

特集：臨床試験・治験の登録制度と情報の公開・利用

<総説>

難治性疾患患者への臨床研究・治験に関する情報提供の重要性  
—精神・神経筋疾患患者への臨床研究・治験に関する情報利用実態と  
ニーズ調査の結果を中心に—

木村円, 武田伸一

国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター

Various tools to spread clinical research information for  
intractable disease patients: A survey on needs of appropriate  
information about clinical research/trials  
for neuromuscular disease patients

En KIMURA, Shin'ichi TAKEDA

National Center of Neurology and Psychiatry

抄録

国立精神・神経医療研究センターは、精神・神経・筋・発達障害の領域における治験・臨床研究を積極的に推進するナショナルセンターである。希少な難治性疾患の臨床研究基盤として重要なモデルとなる疾患レジストリーとして神経筋疾患患者情報登録Remudyを運用し、治験・臨床研究の進展のために効果的な情報提供を行っている。今回、保健医療科学院が運用する臨床研究・治験の情報を広く国民に提供するポータルサイトの改良をめざして、臨床研究・治験に関して精神・神経筋疾患患者および医療従事者が求めている情報、およびその入手方法に関する調査を、国立精神・神経医療研究センター(NCNP)病院の通院患者と医療従事者に加え、Remudyの登録者を対象に実施した。その結果、特に難治性疾患患者が臨床研究・治験の情報を強く求めており、インターネットを通じた情報提供の重要性が明らかになった。国民・患者が必要な情報を得ることができるシステムの構築および評価のために重要な基礎資料を提示することができた。

キーワード：希少疾患, 難病, ナショナルレジストリー, 臨床研究, Remudy

Abstract

The National Center of Neurology and Psychiatry uniquely promotes clinical research and trials for psychiatric and neurological disorders, muscular diseases, and developmental disorders. Specifically, we have successfully developed an infrastructure for clinical research in the rare disease field. Remudy, the national patient registry of neuromuscular diseases, is as important structural element and useful tool to

連絡先：木村円

〒187-8551 東京都小平市小川東町4-1-1

4-1-1 Ogawa-Higashi, Kodaira, Tokyo 187-8551, Japan.

Tel: 042-341-2711

Fax: 042-346-2309

E-mail: enkimura@ncnp.go.jp

[平成27年7月6日受理]

communicate crucial information regarding clinical research/trials, such as feasibility and recruitment, to registrants, families, medical providers, researchers, pharmaceutical industries, and regulatory agencies. Here, we present results of a survey from our hospital and a national registry on how patients, families, and medical workers obtain appropriate information about clinical research/trials. This survey was carried out as a part of a study conducted by Hajime Sato, the National Institute of Public Health, to understand the demands of those who need information regarding clinical research. Our data suggested that clinical trial information is strongly needed on the web, especially for those patients and families with rare and intractable diseases. The availability of correct and timely information of clinical research/trials by reliable public organizations is extremely important and necessary for this nation. This survey supplied useful information for the planning and renewal of the portal site for clinical research in Japan.

**keywords:** information tools, neuromuscular disease, rare disease registry, remudy, clinical trials, clinical research

(accepted for publication, 6th July 2015)

## I. 背景

国立精神・神経医療研究センターでは、病院、神経研究所、精神保健研究所、トランスレーショナルメディカルセンター等のセンター内センターを整備し、人材育成、バイオバンクの充実等による研究基盤の整備・強化、産学官等との連携強化、研究・開発の企画及び評価体制の整備、知的財産の管理強化及び活用推進、臨床研究機能の強化、倫理性・透明性の確保により、研究・開発を推進している。特に医療分野研究開発推進計画に基づき、臨床研究及び治験を進めるため症例の集約化を図り、医

療資源を有効に活用しつつ、臨床研究の質の向上、研究者・専門家の育成・人材確保、臨床研究及び治験のための共通的な基盤の共用、研究不正・研究費不正使用等防止への対応、患者との連携及び国民への啓発活動等への取組など更なる機能の向上を図り、基礎研究成果を実用化につなぐ体制を構築している。特に治験中核病院に指定されて以降、精神、神経・筋領域における治験・臨床研究を積極的に推進しており、2013年より臨床研究実施部門として臨床研究推進部を新たに設置、治験・臨床研究に関する情報を適切に開示するとともに、受診する患者への臨床研究に関する説明及び相談を組織的かつ効率



図1 センター病院の治験・臨床研究のウェブサイト



図2 Remudyのウェブサイト

的に行う体制を整備してきた [1].

