

小児希少難病の薬剤開発に役立つ「精査診療機関検索サイト」構築プロジェクト に関するアンケート調査結果

【アンケート調査の概要】

目的

小児希少難病の精査診療機関検索サイト（以下「検索サイト」）は、小児希少難病に関する精密検査・診断・治療にいち早く繋げて、難民化を防ぎ患児家族の不安を出来るだけ取り除くことを目的としています。

検索サイトでは、主にかかりつけ医に向けて、以下①②の情報について、Webですぐに手掛かりを得られるような状況をつくり出すことをめざしています。閲覧制限はないので、患者様やご家族はじめどなたでもご覧になれる公共的サイトです。

- ①希少難病であることから、国内で限られた施設でしか実施していないというような特殊な検査や遺伝子検査の依頼先機関
- ②希少難病の場合は、疾患について専門性の高い医師が少ない状況が珍しくないことから、かかりつけ医が専門的アドバイスを受けられるような、或いは連携して治療にあたるような、スペシャリストがいる診療機関

この検索サイトでは、同時に新薬の開発などにも役に立つような形でのサイト構築を目指し、利便性を高めていきたいと考えています。

そこで製薬会社の皆様に、この検索サイトにどのようなアウトプットを望まれるか、どういった工夫があればより便利かといったことをお尋ねし、サイト構築・改修に役立てていくことを目的に実施いたしました。

対象者

製薬会社の難治・希少疾患領域を主とした【治験を担当される研究開発部門の方】

配布数：67社

回答数：39社 42名（うち有効回答数：39社 42名）

実施期間

2022年4月12日～25日

実施方法

ウェブによるアンケート調査

【アンケート票】

一般財団法人健やか親子支援協会
Foundation of Health Promotion Support for Child and Family

一般財団法人健やか親子支援協会
小児希少難病の薬剤開発に役立つ
「精査診療機関検索サイト」構築プロジェクトに関するアンケート

＜本プロジェクトのイメージ＞

小児希少難病の精査診療機関検索サイト構築事業

解決したい課題 小児希少難病は、小児科医にも一般に知られていないものが多く、病気の診断や治療開始までに時間がかかる傾向があり、患者家族は難民化して時間と労力を使ってしまうという課題がある。

解決策 検索サイトを構築・拡充し、かかりつけ医向けに情報提供を行う

【サイトの内容】 ※疾患ごとに整理が必要
① 精密検査と検査項目
② 外部依頼となる特殊な検査の依頼先機関の紹介
③ 疾患について専門性の高い医師のいる医療機関の紹介

DATA登録 疾患名 338

精密検査～確定診断のステップ
最初の検査 検査項目・依頼先
↓
陽性疑い
↓
確定検査 検査項目依頼先
↓
診断確定
↓
治療を受けられる医療機関・専門医
※紹介先は全て許可を得て掲載

この検索サイトは、
◎患者の精査・診断を早める点で、意義が大きい。
◎正確性を維持するために、定期的に情報更新する。
◎医療・製薬・器具機器業界にとっても、研究開発を促進する一助となる。

Copyright © 2022 一般財団法人健やか親子支援協会. All rights reserved.

製薬会社の難治・希少疾患領域を主とした
【治験を担当される研究開発部門の方】にご回答を頂きますと幸いです。
本プロジェクトのイメージを後掲していますので、ご参照ください
是非、アンケートへのご協力をお願いいたします。

※各社様とも、お一人でも複数のご担当者様にご回答いただく形で結構です。

【趣旨】

小児希少難病の精査診療機関検索サイト（以下「検索サイト」）は、小児希少難病に関する精密検査・診断・治療にいち早く繋げて、難民化を防ぎ患者家族の不安を出来るだけ取り除くことを目的としています。検索サイトでは、主にかかりつけ医に向けて、以下①②の情報について、Webですぐに手掛かりを得られるような状況をつくり出すことをめざしています。閲覧制限はないので、患者様やご家族はじめどなたでもご覧になれる公共のサイトです。

① 希少難病であることから、国内で限られた施設でしか実施していないというような特殊な検査や遺伝子検査の依頼先機関
② 希少難病の場合は、疾患について専門性の高い医師が少ない状況が珍しくないことから、かかりつけ医が専門的アドバイスを受けられるような、或いは連携して治療にあたるような、スペシャリストがいる診療機関

この検索サイトでは、同時に新薬の開発などにも役に立つような形のサイト構築を目指し、利便性を高めていきたいと考えています。
そこで製薬会社の皆様にも、この検索サイトにどのようなアウトプットを望まれるか、どういった工夫があればより便利かといったことをお尋ね致し、アンケートをさせて頂く次第です。
ご多忙の折お手数ですが、何卒ご協力賜りますようお願い申し上げます。

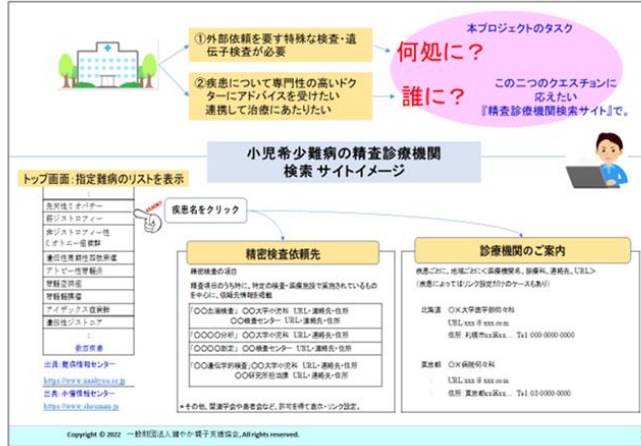
一般財団法人健やか親子支援協会 公式WEBサイト

回答する

0%

<本プロジェクトのイメージ>

当プロジェクトのイメージ図となりますのでご回答前にご確認ください。



【ご担当者情報】

御社名 **【必ず回答】**

0文字

部署名

0文字

メールアドレス **【必ず回答】**

0文字

(E-mail)

電話番号

0文字

(半角英数字)

