

日本難病・疾病団体協議会(JPA) 3つのアンケート結果を発表 その2

② 難病の医薬品等の「適用拡大」についてのアンケート

難病は種類が多い一方で症例数が少ないという制約の中、開発が進みにくい医薬品、医療機器及び再生医療等製品の研究開発等を、患者の協力を得ながら積極的に支援する(「難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針」より)、とされている中、疾患により保険適用外となっている具体的な医薬品やそれらに関する要望について JPA 加盟団体に対してアンケート調査を実施した。

アンケートに対しては 31 の団体から意見が寄せられ、22 の団体から 26 の疾患について、適用拡大の要望が寄せられ、具体的な 20 の医薬品名が寄せられた。現在、難病対策課とも情報を共有し、疾病ごとにそれらの医薬品や治療法等が現在どのような検討状況であり、それに対して今後どう対応していくべきかを共に考え、課題解決にあたっていく予定である。

アンケート結果からは、結論として、難病や希少疾患からの適用拡大を求める声は切実であり、ドラッグラグロスの問題はその一例に過ぎないこと、また、その治験や審査の制度や状況等を、患者や患者団体が把握しづらい環境にあることも明らかになった。

このため、希少な難病の医薬品開発や治療研究の制度や体制の推進に当たっては、市民や当事者に分かりやすく情報が提供され、当事者も開発等の様々な段階で参加して、推進・共創していくことがあるべき姿であり、そのためには、関係するステークホルダーが協働して、障壁となっているものを取り除き体制を整えていく必要を提起していきたい。

アンケート概要と結果(質問 2(具体的な疾患や薬品名))については割愛)は次ページより

適用拡大についてのアンケート

実施対象: JPA 加盟・準加盟団体

実施期間: 2024/7/9-7/24

設問

(質問1)

現在の保険適用の治療方法(維持療法、重症化をさせない、または遅らせるものなどを含む)以外に既存の薬等による治療方法の拡大(適用拡大)を患者会として望んでいますか？

(質問2)

- ① 質問1の回答で回答種別3、4を選ばれた方にお聞きします。希望している薬剤名、および要望を出している場合は要望先をご記入ください。
- ② また、治験等が実際に始まっていることが患者会として把握されている分(薬剤名、治療法、製薬会社名等)があれば、下記に記入下さい。多数ある場合は(10 以上等)、患者会として注目しているものをお書きください。JRCT や医薬会社等へのリンクでも結構です。
- ③ また、日本では健保適用になっていないが諸外国では認められている治療法はありますか。患者会として把握されているもの(薬剤、治療法、製薬会社名等)があればお書きください。

(質問3-1)類縁疾患等に比べて、健保適用の治療法が少ないと感じていますか

(質問3-2)上記で3または4を選んだ方、その理由はなぜだと思いますか

(質問 4)適用拡大について自由意見をお書きください。

適用拡大についてのアンケート結果（有効回答数:35 団体数 31 疾患数 33）

回答結果:35 の回答が寄せられ集計した結果、31 団体から 33 の疾患についてアンケートが寄せられた。

（質問1）

現在の保険適用の治療方法（維持療法、重症化をさせない、または遅らせるものなどを含む）以外に既存の薬等による治療方法の拡大（適用拡大）を患者会として望んでいますか？

