

平成 30 年度日本医療研究開発機構研究費（創薬基盤推進研究事業）  
研究開発課題名：革新的な治療薬の創出に向けた創薬ニーズ等調査研究

平成 30 年度（2018 年度）

## 国内基盤技術調査報告書

「神経疾患の医療ニーズ調査（第 2 回）」

—60 神経疾患、アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の  
神経内科医へのアンケート調査—

公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

本報告書は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の【創薬基盤推進研究事業】（課題番号 18ak0101075h0002）の支援を受け、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団が実施した平成 30 年度「革新的な治療薬の創出に向けた創薬ニーズ等調査研究」の成果を取りまとめたものです。

発行元の許可なくして転載・複製を禁じます。

## 巻 頭 言

この度、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（HS 財団）及び日本神経治療学会の協働により、「神経疾患に関する医療ニーズ調査」が平成 30 年度の国内基盤技術調査報告書としてまとめ、ここに発刊できることを大変嬉しく思います。

平成 25 年度の前回調査から 5 年を経て、新たな治療薬・医療技術開発の進展を把握するため、行われました。すなわち、今回は 60 の神経疾患・症候に対し 2 回目となる医療ニーズ調査を実施し、難病の多い神経疾患の医療ニーズの変化を明らかにしたものです。さらに併せて、前回の調査で治療満足度・薬剤貢献度ともに低かったアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に対して特別にアンケート調査を行ったという新しい調査も含んでいます。

神経治療学会の学会員、理事などの役員、評議員などの専門医を対象に Web アンケート調査を実施し、前回の調査を上回る 217 名からの回答を得ました。この報告書は神経疾患の医療ニーズ（治療満足度、薬剤貢献度）や課題等を明らかにしてまとめられた非常に価値あるものと思っています。

ご存知のように神経治療学の重要性は増す一方ですが、かつて神経疾患は診断できても治せないものと言われてきました。現在、もちろん完全とは言えないまでもかなりの神経疾患の治療が可能になりつつあります。しかし神経難病に代表されるように、有効な治療法が限られ、その開発が求められているものが多くあります。そうした神経疾患の治療の実態を明確に示すものが“医療ニーズ調査”と思います。一目で各疾患の治療満足度と薬剤貢献度とともに、他の疾患との比較や Unmet Medical Needs（未だ満たされていない、あるいは有効な治療方法がない医療ニーズ）の高い疾患が分かるのです。

この医療ニーズ調査は、当初、わが国の基盤技術に関する研究開発の実態調査として平成 6 年から実施されていたものです。しかし、従来の調査では神経疾患のなかで、ほんのわずか 4、5 疾患しか調査対象にあがっていないことと、本調査が一般医師へのアンケート調査であるので、専門性の高い神経疾患の調査としては不十分ではないかという問題がありました。日本神経治療学会元理事長の糸山泰人先生は早速、HS 財団ワーキンググループの皆さんに、対象疾患を神経疾患の中から主要な 60 疾患を選ぶこと、及び神経専門医によるアンケート調査を提案され、前回の調査が行われたのです。

恐らくこのような神経疾患に特化した専門医による医療ニーズの調査は世界的にも類がないもので、今回の報告により、今後の神経治療の在り方や神経疾患に対する創薬の動向等を検討できると思われると同時に、今、国民病とも言われ始めているアルツハイマー病に対するより細かなニーズを解析できるものとなっています。

本調査は HS 財団医療ニーズ調査班と中村治雅先生・鈴木啓介先生・和田健二先生・事務局の西宮節子様を中心とした日本神経治療学会“医療ニーズ調査”プロジェクトチームメンバー並びにアンケートにお答え下さった日本神経治療学会員の皆様のご協力によって完成できたものです。心からお礼を述べさせていただきます。

獨協医科大学病院 病院長  
獨協医科大学 内科学（神経）主任教授  
一般社団法人 日本神経治療学会 理事長  
平田幸一

## はしがき

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（HS 財団）では、厚生労働科学研究費補助金を活用し、当初、我が国の基盤技術に関する実態調査を行っていましたが、その後、一般内科医を対象として社会的に重要な 60 疾患に対する治療満足度・薬剤貢献度のアンケート調査、いわゆる「医療ニーズ調査」を実施しております。約 5 年毎に実施した今まで計 5 回の結果は厚生労働省、内閣府及び産業界など各方面でご活用いただくに至っております。

本医療ニーズ調査は、平成 30 年度（2018 年度）の日本医療研究開発機構研究費（創薬基盤推進研究事業）を受けて行った調査です。今年度は、2013 年度に日本神経治療学会と共同で実施した「神経疾患に関する医療ニーズ調査」から 5 年経ち、学会の要望として、60 神経疾患の 2 回目の医療ニーズ（治療満足度、薬剤貢献度）調査を実施し、難病の多い神経疾患の医療ニーズの変化を明らかにすることにしました。また、併せて「アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）」に対するアンケート調査を追加し、前年度の 2017 年度 HS 財団医療ニーズ調査班で実施した本疾患に関するヒアリング調査の検証も行うこととしました。学会においては、5 年前と同様に医療ニーズ調査プロジェクトチームを組織していただき、平田幸一理事長（獨協医科大学病院 病院長／獨協医科大学内科学（神経）主任教授）はじめ運営委員の先生方には、全面的なご協力をいただき大変感謝しております。また、特に神経疾患・症候の選定、アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の質問の作成、アンケート結果に対する考察などにおいては学会プロジェクトチームの先生方には大変貴重なご意見を頂戴しました。

本調査報告書は、HS 財団会員の実務経験豊富な研究開発担当者などで構成した医療ニーズ調査班が、日本神経治療学会役員・評議員及び一般会員全員を対象に実施した Web アンケート結果をまとめ、考察を加えたものです。

今回の調査結果は、医療ニーズが高い神経疾患・症候を明らかにし、また、新規治療法の急務な疾患に対する開発の方策などを示しています。本報告書を、関係する多くの分野でご活用いただき、神経疾患の克服のための社会全体の取り組み進展につながることを期待しています。

ご多用のところ、本調査にご協力いただきました各位、特に日本神経治療学会の先生方に深甚の謝意を表します。

2019 年 3 月

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団

本調査にご協力いただいた先生方（敬称略）

一般社団法人 日本神経治療学会医療ニーズ調査プロジェクトチーム

|   |             |                        |
|---|-------------|------------------------|
| 日本神経治療学会<br>獨協医科大学内科学（神経）               | 理事長<br>主任教授 | 平田 幸一<br>(プロジェクトチーム代表) |
| 近畿大学神経内科                                | 教授          | 楠 進                    |
| くにもとライフサポートクリニック                        | 院長          | 國本 雅也                  |
| 国立長寿医療研究センター治験・臨床研究推進センター<br>治験・臨床研究推進部 | 部長          | 鈴木 啓介                  |
| 東京慈恵会医科大学葛飾医療センター神経内科                   | 診療部長        | 鈴木 正彦                  |
| 三重大学脳神経内科                               | 教授          | 富本 秀和                  |
| 国立病院機構松江医療センター                          | 院長          | 中島 健二                  |
| 国立精神・神経医療研究センター<br>TMC 臨床研究支援部臨床研究支援室   | 室長          | 中村 治雅                  |
| 東邦大学医療センター大橋病院脳神経内科                     | 教授          | 藤岡 俊樹                  |
| 鳥取大学医学部附属病院神経内科                         | 講師          | 和田 健二                  |

調査・執筆にご協力いただいた方々  
 公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団  
 医療ニーズ調査班

(敬称略)

|                          |  |                      |
|--------------------------|--|----------------------|
| 第一三共株式会社                 | 研究開発本部   | 西田 健一<br>(リーダー)      |
| 旭化成ファーマ株式会社              | 研究開発企画部<br>医薬研究センター                              | 鈴木 眞<br>(サブリーダー)     |
| ゼリア新薬工業株式会社              | 中央研究所  | 鈴木 将光<br>(サブリーダー)    |
| エーザイ株式会社                 | コンシューマーヘルスケア研究部<br>コーポレートメディカルアフェアーズ本部           | 大野 保則                |
| 大塚製薬株式会社                 | 事業開発部  | 橋本 徹哉                |
| 小野薬品工業株式会社               | 研究本部   | 康廣 徹也                |
| 科研製薬株式会社                 | 創薬研究部<br>研開企画部                                   | 長谷川 拓也<br>(~平成30年9月) |
| 科研製薬株式会社                 | 研開企画部  | 半田 一己                |
| キッセイ薬品工業株式会社             | 研究統括部  | 和南城 勲                |
| 杏林製薬株式会社                 | プロジェクトポートフォリオ企画部                                 | 迫江 康彦                |
| 協和発酵キリン株式会社              | 研究開発本部<br>オープンイノベーション部                           | 神田 知之                |
| 大日本住友製薬株式会社              | 研究企画推進部  | 瓦井 裕子                |
| 中外製薬株式会社                 | プロジェクト・ライフサイクルマネジメントユニット<br>プライマリ・ライフサイクルマネジメント部 | 小久保 博雅               |
| 中外製薬株式会社                 | 研究本部<br>創薬企画推進部                                  | 福島 直<br>(~平成31年1月)   |
| 東レ株式会社                   | 医薬研究所  | 新田 亜衣子               |
| 東レ株式会社                   | 医薬事業開発部  | 木綿 しのぶ               |
| 株式会社メディリード               |  | 正路 章子                |
| 持田製薬株式会社                 | 総合研究所  | 太田 拓巳                |
| 公立大学法人横浜市立大学             |  | 上西 憲明                |
| 株式会社リハベルタス・コンサルティング      |  | 菊池 雄一郎               |
| 株式会社リハベルタス・コンサルティング      |  | 武石 和代                |
| 公益財団法人<br>ヒューマンサイエンス振興財団 | 研究企画部  | 山下 剛一<br>(研究分担者)     |
| 公益財団法人<br>ヒューマンサイエンス振興財団 | 研究企画部  | 井口 富夫<br>(研究分担者)     |

# 目次

|  |     |
|--|-----|
| 巻頭言 .....                                    | i   |
| はしがき .....                                   | ii  |
| 第1章 調査実施概要 .....                             | 1   |
| 1-1 調査の背景と目的 .....                           | 1   |
| 1-2 調査の方法 .....                              | 1   |
| 1-3 調査の対象疾患・症候 .....                         | 1   |
| 1-4 アンケート質問票の内容 .....                        | 3   |
| 1-5 アンケート回収結果・回答者属性 .....                    | 4   |
| (1) アンケート回収結果 .....                          | 4   |
| (2) アンケート回答者の属性 .....                        | 4   |
| (3) 日常診療する疾患・症候 .....                        | 8   |
| 第2章 アンケート調査結果 .....                          | 11  |
| 2-1 60 神経疾患・症候 .....                         | 11  |
| (1) 治療満足度と薬剤貢献度 .....                        | 11  |
| (2) 新規治療法の開発が急務な疾患・症候 .....                  | 27  |
| (3) 2013 年度の調査結果との比較 .....                   | 48  |
| (4) まとめ・考察 .....                             | 56  |
| 2-2 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症） .....              | 61  |
| (1) 治療満足度と薬剤貢献度 .....                        | 61  |
| (2) 承認薬／承認薬以外の薬物療法・非薬物療法で効果がある症状、機能障害 .....  | 64  |
| (3) 現在の承認薬 4 剤で治療効果が期待できないと判断した場合の処方方針 ..... | 70  |
| (4) 根本治療薬が開発された場合の適切な治療開始時期 .....            | 73  |
| (5) アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のための意見・考え .....   | 75  |
| (6) 日常の診療で問題となる点 .....                       | 83  |
| (7) まとめ・考察 .....                             | 90  |
| 2-3 総括 .....                                 | 94  |
| あとがき .....                                   | 96  |
| 資料-1 60 神経疾患・症候で承認／追加された医薬品 .....            | 97  |
| 資料-2 国内臨床試験（治験）の実施状況 .....                   | 102 |
| 資料-3 2009 年～2018 年間に公表された関連ガイドライン等 .....     | 105 |
| 資料-4 アンケート質問票 .....                          | 107 |



## 第1章 調査実施概要

### 1-1 調査の背景と目的

本調査は、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（HS 財団）が、国立研究開発法人日本医療研究開発機構創薬基盤推進研究事業「革新的な治療薬の創出に向けた創薬医療ニーズ等調査研究」として実施したものである。HS 財団の医療ニーズ調査班では、医療に求められる要素を医療ニーズと定義しており、本調査では、神経疾患に関する医療ニーズを調査することによって、難病が多い神経疾患について、創薬を含めた医療の満足度を向上させ、医療および医療産業の発展に寄与することを目的としている。2013 年度に HS 財団が日本神経治療学会と共同で実施した「神経疾患に関する医療ニーズ調査」から 5 年が経過し、学会からもその後の継続調査の要望を頂戴し、2018 年度は再び共同で調査を実施した。神経内科領域の疾患は 500～600 あり、難病の多い特徴があるが、そのうち 60 の疾患・症候について医療ニーズ（治療満足度、薬剤貢献度など）をアンケート調査した。また、神経内科医が日常診療で特に診る機会が多いアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）については、更に追加でアンケートを行い、課題などについて調査した。

### 1-2 調査の方法

本調査では、日本神経治療学会 医療ニーズ調査プロジェクトチームメンバーと HS 財団医療ニーズ調査班メンバーで共同会議を開催し、調査方法、調査対象疾患、質問項目、質問内容について検討した。それを受けて、日本神経治療学会の役員、評議員、一般会員（調査時の平成 30 年 8 月時点で 2,033 名）を対象として、インターネットを利用した Web アンケート調査を実施した（平成 30 年 8 月 27 日～10 月 1 日）。アンケートの回収終了後、結果について共同会議にて分析し、考察を加えた。

### 1-3 調査の対象疾患・症候

本調査では、2013 年度調査において対象とした 50 疾患に、脊髄性筋萎縮症、進行性核上性麻痺、シャルコー・マリー・トゥース病の 3 疾患を加えた神経疾患（53 疾患）、神経症候（7 症候）を対象とした。対象とした神経疾患・症候は、神経内科医が日常診療で診る機会が多いもの、あるいは対応に苦慮するものである。調査対象とした 60 神経疾患・症候を図表 1-3-1 に示す。アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）については、追加質問して課題などを調査した。

図表 1-3-1 調査対象疾患・症候

|             |                         |      |                      |       |
|-------------|-------------------------|------|----------------------|-------|
| 神経疾患        | 脳出血                     | 神経疾患 | シャルコー・マリー・トゥース病      |       |
|             | くも膜下出血                  |      | 進行性筋ジストロフィー          |       |
|             | アテローム血栓性/ラクナ梗塞(非血栓性脳梗塞) |      | 筋強直性ジストロフィー          |       |
|             | 心原性脳塞栓症                 |      | 多発筋炎/皮膚筋炎            |       |
|             | ウイルス性脳炎・髄膜炎             |      | 封入体筋炎                |       |
|             | 細菌性脳炎・脊髄炎               |      | 遠位型ミオパチー             |       |
|             | 真菌性脳炎・脊髄炎               |      | 重症筋無力症               |       |
|             | HTLV-1 関連脊髄症            |      | 神経ベーチェット             |       |
|             | プリオン病                   |      | 神経サルコイドーシス           |       |
|             | アルツハイマー病                |      | 片頭痛                  |       |
|             | 前頭側頭葉変性症                |      | てんかん                 |       |
|             | レビー小体型認知症               |      | ライソゾーム病/ペルオキシソーム病    |       |
|             | パーキンソン病                 |      | ミトコンドリア異常症           |       |
|             | 多系統萎縮症                  |      | 血管性脊髄症               |       |
|             | 進行性核上性麻痺                |      | 脊椎症と類縁疾患(ヘルニア/狭窄症など) |       |
|             | 脊髄小脳変性症                 |      | チャージ・ストラウス症候群        |       |
|             | ハンチントン病                 |      | 帯状疱疹後神経痛             |       |
|             | 筋萎縮性側索硬化症               |      | Meige症候群/片側顔面痙攣      |       |
|             | 球脊髄性筋萎縮症                |      | 傍腫瘍性神経症候群            |       |
|             | 脊髄性筋萎縮症                 |      | レストレスレッグス症候群         |       |
|             | 多発性硬化症                  |      | 正常圧水頭症               |       |
|             | 視神経脊髄炎                  |      | 本態性振戦                |       |
|             | 急性散在性脳脊髄炎               |      | 血管性認知症               |       |
|             | 特発性顔面神経麻痺(Bell麻痺)       |      | 神経症候                 | 睡眠障害  |
|             | ギラン・バレー症候群/フィッシャー 症候群   |      |                      | 慢性疼痛  |
|             | 慢性炎症性脱髄性多発神経炎           |      |                      | ジストニア |
| POEMS症候群    | 痙性麻痺                    |      |                      |       |
| アミロイドーシス    | 起立性低血圧症                 |      |                      |       |
| 糖尿病性ニューロパチー | 神経因性膀胱                  |      |                      |       |
| 手根管症候群      | 眩暈                      |      |                      |       |

#### 1-4 アンケート質問票の内容

##### I. 60 神経疾患・症候

- 問1. 60神経疾患・症候に関する治療の満足度
- 問2. 60神経疾患・症候に関する薬剤（医薬品）の治療への貢献度
- 問3. 新規治療法の開発が急務な神経疾患・症候

##### II. アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

- 問4-1. アルツハイマー型認知症に関する治療の満足度
- 問4-2. アルツハイマー型認知症に関する薬剤（医薬品）の治療への貢献度
- 問5-1. 「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」を効能・効果とする薬剤で効果があると思われる症状、機能障害
- 問5-2. 「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」を効能・効果とする薬剤以外の薬物療法で効果があると思われる症状、機能障害
- 問5-3. アルツハイマー型認知症の非薬物療法で効果があると思われる症状、機能障害
- 問6. 「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」を効能・効果とする薬剤が、病期や病状の進行により、治療効果が期待できないと判断された場合、その後の処方
- 問7. アルツハイマー病において、既存の薬剤とは機序が異なる根本治療薬が開発された場合、適切な治療開始時期
- 問8. アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のためのご意見やお考え
- 問9. アルツハイマー病の日常診療上で問題となる点

## 1-5 アンケート回収結果・回答者属性

### (1) アンケート回収結果

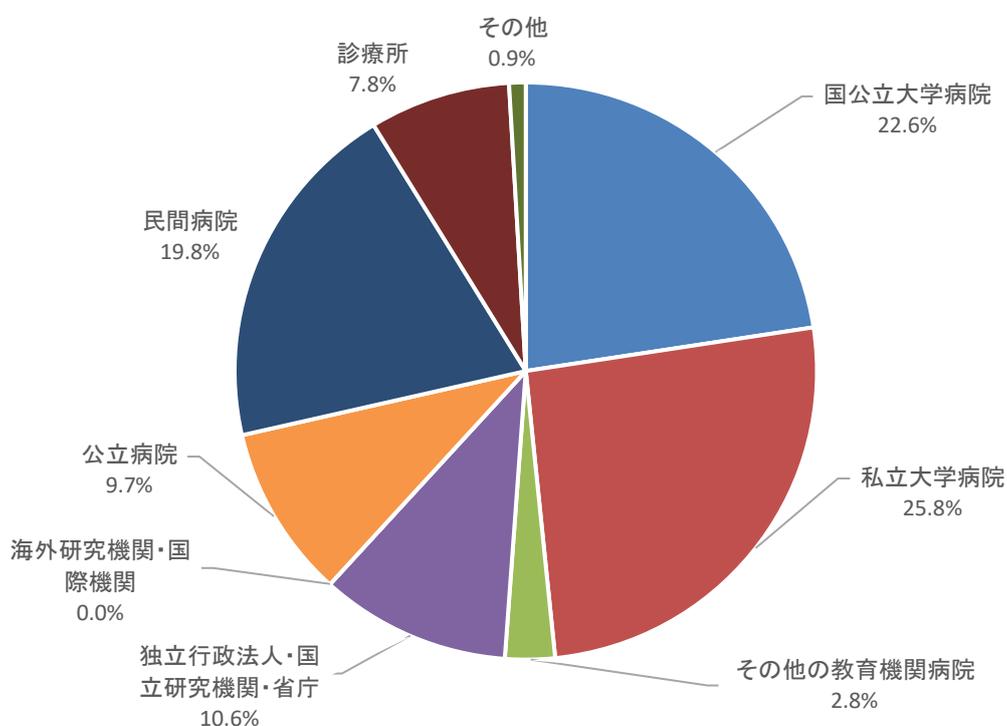
調査対象者に対し、日本神経治療学会ホームページ及びメールマガジン等で協力を要請し、217名から回答を得た。(回収率：10.7%)

### (2) アンケート回答者の属性

#### 1) 所属機関の設置主体

回答者の所属機関の設置主体は、「私立大学病院」が最も多く(25.8%)、次いで「国公立大学病院」(22.6%)であった。

図表 1-5-1 所属機関の設置主体

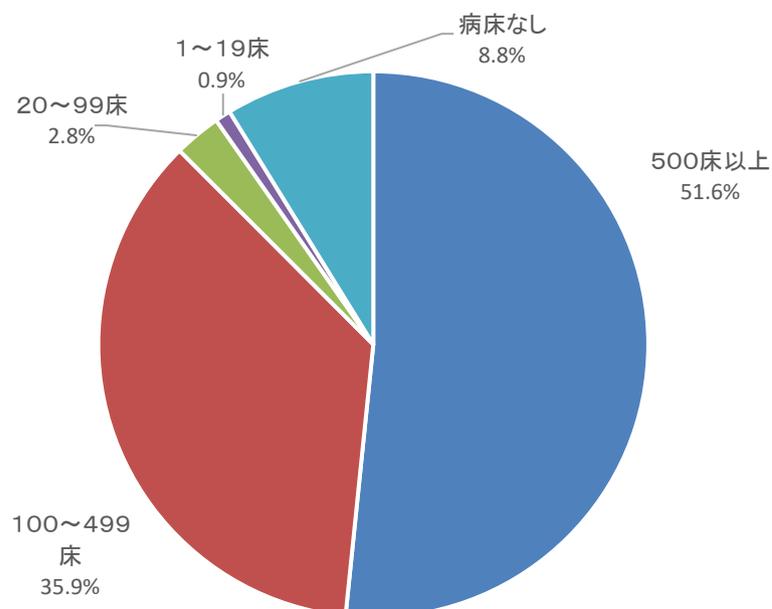


| 項目               | 回答数 | 割合        |
|------------------|-----|-----------|
| 国公立大学病院          | 49  | ( 22.6%)  |
| 私立大学病院           | 56  | ( 25.8%)  |
| その他の教育機関病院       | 6   | ( 2.8%)   |
| 独立行政法人・国立研究機関・省庁 | 23  | ( 10.6%)  |
| 海外研究機関・国際機関      | 0   | ( 0.0%)   |
| 公立病院             | 21  | ( 9.7%)   |
| 民間病院             | 43  | ( 19.8%)  |
| 診療所              | 17  | ( 7.8%)   |
| その他              | 2   | ( 0.9%)   |
| 合計               | 217 | ( 100.0%) |

## 2) 所属機関の病床数

回答者の所属機関の病床数は、「500 床以上」が 51.6%と最も多く、次いで「100～499 床」(35.9%)、「病床なし」(8.8%) の順であった。100 床以上が、87.5%であった。

図表 1-5-2 所属機関の病床数

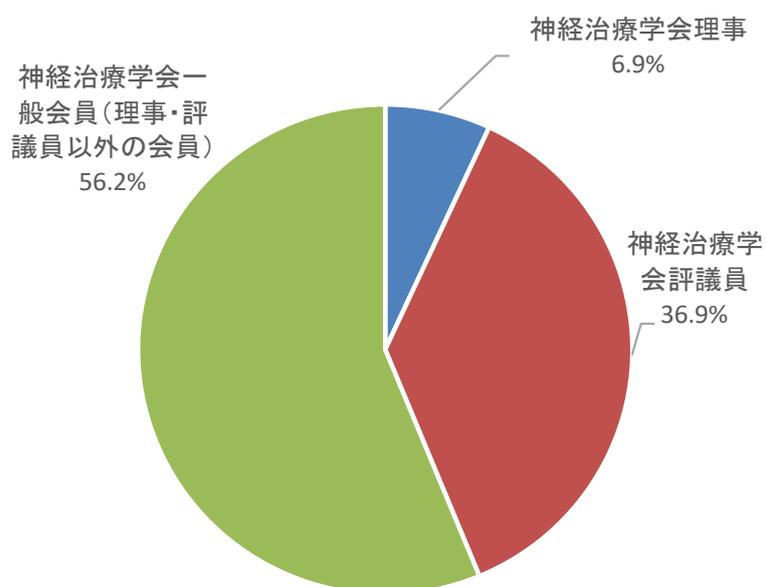


| 項目       | 回答数 | 割合        |
|----------|-----|-----------|
| 500床以上   | 112 | ( 51.6%)  |
| 100～499床 | 78  | ( 35.9%)  |
| 20～99床   | 6   | ( 2.8%)   |
| 1～19床    | 2   | ( 0.9%)   |
| 病床なし     | 19  | ( 8.8%)   |
| 合計       | 217 | ( 100.0%) |

### 3) 神経治療学会での役職等

回答者の神経治療学会での役職等は、「理事」が 6.9%、「評議員」が 36.9%、「一般会員」が 56.2%であった。

図表 1-5-3 神経治療学会での役職等

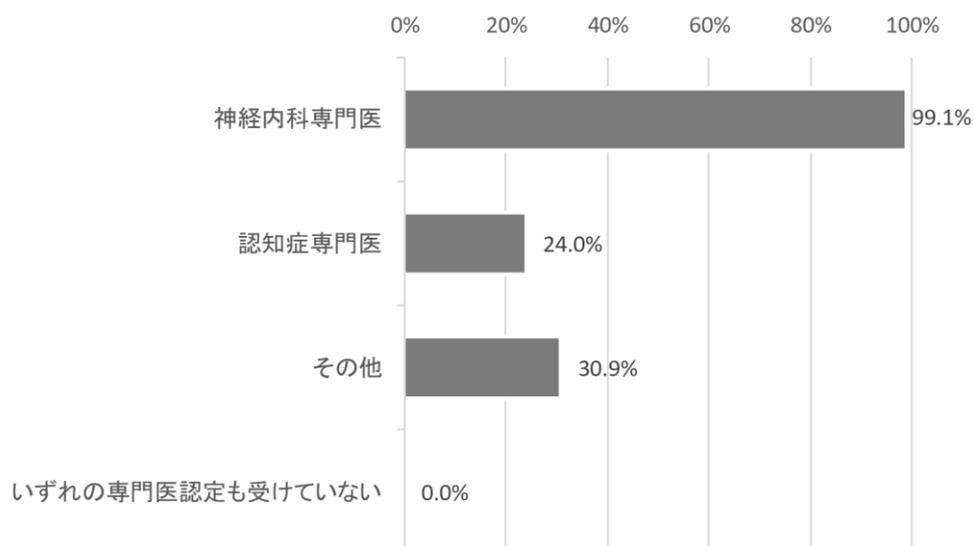


| 項目                      | 回答数 | 割合        |
|-------------------------|-----|-----------|
| 神経治療学会理事                | 15  | ( 6.9%)   |
| 神経治療学会評議員               | 80  | ( 36.9%)  |
| 神経治療学会一般会員(理事・評議員以外の会員) | 122 | ( 56.2%)  |
| 合計                      | 217 | ( 100.0%) |

#### 4) 回答者の専門医属性

回答者の専門医属性は、217 名中 215 名（99.1%）が「神経内科専門医」であり、そのうち 52 名が「認知症専門医」でもあった。なお、その他としては「脳卒中専門医」「リハビリテーション科専門医」等の回答があった。

図表 1-5-4 神経内科専門医属性（複数回答）



| 項目               | 回答人数(重複あり) | 割合       |
|------------------|------------|----------|
| 神経内科専門医          | 215        | ( 99.1%) |
| 認知症専門医           | 52         | ( 24.0%) |
| その他              | 67         | ( 30.9%) |
| いずれの専門医認定も受けていない | 0          | ( 0.0%)  |
| 回答件数             | 217        |          |

### (3) 日常診療する疾患・症候

先生が日常遭遇する（診る）疾患・症候を、以下の一覧から、多い順に 3 つ選択してください。

日常遭遇する（診る）疾患・症候を、調査対象とした神経疾患（53 疾患）、神経症候（7 症候）の中から多い順に 3 つ回答頂いた。3 つの回答の合計を多い順に並べた図表 1-5-5（上位 10 疾患・症候）及び 60 神経疾患・症候の回答数と割合（%）を図表 1-5-6 に示す。

60 神経疾患・症候のうち、39 疾患・症候が選択された。そのうち上位 10 疾患・症候として、「パーキンソン病」（168 件）が最も多かった。次いで「アテローム血栓性脳梗塞/ラクナ梗塞（非塞栓性脳梗塞）」（93 件）及び「アルツハイマー病」（93 件）、「心原性脳塞栓症」（39 件）、「てんかん」（34 件）、「片頭痛」（31 件）、「レビー小体型認知症」（27 件）、「筋萎縮性側索硬化症」（19 件）、「多発性硬化症」（16 件）、「多系統萎縮症」（13 件）の順であった。

93 件の同数の回答があった 2 疾患・症候について、日常遭遇する（診る）ことが最も多い疾患・症候としては「アテローム血栓性脳梗塞/ラクナ梗塞（非塞栓性脳梗塞）」が 55 件なのに対し、「アルツハイマー病」は 33 件であった。

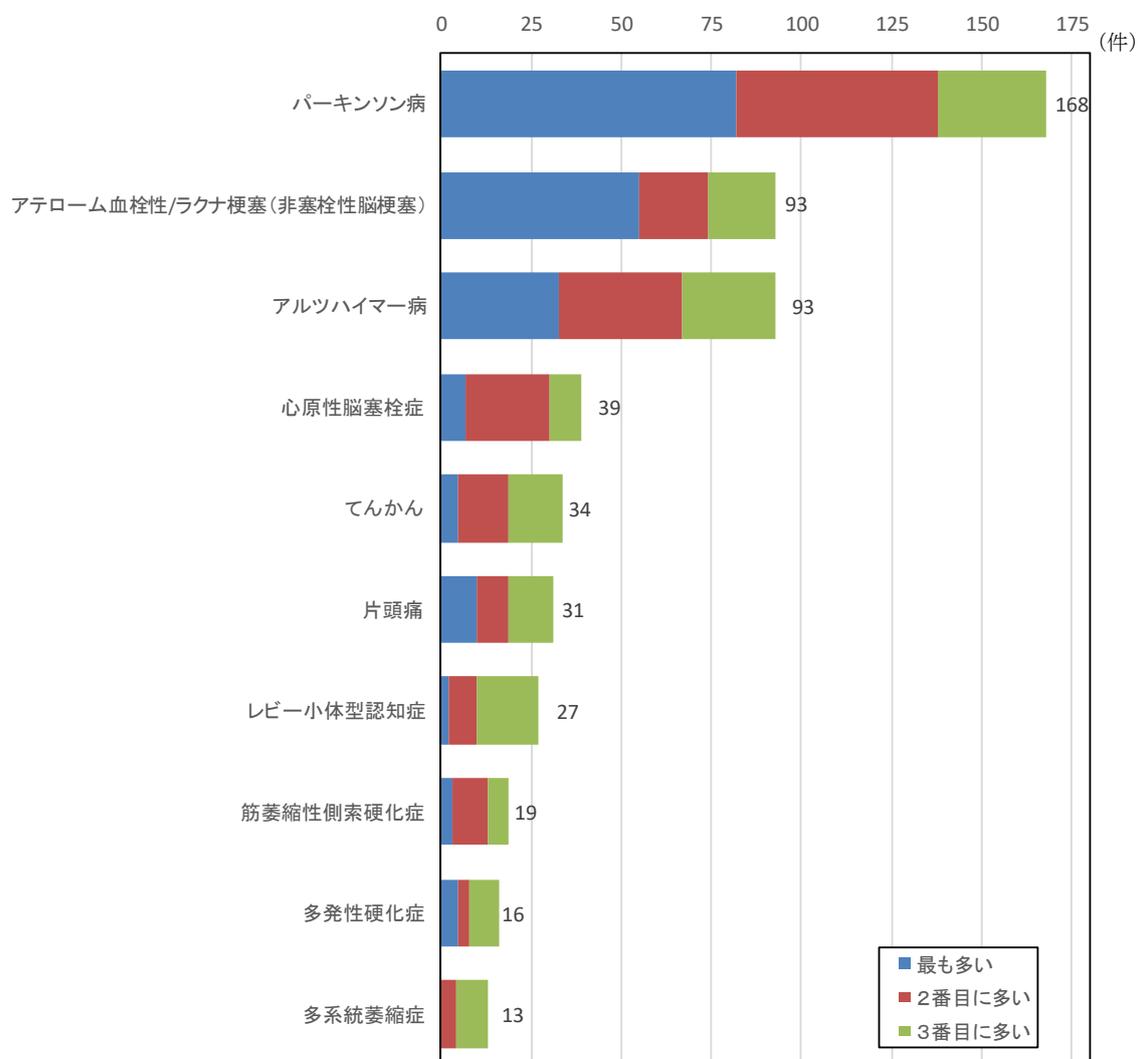
11 位以下の疾患・症候は、11 位の「脊髄小脳変性症」（11 件）から 39 位の「レストレスレッグ症候群」（1 件）までの 29 疾患・症候であった。

なお、対象疾患・症候のうち、回答がなかったのは、以下の 21 疾患・症候であった。

|                      |                   |
|----------------------|-------------------|
| 細菌性脳炎・脊髄炎            | 遠位型ミオパチー          |
| 真菌性脳炎・脊髄炎            | 神経ベーチェット          |
| プリオン病                | 神経サルコイドーシス        |
| ハンチントン病              | ライソゾーム病/ペルオキシソーム病 |
| 急性散在性脳脊髄炎            | 血管性脊髄症            |
| 特発性顔面神経麻痺（Bell 麻痺）   | チャージ・ストラウス症候群     |
| ギラン・バレー症候群/フィッシャー症候群 | 帯状疱疹後神経痛          |
| アミロイドーシス             | 傍腫瘍性神経症候群         |
| 手根管症候群               | 正常水頭症             |
| シャルコー・マリー・トゥース病      | 起立性低血圧            |
| 封入体筋炎                |                   |

