

戦略的創造研究推進事業（社会技術研究開発）

「科学技術イノベーション政策のための科学

研究開発プログラム」

「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」

研究開発実施終了報告書

研究開発期間 平成 30 年 10 月～令和 4 年 3 月

加藤 和人

(大阪大学 教授)

目次

0. 研究開発の概要	2
1. プロジェクトの達成目標	3
2. 研究開発の実施内容	4
2-1. 研究開発実施体制の構成図	4
2-2. 実施項目・3年間の研究開発の流れ	5
2-3. 実施内容	7
3. 研究開発結果・成果	15
3-1. プロジェクト全体としての成果	15
3-2. 実施項目ごとの結果・成果の詳細	17
3-3. 今後の成果の活用・展開に向けた状況	29
4. 研究開発の実施体制	31
4-1. 研究開発実施者	31
4-2. 研究開発の協力者・関与者	32
5. 研究開発成果の発表・発信状況、アウトリーチ活動など	33
5-1. 社会に向けた情報発信状況、アウトリーチ活動など	33
5-2. 論文発表	36
5-3. 口頭発表（国際学会発表及び主要な国内学会発表）	37
5-4. 新聞報道・投稿、受賞など	37
5-5. 特許出願	37
6. その他（任意）	37

0. 研究開発の概要

1. 対象とした政策や政策形成プロセス、およびその課題

本研究は、難病・希少疾患を中心とする、医療政策と医学研究政策を対象とするものである。政策形成において「患者の声」はエビデンスを形成する際の極めて重要な材料であり、日本や諸外国でも、患者の声を反映させた政策の必要性は広く認識されている。

日本における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。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. 「科学技術イノベーション政策のための科学」としてのリサーチ・クエスチョン

研究を実施するにあたり、(1)「関与者の視点」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)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. 創出した成果により、「誰に、何を」与えたのか

本研究の主な成果を3つ挙げる。1つ目は、「当事者の視点」を政策形成のためのエビデンスに反映させる方法として「エビデンス創出コモンズ」という、ステークホルダー間で熟議・共創を行い、エビデンスを創出する「場」を構築できたこと。具体的には3ステップメソッドとして当事者の課題から研究や政策の優先順位を設定する方法および創出されたエビデンスの政策実装に向けたプロセスをモデル化した。これにより、政策の担当者や政策科学一般に対し一般化可能な手法を提案した。

2つ目は、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」を明らかにしたことである。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、生活面、精神心理面に関する研究テーマ、さらには「通院の困難」に関する研究という具体的な提言を行うに至った。さらに、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した「優先すべき研究テーマ」も明らかにしたことで、より患者の視点の反映した政策・研究に繋げることができると考える。これらは、今後の難病・希少疾患領域の政策や研究に関わる多くの人が参考にできる情報になると予想される。

3つ目は、ステークホルダー間の共創や当事者参画のためにICTを用いることやその具体的な手法・工夫の効果と有用性を明らかにしたことである。これは、難病・希少疾患領域を超えて、医学・医療政策全般、さらには科学技術政策全般やその他の社会的課題に関する議論の場に対して、ICTを利用した新しい手法として提案できると考える。

4. 研究開発の達成状況と限界

採択当初に設定した目標は概ね達成できたと考えている。(1)患者と専門家という異なるステークホルダーの共創による政策形成のためのエビデンスを創出するための方法の実証、(2)その方法に基づく難病・希少疾患領域の政策形成の際に参照可能な具体的エビデンスの創出、(3)ICTを用いることの有用性やその手法の実証、などが実現できた。

一方で、特に「政策実装」および「創出されたエビデンスの政策としての実行可能性の評価」についてはまだ十分とは言えない状況にある。

1. プロジェクトの達成目標

本研究では、以下の3つの達成目標を掲げて研究を進めた。

- (1) 患者・医学研究者・政策関係者などのステークホルダーが政策形成に有用な指摘や提案を継続的に議論・検討する場、すなわち「エビデンス創出コモンズ」を構築する。

医療政策・医学研究政策に対し、効果的なエビデンスを創出するための熟議の場を作ることが目標であり、大きく分けると2段階で行う。第一段階では、RUDY JAPAN という患者参加型の医学研究を介して直接・間接に繋がった患者と医学研究者とのネットワークを利用し、患者と研究者との熟議およびエビデンス創出を行う場（コモンズ）を構築する。また、少数の政策関係者にも参加してもらい、政策への反映を意識したエビデンスの創出に向けた検討を共に行う。次に第二段階として、患者、研究者、政策関係者の3者の参加を得て、熟議とエビデンス創出を行うための場（コモンズ）を構築する。

- (2) エビデンス創出コモンズで得られた課題や提案について、多様な視点から評価し、政策への実現可能性を高めたエビデンスを創出すること、およびそのための効果的な手法を開発する。

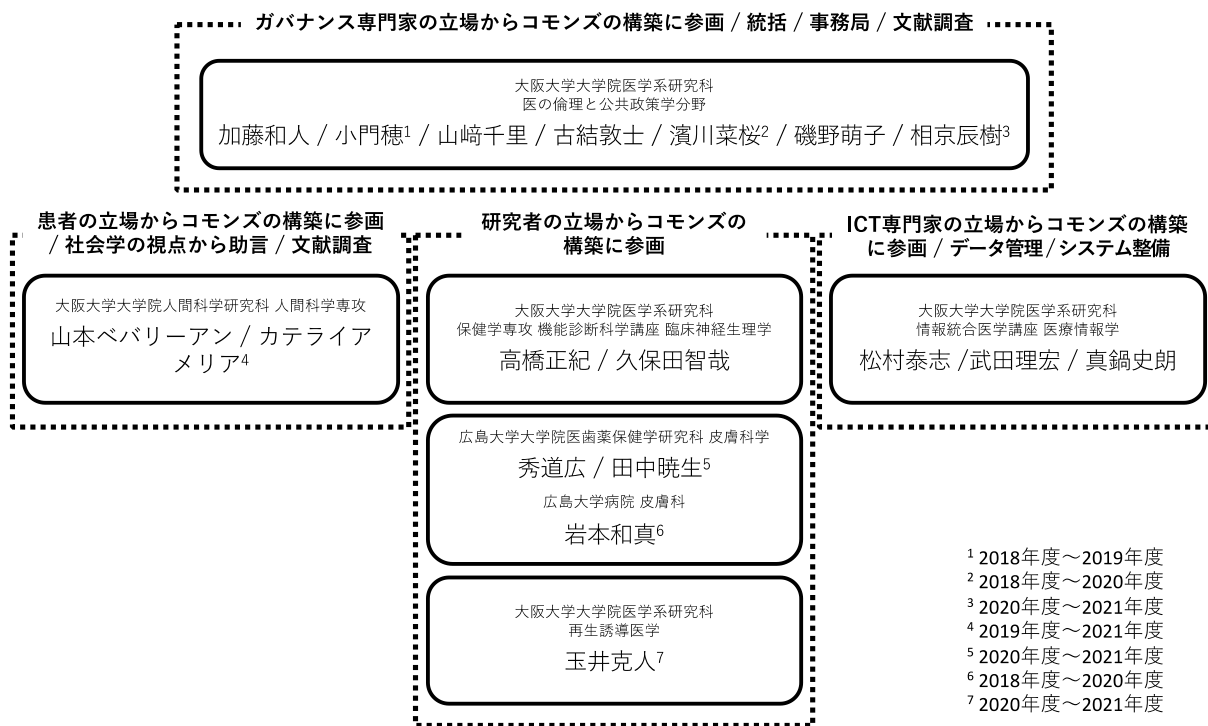
本研究においては、政策形成に生かせるエビデンスは、「多様な患者の立場や意見をできるだけ客観的に反映した政策形成のための課題の指摘や提案」と定義している（研究の過程で再検討を行った結果、現時点では「政策形成の際に参照可能な情報」と定義している）。より具体的には、疾患横断的な見方を反映したもの、多様な関係者の視点を総合的に考慮したもの、患者の身体的な面と心理的な面の両方に配慮したもの、といった特徴を持つエビデンスを創出することを目指している。さらには、政策関係者がコモンズに参加することで、政策として実行可能性を高めたエビデンスとすることを目指す。その過程で得られた手法についても研究成果として公表する。

- (3) 急速に社会に広まりつつある ICT（情報通信技術）を具体的にどのように利用すれば、関係者同士の共創を実現できるかについて検証する。

これまでは、患者が集まり意見交換を行う会合などは、東京や大阪などの大都市で開催することが多かったが、ICTを用いれば患者や患者関係者が遠隔地にいても参画しやすくなると期待される。スマートフォンの普及は驚くべき広がりを見せており、PCに加え、スマートフォンやタブレット端末を用いて、「エビデンス構築コモンズ」の構築に参加し、エビデンス創出のための活動を効果的に行うためには、どのようなやり方がよいのかを検討する。

2. 研究開発の実施内容

2-1. 研究開発実施体制の構成図



〈研究開発実施体制〉

本研究は大阪大学・加藤の研究グループが中心となり、同山本、高橋、玉井（本プロジェクトには途中から参画）、松村の研究グループ、広島大学・秀の研究グループが一体となって行った。加藤らは研究ガバナンスおよび医学倫理を専門とする立場からコモンズの構築に参画するとともに、本研究の統括および事務局の役割を担った。山本は自身が希少疾患の患者であるとともに、社会学の専門家としてコモンズの構築に参画し、本研究プロジェクトの運営にも関わった。高橋、秀、玉井らの研究グループはそれぞれ、神経筋、遺伝性血管性浮腫、表皮水疱症という希少疾患の研究者の立場からコモンズの構築に参画し、松村の研究グループはICTの専門家および医療情報の研究者という立場でプロジェクトに参画した。

また、厚生労働省や国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）といった、医療・医学研究の政策形成・実施に関わる行政機関の経験者（現在は大学等に所属する研究者、および医療従事者）が研究協力者として参画した。

さらに、本プロジェクトでは「患者参画（研究や政策立案のプロセスに患者が関与すること）」を中心的なテーマに据えており、プロジェクトに参加した患者・患者家族・患者グループ関係者（以下、当事者とする）もコモンズの構築やエビデンスの創出に際して不可欠な貢献を果たすとともに、創出されたエビデンスの整理・提示の方法についての検討、さらには研究プロジェクトの方向性の検討についても重要な役割を担った。

このように、ガバナンス、社会学、医学、医療情報学というさまざまな専門性を有する研究者とともに、行政経験者や当事者という立場からもプロジェクトに参画することで、学際的研究・ステークホルダー間の協働・当事者参画という、これまでにない特色を持った研究体制で研究を進めることができた。

2-2. 実施項目・研究開発期間中の研究開発の流れ

< 研究実施項目 >

【第1フェーズ】 コモンズの構築とステークホルダーの把握

- 実施項目 1 エビデンス創出コモンズの構築
- 実施項目 2 ステークホルダーへのヒアリング
- 実施項目 3 各ステークホルダーの問題意識および意見の共有
- 実施項目 4 文献調査¹
- 実施項目 5 政策形成へのエビデンス創出①

【第2フェーズ】 コモンズでの共創・信頼関係の深化とエビデンスの評価

- 実施項目 6 オンラインワークショップ①²
- 実施項目 7 フォーラムおよびエビデンス評価①
- 実施項目 8 国際シンポジウム
- 実施項目 9 エビデンス創出コモンズの運営と発展①³

【第3フェーズ】 政策担当者を含めたエビデンスの創出と検討

- 実施項目 10 オンラインワークショップ②
- 実施項目 11 政策形成へのエビデンス創出②
- 実施項目 12 フォーラムおよびエビデンスの評価②
- 実施項目 13 国際誌への論文投稿⁴
- 実施項目 14 エビデンス創出コモンズの運営と発展②³

