

「医学・医療のための ICT を用いたエビデ ンス創出コモンズの形成と政策への応用」

ーステークホルダー間の熟議と共創による
これからの政策形成を目指してー

加藤和人

大阪大学大学院医学系研究科 教授

「医学・医療のための ICT を用いた エビデンス創出コモンズの形成と政策への応用」

－ステークホルダー間の熟議と共創によるこれからの政策形成を目指して－

加藤和人

Kazuto Kato
大阪大学大学院医学系研究科医の倫理と
公共政策学・教授

古結敦士

Atsushi Kogetsu
大阪大学大学院医学系研究科医の倫理と
公共政策学・助教

磯野萌子

Moeko Isono
大阪大学大学院医学系研究科医の倫理と
公共政策学・博士課程大学院生

相京辰樹

Tatsuki Aikyo
大阪大学大学院医学系研究科医の倫理と
公共政策学・博士課程大学院生

山本ベバリーアン

Beverley Anne Yamamoto
大阪大学大学院人間科学研究科・教授

本研究の目的は、難病・希少疾患を中心とする医学・医療政策を対象とし、ステークホルダーの視点を反映した政策のためのエビデンスを創出し、その方法の実証することである。そのために、具体的な方法として「エビデンス創出コモンズ」と称する、患者・研究者・政策関係者がエビデンス創出に向けて継続的に熟議を行う「場」を構築し、ステークホルダー間の共創によりエビデンスを創出した。その結果、生活面や心理面をはじめとする難病患者が直面する多面的な困難が整理・視覚化された。その上で、その困難を研究テーマとして捉え、優先して取り組むべき研究テーマを明らかにした。また、本研究で用いたエビデンス創出のための方法論と、創出されたエビデンスの政策実装に向けたプロセス、及びそれら全体を通じた実践が参加者にとってのキャパシティビルディングの場となることを「3 ステップメソッド」という一般化可能なモデルとして提案する。

1. はじめに

医療・医学研究政策において、患者の視点を取り込んだ新しい政策形成手法の必要性は世界的に認識され始めている。英国などでは、医療や医学研究を患者と「共に進める」ことが国の政策となっている（For patients から With patients へ）^[1]。

我が国の難病対策は 1972 年に策定された難病対策要綱に端を発する。当初は 4 疾病であった医療費助成の対象は 56 疾病まで拡大されたが、予算事業であるがゆえの限界を迎えつつあった^[2]。その後、2014 年に「難病患者の医療等に関する法律」（難病法）が成立し、2015 年 1 月には 110 疾病が医療費助成の対象となり、現在はさらに拡大して 338 疾病となっている。このような難病法の成立過程には、患者会を中

心とした運動が契機となっている^[3]。しかしながら、こうした動きは重要であることは論を俟たないが、ともすれば陳情型で意見を伝えることに終始してしまいかねない。さらに、患者会をもたない疾病の患者や、患者会活動が活発ではない疾病の患者の声も政策に反映させられるかは今後の課題といえる。我が国ではこれらの政策分野での患者参画は必ずしも十分とは言えない状況にある。医学研究を支援する政府のプログラムの設計に関しても、主として政策担当者と研究者によって行われてきており、患者や市民の視点を取り込む仕組みは存在しない。

難病の研究体制としては、厚生労働省による難治性疾患克服研究事業と日本医療研究開発機構（AMED）による難治性疾患実用化研究事業の二つ

が行われている^[4]。しかし、これらの事業によって実施される研究は、研究の方向性や実施体制、研究計画の立案が政策担当者と研究者によって決定されており、患者の声が反映されているとは言い難い。その結果、必ずしも最終的な患者の利益につながらない研究も散見されるように思われる。つまり、「どのような研究を」「どのように」進めていくかについて、当事者である患者の声を反映させる仕組みづくりが喫緊の課題である。

2. プロジェクトの目標とリサーチ・クエスチョン

プロジェクトの目標は難病・希少疾患領域を中心とした、医学・医療に関する政策形成に資するエビデンスと、その創出にあたりステークホルダーの視点を反映させるための方法論を確立することである。

研究を実施するにあたり、①「ステークホルダーの視点」を反映した「医学・医療政策のためのエビデンス」を創出するための効果的な方法や評価方法は何か、②得られたエビデンスのうちどのようなものが政策策定に有効か、③情報通信技術（ICT）をどのように利用すれば関与者同士の共創を実現できるか、という3つのリサーチ・クエスチョンを設定した。

