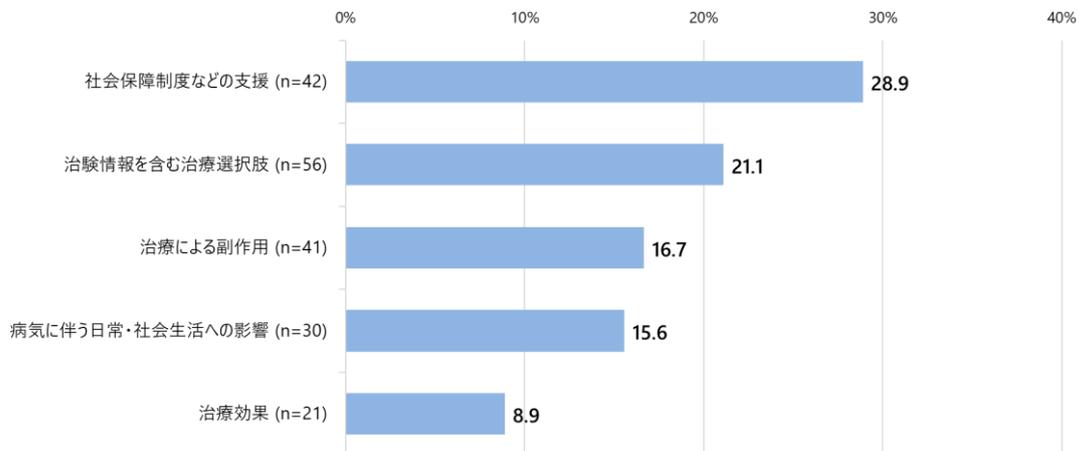
■ 設問：「治療開始直後」に、ご自身の病気について医師や医療従事者（看護師・遺伝カウンセラーなど）からどのような説明がありましたか？
また、その満足度をお知らせください。（単一回答）

■ 対象：「治療開始直後」の時期のことを覚えている人 417名



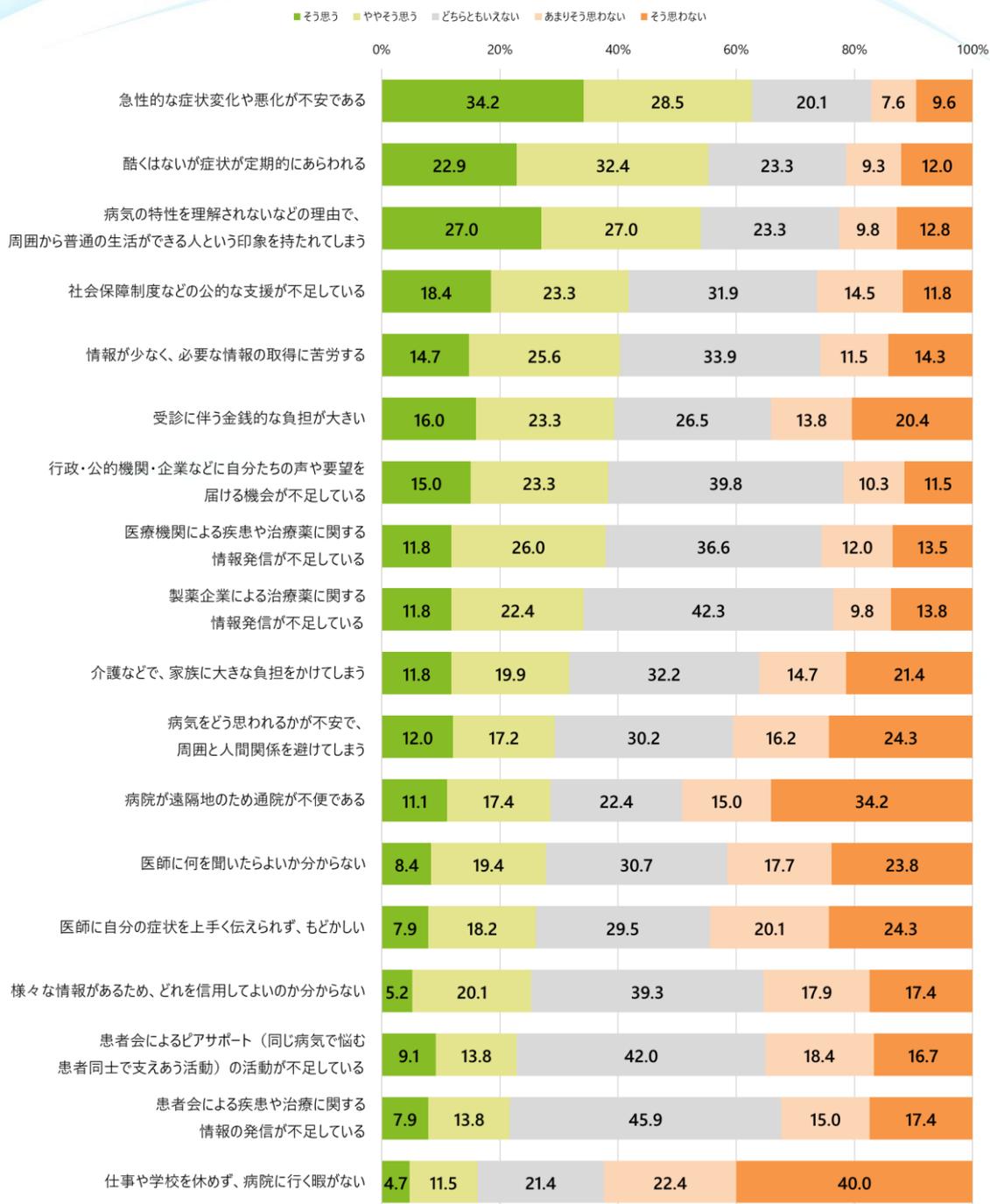
■ 設問：ご自身の病気について、前問で説明がなかった項目について伺います。以下の項目のうち、説明を受けたかったものをお知らせください。
（複数回答）