【第4フェーズ】 成果報告シンポジウム、および報告書作成

- 実施項目 15 成果報告シンポジウム
- 実施項目 16 報告書作成

¹ 計画段階では実施項目 1 の 1 つとしていたが、本報告書記載時に実施項目 4 として独立させている。

² それまでに集積された知見から、当研究プロジェクトを進める上で直接的にエビデンスを利用する側となる行政官による、当プロジェクトから創出されたエビデンスの評価が重要であると判断した。そのため、実施項目 7 フォーラムおよびエビデンス評価①の結果を反映するために当初の計画から若干の変更を加え、実施項目 7 を先行し、本実施項目はその結果を踏まえて 2020 年度前半に実施する計画とした。

³ コモンズの運営・発展のため、第 2 フェーズ、第 3 フェーズでもネットワークの基盤となる RUDY JAPAN（患者と研究者の協働によるインターネットを用いた希少疾患を対象とする QOL 調査研究プラットフォーム）のシステム開発を行った。

⁴ 元の計画では第 2 フェーズであったが、第 3 フェーズの検討内容も含めて学術論文としてまとめる方針としたため、第 3 フェーズで実施することとした。

実施項目	2018年度 (6ヵ月)	2019年度 (12ヵ月)	2020年度 (12ヵ月)	2021年度 (12ヵ月)
【第1フェーズ】				
1. エビデンス創出コモンズの構築	→			
2. ステークホルダーへのヒアリング	←→			
3. 各ステークホルダーの問題意識および意見の共有	←→			
4. 文献調査		←→		
5. 政策形成へのエビデンス創出①		←→		
【第2フェーズ】				
6. オンラインワークショップ①		←→		
7. フォーラムおよびエビデンス評価①		←→		
8. 国際シンポジウム (2020年9月)			●	
9. エビデンス創出コモンズの運営と発展①		←→		
【第3フェーズ】				
10. オンラインワークショップ②			←→	
11. 政策形成へのエビデンス創出②			←→	
12. フォーラムおよびエビデンスの評価②			←→	
13. 国際誌への論文投稿				●
14. エビデンス創出コモンズの運営と発展②			←→	
【第4フェーズ】				
15. 成果報告シンポジウム				●
16. 報告書作成				←→

2-3. 実施内容

2-3-1. 実施項目 1 エビデンス創出コモンズの構築

■オンライン会議の実施

2019年3月に「患者が日常生活の中で感じている様々な問題意識」をテーマとして、オンライン会議を実施した。患者および患者グループ関係者7名、研究者7名、政策関係者2名の計16名が参加した。終了後、オンライン会議を行う際の利点と留意点についてオンラインアンケートを実施し9名から回答を得た。

■RUDY JAPAN のシステム構築

本研究プロジェクトへの参加者の対象疾患を広げることを期待して、そのネットワークの基礎となる RUDY JAPAN に新たな疾患を追加するためのシステム構築を行った。具体的には、遺伝性血管性浮腫（以下、HAE とする）の登録者を対象とした QOL の調査票を実装した。また、表皮水疱症という皮膚科領域の希少疾患を新規対象疾患とし、表皮水疱症を対象とする QOL 調査を行うために 2 つの QOL 調査票をシステムに実装した。

2-3-2. 実施項目 2 ステークホルダーへのヒアリング

各ステークホルダー（政策担当者3名、患者3名、医学研究者1名）に対して、希少疾患に関する政策についてどのような意見を持っているかを把握するために、ヒアリングを行った。

2-3-3. 実施項目 3 各ステークホルダーの問題意識および意見の共有

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」⁵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）。終了後、オンラインアンケートを実施した。

⁵ 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.



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

2-3-4. 実施項目 4 文献調査

コモンズでの議論と並行して、本研究で用いようとしているエビデンス創出の方法論や、具体的なエビデンスの内容が、世界各地で行われている同様の活動と比べどのような位置付けになりうるかを把握するために、本研究プロジェクトに関連する国内外での事例や議論に関して、①医学・健康研究に関する政策形成プロセスにおける患者参画の事例および手法、②政策形成におけるエビデンス、③希少疾患領域の研究助成の現状と課題を主な内容として文献調査を行った。

2-3-5. 実施項目 5 政策形成へのエビデンス創出①

第 1 段階のエビデンス創出のための実施内容は大きく分けて、論点抽出と **priority setting** の 2 つに分けられる (図 2)。論点抽出では、実施項目 3 で実施した、対面式ワークショップの結果を分析し、「希少難病を抱える患者が直面する困難」として整理することを第 1 段階のエビデンス創出の出発点とした。次に、この課題に取り組む方法の 1 つとして研究を念頭に置き、種々の課題を「研究テーマ」と捉えることによって「どのような研究テーマ」に優先して研究を行うべきか、という **priority setting** に取り組んだ。各ステップの具体的な実施内容についてはステップごとに後述する。



図 2 エビデンス創出①のプロセスの概要

■ 対面式ワークショップの分析

実施項目 3 の対面式ワークショップの中で提示された付箋のうち課題（「稀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。

■ オンラインワークショップの開催

< 第 1 回オンラインワークショップ >

その分析結果をもとに、その整理の方法をテーマとして、2019 年 11 月に第 1 回オンラインワークショップを実施した。第 1 回オンラインワークショップには、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 名が参加した。まず、プロジェクトメンバーより 2019 年 3 月に実施されたワークショップの開催報告を行った。次に、そのワークショップの結果を分析したものの全体像を提示し、各カテゴリー（大分類）および各課題項目（小分類）の内容の詳細について説明を加えた。その上で、第 1 回のオンラインワークショップでは全体像についての整理の方法について意見交換を行った。また、課題の具体的内容については、3 月に開催したワークショップの参加の有無に関わらず、追加すべき項目および内容を調査するためのオンラインアンケートを行った。

< 第 2 回オンラインワークショップ >

次に、2019 年 12 月から 2020 年 1 月にかけて、第 2 回オンラインワークショップを開催した。第 2 回オンラインワークショップは、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」を考えることを目的とした。第 2 回オンラインワークショップは 3 回に分けて実施され、各回 8~12 名が参加した。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った。

< 第 3 回オンラインワークショップ >

その後、2020 年 1 月に第 3 回オンラインワークショップを開催した。第 3 回オンラインワークショップは、第 2 回オンラインワークショップで提案された「どのような研究を優先して取り組むかを考えるための判断基準」のうちいくつかを実際に課題に適用して「優

先して取り組むべき研究テーマ」を考えることを目的とした。第3回オンラインワークショップも3回に分けて実施され、各回6～11名が参加した。2回目と3回目はそれぞれ、前回までの議論を引き継いで議論を行った。本オンラインワークショップにおいても、提案された22個の判断基準のうち特に重要だと思われる10個を選択し、その上で追加すべき判断基準を尋ねるオンラインアンケート調査を事前に実施した。その結果を元にまずはどの判断基準を優先して適用するかについて合意形成を行い、その上で4つの判断基準について各研究テーマが「よく当てはまる」「当てはまる」「当てはまらない」の3つに分類するための意見交換を行った。さらに、4つの判断基準のうち、適用が有効であった2つの判断基準を用いることで、より優先して取り組むべき研究テーマを明らかにした。

■データベース検索の方法論の開発（プロジェクト間連携）

現在の医学研究政策の現状と課題を把握することを目的として、社会技術研究開発センター（RISTEX）「科学技術イノベーション政策のための科学 研究開発プログラム」2017年採択課題「先端医療のレギュレーションのためのメタシステムアプローチ」（研究代表者：加納信吾（東京大学大学院新領域創成科学研究科教授））との連携によってデータベース検索を行った。このプロジェクト間連携では、本プロジェクトで明らかにされた「必要とされる医学研究の広がり」が、どの程度政府が助成している医学研究に反映されているかを調査することで、現在の医学研究政策の現状と課題を把握することを試みるものである。

エビデンス創出①においては、その方法論を開発するために、試験的な希少疾患のグラントのキーワードによる相対関係の分析を行った。以下にその具体的なプロセスを概説する。まず、SPIASをデータソースとして、グラント要旨およびキーワードを検索対象として検索を行った。本研究プロジェクトの対象疾患から4つの疾患（骨格筋チャンネル病、筋強直性ジストロフィー、結節性硬化症、ハンチントン病）を「四肢麻痺」「ミオトニー」「チャンネル病」「結節性硬化症」「ハンチントン病」「ジストロフィー」という6つのキーワードで検索し、ヒットしたもののうち重複を取り除いた1481件のグラントのサンプルセットを作成した。

次に、前述のオンラインワークショップによって明らかにされた7つの「より優先して取り組むべき研究テーマ」に関連する検索ワードの候補を、2019年3月に実施した対面式ワークショップの分析の結果の具体的内容およびその類語表現などから抽出し、サンプルセットを用いて実際に検索を行うことで有効な検索ワードを同定した。こうして得られた計67の検索ワードを用いて検索を行った。1481件のうち、1つ以上ヒットしたものは363件であり、これらに対してスコア順に通し番号IDを設定した。また、7つの研究テーマのうち、「不安」と「悲観」は検索ワードが類似することから、本プロジェクト連携においてはこれらの研究テーマを1つの分類とし、6つの分類毎に検索ワードを設定して検索を行うことでグラントを分類した。その後、これらの検索結果をもとに、主成分分析を行った。

2-3-6. 実施項目6 オンラインワークショップ①

2020年5月にこれまでの研究の進め方と成果についての振り返りと今後の進め方についての意見交換ワークショップをオンラインで開催した。

2-3-7. 実施項目7 フォーラムおよびエビデンス評価①

第2回政策のための科学オープンフォーラム（2020年1月、図3）、第31回SciREXセミナー（2020年2月、図4）でこれまでに得られた研究成果に関する発表を行い、行政官を含む様々なステークホルダー、および政策科学の専門家との意見交換を行った。

第2回 政策のための科学オープンフォーラム

無料 300人

科学による政策課題解決への挑戦～たゆまぬ共創・協働～

2020.1.15 (水) 13:00～18:00

国立大学法人 政策研究大学院大学 (原 型 産 業 科 学 研 究 所)

東京都港区六本木6-22-1

このフォーラムの目的は、多岐にわたる政策課題を解決するために、基礎研究と実践を融合させること、また、政策形成プロセスに科学者が積極的に参加し、協働して課題を解決すること、また、政策や研究の最新動向について、産学官の垣根を越えて情報共有を図ること、などです。

参加費 無料

「政策形成と政策コミュニティ」

白石 隆氏 (東京大学大学院工学系研究科教授)

「AI応用した社会構想と政策提言」

広井 良典氏 (京大大学院政策研究センター教授)

「地球規模課題と地域イノベーション」

「行政と研究者が出会う場を」

「政策研究と政策形成の「共創・協働」を如何に促せるか」

18:00 交流会 (懇話会・フランクフルト会)

参加費 無料

参加申し込み方法: 2020年1月13日(月)まで

申し込みはこちらのWebサイトへ

https://www.nurc.jp/scm/nur/t_200115/

政策のための科学オープンフォーラム

プログラム

13:00 挨拶 (参加者代表挨拶、司会挨拶、開会辞)

13:00 13:05 「政策形成と政策コミュニティ」

白石 隆氏 (東京大学大学院工学系研究科教授)

13:05 13:15 「AI応用した社会構想と政策提言」

広井 良典氏 (京大大学院政策研究センター教授)