（結果 その1）

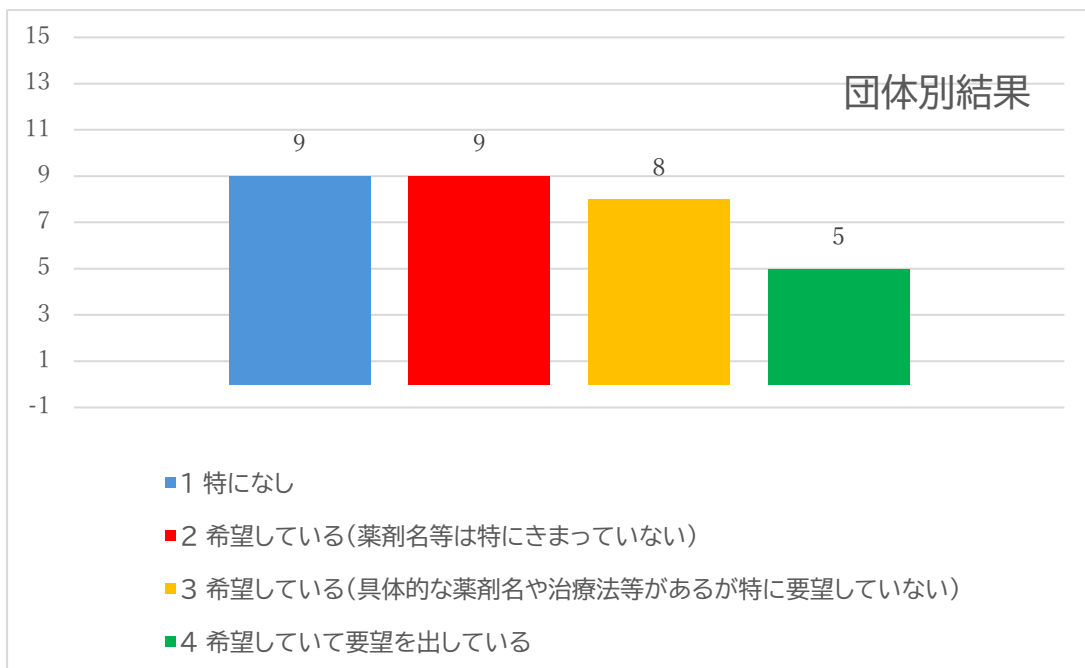
団体数 31 のうち適用拡大を希望している団体は 22(71%)であった。

そのうち、

回答種別4の、要望を出している団体 は 5 団体(23%)、

回答種別3の、要望は出していないが具体的な薬剤等を記載している団体は 8 団体(36%)、

回答種別 2 の、薬剤名は特に決まっていないが、適応拡大を希望している団体は 9 団体(41%)であった。



(結果 その2)