回答者 ※無記名でも結構です。差し支えなければご芳名をご記入ください。

0文字

【質問1】 御社で 新薬の開発などをされる際に、参考とされるサイト及び情報収集先はありますか。

【必ず回答】

1. ある →下記の【情報収集先】についてご入力ください。
2. ない

【情報収集先】

※上記で「1.ある」とご回答された方は下記のご入力をお願いします。

【必ず回答】 【複数回答可】

・サイトの名称とURL

※記載例→ ClinicalTrials.gov米国国立医学図書館 <https://www.clinicaltrials.gov> 臨床試験データベース

0文字

・備考

※記載例→ ClinicalTrials.govは比較的閲覧頻度の高いサイトですが、目的によって変わります。

0文字

【質問2】 構築する検索サイトは、難病の専門医と特殊検査の外部委託先施設の情報を中心に掲載したいと考えていますが、新薬開発に役立つと思われるか？理由もお書きください。

【必ず回答】

1. 役立つと思う ※理由もご入力ください。↓

2. 役立つと思わない ※理由もご入力ください。↓

【質問3】 上記に掲載されている資料（サイトイメージ）をご覧頂き、新薬開発につながるように、どのような追加要素や工夫があると便利だと考えられますか？（フリーワード）

【必ず回答】

※記載例①→対象遺伝子からも検索できると便利 ※記載例②→特にない。

0文字

【質問4】 その他、新薬開発に関する情報収集に関して、普段不便を感じておられることがあれば、ご記入をお願いいたします。（フリーワード）

0文字

送信

【集計結果】

質問 1.御社で新薬の開発などをされる際に、参考とされるサイト及び情報収集先はありますか。(複数回答)

参考とされるサイト及び情報収集先の有無

	N	ある	ない
全体	42	92.9%	7.1%

情報収集先として利用しているサイト

- ・ ClinicalTrials.gov ; <https://www.clinicaltrials.gov> 37 社
- ・ jRCT ; <https://jrct.niph.go.jp> 13 社
- ・ 難病情報センター ; <https://www.nanbyou.or.jp/> 11 社
- ・ PMDA ; https://www.pmda.go.jp/search_index.html 10 社
- ・ JAPIC; <https://www.clinicaltrials.jp/> 6 社
- ・ 臨床研究情報ポータルサイト <https://rctportal.niph.go.jp/> . 3 社

備考欄の記載内容

<ul style="list-style-type: none"> ・ Clinical trials.gov: https://clinicaltrials.gov ・ Cortellis Drug Discovery Intelligence: https://integrity.clarivate.com/integrity/xmlxsl/ ・ 明日の新薬: https://asushin2.com/jsp/top.jsp <p>※ Clinical trial.gov: 現在、過去に行われていた臨床試験の情報（対象患者、期間、評価項目）を閲覧、Cortellis Drug Discovery Intelligence と明日の新薬：着目している薬剤の開発マイルストーンを確認</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・ jRCT ; https://jrct.niph.go.jp/ ・ ClinicalTrials.gov ; https://www.clinicaltrials.gov/
<ul style="list-style-type: none"> ・ ClinicalTrials.gov ; https://www.clinicaltrials.gov ・ 対象疾患の学会 HP・診療ガイドライン
<ul style="list-style-type: none"> ・ https://www.nanbyou.or.jp/
Clinical Trials.gov
<ul style="list-style-type: none"> ・ ClinicalTrials.gov ・ PubMed ・ PMDA 等、規制当局ホームページ（各種ガイダンス、承認済み医薬品の審査報告書、等） ・ 難病情報センター ・ 各種学会ホームページ
<ul style="list-style-type: none"> ・ Clinical Traial.gov https://clinicaltrials.gov ・ 臨床研究等提出・公開システム https://jrct.niph.go.jp/ ・ UMIN 臨床試験登録システム https://www.umin.ac.jp/ctr/index-j.htm <p>※ その他、各種学会の WEB サイトを確認します。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・ Clinical Trials.gov
臨床研究等提出・公開システム https://jrct.niph.go.jp/ 臨床研究情報ポータルサイト https://rctportal.niph.go.jp/s/ 医薬品情報データベース https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp

<ul style="list-style-type: none"> • ClinicalTrials.gov 米国国立医学図書館 https://www.clinicaltrials.gov • 審査報告書 PMDA https://www.pmda.go.jp/search_index.html, • FDA https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/ • 難病情報センター https://xn--nanbyou-7b0rn89u.or.jp/ • 臨床研究情報ポータルサイト https://rctportal.niph.go.jp/ • PubMed https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/?otool=ijpmtplib <p>※ 上記は無料サイトを記載。有料 DB (「Cortellis」など) で、薬剤開発動向を調べることもある。</p>
<p>(日)JAPIC : 医薬品情報データベース・・・https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp</p> <p>(月)jRCT : 臨床研究等提出・公開システム・・・https://jrct.niph.go.jp/</p> <p>(火)臨床研究情報ポータルサイト・・・https://rctportal.niph.go.jp/</p> <p>(水)ClinicalTrials.gov・・・https://www.clinicaltrials.gov/</p> <p>(木)PMDA 医療用医薬品情報検索・・・https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/金Drugs@FDA・・・https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/</p> <p>※(火)は(日)(月)を含む国内情報の包括検索サイトであり、全体的に試験情報を調査したい場合に活用。</p>
<ul style="list-style-type: none"> • ClinicalTrials.gov (https://www.clinicaltrials.gov/) • EudraCT (https://eudract.ema.europa.eu/)、 • jRCT (https://jrct.niph.go.jp/) など
<ul style="list-style-type: none"> • ClinicalTrials.gov 米国国立医学図書館、臨床試験データベース https://clinicaltrials.gov/ • JAPIC Clinical Trial Information 臨床試験情報 医薬品情報データベース iyakuSearch https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/List.jsp
<ul style="list-style-type: none"> • 難病情報センター https://www.nanbyou.or.jp/ • 小児慢性特定疾患情報センター https://www.shouman.jp/ • NDB オープンデータ https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000177182.html <p>臨床研究等提出・公開システム jRCT https://jrct.niph.go.jp/</p> <ul style="list-style-type: none"> • clinicaltrials.gov https://www.clinicaltrials.gov/ • DB 会社が提供している DB (IQVIA 社、Globaldata 社など)
<ul style="list-style-type: none"> • Clinical.trials.gov
<ul style="list-style-type: none"> • ClinicalTrials.gov = https://www.clinicaltrials.gov/ • JAPIC = https://www.japic.or.jp/di/navi.php?cid=1 • 医薬品機構 = https://www.pmda.go.jp/ • 難病情報センター = https://www.nanbyou.or.jp/
<ul style="list-style-type: none"> • 臨床試験データベース : https://www.clinicaltrials.gov/ • PMDA 医療用医薬品情報 : https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/ • 製薬協力 承認取得品目の臨床データパッケージの調査分析 https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/shouninhinmoku.html
<ul style="list-style-type: none"> • Clinicaltrial.gov 米国国立図書館 https://clinicaltrial.gov • 小児慢性特定疾病情報センター https://www.shouman.jp/