13:15 13:25 「事例から俯瞰し、顕微鏡データを含めた行政データを対話する際の課題と展望」

13:25 13:35 「地球規模課題と地域イノベーション」

13:35 13:45 「行政と研究者が出会う場を」

13:45 13:55 「政策研究と政策形成の「共創・協働」を如何に促せるか」

13:55 14:00 交流会 (懇話会・フランクフルト会)

14:00 14:05 「AI応用した社会構想と政策提言」

広井 良典氏 (京大大学院政策研究センター教授)

14:05 14:15 「事例から俯瞰し、顕微鏡データを含めた行政データを対話する際の課題と展望」

14:15 14:25 「地球規模課題と地域イノベーション」

14:25 14:35 「行政と研究者が出会う場を」

14:35 14:45 「政策研究と政策形成の「共創・協働」を如何に促せるか」

14:45 14:55 交流会 (懇話会・フランクフルト会)

14:55 15:00 交流会 (懇話会・フランクフルト会)

図 3 第 2 回政策のための科学オープンフォーラムのフライヤー

第31回SciREXセミナー

患者・研究者・政策関係者の協働による

研究開発プログラム設計のためのPriority Settingの試み

話題提供者： 加藤 和人 大阪大学大学院医学系研究科 教授
古結 敦士 大阪大学大学院 博士課程学生
ファシリテータ： 山縣 然太郎 JST-RISTEX 科学技術イノベーション政策のための科学
プログラム総括

◆ 日時・場所

2020年2月4日（火）18：30～20：00 [霞が関ナレッジスクエア エキスパート倶楽部](#)

◆ 言語 日本語

◆ 参加費 無料（事前登録制） <https://krs.bz/scirex/m?f=282>

◆ 概要

保健医療政策において、当事者である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ます。しかしながら、我が国では他の分野よりも患者会の活動が積極的だとされる難病領域でさえも、政策形成過程における患者参画は十分とは言えない状況にあります。そこで我々は、政策形成における患者参画を促進し、患者・患者グループ関係者と医学研究者、政策関係者といった様々なステークホルダーが医療・医学研究政策について、継続的に熟議をする場である「エビデンス創出コモンズ」を形成することを1つの目的とした研究に取り組んできました。

今回のセミナーでは、そのコモンズでの取り組みとして実施した、希少難病領域における研究開発プログラムのための priority setting の試みについてお話します。この priority setting の結果明らかにされた「優先して取り組むべき研究課題」が、研究開発プログラムの設計にどのように活用できるかについて、会場の皆様とディスカッションをしたいと思います。また、当事者の意見を取り込んだ研究開発プログラムがどのように設計されるべきなのかについても、一緒に考えましょう！

◆ 講師、ファシリテータ略歴

加藤和人 大阪大学大学院医学系研究科 教授

京都市生まれ。1984年京都大学理学部卒。90年から4年間、英国Cambridge大学John Gurdon教授（2012年ノーベル賞）研究室で発生生物学の研究に従事。同時に、ヨーロッパにおける科学・文化について様々な活動を体験し、帰国後、科学と社会の接点に関する分野に転身。2001年京都大学人文科学研究所・助教授。2012年大阪大学医学系研究科・教授。内閣府・総合科学技術・イノベーション会議 生命倫理専門調査会専門委員、WHOのヒトゲノム編集のガバナンスに関する委員会の委員も務める。現在の専門は医学倫理・研究ガバナンス。

山縣然太郎 JST-RISTEX 科学技術イノベーションのための科学 プログラム総括

専門分野は公衆衛生学、疫学、人類遺伝学。30年にわたる妊娠期からの母子保健縦断調査（出生コホート研究）を地域と連携して行っている。現在は環境省のエコチル調査（甲信ユニットセンター長、戦略広報委員長他）を中心に母子保健領域の研究を中心に行っている。ゲノム科学や脳科学など先端科学と社会との接点も研究テーマ。

図4 第31回SciREXセミナーのフライヤー

2-3-8. 実施項目8 国際シンポジウム

2020年10月に「患者参画のいま、そして未来 ―共に医療・医学の政策を考える―」と題したオンライン国際シンポジウムを開催した（図5）。

「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」2020年度国際シンポジウム

患者参画のいま、そして未来

— 共に医療・医学の政策を考える —

Patient Involvement in Policy Making – Current Issues and Future Directions

いま、政策に患者の視点を反映させることの重要性が認識されはじめています。こうした状況を受け、私たちはその有効な手法や期待される成果を、実践を通して研究しています。今回は、国内外から患者参画に携わる方々をお招きし、現在行われている取り組みをご紹介します。また、パネルディスカッションでは、患者を交えた意見交換を行います。今後の患者参画に期待される内容や在り方について、みなさまと考える場になればと存じます。是非、お気軽にご参加ください。

2020年10月16日 金 16:00-19:00

開催形式 オンラインシンポジウム

日英同時通訳つき(専用アプリケーションを使用)
詳細は参加登録された方にお知らせします。

- 事前に参加登録を頂いた方に当日参加用URLをお知らせします。
- ブラウザから誰でも参加頂けるシステム(ユーザ登録不要)を使用します。
- パソコン・スマホで全国どこからでもご参加いただけます。

講演者・パネリスト(予定)

ご挨拶 山縣 然太郎 (山梨大学大学院総合研究部医学域)
Zentarō Yamagata

プロジェクトの紹介 加藤 和人・古結 敦士 (大阪大学大学院医学系研究科)
Kazuto Kato Atsushi Kogetsu

講演① Kassim Javaid (University of Oxford)
カシム・ジャバイド

講演② Jane Kaye (University of Oxford)
ジェーン・ケイ

講演③ 山本ベバリー・アン (大阪大学大学院人間科学研究科)
Beverley Anne Yamamoto

ビデオメッセージ 武藤 香織 (東京大学医科学研究所)
Kaori Muto

パネリスト 秀 道広 (広島大学副学長・大学院医系科学研究科) ほか
Michihiro Hide

パネルディスカッションでは、これまで私たちのプロジェクトに参加された方のうち、患者・研究者が共に登壇し、意見交換を行います。

お申込み

対象 ご関心をお持ちの方であれば、どなたでもご参加いただけます。

定員 200名(参加費無料)

参加登録 下記ページのフォームから参加登録をお願いします。

※ 事前参加登録: 10月12日(月)12:00まで

<https://www2.med.osaka-u.ac.jp/eth/seminar/20201016/>



参加登録はこちらから

主催 科学技術イノベーション政策のための科学・平成30年度採択研究開発プロジェクト
「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」(代表・加藤和人)

問合せ 大阪大学大学院医学系研究科・医の倫理と公共政策学 email:ristex@eth.med.osaka-u.ac.jp

図5 国際シンポジウムのフライヤー

2-3-9. 実施項目9 エビデンス創出コモンズの運営と発展①

本研究プロジェクトへの参加者の増加に繋がることを期待して、その人的ネットワークの基盤となる RUDY JAPAN (患者と研究者の協働によるインターネットを用いた希少疾患を

対象とする QOL 調査の研究プロジェクト) の登録促進のためのシステム構築を行った。

2-3-10. 実施項目 10 オンラインワークショップ②

2020年9月～2021年1月に計6回のオンラインワークショップを開催した。第1回、第3回、第4回(2回に分けて実施)のオンラインワークショップでは、「優先すべき研究テーマを判断するための基準」が、実施項目5で抽出された「希少難病患者が抱える困難＝研究テーマ」を満たすかどうかを考えることで、「難病領域において優先して取り組むべき研究テーマ」についての議論を深めた。

また、これまでの議論で「難病患者が抱える困難を研究テーマとして捉える」ということを明確にイメージするために、その研究テーマにおける具体的な研究内容を考えてみてはどうかという提案があった。そこで、第2回のオンラインワークショップ(2回に分けて実施)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を考えるためのワークショップを実施した。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。患者・患者関係者は黄の付箋、研究者は緑の付箋、政策関係者は青の付箋にリサーチ・クエスチョンを記入した。

2-3-11. 実施項目 11 政策形成へのエビデンス創出②

■エビデンス創出コモンズでの検討

2021年6月にオンラインワークショップを開催し、これまでのコモンズにおける議論内容をどのように整理・統合できるかを議論し、その結果を第2回のエビデンスとして創出した。オンラインワークショップでは、これまでに適用可能であった5つの「優先すべき研究テーマを判断するための基準」の位置付けの再検討を行った。加えて、判断基準の適用結果を重ね合わせることの是非に関する議論も行った。さらに、実施項目12で予定したエビデンスの評価を元に、追加の検討を行っている。⁶具体的には、「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」の適用結果を重ねることで「優先順位の高い研究テーマ」として結論づけられた7つの研究テーマ(＝難病患者が抱える困難)について、「希少疾患に特有の具体的な事例」を共有するためのワークショップを企画・開催した(1回目を2021年8月、2回目は2021年10月に開催)。

■データベース検索(加納PJとのPJ間連携)

PJ間連携による研究成果も独立したエビデンスとしてまとめる。実施項目5において、加納PJとのPJ間連携によって開発された希少疾を対象とするグラントのキーワードによる相対関係の分析方法を用いて調査を実施している。

2-3-12. 実施項目 12 フォーラムおよびエビデンスの評価②

実施項目10で創出されたエビデンスについての評価を行うため、難病・希少疾患領域の政策に関わる関係者との面談を計6回実施し、これまでの研究成果を提示し意見交換を行った。⁷

さらに、これまでの成果を提言書としてまとめ、まず本プロジェクトの関係者以外の患者グループ関係者や患者参画の活動に携わってきた人などに対してフォーラム形式で公表し、それについての意見交換を行う(2022年1月～2月頃に予定)。次に、その結果を踏まえ、

⁶ 2021年11月時点で実施済みである。

⁷ エビデンスの評価については2021年10月以降も政策担当者との面談を継続して行う予定である(2021年11月時点で7回目の面談を実施済み)。

賛同する人と連名で提言書を公開し、関係する政策担当者にも周知する予定である。

提言書に盛り込む内容（予定）

1. 生活面や心理面などを含む、より多面的な患者の負担に配慮した研究の推進
2. 患者市民参画型の研究や活動の推進
3. 患者市民参画のあり方を考える研究の推進

また、創出されたエビデンスそのものだけではなく、そのプロセスの評価を行う必要があることが明らかとなっている。特に、患者参画（エビデンス創出のプロセスに患者等が関与すること）については評価軸が定まっておらず、まずはその評価軸を検討するための議論の場が必要である。そのため、患者参画をテーマとする連続ウェビナー（2カ月に1回程度）を本プロジェクトが主催して行う。⁸

2-3-13. 実施項目 13 国際誌への論文投稿

実施項目 10 でコモンズから創出された第 2 段階のエビデンスとしてまとめたものについて、その具体的な内容とプロセスを学術論文としてまとめ、国際誌に投稿する。なお、論文執筆はコモンズに参加する患者・患者家族・患者グループ関係者のうち、希望する者と共同で論文執筆を行う予定である（このように患者側の立場で論文執筆に関わる者を患者著者と呼ぶ）。

また、文献調査と PJ 間連携によるデータベース検索についても学術論文としてまとめ、国際誌に投稿予定である。

2-3-14. 実施項目 14 エビデンス創出コモンズの運営と発展②

本研究プロジェクトの人的ネットワークの基盤となる RUDY JAPAN のシステム構築を行う。

2-3-15. 実施項目 15 成果報告シンポジウム

2022 年 1 月頃にプロジェクトによって創出された最終的なエビデンスと、そのエビデンスを創出する過程について報告するための成果報告シンポジウムを開催する。シンポジウムはウェビナー形式とし、一般に公開する。