図表 1-5-5 日常遭遇する（診る）疾患・症候

（3つ選択、217名が回答、件数の多い上位10疾患・症候を表示）



図表 1-5-6 日常遭遇する（診る）疾患・症候（データ表）

|                                | 最も多い |        | 2番目に多い |        | 3番目に多い |        | 合計  |        |
|--------------------------------|------|--------|--------|--------|--------|--------|-----|--------|
|                                | 回答数  | %      | 回答数    | %      | 回答数    | %      | 回答数 | %      |
| パーキンソン病 (n=168)                | 82   | 37.8%  | 56     | 25.8%  | 30     | 13.8%  | 168 | 77.4%  |
| アテローム血栓性/ラクナ梗塞(非塞栓性脳梗塞) (n=93) | 55   | 25.3%  | 19     | 8.8%   | 19     | 8.8%   | 93  | 42.9%  |
| アルツハイマー病 (n=93)                | 33   | 15.2%  | 34     | 15.7%  | 26     | 12.0%  | 93  | 42.9%  |
| 心原性脳塞栓症 (n=39)                 | 7    | 3.2%   | 23     | 10.6%  | 9      | 4.1%   | 39  | 18.0%  |
| てんかん (n=34)                    | 5    | 2.3%   | 14     | 6.5%   | 15     | 6.9%   | 34  | 15.7%  |
| 片頭痛 (n=31)                     | 10   | 4.6%   | 9      | 4.1%   | 12     | 5.5%   | 31  | 14.3%  |
| レビー小体型認知症 (n=27)               | 2    | 0.9%   | 8      | 3.7%   | 17     | 7.8%   | 27  | 12.4%  |
| 筋萎縮性側索硬化症 (n=19)               | 3    | 1.4%   | 10     | 4.6%   | 6      | 2.8%   | 19  | 8.8%   |
| 多発性硬化症 (n=16)                  | 5    | 2.3%   | 3      | 1.4%   | 8      | 3.7%   | 16  | 7.4%   |
| 多系統萎縮症 (n=13)                  | 0    | 0.0%   | 4      | 1.8%   | 9      | 4.1%   | 13  | 6.0%   |
| 脊髄小脳変性症 (n=11)                 | 0    | 0.0%   | 8      | 3.7%   | 3      | 1.4%   | 11  | 5.1%   |
| 眩暈 (n=11)                      | 3    | 1.4%   | 0      | 0.0%   | 8      | 3.7%   | 11  | 5.1%   |
| 重症筋無力症 (n=10)                  | 1    | 0.5%   | 3      | 1.4%   | 6      | 2.8%   | 10  | 4.6%   |
| 本態性振戦 (n=10)                   | 2    | 0.9%   | 4      | 1.8%   | 4      | 1.8%   | 10  | 4.6%   |
| 視神経脊髄炎 (n=9)                   | 0    | 0.0%   | 5      | 2.3%   | 4      | 1.8%   | 9   | 4.1%   |
| 睡眠障害 (n=8)                     | 2    | 0.9%   | 1      | 0.5%   | 5      | 2.3%   | 8   | 3.7%   |
| 脳出血 (n=7)                      | 0    | 0.0%   | 3      | 1.4%   | 4      | 1.8%   | 7   | 3.2%   |
| 進行性筋ジストロフィー (n=6)              | 2    | 0.9%   | 2      | 0.9%   | 2      | 0.9%   | 6   | 2.8%   |
| 脊椎症と類縁疾患(ヘルニア/狭窄症 など) (n=5)    | 0    | 0.0%   | 2      | 0.9%   | 3      | 1.4%   | 5   | 2.3%   |
| 血管性認知症 (n=5)                   | 0    | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 4      | 1.8%   | 5   | 2.3%   |
| 進行性核上性麻痺 (n=4)                 | 0    | 0.0%   | 2      | 0.9%   | 2      | 0.9%   | 4   | 1.8%   |
| 慢性炎症性脱髄性多発神経炎 (n=4)            | 1    | 0.5%   | 0      | 0.0%   | 3      | 1.4%   | 4   | 1.8%   |
| 前頭側頭葉変性症 (n=3)                 | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 3      | 1.4%   | 3   | 1.4%   |
| 筋強直性ジストロフィー (n=3)              | 1    | 0.5%   | 1      | 0.5%   | 1      | 0.5%   | 3   | 1.4%   |
| ウイルス性脳炎・髄膜炎 (n=2)              | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 2      | 0.9%   | 2   | 0.9%   |
| 球脊髄性筋萎縮症 (n=2)                 | 1    | 0.5%   | 1      | 0.5%   | 0      | 0.0%   | 2   | 0.9%   |
| 多発筋炎/皮膚筋炎 (n=2)                | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 2      | 0.9%   | 2   | 0.9%   |
| 慢性疼痛 (n=2)                     | 0    | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1      | 0.5%   | 2   | 0.9%   |
| ジストニア (n=2)                    | 1    | 0.5%   | 0      | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 2   | 0.9%   |
| 痙性麻痺 (n=2)                     | 0    | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1      | 0.5%   | 2   | 0.9%   |
| 神経因性膀胱 (n=2)                   | 0    | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1      | 0.5%   | 2   | 0.9%   |
| くも膜下出血 (n=1)                   | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1   | 0.5%   |
| HTLV-1 関連脊髄症 (n=1)             | 1    | 0.5%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 1   | 0.5%   |
| 脊髄性筋萎縮症 (n=1)                  | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1   | 0.5%   |
| POEMS症候群 (n=1)                 | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1   | 0.5%   |
| 糖尿病性ニューロパチー (n=1)              | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1   | 0.5%   |
| ミトコンドリア異常症 (n=1)               | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1   | 0.5%   |
| Meige症候群/片側顔面痙攣 (n=1)          | 0    | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 0      | 0.0%   | 1   | 0.5%   |
| レストレスレッグス症候群 (n=1)             | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 1      | 0.5%   | 1   | 0.5%   |
| 細菌性脳炎・脊髄炎 (n=0)                | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 真菌性脳炎・脊髄炎 (n=0)                | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| プリオン病 (n=0)                    | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| ハンチントン病 (n=0)                  | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 急性散在性脳脊髄炎 (n=0)                | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 特発性顔面神経麻痺(Bell麻痺) (n=0)        | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| ギラン・バレー症候群/フィッシャー 症候群 (n=0)    | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| アミロイドーシス (n=0)                 | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 手根管症候群 (n=0)                   | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| シャルコー・マリー・トゥース病 (n=0)          | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 封入体筋炎 (n=0)                    | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 遠位型ミオパチー (n=0)                 | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 神経ペーチェット (n=0)                 | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 神経サルコイドーシス (n=0)               | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| ライソゾーム病/ペルオキシソーム病 (n=0)        | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 血管性脊髄症 (n=0)                   | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| チャーグ・ストラウス症候群 (n=0)            | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 帯状疱疹後神経痛 (n=0)                 | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 傍腫瘍性神経症候群 (n=0)                | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 正常圧水頭症 (n=0)                   | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 起立性低血圧症 (n=0)                  | 0    | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0      | 0.0%   | 0   | 0.0%   |
| 合計 (n=217)                     | 217  | 100.0% | 217    | 100.0% | 217    | 100.0% | 217 | 100.0% |

## 第2章 アンケート調査結果

### 2-1 60 神経疾患・症候

#### (1) 治療満足度と薬剤貢献度

##### 1) 治療満足度

問1 60 神経疾患・症候に関する治療の満足度

下記の各神経疾患や神経症候の「治療満足度」について該当する項目を選択して下さい。

- <選択肢>
- ・ 十分満足のいく治療が行えている (十分に満足)
  - ・ ある程度満足のいく治療が行えている (ある程度満足)
  - ・ 満足のいく治療が行えていない (不満足)
  - ・ 治療が行えているとはいえない

60 神経疾患・症候に関して「治療の満足度」を上記4つの選択肢から選んで頂いた。回答結果を図表 2-1-1 に、その回答数と割合 (%) を図表 2-1-2 に示す。

治療満足度(「十分に満足」と「ある程度満足」の合計)が高かった疾患・症候は、「片頭痛」(97.1%)、「てんかん」(95.2%)、「重症筋無力症」(93.7%)、「パーキンソン病」(92.5%)、「ギラン・バレー症候群/フィッシャー症候群」(91.8%)であった(90%以上、5疾患・症候)。

次いで、90~80%の疾患・症候が「特発性顔面神経麻痺(Bell 麻痺)」(88.9%)など6疾患・症候あり、治療満足度が80%以上の疾患・症候は全部で11あった。これは今回調査を行った60神経疾患・症候の約1/6にあたる。治療満足度が50%以上の疾患・症候は、ほぼ半分の31であった。

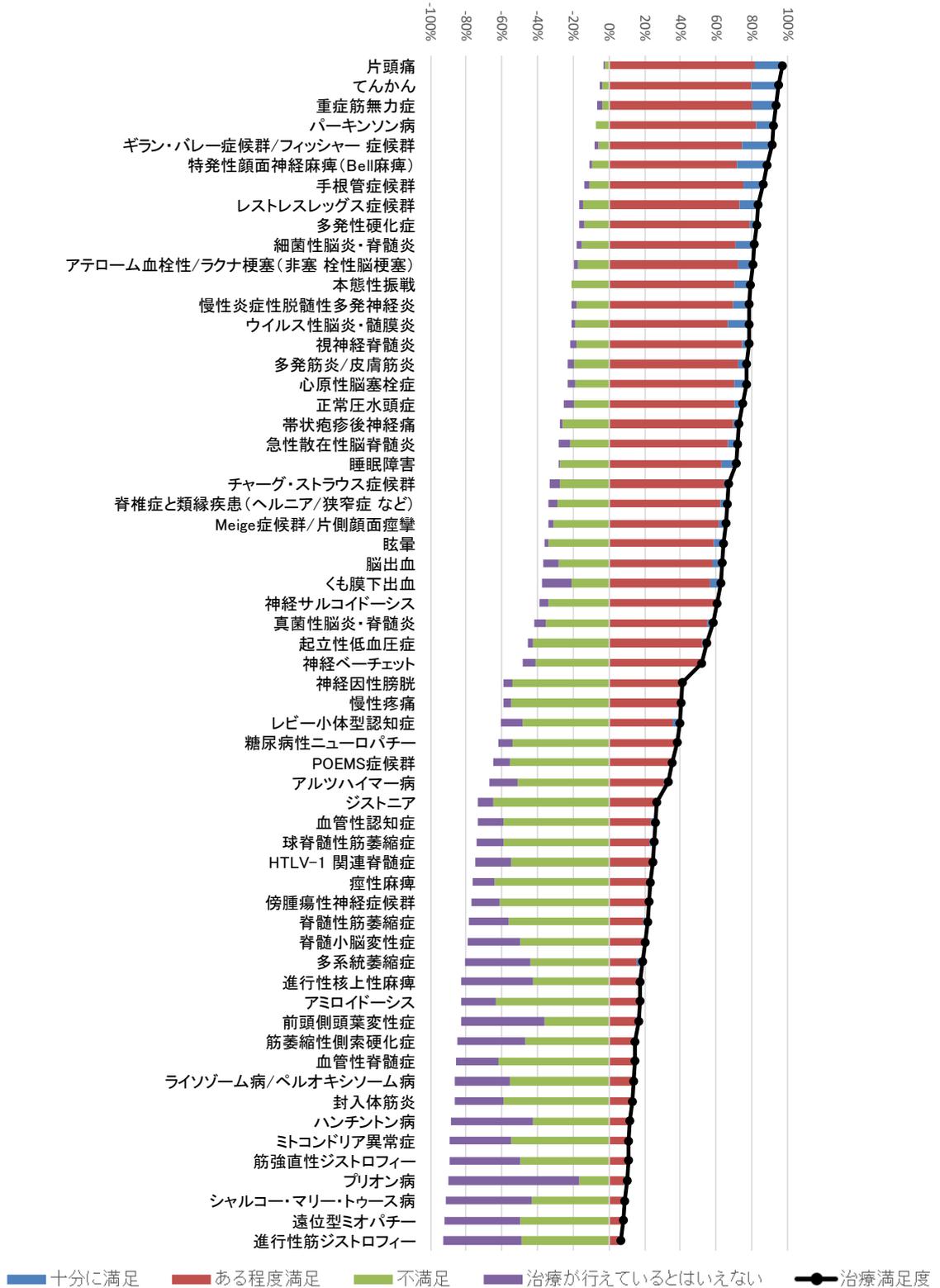
「十分に満足」の割合が最も高かったのは、「ギラン・バレー症候群/フィッシャー症候群」(17.3%)であり、以下、「特発性顔面神経麻痺(Bell 麻痺)」(16.9%)、「てんかん」(15.9%)、「片頭痛」(15.0%)、「重症筋無力症」(13.0%)、ウイルス性脳炎・脊髄炎(11.8%)、「手根管症候群」(11.2%)、「細菌性脳炎・脊髄炎」(10.4%)、「レストレスレッグス症候群」(10.2%)であった(10%以上、9疾患・症候)。

一方、治療満足度が20%以下の疾患・症候は全体の1/4(15疾患・症候)であった。治療満足度が低い疾患・症候として、「進行性筋ジストロフィー」(6.9%)、「遠位型ミオパチー」(8.0%)、「シャルコー・マリー・トゥース病」(8.8%)、「プリオン病」(10.0%)が挙げられた(10%以下、4疾患・症候)。

「治療が行えていない」とはいえないの割合が多かったのは、「プリオン病」(73.2%) (50%以上、1疾患・症候)、次いで、「シャルコー・マリー・トゥース病」(48.0%)、「前頭側頭葉変性症」(46.9%)、「ハンチントン病」(46.1%)、「進行性筋ジストロフィー」(44.1%)、「遠位型ミオパチー」(42.3%)であった(40%以上、5疾患・症候)。

図表 2-1-1 治療の満足度

(「十分に満足」と「ある程度満足」をプラス方向、「不満足」と「治療が行えているとはいえない」をマイナス方向に積み上げた)



図表 2-1-2 治療の満足度（データ表）

|                                | 治療満足度 |       | 十分に満足 |       | ある程度満足 |       | 不満足 |       | 治療が行えていない |       |
|--------------------------------|-------|-------|-------|-------|--------|-------|-----|-------|-----------|-------|
|                                | 回答数   | %     | 回答数   | %     | 回答数    | %     | 回答数 | %     | 回答数       | %     |
| 片頭痛 (n=206)                    | 206   | 97.1% | 31    | 15.0% | 169    | 82.0% | 5   | 2.4%  | 1         | 0.5%  |
| てんかん (n=208)                   | 208   | 95.2% | 33    | 15.9% | 165    | 79.3% | 8   | 3.8%  | 2         | 1.0%  |
| 重症筋無力症 (n=207)                 | 207   | 93.7% | 27    | 13.0% | 167    | 80.7% | 8   | 3.9%  | 5         | 2.4%  |
| パーキンソン病 (n=214)                | 214   | 92.5% | 21    | 9.8%  | 177    | 82.7% | 16  | 7.5%  | 0         | 0.0%  |
| ギラン・バレー症候群/フィッシャー 症候群 (n=208)  | 208   | 91.8% | 36    | 17.3% | 155    | 74.5% | 12  | 5.8%  | 5         | 2.4%  |
| 特発性顔面神経麻痺(Bell麻痺) (n=207)      | 207   | 88.9% | 35    | 16.9% | 149    | 72.0% | 20  | 9.7%  | 3         | 1.4%  |
| 手根管症候群 (n=206)                 | 206   | 86.4% | 23    | 11.2% | 155    | 75.2% | 22  | 10.7% | 6         | 2.9%  |
| レストレスレッグス症候群 (n=205)           | 205   | 83.4% | 21    | 10.2% | 150    | 73.2% | 30  | 14.6% | 4         | 2.0%  |
| 多発性硬化症 (n=208)                 | 208   | 83.2% | 9     | 4.3%  | 164    | 78.8% | 29  | 13.9% | 6         | 2.9%  |
| 細菌性脳炎・脊髄炎 (n=212)              | 212   | 81.6% | 22    | 10.4% | 151    | 71.2% | 32  | 15.1% | 7         | 3.3%  |
| アテローム血栓性/ラクナ梗塞(非塞性脳梗塞) (n=214) | 214   | 80.4% | 17    | 7.9%  | 155    | 72.4% | 37  | 17.3% | 5         | 2.3%  |
| 本態性振戦 (n=207)                  | 207   | 79.2% | 19    | 9.2%  | 145    | 70.0% | 43  | 20.8% | 0         | 0.0%  |
| 慢性炎症性脱髄性多発神経炎 (n=208)          | 208   | 78.8% | 19    | 9.1%  | 145    | 69.7% | 37  | 17.8% | 7         | 3.4%  |
| ウイルス性脳炎・髄膜炎 (n=212)            | 212   | 78.8% | 25    | 11.8% | 142    | 67.0% | 40  | 18.9% | 5         | 2.4%  |
| 視神経脊髄炎 (n=207)                 | 207   | 78.3% | 7     | 3.4%  | 155    | 74.9% | 37  | 17.9% | 8         | 3.9%  |
| 多発筋炎/皮膚筋炎 (n=205)              | 205   | 77.1% | 9     | 4.4%  | 149    | 72.7% | 40  | 19.5% | 7         | 3.4%  |
| 心原性脳塞栓症 (n=213)                | 213   | 77.0% | 15    | 7.0%  | 149    | 70.0% | 40  | 18.8% | 9         | 4.2%  |
| 正常圧水頭症 (n=203)                 | 203   | 74.9% | 9     | 4.4%  | 143    | 70.4% | 39  | 19.2% | 12        | 5.9%  |
| 帯状疱疹後神経痛 (n=206)               | 206   | 72.8% | 6     | 2.9%  | 144    | 69.9% | 54  | 26.2% | 2         | 1.0%  |
| 急性散在性脳脊髄炎 (n=206)              | 206   | 71.8% | 11    | 5.3%  | 137    | 66.5% | 44  | 21.4% | 14        | 6.8%  |
| 睡眠障害 (n=207)                   | 207   | 71.5% | 17    | 8.2%  | 131    | 63.3% | 57  | 27.5% | 2         | 1.0%  |
| チャーグ・スト劳斯症候群 (n=202)           | 202   | 66.8% | 5     | 2.5%  | 130    | 64.4% | 56  | 27.7% | 11        | 5.4%  |
| 脊椎症と類縁疾患(ヘルニア/狭窄症 など) (n=206)  | 206   | 66.0% | 7     | 3.4%  | 129    | 62.6% | 60  | 29.1% | 10        | 4.9%  |
| Meige症候群/片側顔面痙攣 (n=205)        | 205   | 65.9% | 8     | 3.9%  | 127    | 62.0% | 64  | 31.2% | 6         | 2.9%  |
| 眩暈 (n=208)                     | 208   | 63.9% | 10    | 4.8%  | 123    | 59.1% | 71  | 34.1% | 4         | 1.9%  |
| 脳出血 (n=210)                    | 210   | 63.3% | 11    | 5.2%  | 122    | 58.1% | 59  | 28.1% | 18        | 8.6%  |
| くも膜下出血 (n=208)                 | 208   | 62.5% | 12    | 5.8%  | 118    | 56.7% | 44  | 21.2% | 34        | 16.3% |
| 神経サルコイドーシス (n=202)             | 202   | 60.9% | 3     | 1.5%  | 120    | 59.4% | 68  | 33.7% | 11        | 5.4%  |
| 真菌性脳炎・脊髄炎 (n=211)              | 211   | 58.3% | 7     | 3.3%  | 116    | 55.0% | 75  | 35.5% | 13        | 6.2%  |
| 起立性低血圧症 (n=206)                | 206   | 54.9% | 5     | 2.4%  | 108    | 52.4% | 87  | 42.2% | 6         | 2.9%  |
| 神経ベーチェット (n=203)               | 203   | 51.7% | 1     | 0.5%  | 104    | 51.2% | 84  | 41.4% | 14        | 6.9%  |
| 神経因性膀胱 (n=207)                 | 207   | 41.1% | 1     | 0.5%  | 84     | 40.6% | 112 | 54.1% | 10        | 4.8%  |
| 慢性疼痛 (n=204)                   | 204   | 40.7% | 3     | 1.5%  | 80     | 39.2% | 111 | 54.4% | 10        | 4.9%  |
| レビー小体型認知症 (n=211)              | 211   | 39.8% | 8     | 3.8%  | 76     | 36.0% | 102 | 48.3% | 25        | 11.8% |
| 糖尿病性ニューロパチー (n=208)            | 208   | 38.0% | 2     | 1.0%  | 77     | 37.0% | 113 | 54.3% | 16        | 7.7%  |
| POEMS症候群 (n=203)               | 203   | 35.5% | 1     | 0.5%  | 71     | 35.0% | 112 | 55.2% | 19        | 9.4%  |
| アルツハイマー病 (n=213)               | 213   | 33.3% | 6     | 2.8%  | 65     | 30.5% | 109 | 51.2% | 33        | 15.5% |
| ジストニア (n=206)                  | 206   | 26.7% | 0     | 0.0%  | 55     | 26.7% | 133 | 64.6% | 18        | 8.7%  |
| 血管性認知症 (n=206)                 | 206   | 26.2% | 6     | 2.9%  | 48     | 23.3% | 122 | 59.2% | 30        | 14.6% |
| 球脊髄性筋萎縮症 (n=206)               | 206   | 25.7% | 6     | 2.9%  | 47     | 22.8% | 121 | 58.7% | 32        | 15.5% |
| HTLV-1 関連脊髄症 (n=209)           | 209   | 24.9% | 2     | 1.0%  | 50     | 23.9% | 115 | 55.0% | 42        | 20.1% |
| 痙性麻痺 (n=205)                   | 205   | 23.4% | 1     | 0.5%  | 47     | 22.9% | 131 | 63.9% | 26        | 12.7% |
| 傍腫瘍性神経症候群 (n=202)              | 202   | 22.8% | 2     | 1.0%  | 44     | 21.8% | 124 | 61.4% | 32        | 15.8% |
| 脊髄性筋萎縮症 (n=204)                | 204   | 21.6% | 4     | 2.0%  | 40     | 19.6% | 115 | 56.4% | 45        | 22.1% |
| 脊髄小脳変性症 (n=210)                | 210   | 20.5% | 3     | 1.4%  | 40     | 19.0% | 104 | 49.5% | 63        | 30.0% |
| 多系統萎縮症 (n=214)                 | 214   | 19.2% | 7     | 3.3%  | 34     | 15.9% | 94  | 43.9% | 79        | 36.9% |
| 進行性核上性麻痺 (n=213)               | 213   | 17.4% | 4     | 1.9%  | 33     | 15.5% | 91  | 42.7% | 85        | 39.9% |
| アミロイドーシス (n=203)               | 203   | 17.2% | 0     | 0.0%  | 35     | 17.2% | 128 | 63.1% | 40        | 19.7% |
| 前頭側頭葉変性症 (n=211)               | 211   | 17.1% | 4     | 1.9%  | 32     | 15.2% | 76  | 36.0% | 99        | 46.9% |
| 筋萎縮性側索硬化症 (n=208)              | 208   | 14.9% | 3     | 1.4%  | 28     | 13.5% | 98  | 47.1% | 79        | 38.0% |
| 血管性脊髄症 (n=201)                 | 201   | 14.4% | 0     | 0.0%  | 29     | 14.4% | 125 | 62.2% | 47        | 23.4% |
| ライソゾーム病/ペルオキシソーム病 (n=201)      | 201   | 13.9% | 1     | 0.5%  | 27     | 13.4% | 112 | 55.7% | 61        | 30.3% |
| 封入体筋炎 (n=201)                  | 201   | 13.4% | 1     | 0.5%  | 26     | 12.9% | 118 | 58.7% | 56        | 27.9% |
| ハンチントン病 (n=206)                | 206   | 11.7% | 2     | 1.0%  | 22     | 10.7% | 87  | 42.2% | 95        | 46.1% |
| ミトコンドリア異常症 (n=203)             | 203   | 10.8% | 0     | 0.0%  | 22     | 10.8% | 111 | 54.7% | 70        | 34.5% |
| 筋強直性ジストロフィー (n=206)            | 206   | 10.7% | 0     | 0.0%  | 22     | 10.7% | 102 | 49.5% | 82        | 39.8% |
| プリオン病 (n=209)                  | 209   | 10.0% | 3     | 1.4%  | 18     | 8.6%  | 35  | 16.7% | 153       | 73.2% |
| シャルコー・マリー・トゥース病 (n=204)        | 204   | 8.8%  | 0     | 0.0%  | 18     | 8.8%  | 88  | 43.1% | 98        | 48.0% |
| 遠位型ミオパチー (n=201)               | 201   | 8.0%  | 0     | 0.0%  | 16     | 8.0%  | 100 | 49.8% | 85        | 42.3% |
| 進行性筋ジストロフィー (n=204)            | 204   | 6.9%  | 0     | 0.0%  | 14     | 6.9%  | 100 | 49.0% | 90        | 44.1% |

## 2) 薬剤貢献度

問2 60 神経疾患・症候に関する薬剤（医薬品）の治療への貢献度

下記の各神経疾患、神経症候に関し、我が国における「薬剤（医薬品）の治療への貢献度」について、該当する項目を選択して下さい。

- <選択肢>
- ・十分に貢献している（十分に貢献）
  - ・ある程度貢献している（ある程度貢献）
  - ・あまり貢献していない（あまり貢献していない）
  - ・効く薬がない

60 神経疾患・症候に関して「薬剤（医薬品）の治療への貢献度」を上記4つの選択肢から選んで頂いた。回答結果を図表 2-1-3 に、その回答数と割合（%）を図表 2-1-4 に示す。

薬剤貢献度（「十分に貢献」と「ある程度貢献」の合計）が高かった疾患・症候は、「片頭痛」（98.5%）、「てんかん」（98.5%）、「ギラン・バレー症候群／フィッシャー症候群」（98.0%）、「パーキンソン病」（98.0%）、「多発性硬化症」（96.5%）、「細菌性脳炎・脊髄炎」（96.0%）、「重症筋無力症」（95.0%）、「心原性脳塞栓症」（93.6%）、「視神経脊髄炎」（92.6%）、「慢性炎症性脱髄性多発神経炎」（92.5%）、「アテローム血栓性/ラクナ脳梗塞（非塞栓性脳梗塞）」（91.6%）、「睡眠障害」（91.0%）、「レストレスレッグ症候群」（90.5%）であった（90%以上、13 疾患・症候）。

次いで、90～80%の疾患・症候が「帯状疱疹後神経痛」（88.9%）など7疾患・症候あり、薬剤貢献度が80%以上の疾患・症候は全部で20あった。これは今回調査を行った60神経疾患・症候の1/3にあたる。薬剤貢献度が50%以上の疾患・症候は、ほぼ半分の32であった。

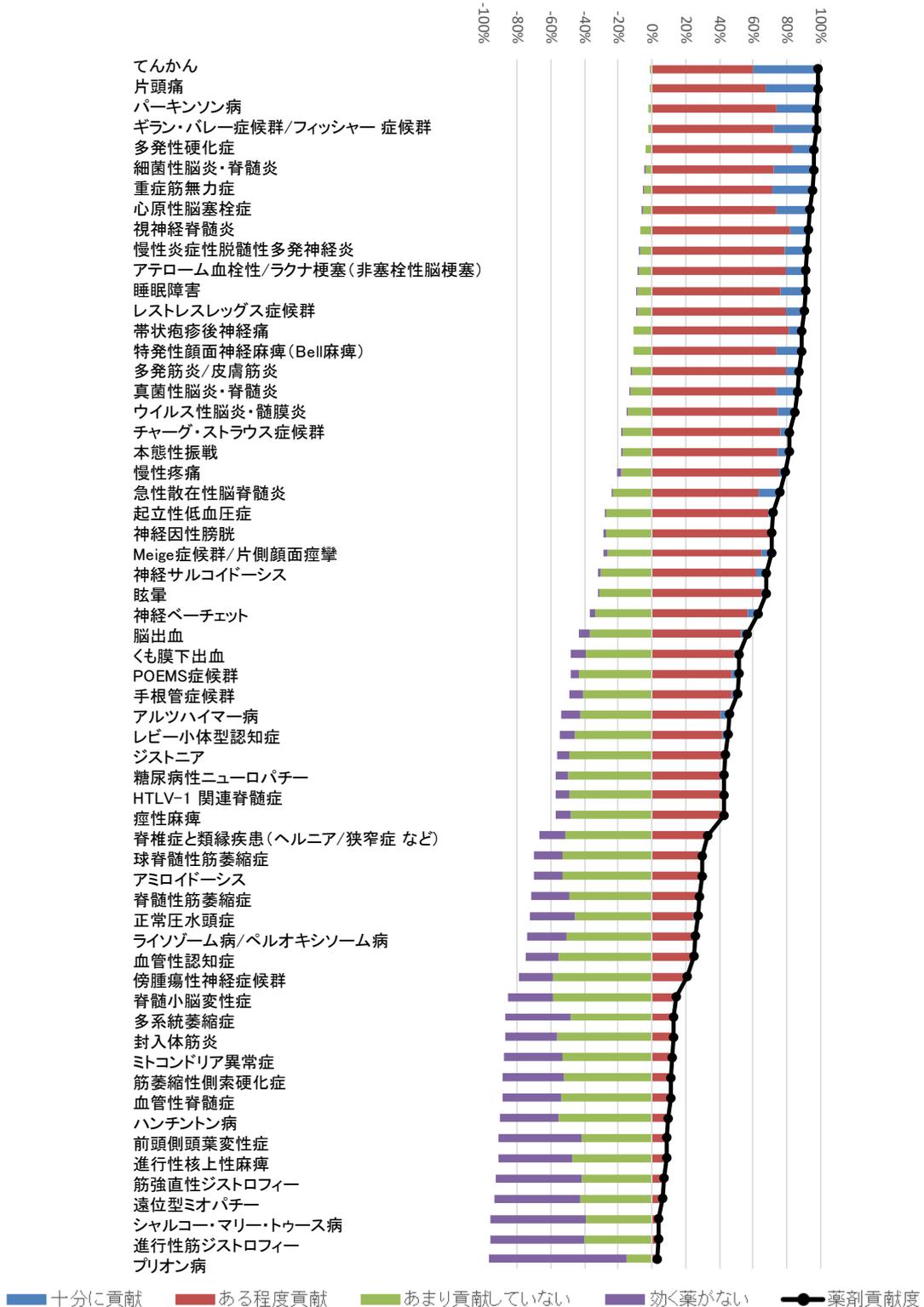
「十分貢献」の割合が最も高かったのは、「てんかん」（38.6%）であり、以下、「片頭痛」（31.0%）、「ギラン・バレー症候群／フィッシャー症候群」（25.4%）、「パーキンソン病」（24.4%）、「重症筋無力症」（23.9%）、「細菌性脳炎・脊髄炎」（23.4%）であった（20%以上、6疾患・症候）。

一方、薬剤貢献度が20%以下の疾患・症候は全体の約1/4（14疾患・症候）あった。薬剤貢献度が低い疾患・症候として、「プリオン病」（3.0%）、「シャルコー・マリー・トゥース病」（4.0%）、「進行性筋ジストロフィー」（4.0%）、「遠位型ミオパチー」（6.6%）、「筋強直性筋ジストロフィー」（7.0%）、「進行性核上性麻痺」（8.4%）、「前頭側頭葉変性症」（8.9%）、「ハンチントン病」（10.0%）が挙げられた（10%以下、8疾患・症候）。

「効く薬がない」の割合が多かったのは、「プリオン病」（81.6%）、「シャルコー・マリー・トゥース病」（56.6%）、「進行性筋ジストロフィー」（55.8%）、「筋強直性筋ジストロフィー」（50.8%）、「遠位型ミオパチー」（50.8%）（50%以上、5疾患・症候）、次いで、「前頭側頭葉変性症」（49.0%）、「進行性核上性麻痺」（44.3%）であった（40%以上、2疾患・症候）。

