

日本先天代謝異常学会に対する期待
～中間機関の視点から

2023年10月7日
第64回日本先天代謝異常学会学術集会
シンポジウム2 患者さんからのメッセージ：
患者さんにとって、学会員にとって、本学会の意義とは

NPO法人ASrid 西村由希子



Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

1

本日の流れ

- ASrid（希少・難治性疾患領域の中間機関）のご紹介
- 調査結果のご紹介
 - 1) 日本先天代謝異常学会会員に向けたアンケート調査
 - 2) 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査
- まとめにかえて

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

2

本日の流れ

- ASrid（希少・難治性疾患領域の中間機関）のご紹介
- 調査結果のご紹介
 - 1) 日本先天代謝異常学会会員に向けたアンケート調査
 - 2) 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査
- まとめにかえて

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

3

ASridは希少・難治性疾患領域の 中間機関として活動



Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

4

ASridのミッション/スローガン

希少・難治性疾患分野における
全ステイクホルダーに向けたサービスの提供

*To patients,
For patients,
Beside patients*

*Patients Reported Outcome*の
利活用ができるプロ集団/中間機関を目指す

すべてのアクションを
患者のために/患者とともに

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

5

Asridの主な活動



6

本日の流れ

- ASrid（希少・難治性疾患領域の中間機関）のご紹介
- 調査結果のご紹介
 - 1) 日本先天代謝異常学会会員に向けたアンケート調査
 - 2) 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査
- まとめにかえて


Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

7

アンケート調査実施の経緯

- 本学会シンポジウムの内容を検討している際、
「患者の声を今後の学会運営に反映させるのはどうか」
という意見があがった
- 患者サイドだけでなく、学会員からも学会に対する
意見を伺い、両方について議論する機会としようと
考えた


Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

8

アンケート調査概要

1) 日本先天代謝異常学会会員に向けたアンケート調査

対象	日本先天代謝異常学会会員（事務局を通じて案内）
期間	8月16日から9月10日
質問項目	学会活動評価、患者（会）との連携評価、 今後注力する学会活動、今後の患者（会）協力/連携
回答者	81名

2) 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

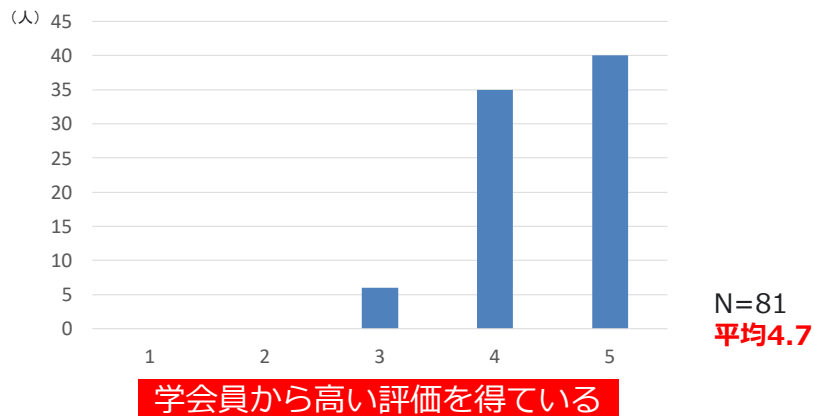
対象	小児疾患患者会/コミュニティ（学会関係・それ以外）
期間	9月5日から9月15日
質問項目	学会認知度、学会参加内容、学会に期待すること、診察時 対応/研究について小児希少難病領域医師に期待すること
回答者	64名（17患者会（47名）+匿名17名）*回答は匿名化

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

9

調査1：会員に向けたアンケート調査

- 先天代謝異常学会の活動を評価していますか。

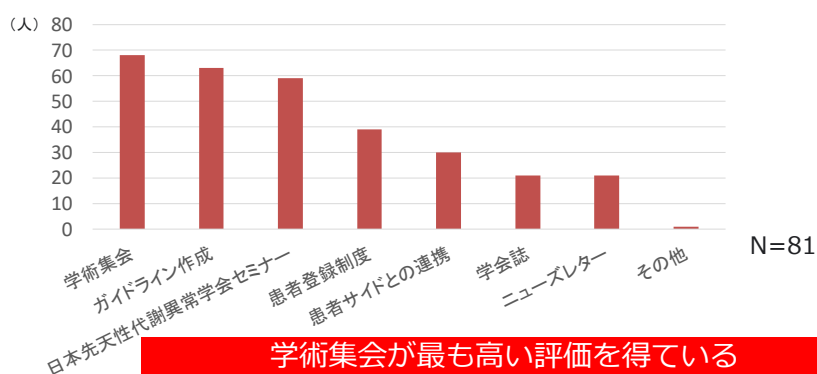


Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

10

調査1：会員に向けたアンケート調査

- あなたが評価している学会活動はなんですか(複数選択可)