なお、本研究では、「エビデンス」を「政策形成の際に参照可能な情報」と定義した。

3. アプローチ

3-1. 「エビデンス創出コモンズ」の構築

本研究では、ステークホルダーの視点を反映した政策形成のためのエビデンスを創出する方法として、患者、研究者、政策関係者（本研究では行政経験を有する者をこのように呼んでいる）がエビデンス創出に向けて継続的に熟議を行う場（「エビデンス創出コモンズ」、以下「コモンズ」と記載）を構築することを目指した。

「コモンズ」の参加者は、研究チームが主催する RUDY JAPANⁱ（希少疾患を対象とするインターネット上の研究プラットフォームで、患者参画型の医学研究を展開している^[5]）を中心とするネットワークを用いて募集した。

「コモンズ」では、継続的にワークショップを開催し、参加者は各ワークショップで設定されたテーマ

に沿って議論を行った。また、ワークショップのテーマ設定や議論の方法についても参加者の意見を反映させながら修正することで、本研究のプロセスの改善に繋げた。

3-2. 「コモンズ」におけるエビデンス創出

「コモンズ」におけるエビデンス創出は、(1) 患者が直面する困難の抽出、(2) 優先すべき研究テーマを判断するための基準の検討・選定、(3) 判断基準の適用による優先順位設定という3つのステップに分けて行われた。なお、(2)以降は、(1)で抽出された困難を今後研究として取り組むべき「研究テーマ」として捉えることで議論を進めている。さらに、(4) 優先すべき研究テーマにおける具体的な研究内容についての探索的検討も行った。その具体的内容を順に説明する。

(1) 論点抽出—患者が直面する様々な困難の把握

2019年3月に大阪大学・中之島センターにおいて、各ステークホルダーが参加する対面式のワークショップを開催した。参加者は7疾患領域の患者・患者グループ関係者13名、研究者12名、政策担当者3名の計28名であった。ワークショップは、「難病を抱える患者が困っていることは何だろうか？」という課題と、「そのために、何ができるだろうか？」というそれに対する解決策をテーマとし、手法は中川らによる「論点抽出カフェ」^[6]を参考とした。

まず、個人が10分間で黄色の付箋に課題を、赤色の付箋に解決策を書き出していき、次の20分を使ってグループで似たような内容を集めて整理するワークを行った。その後、再度5分間で青の付箋に先ほどのグループワークを受けて思いついた解決策について、個人で書き出してもらい、最後にもう一度グループで整理・検討を行った（図1）。本研究においては、そのうち課題（「希少難病を抱える患者が直面する困難」）に着目して分析を行った。分析では、1つ1つの付箋をKJ法^[7]を参考にして、コーディングと分類を行った。その後、2019年11月にオンラインワークショップを実施した。患者・患者グループ関係者5名、研究者12名、政策関係者2名の合計19名が参加し、その分析結果のまとめ方についての検討を行った。

(2) 優先すべき研究テーマの判断基準の検討と選定
次に、2019年12月から2020年1月にかけて、3回のオンラインワークショップを開催し、抽出された「難病患者が抱える課題」の課題項目を「研究テーマ」として捉えた際に、「どのような研究テーマに優先して取り組むかを考えるための判断基準」を検討した（各回8~12名が参加）。これに先駆けて、「どのような研究テーマに優先して取り組むかを考えるための判断基準」の案を募集した。この結果を元に、オンラインワークショップで意見交換を行い「判断基準」の候補を作成した。

その後、参加者を対象に候補となる判断基準のうち、「特に重要だと思われる判断基準」10個を選ぶ投票をオンラインで実施した。その結果を元にして、どの判断基準を優先して適用するかについての検討を行った。

(3) 判断基準の適用による優先順位設定

2020年1月および2020年9月~2021年1月に計7回のオンラインワークショップを開催した（各回6~18名が参加）。そこでは、(2)で選定された8つの「判断基準」を実際の「困難=研究テーマ」に適用するための議論を行った。ワークショップの中では、まず各自が5~10の「判断基準によく当てはまる困難=研究テーマ」を選択した。その上で、意見交換を行いながら全体として「よく当てはまるもの」「まあまあ当てはまるもの」「あまり当てはまらないもの」の3つの分類した。参加者の人数に応じて、少数の時は全体でワークショップを進め、参加者が多い回はいくつかのグループに分かれて検討を行った。

(4) 具体的な研究内容の探索的検討

難病患者が抱える困難を「研究テーマとして捉える」ということをより明確化するため、いくつかの研究テーマにおける具体的な研究内容を考えることとした。

そこで、2021年1月に実施した2回のオンラインワークショップでは、これまでの検討の結果により「優先すべき研究テーマ」とされたものの中から2つを選択し、その研究テーマにおける具体的な研究内容の探索的検討を行った。本ワークショップはオンライン付箋ツールを用いて行い、各参加者がその