■ 対象：「治療開始直後」の時期に医師または医療従事者から説明を受けなかった項目がある人 90名
（各項目のn数は、説明がなかった人数。n数が30未満は参考値）

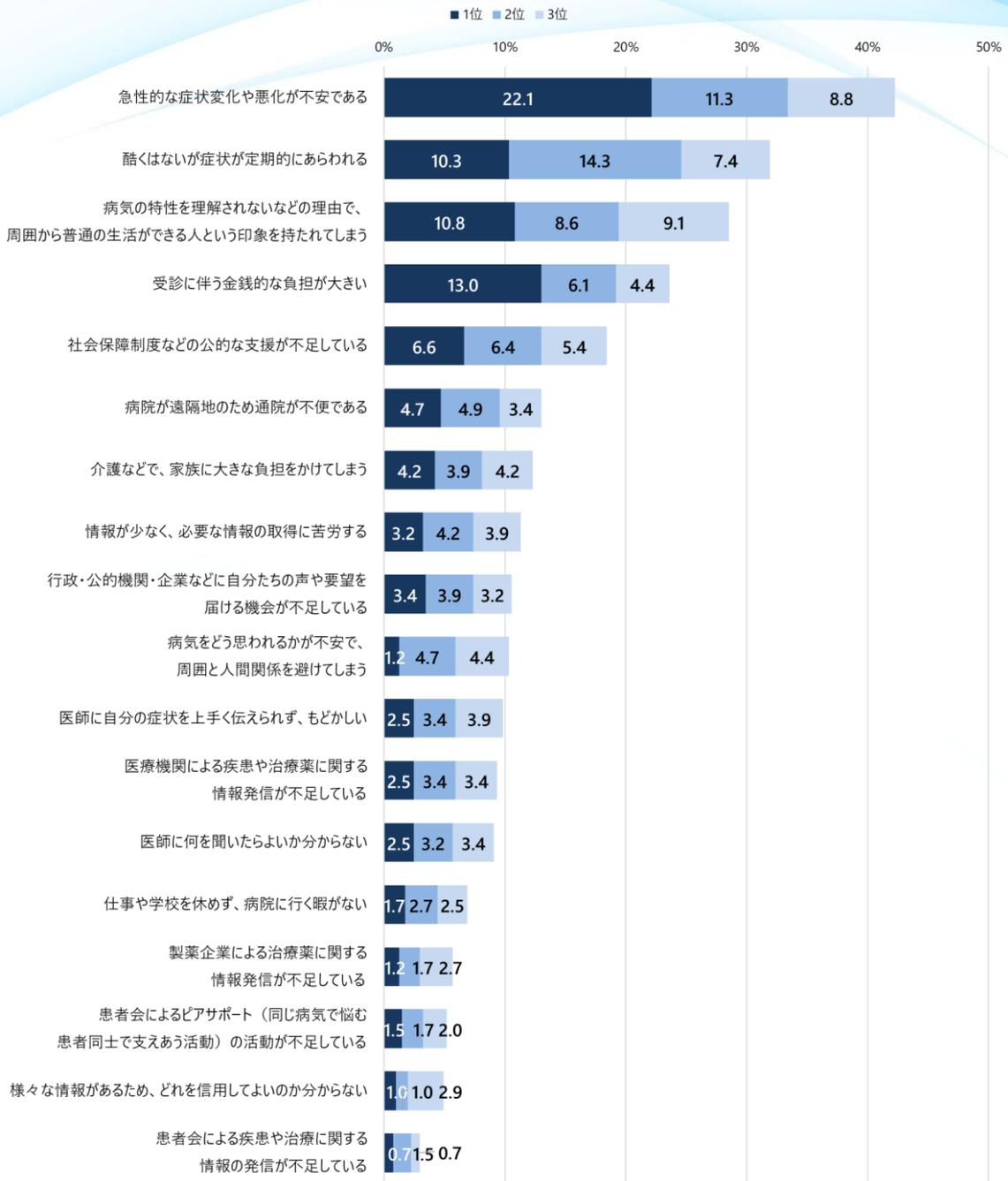


治療中・経過観察

■ 設問：「治療中・経過観察」における、ご自身の病気のお困りごとに対して、あなたの同意の程度を教えてください。（単一回答）
 ■ 対象：「治療中・経過観察」の時期のことを覚えている人 407名