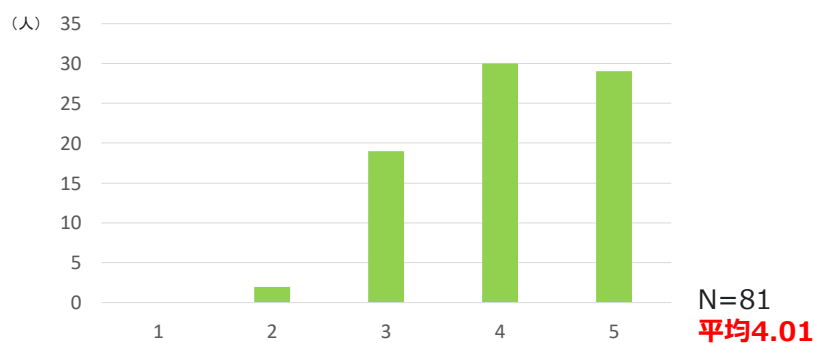
学術集会が最も高い評価を得ている
 ついでガイドライン、セミナーと続く
 学会誌やニュースレターの評価はあまり高くない

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

11

調査1：会員に向けたアンケート調査

- 日本先天代謝異常学会における患者（会）との協力/連携について評価していますか。



学会員から高い評価を得ている

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

12

調査1：会員に向けたアンケート調査

- 学会として、今後どのような活動に注力する必要があるとお考えですか。（自由記述）

移行期支援、若手育成
基礎研究と臨床両立
研究活動支援、食事療法
研究活動活性化
治療開発

研究

制度への働きかけ
ドラッグ・ラグ
薬剤供給システム
早期スクリーニング
行政働きかけ

制度への働きかけ

セミナー開催、会員意見反映、関連診療科連携、
ガイドライン作成・整備、会員勧誘、専門医制度、
患者データ収集体制、資金獲得

学会運営

社会発信
情報共有
(1名患者含)
社会

英語発信
海外患者
会連携
海外

患者/
患者会交流
患者

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

13

調査1：会員に向けたアンケート調査

- 学会として、今後どのような活動に注力する必要があるとお考えですか。（自由記述）

移行期支援、若手育成
基礎研究と臨床両立
研究活動支援、食事療法
研究活動活性化
治療開発

研究

制度への働きかけ
ドラッグ・ラグ
薬剤供給システム
早期スクリーニング
行政働きかけ

制度への働きかけ

セミナー開催、会員意見反映、関連診療科連携、
ガイドライン作成・整備、会員勧誘、専門医制度、
患者データ収集体制、資金獲得

学会運営

社会発信
情報共有
(1名患者含)
社会

英語発信
海外患者
会連携
海外

患者/
患者会交流
患者

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

14

調査1：会員に向けたアンケート調査

- 学会として、今後患者（会）との協力/連携をどのように進めていけばいいと思いますか。（自由記述）

患者(会)要望聴く(11)

広報活動活性化(17)

会員3、行政3、患者3、医療者2、一般、社会、研究者

患者(会)向け情報提供(9)

患者会学会発表(8)

患者(会)交流(11) *うち学会内4、リアル2

現状維持(6)

患者登録、調査研究協力(4)

患者(会)支援、疾患啓発、行政働きかけ(2)

患者会員制度、海外患者会連携、継続調査、情報アクセス、食事指導、セミナー実施、治療開発、マッチング、窓口一本化(1)

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

15

調査1：会員に向けたアンケート調査

患者からの意見や協力があって上記のような治療研究も進むものと思う。
本学会は患者会との距離も近く、意見を取り入れやすいと感じるので、これまでのように連携を続けることとともに、こういったニーズが患者会にあるのかを常に把握を続ける方法も考える必要がある。