研究テーマに関連したリサーチ・クエスチョンを付箋に記入して提案した。

4. 結果

4-1. 「エビデンス創出コモンズ」の構築

研究開始時には当初7疾患領域の患者・患者関係者13名、研究者14名、政策関係者3名の計30名が「コモンズ」に参画した。

3年間の研究期間の間に、3-2で述べた4つの研究ステップ、およびそれまでの研究成果の振り返りや以降の方向性の再検討なども含め、合計20回近くのワークショップを開催した。

その過程で、基盤となるRUDY JAPANのネットワークや、「コモンズ」の参加者が持つネットワークなどによって「コモンズ」に新たなメンバーを加え、最終的には10疾患領域の患者・患者関係者21名、研究者17名、政策関係者5名の計43名が参画する、「コモンズ」が構築された。

4-2. 創出されたエビデンス

(1) 抽出された「患者が直面する困難」

対面式ワークショップで提示された「難病患者が抱える課題」に関する付箋228個をコーディングすることにより、31の課題項目に整理できた。その結果、難病患者が抱える課題は、医療に関係する内容のみならず、生活や家族、社会面など、非常に多岐にわたることが明らかとなった。そのため、31の課題項目を「医療」「生活」「家族」「社会」「情報」といった10個のカテゴリーに分類した。

その分析の結果に基に、全体像の整理の方法についてコモンズで意見交換を行った。それにより、このカテゴリーおよび課題項目による整理については概ね合意が得られた。また、一部の表現・整理については変更が提案された。具体的には、元は「社会」と表現していたカテゴリーは「社会制度・インフラ」に変更することや、「偏見差別」という課題項目は元々「社会」というカテゴリーに含まれていたが、それを「認知理解」に移動させる、といった提案があった。その結果、31あった課題項目は33となった。その全体像を図2に示す。

(2) 選定された「判断基準」

ワークショップでの議論の結果、「生死に関するもの」、「身体機能に関するもの」、「心理面、生活面といった様々な QOL に関するもの」、「多くの希少難病に関わるもの」、「希少難病に特有のもの」といった、22 個の判断基準が提案された。その後に実施した投票結果を図 3 に示す。「心理面、生活面といった様々な QOL に関するもの」「生死に関するもの」「研究の成果によって患者本人の苦痛や負担を和らげ、自立に繋がるもの」などの判断基準が多く票を集めた。なお、欄外にある 3 つの判断基準は投票の際に追加で提案された判断基準である。

また、議論を進める中で、立場の違いによる投票の結果を分析することが提案されたため、立場毎の集計結果も分析した。その結果、「研究の成果によって家族や医療者の負担の改善に繋がるもの」「家族や医療者など、周りの環境に影響するもの」などは、患者・患者グループ関係者の得票率は研究者の得票率に比して高い傾向がみられた。

この結果を提示した上で行われたワークショップでは、まず、「今後の希少疾患研究を強化するために特に重要なもの」という視点でいくつかの判断基準を採用することにした。事前のアンケートで得票率が上位のもののうち、「生死に関わるもの」は既にある程度優先して研究が実施されているだろうという理由で今回は採用しないこととなった。また、「研究者もしくは政策関係者を巻き込まないと解決できないもの」は取り組むべき研究テーマの選択のための判断基準というよりも、解決のアプローチの問題ではないかという理由で、こちらも採用しないことにした。その結果、今回選択された判断基準は、「今後の希少疾患研究を強化するために特に重要な判断基準」として、①「身体機能以外の心理面、生活面といった様々な QOL に関するもの」、②「研究の成果によって患者本人の苦痛や負担を和らげ自立に繋がるもの」、③「課題やその解決を患者が実感しやすいもの」、④「希少難病で、患者数が少ない、または生死に関わらない」という理由で、研究が後回しになっているもの」の 4 つの判断基準をまず適用してみることで合意した。

次に、立場の異なるステークホルダーが参画するこ

とが「コモンズ」の 1 つの特徴であることから、その特徴を反映した「患者側が研究者／政策関係者側に比して多く投票した判断基準」を選択することにした。議論の結果、⑤「家族や医療者など、周りの環境に影響するもの」⑥「患者自身が努力しているのに解決できていないもの」を採用することにした。

さらに、前述した「今後の希少疾患研究を強化するために特に重要な判断基準」「患者側が研究者／政策関係者側に比して多く投票した判断基準」とは異なる独自の観点を持つ判断基準として、⑦「子どもに関わるもの」、⑧「インターネットを使うことが有効な解決策になると予想されるもの」を採用することで合意した。