■ 設問：「治療中・経過観察」における、ご自身の病気のお困りごとに対して、あなたが特に支援が必要と考える上位3つを教えてください。（単一回答）
 ■ 対象：「治療中・経過観察」の時期のことを覚えている人 407名



■ 設問：ご自身の病気について、「治療中・経過観察」の時期で、これまでご回答いただいた以外に、あなたが直面したお困りごと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141名)

医師との意思疎通がうまくできていない

症状が改善しない

薬の副作用が辛い

完治が不可能で、進行を抑える治療しかない

緊急時に対応できる近隣の病院がない

日常生活に支障をきたす

社会保険申請の手続きが大変である

病気が理由で就職が決まらない

将来への不安

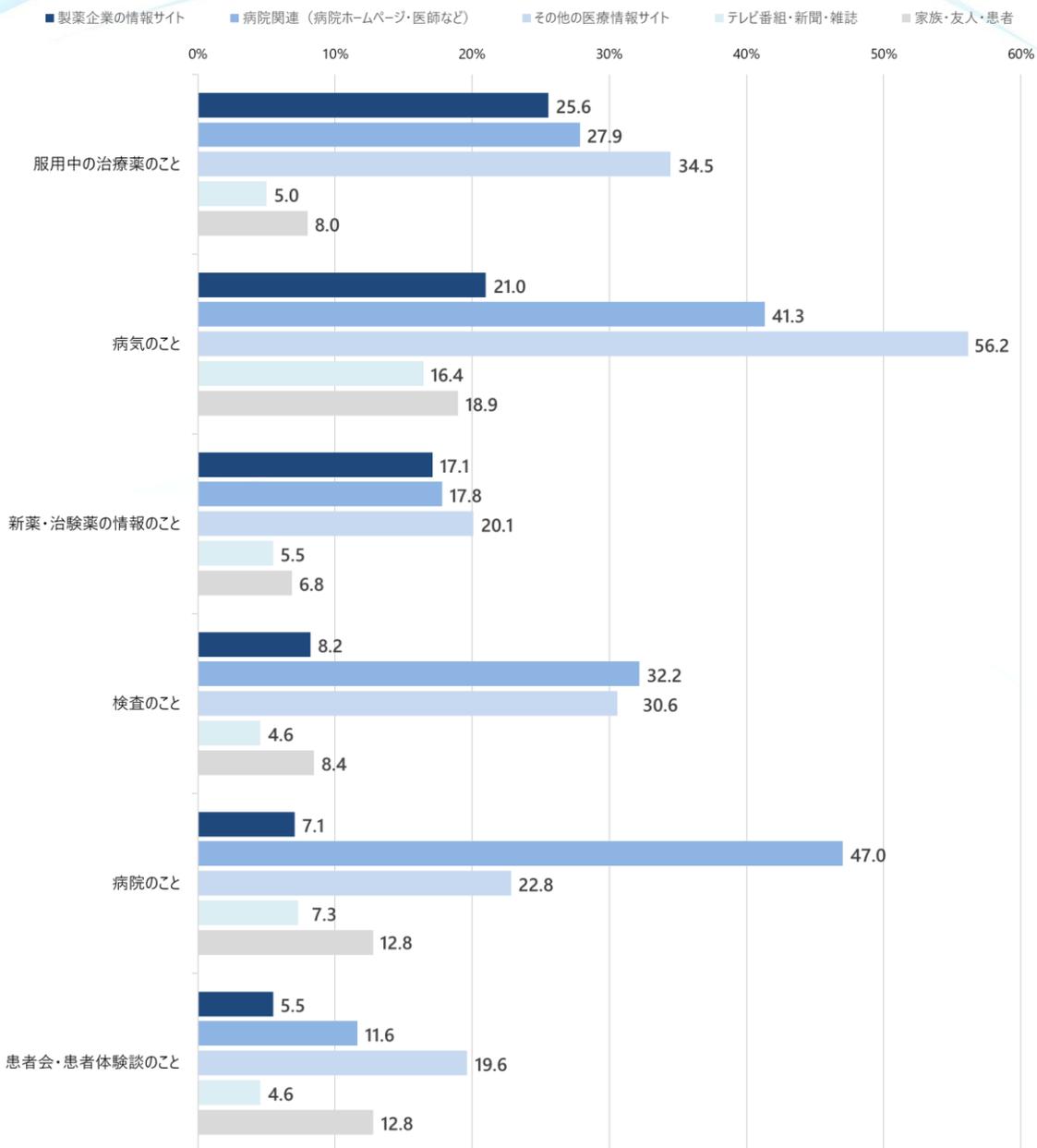
周囲の理解が得られない

頼る相手・相談する相手がない

※代表的なものを掲載

情報収集および情報発信に関する困りごと

■ 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。（複数回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名