患者（会）が訴える**先天代謝異常症の診断と治療の問題点に耳を傾け、その問題点を解決するための方法を共に考えていくことが重要です。**
「何でも俺の所に相談に来い」というようなパターンリズムから脱却し、かつ、「患者さんの仰ることには従わなければ」という誤ったメンタリティも捨てて、問題解決を真の意味で共に進めていく姿勢が重要だと思います。**患者会が感想を言って専門医が頷くような会ではなく、きちんとPDCAサイクルが回せるような関係にすべきです。**

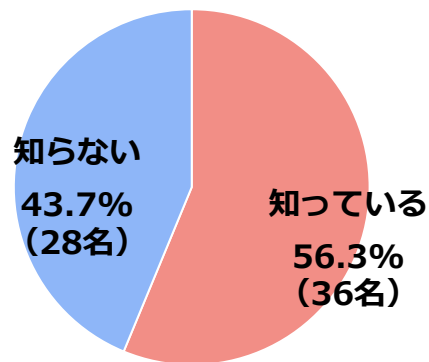
患者家族（会）側が本学会に対して**どのような活動を求めているのか多くの学会員は把握していない**と思われる。患者家族（会）のニーズを把握し、学会員にアナウンスすることも重要だと思われる。その上で**学会として出来ることの優先順位を理事会や評議会で決めて頂きたい。**

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

16

調査2：小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

- 先天性代謝異常学会の認知



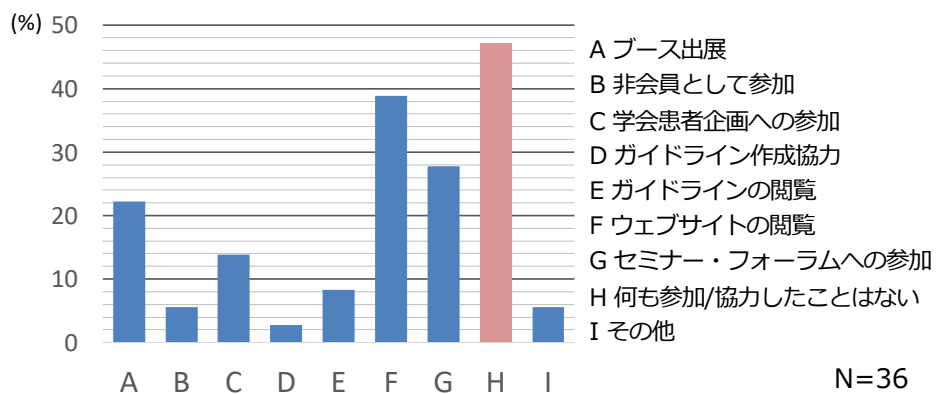
N=64



17

調査2：小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

- 学会活動への参加・協力状況（知っているひとのみ回答）



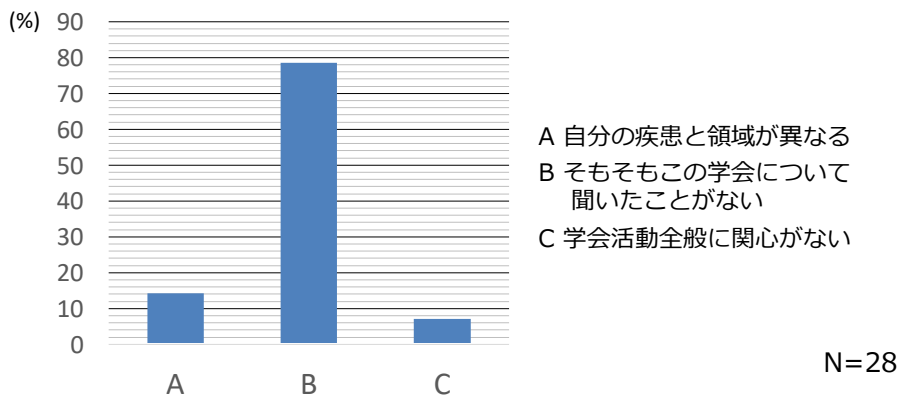
N=36

およそ半数は何らかの学会活動に参加・協力したことがある。
ウェブ閲覧、セミナー・フォーラムへの参加、ブース出展の順で多い

18

調査 2 : 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

- 学会を知らない理由 (知らないひとのみ回答)