(3) 「判断基準」の適用による優先順位設定の結果

(2) で選定された判断基準のうち、適用可能であったものについて、その結果を以下に示す。なお、③④⑥の 3 つの判断基準については、実際に基準を適用してみる中で、全てが同じように当てはまったり、見る人によって解釈の幅が広すぎたりすることで、優先順位設定のための判断基準としては適していないことが明らかとなった。

まず、①「心理面、生活面といった様々な QOL に関するもの」を適用した結果、生活面や認知や理解に関するもの、精神心理面に関するものなどはよく当てはまるという結論に至った (図 4)。

次に、②「研究の成果によって患者本人の苦痛や負担を和らげ自立に繋がるもの」を適用した結果、医療や福祉に関するもの、生活や精神心理、社会制度・インフラに関するものなどが特によく当てはまるものとして挙げられた (図 5)。

これらの判断基準は「今後の希少疾患研究を強化するために特に重要な判断基準」ということで、2 つの判断基準の結果を重ね合わせた結果、「日常生活の支障」、「経済的な負担」、「不安」「通院の負担」などの 7 つの研究テーマが優先して取り組むべき課題として挙げられた (図 6)。

⑤「家族や医療者など周りの環境に影響するもの」については、「特によく当てはまるもの」、「まあまあ当てはまるもの」「少し当てはまるもの」「当てはまらないもの」の 4 つに分類することができた (図 7)。これまでに優先順位が高いものとして挙げられてい

なかった「周囲にわかってもらえない、伝えにくい」「情報が手に入りにくい」「専門職とのコミュニケーションがうまくいかない」「診断が遅れる」といったものが新たに優先順位の高い研究テーマとして挙げられた。

⑦「子どもに関するもの」と⑧「インターネットを使うことが有効な解決策になると予想されるもの」では、3つのグループに分かれて議論を行い、その結果を統合している。全てのグループが「よく当てはまる」と結論づけた研究テーマ（図中で赤字で示されるもの）をコモンズとして「よく当てはまる＝優先順位の高いもの」として結論づけることとした。⑦では、「家族への影響」および「就労や就学の悩み」がよく当てはまるものとして示された（図8）。また、⑧では、「不安」「悲観」「情報発信の難しさ」がよく当てはまるものに分類された（図9）。

(4) 提案された具体的な研究内容

(3)の「今後の希少疾患研究を強化するために特に重要な判断基準」の適用によって「今後の希少疾患研究を強化するために特に重要な研究テーマ」として示された7つの研究テーマのうち、本研究では探索的に「日常生活の支障」「不安」についてそれに関連する具体的なリサーチ・クエスチョンの探索的検討を行った。その結果、提案された主なりサーチ・クエスチョンを以下に示す。

「不安」についての研究のための「問い」

- ・ 不安を感じやすい人／感じにくい人の特徴は何か？
- ・ 同じ病気でも日本特有の不安はあるのか？
- ・ 社会制度を知っているのかによって不安は変わるのか？
- ・ 難病患者が幸福感を持つのはどんな時なのか？

「日常生活の支障」に関する研究のための「問い」

- ・ 患者やその家族のQOLを大きく上げる要因は何か？
- ・ どのような仕組みや制度があれば外出しやすくなるか？
- ・ 子ども自身は学校生活の中で何に困っているのか？
- ・ 医療者は生活面のことをどれだけ理解できているか？
- ・ 日常生活の支障はどのような種類に分けられるのか？

5. 考察

5-1. 本研究の政策のためのエビデンス創出の手法

今回、我々は「ステークホルダーの視点」を反映した政策のためのエビデンスを創出する方法として、「エビデンス創出コモンズ」という場を構築し、そこでステークホルダー間で継続的な熟議・共創を行った。その主な特徴として、(1)ステークホルダー間の継続的な熟議・共創、(2)疾患横断的な検討、(3)3ステップメソッドによるエビデンス創出、(4)ICTの積極的な利用の4つが挙げられる。以下にその具体的内容を説明する。

(1) ステークホルダー間の継続的な熟議・共創

本研究と関連する取り組みとして、患者、研究者といったステークホルダーによる研究の優先順位設定はいくつか存在する⁸⁾⁹⁾が、いずれも1つのプロジェクトとして結果が出るまでに数ヶ月～1年程度を要している。本研究ではそれよりも長い約3年間にわたり、継続的に熟議・共創を行った。それは後述するようにエビデンス創出を3つのステップに分けて行ったことに加え、本研究のプロセスに参画するステークホルダーの視点を反映させるために、途中経過の振り返りと方向性や議論の進め方の検討も繰り返し行ったことも一つの要因であると考えられる。