これにより治験・臨床研究について分かりやすく解説するとともに、現在進行中の治験・臨床研究の簡単にアクセスできる (図1).

また疾患別の臨床研究ネットワークの取り組みが進行中であり、プリオン病の自然歴や病態解明、新規治療薬の開発などの臨床研究を目指す全国組織としてJACOP、パーキンソン病臨床研究支援を行うTeam J-paris、精神疾患について全国の基幹施設との第2相治験ネットワークを活用した多施設共同臨床研究体制、さらに筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク (MDCTN) を整備して、臨床研究や治験の情報を周知することに取り組んできた.

このような研究者・医療機関のネットワークが臨床研究を進めるための重要な取り組みとして疾患レジストリーの整備が重要である。NCNPでは、特に希少な難治性疾患レジストリーのモデルとして神経・筋疾患患者情報登録Remudyを整備してきた。これは、病態の根本に対する治療法である遺伝子標的治療薬 (エクソンスキッピング薬、リードスルー薬等) のグローバル臨床開発研究のために、希少な患者情報をできるだけ多く収集し、疫学、自然歴、介入によって改善することが予想される臨床的な指標、さらには診断や病態を反映し臨床試験のサロゲートマーカーとなり得るバイオマーカーの探索のための臨床研究基盤を整備する国際協調の取り組みである [2]。特に登録者・医療者・研究者や開発企業に向けて、公平・正確・迅速な情報提供を実施している。また、試験組み入れ条件を満たす可能性がある登録者 (患者) に直接、治験・臨床研究の情報を届ける機能は、試験リク

ルートのために極めて重要であり、高く評価されている。特に、ジストロフィン異常症の登録は、2015年4月30日現在、全国419の臨床医 (230施設) の協力を得、1,400名の登録依頼を受けている。登録のために必要な遺伝子解析サービスを提供し、国内外の研究者・臨床開発企業に対してTREAT-NMDなども通じて情報開示を行い、筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク MDCTN の基盤として、登録者に臨床開発研究や医療等にかかる情報を提供し、登録データの解析をおこない疫学・自然歴に関する等、診療のために有用な情報を提供している。2014年11月からRemudy Web登録システムを運用し、希少な難治性疾患への展開を円滑にすすめる方策を示してきた [3].

最新の登録情報、治験・臨床研究や医療に関する情報を発信している (図2).

登録依頼者数は順調に増加している。正確な遺伝子診断に基づく疾患レジストリーは、キュレーターと呼ばれる臨床、遺伝情報の専門家により情報の正確性が担保され、年1回の情報更新を行っている。治験・臨床研究の実施可能性の検討や参加者リクルートに関する情報提供／開示でも実績を上げている (図3).

現在、こういった臨床研究基盤を希少疾患の臨床開発研究全体へ展開していくことを目指して、厚生労働科学研究費補助金も受けて研究を展開している [4].

今回、国立保健医療科学院が運用する臨床研究・治験の情報を広く国民に提供するポータルサイトの改良のための研究の一環として、臨床研究・治験に関して精神・神経筋疾患患者および医療従事者が求めている情報お