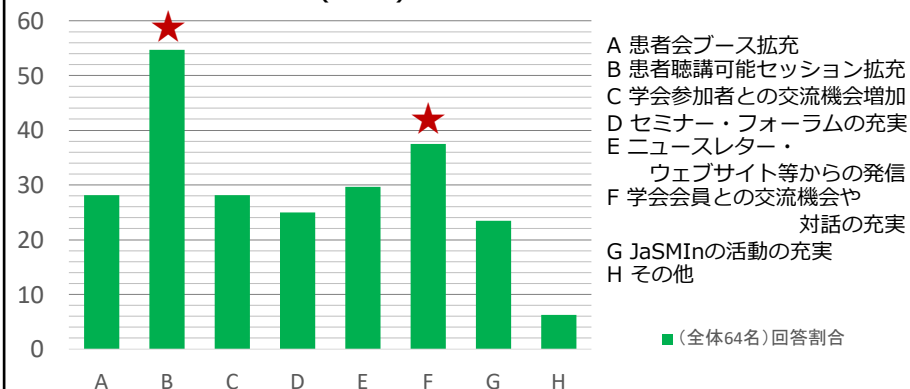
知らないひとは、そもそも名前を聞いたことがない

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

19

調査 2 : 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

- 学会への期待(全体)

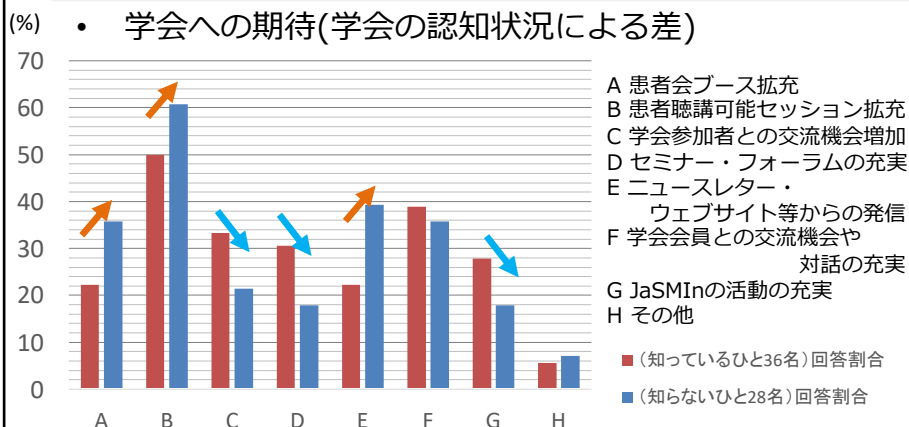


全体としては、患者聴講可能セッションの拡充、学会会員との交流機会や対話の充実へのニーズが高い

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

20

調査 2 : 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査



学会を知らないひとの期待：
患者会ブース拡充, 患者サイド聴講可能セッション拡充, 情報発信

学会を知っているひとの期待：
学会参加者との交流機会増加, セミナー/フォーラムの充実, JaSMInの充実

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

21

調査 2 : 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

- かかりつけ医の診察時対応に関する期待
(自由記述から一部テーマを抜粋)

- | | |
|-----------------|---------------------|
| ✓ 若手育成、後継者育成 | ✓ 親子へのわかりやすい疾患説明 |
| ✓ 専門医を増やす | ✓ じっくり話を聞きたい/聞いてほしい |
| ✓ チーム医療の推進 | ✓ 親子のメンタル面へのケア |
| ✓ 他の医療者との症例検討 | ✓ 寄り添った治療 |
| ✓ 地域医療機関との連携 | ✓ 社会支援制度へのつなぎ |
| ✓ 診療科連携 | ✓ 患者会について知ってほしい |
| ✓ 治療研究/開発状況の発信 | ✓ 十分良くしてもらっている |
| ✓ 所属学会/顧問患者会の開示 | |
| ✓ 患者への他の症例の紹介 | |

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

22

調査2：小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

・ 研究活動に関する期待

下線があるものは学会を知っている人のみからのコメント

治療法開発 (25)
 ・ 遺伝子治療(1)
 ・ 医師主導治験 (1)
 食生活/生活習慣の改善(3)
同じ疾患の症例の蓄積(2)
飲みやすい特殊ミルクの開発(2)
ガイドラインの整備(1)
成人の追跡調査(1)
 生活への影響について(1)
こどものメンタルヘルス(1)
発達/知的障害との関連 (1)

研究・調査(39)

研究結果/研究テーマの広報(4)
 疾患啓発(2)、治療の情報共有(2)
 地方かかりつけ医への疾患説明
 資料の開発(1)