図表 2-1-3 薬剤（医薬品）の治療への貢献度

（「十分に貢献」と「ある程度貢献」をプラス方向、「あまり貢献していない」と「効く薬がない」をマイナス方向に積み上げた）



図表 2-1-4 薬剤（医薬品）の治療への貢献度（データ表）

|                                 | 薬剤貢献度 |       | 十分に貢献 |       | ある程度貢献 |       | あまり貢献していない |       | 効く薬がない |       |
|---------------------------------|-------|-------|-------|-------|--------|-------|------------|-------|--------|-------|
|                                 | 回答数   | %     | 回答数   | %     | 回答数    | %     | 回答数        | %     | 回答数    | %     |
| てんかん (n=202)                    | 202   | 98.5% | 78    | 38.6% | 121    | 59.9% | 3          | 1.5%  | 0      | 0.0%  |
| 片頭痛 (n=200)                     | 200   | 98.5% | 62    | 31.0% | 135    | 67.5% | 3          | 1.5%  | 0      | 0.0%  |
| パーキンソン病 (n=205)                 | 205   | 98.0% | 50    | 24.4% | 151    | 73.7% | 4          | 2.0%  | 0      | 0.0%  |
| ギラン・バレー症候群/フィッシャー 症候群 (n=201)   | 201   | 98.0% | 51    | 25.4% | 146    | 72.6% | 4          | 2.0%  | 0      | 0.0%  |
| 多発性硬化症 (n=202)                  | 202   | 96.5% | 26    | 12.9% | 169    | 83.7% | 7          | 3.5%  | 0      | 0.0%  |
| 細菌性脳炎・脊髄炎 (n=201)               | 201   | 96.0% | 47    | 23.4% | 146    | 72.6% | 7          | 3.5%  | 1      | 0.5%  |
| 重症筋無力症 (n=201)                  | 201   | 95.0% | 48    | 23.9% | 143    | 71.1% | 9          | 4.5%  | 1      | 0.5%  |
| 心原性脳塞栓症 (n=202)                 | 202   | 93.6% | 40    | 19.8% | 149    | 73.8% | 11         | 5.4%  | 2      | 1.0%  |
| 視神経脊髄炎 (n=202)                  | 202   | 92.6% | 21    | 10.4% | 166    | 82.2% | 15         | 7.4%  | 0      | 0.0%  |
| 慢性炎症性脱髄性多発神経炎 (n=201)           | 201   | 92.5% | 28    | 13.9% | 158    | 78.6% | 14         | 7.0%  | 1      | 0.5%  |
| アテローム血栓性/ラクナ梗塞(非血栓性脳梗塞) (n=203) | 203   | 91.6% | 25    | 12.3% | 161    | 79.3% | 16         | 7.9%  | 1      | 0.5%  |
| 睡眠障害 (n=200)                    | 200   | 91.0% | 30    | 15.0% | 152    | 76.0% | 17         | 8.5%  | 1      | 0.5%  |
| レストレスレッグス症候群 (n=199)            | 199   | 90.5% | 21    | 10.6% | 159    | 79.9% | 18         | 9.0%  | 1      | 0.5%  |
| 帯状疱疹後神経痛 (n=199)                | 199   | 88.9% | 15    | 7.5%  | 162    | 81.4% | 22         | 11.1% | 0      | 0.0%  |
| 特発性顔面神経麻痺(Bell麻痺) (n=201)       | 201   | 88.6% | 29    | 14.4% | 149    | 74.1% | 23         | 11.4% | 0      | 0.0%  |
| 多発筋炎/皮膚筋炎 (n=198)               | 198   | 87.4% | 16    | 8.1%  | 157    | 79.3% | 23         | 11.6% | 2      | 1.0%  |
| 真菌性脳炎・脊髄炎 (n=200)               | 200   | 86.5% | 25    | 12.5% | 148    | 74.0% | 26         | 13.0% | 1      | 0.5%  |
| ウイルス性脳炎・髄膜炎 (n=201)             | 201   | 85.1% | 20    | 10.0% | 151    | 75.1% | 28         | 13.9% | 2      | 1.0%  |
| チャージ・ストラウス症候群 (n=196)           | 196   | 81.6% | 11    | 5.6%  | 149    | 76.0% | 35         | 17.9% | 1      | 0.5%  |
| 本態性振戦 (n=200)                   | 200   | 81.5% | 14    | 7.0%  | 149    | 74.5% | 35         | 17.5% | 2      | 1.0%  |
| 慢性疼痛 (n=199)                    | 199   | 78.9% | 7     | 3.5%  | 150    | 75.4% | 37         | 18.6% | 5      | 2.5%  |
| 急性散在性脳脊髄炎 (n=201)               | 201   | 76.1% | 25    | 12.4% | 128    | 63.7% | 46         | 22.9% | 2      | 1.0%  |
| 起立性低血圧症 (n=199)                 | 199   | 71.9% | 5     | 2.5%  | 138    | 69.3% | 55         | 27.6% | 1      | 0.5%  |
| 神経因性膀胱 (n=200)                  | 200   | 71.5% | 2     | 1.0%  | 141    | 70.5% | 54         | 27.0% | 3      | 1.5%  |
| Meige症候群/片側顔面痙攣 (n=199)         | 199   | 70.9% | 11    | 5.5%  | 130    | 65.3% | 53         | 26.6% | 5      | 2.5%  |
| 神経サルコイドーシス (n=198)              | 198   | 67.7% | 12    | 6.1%  | 122    | 61.6% | 60         | 30.3% | 4      | 2.0%  |
| 眩暈 (n=200)                      | 200   | 67.5% | 5     | 2.5%  | 130    | 65.0% | 62         | 31.0% | 3      | 1.5%  |
| 神経ベーチェット (n=199)                | 199   | 63.3% | 12    | 6.0%  | 114    | 57.3% | 67         | 33.7% | 6      | 3.0%  |
| 脳出血 (n=200)                     | 200   | 56.5% | 8     | 4.0%  | 105    | 52.5% | 74         | 37.0% | 13     | 6.5%  |
| くも膜下出血 (n=196)                  | 196   | 52.0% | 7     | 3.6%  | 95     | 48.5% | 78         | 39.8% | 16     | 8.2%  |
| POEMS症候群 (n=198)                | 198   | 51.5% | 8     | 4.0%  | 94     | 47.5% | 86         | 43.4% | 10     | 5.1%  |
| 手根管症候群 (n=200)                  | 200   | 51.0% | 8     | 4.0%  | 94     | 47.0% | 82         | 41.0% | 16     | 8.0%  |
| アルツハイマー病 (n=203)                | 203   | 45.8% | 10    | 4.9%  | 83     | 40.9% | 86         | 42.4% | 24     | 11.8% |
| レビー小体型認知症 (n=204)               | 204   | 45.6% | 8     | 3.9%  | 85     | 41.7% | 94         | 46.1% | 17     | 8.3%  |
| ジストニア (n=200)                   | 200   | 43.5% | 4     | 2.0%  | 83     | 41.5% | 99         | 49.5% | 14     | 7.0%  |
| 糖尿病性ニューロパチー (n=203)             | 203   | 42.9% | 5     | 2.5%  | 82     | 40.4% | 101        | 49.8% | 15     | 7.4%  |
| HTLV-1 関連脊髄症 (n=199)            | 199   | 42.7% | 4     | 2.0%  | 81     | 40.7% | 98         | 49.2% | 16     | 8.0%  |
| 瘰癧性麻痺 (n=200)                   | 200   | 42.5% | 3     | 1.5%  | 82     | 41.0% | 97         | 48.5% | 18     | 9.0%  |
| 脊椎症と類縁疾患(ヘルニア/狭窄症 など) (n=199)   | 199   | 33.2% | 3     | 1.5%  | 63     | 31.7% | 103        | 51.8% | 30     | 15.1% |
| 球脊髄性筋萎縮症 (n=200)                | 200   | 30.0% | 4     | 2.0%  | 56     | 28.0% | 106        | 53.0% | 34     | 17.0% |
| アミロイドーシス (n=198)                | 198   | 29.8% | 4     | 2.0%  | 55     | 27.8% | 105        | 53.0% | 34     | 17.2% |
| 脊髄性筋萎縮症 (n=200)                 | 200   | 28.0% | 3     | 1.5%  | 53     | 26.5% | 99         | 49.5% | 45     | 22.5% |
| 正常圧水頭症 (n=198)                  | 198   | 27.3% | 6     | 3.0%  | 48     | 24.2% | 91         | 46.0% | 53     | 26.8% |
| ライゾーム病/ペルオキシソーム病 (n=196)        | 196   | 26.0% | 1     | 0.5%  | 50     | 25.5% | 99         | 50.5% | 46     | 23.5% |
| 血管性認知症 (n=197)                  | 197   | 24.9% | 0     | 0.0%  | 49     | 24.9% | 109        | 55.3% | 39     | 19.8% |
| 傍腫瘍性神経症候群 (n=197)               | 197   | 20.8% | 0     | 0.0%  | 41     | 20.8% | 116        | 58.9% | 40     | 20.3% |
| 脊髄小脳変性症 (n=205)                 | 205   | 14.1% | 4     | 2.0%  | 25     | 12.2% | 121        | 59.0% | 55     | 26.8% |
| 多系統萎縮症 (n=204)                  | 204   | 12.7% | 3     | 1.5%  | 23     | 11.3% | 98         | 48.0% | 80     | 39.2% |
| 封入体筋炎 (n=197)                   | 197   | 12.7% | 0     | 0.0%  | 25     | 12.7% | 111        | 56.3% | 61     | 31.0% |
| ミトコンドリア異常症 (n=196)              | 196   | 11.7% | 1     | 0.5%  | 22     | 11.2% | 104        | 53.1% | 69     | 35.2% |
| 筋萎縮性側索硬化症 (n=203)               | 203   | 11.3% | 3     | 1.5%  | 20     | 9.9%  | 107        | 52.7% | 73     | 36.0% |
| 血管性脊髄症 (n=197)                  | 197   | 11.2% | 0     | 0.0%  | 22     | 11.2% | 107        | 54.3% | 68     | 34.5% |
| ハンチントン病 (n=201)                 | 201   | 10.0% | 2     | 1.0%  | 18     | 9.0%  | 111        | 55.2% | 70     | 34.8% |
| 前頭側頭葉変性症 (n=202)                | 202   | 8.9%  | 3     | 1.5%  | 15     | 7.4%  | 85         | 42.1% | 99     | 49.0% |
| 進行性核上性麻痺 (n=203)                | 203   | 8.4%  | 3     | 1.5%  | 14     | 6.9%  | 96         | 47.3% | 90     | 44.3% |
| 筋強直性ジストロフィー (n=199)             | 199   | 7.0%  | 1     | 0.5%  | 13     | 6.5%  | 84         | 42.2% | 101    | 50.8% |
| 遠位型ミオパチー (n=197)                | 197   | 6.6%  | 1     | 0.5%  | 12     | 6.1%  | 84         | 42.6% | 100    | 50.8% |
| シャルコー・マリー・トゥース病 (n=198)         | 198   | 4.0%  | 0     | 0.0%  | 8      | 4.0%  | 78         | 39.4% | 112    | 56.6% |
| 進行性筋ジストロフィー (n=199)             | 199   | 4.0%  | 1     | 0.5%  | 7      | 3.5%  | 80         | 40.2% | 111    | 55.8% |
| プリオン病 (n=201)                   | 201   | 3.0%  | 2     | 1.0%  | 4      | 2.0%  | 31         | 15.4% | 164    | 81.6% |

### 3) 治療満足度と薬剤貢献度の相関

治療満足度（「十分に満足」と「ある程度満足」）を横軸に、薬剤（医薬品）の貢献度（「十分に貢献」と「ある程度貢献」）を縦軸として、60 神経疾患・症候についてのプロットを図表 2-1-5 に示す。

#### (a) 「治療満足度」、「薬剤貢献度」ともに高い疾患・症候

治療満足度及び薬剤貢献度がいずれも 90%以上の疾患・症候は「片頭痛」、「てんかん」、「重症筋無力症」、「パーキンソン病」、「ギラン・バレー症候群／フィッシャー症候群」であった（5 疾患・症候）。次いでいずれも 80%以上の疾患・症候は「アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞」、「細菌性脳炎・脊髄炎」、「多発性硬化症」、「特発性顔面神経麻痺（Bell 麻痺）」、「レストレスレッグス症候群」であった（5 疾患・症候）。

#### (b) 「治療満足度」、「薬剤貢献度」ともに低い疾患・症候

治療満足度及び薬剤貢献度がいずれも 10%以下の疾患・症候は、「進行性筋ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」、「シャルコー・マリー・トゥース病」、「プリオン病」であった（4 疾患・症候）。次いでいずれも 20%以下の疾患・症候は、「筋強直性ジストロフィー」、「ミトコンドリア異常症」、「ハンチントン病」、「封入体筋炎」、「血管性脊髄症」、「筋萎縮性側索硬化症」、「前頭側頭葉変性症」、「進行性核上性麻痺」、「多系統萎縮症」であった（9 疾患・症候）。

#### (c) 「治療満足度」が高いにもかかわらず、「薬剤貢献度」が低い疾患・症候

薬剤貢献度が 50%以下と比較的低いにもかかわらず、治療満足度が 50%以上と高い疾患・症候は「脊椎症と類縁疾患（ヘルニア／狭窄症など）」、「正常圧水頭症」であった（2 疾患・症候）。

#### (d) 「薬剤貢献度」が高いにもかかわらず、「治療満足度」が低い疾患・症候

薬剤貢献度が 50%以上と高いにもかかわらず、治療満足度が 50%以下と低い疾患・症候は、「神経因性膀胱」、「慢性疼痛」、「POEMS 症候群」（3 疾患・症候）であった。

#### (e) 「治療満足度」と「薬剤貢献度」の乖離が大きい疾患・症候

薬剤貢献度が治療満足度よりも高くその乖離が 40～30 ポイントの疾患・症候には、「慢性疼痛」（38.2 ポイント：治療満足度 78.9%、薬剤貢献度 40.7%、以下同様）、「神経因性膀胱」（30.1 ポイント：71.5%、41.4%）、次いで 30～20 ポイントの疾患・症候には、「真菌性脳炎・脊髄炎」（28.2 ポイント：86.5%、58.3%）、20～10 ポイントの疾患・症候には「睡眠障害」（19.5 ポイント：91.0%、71.5%）、「痙性麻痺」（19.1 ポイント：42.5%、23.4%）等の 19 疾患・症候が分類された。

薬剤貢献度よりも治療満足度が高くその乖離が 50～40 ポイントの疾患・症候には、「正常圧水頭症」（47.6 ポイント：27.3%、74.9%）、次いで 40～30 ポイントの疾患・症候には、「手根管症候群」（35.4 ポイント：51.0%、86.4%）、「脊椎症と類縁疾患（ヘルニア／狭窄症など）」（32.8 ポイント：33.2%、66.0%）、20～10 ポイントの疾患・症候には、「くも膜下出血」（10.5 ポイント：52.0%、62.5%）が分類された。



#### 4) 治療満足度と薬剤貢献度における「十分に満足」と「十分に貢献」の割合

治療満足度と薬剤貢献度がともに50%以上の比較的高い29疾患・症候について、「十分に満足」と「十分に貢献」の割合を図表2-1-6に示す。

(1) 治療満足度と薬剤貢献度 1) 治療満足度に示すように、治療満足度が80%以上を示す治療満足度の高い疾患・症候であっても、「十分に満足」は20%以下であり、これらの治療満足度はそのほとんどが「ある程度満足」であった(図表2-1-1及び図表2-1-2)。特に、「パーキンソン病」、「多発性硬化症」、「アテローム血栓性/ラクナ梗塞(非塞栓性脳梗塞)」の「十分に満足」の割合は10%以下と低かった。

同様に、(1) 治療満足度と薬剤貢献度 2) 薬剤貢献度に示すように、薬剤貢献度が90%以上を示す薬剤貢献度の高い疾患・症候であっても、「十分に貢献」は40%以下であり、これらの薬剤貢献度の多くは「ある程度貢献」であった(図表2-1-3及び図表2-1-4)。特に、「多発性硬化症」、「心原性脳塞栓症」、「視神経脊髄炎」、「慢性炎症性脱髄性多発神経炎」、「アテローム血栓性/ラクナ梗塞(非塞栓性脳梗塞)」、「睡眠障害」、「レストレスレッグス症候群」の「十分に貢献」の割合は20%以下と低かった。

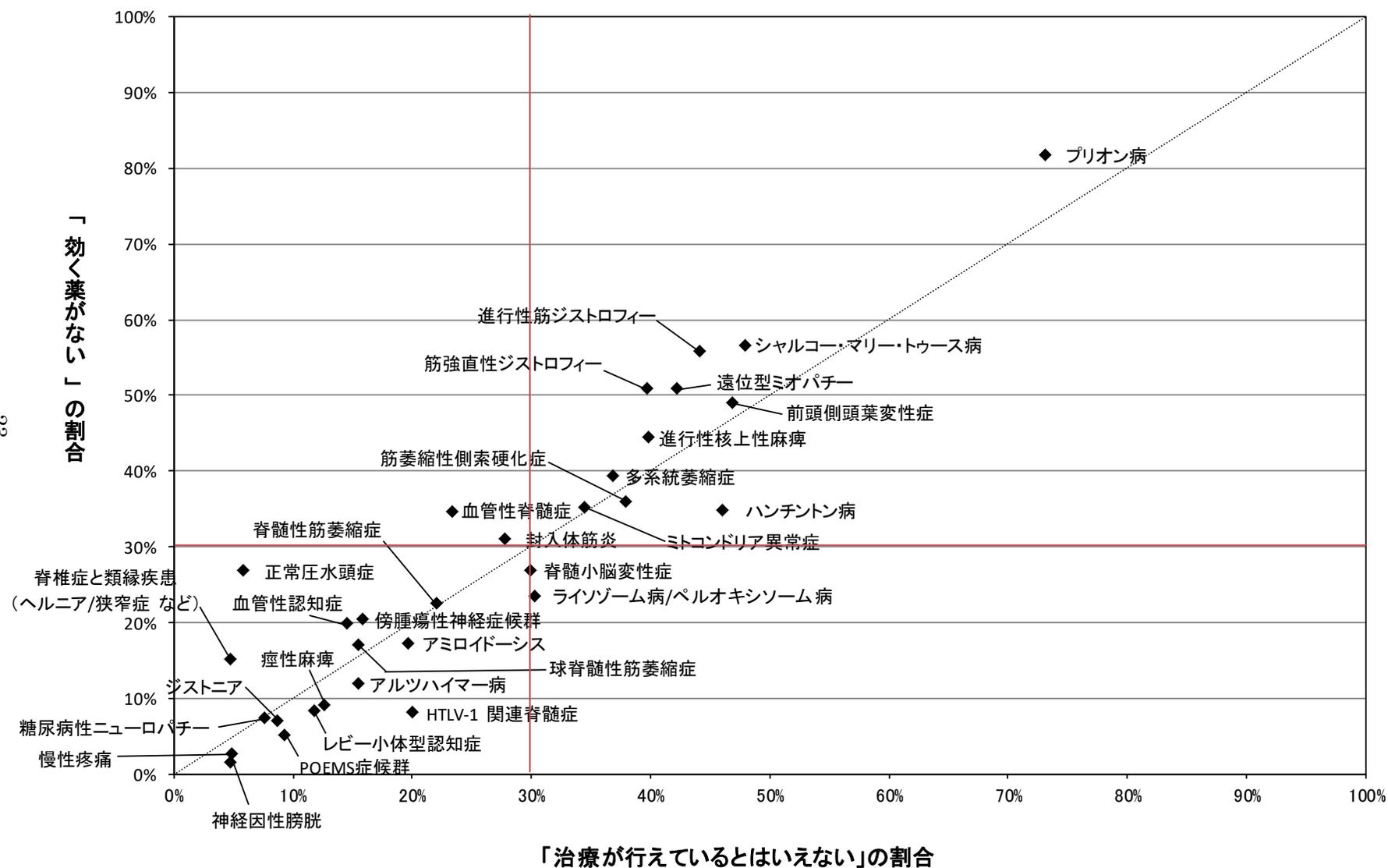


5) 「治療が行えているとはいえない」疾患・症候と「効く薬がない」疾患・症候

治療満足度又は薬剤貢献度のいずれかが 50%未満と比較的低い 31 疾患・症候の「治療が行えているとはいえない」と「効く薬がない」の割合を図表 2-1-7 に示す。

「治療が行えているとはいえない」又は「効く薬がない」のいずれかが 30%以上の疾患・症候は 15 疾患・症候であり、「治療が行えているとはいえない」が多い順に「プリオン病」、「シャルコー・マリー・トゥース病」、「前頭側頭葉変性症」、「ハンチントン病」、「進行性筋ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」、「進行性核上性麻痺」、「筋強直性ジストロフィー」、「筋萎縮性側索硬化症」、「多系統萎縮症」、「ミトコンドリア異常症」、「ライソゾーム病／ペルオキシソーム病」、「脊髄小脳変性症」、「封入体筋炎」及び「血管性脊髄症」であった。

図表 2-1-7 「治療が行えているとはいえない」と「効く薬がない」（治療満足度・薬剤貢献度いずれか 50%未満の 31 疾患・症候）



## 6) 重み付けによる治療満足度と薬剤貢献度の指数化

治療満足度（「十分に満足」と「ある程度満足」の合計）と薬剤貢献度（「十分に貢献」と「ある程度貢献」の合計）をプロットした図表 2-1-5 では、治療満足度と薬剤貢献度が概ね相関して分布するものの、治療満足度 50%付近がまばらで右上側と左下側に分布が集中して二極化している傾向が認められた。

そこで、治療の満足度指数（「十分に満足」と「ある程度満足」に加えて「不満足」及び「治療が行えているとはいえない」の割合も加味した治療の満足度）と、薬剤の治療への貢献度指数（「十分に貢献」と「ある程度貢献」に加えて「あまり貢献していない」及び「効く薬がない」の割合も加味した薬剤の治療への貢献度）の相関を図表 2-1-8 に示す。指数化は、2013 年度の調査時と同様に下記の係数で行った。

治療の満足度指数

$$= \text{「十分に満足」} \times \mathbf{3} + \text{「ある程度満足」} \times \mathbf{2} + \text{「不満足」} \times \mathbf{1} + \text{「治療が行えているとはいえない」} \times \mathbf{0}$$

（十分に満足が 100%の時、300 ポイント）

薬剤の治療への貢献度指数

$$= \text{「十分に貢献」} \times \mathbf{3} + \text{「ある程度貢献」} \times \mathbf{2} + \text{「あまり貢献していない」} \times \mathbf{1} + \text{「効く薬がない」} \times \mathbf{0}$$

（十分に貢献が 100%の時、300 ポイント）

### (a) 各疾患・症候の順位

治療の満足度指数と薬剤の治療への貢献度指数の散布図（図表 2-1-8）を、治療満足度と薬剤貢献度の散布図（図表 2-1-5）を比較した場合、図表 2-1-8 での各疾患・症候の順位に大きな変動はなかった。

### (b) 二極化の是正

図表 2-1-5 で治療満足度及び薬剤貢献度がいずれも 30%以下で左下に位置していた疾患・症候（封入体筋炎、傍腫瘍性神経症候群等）、治療満足度及び薬剤貢献度がいずれも 70%以上で右上に位置していた疾患・症候（片頭痛、急性散在性脳脊髄炎等）は、図表 2-1-8 ではより中心に移動し、図表 2-1-5 のような二極化が見られず全体的に分布していた。

図表 2-1-5 では左下に位置していたが、図表 2-1-8 ではより中心に移動した疾患・症候

「封入体筋炎」、「傍腫瘍性神経症候群」等では、指数化される「不満足」が「治療が行なえていない」とはいえないより多かったこと（図表 2-1-1 及び図表 2-1-2）が、「治療の満足度指数」では指数に反映された。また、指数化される「あまり貢献していない」が「効

く薬がない」より多かったこと（図表 2-1-3 及び図表 2-1-4）が、「薬剤の治療への貢献度指数」では指数に反映された。

#### 図表 2-1-5 では右上に位置していたが、図表 2-1-8 ではより中心に移動した疾患・症候

「片頭痛」、「急性散在性脳脊髄炎」等では、指数化への寄与がより大きい「十分満足」が「ある程度満足」より少なかったこと（図表 2-1-1 及び図表 2-1-2）が、「治療の満足度指数」では反映され、また、指数化への寄与がより大きい「十分貢献」が「ある程度貢献」より少なかったこと（図表 2-1-3 及び図表 2-1-4）が、「薬剤の治療への貢献度指数」に反映された。

#### (c) 「治療の満足度指数」と「薬剤の治療への貢献度指数」の相関性

治療満足度と薬剤貢献度の散布図（図表 2-1-5）において、治療満足度と薬剤貢献度の乖離が大きかった疾患・症候において、「治療の満足度指数」、「薬剤の治療への貢献度指数」の散布図（図表 2-1-8）ではより相関性のある傾向を認めた。

#### 「治療の満足度指数」では高ポイント側に移動し相関性を認めた疾患・症候

「痙性麻痺」、「HTLV-1 関連脊髄症」、「ジストニア」、「POEMS 症候群」では、指数化される「不満足」が「治療が行なえているとはいえない」より多かったこと（図表 2-1-1 及び図表 2-1-2）が、「治療の満足度指数」に反映された。

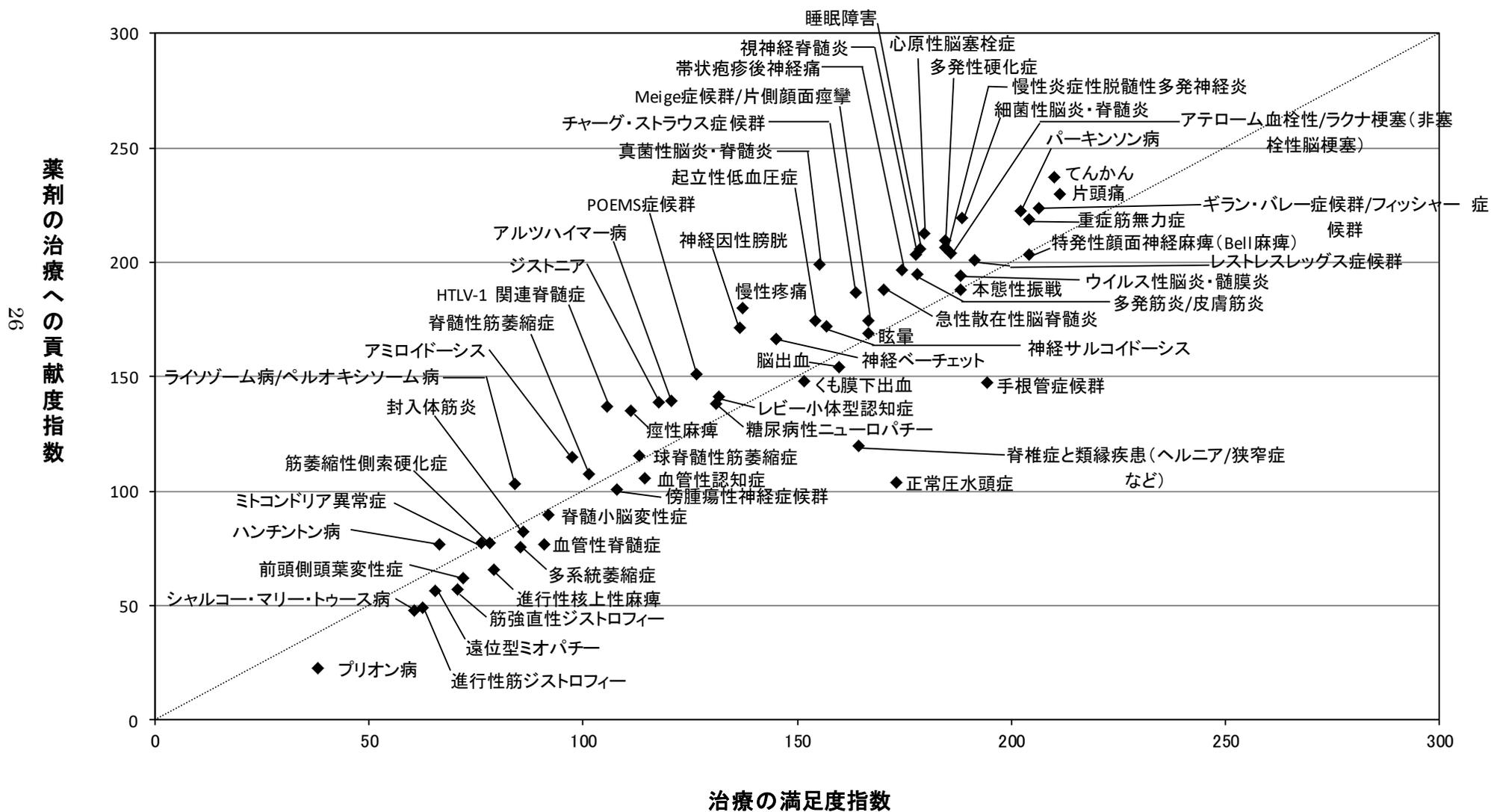
#### 「治療の満足度指数」では低ポイント側に移動し相関性を認めた疾患・症候

「手根管症候群」、「正常圧水頭症」、「脊椎症と類縁疾患（ヘルニア/狭窄症など）」では、指数化への寄与がより大きい「十分満足」が「ある程度満足」より少なかったこと（図表 2-1-1 及び図表 2-1-2）が、「治療の満足度指数」に反映された。

#### 「薬剤の治療への貢献度指数」では低ポイント側に移動し相関性を認めた疾患・症候

「睡眠障害」、「真菌性脳炎・脊髄炎」、「慢性疼痛」、「神経因性膀胱」では、指数化への寄与がより大きい「十分貢献」が「ある程度貢献」より少なかったこと（図表 2-1-3 及び図表 2-1-4）が、「薬剤の治療への貢献度指数」に反映された。

図表 2-1-8 「治療の満足度指数」と「薬剤の治療への貢献度の指数」



## (2) 新規治療法の開発が急務な疾患・症候

問3 新規治療法の開発が急務な疾患・症候（最大3疾患・症候までご回答ください）  
60 神経疾患・症候の中で新規治療法の開発が急務と考える疾患・症候を、3件まで選択してください。また、新規治療法の開発が急務とお考えの理由や、開発に向けた具体的な方策等についてのご意見を、創薬標的、ゲノム解析、バイオマーカー、画像診断、再生医療、遺伝子治療、予防医学、デバイスなどを勘案の上で自由にご回答下さい。

### 1) 新規治療法の開発が急務な疾患・症候

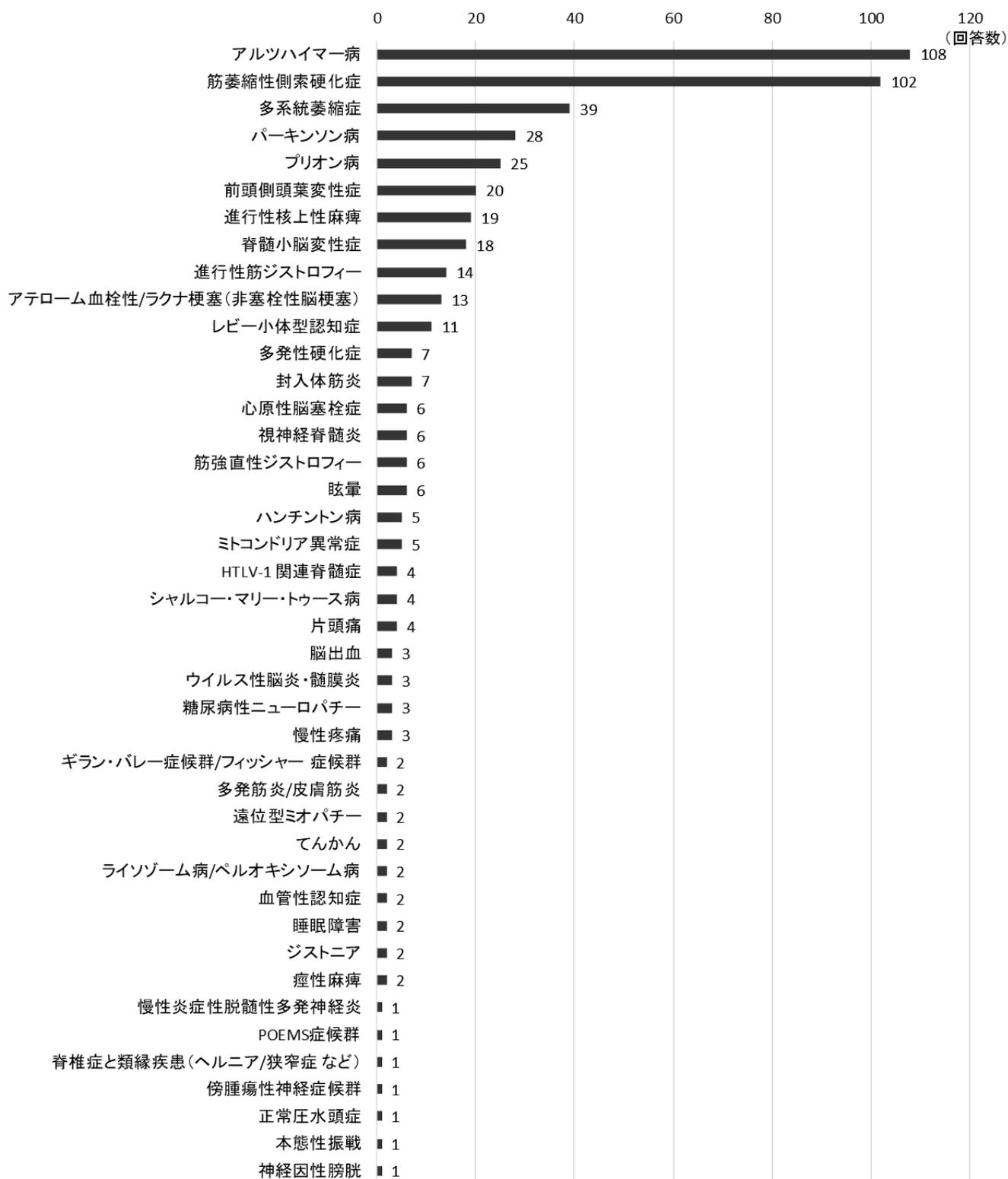
本調査項目では、神経内科の専門医における新規治療法へのニーズを把握することを目指し、「新規治療法の開発が急務と考える疾患・症候」を尋ねた。その結果、184名から回答があり、合計42疾患・症候が挙げられた。疾患・症候を回答の多い順に図表2-1-9に示す。

新規治療法の開発が急務と考える疾患・症候として最も多くの回答者から選択された疾患・症候は「アルツハイマー病」で108名（58.7%）であった。次に多かったのは「筋萎縮性側索硬化症」（102名、55.4%）であった。これら2疾患・症候については、半数以上の回答者によって選択された。次いで20%以上の回答者によって選ばれていたのが、「多系統萎縮症」（39名、21.2%）の1疾患・症候、20～10%が4疾患・症候、10%以下が35疾患・症候であった。

回答がなかった疾患・症候は以下の18疾患・症候であった。

|                   |                 |
|-------------------|-----------------|
| くも膜下出血            | 重症筋無力症          |
| 細菌性脳炎・脊髄炎         | 神経ベーチェット        |
| 真菌性脳炎・脊髄炎         | 神経サルコイドーシス      |
| 球脊髄性筋萎縮症          | 血管性脊髄症          |
| 脊髄性筋萎縮症           | チャージ・ストラウス症候群   |
| 急性散在性脳脊髄炎         | 帯状疱疹後神経痛        |
| 特発性顔面神経麻痺（Bell麻痺） | Meige症候群／片側顔面痙攣 |
| アミロイドーシス          | レストレスレッグ症候群     |
| 手根管症候群            | 起立性低血圧          |

図表 2-1-9 新規治療法の開発が急務な疾患・症候（最大3つ選択）



新規治療法の開発が急務と考える理由での回答者が多かった上位 10 疾患・症候について図表 2-1-10 に示す。「有効な治療法がない」との理由は、「多系統萎縮症」、「プリオン病」、「前頭側頭葉変性症」、「進行性核上性麻痺」、「脊髄小脳変性症」で最も多く、「進行性筋ジストロフィー」でも挙げられた。「アルツハイマー病」、「筋萎縮性側索硬化症」では 2 番目に多く挙げられた。

「患者数が多い／今後増加する」との理由は、「アルツハイマー病」、「パーキンソン病」、「進行性核上性麻痺」、「アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞」で最も多く、「進行性筋ジストロフィー」でも挙げられ、「多系統萎縮症」では 3 番目に多く挙げられた。

「筋萎縮性側索硬化症」では、「病状の重篤性・致命的／進展の速さと生命予後不良／神経疾患で最も残酷な疾患の一つ／進行する筋萎縮による Quality of life (QOL) の低下」が挙げられた。

「患者本人に加え家族、社会負担が大きい」との理由は、「前頭側頭葉変性症」では 2 番目に、「アルツハイマー病」、「進行性核上性麻痺」では 3 番目に多く挙げられた。

「新規治療法の開発に向けた具体的な方策等」については、上記 10 疾患・症候のいずれにおいても多様な意見が挙げられたが、その中では「再生医療や iPS 細胞を活用した治療」や「遺伝子治療」に関する記述が目立っており、「筋萎縮性側索硬化症」、「多系統萎縮症」、「パーキンソン病」、「進行性核上性麻痺」、「脊髄小脳変性症」、「進行性筋ジストロフィー」、「アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞」でも回答があった。

11 位以下の疾患・症候については、「新規治療法の開発が急務と考える理由」や「新規治療法の開発に向けた具体的な方策等」の記載が少なかったため、定量的な考察は難しいものの、「有効な治療法がない」、「現在の治療では不十分」といった治療法に関する意見、「患者数が多い」、「社会的影響が大きい」、「社会的ニーズが高い」といった社会全般への意見が目立った。