2-3-16. 実施項目 16 報告書作成

本プロジェクトで得られた成果を報告書としてまとめる。最終的な報告書には、コモンズから創出されたエビデンスとその創出過程についての具体的な方法論に加え、これまで取り組んできた文献調査や、加納 PJ との PJ 間連携によるデータベース検索を基にした分析についても成果をまとめる。さらには、情報通信技術を本プロジェクトのように研究に用いることや、広く患者参画について本プロジェクトでの経験や学びについても報告する予定である。

3. 研究開発結果・成果

3-1. プロジェクト全体としての成果

<プロジェクトの各達成目標の達成状況及び具体的成果>

- (1) 患者・医学研究者・政策関係者などのステークホルダーが政策形成に有用な指摘や提案を継続的に議論・検討する場、すなわち「エビデンス創出コモンズ」を構築する。

最終的には患者 21 名、研究者 17 名、政策関係者 5 名の計 43 名が参加する、「エビデ

⁸ 連続ウェビナー「シリーズ 患者参画を考える」と題し、2021 年 10 月に第 1 回「患者参画とは何か、何を指すのか」を開催した。

ンス創出コモンズ」を構築することができ、概ね目標は達成したと言える。しかし、政策関係者は 5 名が参画しているものの、当初予定していた第二段階で想定していた政策担当者や行政官の「エビデンス創出コモンズ」への直接的な参画は実質的に困難であることが判明したため、創出されたエビデンスを基に政策実装に向けての対話を行うという方法へと変更した。

- (2) エビデンス創出コモンズで得られた課題や提案について、多様な視点から評価し、政策への実現可能性を高めたエビデンスを創出すること、およびそのための効果的な手法を開発する。

本研究により、難病・希少疾患の政策形成の際に参照可能な「エビデンス」を創出することができた。そして、これは計画立案時に想定していた「疾患横断的な見方を反映したもの、多様な関係者の視点を総合的に考慮したもの、患者の身体的な面と心理的な面の両方に配慮したもの」という条件を概ね満たしていると言える。政策としての実行可能性については、現在評価中であり、その評価をもとにさらにエビデンスのまとめ方や追加すべき情報について検討を行っているところである。

また、政策科学と現実の政策形成に対するプロジェクトの成果の一般化可能性として、エビデンス創出のための効果的な方法を、「当事者が直面する課題の抽出」、「優先順位を判断するための基準の作成と選定」、「選定された判断基準の適用による priority setting」という 3 ステップによるエビデンス創出として整理した。さらに、得られたエビデンスを基にして政策担当組織と対話を行い、多様な政策にインプットするために必要な整理や追加の検討を行うこと、それら全体を通じた実践が参画するステークホルダーのキャパシティビルディングの場となることを併せて「3 ステップメソッド」モデルとして提案した。

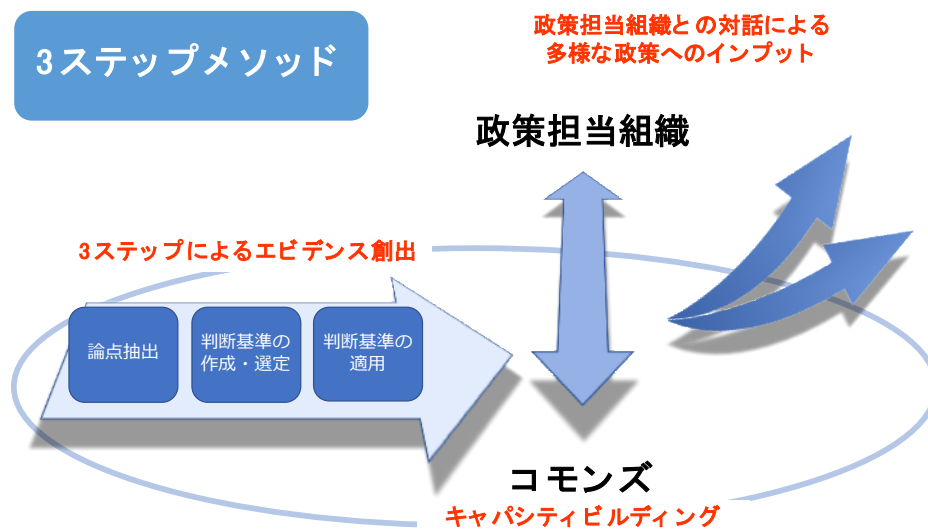


図 6 政策科学(と現実の政策形成)に対するプロジェクトの成果の一般化可能性(モデル案)

- (3) 急速に社会に広まりつつある ICT (情報通信技術) を具体的に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について検証する。

全国各地から参加できるワークショップを合計 20 回以上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「信頼関係の構築」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まうことに対して、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、これも信頼関係の構築に繋がった。

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。

3-2. 実施項目ごとの結果・成果の詳細

3-2-1. 実施項目 1 エビデンス創出コモンズの構築

主に RUDY JAPAN を介して直接的・間接的に繋がった患者と医学研究者とのネットワークを基盤にして、2018 年度終了時点で各ステークホルダーを含む約 30 名がコモンズに参画した。その中には RUDY JAPAN の対象疾患を追加するためのシステム構築を行ったことで新たに加わったメンバーも含まれる。オンラインワークショップを通して継続的に参加することで、コモンズにおける議論だけではなく、コモンズ参加者の理解も深まり、より活発に意見交換がなされるようになった。

■ オンライン会議の実施

オンライン会議においては、患者が日常生活の中で感じている問題意識が多岐にわたること、および患者が直面する困難や認識している問題意識がどのように医学研究や政策として取り組まれているかを共有した。

終了後に実施したアンケートでは、他の参加者の話を聞くことができたことで学びがあったという好意的な反応が多くあった。また、回答者全員がオンライン会議に参加経験があったこと、会議での発言のしやすさには進行役のファシリテーションがうまく機能したこと、移動時間がなく拘束時間が短いというオンライン会議の利点をほとんどの回答者が実感していた。一方で、インターネット環境や慣れなどにより参加できる人が限られてしまうこと、対面式会議よりも他の人の話に反応しにくいことなどが懸念として挙げられた。

■ RUDY JAPAN のシステム構築

システム構築の結果、RUDY JAPAN には 20 名程度の患者から新たな登録申請があった。RUDY JAPAN が対象とする疾患の患者の数名が、本プロジェクトで開催したオンライン会議やワークショップに参加し、意見交換を行った。

3-2-2. 実施項目 2 ステークホルダーへのヒアリング

各ステークホルダーに対するヒアリングによって、現在の医療・医学研究の政策の課題を多角的に捉えることができた。その中でも、ステークホルダー間の対話、協働が不十分であることが様々な立場の人から問題意識として提示されたことは特筆すべきである。本プロジェクトがそういった課題に対して「場」を創り出す 1 つの取り組みであることには、ポジティブな評価を得た。その「場」における対話のあり方や、そこからどういったアウトプットを創り出せるかについてはいくつかの助言を得つつも、今後更にプロジェクト内でも議論が必要であることが明らかとなった。また、横断的な視点、俯瞰的な視点をもって課題に取り組むことが重要であると同時に

に、1人の人間が持つ様々な悩み、苦しみを理解しようとする姿勢こそが第一歩であるということが示唆された。

3-2-3. 実施項目3 各ステークホルダーの問題意識および意見の共有

各ステークホルダーのメンバーを含むグループをつくり、「現在、患者が抱えている様々な問題」をテーマに、ワークショップ（「論点抽出ワークショップ」）を行った。グループワークを行うことで、お互いの視点を学び合うことができるとともに、各ステークホルダーの視点を盛り込んだ現状の課題とそれに対する必要な取り組みについて整理することができた。本実施項目の結果の整理は実施項目5を参照のこと。

終了後に実施したオンラインアンケートは、18名から回答を得た。そこからは、今回用いた「論点抽出ワークショップ」の特徴とも言える、個人ワークを行った後にグループワークを行うことで意見が出しやすかったとい感想が多数あり、立場の異なる参加者がグループワークを行う場合にもこの手法が有効であったことが示唆された。

3-2-4. 実施項目4 文献調査

[医学・健康研究に関する政策形成プロセスにおける患者参画の手法]

文献調査の結果、研究課題や特定に研究領域におけるリサーチ・クエスチョンの **priority setting** や参加型予算編成などの複数のプロセスにおける患者参画の手法を同定した。その中でも、**priority setting** に関するものが多くみられた。以下に、そのうちの代表的な事例を以下に挙げる。

医学・健康研究に関する政策形成プロセスにおける患者参画の手法の例

1. James Lind Alliance (JLA) Priority Setting Partnership

英国のJLAによって開発された手法で、英国を中心として広く用いられている。ステークホルダー（患者、介護者、臨床医）が特定の分野の研究におけるリサーチ・クエスチョンの優先順位を設定することができる。5つのステップがあり、その結果、参加者が実施した順位付けのワークを経て、研究の優先順位のトップ10のリストが作成される。⁹

2. Child Health and Nutrition Initiative (CHNRI) method

参加者は、研究者、資金提供者、政策立案者、利害関係者（ここでは一般市民、医療従事者、患者等を指す）である。研究者はリサーチ・クエスチョンを作成し、利害関係者は事前に決められた評価基準に基づいて独自に採点する。利害関係者による評価は、資金提供者や政策立案者が、提案された質問の長所と短所に基づいて評価するために使用される。¹⁰¹¹

3. Dialogue Model

オランダで開発された手法で、患者、研究者、医療従事者が対等な立場で参加して優先度の高い1つの研究課題を作成する。外部のファシリテーターの協力のもと、ステークホルダーや問題点の探求、インタビューやフォーカスグループ等によるコンサルテーション、優先順位付け、優先順位付けの結果の統合、資金助成計画の設計、実装を含む6つ

⁹ James Lind Alliance. The James Lind Alliance Guidebook. 2018. <http://www.jla.nihr.ac.uk/jla-guidebook/>

¹⁰ Yoshida S. Approaches, tools and methods used for setting priorities in health research in the 21st century. *Journal of Global Health*, 2016, 6.1.

¹¹ Mansoori P, *et al.* Setting research priorities to achieve long-term health targets in Iran. *Journal of Global Health*, 2018, 8.2.

のフェーズを進める。¹²¹³

4. Essential National Health Research (ENHR) approach

研究者、政府のメンバー、ドナー、医療従事者、コミュニティ、民間企業の利害関係者が参加する。優先順位を設定するための基準が決定され、それが適切性（実施すべきかどうか）、関連性（なぜ実施すべきか）、成功の可能性（実施可能かどうか）、研究成果の影響（利害関係者に何をもたらすか）といったカテゴリーに分類され、それぞれにスコアを割り当てる。そのようにしてできたモジュールを用いて、研究課題の優先順位付けを行う。¹⁴

5. Combined Approach Matrix (CAM) method

研究の優先順位を設定するためのいくつかの重要な基準に従って情報を収集するための構造化されたフレームワークを提供し、異なる関係者や要因の影響を考慮に入れている。優先順位を決定するプロセスは、コンセンサスベースである。世界的にも国家的にも利用されている。この手法は、優先度設定プロセスのための情報を整理して提示する、健康分野の研究のギャップを特定する、健康分野の研究の優先度を特定するといった目的で用いることができる。¹⁵¹⁶

このように、それぞれの手法によって **priority setting** という目的が同じでも、その具体的なプロセスや各ステークホルダーが果たす役割は様々であることが示唆される。また、**priority setting** を目的とする手法の中では、「優先順位を決定する基準」について合意形成を行う点で、本プロジェクトが用いた手法と共通点がみられた。

これらの事例の結果がどのように活用されているかについても調査を行った。いくつかの事例においてその結果が実際に活用されているとの報告があったが¹⁴¹⁷、他方でその結果が十分に活用されず、「**priority setting** という単回の演習を行っただけに終わってしまう」事例も少なくないようである。¹⁸

[政策形成におけるエビデンス]

まず、医療・保健分野における「エビデンスに基づく政策 (Evidence-based policy making: EBPM)」の「エビデンス」の定義について文献調査を行った。その結果、状況によって適切なエビデンスは異なるため、その定義についての合意形成は困難であることが示唆され

¹² Abma TA and Broerse JEW. Patient participation as dialogue: setting research agendas. *Health Expectations*, 2010, 13.2, 160-173.