その結果、参加者が異なる立場の考えや視点を互いに学び合うことができ、さらに継続的なコミュニケーションによって信頼関係が醸成された。特に参加した多くの研究者（医療者でもある）が、患者・患者関係者の意見に対して「普段の診療の中で全く気づいていなかったことを知ることができた」と繰り返し述べていたことは特筆すべきことである。そのような相互の学び合いと信頼関係の醸成が「コモンズ」における議論の深化に大きく寄与した。

一方で、プロジェクトが長期にわたることで、時宜に合ったエビデンス創出が困難であることは1つの課題となる。例えば、昨今の新型コロナウイルス感染症の影響など、比較的短期間でのエビデンス創出が期待される場合もあるだろう。また、プロジェクトが長期にわたることで参加者の負担になったり、参加者の状況が変わってしまうことも考えうる。本研究では、毎回のワークショップの参加を必須とせず、毎回の冒頭でそれまでの議論を振り返るなどの工夫を施しては

るが、参加者の状況が変わって参加できなくなってしまう場合もあった。本研究は探索的な試みであることを考慮すると、今後はより短期的にエビデンスが創出できることは期待できるだろう。

(2) 疾患横断的な検討

これまで多くの難病・希少疾患領域の研究は疾患ごとに行なわれている。前掲した研究の優先順位設定の代表例として James Lind Alliance (JLA) による Priority setting partnerships (PSPs) ⁸⁾ が知られているが、PSPs も 1 つの疾患についての優先順位設定を行うものである。

一方で、希少疾患領域では、研究資金の不足が大きな課題として指摘されており¹⁰⁾、それに対して近年疾患横断的に研究を行うことが注目されている¹¹⁾。本研究でも複数の疾患領域の患者・患者関係者や研究者が参加し疾患横断的な検討を行っているが、希少疾患を抱える患者が直面する困難は疾患によらず共通することも多いことが明らかとなった。

加えて、異なる疾患の患者が議論に参加することで、それまで十分に認識されていなかった「疾患の特徴」が明確になり、参加者自身の学びに繋がることも多くあった。

(3) 3 ステップによるエビデンス創出

本研究では、①当事者が直面する困難の抽出、②判断基準の検討と選定、③判断基準の適用による研究テーマの優先順位設定という 3 つのステップによるエビデンス創出を行った。

特に、優先順位を直接的に考えるのではなく、優先順位設定のための判断基準の選定と適用というステップに分けることにより、立場や置かれた状況の異なるステークホルダー間で合意しやすくなることは本手法の大きな利点だと言える。

(4) ICT の積極的な利用

全国各地から参加できるワークショップを計 20 回近く開催できたことは紛れもなくインターネットを利用した結果であると言える。特に難病・希少疾患領域においては、対面式のワークショップを頻繁に開催することは困難であり、インターネットが有効であった。このような頻度で検討を行えたことは、共創の前提となる「信頼関係の醸成」に大きく寄与したと

思われる。

また、具体的な方法として、本プロジェクトの中では、オンライン会議システム（ブレイクアウトルーム、投票機能など）、オンラインアンケート調査（意見の収集、投票）、オンライン付箋ツール（Apisnote）を併用することで最大限に活用することで効果的に議論を行うことができた。

さらに、オンライン会議に関する参加者の意見から明らかになった課題に対しても取り組んだ。例えば、会議後の雑談の時間がないことや他の人との交流する機会が失われしうことに対して、ワークショップ後に交流会の時間を設けることで、よりコモンズに参加する人同士の交流が促進され、これも信頼関係の醸成に繋がった。

これらは、難病・希少疾患領域や政策科学という文脈を超えて、ステークホルダー間の共創や患者市民参画をはじめとするこれからの社会のあり方や、今後ますます広がることが予想される ICT の利活用のあり方に対して有用な知見となる。

5-2. 創出されたエビデンス

本研究によって創出されたエビデンスは希少疾患領域において、「患者が直面する困難」と「優先して取り組むべき研究テーマ」に大別される。

まず、難病を抱える患者が直面する困難が多岐にわたることを示した。これは、Lippe らによる希少疾患患者の間で共有される経験に関するシステマティック・レビュー¹²⁾と概ね一致するが、「経済的な負担」「民間保険の加入制限」「ルールの不備」「インフラの不備」「通院の負担」などについては、本研究で新しく提示された。

次に、難病・希少疾患領域において「優先して行うべき研究テーマ」を明らかにした。特に「これからの難病・希少疾患研究を強化するために特に重要な研究テーマ」として挙げられた「日常生活の支障」「経済的な負担」「就労や就学の悩み」「不安」「悲観」「遺伝性疾患に特有の心理」「通院の負担」という 7 つの研究テーマについては、その実態把握や解決のための研究が望まれる。