<ul style="list-style-type: none"> ・難病情報センター https://www.nanbyou.or.jp/ ・各疾病の患者団体のホームページ ・jRCT 臨床研究等提出・公開システム https://jrct.niph.go.jp/
<ul style="list-style-type: none"> ・CT.gov, jRCT, 小慢サイト, 難病サイト, Pubmed
<ul style="list-style-type: none"> ・ClinicalTrials.gov 米国国立医学図書館 https://www.clinicaltrials.gov ・Orphanet https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php ・大学病院医療情報ネットワークセンター https://www.umin.ac.jp/ ・難病情報センター https://www.nanbyou.or.jp/ ・Pubmed https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/
<ul style="list-style-type: none"> ・ClinicalTrials.gov、 ・臨床試験情報（Japic Clinical Trials Information）、 ・JRCT 等 <p>※ ClinicalTrials.gov は関連する疾患の臨床試験を調べるために使います。各疾患に関連する情報収集 website、各学会のガイドラインは疾患に応じて使用するものが異なりますが、疾患の理解を深めるために活用します。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・ClinicalTrials.gov 臨床試験データベース https://clinicaltrials.gov/ ・各疾患に関連する情報収集 website 各学会のガイドライン
<p>【競合試験調査】</p> <p>(日)ClinicalTrials.gov https://clinicaltrials.gov/api/gui</p> <p>(月)UMIN-CTR 臨床試験の検索 https://center6.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/index.cgi?function=02</p> <p>(火)JAPIC 臨床試験情報 https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・Clinical Trials.gov ・jRCT
<ul style="list-style-type: none"> ・jRCT (Japan Registry of Clinical Trials) : https://jrct.niph.go.jp/search ・ClinicalTrials.gov: https://clinicaltrials.gov/ ・難病情報センター: https://www.nanbyou.or.jp/ <p>※ 国内治験の場合は jRCT、グローバル試験の場合は ClinicalTrials.gov をよく利用すると思います。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・CTgov https://clinicaltrials.gov/ ・jRCT https://jrct.niph.go.jp/ ・JAPIC https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp ・Trialtrove https://citeline.informa.com/trials/results ・MCV https://mdv-mdvanalyzer.jp/msa/
<ul style="list-style-type: none"> ・Clinical trials.gov https://clinicaltrials.gov/
<ul style="list-style-type: none"> ・ClinicalTrials.gov
<ul style="list-style-type: none"> ・Clinical Trials.gov (https://clinicaltrials.gov/) : 臨床試験情報データベース ・Cortellis (https://access.cortellis.com/login?app=cortellis) : 医薬品情報データベース ・Drugs@FDA (https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/) : 申請資料データベース (米国) ・PMDA (https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/) : 医療用医薬品情報データベース (日本) <p>※ いずれのサイトも競合品・類似品の承認実績・開発状況を把握し、試験デザイン・対象集団を参考とするために参照します。</p>

<ul style="list-style-type: none"> ・「Clinical Trials.gov」 https://clinicaltrials.gov/ ・「Japic」 https://www.japic.or.jp/ その他各種ガイドライン等 <p>※ 海外臨床試験の中身を知りたいときには「Pubmed 等」で検索かけます。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・ ClinicalTrials.gov
<ul style="list-style-type: none"> ・ ClinicalTrials.gov : https://clinicaltrials.gov/ ・ 医薬品情報データベース (Japic Clinical Trials Information/JapicCTI) : https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp
<ul style="list-style-type: none"> ・ ClinicalTrials.gov. : https://clinicaltrials.gov/ ・ PMDA : https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/ 他
<ul style="list-style-type: none"> ・ ClinicalTrials.gov や jRCT 等の臨床試験登録データベース ・ 当該難病情報が掲載されているサイト、患者団体のサイト、疾患レジストリのサイトなど
<ul style="list-style-type: none"> ・ ClinicalTrial.gov https://clinicaltrials.gov/ ・ jRCT https://jrct.niph.go.jp/ ・ 小児治験ネットワーク https://pctn-portal.ctdms.ncchd.go.jp/ ・ PMDA https://www.pmda.go.jp/ ・ その他、それぞれの疾患の学会ホームページ (大人のガイドラインを含む)
<ul style="list-style-type: none"> ・ Clinical Trials.gov https://www.clinicaltrials.gov/ ・ 臨床試験データベース (jRCT) https://jrct.niph.go.jp/ ・ 難病・希少疾患 情報サイト RareS. https://raresnet.com/ <p>国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所 (nibiohn.go.jp)、 指定難病 厚生労働省 (mhlw.go.jp)</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 公開されている審査報告書及び CTD https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/ ・ 難病情報センター https://www.nanbyou.or.jp/ ・ UMIN 臨床試験登録システム https://www.umin.ac.jp/ctr/index-j.htm ・ FDA のサイト https://www.fda.gov/industry/developing-products-rare-diseases-conditions/rare-pediatric-disease-rpd-designation-and-voucher-programs ・ Nord (National Organization for Rare Disorders, Inc.) のサイト https://rarediseases.org/ ・ 日本難病・疾病団体協議会 (略称 JPA) https://nanbyo.jp/ ・ 特定非営利活動法人 ASrid (アスリッド) https://asrid.org/ ・ PubMed/ガイドライン/研究班情報 (ガイドラインがない場合) ・ 関連学会 <p>※ UMIN 臨床試験登録システムは、医師主導治験、臨床研究の情報を確認する場合に主に使用します。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・ jRCT や Clinical trial gov 製薬協 治験の情報検索 https://www.jpma.or.jp/about_medicine/shinyaku/tiken/med/ ・ 厚生労働省 治験等の情報について https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_20871.html ・ PMDA 治験情報の公開 https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0019.html <p>疾患 : Web 上の関連学会 HP、各種ガイドライン、患者団体 HP、難病情報センター HP、指定難病 HP 等</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・ 小児慢性特定疾病情報センター (https://www.shouman.jp/) ・ 難病情報センター (https://www.nanbyou.or.jp/)