¹³ Abma TA, *et al.* Patient involvement in research programming and implementation: a responsive evaluation of the Dialogue Model for research agenda setting. *Health Expectations*, 2015, 18.6, 2449-64.

¹⁴ Okello D, *et al.* A manual for research priority setting using the ENHR strategy. 2010. <http://www.cohred.org/downloads/578.pdf>

¹⁵ Viergever RF, *et al.* A checklist for health research priority setting: nine common themes of good practice. *Health Research Policy and Systems*, 2010, 8.1: 1-9.

¹⁶ Montorzi G, *et al.* Priority Setting for Research for Health: a management process for countries. Geneva: Council on Health Research for Development (COHRED). 2010.

¹⁷ James Lind Alliance. <http://www.jla.nihr.ac.uk/making-a-difference/funded-research.htm>

¹⁸ Yoshida S. Evaluation of the CHNRI process for setting health research priorities. [PhD thesis] London School of Hygiene and Tropical Medicine. 2019.

た。¹⁹²⁰

エビデンスの質に関しては、ランダム化比較試験（Randomized control trial: RCT）等、一般的に評価されてきたエビデンスの形式では、社会的な側面を把握できないため、RCTをより質の高いエビデンスとする従来の **evidence hierarchy** の使用は避けるべきであるとされる。²¹²²Parkhurst 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おり²³²³、Cash らは **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。²⁴Langlois らは、政策立案者は必ずしも量的なエビデンスだけを利用するわけではなく、エビデンスの理想的な形は、定量的データと定性的データの両方を含み、経験の報告を伴っているものであると主張している。²⁵なお、いくつかの文献において、政治的な関心事、現場における専門的知識、サービスユーザーやその他のステークホルダーの経験的知識を含む、質的データの重要性が指摘されていることは特筆すべきことである。²⁶²⁷

一方で、これまで政策形成プロセスにステークホルダーが参画した事例でさえも、その結果がエビデンスとして記述されることが多くはなかった。しかし、こういった結果が **appropriateness** や **legitimacy** という点で、また、定性的データや経験の報告を含みうるという点でも、今後、質の高いエビデンスとして認識、活用される可能性はあることが示唆される。

また、Oxman らによってステークホルダーが参画するアプローチを把握するためのフレームワークが提案され、その中でステークホルダーの参画の度合いがその要素として示される等、ステークホルダーの参画を理論的に分析する試みがあることも特筆すべきことである。²⁸

¹⁹ Cairney P, *et al.* A. To bridge the divide between evidence and policy: reduce ambiguity as much as uncertainty. *Public Administration Review*, 2016, 76.4: 399-402.

²⁰ Mayne R, *et al.* Using evidence to influence policy: Oxfam's experience. *Palgrave Communications*, 2018, 4.1: 1-10.

²¹ Parkhurst JO and Aheysinghe S. What constitutes "good" evidence for public health and social policy-making? From hierarchies to appropriateness. *Social Epistemology*, 2016, 30.5-6: 665-679.

²² Oliver K and Pearce W. Three lessons from evidence-based medicine and policy: increase transparency, balance inputs and understand power. *Palgrave Communications*, 2017, 3.1: 1-7. 2017.

²³ Parkhurst J. *The politics of evidence: from evidence-based policy to the good governance of evidence*. Routledge. 2017.

²⁴ Cash D, *et al.* *Credibility, Legitimacy and Boundaries: Linking Research, Assessment and Decision Making*. KSG Working Papers Series RWP02-046. 2002.

²⁵ Langlois EV, *et al.* Enhancing evidence informed policymaking in complex health systems: lessons from multi-site collaborative approaches. *Health Research and Policy Systems*, 2016, 14. 20.

²⁶ Head B, 2010. Chapter 2: Evidence-based policy: principles and requirements. *Strengthening evidence-based policy in the Australian Federation*. 1.2:13-26, 2010.

²⁷ Abelson J, Gauvin, FP. *Assessing the impacts of public participation: Concepts, evidence and policy implications*. Ottawa: Canadian Policy Research Networks, 2006.

²⁸ Oxman AD, *et al.* SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP) 15: Engaging the public in evidence-informed policymaking. *Health Research Policy and*

[希少疾患領域の研究助成の現状と課題]

まず、希少疾患領域の政策に関するレビュー²⁹³⁰、および欧州³¹、米国³²、中国³³、日本³⁴をはじめとする 10 以上の国と地域における希少疾患に関する政策や研究資金の状況に関する調査報告、国を超えた資金調達の仕組みに関する報告³⁵などを特定した。

次に、希少疾患領域の研究助成の課題について整理した。その大きな課題の 1 つは資金不足である。³⁶³⁷これに対して Gericke らは、生命倫理学の観点から分析を行い、正義、善行という原則に基づき公的部門がより積極的に希少疾患の研究を推進するべきであると結論づけている。³⁸

もう 1 つの課題は公平性の問題であり、例えば小児期に発症する疾患やより希少な疾患については特に研究資金が少ないことなどが指摘されている。³⁹また、EU においては、希少疾患の資金は、各国間で公平に分配されていないことが指摘されている。³⁸

また希少疾患特有の取り組みとして、RAinDRoP という手法が提案されている。³⁹これは、希少疾患の疾患当事者、医療従事者、研究者などのステークホルダーから希少疾患研究における優先事項を引き出すものであり、単一の疾患に注目するのではなく、異なる希少疾患の患者を集めて、希少疾患とともに生きる上での共通の課題や優先事項を明らかにするという点では本プロジェクトの取り組みと共通する点を持つ。このように、希少疾患を個別に扱うのではなく、いくつかをまとめて研究を行うことは今後の希少疾患研究の資金調達方法に影響を与える可能性があることが指摘されている。³⁷

3-2-5. 実施項目 5 政策形成へのエビデンス創出①

■対面式ワークショップの分析

Systems, 7, S15. 2009.

²⁹ Dharssi S, *et al.* Review of 11 national policies for rare diseases in the context of key patient needs. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 2017, 12.63.

³⁰ Khosla N, *et al.* A compilation of national plans, policies and government actions for rare diseases in 23 countries. *Intractable & Rare Diseases Research*, 2019, 7.4.

³¹ Czech, *et al.* A review of rare disease policies and orphan drug reimbursement systems in 12 Eurasian countries. *Frontiers in public health*, 2020, 7.416.

³² Sancar F. Grants for Rare Disease Research. *JAMA*, 2019, 322.19: 1854-1854.

³³ Song P, *et al.* Innovative measures to combat rare diseases in China: the national rare diseases registry system, larger-scale clinical cohort studies, and studies in combination with precision medicine research. *Intractable & Rare Diseases Research*, 2017, 6.1.

³⁴ 仁宮洗太ら. 日本の難病・希少疾患研究における研究費を決定する要因の分析. *保健医療科学*, 2019, 68.3: 270-278.

³⁵ Boycott KM, *et al.* International collaborative actions and transparency to understand, diagnose, and develop therapies for rare diseases. *EMBO molecular medicine*, 2019, 11.5: e10486.

³⁶ Gericke CA, *et al.* Ethical issues in funding orphan drug research and development. *Journal of Medical Ethics*, 2005, 31.3.

³⁷ Ali SR, Tubeuf S. (In)-Equality in the Allocation of R&D Resources for Rare Diseases. *Social Justice Research*, 2019, 32.3, 277-317.

³⁸ Lynch SA, Borg I. Wide disparity of clinical genetics services and EU rare disease research funding across Europe. *Journal of Community Genetics*, 2015, 7: 119-126.

³⁹ Somanadhan S, *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.

2019年3月に開催された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個を分析した結果、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、医療に関係することのみならず、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。

■ オンラインワークショップの開催

< 第1回オンラインワークショップ >

その分析の結果に基に、全体像の整理の方法について第1回オンラインワークショップで意見交換を行った。その結果、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7に示す。

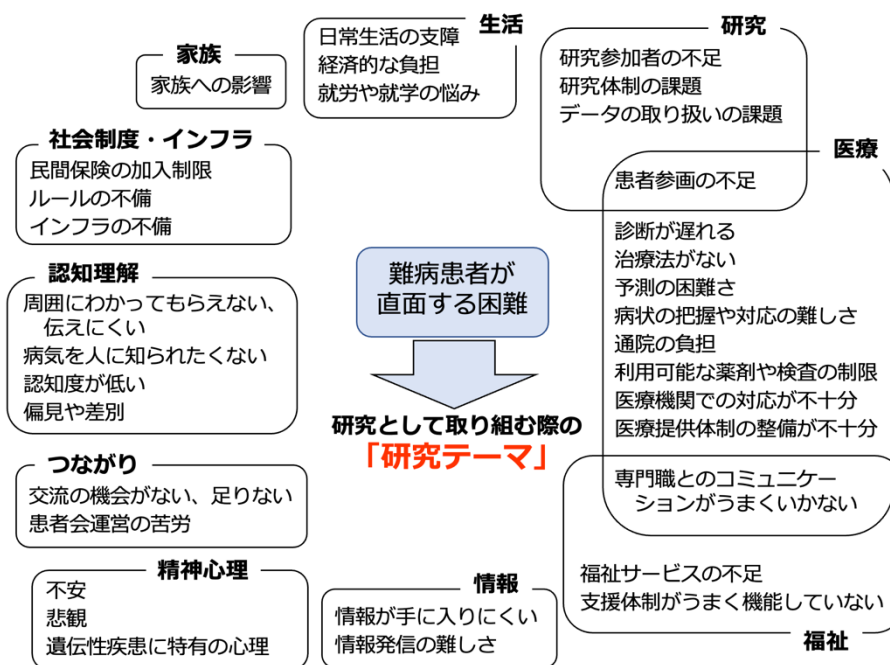


図7 抽出された「難病患者が直面する困難」の全体像

また、「医療」というカテゴリーには多くの課題項目が含まれているため、ミクローマクロの視点によってさらに分類できるのではないかと、この指摘があった。この指摘を元に、「医療」というカテゴリーに含まれるコードを整理したものを図8に示す。「診断が遅れる」、「治療法がない」といった、病気や個人に関わるものから、「他者との関わり」、「医療機関レベルの問題」、そして、最も大きい視点として、制度や人々の振る舞いといった社会全体のレベルに関するものに分類することができた。その他にも、「民間保険の加入制限」や「ルールの不備」のように、法的・制度的に解決できるものと、「偏見差別」や「認知度が低い」といった、法的・制度的に解決が難しいものとの分けられるのではないかと、という提案もあった。

