

患者の研究参画を考える ～希少・難治性疾患領域の中間機関として

西村 由希子

特定非営利活動法人ASrid

昨今、各国で研究開発が盛んとなっている希少・難治性疾患であるが、患者数自体も少ない上に、疾患についての専門家、医師や医療機関、疾患を研究する研究者、その薬を作る製薬会社など、様々な周囲の直接関係者(ステークホルダー)が少ない現状がある。さらに社会的認知度や情報も少なく、かつ、政策や制度からも抜け落ちていることが多い。また、介護や福祉などでも理解が少ないことも多い。

他方、欧米だけでなく日本でも、科学者自身が「社会が科学に抱く期待」を理解し、その理解促進に向け尽力することが重要であるとされるようになってきた。これにより、科学者「だけ」で研究を実施するのではなく、一般市民を含む科学者「以外」と様々な形で協力・連携するといった流れが生じている。患者の研究参画についての議論もこの流れに沿うものである。「患者会(もしくは患者・患者家族個人)が、学術研究に「協力もしくは連携」という何らかの形で広義に参画し貢献すること」については、患者や家族等がもつ経験値のインプットによって研究の新たな価値を発見することができる可能性があり、多くの関係者が期待している。しかし、実際に研究のスタートからゴールまでを患者と協働する事例はまだ少数である。特に、本発表で対象とする希少・難治性疾患領域は、疾患に関する先行研究が少ないことや必要な対象者数の確保が難しいといった領域特有の課題が存在する。だからこそ、患者・家族は自らの症状や経過・ケアに対して医療者や研究者よりも“Expert”化することもある(Budych, 2012)ことが指摘されている。

著者らは、希少・難治性疾患領域の課題を少しでも解消するために、間に入って繋ぐ存在が必要ではないか、という仮説を立てた。創薬開発研究の場合、「大学は研究を遂行し、企業は薬をつくり、国はそれを認め、患者は病気を治す(改善する)」という同じゴールにすべてのステークホルダーは向かっており、その間を円滑化すべく活動する、という考えである。特定非営利活動法人ASrid(アスリッド)は、このような希少・難治性疾患領域のステークホルダー間をつなげる中間機関として、2014年11月に設立した。ASridは、Advocacy Service for Rare and Intractable Diseases' multi-stakeholders in Japan”の略であり、「希少・難治性疾患分野における全ステークホルダーに向けたサービスの提供」を目的としている。

ASridは、広義の患者報告アウトカム(Patient-Reported Outcome, PRO)の利活用に向けた様々な調査研究プロジェクトや社会啓発活動、患者(会)支援活動等を実施している。研究としては、患者側が主体となって調査の方向性を決定し、研究者側が調査の方法論の提供や解析等の実務を担うかたちで、双方向の協働により研究実施する手法に取り組んでいる。本発表では、著者らが実施している患者研究参画の具体例を複数紹介する。また、中間機関としての活動が、「医療型短期入所施設の持続的運営に向けた社会保障の充実」「医療型短期入所施設における「遊び・学び」の要素の重要性の周知」につながっている事例についても紹介する。最後に、日本における「Patient Advocacy」活動について、著者の見解を述べる。