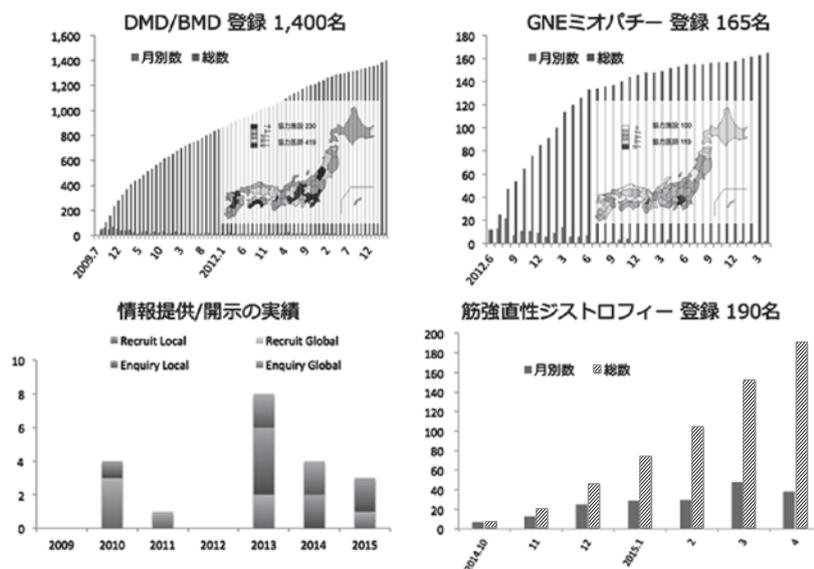


図3 Remudyの現状

およびその入手方法に関する調査を行い、その結果を報告する。

## II. 目的

国立保健医療科学院が運用する臨床研究・治験の情報を広く国民に提供するポータルサイトの改良 [5] のために、臨床研究・治験に関して精神・神経筋疾患患者および医療従事者が求めている情報およびその入手方法に関する調査を実施する。その結果を解析し、臨床研究・治験の実施状況等に関する情報を国民・患者が容易に検索できるシステムのプロトタイプの構築とその評価を行うための基礎資料を得ることを目的とする。

## III. 方法

自記式調査票を用いた郵送調査により、以下の調査を行った。

調査内容：調査票は、

1. 普段の医療情報および患者会からの情報の利用実態
2. 臨床研究に関する情報の利用実態
3. 臨床研究に関する情報提供の在り方
4. 基本的属性

より構成された[5].

調査期間は以下に示す通り。

- (1) ジストロフィン異常症と遠位型ミオパチーを対象とする神経筋疾患患者情報登録システム (Remudy) 登録者に向けて、2013年2月15日にRemudy事務局から郵送し配布した。但し、Remudy登録時に臨床研究・治験に関する情報提供を希望しない登録者には送付していない。同年3月15日を最終回収日とした。
- (2) NCNP病院外来患者に向けて、あらかじめ設定された期間に外来受付窓口を訪れた患者に対し、受付において調査票及び説明文書を配布した。調査期間は3月20日より開始し、最終回収日を4月10日とした。調査対象者が400名に達した時点で調査票の配布を終了した。
- (3) NCNP病院医療従事者に向けて、NCNP病院長に配布を依頼した。臨床研究や治験に関する経験の有無、職種等 (医師, 看護師, 検査技師, 臨床研究コーディネーター, 薬剤師, 理学療法士, 等々) によって大きな偏りがないように配布した。具体的には各部科長の協力の元、病院長と相談し調整を行った。外来患者を対象とした調査と同様に、3月20日より開始し、最終回収日を4月10日とした。

調査票の回収方法：「国立保健医療科学院政策技術評価研究部」宛てに回答者から、匿名で返送してもらうかたちで回収を行った。

解析結果は国立保健医療科学院政策技術評価研究部野口都美先生によるまとめより、特にRemudy登録患者

およびNCNP通院患者に関連するデータを提供され、詳細を解析し比較検討を行った。

(倫理面への配慮)

本研究は独立行政法人国立精神・神経医療研究センター倫理審査委員会の承認を得て実施した。患者情報登録システムRemudyに関しては、特に遺伝情報を含む個人情報を取り扱っており、倫理面への配慮、情報管理体制には万全の体制をとって実施した。

## IV. 結果

回収率は、神経筋疾患患者情報登録システム (Remudy) 登録者で42.7% (470/1,100), NCNP病院外来患者で42.8% (171/400), NCNP病院医療従事者で45.0% (45/100) であった。

以下、Remudy登録者およびNCNP病院外来患者のデータをまとめた (国立保健医療科学院政策技術評価研究部野口都美先生によるまとめより抜粋して再構成) [5]. 医療従事者については全体のまとめを参照されたい。

結果を表に示し、以下に特記すべき点を述べる。

性別では、Remudy登録患者は男性が82.7%, 女性が17.3%, NCNP通院患者は男性が42.0%, 女性が58.0% であった (表1)。

年代では、Remudy登録患者は10歳未満が12.5%, 10代が20.6%, 20代が21.1% であり、30代以下が71.7% であった。NCNP通院患者は、40代以上が69.6% であった。

Remudy登録患者の医療情報、臨床研究の情報の入手先として目立ったのは、患者会などのグループであった (医療情報 57.5%, 臨床研究・治験情報39.7%)。また臨床研究を調べた経験が在ると回答した中で、情報源として目立ったのは、患者会などのグループであった (33.8%)。また情報源ウェブサイトとして、47.1% が厚労省ウェブサイト、62.0% が医療機関ウェブサイトと回答した (表2, 3)。

またアクセス頻度も、週に1回以上が14.4%, 月に1回以上が33.7% であった (表3)。臨床研究・治験情報の望ましい提供方法・項目に関しては、インターネットサイトによる情報提供が望ましいと答えたものが71.2% であった (表4)。