情報共有・啓発(9)

患者会と連携した調査や開発(2)
 ・ 新薬や低タンパク質食材の開発(1)
患者会とのコミュニケーション (1)
 患者側と協力した研究環境の整備 (1)

患者会との連携(4)

療養生活の整備(1)、社会支援制度の整備(1)
地域格差の解消(1)

療養環境整備(3)

若手育成(2)、専門医師の繋がり構築(1)
研究者の増加(1)、専門学会への所属(1)

研究環境の整備(5)

スクリーニングすり抜け児への対応(1)

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

23

調査2：小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

・ 研究活動に関する期待

下線があるものは学会を知っている人のみからのコメント

治療法開発 (25)
 ・ 遺伝子治療(1)
 ・ 医師主導治験 (1)
 食生活/生活習慣の改善(3)
同じ疾患の症例の蓄積(2)
飲みやすい特殊ミルクの開発(2)
ガイドラインの整備(1)
成人の追跡調査(1)
 生活への影響について(1)
こどものメンタルヘルス(1)
発達/知的障害との関連 (1)

研究・調査(39)

研究結果/研究テーマの広報(4)
 疾患啓発(2)、治療の情報共有(2)
 地方かかりつけ医への疾患説明
 資料の開発(1)

情報共有・啓発(9)

患者会と連携した調査や開発(2)
 ・ **新薬や低タンパク質食材の開発(1)**
患者会とのコミュニケーション (1)
 患者側と協力した研究環境の整備 (1)

患者会との連携(4)

療養生活の整備(1)、社会支援制度の整備(1)
地域格差の解消(1)

療養環境整備(3)

若手育成(2)、専門医師の繋がり構築(1)
研究者の増加(1)、専門学会への所属(1)

研究環境の整備(5)

スクリーニングすり抜け児への対応(1)

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

24

調査2：小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

・ 同じ疾患の症例の蓄積

“希少疾患だと一人の先生が担当する患者のnが1だったりすることが多いので、疾患特有の症状なのかその子特有の症状なのか分かりづらいため、**同じ疾患を担当する先生同士で情報共有できるプラットフォーム**などがあるとよい。”

“**海外の症例も含めた**症状や治療の副作用などをまとめて欲しい。”

・ 患者会と協力した調査や開発

“希少疾患等は患者数も少なく、低淡泊食材や新薬（治療薬や除去ミルク等）の開発がなかなか進まない状況かとは思いますが、**親の会（患者会）を通じて出来る事等があればぜひお声かけ**いただきたいです。”

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

25

患者当事者からの声

当学会のプログラム聴講は、参加費を支払いますと言っても「患者家族は遠慮してください」と断られます。全国に数名～数百名しか患者さんがいないため、個人情報をいくら伏せても聞く人が聞けば誰のことかわかってしまうということから「患者家族が聴講していると思うと、演者やフロアの方々が自由に議論できなくなってしまう」というご懸念は、十分に理解しているつもりです。とはいえ、この対応は時代遅れのような気もしています。

演者やフロアの方が遠慮なく議論できて、かつ患者家族も現状や研究者のご苦労について冷静に受け止め、一緒に課題解決に向かって歩める、そんな学術集会になってほしいと願っています。

そのためにはルール作りも必要になるかもしれませんし、あるいは患者家族が学会参加するために第三者による事前講習（発言の注意や、心構えなど）を受けることを条件にするなども必要かもしれません。

こうした取り組みは、患者会の後継者不足の問題解決にもつながるかもしれません。

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

26

本日の流れ

- ASrid（希少・難治性疾患領域の中間機関）のご紹介
- 調査結果のご紹介
 - 1) 日本先天代謝異常学会会員に向けたアンケート調査
 - 2) 小児疾患患者会/コミュニティに向けたアンケート調査

- まとめにかえて



27

ASrid のミッション/スローガン

すべてのアクションを
患者のために/患者とともに



28

本調査が、
学会のあり方について議論する際の
一助となれば幸いです。

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved

ご清聴いただき、誠にありがとうございました。
引き続き、ASridを宜しくお願いいたします。

**To patients,
For patients,
Beside patients**



Acknowledgement:
ASrid core team (Shun, Masa, Miki and Kuni)

Contact: yucko@asrid.org
Website: <https://asrid.org/>

Copyright (C) 2023 ASrid. All Rights Reserved