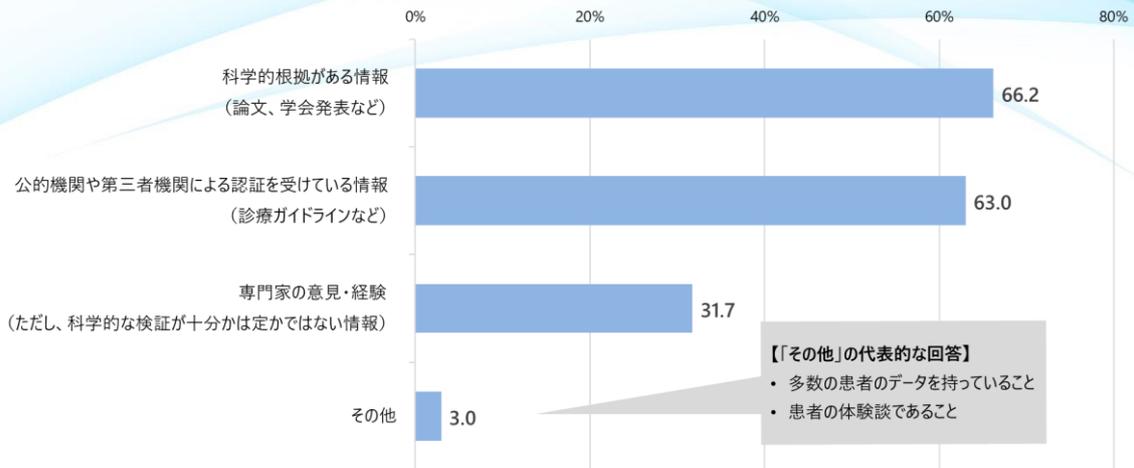
■ 設問：発症から現在に至るまでに、ご自身の病気について探した情報は満足できるものでしたか？（単一回答）
 ■ 対象：発症から現在までにいずれか調べたことがある人 390名（各項目のn数は、調べたことがある人数。n数が30未満は参考値）



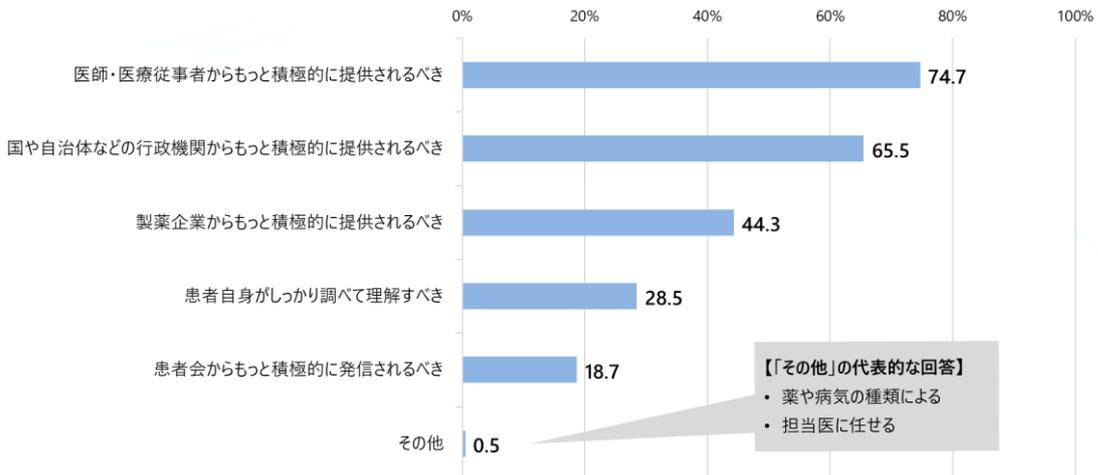
■ 設問：様々な関係機関・団体・企業が提供するご自身の病気の情報の信頼性について、あなたの考えに最も近いものをお知らせください。（単一回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名



■ 設問：様々な関係機関・団体・企業が提供する情報について、どのような認証や根拠がある情報であれば、信頼度が高いと思いますか？（複数回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名



■ 設問：近年、医薬品の開発は進歩しており、多くの難病・希少疾患の治療薬が世界中で開発されています。使用可能な治療薬や開発中の新薬の情報に関して、どうあるべきと思いますか？（複数回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名

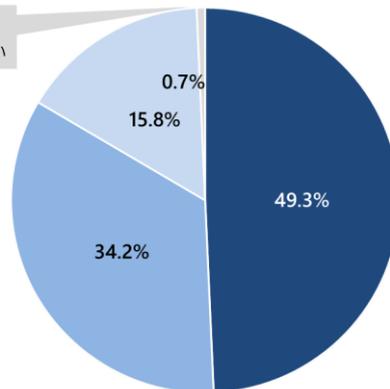


■ 設問：近年、医薬品の開発は進歩しており、多くの難病・希少疾患の治療薬が世界中で開発されています。しかしながら、医療用医薬品は、法律で一般の方への広告が禁止されています。医療用医薬品の広告が適正を欠いた場合には、国民の保健衛生上、大きな影響を与えるおそれがあるため、医療関係者を通じてそれらの情報が届けられています。こうした日本での状況をあなたはどのように考えますか？あなたのお考えに最も近いものをお知らせください。（単一回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名