<ul style="list-style-type: none"> ・小児治験ネットワーク (https://pctn-portal.ctdms.ncchd.go.jp/) ・Clinical trials.gov (https://clinicaltrials.gov/) ・Minds ガイドラインライブラリ (https://minds.jcqh.or.jp/) ・対象疾患関連の学会 HP <p>※ 対象疾患関連の学会 HP では、ガイドライン情報と疾患情報を収集</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・Clinical Trials. gov (https://www.clinicaltrials.gov/) ・UMIN-CTD (https://www.umin.ac.jp/ctr/index-j.htm) ・JAPIC (https://www.japic.or.jp/) 等 ・PMDA、EMA、FDA の HP <p>※ 海外試験は Clinical Trials. gov、国内試験は Clinical Trials. gov、UMIN、JAPIC の閲覧頻度が高い</p>

質問2. 構築する検索サイトは、難病の専門医と特殊検査の外部委託先施設の情報を中心に掲載したいと考えていますが、新薬開発に役立つと思われますか？理由もお書きください。

新薬開発に役立つかの有無

	N	役立つ	役立たない
全体	42	92.9%	7.1%

<役立つと思う理由>

希少疾患の専門医や施設がどこにあるのかを把握できると治験施設の選定に役に立つと思った。
専門的な情報は入手にくいこともあり役立つと思います。
該当する難病を開発対象疾患と考えた際に、相談先として候補を選定する際に参考にします。
フィービリティ調査の参考にできると思います
特に開発経験がない場合に調査対象の情報として有用と考えます。
小児難病に関して言えば、それに特化した検索サイトのため。
該当する開発品があった場合に専門医を探しやすくなる。
難病及び希少疾患を診療している専門医師は限られている。診療ガイドラインや論文、著書があればそれらの著者名から医師を同定することはできるが、所属名が古かったりすることもあるため。
研究班が組織されていない難病の場合には、専門医を特定しやすくなるため役立つ。治験を実施する際の施設選定にも役立つ可能性がある。
実施可能性調査のための施設情報収集が短期間で完了するため。専門医を特定できれば、専門医にコンタクトし国内における難病に関する治療方針や治療実態、難病そのものの病態に関する情報を共有頂ける可能性があります。世界同時開発の可能性を踏まえ、国内外差を含めこれらの情報は国内での開発方針を決定する上で重要と考えています。
新薬開発において治験を実施する前には、対象となる疾患の被験者を予定期間内に集めることが可能かどうかといったことを事前に検討します。ある程度一般的な疾患であれば SMO（治験施設支援機関）が所有している情報からどの医療機関で何例くらい被験者を集めることができるかと想定できますが、難病の場合は情報量が乏しく、誰が専門医

<p>であるかといった情報を掴むのが難しいため、専門医がどの医療機関にいるということが分かれば、治験実施前における検討材料の一部になると思います。</p>
<p>治験実施前のヒアリングや治験の依頼先を検討する上で参考になるため。</p>
<p>開発している薬の専門領域に、全国でどのぐらいの専門医がいらっしゃるのか、特殊検査についてどのぐらいの検査機関が対応できるか知りたい情報です。また、治験広告になれないが、一般患者も見に届ける可能性があり、広くして知って頂くと、患者登録に繋がるかもしれません。</p>
<p>専門医、疾患に関連する検査が一体となっており、情報が集約されているため。KOL 選定時や試験立案時の施設・ベンダー選定時などにも役立つと思われる。</p>
<p>疾患の開発を広げる場合等情報が不足している場合は役立つため。</p>
<p>試験施設の選定に役立つ。</p>
<p>施設選定や患者数の推定が可能となるため。</p>
<p>小児の難病に関する情報サイトはそもそも数が少なく、専門医や特殊検査の外部委託先施設の情報が不足しているため、このような情報が掲載された情報サイトは一つでも多くあったほうが良い。</p>
<p>治験実施の実施可能性を判断が容易になると思われます。</p>
<p>特に対象となる難病の専門医がどなたであるか、特殊検査の実態がどのようなものであるか、はこれまでガイドラインや論文、各 website、ヒアリング等を通じて入手していた。一つにまとまると確実に便利で活用されると思われる。</p>
<p>難病を対象にした治験を検討する場合に、ご意見を伺うために専門医の先生方を調査するため。医療機関でしか実施できない特殊検査がある場合には、実施できる施設を調査する必要があるため。</p>
<p>難病の治療に関する相談ができる専門医を知りたいため。</p>
<p>・ 治験実施先の候補を選定する際の参考となる。また、治験実施計画書の検査項目を設定する際の参考となる。</p>
<p>専門医や外部委託先の情報以外にも、検査数などで MDV のように DB (データベース) 構築されるようになれば、例えば海外本社から RFI の調査 (日本で試験を実施できるかどうかの調査) が届いたときに、参照させていただきたい DB となる可能性はあると思います。</p>
<p>専門医の情報は臨床試験立案及び実施に重要な情報であるため。特殊検査の委託先情報も、実際の臨床試験実施の際に必要なため。</p>
<p>難病の専門医と特殊検査の外部委託先施設の情報を自社単独で調査することは容易では無いので、構築予定の検索サイトがあると情報へのアクセスが容易になることが期待できるため。</p>
<p>専門医・診療医療機関情報は、自社で当該難病の医薬品を開発、治験を計画する際に、医学専門家 (コンサル) や治験実施医療機関の選出に役立つと思います。</p>
<p>主にかかりつけ医が利用するという点では、専門の医師・診断のための検査委託先がすぐに照会できるのは利点があるかと存じます。ただし、それだけではサイトが新薬開発に貢献しないと考えます。</p>
<p>他に当該情報が集約されているサイトを知らないため</p>
<p>患者数が少ない場合、治験先や検査受託先を探すことに苦労するため。</p>
<p>難病の専門病院、専門医ならびに近隣の施設からその専門病院に対して患者の紹介ルートが確立されていれば、その近隣の提携医療機関の情報もあと役立つと思いました。</p>
<p>様々な対象疾患の専門医の情報があれば、相談先が見つけやすい。</p>