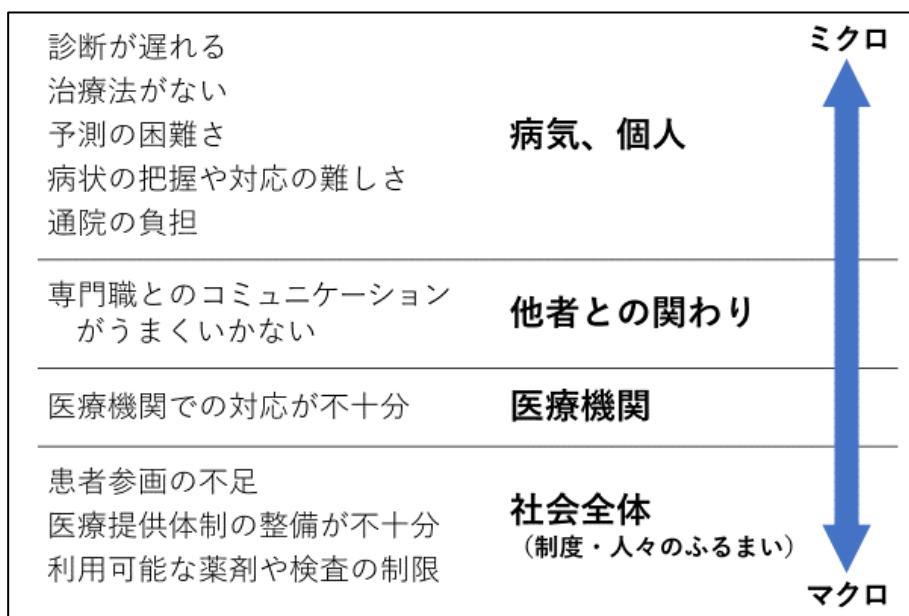


図 8 カテゴリー「医療」のミクローマクロの視点による分類

さらに、課題の具体的内容に追加すべき項目および内容を調査するためのオンラインアンケートでは、10人のワークショップの参加者、6人の非参加者から回答が寄せられた。そのうち、「提示された難病抱える患者が抱える課題が十分である」と回答した人はワークショップの参加者で60%、非参加者で50%であった。「十分ではない」と回答した人からは、学校生活、子育て、被災時の対応や理解といった課題が挙げられた。なお、これらの回答結果について、現時点では課題の全体像に大きな影響を与えるものではなく、具体的内容を補足するものと判断した。

<第2回オンラインワークショップ>

次に、2019年12月から2020年1月にかけて、第2回オンラインワークショップを開催した。以降のオンラインワークショップでは、抽出された「課題項目」を「研究テーマ」として捉えた際にどういった研究テーマに優先して取り組むべきかというpriority settingのフェーズに移っている。その第1段階として、第2回オンラインワークショップでは、「priority settingを行うための判断基準」についての議論を行った。

事前に募集された「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」の案として、「低予算で実現できるもの」「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」など、14個が集められた。そのうち、7つは具体的な課題に言及するものであったため、「なぜその具体的な課題が他の課題よりも優先して取り組むべきだと考えるのか」という視点から議論を進め、判断基準を創り出すことも行った。また、似たような判断基準については整理を行い、表現などについても議論を行った。最終的に、「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。

<第3回オンラインワークショップ>

その後、2020年1月に第3回オンラインワークショップを開催した。第3回オンラインワークショップでは、前回のオンラインワークショップで議論された「priority settingを行うための判断基準」のうちいくつかを実際に適用するための議論を行った。

事前に実施した、提案された 22 個の判断基準の候補のうち特に重要だと思われる 10 個を選択し、その上で追加すべき判断基準を尋ねるオンラインアンケート調査では、各ステークホルダーを含む 21 名からの回答があり、「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。ワークショップを進める中で、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。また、アンケート調査を行う際に、追加の判断基準の候補の提案も受けつけ、「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」など、3 つの判断基準の候補の提案があった。

これらの結果を提示した上で行われたワークショップでの議論のうち、まず、「現在行われている研究をさらによくする（強化する）ために、特に重要な判断基準という視点で、どの判断基準を採用するか」についての議論の結果を示す。事前のアンケートで得票率が上位のものうち、「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かもしれない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言う理由で、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、これらの判断基準を適用した際に、「特によくあてはまるもの」、「ある程度あてはまるもの」、「あまりあてはまらないもの」の 3 つに分けるための議論を行った。以下にその議論の結果を示す。まず、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」を適用した結果、生活面や認知や理解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。

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、生活に関するものなどが特によくあてはまるものとして挙げられた。

これらの議論を進める中で、どの程度その判断基準にあてはまるかは個人の解釈および判断によって様々であり、また、判断基準の解釈についても意見が分かれるものの、一方で、議論を進める中である程度の合意は可能であるということが明らかになった。なお、4 つの判断基準のうち、残りの 2 つについては、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、priority setting のためには適していないことが明らかとなった。

合意可能であった 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。

■データベース検索（加納 PJ との PJ 間連携）

6つの分類（7つの「優先して取り組むべき研究テーマ」のうち、「不安」と「悲観」を統合して生成されたもの）を変数として主成分分析を行った結果、第2主成分までの累積寄与率は43.15%であったため、第1主成分と第2主成分を用いて2軸プロットを行った（図9）。その結果、スコア（67の検索ワードによる検索のヒット数）が高いものが比較的近い位置にプロットされることが示された（図中右上の赤線で囲ったもの）。また、「遺伝性疾患」という検索ワードのみがヒットした77個のグラントは、スコアが高いものとは離れた位置にプロットされることも示された（図中左の青線で囲ったもの）。前者を本プロジェクトで「優先して取り組むべき研究テーマ」として合意したものを反映している研究の典型例、後者を反映していないものの典型例を捉えることによって、両者が最も離れた位置にプロットされることから、本分析が有効であることが示された。また、第1主成分と第2主成分によるクラスター解析の結果も示す（図10）。図中の赤線で囲った部分はスコアが高いグラントを示したもので、これらの距離が近いことが示されている。

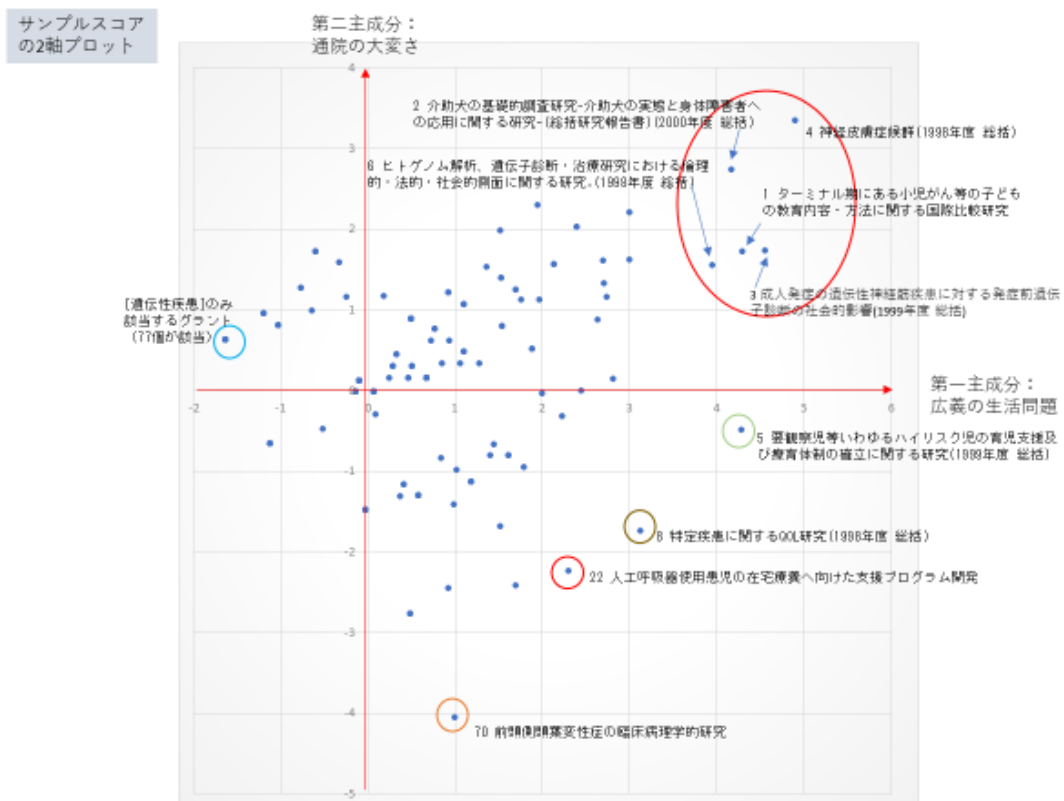


図9 主成分分析によるグラントの2軸プロット

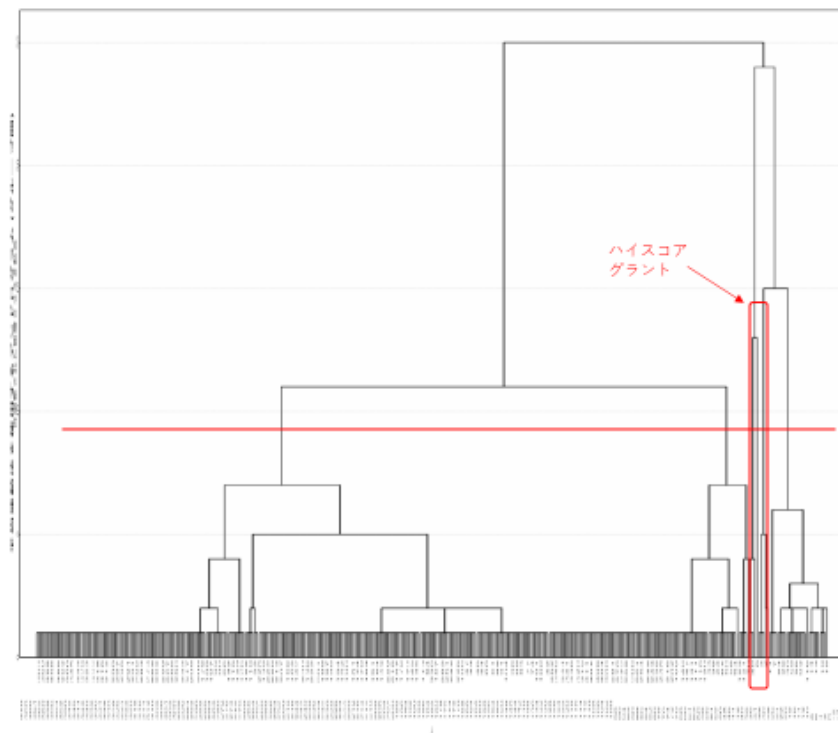


図 10 第 1 主成分と第 2 主成分によるグラントのクラスター解析

3-2-6. 実施項目 6 オンラインワークショップ①

オンラインワークショップでは、エビデンス創出コモンズに関与する患者・患者家族・患者グループ関係者、研究者、政策関係者が参加して、これまでの研究の進め方と成果についての当プロジェクトの強みと課題、及び今後の研究の方向性について意見交換を行なった。意見交換はオンライン付箋ツールを用いて行なった。これまでの研究の進め方と成果についての意見交換では、青の付箋に本プロジェクトの強み（良かった点）、黄の付箋に課題、緑の付箋にその他質問などを記入した。各参加者が複数枚の付箋を提出し、全体で整理した。また、今後の研究の方向性についての意見交換赤の付箋に提案を記入し、各提案に対して青の付箋に賛意、黄の付箋に留意点を記入した。

本オンラインワークショップによって、研究のプロセスを研究者側だけで検討するのではなく、患者、政策関係者といった各ステークホルダーがそのプロセスに関与し改善に繋げることができた。この結果に基づいて実施項目 10 のワークショップでは引き続き他の「優先すべき研究テーマを判断するための基準」をこれまでに同定された「希少難病患者が直面するさまざまな困難＝研究テーマ」に当てはめることで、優先すべき研究テーマを考え、その上で優先すべき研究テーマについて、具体的な研究内容を検討することにした。

3-2-7. 実施項目 7 フォーラムおよびエビデンス評価①

2つのフォーラムおよびセミナー（2-3-7 参照）での発表および質疑応答を通して、これまでの研究活動およびその時点で創出された「エビデンス」の評価を試みた。なお、これらのフォーラムおよびセミナーは一般公開されており、患者、医学研究者、政策科学の研究者、行政官など、様々な立場の方が参加しており、多角的な観点から質問・コメントがあった。