- 不適切な広告や情報が提供される不安があるので、医療関係者を通じて情報を得たい
- 難病・希少疾患の専門とする医療関係者が少ないので、製薬企業からも直接情報を得たい
- どちらともいえない
- その他

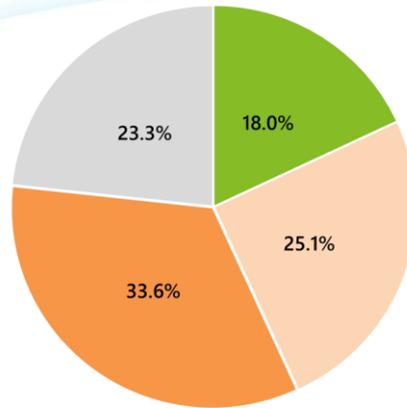
【「その他」の代表的な回答】

- ・ 医療関係者と製薬企業両方から情報を得たい

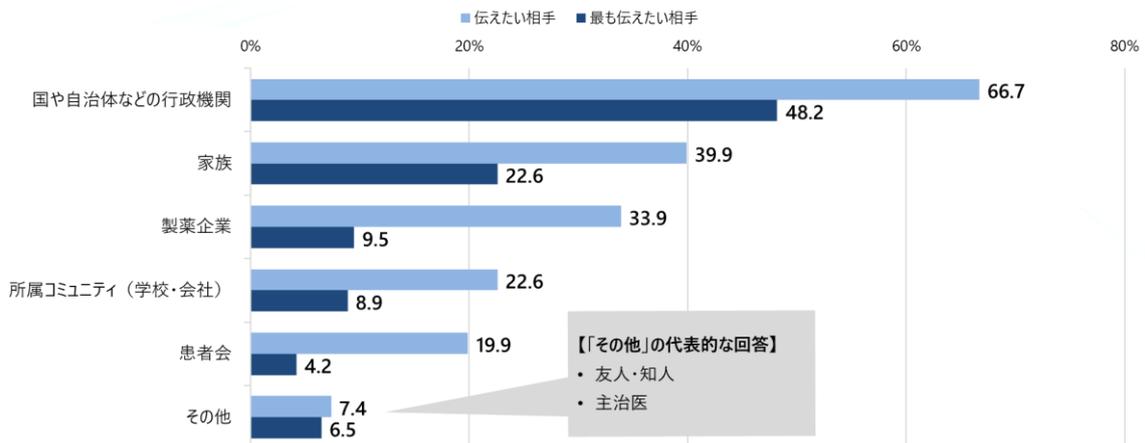


■ 設問：ご自身の病気について、あなたの意見や要望を誰か・どこかに伝えることができますか？あなたのお考えに最も近いものをお知らせください。
 (単一回答)
 ■ 対象：回答者全体 438名

■ 伝えることが出来ており、満足している ■ 伝えることが出来ているが、満足していない ■ 伝えることが出来ない ■ 伝える必要性を感じていない



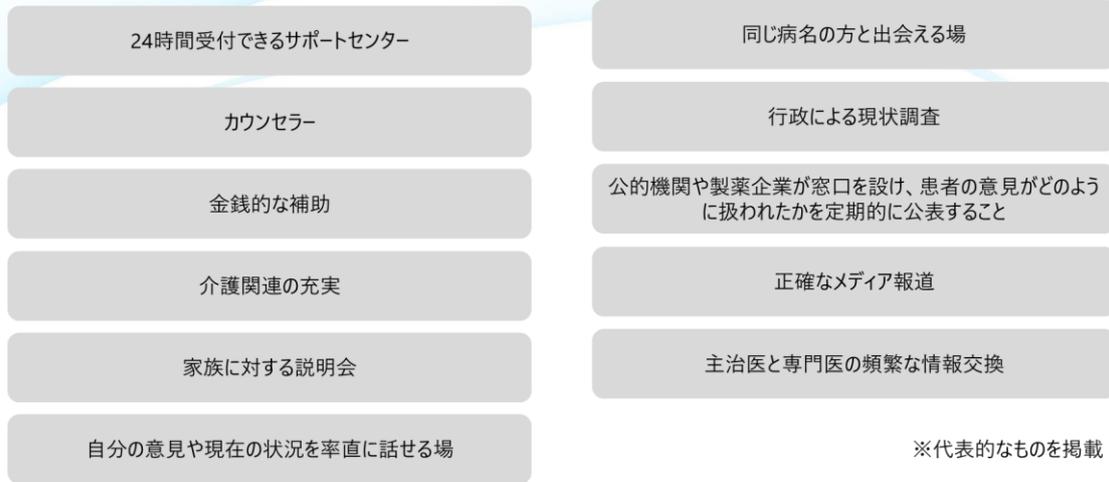
■ 設問：ご自身の病気について、あなたの意見や要望を伝えたい相手は誰ですか？また、最も伝えたい相手を1つお知らせください。
 / 伝えたい相手 (複数回答) / 最も伝えたい相手 (単一回答)
 ■ 対象：自身の意見や要望を伝える必要があると考えている人 336名