難治性疾患患者への臨床研究・治験に関する情報提供の重要性

表1 回答者の基本属性

	Remudy患者 (n = 468)		NCNP通院患者 (n = 171)	
	n	%	n	%
性別				
男性	367	82.7	66	42.0
女性	77	17.3	91	58.0
年代				
10歳未満	50	12.5	10	7.1
10代	82	20.6	9	6.4
20代	84	21.1	14	9.9
30代	70	17.5	10	7.1
40代	78	19.6	22	15.6
50代	22	5.5	16	11.4
60代	9	2.3	28	19.9
70代	3	0.8	26	18.4
80代以上	1	0.3	6	4.3
学歴				
中学校	26	7.3	11	8.5
高等学校	146	41.2	37	28.7
短大・専門学校	47	13.3	25	19.4
大学	66	18.6	44	34.1
その他	69	19.5	12	9.3
職業				
自営業	7	1.8	7	5.2
会社員	71	18.4	14	10.5
公務員	12	3.1	4	3.0
主婦	32	8.3	37	27.7
学生	125	32.3	14	10.5
無職	109	28.2	38	28.4
その他	31	8.0	20	14.9
世帯収入				
300万円未満	126	30.4	47	29.4
300万円以上500万円未満	128	30.8	49	30.6
500万円以上800万円未満	115	27.7	36	22.5
800万円以上1,000万円未満	28	6.8	12	7.5
1,000万円以上	18	4.3	16	10.0

\* 表中のnおよび%は回答のあった者に対して表示

表2 普段の医療情報利用実態

	Remudy患者 (n = 468)		NCNP通院患者 (n = 171)	
	n	%	n	%
医師	443	95.9	165	98.8
看護師・薬剤師	236	52.9	113	71.5
患者会などのグループ	257	57.5	35	22.6
友人・家族	311	69.6	112	71.3
新聞・雑誌	319	70.9	107	69.5
医学系専門誌	116	26.0	45	29.4
自治体の相談窓口・ポスター	95	21.3	48	31.6
厚労省ウェブサイト	292	64.8	69	45.4
医療機関ウェブサイト	298	66.7	100	65.4
新聞社ウェブサイト	253	56.9	58	37.9
病気情報ウェブサイト	332	73.9	112	72.7
患者個人ウェブサイト	180	40.2	41	27.3
口コミ・掲示板	161	36.1	53	35.1
情報収集の目的				
自分の病気の状態を知るため	298	64.5	140	83.3
自分の病気の治療情報を知るため	225	48.7	115	68.5
現在の治療以外の薬の情報を知るため	200	43.3	71	42.3
自分の病気の先進・実験的治療を知るため	379	82.0	71	42.3
他の人の考えを知るため	86	18.6	25	14.9
不安を解消するため	109	23.6	57	33.9
その他	12	2.6	6	3.6