仮に構築する検索サイトを製薬企業側で利用させていただけるのであれば、難病に対する治験の準備段階で、難病の専門医（いわゆる KOL）や特殊検査の外部委託先施設の情報を効率的に企業側で探すことができ、役立つように思います。
製薬企業の観点では、該当希少疾患の専門医や施設がわかると治験実施にあたっての、実施医療機関候補検索やアドバイザーの検索に役立つと思われる。
・<TAB>難病・希少疾患 情報サイト RareS.(レアズ)と差別化できるポイントがあれば役立つと思う。・<TAB>KOL、治験責任医師及び治験実施医療機関（投薬・診察等だけではなく、特殊検査先機関としても）の選定に役立つと思う。特に、希少疾病の場合、関連学会の講演や難病情報センターの HP から専門家を探すが、適切な専門家を探すのに時間がかかる。遺伝子検査等の特殊検査も、測定可能な機関があるかをネットの情報からは見つけられないことが多いため、迅速にその情報にアクセスできることは有用と思う。・<TAB>被験者リクルートやプロトコル設計（特殊検査に関する情報など）にも参考になると思う。
難病の専門医師や KOL は学会等からわかりますが、その他の医師も含めて確認できる情報は新規治験で医療機関を選定する上での参考として役立つと考えます。しかし、専門医が多い場合は患者様にとってはメリットとなると推測しますが、治験の医療機関の選定目的の場合、治験実施先を絞りこむことが難しく有用性は薄れると思います。検査について、どのような検査が特殊検査で、どこで実施できるかの情報は、治験でも有用と思います。
疾患の症状に QOL を妨げられているにも関わらず、病名の診断が付かず、的確な治療を受けられていない患者にとって、専門医の情報を得られるサイトは役に立つと思う。
開発対象疾患患者の治療を行っている医師および医療機関の情報を得ることにより、KOL のリストアップや医療機関の治験実施可能性調査を効率良く実施できると期待できる。
難病を対象とした治験実施の際、実施医療機関及び PI の選定の際に参考になる・KOL のいる医療機関で治験を実施したいが必要な検査の実施体制が整備されていない場合に、外部委託先として紹介することができる

<役立つと思わない理由>

あまり活用するイメージが持てませんでした。理由は下記です。■専門医に関しては、施設や科名だけでなく、個人名まで知る必要があるが、個人情報の観点から専門医の名前や連絡先まで当該サイトに掲載することができるのか不明なため。■専門医に関しては、学会、論文、難病情報センター、医師からの紹介等の情報である程度わかるため。■医師の異動などにより情報は常に変化すると考えられ、当該検索サイトにおける情報の更新が間に合わないと思われるため。■特殊検査の施設については、情報入手を特段急ぐ必要はなく、後日専門医の先生方から聴取できるため。
あくまで臨床開発の立場からですが、難病指定されている疾病については、すでにかんたりの情報が日本でも得られる状況にあると考えています。いま開発で困っていることは、難病指定もされていないような希少疾患に対する治療薬を開発する場合で、このような疾患の専門医、検査等の情報を調べて教えてくださるサイトがあるととても有用と考えます。
専門医や検査施設は治験等の開発の最終段階で必要になってくる部分かと思うが、その段階まで進んだ化合物は、すでに当該疾患の専門家と接触していると考えられ、当該情報は容易に得られる状況になっていると思われるため。