図表 2-1-10 新規治療法の開発が急務と考える理由（上位 10 疾患・症候）

|    |                   |   |
|----|-------------------|---|
| 1  | アルツハイマー病          | <ul style="list-style-type: none"> <li>患者数が多い／今後の高齢化に伴い増加する、社会的ニーズが高い（70 件）</li> <li>既存の治療法では不十分／既存の進行抑制薬ではほとんど効果がなく、対症療法に過ぎず根本治療薬もない（34 件）</li> <li>患者本人だけでなく、家族の介護負担が大きい、社会の負担が大きい／医療経済上の問題となる（23 件）</li> </ul> |
| 2  | 筋萎縮性側索硬化症         | <ul style="list-style-type: none"> <li>病状の重篤性・致命的／進展の速さと生命予後不良／神経疾患で最も残酷な疾患の一つ／進行する筋萎縮による QOL の低下（31 件）</li> <li>有効な治療法がない（18 件）</li> <li>既存薬の薬効も不十分・薬効の実感が無い（13 件）</li> </ul>                                    |
| 3  | 多系統萎縮症            | <ul style="list-style-type: none"> <li>有効な治療法がない／対症療法もほとんどない（17 件）</li> <li>進行が早く致命的な疾患。予後が厳しい（11 件）</li> <li>患者数が比較的多い／患者数の増加（8 件）</li> </ul>  |
| 4  | パーキンソン病           | <ul style="list-style-type: none"> <li>患者数が多い／今後高齢化社会で症例が増加する（13 件）</li> <li>対症療法しかない／進行抑制療法は未確立（3 件）</li> <li>薬が効かなくなる（2 件）</li> </ul>   |
| 5  | プリオン病             | <ul style="list-style-type: none"> <li>有効な治療法がない（15 件）</li> <li>急速に進行する予後不良な疾患（3 件）</li> <li>診断されることが死亡宣告となる現状がある（1 件）</li> </ul>   |
| 6  | 前頭側頭葉変性症          | <ul style="list-style-type: none"> <li>十分な治療法が確立していない／治療薬がない（6 件）</li> <li>日常生活を過ごすうえで対応が難しく、介護負担が非常に大きい（2 件）</li> <li>患者数が増加、社会的ニーズが高い（1 件）</li> </ul>   |
| 7  | 進行性核上性麻痺          | <ul style="list-style-type: none"> <li>神経変性疾患の中では患者数が多い／高齢化に伴い患者数増加（8 件）</li> <li>特異的な治療薬、治療法が無い／抗パーキンソン病薬の効果は限定的（8 件）</li> <li>介護負担が大きい（2 件）</li> </ul>  |
| 8  | 脊髄小脳変性症           | <ul style="list-style-type: none"> <li>有効な治療薬が存在しない／現在の治療薬では効果がほとんど認められない（5 件）</li> <li>小脳症状に効果のある薬がない（2 件）</li> <li>進行を抑制する／治癒できる薬剤がない（2 件）</li> </ul>   |
| 9  | 進行性筋ジストロフィー       | <ul style="list-style-type: none"> <li>進行性で予後不良、現在有効な治療法がない（1 件）</li> <li>発症例が多い（1 件）</li> <li>先天性で幼少時より進行する疾患も多く、QOL 向上に資する治療が必要（1 件）</li> </ul>   |
| 10 | アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞 | <ul style="list-style-type: none"> <li>患者数が多い（3 件）</li> <li>後遺症が残りやすい（2 件）</li> <li>最近新規治療法の開発がうまくいっていない（1 件）</li> </ul>  |

## 2) 新規治療法の開発が急務と考える理由、及びその開発に向けた具体的な方策等

以下に回答があった 42 疾患・症候について個別に記載する。

### 1. アルツハイマー病(選択人数:108名、意見人数:88名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

現状では患者数が多く、更に高齢化が進む社会の中で、将来的にも患者数が増加することが容易に想定される。しかしながら、現状の治療法は対症療法的なものであり有効性は限定的である。更に、患者本人の問題だけではなく、家族の介護負担、医療費負担の増加などが社会的にも大きな問題点となるなどの意見が挙げられた。

- ・ 患者数が多い／今後の高齢化に伴い増加する、社会的ニーズが高い (70 件)
- ・ 既存の治療法では不十分／既存の進行抑制薬ではほとんど効果がなく、対症療法に過ぎず根本治療薬もない (34 件)
- ・ 患者本人だけでなく、家族の介護負担が大きい、社会の負担が大きい／医療経済上の問題となる (23 件)

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

疾患の進展抑制薬、予防薬、根本治療薬等の観点から、開発を期待する意見が挙げられた。現状で臨床試験を進めている疾患修飾薬に期待する声はあるが、早期診断法の確立とそれを基にした予防的治療の必要性を、アルツハイマー病の発症メカニズム（神経変性疾患）の観点から述べる意見も挙げられた。将来的な高齢化社会を鑑み、腰を据え、国家的な規模で病態発症メカニズムの基礎的な研究から行うべきとの意見も挙げられた。

- ・ より早期段階での疾患の進行を抑制する治療法が必要 (12 件)
- ・ 超早期（発症前又は発症する可能性）の患者におけるバイオマーカーなどによる疾患の予防的な治療法（ワクチン、抗体療法、核酸医薬等による予防医学の確立）が必要 (8 件)
- ・ 画像診断等の早期診断法の開発が必要 (6 件)
- ・ 疾患を根治する治療法が必要 (5 件)
- ・ 病態解明の基礎的な研究が必要 (4 件)
- ・ 高齢化による患者の増加で医療費及び介護負担の増加を抑制するための、介護を必要としない期間の延長
- ・ 根本治療薬の開発が困難な状況、患者数の増加による医療・介護負担増に鑑み、社会資源の整備を向上させる方策
- ・ 疾患を受け入れる社会環境（見守り、疾患理解）の構築
- ・ 研究費の獲得が優先課題であり、国民的な疾患としてアピールする必要がある。薬剤の開発に成功しても、その薬価の引き下げには当面反対
- ・ 予算を付与して研究を促進させる必要がある

## 2. 筋萎縮性側索硬化症(選択人数:102名、意見人数:71名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

難病であり、進行が速いうえに生命予後が不良である疾患の重篤性によるものが多く挙げられた。また、現在有効な治療法・治療薬がない、及び適応として承認されている薬剤の効果が不十分であるとの意見もほぼ同数挙げられた。神経難病として象徴的な疾患であり、社会的注目度も高いとの意見や、比較的患者数も多く若年発症例もあることも挙げられた。根治療法を求めると共に、ある程度のところで病状の進展を停止できるような、病態進展を抑制する疾患修飾療法の必要性を求める意見も挙げられた。更に、人工呼吸器の装着になった場合の長期的な介護の必要性などの家族負担の大きさも挙げられた。

- ・ 病状の重篤性・致命的／進展の速さと生命予後不良／神経疾患で最も残酷な疾患の一つ／進行する筋萎縮による QOL の低下 (31 件)
- ・ 有効な治療薬・治療法がない (18 件)
- ・ 既存薬の薬効も不十分・薬効の実感が無い (13 件)
- ・ ある程度の患者数があり、若年発症の患者もいる (6 件)
- ・ 明らかに有効な疾患修飾薬が開発されていない (3 件)
- ・ 介護負担が大きい／ケアと生命維持に多大な経済的・人的負担 (3 件)
- ・ 神経難病として象徴的疾患／未踏のピーク (3 件)
- ・ 社会的に治療薬への期待が高い／世間の注目度も高い (2 件)
- ・ 神経疾患を代表する難病であり、医薬品開発の成功は神経難病克服のシンボルになる／難病の治療モデルに成り得る (2 件)
- ・ 罹患後の経過に対しての恐怖心大きい
- ・ 日常の活動性が要求される 50～60 歳で発症し、急速に身体、呼吸機能を奪う
- ・ 意識・認知機能は一般に正常であるが、その状態で呼吸筋を含め筋力が低下する
- ・ 人工呼吸器装着になった場合は長期になり、影響範囲が大きい
- ・ 神経内科医として、いつも無力感を感じる疾患であり、この病気を解明していただき治療法が開発される日を待っている
- ・ 早期診断が困難
- ・ 症状進行が速く、医薬品開発の上で効力の差を検出しやすい

### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

iPS 細胞からの治療候補薬スクリーニング、疾患解明、レジストリ研究等の意見が挙げられた。

- ・ iPS 細胞やモデル動物を用いた病態のメカニズムに基づいた薬剤の開発 (3 件)
- ・ 早期診断のためのバイオマーカーや進行マーカー (2 件)
- ・ 単に臨床症状から有効性を評価するだけでは、治験薬の効果判定が困難。生物学的なバイオマーカーの確立と、レスポンドであるか否かを見極める上でのバイオマ

一カーをベースとした筋萎縮性側索硬化症治験の実施

- ・ 蓄積する TDP-43 (transactivation responsive region (TAR)-DNA-binding protein of 43 kDa) の可視化技術
- ・ 異常凝集した TDP-43 を選択的に認識し、オートファジーに誘導する技術及び細胞内局在を正常化する技術の開発
- ・ 遺伝性疾患にはリボ核酸 (RNA) 干渉及びゲノム編集技術が、孤発性疾患には抗体療法が有望
- ・ JaCALS<sup>1</sup>を更に充実させ、登録された患者さんに対する新規治験のエントリーを呼び掛けるなどのシステムの構築
- ・ 患者レジストリなどの創薬の基盤が整備されており、病態解明に基づく治療薬開発
- ・ 治療への seed がすでに現れており、これを早急に進めることが必要
- ・ 既存薬剤 (例えばロピニロール: 2018 年 10 月に論文発表) の転用
- ・ 病型細分化により進行速度の予想曲線の信頼度を向上させたいと、現在使用可能な薬剤によるカクテル療法の効果の検証
- ・ 現在進行中の医師主導治験を急ぐ必要がある
- ・ 遺伝子治療など画期的な治療。ワクチンや抗体療法及び核酸医薬など
- ・ 病態の解明が急務
- ・ ブレインマシーンインターフェースなどの医療機械工学分野をより一般的にする
- ・ 予算を付けて研究を促進させる

### 3. 多系統萎縮症(選択人数:39名、意見人数:32名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

有効な治療法・治療薬がないという意見が最も多く、進行が早くて致命的という意見や患者数が多いという意見も多く挙げられた。

- ・ 有効な治療法・治療薬がない／対症療法もほとんどない (17 件)
- ・ 進行が早く致命的な疾患。予後が厳しい (11 件)
- ・ 患者数が比較的多い／患者数の増加 (8 件)
- ・ 神経変性による症状が広範に及ぶ (2 件)
- ・ 60 歳前後で発症する難病であり、数年で死亡する経過は癌のそれに近い
- ・ ケアに最も難渋
- ・ 一般的に高齢者のめまいは血圧変動が多いが、パーキンソン病と同様に、自律神経症状及び血圧変動への対処法がない。神経疾患及び老年性疾患では排尿障害治療薬の効果は不十分

---

<sup>1</sup> Japanese Consortium for Amyotrophic Lateral Sclerosis Research の略で、患者様の臨床・遺伝情報の解析を通じて、筋萎縮性側索硬化症の病態解明と治療法の開発を目指す研究組織。

- ・ 病態の分子機構の解明が進んでいる
- ・ 疾患感受性遺伝子の同定、原因究明がなされていない
- ・ 筋萎縮性側索硬化症での「アイスバケットチャレンジ<sup>2</sup>」に反し、同様に進行が早く呼吸障害に至る多系統萎縮症の患者では、筋萎縮性側索硬化症のようにはならなかった。α-シヌクレインの病的構造及び細胞間伝搬が明らかとなっており、抗体療法の医師主導治験が必要

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

iPS 細胞からの治療候補薬スクリーニング、疾患解明、レジストリ研究等の意見が挙げられた。

- ・ iPS 細胞による、治療薬開発が必要（2 件）
- ・ バイオマーカーや病期の進展マーカーの開発
- ・ レジストリシステムが必要
- ・ レジストリ研究を進めると同時に、国家戦略としての病態研究と iPS 細胞からの治療候補薬スクリーニングなどが必要
- ・ コエンザイム Q10 の治験促進
- ・ α-シヌクレインを標的とした治療法の開発が必要
- ・ 根本的治療を見据えた薬剤開発が必要。本疾患のみでなくシヌクレオパチーそのものに対するアプローチが必要
- ・ α-シヌクレインの蓄積パターンと局在の違いが生じる理由、TDP-43 及び α-シヌクレインでの原因と思われる蛋白質の生成から分解の過程及びその調節機構を明らかにする必要がある
- ・ 疾患の病因の解明を進める
- ・ 予算を付けて研究を促進させる

#### 4. パーキンソン病(選択人数:28 名、意見人数:22 名)

##### 新規治療法の開発が急務と考える理由

患者数が多く、高齢化社会で今後患者数が更に増加するという意見が最も多く挙げられた。現時点では対症療法しかなく、進行期では既存薬でのコントロールが困難な患者が多いという意見、病態機序がある程度解明されているので変性疾患の中で最も現実的なターゲットではないかという意見も挙げられた。

- ・ 患者数が多い／今後の高齢化社会で症例が増加する（13 件）
- ・ 対症療法しかない／進行抑制療法は確立されていない（3 件）

---

<sup>2</sup> バケツに入った氷水を頭から被るか、アメリカ筋萎縮性側索硬化症協会に寄付をするという、筋萎縮性側索硬化症の研究を支援するための運動で、2014 年にアメリカ合衆国で始まった。

- ・ 薬剤が効かなくなる（2件）
- ・ 疾患の進行に伴い介護度が増す疾患である
- ・ 進行期では、既存の治療薬ではコントロール困難な症例が多い
- ・ 非運動症状、すくみ足、姿勢保持障害に対する有効な薬剤がない。疾患修飾薬が開発されていない
- ・ 実際にパーキンソン病患者の QOL を大きく低下させているのは認知症を始めとする非運動症状であり、これらへの対応が必要
- ・ 前駆期パーキンソン病の診断が確立されつつある。進行予防（先制医療）の治療戦略が見えつつある
- ・ 病態機序がある程度ははっきりしている
- ・ 変性疾患の中で最も現実的なターゲット
- ・ 生命予後と比較して長期に亘り高額な薬剤が投与され、医療経済が圧迫されている

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

iPS 細胞を利用した移植治療の確立を期待する意見が最も多く挙げられた。

- ・ iPS 細胞を利用した移植治療の確立（3件）
- ・ パーキンソン病では運動症状以外に非運動症状が注目され、後者は認知症やうつを始め症状は広範である。従来よりも患者の裾野が拡大する可能性があるため、疾患のバイオマーカーや画像診断を開発して早急の診断を行うこと、再生医療などで治療を更に改善することが重要
- ・ 予防的な、ワクチンや抗体療法、核酸医薬など
- ・ もっと長く服用できる最低限の薬剤開発
- ・ 社会活動ができる年齢において、活動量が低下しない治療法
- ・ iPS 細胞を用いた疾患モデルや患者検体からの病態関連細胞を用いて、疾患の病態解析を背景とした薬剤の標的検索及び各種開発薬剤の有効性の迅速的な検討
- ・  $\alpha$ -シヌクレインのリン酸化抑制を目的とした疾患修飾療法の開発を推進
- ・ 計画されている新規治療法が加わり、コントロールできる期間が20年に延びれば、非若年発症例において飛躍的な患者 QOL の向上、予後改善につながる

#### 5. プリオン病(選択人数:25名、意見人数:21名)

##### 新規治療法の開発が急務と考える理由

有効な治療法がないことや、予後不良であること、症状の進行が家族に与える苦痛の大きさが挙げられた。

- ・ 有効な治療法がない（15件）
- ・ 急速に進行する予後不良な疾患であるため（3件）
- ・ 診断されることが死亡宣告となる現状がある

- ・ 四肢機能喪失やミオクローヌス、精神荒廃の急激な進行は家族にとって耐え難い苦痛である

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

病態解明や剖検例の蓄積が重要であり、進行抑制薬を望む意見が挙げられた。また、ビンダケルや伝搬蛋白質に対する抗体療法、ドラッグリポジショニングによる新薬探索が望まれるなどの意見が挙げられた。

- ・ 病態の解明が重要（3件）
- ・ 病態の進行を遅くする薬剤が必要（2件）
- ・ プリオンを完全に崩壊させる薬剤が必要
- ・ 剖検例の蓄積が必要
- ・ プリオン蛋白質の増勢を止めるための分子生物学的手段の開発が必要
- ・ 検体取扱い上の制限や感染制御をする上での診療の質の制限に多くの障壁がある
- ・ アミロイドーシスに対するビンダケル、伝搬蛋白質に対する抗体療法などの推進
- ・ 早期診断、既存薬剤からの最適な薬剤の選択などが必要

### 6. 前頭側頭葉変性症(選択人数:20名、意見人数:13名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

現在有効な治療法がないとの意見が最も多く、介護負担が大きいという意見や、患者数が増加して社会的ニーズが高いという意見も複数件挙げられた。

- ・ 十分な治療法が確立していない／治療薬がない（6件）
- ・ 日常生活を過ごすうえで対応が難しく、介護負担が非常に大きい疾患である（2件）
- ・ 患者数が増加、社会的ニーズが高い
- ・ 前頭葉障害に特化した薬剤は将来的に必要
- ・ 症状が激烈
- ・ 社会的問題を生じる認知症疾患でありながら疾患修飾療法の開発が遅れている。抗精神病薬を用いても反社会的行動を抑制できないことが多い
- ・ アルツハイマー型認知症に対応できる施設は多いが、前頭側頭型認知症に対応できる施設は少なく、適応外使用であるが抗精神病薬を中心に組み立てる必要がある
- ・ 高齢化社会となったこと

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

タウのリン酸化シグナル抑制が将来的な治療法となる、確定診断方法及び治療法（ゲノム解析及びバイオマーカー）の確立が必要等の意見が挙げられた。

- ・ タウのリン酸化シグナル抑制が将来的な治療法となる
- ・ 診断方法は未確立であるが、蛋白質による疾患分類が進んでいる。確定診断方法と

- 治療法の確立が急務であり、ゲノム解析及びバイオマーカーの確立が必要
- ・ ブチルコリンエステラーゼ阻害薬の使用

## 7. 進行性核上性麻痺(選択人数:19名、意見人数:15名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

患者数が比較的多いにもかかわらず、現在有効な治療法がないとの意見が最も多く挙げられた。また、進行が速く、短期間で寝たきりとなるため療養型病院での入院例が多く介護負担が大きいという意見等も複数件挙げられた。現在初期の患者には抗パーキンソン病薬のL-DOPAが使用されるが効果は限定的で、パーキンソン病と比較して薬物療法の選択肢が多くないとの意見も挙げられた。

- ・ 神経変性疾患の中では患者数が多い／高齢化に伴い患者数が増加(8件)
- ・ 特異的な治療薬、治療法が無い／抗パーキンソン病薬の効果は限定的(8件)
- ・ 病気の進行が速く、寝たきりになりやすい(2件)
- ・ 介護負担が大きい(2件)
- ・ 病初期のパーキンソン症状にはレボドパが有効なことがあるが、その後症状が進行すると効果が乏しくなり、他の抗パーキンソン病治療薬の投与は許されない
- ・ リハビリテーションの一部が効果を示すが、すくみ足など歩行障害は残存する
- ・ 転倒の危険は非常に問題で本人の日常生活動作が著明に低下
- ・ タウオパチー全般について病因、発症機序、病態生理が未解明

### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

タウをターゲットとした抗体療法及び遺伝子治療の開発、進行を遅延させる治療法、バイオマーカーによる進行性核上性麻痺の鑑別診断が必要との意見が挙げられた。

- ・ タウをターゲットとした抗体療法、遺伝子治療の開発
- ・ 僅かでも進行を遅らせる治療法
- ・ パーキンソン病と診断されている患者のなかに進行性核上性麻痺の患者が多数おり、バイオマーカーによる進行性核上性麻痺の鑑別診断が必要

## 8. 脊髄小脳変性症(選択人数:18名、意見人数:12名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

現状では有効な薬剤、進行抑制薬がないとの意見が多く挙げられた。

- ・ 有効な治療薬が存在しない／現在の治療薬では効果がほとんど認められない(5件)
- ・ 小脳症状に効果のある薬剤がない(2件)
- ・ 進行を抑制する／治癒できる薬剤がない(2件)
- ・ 20年以上新たな治療薬が未発売
- ・ 特に小脳失調について症候を改善し得るセレジスト以外の薬剤の必要性

- ・ 進行を待つばかりである上、機能低下を受け止めるしかない状況
- ・ 診療上、無力感を感じる疾患の一つであり、できるだけ早期の治療法開発に期待

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

ゲノム解析により、原因遺伝子、タンパクが明らかになってきていることから、これらをターゲットにした遺伝子治療や iPS 細胞を用いた薬剤スクリーニングに期待する意見も挙げられた。

- ・ 単一遺伝子病の代表であり、遺伝子治療などの開発
- ・ ゲノム解析の進行により同定された多くの原因蛋白質をターゲットにした治療法
- ・ 遺伝子工学や iPS 細胞を用いた薬物スクリーニングによる薬物探索

### 9. 進行性筋ジストロフィー(選択人数:14名、意見人数:8名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

発症例が多く、また若年性で発症し、進行性で予後不良であり、現在は有効な治療法がないことが意見として挙げられた。

- ・ 進行性で予後不良、現在有効な治療法がない
- ・ 発症例が多い
- ・ 先天性で幼少時より進行する疾患も多く、QOL 向上に資する治療が必要
- ・ 若年発症で生命予後が厳しい患者が多い
- ・ 若年患者が多く、根本的な治療法が必要
- ・ 分子レベルで病態が解明されてきており、有効な治療法開発の実現可能性が高い

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

遺伝子レベルでの病態の解明が進んでおり、遺伝子治療・再生医療によるアプローチに期待する意見が挙げられた。

- ・ 遺伝子治療/ゲノム編集技術の治療への応用 (2件)
- ・ デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する遺伝子治療など
- ・ 遺伝子治療及び再生医療により、幼小児期よりの筋脱力・萎縮で歩行不能となる過程の抑制
- ・ 開発された治療法をサルコペニアに応用

### 10. アテローム性血栓症/ラクナ梗塞(非塞栓性脳梗塞)(選択人数:13名、意見人数:12名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

患者数が多く後遺症が残りやすいこと、血管障害が認知症につながる事が挙げられた。

- ・ 患者数が多い (3件)
- ・ 後遺症が残りやすい (2件)

- ・ 最近新規治療法の開発がうまくいっていない
- ・ 血管障害は認知症の最大のリスク
- ・ 神経再生医療の対象疾患として重要

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

再生医療や後遺症を改善する新薬、現行治療の対象とならない患者への新薬開発、地域医療の充実が挙げられた。

- ・ 早期から導入できる再生を含めた治療法の開発（2件）
- ・ 脳梗塞全般に後遺症を改善する新薬の開発（2件）
- ・ 脳梗塞発症後の進行抑制、改善促進の治療法
- ・ rt-PA（recombinant tissue plasminogen activator）静注療法や血管内治療の対象とならない患者に対する脳保護、凝固線溶系の薬剤開発
- ・ オーダーメイド強化療法による認知症患者数の抑制
- ・ 全ての stroke を病む患者が1時間以内に抗血栓療法（血管内血栓除去術を含む）にアクセスできる地域医療の確立
- ・ 再生医療による麻痺の回復

#### 11. レビー小体型認知症（選択人数:11名、意見人数:8名）

##### 新規治療法の開発が急務と考える理由

高齢化に伴い患者数が増加して認知症の中でも比較的患者数が多いこと、介護負担が高く十分な治療法が確立していないことが挙げられた。

- ・ 認知症で比較的患者数が多い／高齢化に伴う患者数の増加（5件）
- ・ 高い介護負担などの社会問題（2件）
- ・ 十分な治療法が未確立（2件）
- ・ パーキンソン病と同じく進行予防（先制医療）の治療戦略の兆し
- ・ 疾患修飾療法の開発の遅滞
- ・ 本研究での成果が他疾患に波及しやすい

##### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 大脳の変性により、ドパミン系作動薬では十分な効果が得られず、非ドパミン系作動薬による治療
- ・ 研究費の獲得が必要であり、社会的に問題のある疾患として国民にアピールする必要がある

## 12. 多発性硬化症(選択人数:7名、意見人数:2名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

既存の免疫療法及び新たな抗体療法が承認されているが、再発の抑制、進行型への有効性は不十分との意見が挙げられた。また、若年性の発症であり、社会的なインパクトが大きいことが挙げられた。

- ・ 免疫療法が再発予防に有効ではあるが、完全に再発を抑制できるわけではなく根本的な治療が必要
- ・ 進行期への加療手段がない
- ・ 若年発症が特徴であり、社会的にも大変に重要な疾患

### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 病態の解明、根本的な治療法

## 13. 封入体筋炎(選択人数:7名、意見人数5名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

高齢化により患者数が増加する傾向にあるが、有効な治療法がなく、確実に障害が進行することが挙げられた。

- ・ 患者数は少なくないが、有効な治療法がない
- ・ 高齢化による患者数の増加
- ・ 確実に、緩徐に、長期間のうちに進行
- ・ 分かり難い疾患名で治療法もなく、適切な処置がされないことがある

### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 現在進行中の候補薬剤の検証を可及的速やかに推進する
- ・ 抗炎症治療に加えて、脳変性疾患に試みる治療をスクリーニング的に試行（脳疾患よりも評価が容易）

## 14. 心原性脳塞栓症(選択人数:6名、意見人数:6名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

患者数が多いことや、重症化しやすいため、社会的影響の大きさからも新規治療法開発を望む意見が挙げられた。

- ・ 重篤な後遺症を残す疾患であり、患者数が多い（2件）
- ・ 突然に発症し、重症化しやすいので、社会的な影響が大きい
- ・ より簡易な治療法が必要

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

発症からある程度時間が経過しても行える新規治療法の開発やテネクテプラゼを国内導入する等の意見が挙げられた。

- ・ 血流再開通療法が間に合わないケースは多いため、ある程度時間が経過しても行える神経保護療法や再生医療の開発
- ・ アルテプラゼを凌駕する成績を有する新規血栓溶解薬であるテネクテプラゼの国内導入
- ・ rt-PA 静注療法や血管内治療の対象とならない患者に対する脳保護、凝固線溶系の薬剤開発

#### 15. 視神経脊髄炎(選択人数:6名、意見人数:4名)

##### 新規治療法の開発が急務と考える理由

薬剤が限定されており、経口の免疫抑制剤による再発抑制の保険適用はステロイド剤のみとの意見が挙げられた。

- ・ ステロイド剤治療に頼りがちであるが、副作用が問題である
- ・ 自己抗体を原因とした疾患にある程度有効とされる免疫グロブリン療法が保険適応でない
- ・ 経口の免疫抑制剤による再発予防が重要だが、保険適用はステロイド剤のみ

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

ステロイド剤よりも有効で安全な治療法である抗体医薬、経口免疫抑制剤の適用拡大による再発抑制の意見が挙げられた。

- ・ ステロイド剤よりも有効で安全な治療法である抗体医薬による治験の充実が必要
- ・ 自己抗体を原因とした疾患にある程度有効とされる免疫グロブリン療法の早期の保険適応
- ・ リツキシマブの適応追加などの再発予防治療の開発
- ・ 抗アクアポリン抗体、抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖蛋白質抗体の cell-based assay 法でのアッセイの保険適応
- ・ タクロリムス、シクロスポリン、アザチオプリンなどの経口免疫抑制剤の適応追加

#### 16. 筋強直性ジストロフィー(選択人数:6名、意見人数:6名)

##### 新規治療法の開発が急務と考える理由

患者数が多く社会的な損失も大きい疾患であり、成人で最も頻度の高い筋ジストロフィー一症であるが、有効な治療法が無いことが挙げられた。

- ・ 患者数が多い (5件)
- ・ 治療薬が無い (2件)

- ・ 成人の筋疾患のなかで頻度の高い疾患
- ・ 臨床像が多彩
- ・ 全身病であり、個人差も大きい

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ RNA 病であるので、RNA を用いた創薬
- ・ 海外ではなく、日本での開発促進

### 17. 眩暈(選択人数:6名、意見人数:4名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

患者数の多さや社会的ニーズの大きさが挙げられた。

- ・ 患者数が多い (2件)
- ・ 頻度が高い症状 (2件)
- ・ 社会的ニーズが大きい
- ・ 症状が改善するだけで患者さんの QOL が大きく改善する

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 眩暈、耳鳴りに効果のある薬剤
- ・ 有効で即効性のある薬剤

### 18. ハンチントン病(選択人数:5名、意見人数:3名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 治療法がない／根本的治療法がなく、進行性であること (2件)

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 他のポリグルタミン病への応用促進のためのアンチセンスオリゴヌクレオチドなどの治療法の確立

### 19. ミトコンドリア異常症(選択人数:5名、意見人数:5名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

有効な治療法がないことや他疾患への応用を期待する意見が多く挙げられた。

- ・ 有効な治療法がない (3件)
- ・ 病態にミトコンドリアが関係する疾患は多く、様々な疾患の治療の突破口になりうる (3件)
- ・ 進行性で予後不良

## 20. HTLV-1 関連脊髄症(選択人数:4名、意見人数:3名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

治療標的が判明し、創薬基盤が整備されていることから創薬が成功する可能性が高いという意見、また、治療薬がない、アンメットニーズが高いという意見が挙げられた。

- ・ 治療標的が判明しており、創薬が成功する可能性がある (2件)
- ・ 患者レジストリなどの創薬の基盤が整備されている
- ・ 治療薬がない
- ・ アンメットニーズが高い

## 21. シャルコー・マリー・トゥース病(選択人数:4名、意見人数:3名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 若い患者が多いが、有効な薬剤がない

### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 原因遺伝子が判明している病態への遺伝子治療
- ・ 急ピッチに進んでいる病態の責任遺伝子の解明と、これに基づいた治療法

## 22. 片頭痛(選択人数:4名、意見人数:3名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 片頭痛の患者の大半が勤労・就業年齢であり、発作による経済損失が大きい (2件)
- ・ QOL が著しく阻害される神経疾患であり、アンメットニーズが大きい

### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

病態に基づいた新規治療薬の開発、抗カルシトニン遺伝子関連ペプチド抗体や開発中の治療薬の承認、再生医療への期待といった意見が挙げられた。

- ・ 片頭痛の病態に基づいた新規治療薬が必要
- ・ 開発中の治療薬の早期承認
- ・ 海外で用いられている neuromodulation 治療器具の承認
- ・ カルシトニン遺伝子関連ペプチド抗体の承認
- ・ 脳の炎症抑制の観点から間葉系幹細胞の投与

## 23. 脳出血(選択人数:3名、意見人数:3名)

### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 降圧療法以外に治療手段がない
- ・ 罹患率が多いが、治療は30年前と変わらない

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

発症後の治療薬開発や再生医療へ期待する意見が挙げられた。

- ・ 発症後での新規治療法の開発
- ・ 再生医療を含めた治療法の推進
- ・ 脳梗塞と同様、脳出血後遺症についても幹細胞投与の治験

#### 24. ウイルス性脳炎・髄膜炎(選択人数:3名、意見人数:3名)

##### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 脳炎の病態解明はまだ不十分で治療選択肢が少ない
- ・ 適切な薬剤の開発により感染症を完全にコントロールすることができる

##### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 保険適応外の検査となっている原因解明のための諸検査の保険適用化
- ・ 自己免疫性脳炎、単純ヘルペスウイルス以外のウイルス性脳炎への画期的な治療薬

#### 25. 糖尿病性ニューロパチー(選択人数:3名、意見人数:3名)

##### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

患者数が多いにもかかわらず、病態が明確化されておらず、有効な治療薬も不十分との意見が挙げられた。

- ・ 患者数が多い
- ・ 患者数が多いが、有効な治療薬が少ない
- ・ 病態自体がいまだに明確でない

#### 26. 慢性疼痛(選択人数:3名、意見人数:3名)

##### 新規治療法の開発が急務と考える理由

罹患率の多さや社会的損失の大きさが挙げられた。

- ・ 罹患率が多い
- ・ 社会的損失が大きい
- ・ 良い治療法が必要

##### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 病態生理を理解した治療法の開発 (2件)
- ・ 慢性化を抑制するアプローチ、認知行動療法の考え方の一般化

27. **ギラン・バレー症候群／フィッシャー症候群(選択人数:2名、意見人数:2名)**

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 後遺症を残す症例が 20%程度おり、生産年齢層の患者に後遺症が残った際は大きな経済的損失につながる

新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 早期診断・治療で悪化を防ぐような治療法の開発

28. **多発筋炎／皮膚筋炎(選択人数:2名、意見人数:1名)**

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 患者により、治療効果にばらつきがある

新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 開発された治療法をサルコペニアに応用

29. **遠位型ミオパチー(選択人数:2名、意見人数:2名)**

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 若年性で車椅子の生活への進行が早く、有効な治療法がない

新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ ゲノム解析、再生医療、遺伝子治療
- ・ 縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー以外の遠位型ミオパチーへの治療法の開発

30. **てんかん(選択人数:2名、意見人数:1名)**

新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 十分に国際競争に臨むためにも、全ての大学病院脳神経内科、脳神経外科にてんかん専門医が各1人必須である状況の確立
- ・ 抗てんかん薬は十分に開発されているが、その診断・治療に当たるてんかん専門医の教育が日本神経学会、日本神経治療学会で十分に行われていない

31. **ライソゾーム病／ペルオキシソーム病(選択人数:2名、意見人数:2名)**

新規治療法の開発が急務と考える理由

アンメットニーズの高さや新薬候補への期待が挙げられた。

- ・ アンメットニーズが高い
- ・ 有効性が期待される新薬候補がある
- ・ 変性疾患との係わりが明らかになっており、何らかのブレイクスルーが期待できる

### 32. 血管性認知症(選択人数:2名、意見人数:2名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 高齢化が進むため、他疾患と患者数の桁が違う
- ・ 認知症の中で血管性認知症についての研究があまり進んでいない

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 研究費の獲得が必要であり、社会的に問題のある疾患として国民にアピールする必要がある

### 33. 睡眠障害(選択人数:2名、意見人数:2名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 種々の薬剤があるが、満足のない治療法がない
- ・ かなりの数の薬剤開発がなされつつあるが、導入剤及び再導入などの目的で翌日まで作用しない薬剤、安全性の高い薬剤が更に必要

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 複雑な現代社会の実情に則した満足度の高い薬剤が必要

### 34. ジストニア(選択人数:2名、意見人数:2名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 多少なりとも有効な薬剤はあるが、全ての患者に有効なわけではない。むしろ悪化させることもある
- ・ ボツリヌス毒素、トリヘキシフェニジル塩酸塩の内服以外に治療法がない状態が何十年も続いている

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 病態機序の解明とその機序に基づいた薬剤の発見、開発が重要

### 35. 痙性麻痺(選択人数:2名、意見人数:1名)

#### 新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 非侵襲的な治療法
- ・ サイボーグ型ロボットスーツを用いたリハビリテーションの保険適応

### 36. 慢性炎症性脱髄性多発神経炎(選択人数:1名、意見人数:1名)

#### 新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 治療への反応が乏しく慢性的に進行する病態があり、治療が有効であっても再発を繰り返す

新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ ステロイド療法などに加えて新規免疫調節薬の開発

37. POEMS 症候群(選択人数:1名、意見人数:1名)

新規治療法の開発に向けた具体的な方策等

- ・ 病態の発症メカニズムとの関連性を鑑み、サリドマイドの保険適応

38. 脊椎症と類縁疾患(ヘルニア/狭窄症など)(選択人数:1名、意見人数:1名)

新規治療法の開発が急務と考える理由

患者数の多さや生活への影響が挙げられた。

- ・ 患者数が極めて多い
- ・ 生活の障害を生じることが多い
- ・ 現在の手術療法も効果が限定的

39. 傍腫瘍性神経症候群(選択人数:1名、意見人数:0名)

意見の記載はなかった。

40. 正常圧水頭症(選択人数:1名、意見人数:1名)

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 外科治療が適応外となる症例では治療法がほとんどない

41. 本態性振戦(選択人数:1名、意見人数:0名)

意見の記載はなかった。

42. 神経因性膀胱(選択人数:1名、意見人数:1名)

新規治療法の開発が急務と考える理由

QOL 及び生命予後への影響や、治療手段の少なさが挙げられた。

- ・ 神経因性膀胱以外に各種の自律神経障害をきたす神経疾患は多く、日常生活動作や QOL、更に生命予後に多大な影響をきたす
- ・ 対症療法は限定的であり、著効例が少なく、無効例や副作用などで使用できない例も少なくない