\* 表中のnおよび%は回答のあった者に対して表示

表3 臨床研究・治験情報の利用実態

	Remudy患者 (n=468)		NCNP通院患者 (n=171)	
	n	%	n	%
臨床研究聞いた経験・あり	425	91.2	120	71.0
情報源 (※臨床研究・治験の見聞き経験ありの者)				
医師から	280	65.7	56	47.1
看護師・薬剤師	12	2.8	7	5.9
患者会などのグループ	169	39.7	17	14.3
新聞・雑誌	168	39.4	52	43.7
医学系専門誌	17	4.0	3	2.5
学会・研究会	19	4.5	5	4.2
インターネット	217	50.9	39	32.8
その他	24	5.6	31	26.1
情報源ウェブサイト				
厚労省ウェブサイト	99	46.1	9	20.0
医療機関ウェブサイト	117	54.4	31	68.9
新聞社ウェブサイト	88	40.9	10	22.2
病気情報ウェブサイト	90	41.9	23	51.1
患者個人ウェブサイト	36	16.7	9	20.0
口コミ・掲示板	17	7.9	6	13.3
海外ウェブサイト	12	5.6	2	4.4
その他	6	2.8	1	2.2
臨床研究調べた経験・あり	356	80.2	77	47.2
情報源 (※臨床研究・治験を調べた経験ありの者)				
医師から	252	69.8	49	60.5
看護師・薬剤師	7	1.9	8	9.9
患者会などのグループ	122	33.8	12	14.8
新聞・雑誌	109	30.2	20	24.7
医学系専門誌	11	3.1	3	3.7
学会・研究会	18	5.0	5	6.2
インターネット	204	56.5	33	40.7
その他	8	2.2	7	8.6
情報源ウェブサイト				
厚労省ウェブサイト	98	47.1	4	10.8
医療機関ウェブサイト	129	62.0	29	78.4
新聞社ウェブサイト	87	41.8	10	27.0
病気情報ウェブサイト	78	37.5	25	67.6
患者個人ウェブサイト	32	15.4	5	13.5
口コミ・掲示板	22	10.6	4	10.8
海外ウェブサイト	14	6.7	3	8.1
その他	6	2.9	1	2.7
収集目的				
一般的な臨床研究情報収集のため	141	37.2	25	31.3
治療中の病気の臨床研究を知るため	337	88.9	61	76.3
広く臨床研究情報を知るため	45	11.9	16	20.0
その他	8	2.1	6	7.5
目的は達成されたか・はい	222	59.4	51	63.8
目的は達成されたか・いいえ	152	40.6	29	36.3
目的が達成されなかった理由				
知りたい情報が提供されていなかった	95	65.5	20	71.4
知りたい情報が検索できなかった	42	29.0	4	14.3
サイトのデザイン・構成がわかりにくかった	18	12.4	1	3.6
その他	20	13.8	7	25.0
臨床研究ポータルサイトアクセス経験				
なし	259	60.0	45	41.6
厚労省提供ポータル	24	5.6	2	2.6
医療機関ポータル	130	30.1	29	37.7
国立がんセンターポータル	17	3.9	1	1.3
日本医師会ポータル	13	3.0	2	2.6
JAPICポータル	7	1.6	2	2.6
UMINポータル	30	6.9	3	3.9
NIPHポータル	9	2.1	3	3.9
その他ポータル	19	4.4	1	1.3
アクセス頻度				
週に1回以上	27	14.4	1	2.7
月に1回以上	63	33.7	6	16.2
2-3ヶ月に1回以上	80	42.8	21	56.8
その他	17	9.1	9	24.3
アクセス経路				
医師・医療関係者から教えてもらった	45	24.5	18	25.4
臨床研究などキーワード検索	95	61.6	23	32.4
組織名から直接アクセス	11	6.0	5	7.0
医療機関からのリンク	53	28.8	18	25.4
国病・国研からのリンク	70	38.0	18	25.4
厚労省ページからのリンク	5	2.7	4	5.6
その他	12	6.5	16	22.5

\*表中のnおよび%は回答のあった者に対して表示

表4 臨床研究・治験情報の望ましい提供方法・項目

	Remudy患者 (n = 468)		NCNP通院患者 (n = 171)	
	n	%	n	%
臨床研究情報の望ましい提供方法				
インターネットサイトによる	327	71.2	98	58.3
病院・役所での配布物による	250	54.5	119	70.8
かかりつけ医などから直接	393	85.6	135	80.4
特に情報の提供は必要ない	2	0.4	1	0.6
その他	13	2.8	4	2.4
インターネットでの望ましい臨床研究情報の提供主体				
医療機関ウェブサイト	363	80.5	140	85.4
厚生労働省ウェブサイト	252	55.9	67	40.9
自治体ウェブサイト	124	27.5	55	33.5
製薬企業ウェブサイト	139	30.8	29	17.7
その他	29	6.4	9	5.5
インターネットでの望ましい臨床研究情報の項目 (必要と回答した者)				
専門用語による検索	236	53.6	68	44.2
日常用語による検索	395	88	140	88.1
地域検索	367	83.6	124	81.0
病院名検索	428	95.3	145	92.4
参加基準の適合検索	413	91.4	131	82.9
倫理的配慮があるかわかる	347	77.1	127	80.9
費用負担がわかる	429	94.5	146	92.4
副作用リスク	439	96.5	153	95.0
途中経過がわかる	441	96.5	141	89.8
試験結果がわかる	446	97.8	147	93.6
参加後サポート・フォロー	427	94.1	142	89.9
臨床研究教育の望ましい時期				
学校教育 (義務教育)	137	29.9	55	33.1
高等学校・大学	152	33.1	60	36.1
生涯学習 (市民講座など)	105	22.9	42	25.3
病院など必要な際に	329	71.7	113	68.1
その他	3	0.7	4	2.4