質問 3. 資料にある〈サイトイメージ〉から、新薬開発につながるように、どのような追加要素や工夫があると便利だと考えられますか？（自由記述）

<p>このサイトは誰が使うのでしょうか？使うのは患者の家族でしょうか？それともかかりつけの小児科医でしょうか？使うのが患者の家族だった場合、患者（家族）はすでに疾患がなんであるのかを絞り込んでいることが想定されるのでしょうか？このサイトを使う人がたくさんいれば、開発の観点でもアクセスはそれなりにあると思います。新薬開発のターゲットが難病であっても必ずしも指定難病に限らないため、指定難病以外の難病もカバー頂けるとよいと思います。</p>
<p>（予定されているかもしれませんが）検索ワードの入力箇所は必須と思います。</p>
<p>治験施設としても検討できるように、治験経験や年間症例数など記載があるとありがたいです。</p>
<p>・難しいかと思うのですが、診療期間毎に年間（2年や3年でも）あたりの患者数の分布がわかるようなものが指標としてあると、治験実施調査上は大変助かります。患者さんの年齢分布などもわかると大変有り難いです。・患者団体や患者登録サイトが存在している疾患は、そのサイトへのリンクが集約されていると良いかと思いました（Hab サイト化）</p>
<p>治験の実施経験や実施中の治験情報など</p>
<p>多くの患者を診ている医師にはコンタクトを取ろうと考えるため、専門医（もしくは科）が診ている患者数（過去からのトータル、現在）や年齢分布がわかると良いと思います。</p>
<p>関連する学会名があればよいと思います。</p>
<p>専門医の治験経験の情報があるとより助かります。</p>
<p>各施設または各医師が診療している当該疾患患者のおおよその人数。各施設が企業治験に対応しているか。もししていない場合は、企業治験に対応可能などの医療機関と連携しているか（患者の紹介、逆紹介が可能か）。</p>
<p>以下の情報も掲示していただくと、新薬の開発計画を立案する上で便利である。・特殊検査/遺伝子検査の時期別の受託検査数や結果（陽性は●件中●件など）・診療医療機関で診察している当該疾患の患者数、年齢、重症度</p>
<p>難病専門医：治験打診の際の連絡窓口、月間の受診者数（可能な限り最新情報であれば好ましい）、受診者の内訳（自施設か紹介患者か） 精密検査依頼先：治験実施の際の Central lab の受託可否・取得している国際基準等あれば certificate 等の提示・使用している検査パネルや手技・連絡窓口</p>
<p>質問 2 の回答の通り治験実施前にその治験が実施可能かを検討しますが、現在の精密検査依頼先や診療機関のご案内の場合、疾患に対して検査や診察ができる医療機関を知ることができますが、その医療機関に現在対象疾患の患者が通院しているかどうかは見えてきません。その場合、その医療機関で治験を実施しても蓋を開けてみれば症例が集まらなかったという事例もあるかと思しますので、製薬企業側としては検査や診察ができる医療機関といった情報以上に、対象疾患の患者が通院している医療機関の情報の方が重要となります。よって、可能であれば疾患に対して検査をした実績のある医療機関の情報や、臨床調査個人票又は医療意見書を記載した医師がいる医療機関の情報などが公開されればより新薬開発に活用できると思いますが、現時点では個人情報の兼合いな</p>

<p>ども含め実現は難しいと考えています。今後予定されている難病法等の改正に合わせ、難病 DB や小慢 DB の民間事業者等における活用も進んでくるのであれば、対象患者の同意を得た上でこのような取組みができるような仕組みが作ればよりよいサイトになるものと考えられます。また競合他社情報を知るためにも、検索する指定難病を選択した際に、現在実施中の臨床試験や臨床研究情報も合わせて表示されるとより便利かつ、患者さんの方でも参加を希望される方も出てくるかもしれず、ご検討いただければ幸いです。もしくは質問(田)で回答したような検索サイトのリンクを添付するというのも良いかと思います。</p>
<p>患者数が大まかにでもわかると便利かと思います。</p>
<p>関連学会や患者会の情報を追加頂くと便利と思います。</p>
<p>患者数や論文発表の件数あるいは参照掲載文献</p>
<p>当該医療機関における治験経験の有無、治験対応の実績・状況</p>
<p>epidemiology データ、各医療機関毎の患者数、</p>
<p>特殊検査の外部委託先施設の情報について、これらの検査が研究ベースで利用可能か、または保険償還がされるものかわかるよう情報があると良い。実施中の臨床試験と実施施設の情報があると、対象患者の発掘と被験者登録にも繋がる可能性がある。遺伝性疾患については、専門医、遺伝子検査の情報に加えて遺伝カウンセリングの連携体制についての情報もあると良い。海外では（小児で）承認され使用されている治療薬があれば、その情報を記載頂くと日本での小児薬剤開発促進に繋がることが期待される。</p>
<p>医師目線や患者目線で実際の診断や治療で困っていることがわかると参考になる。</p>
<p>患者数、治験情報、遺伝子解析情報等</p>
<p>対象遺伝子検査、対象検査からも検索できると便利と思います。また、そもそも誰を対象にしたサイトであるか、は気になりました。</p>
<p>月あたりもしくは年あたりの新患者数や現在通院されている患者数、併用薬やその使用割合がわかるとより便利だと思います。また、実施中の治験がある疾患の場合には、小児治験ネットワークの「被験者を募集中の治験」のページに誘導するリンクが貼られている、もしくは検索サイト上に実施中の施設の情報や載っていると症例登録にも繋がる可能性がでてくると思います。さらに、該当するサイトがある場合は、疾患レジストリへのリンクがあると新薬開発の検討時に有用だと思います。</p>
<p>対象疾患に関して治験を実施している施設か否かの情報が分かるとより便利だと思います。</p>
<p>精密検査依頼先に具体的な検査項目も明示いただけるとより参考になると思いました。</p>
<p>質問 2 の回答と重複しますが、検査数の DB 化など数値として示していただけると参照させていただきたいサイトとなる可能性はあると思います。日本小児科学会（小児循環器学会等の分科会含む）でも治験支援事業も行われていると思いますので、新薬開発に繋げていくには、小児科学会・小児治験 NW とも連携いただけると良いように思いました。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・数多くの疾患が対象となっていることがよい ・医療機関の患者数情報もあるとよい ・各医療機関、測定機関等の情報更新年があるとよい ・医療機関、医師情報の重みづけが出来るような情報があるとよい（臨床研究実施数、発表文献、該当患者数等） ・各疾患の臨床試験情報（試験、対象、エンドポイント、年等）が確認できるようになっているとよい
<ul style="list-style-type: none"> ・精密検査依頼先の情報については、試験品質水準（GCP、GCLP、ISO、信頼性基準準拠等）に関する情報が記載されていると、承認申請用のデータ取得のための検査依頼が