その中で最も重要なこととして、政策形成の理由としてのエビデンスを創出するプロセスに当事者が参画できる「場」を形成する試みであり、これは今まで十分に把握されてこなか

った「当事者の声」を拾う場になりうるとして、一定の評価を得た。さらに、本プロジェクトが priority setting を行うのみならず、その前段階として当事者の問題意識を出発点とすることについても評価を受けた。

一方で、創出された「エビデンス」については、参加者の募集方法や属性、各ステークホルダーによる構成比の偏りなどから、種々のバイアスが生じている可能性があるため、現時点では「質の高いエビデンス」とは評価できないことが指摘された。創出されるエビデンスの質を向上させるためには、対象としている疾患の特性を明確にすること、参加者の募集方法を工夫することでより「開かれた場」とすること、事前投票など定性的な評価を行う際は構成比の偏りに留意すること、今後の進め方次第では研究者以外の専門職に参加してもらうこと、などが今後必要なこととして挙げられた。また、本プロジェクトの成果として、「エビデンスそのもの」というよりも、エビデンスを創出する方法論としての「コモンズの形成」という観点が重要ではないかという指摘もあり、「方法論としてのプロセス」と「結果としてのエビデンス」を同時に評価することが重要であることが示唆された。

さらに、今回提示された「エビデンス」の具体的な内容については、「把握された課題は希少難病患者特有のものではなく、より患者数の多い疾患の患者にも共通するものも多く含まれている」「把握された課題を研究テーマとして捉えることによって priority setting を行っているが、課題によっては研究として取り組むというよりも実践段階にあるものあるのではないか」といった指摘がなされた。前者に関しては、政策形成への影響度の大きさという点で前向きな評価であったが、「難病領域における医学研究政策」という観点ではより「難病領域に特有の問題に焦点を当てるべき」という意見もあった。後者については、把握された課題を「どういったアプローチが最も効果的か」という観点で分類することが有効であることが示唆された。一方で、「どのような研究によって課題に対してアプローチできるのか」というイメージが参加者の中で十分に共有されていないのではないかと、という指摘もあった。このことから、具体的なりサーチ・クエスチョンを検討するところまで議論をすすめることが必要だということが示唆された。

また、本プロジェクトの成果の政策実装という観点では、政策担当者の参画が不十分であることが指摘された。本プロジェクトに関連する行政機関の中で、最も中心的な役割を担っているのは厚生労働省であるため、「科学技術イノベーション政策における「政策のための科学」推進事業」(SciREX)を中心とする、行政とアカデミアの既存のコミュニティを十分に活用できなかったことがこの一因として挙げられた。また、本プロジェクトの議論そのものに参画してもらうこと以外にも、得られた成果および現在行われている議論をもとに、どのような形で「エビデンス」としてまとめるかという視点で政策担当者との意見交換を行うことも視野に入れることにした。

3-2-8. 実施項目 8 国際シンポジウム

オンライン国際シンポジウムでは、当研究プロジェクトからこれまでの研究成果について発表するとともに、患者参画に携わる国内外の研究者がそれぞれの取り組みを紹介した。また、後半のパネルディスカッションでは、講演者に加えて当研究開発プロジェクトに参画する患者・研究者が登壇し、オーディエンスとともに活発な意見交換を行うことができた。

3-2-9. 実施項目 9 エビデンス創出コモンズの運営と発展①

RUDY JAPAN の登録者のうち当プロジェクトに関心を示した人や既にプロジェクトに参加している人から紹介された人が新たに参加者として加わった。新たなメンバーが加わることでさらに多様な視点が生まれるとともに、コミュニケーションが活性化されている。また、オンラインワークショップやその後の交流会（オンラインで開催）等も、信頼関係の構築ならびにコモンズの発展に寄与していると考えられる。

3-2-10. 実施項目 10 オンラインワークショップ②

第1回と第3回では実施項目5で適用した「現在行われている研究をさらに良くするために特に重要な判断基準」とは異なる独自の観点を反映する、判断基準「子どもに関するもの」および「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」を適用した。なお、これらのワークショップでは参加者数が多かったため3つのグループに分けてグループディスカッションを行い、それら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。

第4回のオンラインワークショップでは、適用する判断基準を選択する際に実施した投票で、患者側と研究者・政策関係者側で投票数に差のあった判断基準「家族や医療者など周りの環境に影響するもの」「患者自身が努力しているのに解決できていないもの」を適用した。「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、「特によくあてはまるもの」、「まあまああてはまるもの」、「少しあてはまるもの」、「あてはまらないもの」の4つに分類することができた。一方で、「患者自身が努力しているのに解決できていないもの」については、人によって基準を満たすかどうかの判断にばらつきがあるためグループとしての結論を出すには至らなかった。

また、第2回のオンラインワークショップでは多くのリサーチ・クエスチョンが提案された。このワークショップを通して、プロジェクトの参加者が「希少難病を抱える患者が直面する困難に対して研究として取り組む際に優先すべき研究テーマを検討する」というプロジェクトの狙いをより具体的に理解することに繋がった。また、それぞれの立場で異なる視点を持ったリサーチ・クエスチョンが提案されたことで、互いに学び合う場にもなった。

3-2-11. 実施項目 11 政策形成へのエビデンス創出②

■エビデンス創出コモンズでの検討

ワークショップでの議論の結果、5つの判断基準の位置付けを(A)「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」、(B)「患者側と研究者／政策関係者側で投票数に差がある判断基準」、(C)「(A)(B)の判断基準とは異なる独自の観点を持つ判断基準」という3つに分類し、さらに(A)の判断基準の適用結果のみを重ねることで決定した。

また、(A)の判断基準の適用結果を重ねることで「優先順位の高い研究テーマ」として結論づけられた7つの研究テーマ(＝難病患者が抱える困難)に関する、希少疾患に特有の困難の具体的な事例についてコモンズで共有することができた(現在結果を整理中)。

■データベース検索(加納PJとのPJ間連携)

データベース検索では、対象疾患を333の指定難病として、グラントの疾患名等によって検索を行い、グラントのID、タイトル、代表者、実施期間、金額、キーワード、要旨からなるリストを作成した。次に、当プロジェクトで分類された「希少疾患患者が直面する困難＝研究テーマ」に関係するキーワードを抽出するため、29,839件のグラントリストのタイトル・要旨から抽出された専門用語のうち、「マッピングに適さない用語」(たとえば、「分子」「遺伝子」などの実験科学の基本用語や「解析」「分析」といった広く研究行為を指す基本的な言葉など)を除いた用語集のサマリー版約12000語、詳細版約52000語を作成し、各研究テーマに該当するキーワードを検討した。今後はこのキーワードを用いてグラントのマッピングを行う。

3-2-12. 実施項目 12 フォーラムおよびエビデンスの評価②

政策形成の関係者との面談において、プロジェクトの趣旨や研究成果については一定の評価を得た。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。

加えて、健康医療戦略本部や厚生労働省の難病対策課など、期待するインプット先ごとの具体的な提言の形（より大きなポリシーとしてのインプットなのか、具体的な施策の提案なのか等）について提案があった。また、提言や要望という具体的かつわかりやすい形で提示する方が有効であること、難病に関する研究班のあり方についての検討を行う研究班の立ち上げを提案してみることで、さらにはこれまで十分にアプローチできていなかったインプット先としてAMEDを改めて検討してみるなどについても助言があった。

一方で、提示した難病・希少疾患患者が直面する困難について、「既に行政機関としては部局ごとに必要な施策を実施している」「どういう点で「難病に特有である」といえるかを示さない限り、難病政策として実施することは難しい」「既存の難病研究班の活動に如何に割って入るかはこれからの課題である」といった指摘があった。特に2つ目の指摘に対してはコモンズで明らかにされた難病患者が直面する困難（＝研究テーマ）の一部について、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。3つ目の指摘に対しては、患者市民参画に特化した研究プロジェクトの推進の提案を検討している（2-3-12.内、提言書案の具体案を参照のこと）。

3-2-13. 実施項目 13 国際誌への論文投稿

コモンズでの議論から創出されたエビデンスに関する学術論文は現在執筆中である（その他、文献調査については投稿準備中、データベース検索については分析実施中）。

その過程で患者・患者関係者の立場でコモンズに参画している参加者と共同で論文執筆を行うことについては世界的にも十分な事例の蓄積がなかったため、大阪大学内での倫理審査で承認を得ることとした。その際、「論文執筆に参画する患者は「研究者」とは言えないのか？もし「研究者」とみなすのであれば倫理研修など、必要な手続きを経る必要があるのではないか？」という指摘があった。今回、患者著者は「研究者」とは異なり、「研究参加者（すなわち、被験者保護の対象となる）でありながら、結果の分析および研究報告にも関わる者」と定義しており、また研究者と同様に全てのデータにアクセスできるわけではなく、得られたデータの解釈やまとめ方の検討を一緒に行う予定であることを説明することで、倫理審査で承認された。

3-2-14. 実施項目 14 エビデンス創出コモンズの運営と発展②

継続的にワークショップを開催することで徐々に信頼関係とネットワークを強化することに繋がった。さらに、基盤となるRUDY JAPANのシステム構築やまた最終的には10疾患領域の患者・関係者を含む約40名がコモンズに参画した。

（※以下の実施項目については今後実施予定である⁴⁰）

3-2-15. 実施項目 15 成果報告シンポジウム

3-2-16. 実施項目 16 報告書作成

3-3. 今後の成果の活用・展開に向けた状況

「今後の希少疾患研究を強化するために特に優先すべき」7つの研究テーマを含む、優先

⁴⁰ 実施項目 16 は本報告書ならびに Policy paper のことを指す。

順位が高いと結論づけられた研究テーマを中心に、コモンズでの議論から創出されたエビデンスを提言書としてまとめ、賛同する難病・希少疾患の当事者・関係者とともに政策形成に関わる担当者との対話を重ねる。特に、これまで十分にアプローチできていないAMEDや、難病・希少疾患領域の政策形成に関わる政治家への働きかけも検討している。

加えて、プロジェクトを進める中で見えてきた、「患者市民参画型の研究・活動」や「患者市民参画そのもののあり方を検討するような研究」についての蓄積・ネットワーキングが不十分であることに対して、政策的にもこのような研究や活動を推進・助成することを提言内容として盛り込む予定である。

また、図6で示したような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、他の文脈や領域でも応用可能であるか、特に政策科学の関係者に向けて提示し議論を行うことを検討している。

さらに、本研究によって構築された熟議の「場」として「コモンズ」自体が、疾患横断的な難病・希少疾患の当事者と研究者、政策関係者のネットワークとして機能していることを踏まえ、このネットワークを使って今後の研究や活動を行う予定である（既にいくつかの具体的な研究のアイデアが提案されている）。加えて、本研究プロジェクトが主催している連続ウェビナー「シリーズ 患者参画を考える」にこれまで患者市民参画に関連する活動・研究を行ってきた人をゲストスピーカーとして招き、事例や知見を共有していくためのネットワーク作りを行っていく予定である。