また、患者側と、研究者・政策関係者側で視点が異なることに注目することによって「優先順位の高い」と結論づけられた研究テーマ（図 7 で赤字で示され

ているもの)は、より患者の視点の反映した政策・研究を推進するために特に重要な研究テーマだと言える。

さらに、これらとは異なる独自の観点を持つ判断基準によって「優先順位が高い」と結論づけられた研究テーマ(それぞれ、図8・図9で赤字で示されているもの)は、「これからの難病・希少疾患研究を強化するために特に重要な研究テーマ」として該当しなかった「家族への影響」「情報発信の難しさ」に関する研究を推進することの根拠となりうる。

最後に、本研究で創出されたエビデンスを、エビデンスに基づく政策(Evidence-based policy making: EBPM)における「エビデンスの質」という観点で考察する。Parkhurstらは政策形成における質の高いエビデンスが備える要素として、appropriateness(政策決定に関わる複数の社会的課題にアプローチでき、政策目標を達成するために最も有用な方法で構築され、地域の政策で適用可能なもの)を重視している^[13]。また、Cashらはエビデンスの質に係る要素としてcredibility(科学的に適切であること)、salience(意思決定者のニーズに関連していること)、legitimacy(利害関係者の多様な価値観と信念を尊重し、その行動に偏りがなく、見解と関心の取り扱いにおいて公正であること)等を挙げている^[14]。本研究で創出されたエビデンスは、appropriatenessやlegitimacyという点で、比較的質の高いエビデンスと考えられる。

6. 政策的含意と提言

6-1. 創出されたエビデンスの評価

本研究で得られた成果をもとに、難病政策の関係者と面談を行いエビデンスの政策実装に向けての対話を行った。面談の対象となったのは、厚生労働省の関係スタッフや厚生科学審議会の疾病対策部会難病対策委員会の委員長や委員である。

その結果、プロジェクトの目指す方向性や創出されたエビデンスについて一定の評価を得た。特に、「患者の意見を反映させるという点において非常にユニークな取り組みである」「これまで主観的な要望は多くなされてきたが、多様な意見を踏まえて客観的に要望することは重要であり、そのためには研究という視点が必要だと思われる」「特定疾患の認定基準を

再検討する際に利用することができるのではないか」

「疾患ごとに設置されている既存の研究班とは離れたところで疾患横断的に行う患者との活動で生み出される成果は貴重である」といった反応があった。

一方で、「患者が直面する困難についてはどういう点で難病に特有なのかが明確でなく、難病政策として対応することは難しいのではないか」「既存の難病研究班の活動に如何に割って入ることができるかはこれからの課題である」といった課題も指摘された。前者に対しては、今後「コモンズ」で議論を行い、より具体的に「難病・希少疾患に特有の事例」として提示することとした。後者の指摘に対しては、既存の個別疾患特異的な研究班と競合するような提案ではなく、横断的な視点を持つ患者市民参画に特化した研究プロジェクトの設置を提案する予定である(詳細は6-3参照)。

6-2. エビデンス創出とその政策実装のモデル—3ステップメソッドの提案

5-1でまとめたように、本研究におけるエビデンス創出のプロセスは、課題の論点抽出—判断基準の検討・選定—判断基準の適用による優先順位設定という3つのステップとして整理される。

また、創出されたエビデンスの政策実装に向けて、計画立案当初は、難病政策の関係者に直接「コモンズ」に参画してもらうことを検討していたが、それが実際は困難であることが次第に明らかとなった。そのため、当初の計画を変更して、「コモンズ」から創出されたエビデンスを基に政策担当組織との対話を行い、その結果を踏まえエビデンスをさらに深化させることで、より政策としての実現可能性を高めることを目指した。

前述した3つのステップによるエビデンス創出に加え、この「政策担当組織との対話による多様な政策へのインプット」、そして、エビデンス創出や政策実装に向けてのプロセスの全てが参加者にとってのキャパシティビルディングの場となるということを、医学・医療の政策、さらには他の分野の政策に対して一般化可能なモデルである「3ステップメソッド」として提案する(図10)。

6-3. 政策提言

本研究の成果は、難病・希少疾患領域における医学研究に関する政策形成の際に参照可能なエビデンスそのものと、そのための手法の提案となっている。

そこで、これらの両方を盛り込んだ以下のような提言を作成し、今回直接参加しなかった患者グループの賛同を求めた上で、厚生労働省やAMED および内閣官房健康医療戦略本部などに提出する予定である。

(1) より多面的な患者の負担に配慮した研究の推進

狭い意味での医学研究、すなわち病気の発症メカニズムや治療法に関する研究だけでなく、生活面や心理面、そして社会的な支援体制などに関する研究への取組などが重要であることを、本研究から創出された具体的エビデンスを基に述べる。