<p>可能かどうか把握できて有益かと存じます。 ・診療機関については、専門医の先生の氏名等の情報があるとより有益かと存じます。</p>
<p>希少疾患は治験に参加いただける被験者収集が難しく、新薬開発が進まない側面もあるため、各疾患ページ（あるいは診療機関の案内ページ）に各社で実施中の治験情報も掲載できるようにしていただくと、興味のある患者様がアクセスしやすくなるためよいかもしれません。</p>
<p>かかりつけ医→専門医+治験実施医療機関（簡易適格基準掲載）もすぐにかつ優先的に照会できる機能を付与していただきたいです。 例えば小児では、「学校健診で疑い」または「かかりつけ医で疑い」→近隣の「中規模病院で検査・診断」→近隣の「大学の病院またはそれに準じる大規模病院で検査・確定診断」→ガイドラインに準じた標準治療開始 というような流れが大半かと存じます。（居住地によっては、かかりつけ医から大規模病院に紹介もあるかもしれません。） 「かかりつけ医」→「中規模病院」→「大規模病院」というステップを踏むと、恐らくこの時点で確定診断・治療開始までに2か月近く経過している恐れもあります。（疾患の重篤性・緊急性により変わるのでしょうが。） またガイドラインに準じた治療を開始するため、実は治験に適切な患者さんが標準治療を開始してしまい、治験の症例獲得が進まない可能性もあるかもしれません。（もちろん標準治療で十分治療可能で患者さん、ご家族にとって満足のいく生活が送れるのであればそれに越したことはないのですが、そうではないから治験で新薬を開発しているので）</p>
<p>医療機関の連絡先のメールアドレスを掲載していただくと助かります。また、当該医療機関での治験実施の可否についても情報があれば助かります。</p>
<p>治療が始まった場合、具体的にどのような治療がされるのか、どれくらいの頻度で通院すれば良いのか、1回の通院でどのような診察・検査を受け、どれくらいの時間を要するのかなど、通常考えられる流れがあると良いと思います。</p>
<p>小児を対象とした新薬開発で、患者数が非常に少なく、治験施設の開拓および症例登録に大変苦慮した経験があります。専門医の紹介では具体的なドクター名まで情報提供頂きたいことと、例えば通常診療における小児患者の診療件数や他院からの件数等も開示頂けると、治験施設の選定に大変参考になると思いました。</p>
<p>・推定患者数ではなく、治療されている患者数 ・患者会、親の会などの情報</p>
<p>関連する治験の情報が ClinicalTrials.gov や jRCT 等の臨床試験登録データベースに登録されているようであれば、合わせて当該治験情報のリンクまたは登録 ID 等を掲載しておくことで提供情報の充実化、ひいては新薬開発の促進につながると思われま。また、精密検査依頼先と診療機関の情報は許可を得られた施設のみ掲載されることと、可能な限り許可を得て頂き、情報掲載いただくと製薬企業としてもありがたいと考えております。</p>
<p>製薬企業の観点では、各専門医もしくは施設の症例数がわかるとよい</p>
<p>・<TAB>専門医、専門とする医療機関情報 ・<TAB>各医療機関における当該疾患の診察・治療実績 ・<TAB>各医療機関で参加している治験の情報（詳細無しで実施中というだけでも） ・<TAB>各医療機関における特殊検査の実績・精度管理の情報 ・<TAB>製薬企業から医療機関への直接連絡の可否・連絡先 ・<TAB>疾患ガイドラインまたは研究班情報 ・<TAB>疾患の情報が記載されている文献 ・<TAB>疾病の情報が発表された学会の演題と日時</p>
<p>追加要素（情報）：医療機関名には窓口医師またその医師の治験の受入れの可否、治験に活用する上では当該疾患の患者数、検査の機器が複数ある場合はその内容、関連疾患の</p>

<p>患者団体の紹介、追加要素（仕組み）： 1. 集めた情報の疾患データベースの構築をお願いしたい ・どこの都市、医療機関、医師に受診しているかの疾患 DB の構築 ・医薬品開発のための使用に合意頂ける場合は、上記データベースの医療機関や企業などへのデータの開示 2. 治験や治療の紹介サービスに繋がられるような仕組み。（コンシェルジュ的な相談窓口を設置） ・実施医療機関/医師と製薬会社の治験マッチング/コーディネーター ・「治験を希望する際の患者情報（電話、アドレス等の連絡先）の登録」と「個別治験情報のコンシェルジュから患者への提供」 その他： 小児科学会や小児治験 NW、 成育医療センターなどと連携して、治験実施にあたり製薬会社が普段コンタクトする先から当サイトへの存在が分かるようになっていくと利用者が増えると考えます。 疾患毎のページに、その疾患を対象とした治験一覧を表示できると患者及び製薬会社にとって最新の情報が入手できて利用者が増えると考えます。また、その治験一覧は、jRCT もしくは臨床研究情報ポータルサイトの該当治験のページのリンクも載せることで情報の信頼度が増すと思われる。</p>
<p>各疾患に認められる代表的症状に関する情報の記載。</p>
<p>・医療機関ごとの疾患別患者数の表示 ・精密検査依頼先での疾患別検査実績 ・指定難病のリスト上から選択した任意の疾患について、出典元の疾患別詳細情報ページに飛べるリンク</p>
<p>(日)対象遺伝子で検索できると便利 (月)指定難病を領域別に分けると検索しやすい (火)信頼のある情報に基づいて、各疾患の患者数、診断、検査、治療等の一覧も確認できると便利</p>

質問 4.その他、新薬開発に関する情報収集に関して、普段不便を感じておられることがあれば、ご記入をお願いいたします。（自由記述）

<p>希少疾患の調査をしたことがあるが、患者会も無いので、情報が古い論文しかなく、現状を把握するのに困難であった</p>
<p>・患者登録システムと一緒に構築・リンクされると、新薬開発の追い風になるように思いました（例：http://www.remudy.jp/index.html）。 ・患者さんとそのご家族が感じている疾患毎に治療上で困っていることなどの生の声（アンケートなど）があるとアンメットメディカルニーズが見えやすく開発のプランに活かせることもあるかと思えます。</p>
<p>国内で開発するか否かを判断する際、できる限り正確な患者数の把握が必要であるが、そもそも患者数がわからない。また、患者がどの地域、都道府県、病院にいるのかもわからない。</p>
<p>難病の場合、診断診療ガイドラインが無く、診療情報は限られているため、既存治療での効果/副作用、経過、予後などの情報収集が難しいと感じている。</p>
<p>今回のサイトの取り組みで流れが変わるかも知れませんが、Patient journey が不明であるため、もし疾患ごとに決まったものがあるのであれば共有いただきたいです。また、患者会が存在していればそのリンク先や、難病の治療に関して、医師/施設間のネットワークが構築されているのであれば共有頂きたいです。</p>
<p>検索機能の限界もありますが、一部の臨床試験検索サイトでは、フリーワード検索において企業名をフルネーム（例えば久光製薬）で検索すれば該当する試験が見つかるものの、省略名称（例えば久光）と検索した場合、該当する試験が出てこない場合があります。もし検討中のサイトにおいても検索ページを設けるのであれば、ある程度検索の幅</p>