■ 設問：ご自身の病気について、あなたの意見や要望で、誰に、どのような内容 (課題感) を伝えたいですか？ (自由記述)
 ■ 対象：回答者全体 438名 (うち、回答数188名)

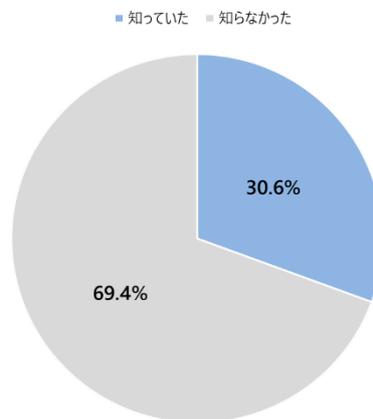
- | | |
|--|------------------------------|
| 行政へ、新薬の早期の承認 | 製薬企業へ、根本的な治療薬の開発 |
| 行政へ、特定医療費 (指定難病) 受給者証の発行のための検査がそもそも費用負担が大きいこと | 製薬企業へ、副作用の少ない薬の開発 |
| 行政へ、病気による支障があるが、障害者手帳の発行対象にはならない「制度の谷間」で苦しんだこと | 所属コミュニティへ、自分の出来ることと出来ないこと |
| 行政へ、病気の事を理解した上で雇用する企業で職に就けるようなシステム | 所属コミュニティへ、見た目では判断できない辛さがあること |
| 家族へ、私自身の病気についてもっと知って欲しいこと | 医師へ、将来が不安であること |
| 家族へ、気を遣って気持ちを伝えられないこと | |
- ※代表的なものを掲載

- 設問：ご自身の病気について、あなたの意見や要望を届けるために、どのような対策・サポートが必要ですか？（自由記述）
- 対象：回答者全体 438名（うち、回答数138名）

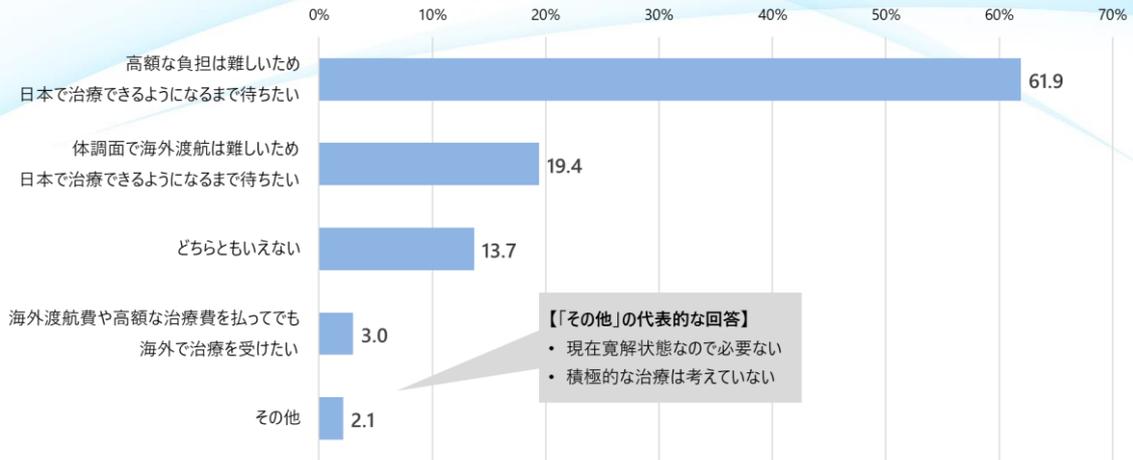


国内における治療薬の開発環境や動向に対する考え方や要望

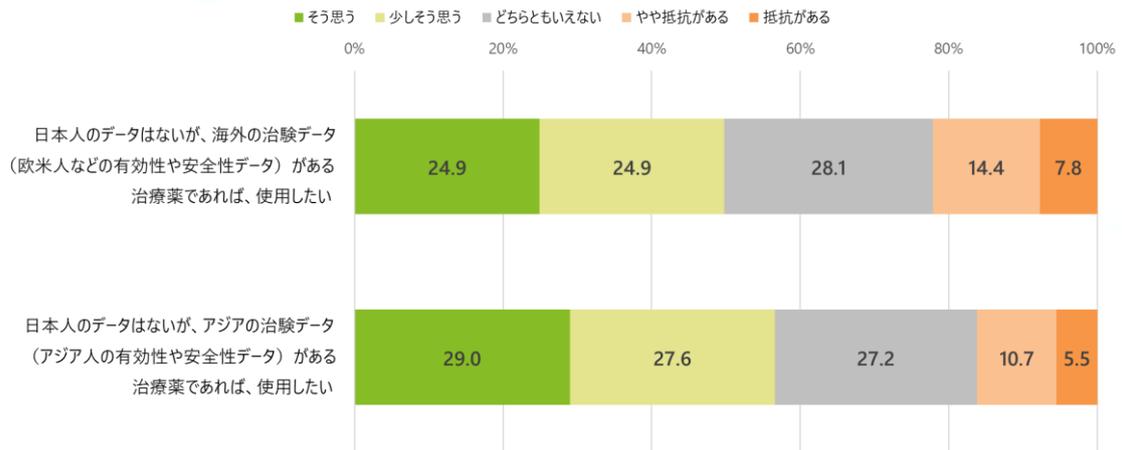
- 設問：あなたは、「ドラッグ・ロス」の問題を知っていましたか？以下の「ドラッグ・ロスに関する説明文」を読み、ご回答ください。（単一回答）
- 対象：回答者全体 438名