(2) 患者市民参画型の研究や活動の推進

本研究から、患者および患者関係者が専門家とともにパートナーシップを形成して政策のためのエビデンスを創り出す活動は実現可能であり、互いの信頼の醸成やキャパシティビルディングの場となることが示されたことと、同様の活動が広がることが重要という考えを述べる。

(3) 患者市民参画のあり方を考える研究の推進

本研究を進める中で、欧米も含め、患者市民の参画による医学政策へのエビデンス創出とその実装については世界的にも模索が行われていることが明らかとなった。様々な参画方法とその利点、課題を明らかにする必要があることを述べる。

なお、これらの提言は、政策担当組織だけでなく、国会議員を含む政治家への発信も検討していきたい。

7. おわりに

近年、当事者が参画して今後取り組むべき研究の優先順位設定を行う取り組みが少しずつ増えてきている。しかしながら、代表的活動として知られるJLAのPSPsでさえも、その成果の政策実装という点では不十分であることが指摘されている^[15]。

今後は日本国内で本研究で創出されたエビデンスの政策実装に向けて行政・政治を含む関係方面との対話を重ねるとともに、ステークホルダー間の熟議・

共創によるエビデンス創出の手法とその政策実装に向けたプロセスのモデルとなる「3ステップメソッド」を世界に向けて発信していきたいと考える。

参考文献

1. INVOLVE. What is public involvement in research? <https://www.invo.org.uk/find-out-more/what-is-public-involvement-in-research-2/>
2. 川野宇宏. 難病法の制定と現在の難病対策について. 医療と社会, 2018, 28.1: 17-26.
3. 伊藤たてお. 患者会の活動と難病法（難病の患者に対する医療等に関する法律）の成立への関わり 患者会の視点から. 医療と社会, 2018, 28.1: 27-36.
4. 武村真治, 曽根智史. 日本の難病に関する研究開発の動向: 研究開発管理における国立保健医療科学院の貢献. 保健医療科学, 2019, 68.1: 45-54.
5. Hamakawa N, Kogetsu A, Isono M, *et al*. The practice of active patient involvement in rare disease research using ICT: experiences and lessons from the RUDY JAPAN project. Research Involvement and Engagement, 2021, 7.1: 1-15.
6. 中川智絵, 八木絵香. 科学技術に関するさまざまな論点を可視化する: 科学技術に関する「論点抽出カフェ」の提案. Communication・design, 2011, 4: 47-64.
7. 川喜田二郎. 発想法: 創造性開発のために. 中央公論社, 1970.
8. James Lind Alliance. The James Lind Alliance Guidebook. 2018. <http://www.jla.nihr.ac.uk/jla-guidebook/>
9. Abma TA, Broerse JE. Patient participation as dialogue: setting research agendas. Health Expectations, 2010, 13.2: 160-173.
10. Gericke CA, Riesberg A, Busse R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. Journal of Medical Ethics, 2005, 31.3: 164-168.
11. Somanadhan S, Nicholson E, Dorris E, *et al*. Rare Disease Research Partnership (RAinDRoP): a collaborative approach to identify research priorities for rare diseases in Ireland. HRB Open Research, 2020, 3.13.
12. von der Lippe C, Diesen PS, Feragen KB. Living with a rare disorder: a systematic review of the qualitative literature. Molecular Genetics & Genomic Medicine, 2017, 5.6: 758-773.
13. Parkhurst JO, Abeysinghe S. What constitutes “good” evidence for public health and social policy-making? From hierarchies to appropriateness. Social Epistemology, 2016, 30.5-6: 665-679.

14. Cash D, Clark WC, Alcock F, *et al.* Credibility, Legitimacy and Boundaries: Linking Research, Assessment and Decision Making (2002). KSG Working Papers Series RWP02-046, 2002.
15. Staley K, Crowe S, Crocker JC, *et al.* What happens after James Lind alliance priority setting partnerships? A qualitative study of contexts, processes and impacts. Research involvement and

engagement, 2020, 6.1: 1-10.