### (3) 2013年度の調査結果との比較

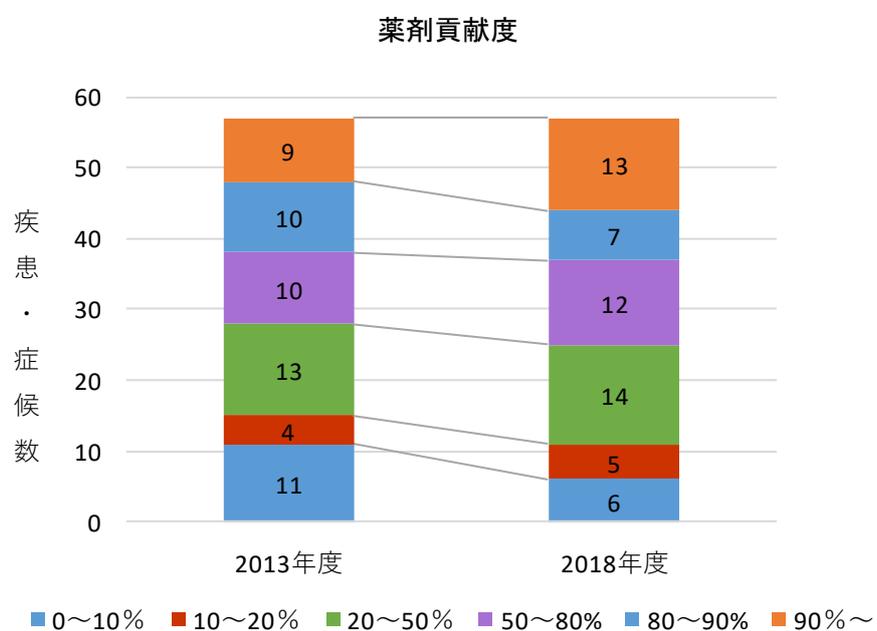
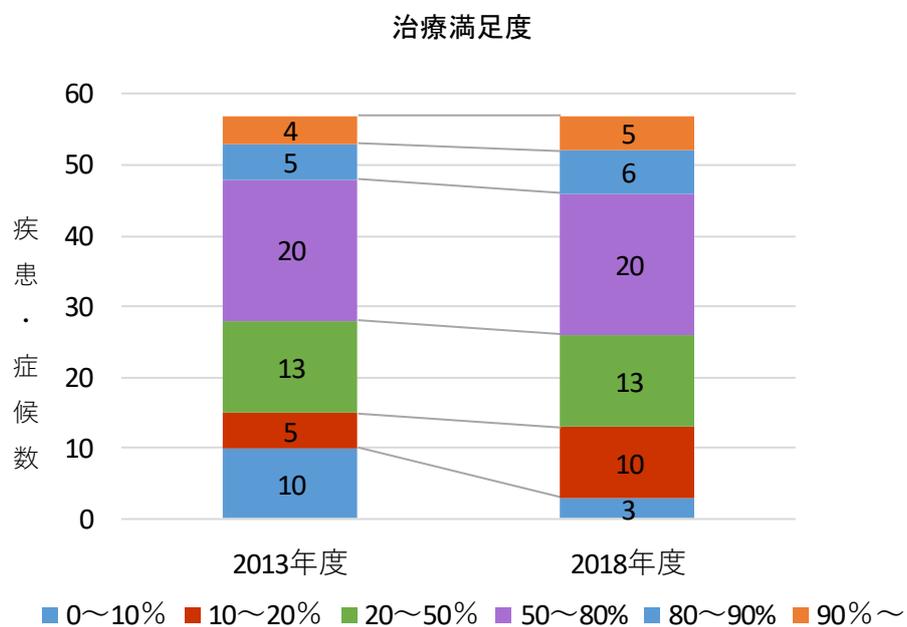
#### 1) 治療満足度、薬剤貢献度の度合い毎の疾患・症候の数的変化

2013年度の調査と2018年度の調査で共通して調査した57疾患・症候について、2013年度と2018年度の調査結果の比較（「治療満足度」、「薬剤貢献度」）を図表2-1-11に示す。

2013年度の調査結果と比較して2018年度調査の結果では、「治療満足度」が100～80%と比較的高い疾患・症候の数が増加した。10～0%と低い疾患・症候の数が大きく減少し、20～10%と比較的低い疾患・症候の数が増加していた。80～20%の疾患・症候数は同数であった。

「薬剤貢献度」では、100～90%と比較的高い疾患・症候の数が増加し、90～80%の疾患・症候の数は減少した。10～0%と低い疾患・症候の数が大きく減少していた。80～10%の疾患・症候数に大きな変化はなかった。

図表 2-1-1 1 2013 年度の調査結果と 2018 年度の調査結果の比較



## 2) 「治療が行えているとはいえない」又は「効く薬がない」が100～50%の疾患・症候の変化

2013年度の調査と2018年度の調査で共通して調査した57疾患・症候について、①「治療が行えているとはいえない」又は②「効く薬がない」が100～50%の疾患・症候の比較を図表2-1-12に示す。

2013年度の調査で「治療が行えているとはいえない」が100～50%の疾患・症候は、7疾患・症候であったが、2018年度の調査では、「プリオン病」の1疾患・症候に減少し、「進行性筋ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」、「筋強直性ジストロフィー」、「球脊髄性筋萎縮症」、「筋萎縮性側索硬化症」、「ハンチントン病」の6疾患・症候が該当しなくなった。

2013年度の調査で「効く薬がない」が100～50%の疾患・症候は9疾患・症候であったが、2018年度の調査では、「プリオン病」、「進行性筋ジストロフィー」、「筋強直性ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」の4疾患・症候に減少し、「球脊髄性筋萎縮症」、「筋萎縮性側索硬化症」、「封入体筋炎」、「前頭側頭葉変性症」、「多系統萎縮症」の5疾患・症候が該当しなくなった。

「球脊髄性筋萎縮症」では、「治療が行えているとはいえない」が40.3ポイント、「効く薬がない」が48.2ポイント減少し、最も大きな変化を示した。2017年にリユプロレリン酢酸塩が「球脊髄性筋萎縮症の進行抑制」の効能・効果を追加とする新効能医薬品として承認されており（資料-1参照）、また、2016年にサイボーグ型ロボットスーツを使用したリハビリテーションが保険償還されている。

「筋萎縮性側索硬化症」では、「治療が行えているとはいえない」が17.3ポイント、「効く薬がない」が26.3ポイント減少した。2015年にエダラボンが「筋萎縮性側索硬化症（ALS）における機能障害の進行抑制」の効能・効果を追加とする新効能・新用量医薬品として承認されている（資料-1参照）。

「治療が行えているとはいえない」又は「効く薬がない」で10ポイント以上の変化があった疾患・症候のうち、「封入体筋炎」（②に該当）、「球脊髄性筋萎縮症」（①②に該当）、「進行性筋ジストロフィー」（①に該当）、「遠位型ミオパチー」（①に該当）、「筋萎縮性側索硬化症」（①②に該当）、「多系統萎縮症」（②に該当）では、有効性に関する国内治験が実施中である（資料-2参照）。

また、2009年度から2018年度の間に、「筋強直性ジストロフィー」（①に該当）、「ハンチントン病」（①に該当）、「封入体筋炎」（②に該当）、「前頭側頭葉変性症」（②に該当）、「球脊髄性筋萎縮症」（①②に該当）、「進行性筋ジストロフィー」（①に該当）、「遠位型ミオパチー」（①に該当）、「筋萎縮性側索硬化症」（①②に該当）、「多系統萎縮症」（②に該当）では、関連するガイドライン等が公表されている（資料-3参照）。

図表 2-1-12 2013年度の調査結果で「治療が行えているとはいえない」が100～50%、「効く薬がない」が100～50%の疾患・症候での2018年度の調査結果との比較

| ①2013年度に<br>「治療が行えているとはいえない」が100～50% |       |       |       | ②2013年度に<br>「効く薬がない」が100～50% |       |       |       |
|--------------------------------------|-------|-------|-------|------------------------------|-------|-------|-------|
| 疾患・症候名                               | 2013年 | 2018年 | 差     | 疾患・症候名                       | 2013年 | 2018年 | 差     |
| プリオン病                                | 70.9  | 73.2  | 2.3   | プリオン病                        | 84.8  | 81.6  | -3.2  |
| 進行性筋ジストロフィー                          | 62.0  | 44.1  | -17.9 | 進行性筋ジストロフィー                  | 72.8  | 55.8  | -17.0 |
| 遠位型ミオパチー                             | 59.6  | 42.3  | -17.3 | 筋強直性ジストロフィー                  | 72.2  | 50.8  | -21.4 |
| 筋強直性ジストロフィー                          | 57.0  | 39.8  | -17.2 | 遠位型ミオパチー                     | 71.5  | 50.8  | -20.7 |
| 球脊髄性筋萎縮症                             | 55.8  | 15.5  | -40.3 | 球脊髄性筋萎縮症                     | 65.2  | 17.0  | -48.2 |
| 筋萎縮性側索硬化症                            | 55.3  | 38.0  | -17.3 | 筋萎縮性側索硬化症                    | 62.3  | 36.0  | -26.3 |
| ハンチントン病                              | 52.5  | 46.1  | -6.4  | 封入体筋炎                        | 53.2  | 31.0  | -22.2 |
|                                      |       |       |       | 前頭側頭葉変性症                     | 52.5  | 49.0  | -3.5  |
|                                      |       |       |       | 多系統萎縮症                       | 52.2  | 39.2  | -13.0 |

—：未調査

■：2018年度の調査結果では「治療が行えているとはいえない」が100～50%の疾患・症候、「効く薬がない」が100～50%の疾患・症候に該当しなくなった疾患・症候。

### 3) 治療満足度、薬剤貢献度の増減

治療満足度及び薬剤貢献度の増減における 2013 年度の調査結果と 2018 年度の調査結果の比較を図表 2-1-13 に示す。

2013 年度の調査結果と 2018 年度の調査結果を比較した場合に、治療満足度及び薬剤貢献度ともそれぞれ 10 ポイント以上増加した疾患・症候については、2010 年から 2018 年の間に以下の新規承認又は効能追加・剤型追加があった（資料－1 参照）。

「レビー小体型認知症」：ドネペジル塩酸塩、ゾニサミド（レビー小体型認知症に伴うパーキンソニズム）（2 薬剤）

「球脊髄性筋萎縮症」：リュープロレリン塩酸塩、サイボーグ型ロボットスーツ HAL を使用したリハビリテーションの保険償還

「慢性疼痛」：プレガバリン、アセトアミノフェン、フェンタニルクエン酸、トラマドール塩酸塩、トラマドール塩酸塩／アセトアミノフェン、デュロキセチン塩酸塩、アミトリプチリン塩酸塩（7 薬剤）

治療満足度が 10 ポイント上昇した疾患・症候について 2010 年から 2018 年の間に以下の新規承認があった（資料－1 参照）。

「多発性硬化症」：フィンゴリモド塩酸塩、メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム、ナタリズマブ、グラチラマー酢酸塩、フマル酸ジメチル（5 薬剤）

「視神経脊髄炎」：なし

薬剤貢献度が 10 ポイント上昇した疾患・症候について 2010 年から 2018 年の間に以下の新規承認があり（資料－1 参照）、また、臨床試験が実施中である。

「アミロイドーシス」：タファミジスメグルミン

「HTLV-1 関連脊髄症」：モガムリズマブの臨床試験で良好な結果が発表されている

また、上記の 7 疾患・症候では、2009 年から 2018 年の間に関連するガイドライン等が公表されている（資料－3 参照）。

図表 2-1-13 2013年度の調査結果と2018年度の調査結果の比較（治療満足度、薬剤貢献度の増減）

|                         | 治療満足度  |        |             | 薬剤貢献度  |        |             | 判定   |
|-------------------------|--------|--------|-------------|--------|--------|-------------|------|
|                         | 2013年度 | 2018年度 | 前回調査と今回調査の差 | 2013年度 | 2018年度 | 前回調査と今回調査の差 |      |
| レビー小体型認知症               | 24.2   | 39.8   | 15.6        | 33.7   | 45.6   | 11.8        | A    |
| 球脊髄性筋萎縮症                | 7.4    | 25.7   | 18.4        | 5.6    | 30.0   | 24.4        | A    |
| 慢性疼痛                    | 29.5   | 40.7   | 11.2        | 67.3   | 78.9   | 11.6        | A    |
| 脊髄小脳変性症                 | 10.3   | 20.5   | 10.2        | 8.5    | 14.1   | 5.6         | B    |
| 多発性硬化症                  | 68.5   | 83.2   | 14.7        | 91.4   | 96.5   | 5.1         | B    |
| 視神経脊髄炎                  | 60.4   | 78.3   | 17.9        | 85.1   | 92.6   | 7.5         | B    |
| アテローム血栓性/ラクナ梗塞(非血栓性脳梗塞) | 78.4   | 80.4   | 1.9         | 91.5   | 91.6   | 0.2         | C    |
| 心原性脳塞栓症                 | 74.1   | 77.0   | 2.9         | 90.9   | 93.6   | 2.7         | C    |
| ウイルス性脳炎・髄膜炎             | 78.7   | 78.8   | 0.1         | 75.5   | 85.1   | 9.6         | C    |
| 真菌性脳炎・脊髄炎               | 55.8   | 58.3   | 2.5         | 81.0   | 86.5   | 5.5         | C    |
| HTLV-1 関連脊髄症            | 22.4   | 24.9   | 2.5         | 30.9   | 42.7   | 11.8        | C    |
| アルツハイマー病                | 23.5   | 33.3   | 9.8         | 43.3   | 45.8   | 2.5         | C    |
| 前頭側頭葉変性症                | 7.3    | 17.1   | 9.8         | 6.1    | 8.9    | 2.8         | C    |
| パーキンソン病                 | 83.7   | 92.5   | 8.8         | 95.7   | 98.0   | 2.3         | C    |
| 多系統萎縮症                  | 10.8   | 19.2   | 8.3         | 7.9    | 12.7   | 4.8         | C    |
| 筋萎縮性側索硬化症               | 12.0   | 14.9   | 2.9         | 9.4    | 11.3   | 1.9         | C    |
| 慢性炎症性脱髄性多発神経炎           | 72.0   | 78.8   | 6.9         | 89.0   | 92.5   | 3.6         | C    |
| POEMS症候群                | 28.2   | 35.5   | 7.2         | 42.2   | 51.5   | 9.3         | C    |
| アミロイドーシス                | 14.9   | 17.2   | 2.3         | 11.1   | 29.8   | 18.7        | C    |
| 手根管症候群                  | 84.2   | 86.4   | 2.2         | 42.9   | 51.0   | 8.1         | C    |
| 進行性筋ジストロフィー             | 6.1    | 6.9    | 0.8         | 3.1    | 4.0    | 1.0         | C    |
| 筋強直性ジストロフィー             | 5.5    | 10.7   | 5.2         | 4.9    | 7.0    | 2.1         | C    |
| 多発筋炎/皮膚筋炎               | 72.4   | 77.1   | 4.7         | 85.3   | 87.4   | 2.1         | C    |
| 封入体筋炎                   | 7.9    | 13.4   | 5.6         | 9.8    | 12.7   | 2.9         | C    |
| 遠位型ミオパチー                | 6.1    | 8.0    | 1.8         | 3.7    | 6.6    | 2.9         | C    |
| ミトコンドリア異常症              | 9.7    | 10.8   | 1.1         | 8.6    | 11.7   | 3.1         | C    |
| 帯状疱疹後神経痛                | 70.9   | 72.8   | 1.9         | 84.7   | 88.9   | 4.3         | C    |
| Meige症候群/片側顔面痙攣         | 62.2   | 65.9   | 3.7         | 63.4   | 70.9   | 7.5         | C    |
| 傍腫瘍性神経症候群               | 16.5   | 22.8   | 6.3         | 17.9   | 20.8   | 2.9         | C    |
| レストレスレッグス症候群            | 82.3   | 83.4   | 1.1         | 86.4   | 90.5   | 4.0         | C    |
| 正常圧水頭症                  | 73.0   | 74.9   | 1.9         | 21.7   | 27.3   | 5.5         | C    |
| 本態性振戦                   | 74.5   | 79.2   | 4.7         | 80.9   | 81.5   | 0.6         | C    |
| 血管性認知症                  | 24.7   | 26.2   | 1.5         | 24.8   | 24.9   | 0.0         | C    |
| ジストニア                   | 22.0   | 26.7   | 4.7         | 39.1   | 43.5   | 4.4         | C    |
| 痙性麻痺                    | 23.0   | 23.4   | 0.4         | 41.7   | 42.5   | 0.8         | C    |
| 起立性低血圧症                 | 45.5   | 54.9   | 9.4         | 67.5   | 71.9   | 4.4         | C    |
| 神経因性膀胱                  | 38.7   | 41.1   | 2.4         | 65.6   | 71.5   | 5.9         | C    |
| プリオン病                   | 6.7    | 10.0   | 3.4         | 5.5    | 3.0    | -2.5        | D    |
| ハンチントン病                 | 6.7    | 11.7   | 5.0         | 10.4   | 10.0   | -0.5        | D    |
| 急性散在性脳脊髄炎               | 64.0   | 71.8   | 7.8         | 79.6   | 76.1   | -3.5        | D    |
| 神経ベーチェット                | 46.3   | 51.7   | 5.4         | 73.0   | 63.3   | -9.7        | D    |
| 神経サルコイドーシス              | 56.7   | 60.9   | 4.2         | 69.3   | 67.7   | -1.6        | D    |
| てんかん                    | 92.1   | 95.2   | 3.1         | 99.4   | 98.5   | -0.9        | D    |
| チャーグ・ストラウス症候群           | 62.8   | 66.8   | 4.0         | 87.0   | 81.6   | -5.4        | D    |
| 睡眠障害                    | 71.5   | 71.5   | -0.0        | 90.0   | 91.0   | 1.0         | D    |
| 眩暈                      | 63.4   | 63.9   | 0.5         | 69.6   | 67.5   | -2.1        | D    |
| くも膜下出血                  | 72.9   | 62.5   | -10.4       | 46.0   | 52.0   | 6.1         | E    |
| 細菌性脳炎・脊髄炎               | 84.8   | 81.6   | -3.2        | 93.3   | 96.0   | 2.8         | E    |
| 特発性顔面神経麻痺(Bell麻痺)       | 89.1   | 88.9   | -0.2        | 81.0   | 88.6   | 7.6         | E    |
| ギラン・バレー症候群/フィッシャー症候群    | 93.9   | 91.8   | -2.1        | 96.3   | 98.0   | 1.7         | E    |
| 糖尿病性ニューロパチー             | 39.0   | 38.0   | -1.0        | 41.7   | 42.9   | 1.1         | E    |
| 片頭痛                     | 97.6   | 97.1   | -0.5        | 98.2   | 98.5   | 0.3         | E    |
| ライゾーム病/ベルオキシソーム病        | 14.7   | 13.9   | -0.8        | 25.3   | 26.0   | 0.7         | E    |
| 脳出血                     | 68.9   | 63.3   | -5.5        | 59.1   | 56.5   | -2.6        | F    |
| 重症筋無力症                  | 94.5   | 93.7   | -0.8        | 97.5   | 95.0   | -2.5        | F    |
| 血管性脊髄症                  | 28.2   | 14.4   | -13.8       | 17.9   | 11.2   | -6.7        | F    |
| 脊椎症と類縁疾患(ヘルニア/狭窄症など)    | 78.7   | 66.0   | -12.6       | 35.2   | 33.2   | -2.0        | F    |
| 進行性核上性麻痺                | 17.4   | -      | -           | 8.4    | -      | -           | 新規対象 |
| 脊髄性筋萎縮症                 | 21.6   | -      | -           | 28.0   | -      | -           | 新規対象 |
| シャルコー・マリー・トゥース病         | 8.8    | -      | -           | 4.0    | -      | -           | 新規対象 |

A: 満足・貢献とも10%以上向上 B: 満足・貢献とも5%以上向上 C: 満足・貢献いずれも向上 (A・B以外)  
D: 満足が向上し貢献が低下 E: 満足が低下し貢献が向上 F: 満足・貢献いずれも低下

#### 4) 新規治療法の開発が急務な疾患・症候

新規治療法の開発が急務と考える上位 10 疾患・症候における 2013 年度の調査結果と 2018 年度の調査結果の比較を図表 2-1-14 に示す。新規治療法の開発が急務な疾患・症候の上位 10 疾患・症候は 2013 年度、2018 年度ともにほぼ同様であった。

図表 2-1-14 2018 年度調査の上位 10 疾患・症候と、2013 年度調査での順位の比較

| 疾患名・2018 年度の順位        | 2013 年度の順位 |
|-----------------------|------------|
| 1. アルツハイマー病           | 2          |
| 2. 筋萎縮性側索硬化症          | 1          |
| 3. 多系統萎縮症             | 3          |
| 4. パーキンソン病            | 8          |
| 5. プリオン病              | 6          |
| 6. 前頭側頭葉変性症           | 7          |
| 7. 進行性核上性麻痺           | 未調査        |
| 8. 脊髄小脳変性症            | 4          |
| 9. 進行性筋ジストロフィー        | 5          |
| 10. アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞 | 10         |

新規治療法の開発が急務と考える上位 10 疾患・症候での開発が急務な理由（最も多い）における 2013 年度の調査結果と 2018 年度の調査結果の比較を図表 2-1-15 に示す。最も多いのは、2013 年度、2018 年度ともに「有効な治療法がない」又は「患者数が多い／今後増加する」であった。筋萎縮性側索硬化症においては、2018 年度の調査では治療法・治療薬に関する意見よりも、病状（致命的疾患である等）に関する意見が相対的に多くなった。

図表 2-1-15 2013年度の調査結果と2018年度の調査結果の比較（新規治療法の開発が急務と考える上位10疾患・症候での開発が急務な理由（最も多い））

| 疾患名               | 2013年度        | 2018年度        |
|-------------------|---------------|---------------|
| アルツハイマー病          | 患者数が多い／今後増加する | 患者数が多い／今後増加する |
| 筋萎縮性側索硬化症         | 有効な治療法がない*    | 致命的疾患である**    |
| 多系統萎縮症            | 有効な治療法がない     | 有効な治療法がない     |
| パーキンソン病           | 患者数が多い／今後増加する | 患者数が多い／今後増加する |
| プリオン病             | 有効な治療法がない     | 有効な治療法がない     |
| 前頭側頭葉変性症          | 有効な治療法がない     | 有効な治療法がない     |
| 進行性核上性麻痺          | (未調査)         | 有効な治療法がない     |
|                   |               | 患者数が多い／今後増加する |
| 脊髄小脳変性症           | 有効な治療法がない     | 有効な治療法がない     |
| 進行性筋ジストロフィー       | 有効な治療法がない     | 有効な治療法がない     |
|                   |               | 患者数が多い／今後増加する |
| アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞 | 患者数が多い／今後増加する | 患者数が多い／今後増加する |

\* 「有効な治療法がない」47件、「致命的疾患である」（致命的疾患である／患者さんの苦痛が計り知れない／難病中の難病である／症状が非常に急性で進行早い／患者のADLはもとより、QOLを上げることすら困難な状態）42件、「患者数が少なくない」11件

\*\* 「致命的疾患である」（病状の重篤性・致命的／進展の速さと生命予後不良／神経疾患で最も残酷な疾患の一つ／進行する筋萎縮によるQOLの低下）31件、「有効な治療法がない」18件、「既存薬の薬効も不十分・薬効の実感が無い」13件

#### (4) まとめ・考察

##### 1) 治療満足度

治療満足度が90%以上の疾患・症候は「片頭痛」など5疾患・症候、90～80%は「特発性顔面神経麻痺（Bell麻痺）」など6疾患・症候、50%以上は合わせて31疾患・症候であり、「十分に満足」の割合が10%以上の疾患・症候は「ギラン・バレー症候群／フィッシャー症候群」など9疾患・症候であった。治療満足度が20%以下の疾患・症候は15疾患・症候、そのうち10%以下は「進行性筋ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」、「シャルコー・マリー・トゥース病」、「プリオン病」の4疾患・症候であり、「治療が行えているとはいえない」の割合が50%以上の疾患・症候は「プリオン病」の1疾患・症候であった（図表2-1-1及び図表2-1-2）。

##### 2) 薬剤貢献度

薬剤貢献度が90%以上の疾患・症候は「片頭痛」など13疾患・症候、90～80%は「帯状疱疹後神経痛」など7疾患・症候、50%以上は合わせて32疾患・症候であり、「十分に貢献」の割合が20%以上の疾患・症候は「てんかん」など6疾患・症候であった。薬剤貢献度が20%以下の疾患・症候は14疾患・症候、そのうち10%以下は「プリオン病」、「シャルコー・マリー・トゥース病」、「進行性筋ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」、「筋強直性ジストロフィー」、「進行性核上性麻痺」、「前頭側頭葉変性症」、「ハンチントン病」の8疾患・症候であり、「効く薬がない」の割合が50%以上は「プリオン病」、「シャルコー・マリー・トゥース病」、「進行性筋ジストロフィー」、「筋強直性筋ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」の5疾患・症候であった（図表2-1-3及び図表2-1-4）。

##### 3) 治療満足度と薬剤貢献度の相関

治療満足度及び薬剤貢献度がいずれも90%以上の疾患・症候は「片頭痛」など5疾患・症候、次いでいずれも80%以上は「アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞」など5疾患・症候であった。

治療満足度及び薬剤貢献度がいずれも10%以下の疾患・症候は「進行性筋ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」、「シャルコー・マリー・トゥース病」、「プリオン病」の4疾患・症候、次いでいずれも20%以下の疾患・症候は「筋強直性ジストロフィー」など9疾患・症候であった。

薬剤貢献度が50%以下と比較的低いにもかかわらず、治療満足度が50%以上と高い疾患・症候には「脊椎症と類縁疾患（ヘルニア／狭窄症など）」など2疾患・症候が分類され、これら疾患・症候では薬剤があっても対症療法に過ぎないか、手術やリハビリテーションなどの薬剤以外の治療法があるためと考えられた。

薬剤貢献度が50%以上と高いにもかかわらず、治療満足度が50%以下と低い疾患・症候には「神経因性膀胱」など3疾患・症候が分類され、これらの疾患・症候では治療満足度

を更に向上させるためには、薬剤に加えて他の治療法の必要性も推察された。

薬剤貢献度が治療満足度よりも高くその乖離が 40～30 ポイントの疾患・症候は「慢性疼痛」など 2 疾患・症候、30～20 ポイントの疾患・症候は「真菌性脳炎・脊髄炎」、20～10 ポイントは「睡眠障害」など 19 疾患・症候であった。薬剤貢献度よりも治療満足度が高くその乖離が 50～40 ポイントの疾患・症候は、「正常圧水頭症」、40～30 ポイントの疾患・症候は、「手根管症候群」など 2 疾患・症候、20～10 ポイントの疾患・症候は、「くも膜下出血」であった（図表 2-1-5）。

治療満足度（「十分に満足」と「ある程度満足」の合計）と薬剤貢献度（「十分に貢献」と「ある程度貢献」の合計）のプロットでは、治療満足度と薬剤貢献度が概ね相関して分布するものの、治療満足度 50%付近がまばらで右上側と左下側に疾患・症候が集中して二極化している傾向が認められ（図表 2-1-5）、これは 2013 年度の調査と同様の傾向であった。2013 年度の調査と同様に神経内科医を対象としたアンケートであったことから、神経内科医の共通理解として、何らかの治療手段があると感じている疾患・症候と、ほとんど治療手段がないと感じている疾患・症候があり、今回調査した対象疾患・症候の治療満足度と薬剤貢献度がバラつかず二者択一的に集約された可能性が推察された。

#### 4) 治療満足度と薬剤貢献度における「十分満足のいく治療が行えている」と「十分に貢献している」の割合

治療満足度が 80%以上を示す治療満足度の高い疾患・症候であっても、「十分に満足」は 20%以下であり、これらの治療満足度はそのほとんどが「ある程度満足」であった。特に、「パーキンソン病」など 3 疾患・症候では「十分に満足」の割合は 10%以下と低かった。

薬剤貢献度が 90%以上を示す薬剤貢献度の高い疾患・症候であっても、「十分に貢献」は 40%以下であり、これらの薬剤貢献度の多くは「ある程度貢献」であった。特に、「多発性硬化症」など 7 疾患・症候では「十分に貢献」の割合は 20%以下と低かった（図表 2-1-6）。

多くの神経内科医は、何らかの治療法や承認薬がある神経疾患・症候を「ある程度満足」や「ある程度貢献」と評価したために、治療満足度（「十分に満足」と「ある程度満足」の合計）や薬剤貢献度（「十分に貢献」と「ある程度貢献」の合計）が高くなったものと推察される。今後は、何らかの治療法や承認薬があるにもかかわらず「十分に満足」や「十分貢献」の割合が必ずしも高くない上記疾患・症候の未充足ニーズが向上する治療法や薬剤の開発が望まれる。

#### 5) 「治療が行えているとはいえない」疾患・症候と「効く薬がない」疾患・症候

「治療が行えているとはいえない」又は「効く薬がない」のいずれかが 30%以上の疾患・症候は「プリオン病」など 15 疾患・症候であった（図表 2-1-7）。これら疾患・症候

の「治療満足度」は約 20%以下であり、いわゆる医療ニーズの高い疾患・症候と考えられた。また、「薬剤貢献度」でも約 25%以下と低く、治療法がない又は不足している現状にあると言える。症状を改善する治療法、特に治療薬の開発が急務の課題である。

#### 6) 重み付けによる治療の満足度と薬剤の治療への貢献度の指数化

重み付けによる治療の満足度指数と薬剤の治療への貢献度指数の散布図（図表 2-1-8）では、治療満足度と薬剤貢献度の散布図（図表 2-1-5）よりも回答者の評価がよりの確に反映されたと考える。図表 2-1-8 では各疾患・症候の順位に大きな変動はなかったが、図表 2-1-5 で右上及び左下に位置していた疾患・症候がより中心に移動し、二極化が見られず全体的に分布していた。これは、各選択肢の回答割合が疾患・症候ごとに異なることに起因していた（図表 2-1-1～2-1-4）。

図表 2-1-5 の治療満足度と薬剤貢献度の相関性が低い疾患・症候において、図表 2-1-8 では一定の相関性を認めた。これは、不満足でありながらも何らかの治療法があることを指数に反映でき、また、治療に十分満足しているとの回答、薬剤が十分貢献しているとの回答が少なかったことを反映した結果と考える。

前項 4) と同様に治療の満足度指数と薬剤の治療への貢献度指数が比較的高い疾患・症候においても、未充足ニーズが向上する治療法や薬剤の開発が望まれる。

#### 7) 新規治療法が開発が急務な疾患・症候

「新規治療法が開発が急務と考える理由」において回答者が多かった上位 10 疾患・症候は「アルツハイマー病」、「筋萎縮性側索硬化症」、「多系統萎縮症」、「パーキンソン病」、「プリオン病」、「前頭側頭葉変性症」、「進行性核上性麻痺」、「脊髄小脳変性症」、「進行性筋ジストロフィー」、「アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞」であった（図表 2-1-9）。

これら 10 疾患・症候について、「有効な治療法がない」との理由は「多系統萎縮症」など 6 疾患・症候で最も多かった。「患者数が多い／今後増加する」との理由は「アルツハイマー病」など 5 疾患・症候で最も多かった。「筋萎縮性側索硬化症」では、「病状の重篤性・致命的／進展の速さと生命予後不良／神経疾患で最も残酷な疾患の一つ／進行する筋萎縮による QOL の低下」が理由として最も多く挙げられた。「患者本人に加え家族、社会負担が大きい」との理由は「アルツハイマー病」など 3 疾患・症候で 3 番目に多く挙げられ、「パーキンソン病」、「プリオン病」においてもこれらの記述が目立った（図表 2-1-10）。

「有効な治療法がない」疾患・症候や、高齢化に伴い発症する認知症などの「患者数が多い／今後増加する」と考えられる疾患・症候について、「新規治療法が開発が急務」とする傾向があると考えられた。

「新規治療法が開発に向けた具体的な方策等」では、期待される新規治療法についての具体的な方策が挙げられている疾患・症候が多く、特に「再生医療や iPS 細胞を活用した治療」や「遺伝子治療」など最新の研究動向への期待が高い傾向が見られた。一方で、具

体的な方策が挙げられず、現時点で有望なシーズがないと考えられる疾患・症候も存在した。

## 8) 2013 年度の調査結果との比較

### (a) 治療満足度と薬剤貢献度

2013 年度の調査結果と比較して、2018 年度の調査結果では、「治療満足度」が 100～80%と比較的高い疾患・症候の数が増加した。また、10～0%と低い疾患・症候の数が大きく減少し、20～10%と比較的低い疾患・症候の数が増加していた。「薬剤貢献度」でも、100～90%と比較的高い疾患・症候の数が増加し、90～80%の疾患・症候の数が増加した。また、10～0%と低い疾患・症候の数が大きく減少していた（図表 2-1-11）。

2018 年度の調査では、「治療が行えているとはいえない」が 100～50%の疾患・症候は「プリオン病」の 1 疾患・症候だけとなり、「進行性筋ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」、「筋強直性ジストロフィー」、「球脊髄性筋萎縮症」、「筋萎縮性側索硬化症」、「ハンチントン病」の 6 疾患・症候が該当しなくなった。また、「効く薬がない」が 100～50%の疾患・症候は「プリオン病」、「進行性筋ジストロフィー」、「筋強直性ジストロフィー」、「遠位型ミオパチー」の 4 疾患・症候となり、「球脊髄性筋萎縮症」、「筋萎縮性側索硬化症」、「封入体筋炎」、「前頭側頭葉変性症」、「多系統萎縮症」の 5 疾患・症候が該当しなくなった（図表 2-1-12）。

治療満足度又は薬剤貢献度が 10 ポイント上昇した疾患・症候は「レビー小体型認知症」、「球脊髄性筋萎縮症」など 7 疾患・症候であった（図表 2-1-13）。

上記の疾患・症候において、2009 年から 2018 年の間に、新規承認又は効能追加・剤型追加があり、新しい薬剤や治療法の開発・承認により医師の治療選択肢が増えたこと、及びガイドライン等の公表によりの確な診断・治療が行えるようになったことが、疾患・症候における治療満足度及び薬剤貢献度の向上に寄与していると考えられる。

### (b) 新規治療法の開発が急務な疾患・症候

2013 年度の調査結果と比較して、2018 年度の調査結果では、新規治療法の開発が急務と考える上位 10 疾患・症候及びその疾患・症候での開発が急務な理由（最も多い）に大きな変化は見られなかった（図表 2-1-14）。「多系統萎縮症」など 6 疾患・症候では、「有効な治療法がない」との理由が、「アルツハイマー病」など 5 疾患・症候では、「患者数が多い／今後増加する」との理由が 2013 年度及び 2018 年度の調査結果で共に最も多かった（図表 2-1-15）。

「アルツハイマー病」、「筋萎縮性側索硬化症」、「多系統萎縮症」、「プリオン病」、「前頭側頭葉変性症」、「進行性核上性麻痺」、「脊髄小脳変性症」、「進行性筋ジストロフィー」の 8 疾患・症候では治療満足度と薬剤貢献度がいずれも 50%以下であり、新規治療法の開発が急務である。「パーキンソン病」及び「アテローム血栓性脳梗塞／ラクナ梗塞」では治療満足度と薬剤貢献度がいずれも 80%以上と高い度合いを示しているにもかかわらず、新