■ 設問：ご自身の病気の治療薬が、海外では使用できるが日本では使用できない場合（ドラッグ・ロスの場合）、治療に関するあなたのご意見に最も近いものをお知らせください。（単一回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名



■ 設問：「ドラッグ・ロス」の一因として、難病や希少疾患では、患者数が少ないために、日本で治験を実施しにくい（日本人データを取りにくい）ことが指摘されています。そこで、海外で有効性や安全性が確認されており、日本でも同様の有効性や安全性が期待される治療薬において、日本人以外の治験データ（有効性や安全性データ）を活用し治療薬を承認し、日本でも使用できるようにするという考え方も議論されています。あなたのご意見に最も近いものをお知らせください。（単一回答）
 ■ 対象：回答者全体 438名

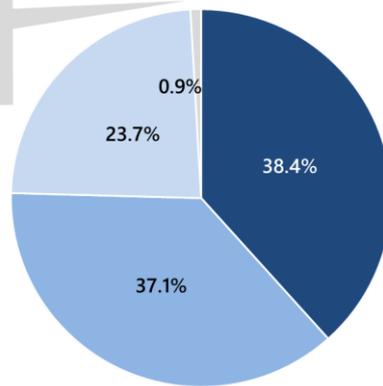


■ 設問：日本の治験データがない治療薬であっても、海外の治験データをもとに日本で使用できるようにし、その後に日本人のデータを収集して有効性や安全性を確認することで、日本の患者さんにいち早く必要な薬を提供するという考え方も議論されています。あなたの考えに近いものをお知らせください。（単一回答）
 ■ 対象：海外またはアジアの治験データがあれば使用したいかに対して、「どちらともいえない」～「抵抗がある」と回答した人 232名

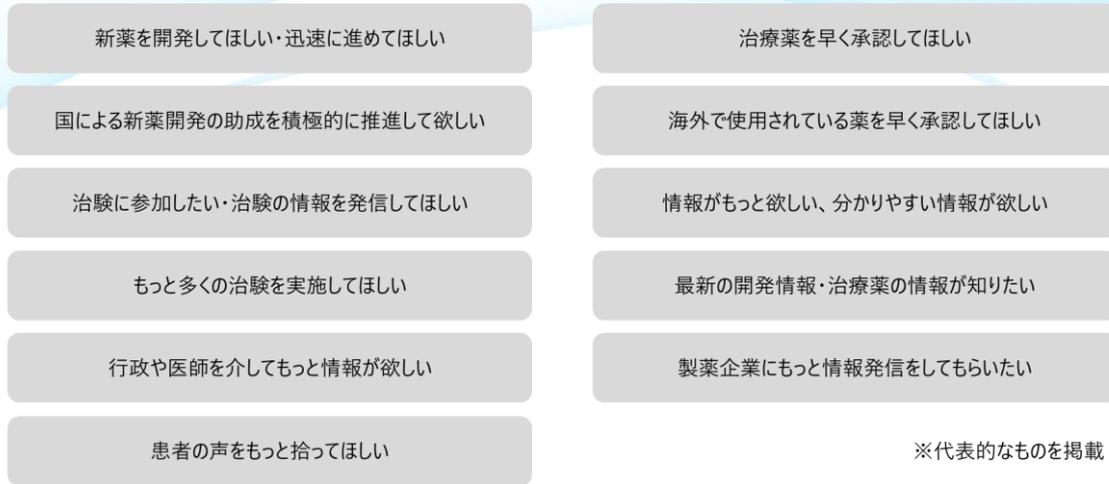
■ どちらともいえない ■ 海外での治験データ（有効性・安全性データ）があっても、日本人データがなければ日本で使用するべきでない ■ 海外での治験データ（有効性・安全性データ）があれば、日本でも使用できるようにして、市販後に日本人データを収集すれば良い ■ その他