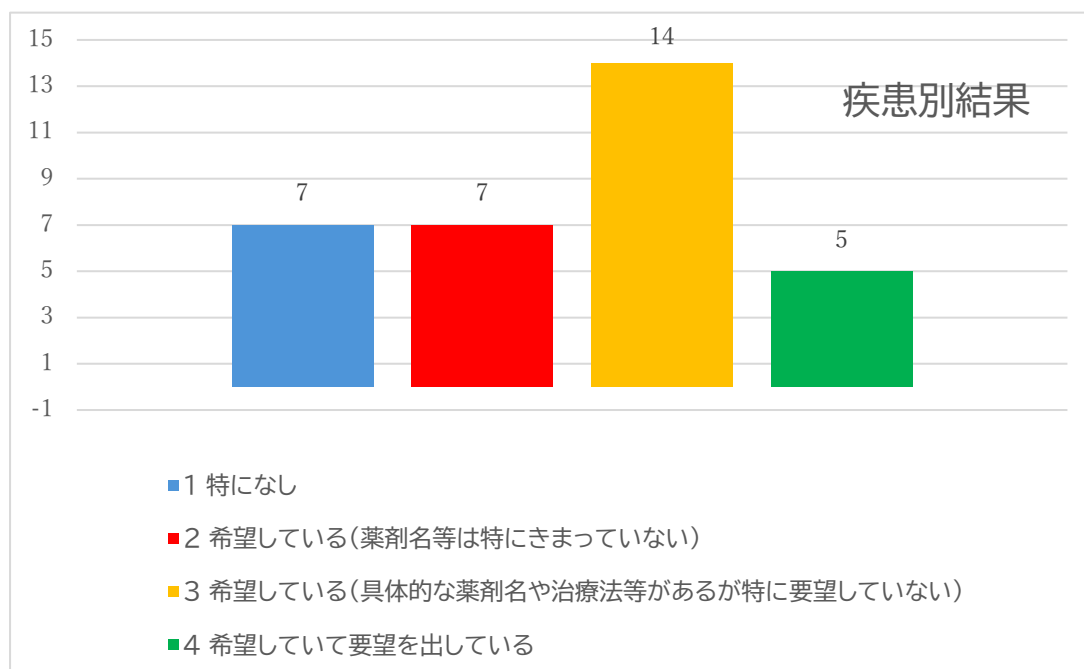
疾患別(回答数33)には、

特になしが 9 疾患

要望を出している疾患は 5 疾患、

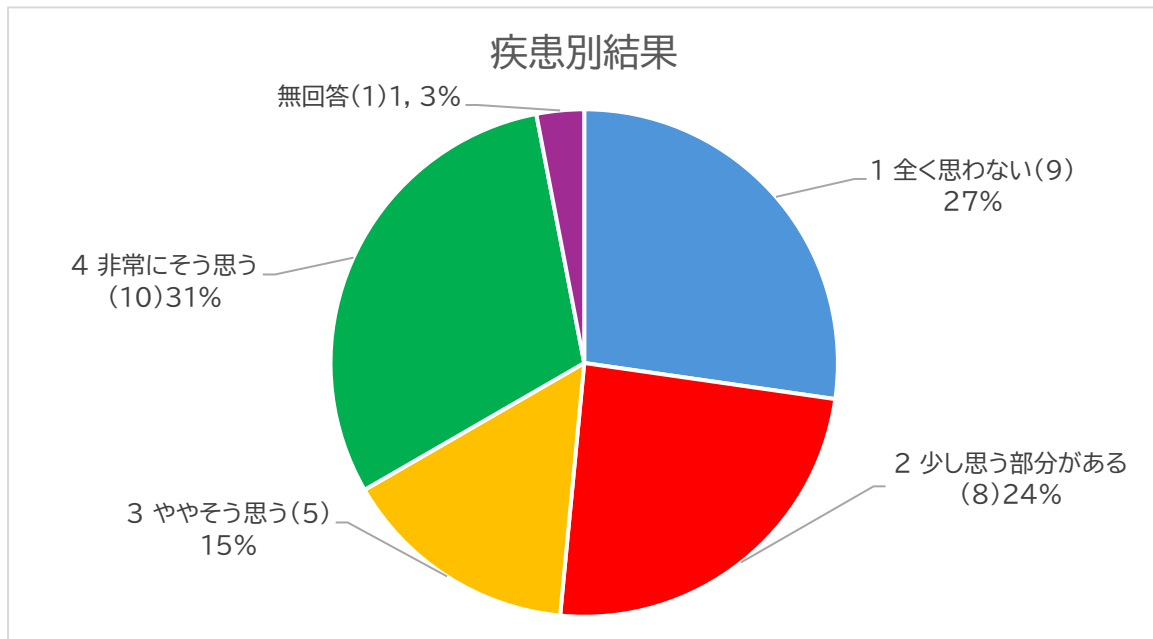
要望は出していないが具体的な薬剤等を記載している疾患は 14 疾患、

薬剤名は特に決まっていないが、適応拡大を希望している疾患は 7 疾患であった。



(質問3-1)類縁疾患等に比べて、健保適用の治療法が少ないと感じていますか

(結果)



- 全く思わない: 9 疾患
- 少し思う部分がある: 8 疾患
- ややそう思う: 5 疾患
- 非常にそう思う: 10 疾患

質問 3-2)上記で3または4を選んだ方、その理由はなぜだと思いますか

(結果)※似た内容は集約

- 希少疾患で患者数が少ないから(評価が難しい、製薬会社が費用を回収できない等) (10 疾患)
- 治験、申請承認にかかる期間が長すぎるから (2 疾患)
- 内臓疾患が主ではない疾患は緊急性が少ないためか臨床研究が後回しになっているように感じる(1 疾患)
- 似た疾患では治療薬が承認されているが、保険適用・適用外含めて治療法がない(1 疾患)
- 処置の保険適用が外されたため、処置の遅れや患者の身体的・金銭的負担が大きくなり、QOLが低下している(1 疾患)

(質問 4)適用拡大について自由意見をお書きください。

(結果)

【適用拡大を望む】(9)

- ・全く治療薬がないなか、たとえ治癒せずとも病気の進行を抑制するなどの効果が確認された既存薬について、適用拡大を心の底から望んでいる。安全性が確認され、安価であるのであればなおさらです
- ・適用拡大は患者にとっては希望に繋がります
- ・保険適用外の治療法は、選択肢としてあるに越したことはないと思うので、拡大を望みます逆に拡大しないことを望むケースってあるのですか？拡大を望むとデメリットがあったりするのでしょうか？
- ・薬や治療が適用拡大されれば、色々と気にすることなく、必要な治療をすぐに受けることができるのではないかと思う
- ・治療薬の保健適用を切に希望致します
- ・命に関わる疾患には、効果があると分かっているお薬は速やかに使用させてほしい
- ・病名がついているなら平等に医療を受けたい、治療方法があるのなら誰でも受けられる様になって欲しい
- ・世界的にスタンダードな治療法は、当然日本においても保険適用してほしい。仕方なく適応外薬を用いた際も、副作用等が起きた場合に正しく対応してほしい
- ・当疾患に限らず、保険適用外の治療法が海外で認められているものがあるのでしたら、日本国内での保険適用についての審議を早めていただきたいです

【現状の制度や仕組みについて】(6)

- ・世界中の多くの製薬企業で治療開発が行われていますが、外国企業による日本国内での治験が全く行われていない
- ・海外との共同治験や研究につながることを期待する。希少難治性疾患は患者数も少なく、オーファンドラッグの研究を国内だけで行う上では限界もある
- ・保険適用を拡大する前に、現在保険適用をされている薬剤の使用順序についての認識を医師が改める必要があるのではないだろうか
- ・成人してからも使用できたら嬉しい
- ・既存の薬剤を使っただけの治験は、通常の治験に比べればはるかに開発費が少なく済むものの、それでも希少疾患はやはり製薬会社がなかなか首を縦にふってくれないことがほとんどで、それが現実だと思

う

・規模の大きな製薬会社はそもそも小さな利益に対しては消極的だが、ベンチャーなどでは十分に利益を見込めるケースもあると聞いたので、そこをうまくつなげるような仕組みがあればと願う

【適用拡大されていないことによる悪影響】（5）

- ・診断に必要な検査すら保険収載されていない
- ・医師の認知度が低く一般と同様の処置をするため憎悪する
- ・稀少難病の全身疾患で厄介な事もあり患者の多くが診療拒否や誤診の経験があります
- ・根本的に治らなくても、生活の質が今より上がればいいと思う
- ・医療の充実は社会の安定につながるので、手厚いのは望ましいことだと思う

【医療コスト】（2）

- ・海外由来の高額な治療法や医薬品が増え、長期寛解を実感しています。但し、それを”コスト”として問題である、と謳われるのは論外だと考えます。
- ・治療の選択が増えるのは有難いが、医療費の増大が心配

【その他】（3）

- ・新薬には、危険な薬が多いため、不安なまま使用しているのが現状で日本では10人亡くなったというような情報が入ってくるので、不安であるが飲んでいるというのが現状。治験薬とか新薬には不安しかない。
- ・治験の結果がどうなったのか知りたい
- ・このアンケートは研究班とも相談し回答した。

以上