規治療法の開発が急務と考える上位 10 疾患・症候にも挙げられている。この 2 疾患・症候は治療法・治療薬が使用できる状況であるが、更に有効な治療法・治療薬が求められており、加えて患者数が多いことが、新規治療法の開発が急務と考える疾患・症候として挙げられたと考えられる。

## 2-2 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

### （1）治療満足度と薬剤貢献度

#### 問4-1 アルツハイマー型認知症に関する治療満足度

アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に関する「治療満足度」について、該当する項目をそれぞれ1つ選択してください。

- 1) アルツハイマー型認知症の認知機能
- 2) アルツハイマー型認知症の生活機能障害
- 3) アルツハイマー型認知症の行動・心理症状（BPSD）
- 4) アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感
- 5) アルツハイマー病による軽度認知障害（MCI）

<選択肢>・十分に満足 of いく治療が行えている（十分に満足）

- ・ある程度満足 of いく治療が行えている（ある程度満足）
- ・不満足な治療しか行えていない（不満足）
- ・治療が行えているとはいえない

#### 問4-2 アルツハイマー型認知症に関する薬剤貢献度

アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に関する薬剤（医薬品）の治療への貢献度について、該当する項目をそれぞれ1つ選択してください。

※上記1)～5)に同じ

<選択肢>・十分に貢献している（十分に貢献）

- ・ある程度貢献している（ある程度貢献）
- ・あまり貢献していない（あまり貢献していない）
- ・効く薬がない

前項で記述したとおり、60 神経疾患・症候の調査では、「アルツハイマー病」の治療満足度及び薬剤貢献度は、それぞれ 33.3%及び 45.8%であった（図表 2-1-2、図表 2-1-4）。アルツハイマー型認知症の症状・機能障害別に治療満足度と薬剤貢献度を調査した。図表 2-2-2 に各選択肢に対する回答の割合を示し、「十分に満足」と「ある程度満足」の割合の合計を治療満足度、「十分に貢献」と「ある程度貢献」の割合の合計を薬剤貢献度とした。

アルツハイマー型認知症における“認知機能”、“生活機能障害”、“行動・心理症状（BPSD）”、“介護負担感”及び“アルツハイマー病による軽度認知障害（MCI）”の治療満足度は、それぞれ 18.7%、18.7%、41.7%、17.6%及び 33.2%であった。「アルツハイマー病」の治療満足度（33.3%）に比べて、“認知機能”、“生活機能障害”及び“介護負担感”の治療満足度は低かったが、“行動・心理症状（BPSD）”の治療満足度は高かった。なお、いずれの項目においても「十分に満足」を選択した回答者はいなかった。



図表 2-2-2 アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に関する  
治療満足度と薬剤貢献度（各選択肢の回答率）

|                              | 治療満足度        | 治療満足度 |        | 不満足   | 治療が行えているとはいえない | 薬剤貢献度        | 薬剤貢献度 |        | あまり貢献していない | 効く薬がない |
|------------------------------|--------------|-------|--------|-------|----------------|--------------|-------|--------|------------|--------|
|                              |              | 十分に満足 | ある程度満足 |       |                |              | 十分に貢献 | ある程度貢献 |            |        |
| アルツハイマー病                     | <b>33.3%</b> | 2.8%  | 30.5%  | 51.2% | 15.5%          | <b>45.8%</b> | 4.9%  | 40.9%  | 42.4%      | 11.8%  |
| 1)アルツハイマー型認知症の認知機能障害         | <b>18.7%</b> | 0.0%  | 18.7%  | 66.8% | 14.4%          | <b>38.7%</b> | 0.0%  | 38.7%  | 51.6%      | 9.7%   |
| 2)アルツハイマー型認知症の生活機能障害         | <b>18.7%</b> | 0.0%  | 18.7%  | 72.2% | 9.1%           | <b>26.9%</b> | 0.0%  | 26.9%  | 65.1%      | 8.1%   |
| 3)アルツハイマー型認知症の行動・心理症状 (BPSD) | <b>41.7%</b> | 0.0%  | 41.7%  | 52.4% | 5.9%           | <b>60.2%</b> | 1.1%  | 59.1%  | 36.6%      | 3.2%   |
| 4)アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感 | <b>17.6%</b> | 0.0%  | 17.6%  | 70.1% | 12.3%          | <b>28.5%</b> | 0.0%  | 28.5%  | 58.1%      | 13.4%  |
| 5)アルツハイマー病による軽度認知障害 (MCI)    | <b>33.2%</b> | 0.0%  | 33.2%  | 52.9% | 13.9%          | <b>34.4%</b> | 0.0%  | 34.4%  | 54.8%      | 10.8%  |

上記の問 4-1 及び問 4-2 の回答を、認知症専門医及び非専門医に分けて解析した結果を図表 2-2-3 に示す。母集団の異なる解析ではあるが（認知症専門医 n=52、非専門医 n=165）、治療満足度において、“アルツハイマー病による軽度認知障害（MCI）”を除くいずれの項目も非専門医より認知症専門医で評価が高かった。また、薬剤貢献度においても、非専門医より認知症専門医で高く、特に“認知機能障害”、“生活機能障害”と“介護負担感”で 2 倍近く高かった。認知症専門医においても、“認知機能障害”、“生活機能障害”、“介護負担感”の治療満足度は 22.2~24.4%であり、薬剤貢献度の 42.2~60.0%よりも低かった。

図表 2-2-3 認知症専門医と非専門医におけるアルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に関する治療満足度と薬剤貢献度（各選択肢の回答率）

|                              |        | 治療満足度        | 治療満足度 |        | 不満足   | 治療が行えているとはいえない | 薬剤貢献度        | 薬剤貢献度 |        | あまり貢献していない | 効く薬がない |
|------------------------------|--------|--------------|-------|--------|-------|----------------|--------------|-------|--------|------------|--------|
|                              |        |              | 十分に満足 | ある程度満足 |       |                |              | 十分に貢献 | ある程度貢献 |            |        |
| 1)アルツハイマー型認知症の認知機能障害         | 認知症専門医 | <b>24.4%</b> | 0.0%  | 24.4%  | 64.4% | 11.1%          | <b>60.0%</b> | 0.0%  | 60.0%  | 28.9%      | 11.1%  |
|                              | 専門医以外  | <b>16.9%</b> | 0.0%  | 16.9%  | 67.6% | 15.5%          | <b>31.9%</b> | 0.0%  | 31.9%  | 58.9%      | 9.2%   |
| 2)アルツハイマー型認知症の生活機能障害         | 認知症専門医 | <b>22.2%</b> | 0.0%  | 22.2%  | 73.3% | 4.4%           | <b>44.4%</b> | 0.0%  | 44.4%  | 51.1%      | 4.4%   |
|                              | 専門医以外  | <b>17.6%</b> | 0.0%  | 17.6%  | 71.8% | 10.6%          | <b>21.3%</b> | 0.0%  | 21.3%  | 69.5%      | 9.2%   |
| 3)アルツハイマー型認知症の行動・心理症状 (BPSD) | 認知症専門医 | <b>46.7%</b> | 0.0%  | 46.7%  | 51.1% | 2.2%           | <b>71.1%</b> | 2.2%  | 68.9%  | 28.9%      | 0.0%   |
|                              | 専門医以外  | <b>40.1%</b> | 0.0%  | 40.1%  | 52.8% | 7.0%           | <b>56.7%</b> | 0.7%  | 56.0%  | 39.0%      | 4.3%   |
| 4)アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感 | 認知症専門医 | <b>24.4%</b> | 0.0%  | 24.4%  | 64.4% | 11.1%          | <b>42.2%</b> | 0.0%  | 42.2%  | 48.9%      | 8.9%   |
|                              | 専門医以外  | <b>15.5%</b> | 0.0%  | 15.5%  | 71.8% | 12.7%          | <b>24.1%</b> | 0.0%  | 24.1%  | 61.0%      | 14.9%  |
| 5)アルツハイマー病による軽度認知障害 (MCI)    | 認知症専門医 | <b>31.1%</b> | 0.0%  | 31.1%  | 46.7% | 22.2%          | <b>35.6%</b> | 0.0%  | 35.6%  | 51.1%      | 13.3%  |
|                              | 専門医以外  | <b>33.8%</b> | 0.0%  | 33.8%  | 54.9% | 11.3%          | <b>34.0%</b> | 0.0%  | 34.0%  | 56.0%      | 9.9%   |

## (2) 承認薬／承認薬以外の薬物療法・非薬物療法で効果がある症状、機能障害

本項において以下の3つ（問5-1～問5-3）のアンケートを実施した。その集計結果を図表2-2-4に示した。

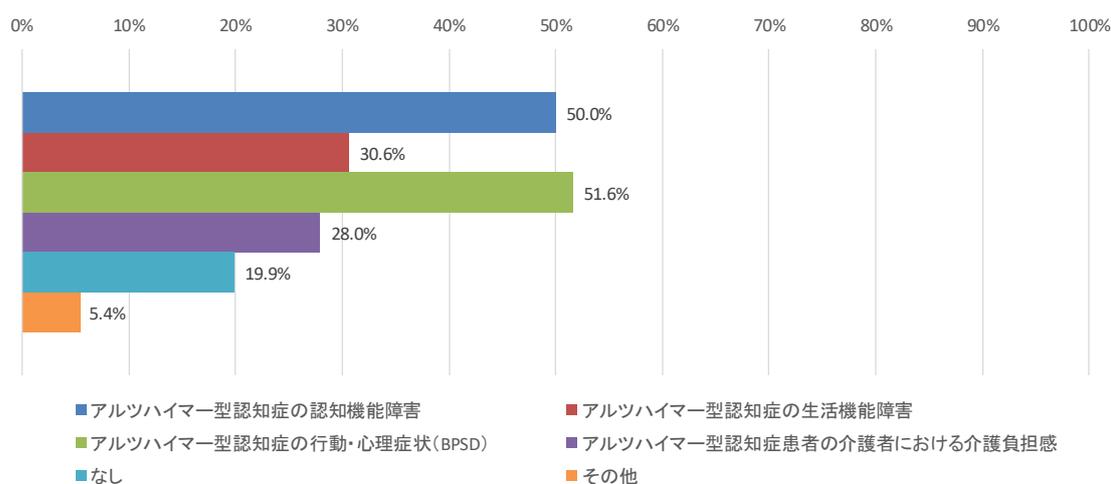
問5-1 「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」で効能・効果を現時点で取得している薬剤（※）で効果があると思われる症状、機能障害につき、あてはまるものをお選び下さい。（複数回答可）

- <選択肢> ・アルツハイマー型認知症の認知機能障害  
・アルツハイマー型認知症の生活機能障害  
・アルツハイマー型認知症の行動・心理症状（BPSD）  
・アルツハイマー型認知症の介護者における介護負担感  
・なし  
・その他（具体的にご記入ください）

（※）ドネペジル、メマンチン、ガランタミン、リバスチグミンの4剤を指します。

現在の承認薬4剤の効果に対する設問に対して、“認知機能障害”、“生活機能障害”、“行動・心理症状（BPSD）”及び介護者における“介護負担感”に効果があるとの回答は、それぞれ50.0%、30.6%、51.6%及び28.0%であった。“行動・心理症状（BPSD）”及び“認知機能障害”に効果があるとの回答が多かった。一方、現在の承認薬4剤には19.9%が「なし」と回答した（図表2-2-4）。

図表2-2-4 アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に対する現在の承認薬4剤の効果



(n=186)

なお、その他の意見として以下のコメントがあった。

<「その他」のコメント>

- ・ 効果はいずれも軽微
- ・ いずれも多少の効果があるという程度
- ・ ある程度の効果はあるが、不十分である
- ・ 陰性症状には効果があると思うが、陽性症状は悪化する印象である
- ・ 認知症に対して薬剤は無効である
- ・ なすすべがない、というよりもずっと希望があるのでありがたいが、効いたという実感はこれまでにない

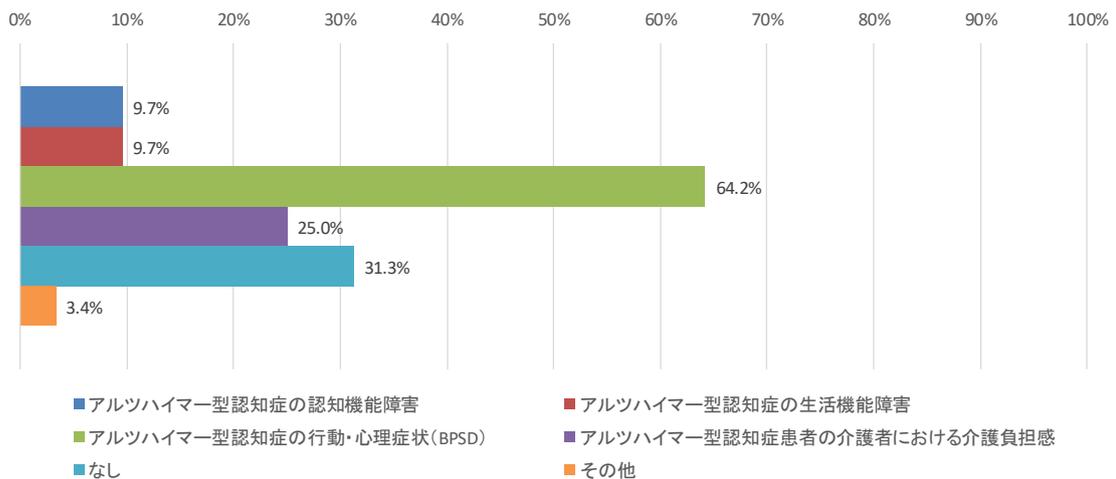
問5-2「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」で効能・効果を現時点で取得している薬剤（※）以外の薬物療法で効果があると思われる症状、機能障害につき、あてはまるものをお選び下さい。（複数回答可）

- <選択肢>・アルツハイマー型認知症の認知機能障害
- ・アルツハイマー型認知症の生活機能障害
  - ・アルツハイマー型認知症の行動・心理症状（BPSD）
  - ・アルツハイマー型認知症の介護者における介護負担感
  - ・なし
  - ・その他（具体的にご記入ください）

（※）ドネペジル、メマンチン、ガランタミン、リバスチグミンの4剤を指します。

現在の承認薬4剤以外の薬物療法に対する設問に対して、“認知機能障害”、“生活機能障害”、“行動・心理症状（BPSD）”及び介護者における“介護負担感”に効果があるとの回答は、それぞれ9.7%、9.7%、64.2%及び25.0%であった。一方、31.3%が「なし」と回答した。承認薬以外の薬物療法で最も効果があると回答された症状は“行動・心理症状（BPSD）”であった。回答者の50.0%が承認薬4剤で効果があるとした“認知機能障害”に対しては、承認薬以外の薬物療法に効果があるとの回答は9.7%であった（図表2-2-5）。「その他」について、コメントの記載はなかった。

図表2-2-5 アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に対する現在の承認薬4剤以外の薬剤の効果



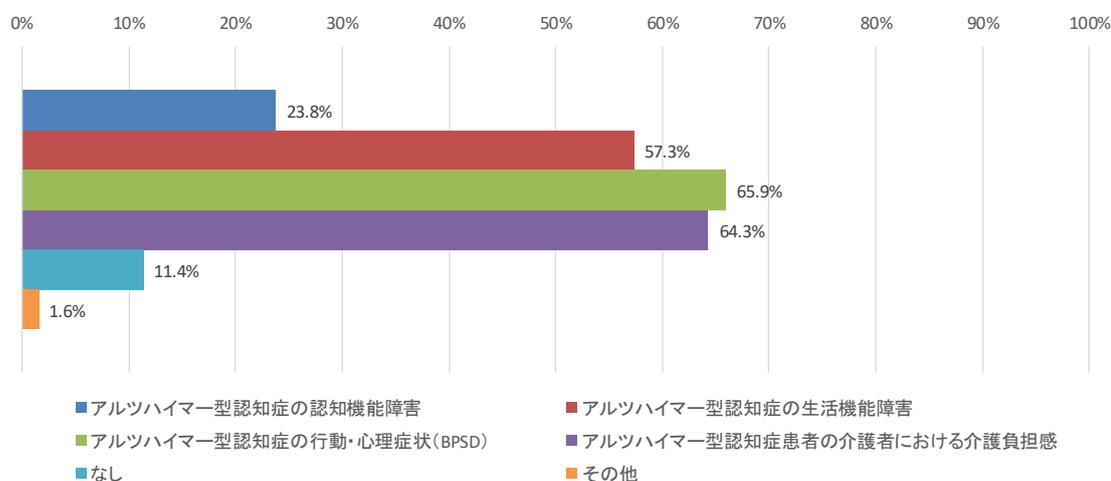
(n=176)

問5-3 アルツハイマー型認知症の非薬物療法で効果があると思われる症状、機能障害につき、あてはまるものをお選び下さい。(複数回答可)

- <選択肢>
- ・アルツハイマー型認知症の認知機能障害
  - ・アルツハイマー型認知症の生活機能障害
  - ・アルツハイマー型認知症の行動・心理症状 (BPSD)
  - ・アルツハイマー型認知症の介護者における介護負担感
  - ・なし
  - ・その他 (具体的にご記入ください)

非薬物療法の効果に対する設問に対して、“認知機能障害”、“生活機能障害”、“行動・心理症状 (BPSD)” 及び介護者における “介護負担感” に効果があるとの回答は、それぞれ 23.8%、57.3%、65.9%及び 64.3%であった。一方、11.4%が「なし」と回答した。非薬物療法では、“生活機能障害”、“行動・心理症状 (BPSD)” 及び介護者における “介護負担感” に効果があるとの回答が多く、“認知機能障害” に効果があるとの回答は、他の選択肢より少なかった (図表 2-2-6)。「その他」の意見として以下のコメントがあった。

図表 2-2-6 アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に対する非薬物療法の効果



(n=185)

<「その他」のコメント>

- ・ コミュニケーションの方法、対話能力、心理療法など
- ・ 音楽療法
- ・ 症例によってある程度の効果は期待できるが不十分

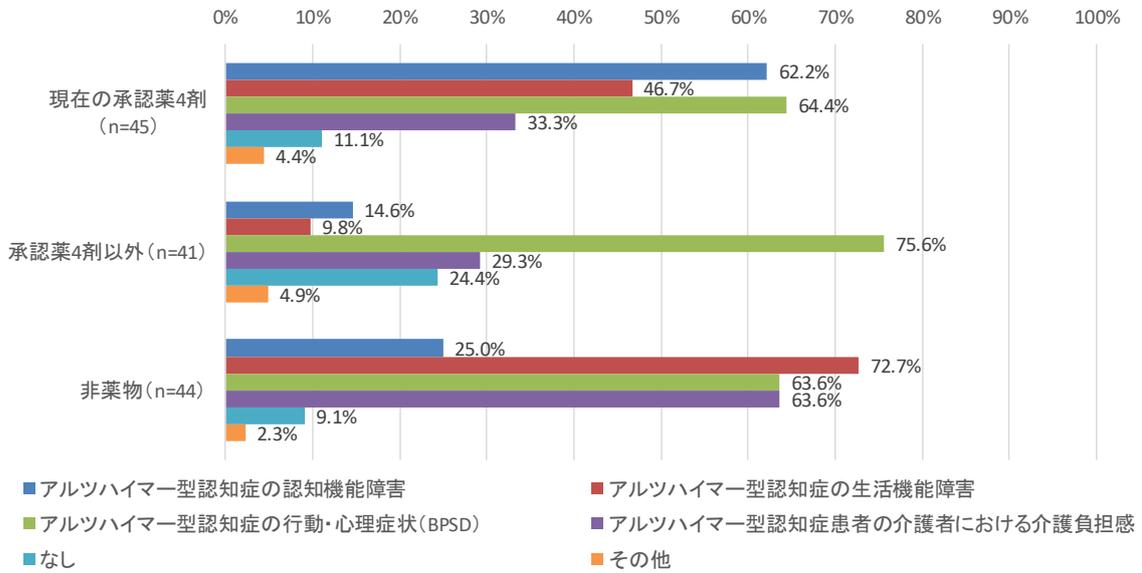
図表 2-2-7 アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に対する  
現在の承認薬 4 剤、承認薬 4 剤以外の薬剤、並びに非薬物療法の効果

|                            | 現在の承認薬 4 剤<br>(n=186) | 承認薬 4 剤以外<br>の薬物(n=176) | 非薬物<br>(n=185) |
|----------------------------|-----------------------|-------------------------|----------------|
| アルツハイマー型認知症の認知機能障害         | 50.0%                 | 9.7%                    | 23.8%          |
| アルツハイマー型認知症の生活機能障害         | 30.6%                 | 9.7%                    | 57.3%          |
| アルツハイマー型認知症の行動・心理症状(BPSD)  | 51.6%                 | 64.2%                   | 65.9%          |
| アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感 | 28.0%                 | 25.0%                   | 64.3%          |
| なし                         | 19.9%                 | 31.3%                   | 11.4%          |
| その他                        | 5.4%                  | 3.4%                    | 1.6%           |

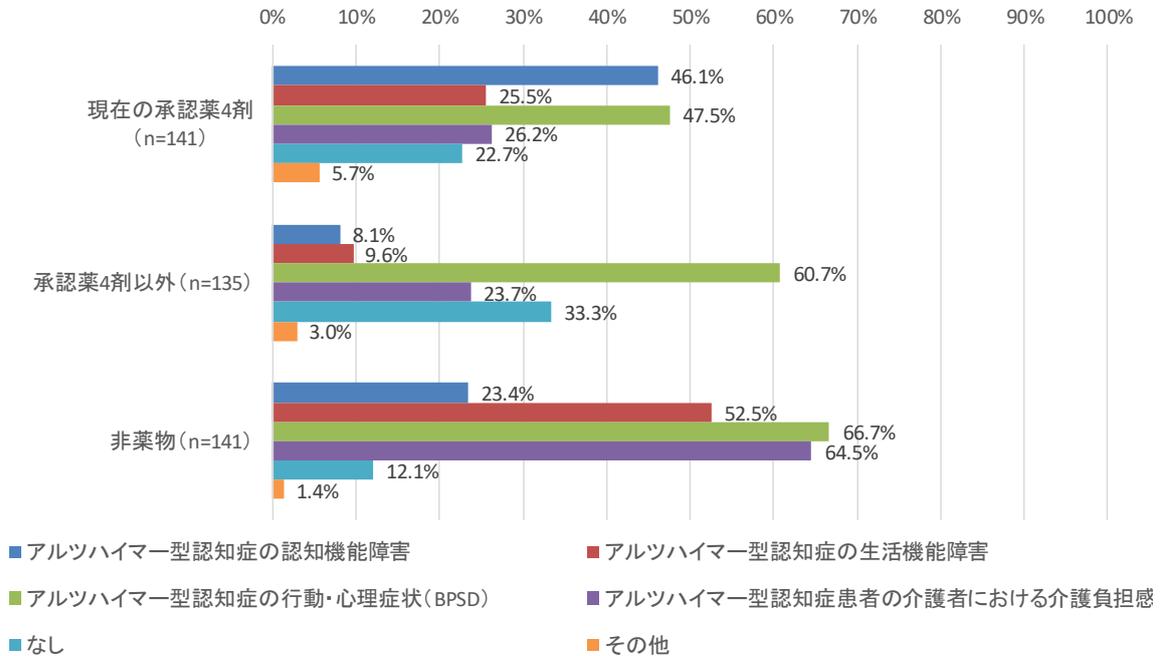
問 5-1～問 5-3 の結果を、認知症専門医及び非専門医に分けて集計した（図表 2-2-8）。その結果、多くの症状・機能障害に対し、効果があるとの回答率は非専門医よりも認知症専門医の方が高かった。例えば非薬物療法において、“生活機能障害”に対して効果があるとの回答率は、認知症専門医が 72.7%であったのに対し、非専門医は 52.5%であった。

図表 2-2-8 アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に対する  
現在の承認薬 4 剤、承認薬 4 剤以外の薬剤、並びに非薬物療法の効果  
(属性別：認知症専門医と専門医以外)

■ 認知症専門医



■ 専門医以外



### (3) 現在の承認薬 4 剤で治療効果が期待できないと判断した場合の処方方針

問 6 「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」で効能・効果を現時点で取得している薬剤（※）が、病期や病状の進行により、治療効果が期待できないと判断された場合、その後の処方についてどのように対応していますか。

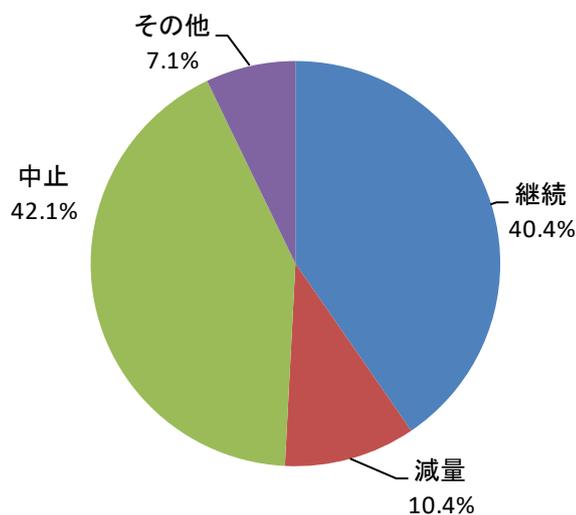
- <選択肢>・継続  
・減量  
・中止  
・その他（具体的に記入）

「継続」「減量」「中止」と記入した方は、差し支えなければそのように回答した理由をご記入下さい。「その他」と記入した方は、具体的な内容をご記入ください。

（※）ドネペジル、メマンチン、ガランタミン、リバスチグミンの 4 剤を指します。

現在の承認薬 4 剤の治療効果が期待できない場合における処方方針について調査した。結果を図表 2-2-9 (n=183) に示した。「継続」及び「中止」を選択した回答は、それぞれ 40.4%及び 42.1%と同程度であり、回答者によって方針が大きく異なっていた。「減量」及び「その他」の選択者は、それぞれ 10.4%及び 7.1%であった。各選択肢を選択した理由を、以下に紹介する。

図表 2-2-9 現在の承認薬 4 剤の効果が期待できないと判断された場合の対応



(n=183)

<「継続」の理由> (選択人数：74名、意見人数：42名)

- ・ 患者や家族が継続を希望するため、また患者や家族に失望感を与えないため (12件)
- ・ 他の治療選択肢がない、代替治療がない (9件)
- ・ 中止による認知機能や BPSD 等の症状悪化の可能性がある、あるいは悪化症例を経験している (7件)
- ・ 認知機能あるいは他症状の進行抑制等に有効であると考え、あるいは期待している (7件)
- ・ 中止の明確な判断基準がない (3件)
- ・ 副作用がなければ中止する意義に乏しい
- ・ 他の承認薬に変更したり、2剤併用を試している
- ・ 介護保険等による生活支援へのつながりを保つため
- ・ HDS-R が 10 点以上

<「減量」の理由> (選択人数：19名、意見人数：7名)

- ・ 副作用の軽減 (3件)
- ・ 医療経済的な理由
- ・ 中止のためのステップとして減量
- ・ 減量して効果判定してみる
- ・ 治療効果がなければ継続する理由がない

<「中止」の理由> (選択人数：77名、意見人数：38名)

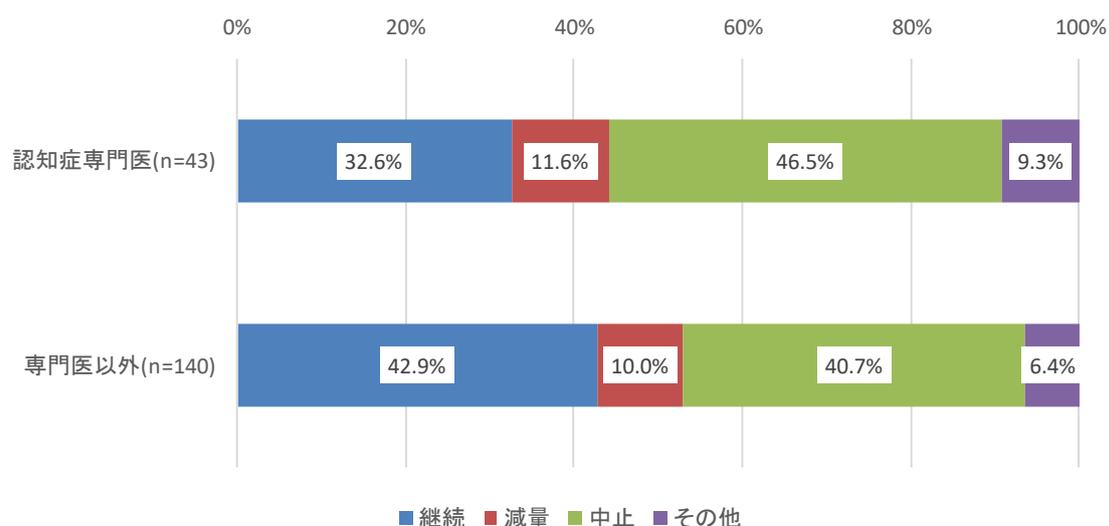
- ・ (進行症例に対して) 治療する意義がない、治療効果がない上、副作用リスクがある (26件)
- ・ 患者あるいは介護者の負担 (4件)
- ・ 無駄な治療継続は医療経済上、相応しくない (4件)
- ・ 継続により、BPSD がむしろ悪化する
- ・ 家族と相談
- ・ 治療目標の設定が困難
- ・ 他剤に変更

<「その他」のコメント> (選択人数：13名、意見人数：13名)

- ・ 他剤への変更や他剤との併用を考慮 (5件)
- ・ 本人、家族あるいは介護者と相談 (4件)
- ・ 状況を見て判断 (4件)

認知症専門医と非専門医に分けて、治療方針の分布を比較した結果（図表 2-2-10）、認知症専門医の場合、「継続」が 32.6%、「減量」が 11.6%、「中止」が 46.5%、「その他」が 9.3%であり、非専門医ではそれぞれ 42.9%、10.0%、40.7%及び 6.4%であった。認知症専門医では「継続」が非専門医より約 10 ポイント低かった。

図表 2-2-10 認知症治療薬の効果が期待できないと判断された場合の対応  
(属性別；認知症専門医と専門医以外)



#### (4) 根本治療薬が開発された場合の適切な治療開始時期

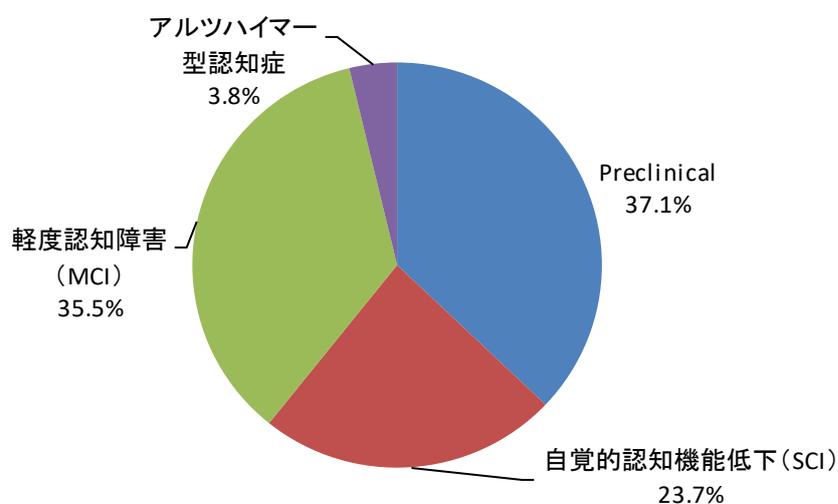
問7 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）において、既存の薬剤とは機序が異なる根本治療薬が開発された場合、適切な治療開始時期はいつと考えますか。

<選択肢>・Preclinical

- ・自覚的認知機能低下（SCI）
- ・軽度認知障害（MCI）
- ・アルツハイマー型認知症

既存の薬剤とは機序が異なる根本治療薬の適切な治療開始時期について調査した結果を図表2-2-11に示した。根本治療薬の適切な治療開始時期として「Preclinical」（37.1%）並びに「軽度認知障害（MCI）」（35.5%）を選択した回答者は、それぞれ全体の1/3以上であった。次いで「自覚的認知機能低下（SCI）」（23.7%）であり、「アルツハイマー型認知症」（3.8%）の割合は最も低かった。

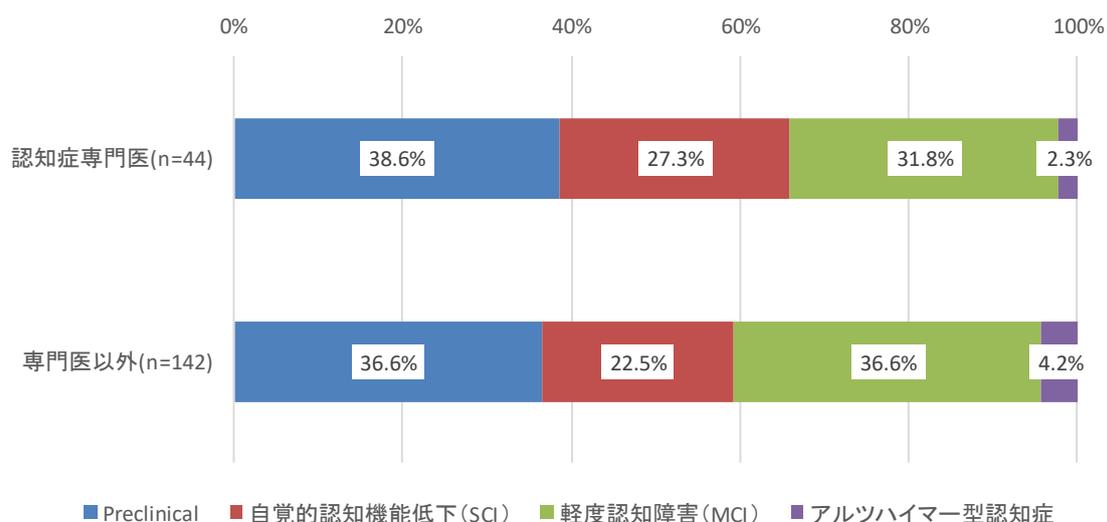
図表2-2-11 根本治療薬の治療開始時期



(n=186)

根本治療薬の適切な治療開始時期について、認知症専門医と非専門医で比較した（図表 2-2-12）。認知症専門医と非専門医の回答はいずれも「Preclinical」並びに「軽度認知障害（MCI）」が、それぞれ全体の 1/3 を示した。次いで「自覚的認知機能低下（SCI）」が多く「アルツハイマー型認知症」が最も少なかった。認知症専門医と非専門医の間で大きな差はなかった。