が利くようなものを作られると良いかもしれません。
JAPIC 情報は統一感がない。課題名をよく載せるが、何施設で実施するのか、どんなデザインなのか、情報が足りません。
患者さんのお困りごと、患者さんの声がわかるような信頼できるサイトがほしい。ペイシャントジャーニーを調べるには調査会社に頼ることになるため。
患者数(対象患者の条件までの指定はなかなか難しいですが)
通常診療で診断されていない疾患（診断検査が保険適応となっていないものなど）の被験者数の推定、
日本人の患者数の情報の精度がもう少し高いと開発の決定をするのに役立つと思われる。難病で希少疾患の場合は、日本人症例数に関する疫学データが不足しており、外国のデータをもとに日本人症例数を推測したケースがあり、このような場合には、臨床試験を日本で行う場合の実現可能性の検討が困難であった。
日本における新薬開発の情報（結果を含め）が他国に比べ少ない。
難病となると実際にその患者を診ておられる先生がとても限定されます。そのようなご経験のある施設・医師の情報が円滑に入手できると便利であろうと感じます。
これまでは治療上の課題やニーズ、実施可能性、専門医の特定に障壁があったものの、小児医薬品開発ネットワーク支援事業等により情報収集がしやすい体制が出来つつあると感じています。
治験参加医師について、治験で使用する評価の経験（有無、年数）
難病においては、一部で既にデータベース化されているものもあると思います。例えば、トップ画面の例示で記載されている「筋ジストロフィー」においては、実績のあるサイト”Remudy”が存在すると思います。同じ情報が乱立しないようにするためにも、既存サイトがある場合、そのサイトとの棲み分けもしくは、どのように連携していくのかも検討の必要性があるように思いました。
指定難病については、情報が限られているため、国内患者数の動向、関連学会や専門医が新薬に期待する内容（アンメットメディカルニーズ等）がまとめられたサイトがあると非常に有益かと存じます。
希少疾患は質問 1 で回答したようなサイトで収集できる情報も限定的で、特に Patient Centric な情報（患者様が何に困っているのか、どのような Patient Journey を辿るのかなど）が不足していて不便を感じることも多いです。
機密情報なので仕方がないことだが、他社情報や類薬の情報がなかなか得にくい。また目的とする症例の探索が難しい。患者側から「ここにいます！」と声があり分かれれば、最適な施設を立ち上げられるのという悔いがございませぬ。(DCT を進めなかった弊社も悪いのですが)
医療機関ごとに、これまでの治験実績（期間、対象疾患、組入れ数など）が公開されていると良いと思います。
難病や患者数が少ない疾患領域における症例登録を予測するためには、適した候補施設の選定、医師に対する診療実態（医師の診療方針）の調査、ならびに医師に対する治験への組み入れ可能例数の意見聴取を経る必要があります、この作業に時間と労力がかかります。また、このような希少領域で治験施設を開拓するために、医師アンケート調査やレセプトデータの活用も検討しましたが、コストがかかるとは精度（クオリティ）が伴わず、実際の新規施設開拓には結びつかなかった経験があります。より効率的に治験施設を選定できるしくみやサービスがあると大変便利だと思います。
・新薬開発における不便等のコメントではなく、本サイトに関するコメントで恐縮でございませぬ。

<p>ざいですが、そもそもかかりつけ医側が疾患に対する認知をしていない可能性もあるとのことで、検査項目だけでなく、当該疾患の確定診断がスムーズにできるような工夫、掲載情報も必要と考えました。 ・サイトの閲覧対象が主にかかりつけ医とのことで理解を致しましたが、一般の患者さんもアクセスができ、かつ閲覧した患者さんがかかりつけ医にまずは相談できるようなサイトになれば患者さんの治療機会に繋がるのでよりよいものと考えました。 ・一般的に、サイト内に掲載される情報の定期更新は非常に重要と考えます。常に最新の情報に更新することによりこのサイトの意義が発揮されるものと考えました。最終更新日の情報もあると有益です。</p>
<p>・小児疾患については、そもそものアンメットニーズが顕在化しにくく、情報収集先が限られる ・全体の患者数がわかるケースもあるが、プロトコール選択基準に合致する対象患者の数がわからないことが多い（成人でも同様）</p>
<p>・<TAB>KOLの選定や施設・治験責任医師候補の抽出 ・<TAB>特殊検査の実施プロセスや留意点の把握 ・<TAB>オーファン指定を受けられなかった疾患の事例調査 ・<TAB>難病の情報（疾患概要、治療法、疫学等）の把握</p>
<p>希少疾患を対象とした治験を実施する場合、対象患者がゼロの可能性があっても、1例でも登録される可能性があれば、その施設で治験を実施することがあります。一方で、可能性のある施設をすべて治験実施施設とすることはできないのが現状です。そのため、このようなポータルサイトを通じて、治験を実施している病院を表示すると共に、治験を実施していない病院の先生が患者を紹介できる仕組みを構築することを希望します。治験担当医師の名前や連絡先も表示し、患者さんに治験という選択肢を提供できるよう、先生同士でコミュニケーションが取れることが重要だと思います。希少疾患は潜在的な患者も多いため、このような活動が潜在的な患者に適切な治療の選択肢を届けること、その結果治験の促進に繋がることを願います。最期に、このようなサイトを作成するときは、新薬開発に係る企業の間人や、医療機関の医師やCRCも関わった方が良いと思っています。そのため、このようなアンケートは良い取り組みだと思う。</p>
<p>特に希少疾病・難病を開発対象とする場合、必要な情報が多くの小規模サイトに散逸していることが多く、非常に不便に感じる（効率良く網羅性の高い情報収集が難しい）。</p>
<p>臨床試験検索サイトが複数あるため、特定の試験を検索したいときに探すのに時間がかかることがある、集約したようなフリーサイトがあると便利だと感じる。</p>