4. 研究開発の実施体制

4-1. 研究開発実施者

氏名	フリガナ	所属機関	所属部署	役職 (身分)
加藤 和人	カトウ カズト	大阪大学	大学院医学系研究科	教授
小門 穂	コカド ミノリ	大阪大学	大学院医学系研究科	助教
山崎 千里	ヤマサキ チサト	大阪大学	大学院医学系研究科	特任研究員
古結 敦士	コゲツ アツシ	大阪大学	大学院医学系研究科	助教
濱川 菜桜	ハマカワ ナオ	大阪大学	大学院医学系研究科	博士課程大学院生
磯野 萌子	イソノ モエコ	大阪大学	大学院医学系研究科	博士課程大学院生
相京 辰樹	アイキョウ タツキ	大阪大学	大学院医学系研究科	博士課程大学院生
山本 ベバリーアン	ヤマモト ベバリーアン	大阪大学	大学院人間科学研究科	教授
高橋 正紀	タカハシ マサノリ	大阪大学	大学院医学系研究科	教授
久保田 智哉	クボタ トモヤ	大阪大学	大学院医学系研究科	准教授
秀 道広	ヒデ ミチヒロ	広島市立広島市民病院		病院長
岩本 和真	イワモト カズマ	広島大学	大学院医歯薬保健学研究科	助教
田中 暁生	タナカ アキオ	広島大学	大学院医系科学研究科	准教授
玉井 克人	タマイ カツト	大阪大学	大学院医学系研究科	寄附講座教授
松村 泰志	マツムラ ヤスシ	国立病院機構大阪医療センター		病院長
武田 理宏	タケダ トシヒロ	大阪大学	大学院医学系研究科	准教授
真鍋 史朗	マナベ シロウ	大阪大学	大学院医学系研究科	特任助教
カテライ アメリア	カテライ アメリア	大阪大学	大学院人間科学研究科	博士課程大学院生

4-2. 研究開発の協力者・関与者

氏名	フリガナ	所属	役職	協力内容	公開
古田 淳一	フルタ ジュンイチ	筑波大学医学医療系医療情報マネジメント学	講師	政策担当者の視点によるコモンズでの熟議への参加とエビデンスの検討・評価段階での協力	確認中
三成 寿作	ミナリ ジュサク	京都大学 iPS 細胞研究所・上廣倫理研究部門	特定准教授	政策担当者の視点によるコモンズでの熟議への参加とエビデンスの検討・評価段階での協力	確認中
虎島 泰洋	トラシマ ヤスヒロ	長崎大学大学院移植・消化器外科	客員研究員	政策担当者の視点によるコモンズでの熟議への参加とエビデンスの検討・評価段階での協力	確認中
下川 昌文	シモカワ マサフミ	山口東京理科大学薬学部	教授	政策担当者の視点によるコモンズでの熟議への参加とエビデンスの検討・評価段階での協力	確認中
吉本 雅世	ヨシモト マサヨ	復興庁福島復興局		政策担当者の視点によるコモンズでの熟議への参加とエビデンスの検討・評価段階での協力	確認中

5. 研究開発成果の発表・発信状況、アウトリーチ活動など

5-1. 社会に向けた情報発信状況、アウトリーチ活動など

5-1-1. 情報発信・アウトリーチを目的として主催したイベント（シンポジウムなど）

年月日	名称	場所	概要・反響など	参加人数
2020年 10月16日	「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」2020年度国際シンポジウム 患者参画のいま、そして未来 — 共に医療・医学の政策を考える —	オンライン	国内外から患者参画に携わるゲストスピーカーを招いて、現在行われている取り組みを紹介するとともに、パネルディスカッションでは、患者を交えた意見交換を行った	152名
2021年 11月16日	<シリーズ 患者参画を考える>- 第1回 患者参画とは何か、何を指すのか -	オンライン	がん経験者として様々なアドボケート活動に携わる桜井なおみ氏をゲストに迎え、これまでの実践例を紹介してもらうとともに、今後の患者参画についてパネリスト・オーディエンスと議論を行なった	81名

5-1-2. 研究開発の一環として実施したイベント（ワークショップなど）

年月日	名称	場所	概要・反響など	参加人数
2019年 3月6日	コモンズプロジェクト オンライン会議	オンライン	難病を抱える患者が日々の生活の中で感じている様々な問題意識を共有した	16名
2019年 3月9日	コモンズプロジェクト ワークショップ	大阪大学 中之島センター	「難病を抱える患者が直面する課題とその解決法」をテーマとした論点抽出ワークショップを開催した	28名
2019年 11月19日	2019年度 第1回 オンラインワークショップ	オンライン	対面式ワークショップ（2019年3月）の結果のまとめ方についての議論を行った	19名

2019年 12月23日	2019年度 第2回 オンラインワーク ショップ①	オンライン	「判断基準」の候補 を検討した	8名
2019年 12月27日	2019年度 第2回 オンラインワーク ショップ②	オンライン	「判断基準」の候補 を検討した	12名
2020年 1月7日	2019年度 第2回 オンラインワーク ショップ③	オンライン	「判断基準」の候補 を検討した	8名
2020年 1月17日	第3回 オンライン ワークショップ①	オンライン	提案された「判断基 準」の候補から実際 に適用するものを選 定し、判断基準 「様々な側面のQOL に関するもの」に関 する検討を行った	6名
2020年 1月18日	第3回 オンライン ワークショップ②	オンライン	判断基準「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」に関する検討を 行った	8名
2020年 1月28日	第3回 オンライン ワークショップ③	オンライン	判断基準「課題やそ の解決を患者が実感 しやすいもの」「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」に関す る検討を行った	11名
2020年 5月30日	2020年度 オンラ イン意見交換会	オンライン	これまでの研究の進 め方と成果、及び今 後の研究の方向性 について参加者との 意見交換を行った	20名
2020年 9月14日	2020年度 第1回 オンラインワーク ショップ	オンライン	判断基準「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」 に関する検討を行っ た	18名

2021年 1月7日	2020年度 第2回 オンラインワーク ショップ①	オンライン	研究テーマ「不安」 に関するリサーチ・ クエスチョンを検討 した	19名
2021年 1月9日	2020年度 第2回 オンラインワーク ショップ②	オンライン	研究テーマ「日常生 活の支障」に関する リサーチ・クエスチ ョンを検討した	13名
2021年 1月18日	2020年度 第3回 オンラインワーク ショップ	オンライン	判断基準「子どもに 関わるもの」に関す る検討を行った	16名
2021年 1月19日	2020年度 第4回 オンラインワーク ショップ①	オンライン	判断基準「家族や医 療者など、周りの環 境に影響するもの」 に関する検討を行っ た	14名
2021年 1月21日	2020年度 第4回 オンラインワーク ショップ②	オンライン	判断基準「患者自身 が努力しているのに 解決できていないも の」に関する検討を 行った	16名
2021年 4月15日	2021年度 オンラ イン意見交換会	オンライン	これまでに実施した 内容を振り返り、成 果のまとめ方、成果 を政策に利用しても らうためのコミュニ ケーションについ て、意見交換を行っ た	19名
2021年 6月20日	2021年度 第1回 オンラインワーク ショップ	オンライン	コモンズから創出さ れたエビデンスのま とめ方について議論 を行なった	22名
2021年 8月22日	2021年度 第2回 オンラインワーク ショップ①	オンライン	「研究の捉え方」「生 活面及び通院の困難 に関する希少疾患特 有の困難の具体的事 例の共有」をテーマ として議論を行った	11名
2021年 9月5日	2021年度 第2回 オンラインワーク ショップ②	オンライン	「研究の捉え方」「生 活面及び通院の困難 に関する希少疾患特 有の困難の具体的事	14名

			例の共有」をテーマとして議論を行った	
2021年 10月30日	2021年度 第3回 オンラインワーク ショップ	オンライン	「心理面に関する希少疾患特有の困難の具体的事例の共有」をテーマとして議論を行った	19名

5-1-3. 書籍、DVD など論文以外に発行したもの (該当なし)

5-1-4. ウェブメディア開設・運営

JST-RISTEX 科学技術イノベーション政策のため科学 研究開発プログラム「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」ーコモンズプロジェクトー

<https://www.med.osaka-u.ac.jp/pub/eth/research-project/https://www2.med.osaka-u.ac.jp/eth/research-project/>

(2020年10月30日公開)

5-1-5. 学会以外 (5-3. 参照) のシンポジウムなどでの招へい講演 など

- (1) 加藤和人, 古結敦士. 患者・研究者・政策関係者の協働による医学研究政策のための論点抽出および priority setting. 第2回 政策のための科学オープンフォーラム「科学による政策課題解決への挑戦～たゆまぬ共創・協働～」(ポスター発表). 2020年1月15日.
- (2) 加藤和人, 古結敦士. 患者・研究者・政策関係者の協働による研究開発プログラム設計のための Priority Setting の試み. 第31回 SciREX セミナー(口演). 2020年2月4日.
- (3) 加藤和人, 古結敦士. 医学研究の倫理・政策と患者参画が果たす役割. 医療政策研究会(口演). 2021年2月24日. オンライン

5-2. 論文発表

5-2-1. 査読付き (1件)

- (1) Nao Hamakawa, Atsushi Kogetsu, Moeko Isono, Chisato Yamasaki, Shirou Manabe, Toshihiro Takeda, Kazumasa Iwamoto, Tomoya Kubota, Joe Barrett, Nathanael Gray, Alison Turner, Harriet Teare, Yukie Imamura, Beverley Anne Yamamoto, Jane Kaye, Michihiro Hide, Masanori P. Takahashi, Yasushi Matsumura, Muhammad Kassim Javaid & Kazuto Kato. The practice of active patient involvement in rare disease research using ICT: experiences and lessons from the RUDY JAPAN project. *Research Involvement and Engagement*. 2021:7,9.
- (2) Amelia Katirai, Atsushi Kogetsu, Kazuto Kato, Beverley Yamamoto. Patient involvement in priority-setting for medical research: A mini review of initiatives in the rare disease field. *Frontiers in Public Health*. 2022:10.

5-2-2. 査読なし (0件)

5-3. 口頭発表（国際学会発表及び主要な国内学会発表）

5-3-1. 招待講演（国内会議 0 件、国際会議 0 件）

5-3-2. 口頭発表（国内会議 3 件、国際会議 0 件）

- (1) 古結敦士, 磯野萌子, 濱川菜桜, 山崎千里, 小門穂, 加藤和人. 患者・研究者・政策関係者の協働による医療・医学研究政策に資するエビデンスの創出. 第 31 回日本生命倫理学会年次大会（口演）. 2019 年 12 月 8 日 仙台.
- (2) 第 32 回日本生命倫理学会年次大会 公募ワークショップ「日本における患者・市民参画(PPD)を考える — 3 つの実践の現場から —」オーガナイザー：加藤和人, 古結敦士; 報告者：磯野萌子, 古結敦士, 山本ベバリーアン（ワークショップ内でプロジェクトについて発表）. 2020 年 12 月 6 日 オンライン開催.
- (3) 第 33 回日本生命倫理学会年次大会 公募ワークショップ「これからの患者市民参画を考える—2 つの着眼点「ベネフィット」「患者市民の位置付けと役割」を拠り所にして」オーガナイザー：加藤和人, 古結敦士; 報告者：古結敦士, 磯野萌子, 相京辰樹, 山本ベバリーアン（ワークショップ内でプロジェクトの概要およびそこから得た着想について発表）. 2021 年 11 月 28 日 オンライン開催.

5-3-3. ポスター発表（国内会議 0 件、国際会議 0 件）

5-4. 新聞報道・投稿、受賞など

5-4-1. 新聞報道・投稿

（該当なし）

5-4-2. 受賞

- (1) 古結敦士. 日本生命倫理学会 第 31 回年次大会 若手優秀口演賞. 患者・研究者・政策関係者の協働による医療・医学研究政策に資するエビデンスの創出. 2019 年 12 月 8 日.

5-4-3. その他

（該当なし）

5-5. 特許出願

5-5-1. 国内出願（0 件）

5-5-2. 海外出願（0 件）

6. その他（任意）

なし