図表 2-2-12 根本治療薬の治療開始時期（属性別：認知症専門医と専門医以外）



## (5) アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のための意見・考え

問8 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のためのご意見やお考えをお聞かせください。

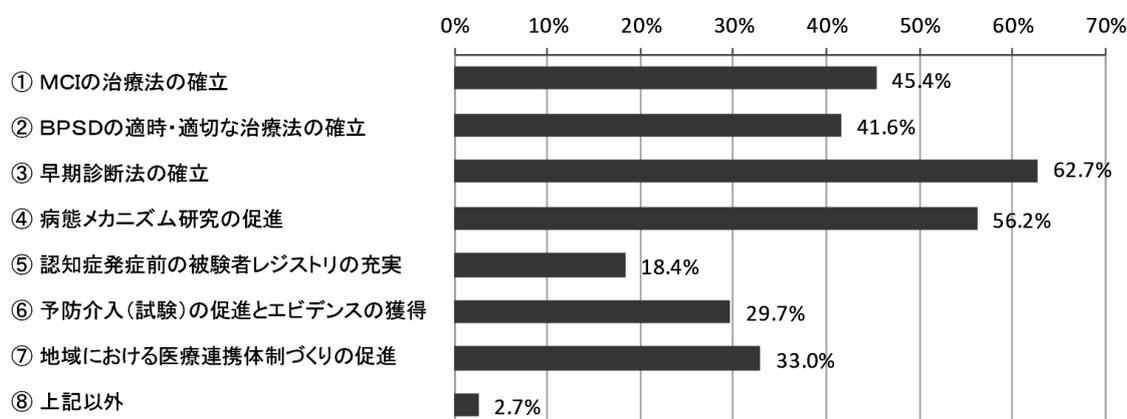
\*平成29年度HS財団調査報告書「アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に関する医療ニーズ調査」では、解決に向けて取り組むべき課題として下記①～⑦が抽出されました。

下記から重要と思われる課題を選択（最大3つまで選択可能）してください。

- ① MCI の治療法（ケアを含む）の確立
- ② BPSD の適時・適切な治療法（介護を含む）の確立
- ③ 高精度で簡便な早期診断法の確立（バイオマーカー、新規な認知機能検査など）
- ④ 新しい予防・治療法の開発に向けた、病態メカニズム研究の促進
- ⑤ 予防医療、先制医療実現に向けた、認知症発症前の被験者レジストリの充実並びにその利活用
- ⑥ 生活習慣病等による、予防介入（試験）の促進とエビデンスの獲得
- ⑦ 予防、治療、ケアに関する、地域における医療連携体制づくりの促進
- ⑧ 上記以外

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のための重要課題に関する回答結果を図表 2-2-13 に示した。「③早期診断法の確立」及び「④病態メカニズム研究の促進」は、回答者（185名）の過半数以上に選択された（それぞれ62.7%及び56.2%）。「①MCIの治療法の確立」及び「②BPSDの治療法の確立」は、それぞれ回答者の45.4%及び41.6%に選択された。「⑦地域における医療連携体制づくりの促進」、「⑥予防介入（試験）の促進とエビデンスの獲得」、「⑤認知症発症前の被験者レジストリの充実」及び「⑧上記以外」の選択は、それぞれ33.0%、29.7%、18.4%及び2.7%であった。

図表 2-2-13 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服に向けた重要な課題



(n=185)

認知症専門医と非専門医の回答者別に集計した結果を図表 2-2-14 に示した。いずれも「③早期診断法の確立」並びに「④病態メカニズム研究の促進」を選択した回答者が多かった。「⑤認知症発症前の被験者レジストリの充実」は認知症専門医が、「⑦地域における医療連携体制づくりの促進」は非専門医が、それぞれ多く回答する傾向であった。

図表 2-2-14 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服に向けた重要な課題（認知症専門医：n=45、専門医以外：n=140）

| 課題                     |        | 件数 | 割合    |
|------------------------|--------|----|-------|
|                        |        |    |       |
| ① MCIの治療法の確立           | 認知症専門医 | 18 | 40.0% |
|                        | 専門医以外  | 66 | 47.1% |
| ② BPSDの適時・適切な治療法の確立    | 認知症専門医 | 16 | 35.6% |
|                        | 専門医以外  | 61 | 43.6% |
| ③ 早期診断法の確立             | 認知症専門医 | 33 | 73.3% |
|                        | 専門医以外  | 83 | 59.3% |
| ④ 病態メカニズム研究の促進         | 認知症専門医 | 26 | 57.8% |
|                        | 専門医以外  | 77 | 55.0% |
| ⑤ 認知症発症前の被験者レジストリの充実   | 認知症専門医 | 14 | 31.1% |
|                        | 専門医以外  | 20 | 14.3% |
| ⑥ 予防介入(試験)の促進とエビデンスの獲得 | 認知症専門医 | 12 | 26.7% |
|                        | 専門医以外  | 43 | 30.7% |
| ⑦ 地域における医療連携体制づくりの促進   | 認知症専門医 | 10 | 22.2% |
|                        | 専門医以外  | 51 | 36.4% |
| ⑧ 上記以外                 | 認知症専門医 | 1  | 2.2%  |
|                        | 専門医以外  | 4  | 2.9%  |

問8（続き）前項で選択いただいた課題についてご意見、コメントがありましたらご記入ください。

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のための各課題へのコメントを以下にまとめた。

#### ① MCIの治療法（ケアを含む）の確立

本課題に関しては、早期診断・治療視点でのコメントが多くみられた。「ドネペジルなどの投与で1-2年はMMSE（Mini Mental State Examination）の評価の改善が明らかな症例がかなりある」、「治療の有効性が期待できる可能性があるため」などのように、既存のアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）治療法の応用（MCIより治療介入など）で本課題あるいは本課題の一部の克服が達成できることを示唆するコメントがあった。また、「背景病理に即した疾患修飾治療法の開発」、「病態機序に基づく病態抑止療法を開発すること」などのように、新規な治療薬の登場を必要とするコメントもあった。

「運動療法についての具体的プログラム」、「標準的な対応法のガイドライン等があれば参考にしたい」のように、非薬物療法による予防の標準化に関するコメントもあった。

<早期診断・治療視点での代表的なコメント>

- ・ 早期での治療的介入の必要性
- ・ とくに進行を確実に停止させる治療法の確立を目指す
- ・ 早期に診断し、早期から有効な治療を行うことが望ましいと思う
- ・ コストの低い converter と non-converter の鑑別方法の確立が重要だろうと思う
- ・ この時期に正しい診断をして、経過を見ていくことが患者家族にとってメリットがある
- ・ 背景病理に即した疾患修飾療法の開発
- ・ 病態機序に基づく病態抑止療法を開発すること
- ・ ドネペジルなどの投与で1-2年はMMSEの評価の改善が明らかな症例がかなりある
- ・ 対象者が多く、この時期ならまだ何かできるかもしれない
- ・ MCI から認知症への移行を防止する薬剤の開発が重要

<運動療法による予防に関する意見>

- ・ 運動療法についての具体的プログラムなど
- ・ 常識的な指導をしているが、標準的な対応法のガイドライン等があれば参考にしたい
- ・ 個人に合わせた頭と身体を動かす具体的方法の提示が必要

<その他>

- ・ 診療と地域支援体制の整備・標準化が望まれる

- ・ 患者啓発
- ・ 現在、薬剤を使用すると車の運転ができなくなります。このため MCI の進行抑制目的では使用できない状況です

## ② BPSD の適時・適切な治療法（介護を含む）の確立

本課題に関して、BPSD の適時・適切な治療法が必要とされる現状・理由に関するコメントが多くみられた。「介護者への負担軽減は重要」のコメントに代表されるように、本課題の解決は、介護負担の軽減に大きく貢献することがうかがえた。また、「介護離職の増加など、労働力人口がさらに低下する事態に発展しかねないため」という意見のように、社会的問題として認識している回答者もいた。

具体的な方策について、「医療と地域支援体制の整備・標準化」や「BPSD 予防のための介護指導」などのように具体的なコメントも多くあった。

<BPSD の適時・適切な治療法が必要とされる現状・理由の代表的コメント>

- ・ 介護者への負担軽減は重要
- ・ 現在の認知症患者のケアにおける最大の問題点である
- ・ 介護離職の増加など、労働力人口がさらに低下する事態に発展しかねないため
- ・ すでに治療手段があり、治療確立が可能と思われる

<具体的な方策>

- ・ 診療と地域支援体制の整備・標準化が望まれる
- ・ BPSD 予防のための介護指導など
- ・ 具体的マニュアル整備
- ・ 家族の理解／関わり方
- ・ すでに治療手段があり、治療確立が可能と思われる
- ・ 保険適応のある薬剤の開発ないしは保険適応の拡大
- ・ BPSD に対し適応をもつ薬剤の開発が必要
- ・ 認知症の高齢者が他の疾患により入院したときの、せん妄への適切な対応の確立

## ③ 高精度で簡便な早期診断法の確立（バイオマーカー、新規な認知機能検査など）

本課題に関しては、早期治療介入の必要性、診断が難しい症例の存在が挙げられていた。「進行してしまってからでは回復困難と考える」、「進行すると治療が困難と思われるため」などのように、アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）は不可逆的に進行する疾患と捉える意見があった。

「アルツハイマー病とレビー小体型認知症の簡易鑑別バイオマーカーが望まれる」のように、本課題の解決は、診断が難しい症例の識別にもつながるとの意見もあった。

「血液バイオマーカーなど簡便かつ安価に診断できる方法の確立」、「安価で簡便な背景病理診断法の開発（バイオマーカー）」などのような新規な診断法を望む意見も多かった。

「血液バイオマーカーと ICT を用いた簡便な認知機能検査」のような認知機能検査法の改良、「アミロイド PET の高精度化」のような脳画像イメージング技術の進歩に期待するコメントもあった。

<早期治療介入の必要性に関する代表的なコメント>

- ・ 認知症予防のための早期診断は、治療効果発現の期待が持てる
- ・ 進行すると治療が困難と思われるため
- ・ 治療開始の目安になる
- ・ 早期に診断し、早期から有効な治療を行うことが望ましい
- ・ 早期診断と早期治療開始が最も重要と考えるため
- ・ preclinical からの介入に必須
- ・ 採血などで簡便に発症以前に A $\beta$  の蓄積が検出できれば発症以前に治療介入が可能となり、例えば抗 A $\beta$  抗体などで効果が得られる可能性がある
- ・ これが全ての始まり

<診断が難しい症例の存在>

- ・ 臨床診断などに頼っているため、診断に確定が持てないケースが多々ある
- ・ 特にアルツハイマー病とレビー小体型認知症の簡易鑑別バイオマーカーが望まれる
- ・ 診断に迷う症例がある

<新規な診断法を望む代表的な意見>

- ・ 健康診断のように多数を対象として、発症前に診断が可能となる方法を確立する
- ・ 血液・尿など健康診断で用いる検体でのスクリーニング
- ・ 血液バイオマーカーなど簡便かつ安価に診断できる方法の確立
- ・ 安価で簡便な背景病理診断法の開発（バイオマーカー）
- ・ 高価な画像検査では医療経済的にスクリーニングには適さない
- ・ 新規の認知機能検査法よりはバイオマーカーの確立を優先したほうがよい
- ・ PET 以外での A $\beta$  検出方法

<その他>

- ・ 血液バイオマーカーと ICT を用いた簡便な認知機能検査
- ・ 画像、生化学的診断法の確立が望まれる
- ・ アミロイド PET の高精度化
- ・ 企業間の垣根を取り払い研究を推進する

#### ④ 新しい予防・治療法の開発に向けた、病態メカニズム研究の促進

本課題に関しては、根本的治療への期待に関する意見が多く、また新しい治療選択肢を望む意見もみられ、現行の治療法とは異なるアプローチによる現状打破への期待がうかがえた。また、具体的なターゲットに関する意見も多かった。

<根本的治療を望む意見>

- ・ 根本的治療につながる薬剤の開発が望まれる
- ・ 進行予防や根本治療ができればよい
- ・ 根本治療薬の開発が最重要である
- ・ 根本的な原因をつかみ、それに対する特異的な治療が期待される
- ・ 疾患克服のため、当然の方向性と考える

<治療の新しい選択肢を望む意見>

- ・ **common disease** である疾患だが、予防、治療手段の選択肢が少ない
- ・ 新しい機序の薬剤を使用したい
- ・ 抗体療法をはじめ治験での失敗が続いており、治療に関するパラダイムシフトが必要と思われる
- ・ 早期発見・早期治療が望ましい
- ・ 早期での治療的介入の必要性

<ターゲットに関する意見>

- ・  $A\beta$ 、 $\tau$  の産生～分解経路、その調節機構の解明
- ・ BACE 阻害薬、抗  $A\beta$  抗体薬
- ・  $A\beta$ 、 $\tau$  などの役割と現実的な生活環境（生活習慣、食生活、運動など）の関連から総括的に知る
- ・ **cognitive reserve**（認知予備能）の病態メカニズム解明
- ・ 病態機序に基づく病態抑止療法を開発すること
- ・ 抗体療法以外の薬剤開発

<その他>

- ・ 日本では社会的投資が不十分
- ・ 企業間の垣根を取り払い研究を推進する

## ⑤ 予防医療、先制医療実現に向けた、認知症発症前の被験者レジストリの充実並びにその利活用

本課題に関しては、以下の具体的な方策・方法に関する意見が寄せられた。

<具体的な方策・方法に関する意見>

- ・ 早期診断と連動して戦略的な予防医療、先制医療の適応について一定の基準のもとにレジストリーが必要
- ・ 健康診断と研究の連携が必要
- ・ アミロイド PET の活用
- ・ 発症前の状態に病名をつけるべき
- ・ 一部で既に行われているが、国家的な開発に向けた具体的な方策は必要

## ⑥ 生活習慣病等による、予防介入（試験）の促進とエビデンスの獲得

本課題に関しては、以下の理由と、具体的な意見が寄せられた。

<予防介入が重要と考える理由>

- ・ 超高齢化社会の現状に鑑み、一次予防の視点は最も重要
- ・ 最も重要なのは予防である
- ・ 生活習慣等で予防ができる場合には、費用対効果が高い

<具体的な予防介入に関する意見>

- ・ 現段階では運動などのエビデンスのあることを行うしかない
- ・ 疫学的知見に即した予防介入試験とエビデンスの確立
- ・ 喫煙及び心房細動などがリスクとなり得ることの啓発と対策
- ・ 日頃から頭と体を使うことが大切との啓発が一番大事
- ・ 一人暮らしの方が、社会的にいきいきと生活できる状況を作る
- ・ 薬物療法以外の予防介入が最も重要
- ・ 生活習慣の改善

## ⑦ 予防、治療、ケアに関する、地域における医療連携体制づくりの促進

<医療連携体制づくりが重要と考える理由>

- ・ 現に困っている患者及び家族が多くいるため急務
- ・ 超高齢化社会、認知症人口増加への対処として急務
- ・ 地域のみ（医療施設抜き）で認知症患者をかくまってしまう場合がある
- ・ 根本的治療ができない現状においてできることは連携体制である。これができれば住み慣れた地域で暮らすことができる
- ・ 介護者の負担軽減のためには、絶対に必要である

- ・ 認知症診療に対する医療関係者の理解は十分とはいえない

＜具体的な方策に関する意見＞

- ・ 認知症患者の増加に対応する地域医療連携体制の充実
- ・ 診断の精度向上、戦略的な治療体制の構築が必要で常に治療と効果のモニタリングが必要
- ・ 診療と地域支援体制の整備・標準化
- ・ 新オレンジプランに基づいた、地域差のない地域包括医療提供体制の確立
- ・ 専門医とかかりつけ医のネットワークが不可欠、在宅を担える医師の養成
- ・ 良質な連携体制を作るにはまだまだ医療資源が足りない。一方で専門外の企業が利潤目的で参入することは禁止する必要がある
- ・ preclinical、MCI、認知症（軽度～重度）のあらゆる段階に対応できるシステムは高齢化社会には必要
- ・ 現状では、薬物治療よりも社会福祉体制による支援が重要

⑧ 上記以外

「⑧上記以外」に関して、以下の意見があった。

- ・ 治療による介護度の低下などを検討することが必要
- ・ 嗜銀顆粒性認知症との鑑別をしっかりとすべき
- ・ 適切な対応方法の周知、社会環境整備
- ・ 治療のコスト・ベネフィットの検討
- ・ 認知症患者の病前教育レベルに応じた、ケアシステムの導入

## (6) 日常の診療で問題となる点

問9 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の日常診療上で問題となる点について、自由にご回答下さい。

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の日常診療上で問題となる点に対する自由記載において、80名からコメントを頂いた。

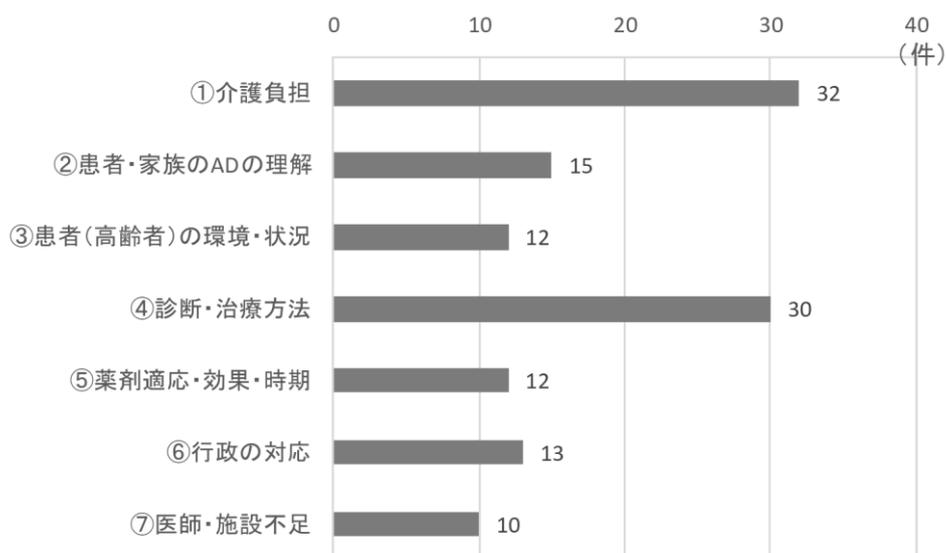
コメントについて回答頻度が高い問題を抽出した結果、以下の7つの項目に分類された。

- ①介護負担
- ②患者及び家族のアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に対する理解
- ③患者（高齢者）の環境や状況
- ④診断・治療方法
- ⑤薬剤の適応や効果
- ⑥行政の対策
- ⑦医師及び施設の不足

なお、回答者が複数の項目についてコメントしている場合は、項目あたりのコメント数として集計した。例えば「家族の理解と介護負担／医療というより、行政と政治の問題」というコメントの場合、②患者を含めた家族のアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に対する理解、①介護負担及び⑥行政の対策をそれぞれ1コメントとして集計した。

コメントを項目別に分類し集計した結果を示した（図表 2-2-15）。

図表 2-2-15 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の  
日常診療上での問題点



## ①介護負担

最も多く寄せられたコメントは、「①介護負担」に関してであった（32件）。進行したアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）患者に対しては、家族だけではなく医療機関及び地域が連携して見守ることが非常に重要である。しかし現実には、ごく少数の限られた介護者に負担が集中し、認知症の進行に伴い介護負担がさらに過大化して破綻をきたすこともある。不潔行為、暴力行為、徘徊、夜間不眠等の BPSD は介護者の負担を増大させ、介護疲労から介護者自身が別の疾患にかかってしまうといったコメントが散見された。

なお、「①介護負担」を日常診療上での問題にあげたコメントにおいて、32件のうち7件が「②患者や家族のアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）理解」に、32件のうち5件が「⑥行政の対策」に関して重複回答していた。

### <代表的なコメント>

家族及び周囲の人々の多大な負担です。暴力、自傷、危険行為などの状況によっては拘束も必要と思いますが、社会の理解がありません。偽善的な世論が患者を介護する人々（家族、施設職員を含む）を苦しめている現状を非常に憂慮しています。社会の意識を含め、早急に改善すべきだと考えます。

今後、簡便な早期診断法や根本的な治療法の開発が望まれますが、現時点では、介護者の負担を減らすための（社会的）資源が乏しすぎるのが問題とされます。

生理的老化の一環であるはずのアルツハイマー型認知症を、高齢化社会でどのように地域で支えるか定まらず、血縁者に負担を引き取らせたり（介護負担ばかりか経済的損害賠償まで）、医療機関に対応を押し付けるのはいかなものか。行政の積極的な対応が望まれる。

進行した患者を見守るためには大勢の人間の連携が必要であるが、現実にはごく少数の人間の負担が過大となり破綻する。社会全体のシステム作りに人材、資金を投入すべきである。認知症の発症前診断（非現実的）、高齢者認知症の根本治療の開発（恐らく無理）に膨大な資金や人材を充てるのはやめる方が良いのでは？

病識欠如、服薬管理困難、問題行動

## ②患者及び家族のアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に対する理解

介護負担を軽減するためには、「②患者及び家族のアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に対する理解」（病態進行の過程や対処方法、治療等）を深めることが重要である。例えば、家族が患者に自動車の運転をやめさせる必要に迫られた場合に、患者自身並びに家族に本疾患への十分な理解があれば移行がスムーズであろうと思われる。

### <代表的なコメント>

患者さん、家族が薬剤に対して過剰な期待を抱いている。治らない病気なのに病院へくれば何歳でも認知症が治ると思っている。メディアなどの責任があると思う。あたかもよくなる病気であるような幻想を抱かせるような宣伝はやめるべきだと思う。80歳以上で元気に日常生活に特に困っていない高齢の方が家族に連れられて、認知症の検査をして欲しいといって外来を受診するが、超高齢の方に認知機能検査をやって、あなたには認知症がありませんと宣告することになんの意味があるのか解らない。

本人の自覚症状よりも家族の受け入れやストレスのはけ口が病院になっているような気がします。

自覚症状に乏しいことが多く、家族など周囲の者が苦勞することが多く、社会的問題点が多いと考えられる。

ある程度進行してから受診するが多い。より早期に受診いただくような啓発活動。より簡便なバイオマーカーがあればより早期に診断できる可能性。

ご家族の病態受け入れによって全く状況が異なりますが、こればかりはご家族の性格にもより、なかなか、説得などによって変えることはできません。

それまで持っていたその人の尊厳が損なわれてしまう。その人と思いが共有できなくなる。

現在の薬剤はいずれも効果が乏しい。特に BPSD に対しては、ほとんど効果なし。過剰な期待を持たれると診療がしにくい。

徘徊や夜間不眠などで介護者が困るという声が多い。胃瘻造設の可否、決定。運転をやめさせることができないときの対応。

### ③患者（高齢者）の環境や状況

単身高齢者の増加に伴い、病態が進行し社会的に不適合な状態になって初めて医療に関わること、独居老人や老老介護などが診断後の経過に大きく影響することのような「③患者（高齢者）の環境や状況」に関する意見があり、これらは介護負担にも関連していると考えられる。

<代表的なコメント>

|  |
|--|
| 認知症の高齢者の一人暮らし、あるいはともに認知症の高齢夫婦が増えてきた。   |
| 単身高齢者の増加に伴い、進行し社会的に不適合な状態になって初めて医療がかかわることが多く日常生活すら成立しないこともある点。   |
| 年齢や生活状況や教育程度も勘案すると、早期発見は非常に困難かもしれません。  |
| 日常診療において薬物及び非薬物治療の介入を行う場合、独居老人、老々介護、認々介護など患者を取り巻く生活環境が大きく診断後の経過に大きく影響することがある。本疾患は加齢経過の中での疾患である以上、進行緩和ができたとしても、完治が望めない疾患病態である可能性も否定できない。高齢化が進む中で、高齢者がどのように社会と関わりながら生活を維持していくのかという根本的な社会構造の構築が必要なかもしれない。 |
| 患者さんの数が多く、他の身体疾患治療のための入院をすることが増えている。BPSDが生じた際に、施設によっては安易に拘束してしまう。医療スタッフ側のトレーニング不足。   |

### ④診断・治療方法、及び⑤薬剤の適応や効果

「④診断・治療方法」についても多くのコメントが寄せられた（30件）。なお、「⑤薬剤の適応や効果」に対しては、コメントの半数（12件のうち6件）が「④診断・治療方法」についても言及していた。

既存の治療薬はあくまで対症療法薬でありアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の進行を抑制することはできないことから、患者に対していつまで投薬を続けるべきか不明であるといった意見もあった。

一方で、現在開発中の新しい治療剤においても処方には正確な早期診断が必要である。しかしながら、アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の早期診断方法として有効と考えられているアミロイド PET や CSF（脳脊髄液）でのタウ分析は、施行できる施設に限りがあり、手技も煩雑で費用負担も大きい。また、Preclinical や MCI の早期診断の重要性がますます高まっている昨今、診断・治療方法における患者のスクリーニングには依然として大きな課題が残っているというコメントも寄せられた。

<④診断・治療方法の代表的なコメント>

独居や高齢夫婦二人暮らしの方が多く、服薬管理ができない。1回/月タイプの飲み薬か注射薬があれば、と思う。薬の効果が実感しにくい。高度アルツハイマー型認知症の患者にいつまでも薬を投与するべきか、判断し兼ねる。自動車運転の可否について、軽度の方は記憶力低下のみで実際運転に支障はない。だが事故を起こしたら、運転を許可した医師が責任を問われるのか。

そもそもアルツハイマー病の診断がどの程度の精度で行なわれているのか疑問がある。きちんとした診断をもとに治療しなければ薬物治療は進展していかないと思う。

amyloid-PET や CSF でのタウ分析などを行えばアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の正診率は高くなるだろうが、患者数がこれだけ多い疾患に対して、これらの特殊検査は費用や手技面から考えると screening にはなり得ないと考える。screening や疾患進行として医療財政を圧迫せず的確に診断できる方法の確立が重要なのではないだろうか。

疾患修飾療法においては、理論上 preclinical からの介入が有用であることが推定されますので、病態メカニズムの解明を進めた上で、preclinical も既に病気であるという概念の確立に、学会として注力することも重要かと思えます。（予防治療ではなく、疾患の治療であるという考え方、そして、preclinical と診断された人は、将来 100%アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に移行する、という診断方法の確立も重要と思えます）

ある程度進行してから受診する場合があります。より早期に受診いただくような啓発活動、より簡便なバイオマーカーがあればより早期に診断できる可能性。

根治法がない中で現在の薬物をはじめとする治療について、早期開始がより効果的というエビデンスはあまりに弱いのでは。

認知症発症予防の観点で抗認知症薬が処方されている。疾病感が重症な認知症のままであり、認知症の早期受診ができていない。

診断精度に不安を覚えることがままあり、治療方針に直結する分子病態診断方法を開発してもらいたい。

<⑤薬剤の適応や効果に対する代表的なコメント>

|   |
|---|
| 現在の治療は対症療法であり、やはり一歩進んだ段階への新薬の開発が必要と思われる。  |
| 高度認知症で失外套症候群の患者の、医療資源の投与が必要であるのかどうか？現状の保険制度で、カバーすべき対象かどうかの検討が必要である。   |
| 確実なバイオマーカーがない点、効果的な治療がない点、薬剤は決して進行を抑制しているわけではない点。   |
| ブラインドで抗認知症薬が投与されている場合も多い。treatable dementia の除外は最低でも行うべきである。また抗認知症薬の responder か否かの判断も行い、non-responder であれば他の抗認知症薬に変更するなどの対応も必要である。そのためには、初期の診断・治療に関しては、基本的に神経内科医が行うべきと考えている。 |
| MCI ではメマンチンなどの適応がないこと。  |

**⑥行政の対策、及び⑦医師及び施設の不足**

「⑥行政の対策」及び「⑦医師及び施設の不足」に対するコメントとしては、主に、高度の認知症患者の受入先やデイケア等の不足、医療財政を圧迫しない治療の必要性、また、進行度評価や介護者の医療的ニーズに対応できる医師の不足、通所・訪問介護サービスの導入、及び医療関係者の認知症に対する理解が不十分等であった。

<⑥行政の対策に対する代表的なコメント>

|   |
|---|
| 不穏や感情失禁、異常行動の管理が大変で、最終的には高度進行になるので、その時の受入先が少ない。   |
| 高度の認知症患者をどうすればいいのか。   |
| 行政は学会専門医ではなく「認知症サポート医」を主軸にとらえているのではないか  |
| 認知症医療センター間の日頃の連絡が乏しく、また診断、治療困難例、新規治験などを基幹病院に紹介する機会が少ない。教育レベルの高い認知症患者のデイケアと心理ケアが不足している。内向きとなり抑うつが多い。 |
| 現時点では有効な薬がないので、超少子高齢化のなか介護をいかに効率的に行うかは国家的課題です。  |

<⑦医師及び施設の不足に対する代表的なコメント>

|  |
|--|
| 核医学検査を関連医療機関に依頼する必要がある。  |
| 神経内科医は初回診断のみで継続診療を行わないことも多い。根本治療のない現在、進行度評価や介護者の医療的ニーズに対応できる医師が極端に少ないことが問題と考えます。   |
| 入所施設が足りない。   |
| アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）を診療する神経内科医、精神科医では全ての患者に対応できない。一般内科医や開業医、地域の医療、福祉に携わる人材の不足。  |
| 医療関係者の認知症に対する理解が十分でないことを問題に感じます。BPSDに対する薬物療法や、介護サービスの環境調節で、家族に対する負担をかなり軽くすることができることを医療者が知らないことが多いです。地域のかかりつけ医が認知症に関する専門的な知識が無くても、例えば通所・訪問の介護サービスの導入を行うだけで、救われる患者・家族が多く存在すると思います。 |

## (7) まとめ・考察

### － アルツハイマー型認知症治療の症状・機能障害別の分析、 並びにアルツハイマー病の克服に向けた課題整理 －

アルツハイマー型認知症の症状には、認知機能障害と行動・心理症状（BPSD）の 2 つがあり、両症状とも本疾患患者の生活機能に障害をきたすとともに、その重症化は、家族の介護負担を招いている。アルツハイマー型認知症の認知機能、生活機能障害、BPSD、介護者における介護負担、並びに MCI について現状の治療満足度及び薬剤貢献度を把握し、深刻な社会問題に発展しているアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の克服のために解決すべき課題をひとつひとつ整理することは、意義が高いと考える。

#### 1) 認知機能（MCI 期含む）に対する治療満足度と薬剤貢献度

アルツハイマー型認知症の各症状、各機能障害等に対する治療満足度並びに薬剤貢献度のアンケート調査の結果では（問 4-1 及び問 4-2）、認知機能に対する治療満足度並びに薬剤貢献度は高くなかった（治療満足度；18.7%、薬剤貢献度；38.7%）。

認知機能に対する薬剤貢献度には、認知症専門医と非専門医で差がみられ、認知症専門医は薬剤貢献度をより高く評価していた（認知症専門医；60.0%、非専門医；31.9%）。認知症専門医は、非専門医よりも承認薬 4 剤の病期、症状別の使い方に精通しているため、薬剤貢献度の評価に反映されたと推察される。一方で、認知機能に対する治療満足度は、認知症専門医でも低い結果であった（認知症専門医；24.4%、非専門医；16.9%）。

MCI に対する治療満足度並びに薬剤貢献度は高くなかった（治療満足度；33.2%、薬剤貢献度；34.4%）。現状の治療手段では、認知機能障害の進行に対して効果的な治療ができていないと考える医師が多いことを示す結果であった。

#### 2) BPSD に対する治療満足度と薬剤貢献度

BPSD に対する治療満足度並びに薬剤貢献度は、他の症状や機能障害と比較して高かった（治療満足度；41.7%、薬剤貢献度；60.2%）。BPSD については、患者の同意を得た上で、リスクベネフィットを考慮して向精神薬の適応外使用を検討することが、「認知症診療ガイドライン」に記載されており（認知症診療ガイドライン 2017 第 3 章治療 p54-117）、向精神薬の適正な処方が反映された結果と推察する。

問 5-2 においても、現在承認されているアルツハイマー型認知症治療薬 4 剤以外の薬物治療は BPSD に効果があると 64.2%が回答しており、認知症専門医に限定すると、75.6%が承認薬 4 剤以外の薬物治療で BPSD に効果があると回答した。

また、非薬物療法も BPSD に効果があるという回答（問 5-3；65.9%）も多かった。

認知症疾患治療ガイドラインで、代表的な非薬物療法として、バリデーション療法、リアリティ・オリエンテーション、回想法、音楽療法、認知刺激療法、及び運動療法が紹介

されている。これらの非薬物療法は、BPSD の一層の対策につながる選択肢のひとつであるかもしれない。

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のための重要課題に関する設問（問 8）において、BPSD の適時・適切な治療法（介護を含む）の確立を選択した回答も多く（77 件）、具体的なマニュアルの整備に期待する意見もあった。

### 3) 生活機能障害、並びに介護者における介護負担に対する治療満足度並びに薬剤貢献度

アルツハイマー型認知症の生活機能障害、並びに介護者における介護負担に対する治療満足度（それぞれ、18.7%及び17.6%）並びに薬剤貢献度（それぞれ、26.9%及び28.5%）は共に低く、介護負担は社会全体の解決すべき課題として重要度が高い（問 4-1、4-2）。

非薬物療法については、生活機能障害、並びに介護者における介護負担に効果があるとの回答が比較的多く（それぞれ 57.3%及び64.3%）、生活機能障害に対して認知症専門医の 72.7%（非専門医 52.5%）が非薬物療法に効果があると回答した（問 5-3）。非薬物療法の標準化や普及、並びにその徹底は、アルツハイマー型認知症患者の生活機能障害の改善あるいは進行抑制、介護者の介護負担の軽減につながる一手段として期待されていると思われる。

### 4) 承認薬 4 剤で治療効果が期待できないと判断した場合の処方方針

現在承認されているアルツハイマー型認知症治療薬 4 剤の効果が期待できないと判断された場合、処方中止を選択した回答は 42.1%であり（問 6）、その理由の多くは「効果がない、副作用のリスク」であった。また、処方継続を選択した回答もほぼ同数（40.4%）であり、「患者や家族への配慮を理由に処方を継続する」等のように積極的な治療継続ではないという意見、「中止による認知機能や BPSD 等の症状悪化」を危惧するなど多様な意見がみられた。これら 4 剤では、効果が認められない場合漫然と投与しないとされている（添付文書・重要な基本的注意）が、認知機能障害に加えて様々な症状を示し、患者ごとにその症状や進行度が様々である点が、医師の処方方針（継続／中止の判断）を難しくしていると考えられた。

### 5) 根本治療薬の介入時期

根本治療薬の介入時期として、MCI を選択した回答は 35.5%、MCI よりも早期（SCI あるいは preclinical）が適切と考える回答は 60.8%であり、これらの結果に認知症専門医と非専門医の間で大きな差はなかった（問 7）。臨床的な認知症状が出現する約 20 年前（preclinical）から A $\beta$  アミロイドの沈着が観察されること、そして MCI からアルツハイマー型認知症への進展を抑制する確実な治療方法が現時点では確立されていないことから、MCI よりも早期に治療介入する必要性が共通の認識に至っているものと考えられた。

昨年末開催された認知症施策推進関係閣僚会議（2018 年 12 月 25 日）において、「予防」

を新たな柱とし、日常生活の中での予防や効果の検証を進めていくことが取り上げられている。「予防」をキーワードとして、本疾患の多面的な対策が進むものと思われる。

#### 6) アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の克服のために解決すべき課題

昨年度、HS 財団医療ニーズ調査班ではアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の研究・治療に関する専門医に対しヒアリングを実施し、同疾患の克服のために解決すべき課題を抽出した（平成 29 年度「アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に関する医療ニーズ調査」報告書）。問 8 では、上記の解決すべき各課題について回答者の意見・コメントを整理した。「高精度で簡便な早期診断法の確立」並びに「新しい予防・治療法の確立に向けた、病態メカニズム研究の促進」は、全体の 50%以上が重要な課題として回答した。診断法については、高精度、簡便性以外にスクリーニングに適するコストでの診断の実現などの要望も多い。早期診断を重要とする理由として、「これが全ての始まり」とのコメントは象徴的意見と感じられる。