キーワード

難病, 希少疾患, 医学研究, 医療政策, 患者市民参画, ステークホルダーエンゲージメント, 共創, 熟議, 優先順位設定

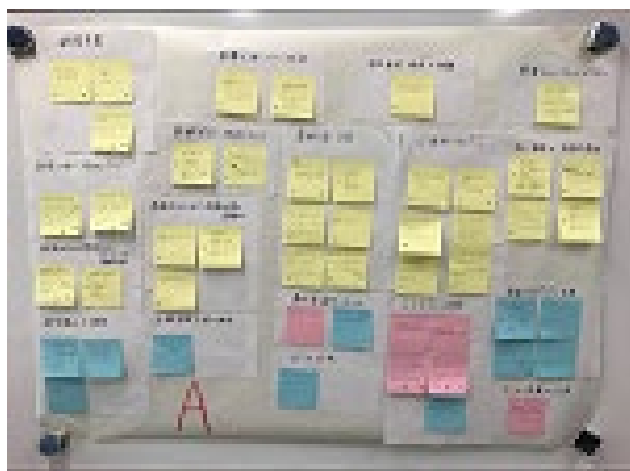


図1 対面式ワークショップで集められた付箋のイメージ

「判断基準」の候補	計(21)	患(12)	研(7)	政(2)
様々な側面のQOLに関するもの	18	11	5	2
生死に関するもの	17	9	6	2
研究の成果によって患者本人の苦痛や負担を和らげ、自立に繋がるもの	16	11	4	1
研究者もしくは政策関係者を巻き込まないと解決できないもの	13	9	4	0
課題やその解決を患者が実感しやすいもの	13	7	5	1
身体機能に関するもの	11	6	3	2
病状や患者本人に直接影響するもの	11	8	3	0
社会全体（社会制度や人々の振る舞い）に影響するもの	11	4	6	1
他の問題の原因になっており、その問題の解決によって多くの問題を同時に解決できることが期待されるもの	10	4	5	1
子どもに関わるもの	9	6	2	1
多くの希少難病に関わるもの	8	4	3	1
希少難病に特有のもの	8	4	3	1
研究の成果が希少難病以外にも波及効果を期待できるもの	8	4	2	2
解決前のデメリット、解決後のメリットの大きさが大きいもの	8	5	2	1
研究の成果によって家族や医療者の負担の改善に繋がるもの	8	6	1	1
既に資源や知見があり、その活用方法がボトルネックになっているもの	8	5	3	0
その課題に取り組んでいる研究が少ないもの	8	4	4	0
インターネットを使うことが有効な解決策になると予想されるもの	7	4	2	1
家族や医療者など、周りの環境に影響するもの	6	5	1	0
費用対効果が大いだと予想されるもの	5	1	2	2
患者自身が努力しているのに解決できていないもの	5	4	1	0
限られた時間や資源で実現することが期待できるもの	4	1	3	0

希少難病で、患者数が少ない、または生死に関わらないと言う理由で、研究が後回しになっているもの
法律関連の知識が必要で、法律と実生活の隙を埋めるようなもの
近年新しく発見・発明された手法（iPSなど）の新しい応用先や応用方法の開拓をめざすもの

図3 「特に重要だと思われる10の判断基準を選ぶ」投票の結果

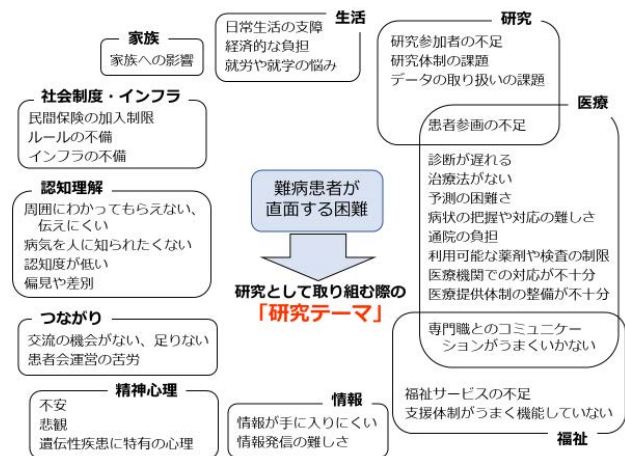


図2 抽出された「難病患者が直面する困難」の全体像

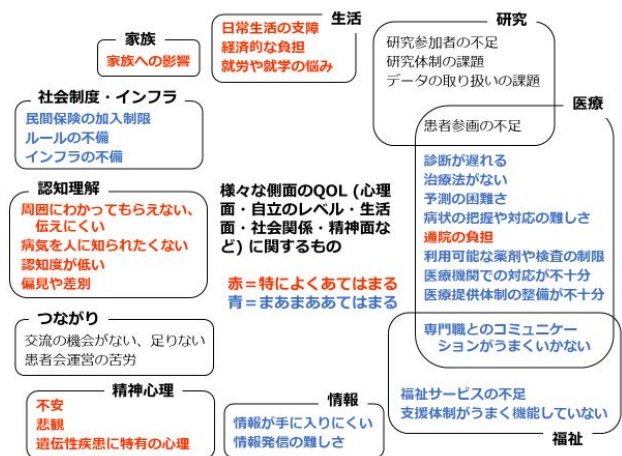


図4 判断基準①の適用結果