\*表中のnおよび%は回答のあった者に対して表示

## V. 考察

今回のデータ解析により精神・神経筋疾患患者が求めている臨床研究情報の利用実態と情報提供の在り方について、利用者視点での情報ニーズや問題点が明らかにされた。

特に注目すべき点として、NCNPの通院患者と比べてRemudy登録患者は、1) 医療、臨床研究・治験に関する情報の入手先として、患者会などのグループや、厚生労働省ウェブサイト、医療機関ウェブサイトを高い頻度で利用していること、2) 臨床研究・治験に関する情報提供方法としてインターネットサイトによる形を多く望んでいることが明らかになった。Remudyの登録対象の大半を占めるジストロフィン異常症が若年男性に多く、また運動機能障害を伴うために移動手段が制限される環境にあり、インターネットによるコミュニケーションに慣れていることが理由の一つと考えられる。また、希少な難治性疾患であり患者が強く根治的な治療法の開発を目指した臨床研究・治験の情報を望んでいることも反映している可能性が高い。限られた対象患者集団の意見ではあるが、医療の恩恵を受けることが極めて乏しく、医療に対

する要求が高い難治性疾患・希少性疾患 (約7,500種類ともいわれる) の期待の現れでもあると考えられる。またRemudyでは、紙媒体を用いた情報提供「Remudy通信」の発行も実施しているが、一つの方法だけに依存することのない情報提供の形は、多様な患者・医療者の要望に応えることの必要性を示している。調査研究の結果を医療者、研究者だけでなく、登録者、病院通院患者を含めて共有し、よりよいコミュニケーション手段の提案に活用していくことが重要である。

また今回の研究全体では、一般の患者集団と共に、患者会・支援団体を中心とした調査も同時に実施されており、患者同士のコミュニケーションが重要である点もクローズアップされた。国民・患者にとって望ましい情報提供・提供体制の形と今後の臨床研究情報の在り方について検討を進めるための重要なデータを提示している。

## VI. 結論

本研究の成果により、国民・患者が神経・筋疾患領域の治験・臨床研究について求める情報およびコミュニケーションの手段について検討すべき手がかりが得られた。

## 謝辞

本研究に参加されたNCNP病院通院患者の皆さま, Remudy登録者の皆さま, NCNP病院職員の皆さま, ご協力いただきました関連の皆さまに深謝申し上げます。本研究は, 平成25年度厚生労働科学研究費補助金/医療技術実用化総合研究事業(臨床研究基盤整備推進研究事業)国民・患者への臨床研究・治験の普及啓発に関する研究(H24-臨研基-一般-004), 平成25年度精神・神経疾患研究開発費23-4「遺伝性神経・筋疾患における患者登録システムの構築と遺伝子診断システムの確立に関する研究」, 平成26年度精神・神経疾患研究開発費26-7「国際協調に基づく臨床研究基盤としての神経筋疾患ナショナルレジストリーの活用と希少な難治性疾患への展開を目指した研究」, 平成26年度厚生労働科学研究費補助金(難治性疾患等政策研究事業(難治性疾患政策研究事業))「難治性筋疾患の疫学・自然歴の収集および治療開発促進を目的とした疾患レジストリー研究」(H26-難治等(難)-一般-086)によって実施された。

## 利益相反

本研究に関連して, 開示すべき利益相反関係にある企業等はありません。

## 参考文献

- [1] 独立行政法人国立精神・神経医療研究センター. 2013年度病院年報(第27号). 2014;27:1-187.
- [2] Nakamura H, Kimura E, Mori-Yoshimura M, et al. Characteristics of Japanese Duchenne and Becker muscular dystrophy patients in a novel Japanese national registry of muscular dystrophy (Remudy). *Orphanet J Rare Dis.* 2013; 8 :60.
- [3] 木村円, 代表研究者. 精神・神経疾患研究開発費「遺伝性神経・筋疾患における患者登録システムの構築と遺伝子診断システムの確立に関する研究」(23-4)平成23-25年度総括研究報告書.
- [4] 木村円, 研究代表者. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患等政策研究事業(難治性疾患政策研究事業)「難治性筋疾患の疫学・自然歴の収集および治療開発促進を目的とした疾患レジストリー研究」(H26-難治等(難)-一般-086)平成26年度総括・分担研究報告書.
- [5] 佐藤元, 研究代表者. 厚生労働科学研究費補助金/医療技術実用化総合研究事業(臨床研究基盤整備推進研究事業)「国民・患者への臨床研究・治験の普及啓発に関する研究」(H24-臨研基-一般-004)平成24-25年度研究報告書.