【「その他」の代表的な回答】

- ・ 担当医と話し合って個人個人で使用する
- ・ 担当医に任せる

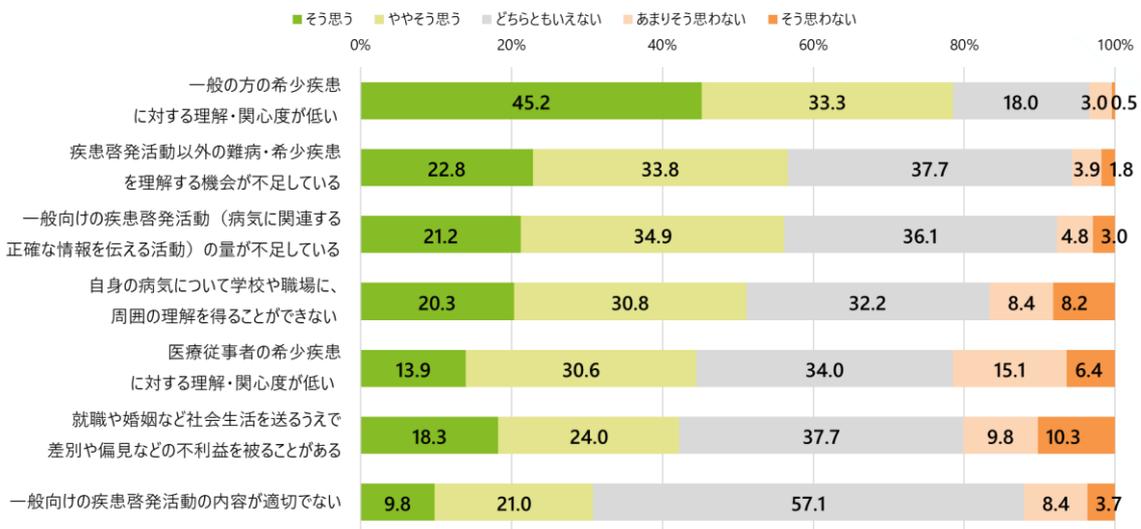


■ 設問：医薬品の開発に関して、行政機関(国や自治体など)や製薬企業などへの要望があればお知らせください。(自由記述)
 ■ 対象：回答者全体 438名 (うち、回答数210名)

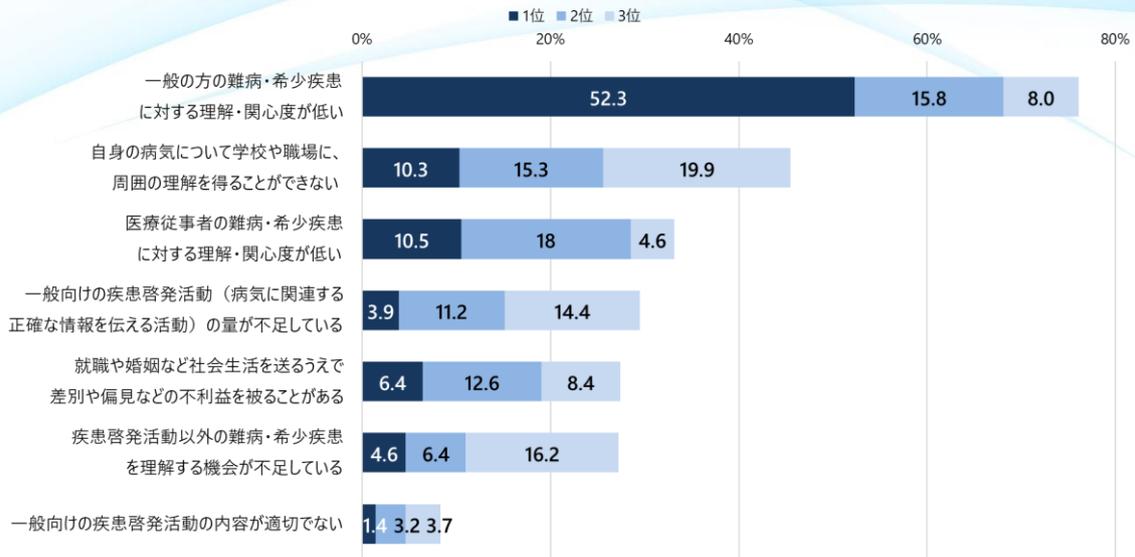


希少疾患に対する社会認知・理解状況

■ 設問：希少疾患に対する社会の認知・理解状況について、あなたの同意の程度を教えてください。(単一回答)
 ■ 対象：回答者全体 438名



■ 設問：難病・希少疾患に対する社会の認知・理解状況に対して、あなたが特に解決に向けて取り組むべきと考える上位3つを教えてください。
 (単一回答)
 ■ 対象：回答者全体 438名



■ 設問：難病・希少疾患に対する社会の認知・理解状況について、これまでご回答いただいた以外に、あなたが困っていることを解決するには、どのようなことが必要かお知らせください。(自由記述)
 ■ 対象：回答者全体 438名 (うち、回答数118名)

- | | |
|-----------------------------|-----------------|
| テレビ・ネットを用いた難病に関する啓蒙 | 学校などで患者による講演会 |
| 難病に関する情報を義務教育学習過程への追加 | 患者の声のデータベース作成 |
| 地方自治体の難病への理解の向上 | ヘルプマークの認知度向上 |
| 町内会などの小さな地域コミュニティから理解を広げていく | バリアフリーなど社会環境の整備 |
| 同じ境遇の有名人とのディスカッション | 援助方法の周知 |
| 患者本人からの発信 (YouTube等) | |

※代表的なものを掲載