本疾患の克服のための課題の中には、認知症専門医と非専門医の視点の差がみられた課題があった。「予防医療、先制医療に向けた、認知症発症前の被験者レジストリの充実並びにその利活用」の回答は前者に多く、「予防、治療、ケアに関する、地域における医療連携体制づくりの促進」の回答は後者に多かった。認知症専門医は長期間にわたる前向き観察研究の中から戦略的な予防医療・先制医療につながる知見を見出すことに、非専門医は認知症人口増加への対処を急ぐことに重きを置いていることを示唆する結果であった。

#### 7) 日常診療上の問題点

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）における日常診療上の問題点として多数のコメントを頂き、それらを「介護負担」、「患者や家族のアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の理解」、「患者（高齢者）の環境・状況」などの 7 項目に分類し、整理した（問 9）。

コメントの中で、介護負担に関する意見が最も多かった。本疾患の進行抑制に対する有効な薬剤がない現状で、介護負担の軽減を主目的とするアルツハイマー型認知症の治療については、「行動・心理症状」の改善、すなわち BPSD への対応が急務であることがうかがえた。高齢化と核家族化が進み、高齢者が高齢者を介護する状況にもかかわらず、専門医師や介護サービスの人員や受け入れ施設が不足している現状において、介護負担を軽減するための政策が求められている。コメントでは、専門医療機関、かかりつけ医、介護サービスに加えて地域支援の拡充等、より一層の環境整備を望む声が見受けられた。新オレンジプラン（認知症施策推進総合戦略）の基本的考え方にも、『認知症の人を単に支えられる側と考えるのではなく、認知症の人が認知症とともによりよく生きていくことができるような環境整備が必要』と提唱されている。アルツハイマー型認知症患者の介護を家族や施設だけに求めるのではなく、地域社会や地域医療を通してアルツハイマー型認知症と

向かい合う体制を整えることが必要となる。医療従事者のみならず、患者の家族、自治体や行政等が一体となって取り組むべき課題は多い。

介護負担に関するコメントに続いて、診断・治療に関するコメントも多くあった。本疾患の症状がある程度進行して受診するケースが少なくなく、早期受診の啓発を訴える意見がある。現状では、アミロイドPETや脳脊髄液中tau測定などにより早期にアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）を診断し、承認薬による早期治療介入がベストな診断・治療と考えられる。しかしながら、PET検査の施行できる施設には限りがあり、費用面や手技面の問題が残ること、現在の承認薬は対症療法に過ぎないことなど、診断・治療の限界についてコメントする医師が多かった。

施設や医師の不足、地域医療に携わる人材の不足などのコメントもあり、日常診療上の問題点は多岐にわたる。アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の対策は、幅広い視点で取り組む必要がある。

## 2-3 総括

今年度の「医療ニーズ調査」は、日本神経治療学会の全面的な協力を得て神経内科医を対象に、2013年度以来5年ぶりとなる「神経疾患の医療ニーズ調査」及び医療満足度が極めて低く、その克服が国民的課題ともいえる「アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）」についてアンケート調査を実施した。前者では調査の対象となる60の神経疾患・症候に関する現在の医療満足度の状況と前回調査からの変化を把握すること、後者については昨年度にHS財団が実施した同疾患の医療ニーズ調査の検証とともに、新たな視点からの設問を設定して課題の深掘りを目指した。今回の調査は、日本神経治療学会の多大な協力により、学会の役員、評議員のみならず一般会員からも多く回答があり、広くご意見、コメントを頂くことができたと考える。

「神経疾患の医療ニーズ調査」の調査結果及びまとめ・考察の詳細は第2章2-1に譲るが、調査結果の大きな特徴として、以下があげられる。

- ・60神経疾患・症候の約2/3において、「治療満足度」及び「薬剤貢献度」ともに前回調査（2013年度）より向上し、全体としては医療ニーズの充足傾向が見られるが、「治療満足度」あるいは「薬剤貢献度」が50%以上の疾患数に大きな変化はなかった。一方で、「治療満足度」と「薬剤貢献度」が極めて低い疾患数は前回調査より減少しており、最近の新薬承認を含む医療の進歩が反映された結果を得た。ただし、前回調査と同様に「治療満足度」及び「薬剤貢献度」で二極化の傾向がみられ、薬剤が貢献して一定の治療が可能な疾患と、いまだに薬剤の貢献が小さく、満足な治療が行われない疾患があることが示唆された。「治療満足度」が低い疾患については、治療薬がなかったり、いまだ標準的な治療が確立していない疾患も多く、また「治療満足度」が相対的に高いと回答された疾患についても、「十分に満足」や「薬剤貢献度」での「十分に貢献」は少ない。各疾患の課題を把握して解決に取り組む必要性を改めて認識した。
- ・「新規治療法の開発が急務な疾患」について回答の多い疾患は、「アルツハイマー病」や「筋萎縮性側索硬化症」をはじめ、前回調査の結果とほぼ同じであり、患者数が多く今後も増加する状況や、病状が重篤・致死的であるにもかかわらず、有効な薬剤及び治療法がない状況が依然として問題となっていることが確認された。また、「パーキンソン病」のように、「治療満足度」及び「薬剤貢献度」が比較的高い疾患においては、患者数が多いにもかかわらず、治療が対症療法にとどまっており疾患の根本的解決にはなっていない状況がうかがえる。
- ・「新規治療法の開発が急務な疾患・症候」についてのコメント全体をとおして、上記の比較的回答数が多い疾患のみならず、多くの疾患でiPS細胞を用いたスクリーニングや遺伝子レベルの病因解析、及び核酸医薬、再生医療、遺伝子治療など、革新的な創薬研究技術や予防・治療モダリティへの期待が大きく、多岐にわたる研究開発の必要性が認

識された。

「アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）」のアンケート調査における特徴を以下にまとめる。詳細は第2章2-2を参照されたい。

- ・「治療満足度」及び「薬剤貢献度」に関する症状や機能障害別の調査では、前項の60疾患・症候の調査結果と比較して、認知機能や生活機能の「治療満足度」及び「薬剤貢献度」は低く、行動・心理症状（BPSD）のそれらは高い結果を示した。また、認知症専門医と非専門医の回答に差が見られ、「薬剤貢献度」において認知症専門医の評価が非専門医より高い傾向を示した結果は、専門医の方が、承認薬4剤の病期、症状別の使い方に精通していることが反映されたのではないかと推察する。
- ・アルツハイマー型認知症の適応で現在承認されている4剤が、種々の症状、機能障害に対して効果を示すとする回答は最大で50%程度であり、また、これら4剤に治療効果が期待できない場合の対応として、「中止」を選択する意見が40%以上あるなど、既存の承認薬の問題点が明確になる結果となった。上記4剤以外の薬物療法において、「行動・心理症状（BPSD）」に効果があるとする回答が2/3近くに達している。根本治療薬が開発された場合、より早期に治療を開始すべきとの多数意見も含め、薬剤開発において本疾患の克服には病期ステージや症状に応じた多面的な解決が必要であることが認識された。
- ・アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のための意見・考え、日常診療における問題点（自由回答）では多数の回答を頂き、本疾患の課題の多さ、深さを改めて実感した。その中で、回答者の半数以上が、疾患克服のために「早期診断法の確立」並びに「疾患メカニズムの解明」が重要と指摘した。この結果は昨年度の専門医に対するヒアリング調査とも整合する結果であり、本疾患克服にサイエンス・技術の進歩が極めて重要であり、期待も大きいことが再認識された。日常診療での問題点では、介護負担に関して、患者家族の過大な負担が深刻な問題であることを実感する意見が多数寄せられた。患者、介護者を取り巻く社会や医療環境など現実の状況を把握し、速やかに対策を検討し、アルツハイマー型認知症と向かい合う体制を整える必要性が認識された。

今回の調査対象となった神経疾患・症候のうち、ここ数年の新薬の登場でいくつかの疾患において医療満足度が確実に上昇していることが認識されたが、同時に多くの疾患でいまだ満たされていない医療ニーズを把握することができた。実臨床や研究に携わる神経内科専門医から直接的な意見・コメントを頂き、それらを集約した他に類を見ない報告書になったと考える。神経疾患克服のために日々取り組んでおられる全ての医療関係者に参考となり、これら疾患の医療ニーズが満たされることに少しでも貢献できれば幸いである。

最後に改めて、本調査報告作成にあたり全面的にご協力、ご支援及びご指導いただいた日本神経治療学会理事長平田幸一先生をはじめ、医療ニーズプロジェクトチームの先生方、及びアンケート調査に協力いただいた多くの学会会員の先生方に感謝申し上げます。

## あとがき

報告書をお読みになって、今回の調査報告のなかに多くの貴重なデータが含まれていることを皆様はお感じになったと思います。前回の結果と同様に今後、様々な角度から分析が行われると思いますが、まず、全体としては治療満足度・薬剤貢献度が前回と大きく変わらなかったことが挙げられます。これはこの調査の正確性を担保する裏付けと思われる。一方で治療満足度・薬剤貢献度評価が大きく増加した疾患も一部にありました。これこそがまさに新規薬剤の開発の成果を物語っていると思います。これらの結果を鑑みるにこの調査が将来の創薬の方向性の確立に大きな意味を持つものと考えられます。すなわち医療ニーズ調査の目的とは医療に求められる要素を明らかにすることによって、関係者がそれぞれの立場で的確に対応し、医療に関する満足度を向上させ、医療及び医療産業が発展することを目的とされている訳ですが、本調査はまさにそれを具現したものと考えられます。これに加え今回の調査では、前回の調査で治療満足度・薬剤貢献度ともに低かったアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に対して特別にアンケート調査を行ったという重点的かつ新しい調査も含まれていました。国民病として注目されつつある本疾患に焦点を当て結果を得たことは、今後の医療施策にも大きな変化を及ぼす可能性もあります。

本報告書は HS 財団医療ニーズ調査班の皆様の絶大なる努力の賜であることはもちろんであると思いますが、今後は日本神経治療学会として、この貴重なデータに更に分析と検討を加え、将来の神経疾患の治療の方向を考えるのに役立たせていきたいと考えます。また、今回のアンケート調査では、新しい治療法開発に資する学会、製薬会社などに対する意見、また創薬に関する自由な意見が書かれていますので大いに参考にさせていただきます。HS 財団の医療ニーズ調査班におかれましても、今後さらに有意義な調査を続けていられることと思います。今後とも皆様のご協力をお願いしあとがきとさせていただきます。

獨協医科大学病院 病院長  
獨協医科大学 内科学（神経）主任教授  
一般社団法人 日本神経治療学会 理事長  
平田幸一

資料－１ 60 神経疾患・症候で承認／追加された医薬品

2018 年度の調査対象である 60 神経疾患・症候について、承認／追加された医薬品以下に示す（2010.1.1～2018.12.31）。

■：(3) 2013 年度の調査結果との比較 2), 3)で言及している疾患

| 対象疾患                            | 承認成分                 | 承認内容   | 承認日        | 承認/<br>追加 |
|---------------------------------|----------------------|--|------------|-----------|
| アテローム血栓性/<br>ラクナ梗塞（非塞<br>栓性脳梗塞） | チカグレロル               | リスク因子を 1 つ以上有する陳旧性心筋梗塞のうち、アテローム血栓症の発現リスクが特に高い場合  | 2016/9/28  | 承認        |
| アルツハイマー病                        | メマンチン<br>塩酸塩         | 中等度及び高度アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制を効能・効果とする新有効成分含有医薬品  | 2011/1/21  | 承認        |
|                                 | ガラタミン<br>臭化水素酸塩      | 軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制を効能・効果とする新有効成分含有医薬品   | 2011/1/21  | 承認        |
|                                 | リバスチグミン              | 軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制を効能・効果とする新有効成分含有医薬品   | 2011/4/22  | 承認        |
|                                 |                      | 軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制を効能・効果とする新用量医薬品   | 2015/8/24  | 追加        |
| レビー小体型<br>認知症                   | ドネペジル<br>塩酸塩         | レビー小体型認知症における認知症症状の進行抑制の効能・効果を追加とする新効能・新用量医薬品  | 2014/9/19  | 追加        |
|                                 | ゾニサミド                | レビー小体型認知症に伴うパーキンソニズム（レボドパ含有製剤を使用してもパーキンソニズムが残存する場合）の効能・効果を追加とする新効能・新用量医薬品                        | 2018/7/2   | 追加        |
| パーキンソン病                         | プラミベキソール<br>塩酸塩水和物   | パーキンソン病を効能・効果とする新剤形・新用量医薬品   | 2011/4/22  | 追加        |
|                                 | アポモルヒネ<br>塩酸塩水和物     | パーキンソン病におけるオフ症状の改善（レボドパ含有製剤の頻回投不及び他の抗パーキンソン病薬の増量等を行っても十分に効果が得られない場合）を効能効果とする新有効成分含有医薬品【希少疾病用医薬品】 | 2012/3/30  | 承認        |
|                                 | ロピニロール<br>塩酸塩        | パーキンソン病を効能・効果とする新剤型・新用量医薬品   | 2012/6/29  | 追加        |
|                                 | イストラデフィリン            | レボドパ含有製剤で治療中のパーキンソン病におけるウェアリングオフ現象の改善を効能・効果とする新有効成分含有医薬品   | 2013/3/25  | 承認        |
|                                 | ロチゴチン                | ①②パーキンソン病、中等度から高度の特発性レストレスレッグス症候群（下肢静止不能症候群）を効能・効果とする新有効成分含有医薬品<br>③④パーキンソン病を効能・効果とする新有効成分含有医薬品  | 2012/12/25 | 承認        |
|                                 | ゾニサミド                | パーキンソン病における症状の日内変動（wearing-off 現象）の改善を効能・効果とする新用量医薬品   | 2013/8/20  | 追加        |
|                                 | レボドパ/カルビドパ水和物/エンタカボン | パーキンソン病〔レボドパ・カルビドパ投与において症状の日内変動（wearing-off 現象）が認められる場合〕を効能・効果とする新医療用配合剤                         | 2014/7/4   | 追加        |
|                                 | レボドパ/カルビドパ水和物        | レボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病の症状の日内変動（wearing-off 現象）の改善を効能・効果とする新医療用配合剤【希少疾病用医薬品】       | 2016/7/4   | 追加        |

|                              |   |  |            |    |
|------------------------------|---|--|------------|----|
| パーキンソン病                      | セレギリン<br>塩酸塩  | パーキンソン病（レボドパ含有製剤を併用する場合：<br>Yahr 重症度ステージ I～IV、レボドパ含有製剤を併用し<br>ない場合：Yahr 重症度ステージ I～III）を効能・効果と<br>する新効能・新用量医薬品                  | 2015/12/21 | 追加 |
|                              | ラサギリン<br>メシル酸塩  | パーキンソン病を効能・効果とする新有効成分含有医薬<br>品   | 2018/3/23  | 承認 |
| ハンチントン病                      | テトラベナジン   | ハンチントン病に伴う舞踏運動を効能・効果とする新有<br>効成分含有医薬品【希少疾病用医薬品】  | 2012/12/25 | 承認 |
| 筋萎縮性<br>側索硬化症                | エダラボン   | 筋萎縮性側索硬化症（ALS）における機能障害の進行抑<br>制の効能・効果を追加とする新効能・新用量医薬品<br>【希少疾病用医薬品】  | 2015/6/26  | 追加 |
| 球脊髄性<br>筋萎縮症                 | リュープロレリ<br>ン酢酸塩                                       | 球脊髄性筋萎縮症の進行抑制の効能・効果を追加とする<br>新効能医薬品【希少疾病用医薬品】  | 2017/8/25  | 追加 |
| 脊髄性<br>筋萎縮症                  | ヌシネルセン<br>ナトリウム                                       | 乳児型脊髄性筋萎縮症を効能・効果とする新有効成分含<br>有医薬品【希少疾病用医薬品】  | 2017/7/3   | 承認 |
|                              |   | 脊髄性筋萎縮症を効能・効果とする新効能・新用量医薬<br>品【希少疾病用医薬品】   | 2017/9/22  | 追加 |
| 多発性硬化症                       | フィンゴリモド<br>塩酸塩  | 多発性硬化症の再発予防及び身体的障害の進行抑制を効<br>能・効果とする新有効成分含有医薬品<br>【希少疾病用医薬品】   | 2011/9/26  | 承認 |
|                              | メチルプレドニ<br>ゾロンコハク酸<br>エステルナトリ<br>ウム                   | 多発性硬化症の急性増悪の効能・効果を追加とする新効<br>能・新用量医薬品【事前評価済公知申請】   | 2013/3/25  | 追加 |
|                              | ナタリズマブ<br>（遺伝子組換<br>え）                                | 多発性硬化症の再発予防及び身体的障害の進行抑制を効<br>能・効果とする新有効成分含有医薬品<br>【希少疾病用医薬品】   | 2014/3/24  | 承認 |
|                              | グラチラマー<br>酢酸塩   | 多発性硬化症の再発予防を効能・効果とする新有効成分<br>含有医薬品【希少疾病用医薬品】   | 2015/9/28  | 承認 |
|                              | フマル酸<br>ジメチル  | 多発性硬化症の再発予防及び身体的障害の進行抑制を効<br>能・効果とする新有効成分含有医薬品<br>【希少疾病用医薬品】   | 2016/12/19 | 承認 |
| ギラン・バレー症<br>候群/フィッシャー<br>症候群 | 乾燥ポリエチレ<br>ングリコール処<br>理人免疫グロブ<br>リン                   | ギラン・バレー症候群（急性増悪期で歩行困難な重症<br>例）の効能・効果を追加とする新効能医薬品   | 2016/9/28  | 追加 |
| 慢性炎症性脱髄性<br>多発神経炎            | ポリエチレング<br>リコール処理人<br>免疫グロブリン<br>G                    | 慢性炎症性脱髄性多発根神経炎（多巣性運動ニューロパ<br>チーを含む）の運動機能低下の進行抑制（筋力低下の改<br>善が認められた場合）の効能・効果を追加とする新効<br>能・新用量医薬品【希少疾病用医薬品】                       | 2016/12/19 | 追加 |
| アミロイドーシス                     | タファミジスメ<br>グルミン                                       | トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパ<br>チーの末梢神経障害の進行抑制を効能・効果とする新有<br>効成分含有医薬品【希少疾病用医薬品】   | 2013/9/20  | 承認 |
| 糖尿病性<br>ニューロパチー              | デュロキセチン<br>塩酸塩  | 糖尿病性神経障害に伴う疼痛の効能・効果を追加とする<br>新効能医薬品  | 2012/2/22  | 追加 |
| 進行性<br>筋ジストロフィー              | ①～③プレドニ<br>ゾロンコハク酸<br>エステルナトリ<br>ウム<br>④～⑥プレドニ<br>ゾロン | 川崎病の急性期（重症であり、冠動脈障害の発生の危険<br>がある場合）（①～⑥）及びデュシェンヌ型筋ジストロ<br>フィー（④～⑥）の効能・効果を追加とする新効能・新<br>用量医薬品<br>デュシェンヌ型筋ジストロフィー<br>【事前評価済公知申請】 | 2013/9/13  | 追加 |

|               |                                     |  |            |    |
|---------------|-------------------------------------|--|------------|----|
| 多発性筋炎<br>皮膚筋炎 | ポリエチレング<br>リコール処理人<br>免疫グロブリン       | 多発性筋炎・皮膚筋炎における筋力低下の改善（ステロ<br>イド剤が効果不十分な場合に限る）の効能・効果を追加<br>とする新効能・新用量医薬品【希少疾病用医薬品】  | 2010/10/27 | 追加 |
|               | アザチオプリン                             | 治療抵抗性の下記リウマチ性疾患全身性血管炎（顕微鏡<br>的多発血管炎、ウェゲナー肉芽腫症、結節性多発動脈<br>炎、アレルギー性肉芽腫性血管炎症候群、大動脈炎症候<br>群等）、全身性エリテマトーデス（SLE）、多発性筋炎、<br>皮膚筋炎、強皮症、混合性結合組織病、及び難治性リウ<br>マチ性疾患の効能・効果を追加とする新効能・新用量医<br>薬品【事前評価済公知申請】 | 2011/5/20  | 追加 |
|               | タクロリムス<br>水和物                       | 多発性筋炎・皮膚筋炎に合併する間質性肺炎の効能・効<br>果を追加とする新効能・新用量医薬品<br>【希少疾病用医薬品】   | 2013/6/14  | 追加 |
|               | メチルプレドニ<br>ゾロンコハク酸<br>エステルナトリ<br>ウム | 治療抵抗性の下記リウマチ性疾患全身性血管炎（顕微鏡<br>的多発血管炎、ウェゲナー肉芽腫症、結節性多発動脈炎、<br>アレルギー性肉芽腫性血管炎症候群、大動脈炎症候群<br>等）、全身性エリテマトーデス、多発性筋炎、皮膚筋<br>炎、強皮症、混合性結合組織病、及び難治性リウマチ性<br>疾患を効能・効果を追加とする新効能・新用量医薬品<br>【事前評価済公知申請】      | 2014/8/29  | 追加 |
| 重症筋無力症        | ポリエチレング<br>リコール処理人<br>免疫グロブリン       | 全身型重症筋無力症(ステロイド剤又はステロイド剤以外<br>の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る)の効能・効<br>果を追加とする新効能医薬品【希少疾病用医薬品】  | 2011/9/26  | 追加 |
|               | エクリズマブ<br>（遺伝子組換<br>え）              | 全身型重症筋無力症（免疫グロブリン大量静注療法又は<br>血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限る）の<br>効能・効果を追加とする新効能・新用量医薬品<br>【希少疾病用医薬品】  | 2017/12/25 | 追加 |
| 神経<br>ベーチェット  | インフリキシマ<br>ブ（遺伝子組換<br>え）            | 既存治療で効果不十分な腸管型ベーチェット病、神経型<br>ベーチェット病、血管型ベーチェット病の効能・効果を<br>追加とする新効能・新用量医薬品【希少疾病用医薬品】  | 2015/8/24  | 追加 |
| 片頭痛           | バルプロ酸<br>ナトリウム                      | 片頭痛発作の発症抑制の効能・効果を追加とする新効<br>能・新用量医薬品【事前評価済公知申請】  | 2011/6/16  | 追加 |
|               | プロプラノロー<br>ル塩酸塩                     | 片頭痛発作の発症抑制の効能・効果を追加とする新効<br>能・新用量医薬品【事前評価済公知申請】  | 2013/2/28  | 追加 |
| てんかん          | レベチラセタム                             | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん<br>患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する<br>抗てんかん薬との併用療法を効能・効果とする新有効成<br>分含有医薬品   | 2010/7/23  | 承認 |
|               |                                     | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん<br>患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗<br>てんかん薬との併用療法の効能・効果に、小児用量を追<br>加する新用量医薬品   | 2013/5/31  | 追加 |
|               |                                     | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん<br>患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗<br>てんかん薬との併用療法の効能・効果に、小児用量を追<br>加する新用量・剤型追加に係る医薬品   | 2013/6/28  | 追加 |
|               |                                     | 一時的に経口投与ができない患者における、他の抗てん<br>かん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分<br>発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬<br>との併用療法に対する、レベチラセタム経口製剤の代替<br>療法を効能・効果とする新投与経路医薬品  | 2014/7/4   | 追加 |
|               |                                     | てんかんの部分発作（二次性全般化発作を含む）を効<br>能・効果とする新効能・新用量医薬品  | 2015/2/20  | 追加 |

|   |                           |  |            |    |
|---|---------------------------|--|------------|----|
| てんかん                                    | レベチラセタム                   | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の強直間代発作に対する抗てんかん薬との併用療法の効能・効果を追加とする新効能医薬品   | 2016/2/29  | 追加 |
|   | ホスフェニトインナトリウム水和物          | てんかん重積状態、脳外科手術又は意識障害（頭部外傷等）時のてんかん発作の発現抑制、フェニトインを経口投与しているてんかん患者における一時的な代替療法を効能・効果とする新有効成分含有医薬品                      | 2011/7/1   | 承認 |
|   | ガバペンチン                    | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬との併用療法を効能・効果とし、小児用量を追加する新用量・剤型追加に係る医薬品                      | 2011/7/1   | 追加 |
|   | ルフィナミド                    | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないレノックス・ガストー症候群における強直発作及び脱力発作に対する抗てんかん薬との併用療法を効能・効果とする新有効成分含有医薬品【希少疾病用医薬品】                      | 2013/3/25  | 承認 |
|   | トピラマート                    | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬との併用療法を効能・効果とし、小児の用法・用量を追加する新用量医薬品                          | 2013/11/22 | 追加 |
|   |                           | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬との併用療法を効能・効果とし、小児の用法・用量を追加するとともに、細粒の製剤を追加とする、新用量・剤型追加に係る医薬品 | 2014/1/17  | 追加 |
|   | ラモトリギン                    | てんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）、強直間代発作に対する単剤療法の効能・効果を追加とする新効能・新用量医薬品  | 2014/8/29  | 追加 |
|   |                           | てんかん患者の定型欠伸発作に対する単剤療法の効能・効果を追加とする新効能・新用量医薬品  | 2015/9/24  | 追加 |
|   | ミダゾラム                     | てんかん重積状態の効能・効果を追加とする新効能・新用量・剤型追加に係る医薬品   | 2014/9/26  | 追加 |
|   | ビガバトリン                    | 點頭てんかんを効能・効果とする新有効成分含有医薬品【希少疾病用医薬品】  | 2016/3/28  | 承認 |
|   | ペランパネル水和物                 | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）、強直間代発作に対する抗てんかん薬との併用療法を効能・効果とする新有効成分含有医薬品                            | 2016/3/28  | 承認 |
|   | オクスカルバゼピン                 | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬との併用療法を効能・効果とする新有効成分含有医薬品                                   | 2016/7/4   | 承認 |
|   | ラコサミド                     | 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬との併用療法を効能・効果とする新有効成分含有医薬品                                   | 2016/7/4   | 承認 |
| てんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）を効能・効果とする新効能医薬品 |                           | 2017/8/25  | 追加         |    |
| ロラゼパム                                   | てんかん重積状態を効能・効果とする新投与経路医薬品 | 2018/9/21  | 追加         |    |
| ライソゾーム病/ペルオキシソーム病                       | セベリパーゼアルファ（遺伝子組換え）        | ライソゾーム酸性リパーゼ欠損症を効能・効果とする新有効成分含有医薬品【希少疾病用医薬品】   | 2016/3/28  | 承認 |

|                                   |   |  |            |    |
|-----------------------------------|---|--|------------|----|
| 脊椎症と類縁疾患<br>(ヘルニア/狭窄症<br>など)      | コンドリナーゼ   | 保存療法で十分な改善が得られない後縦靭帯下脱出型の<br>腰椎椎間板ヘルニアを効能・効果とする新有効成分含有<br>医薬品  | 2018/3/23  | 承認 |
| チャージ・ストラ<br>ウス症候群                 | 乾燥スルホ化人<br>免疫グロブリン                              | チャージ・ストラウス症候群又はアレルギー性肉芽腫性<br>血管炎(ただし、ステロイド剤が効果不十分な場合に限<br>る)における神経障害の改善の効能・効果を追加とする<br>新効能・新用量医薬品【希少疾病用医薬品】                            | 2010/1/20  | 追加 |
| 帯状疱疹後<br>神経痛                      | プレガバリン  | 帯状疱疹後神経痛を効能・効果とする新有効成分含有医<br>薬品  | 2010/4/16  | 承認 |
| レストレスレッグ<br>ス症候群                  | ブラミベキソ<br>ール塩酸塩水和物                              | 中等度から高度の特発性レストレスレッグス症候群(下<br>肢静止不能症候群)の効能・効果を追加とする新効能・<br>新用量医薬品   | 2010/1/20  | 追加 |
|                                   | ガバペンチ<br>ン<br>エナカルビル                            | 中等度から高度の特発性レストレスレッグス症候群(下<br>肢静止不能症候群)を効能・効果とする新有効成分含有<br>医薬品  | 2012/1/18  | 承認 |
|                                   | ロチゴチン   | ①②パーキンソン病、中等度から高度の特発性レスト<br>レスレッグス症候群(下肢静止不能症候群)を効能・効果<br>とする新有効成分含有医薬品<br>③④パーキンソン病を効能・効果とする新有効成分含有<br>医薬品                            | 2012/12/25 | 承認 |
| 睡眠障害                              | エスゾピクロ<br>ン                                     | 不眠症を効能・効果とする新有効成分含有医薬品   | 2012/1/18  | 承認 |
|                                   | スボレキサ<br>ント                                     | 不眠症を効能・効果とする新有効成分含有医薬品   | 2014/9/26  | 承認 |
| 慢性疼痛                              | プレガバ<br>リン                                      | 末梢性神経障害性疼痛の効能・効果を追加とする新効能<br>医薬品   | 2010/10/27 | 追加 |
|                                   |   | 神経障害性疼痛の効能・効果を追加とする新効能医薬品  | 2013/2/28  | 追加 |
|                                   | アセトアミ<br>ノフ<br>ェン                               | 経口製剤及び坐剤の投与が困難な場合における疼痛及び<br>発熱を効能・効果とする新投与経路医薬品   | 2013/6/28  | 追加 |
|                                   | フェンタ<br>ニル<br>クエン酸<br>塩                         | 非オピオイド鎮痛剤及び弱オピオイド鎮痛剤で治療困難<br>な中等度から高度の慢性疼痛における鎮痛(ただし、他<br>のオピオイド鎮痛剤から切り替えて使用する場合に限<br>る。)の効能・効果を追加とする新効能医薬品                            | 2014/6/20  | 追加 |
|                                   |   | 非オピオイド鎮痛剤及び弱オピオイド鎮痛剤で治療困難<br>な中等度から高度の疼痛を伴う各種癌並びに中等度から<br>高度の慢性疼痛における鎮痛(ただし、他のオピオイド<br>鎮痛剤から切り替えて使用する場合に限る)を効能・効<br>果とする新用量・剤形追加に係る医薬品 | 2018/7/2   | 追加 |
|                                   | トラマド<br>ール<br>塩酸塩                               | 非オピオイド鎮痛剤で治療困難な疼痛を伴う各種癌、慢<br>性疼痛における鎮痛を効能・効果とする新剤型医薬品  | 2015/3/26  | 追加 |
|                                   | トラマド<br>ール<br>塩酸塩/アセト<br>ア<br>ミノフ<br>ェン         | 非オピオイド鎮痛剤で治療困難な下記疾患における鎮痛<br>非がん性慢性疼痛、抜歯後の疼痛   | 2011/4/22  | 承認 |
|                                   | デュロキ<br>セチン<br>塩酸塩                              | 線維筋痛症に伴う疼痛の効能・効果を追加とする新効<br>能・新用量医薬品   | 2015/5/26  | 追加 |
|                                   |   | 慢性腰痛症に伴う疼痛の効能・効果を追加とする新効能<br>医薬品   | 2016/3/18  | 追加 |
| 変形性関節症に伴う疼痛の効能・効果を追加とする新効<br>能医薬品 |   | 2016/12/19   | 追加         |    |
| アミトリ<br>プチ<br>ン塩酸塩                | 末梢性神経障害性疼痛の効能・効果を追加とする新効<br>能・新用量医薬品【事前評価済公知申請】 | 2016/2/29  | 追加         |    |

独立行政法人医薬品医療機器総合機構のホームページ(ホーム>審査関連業務>承認審査業務(申請、審査等)>承認情報>医療用医薬品>新医薬品の承認品目一覧)より作成(2018年12月31日現在)。

## 資料－２ 国内臨床試験（治験）の実施状況

2018年度の調査では、「治療が行えているとはいえない」又は「効く薬がない」が100～50%の疾患・症候に該当しなくなった疾患・症候について、国内臨床試験（治験）の実施状況について以下に示す（2019年1月31日現在）。

■：(3) 2013年度の調査結果との比較 2)で言及している疾患

| 疾患名         | 臨床試験の内容  |
|-------------|--|
| 筋強直性ジストロフィー | －  |
| ハンチントン病     | －  |
| 封入体筋炎       | アバタセプトの有効性と安全性に関する第 III 相試験<br>(日本等：ランダム化二重盲検試験：2017年3月～)                |
| 前頭側頭葉変性症    | －  |
| 球脊髄性筋萎縮症    | メキシレチン塩酸塩投与の有効性及び安全性についての第 II 相試験 (ランダム化二重盲検試験：2017年3月～)                 |
| 進行性筋ジストロフィー | RO7239361の安全性、忍容性、有効性に関する第 II/III 相試験<br>(ランダム化四重盲検試験：2017年7月～)          |
|             | Atalurenの安全性、有効性に関する第 III 相試験<br>(ランダム化二重盲検試験：2017年7月～)                  |
|             | DS-5141bの安全性、忍容性、有効性、及び薬物動態に関する第 I/II 相試験 (単群オープン試験：2015年11月～)           |
|             | NS-065/NCNP-01の有用性、安全性に関する第 I 相試験<br>(単群オープン試験：2013年6月～)                 |
| 遠位型ミオパチー    | N-アセチルノイラミン酸の有効性、安全性に関する第 II/III 相試験 (延長試験)<br>(非ランダム化オープン単群試験：2017年3月～) |
| 筋萎縮性側索硬化症   | ロピニロール塩酸塩徐放錠内服投与の安全性・忍容性及び有効性に関する第 I/II 相試験<br>(ランダム化二重盲検試験：2018年12月～)   |
|             | メチルコバラミンの有効性、安全性に関する第 III 相試験<br>(ランダム化二重盲検試験：2017年11月～)                 |
|             | 随意運動介助型電気運動装置 (IVES) の安全性に関する第 II 相試験 (非ランダム化オープン単群試験：2017年8月～)          |
|             | ラコサミドの安全性に関する第 I/II 相試験<br>(単群オープン試験：2017年7月～)                           |

|           |   |
|-----------|---|
| 筋萎縮性側索硬化症 | ペランパネルの有効性、安全性に関する第 II 相試験<br>(ランダム化二重盲検試験：2017年4月～)                                |
|           | ペランパネルの安全性に関する第 I 相試験<br>(非ランダム化オープン単群試験：2017年3月～)                                  |
|           | ペランパネルの有効性、安全性に関する第 II 相試験<br>(ランダム化二重盲検試験：2017年2月～)                                |
|           | NP022 を用いて KP-100IT を脊髄腔内投与することによる有効性及び安全性を検証する第 I/II 相試験<br>(ランダム化二重盲検試験：2016年5月～) |
|           | YAM80 の有効性と安全性に関する第 II 相試験<br>(単群オープン試験：2009年4月～)                                   |
| 多系統萎縮症    | MSA-01 の有効性及び安全性を検討する第 II 相試験<br>(ランダム化二重盲検比較試験：2018年3月～)                           |

検索に用いた語句は以下の通り。日本語は、UMIN、JAPIC、JMACCT のデータベース検索で用いた。英語は、ClinicalTrials のデータベース検索で用いた。略語でも検索を行ったが、略語による検索だけで得られた結果はなかったため以下には表示していない。

#### 【検索語】

- 筋強直性ジストロフィー：筋強直性ジストロフィー、筋緊張性ジストロフィー；Myotonic Dystrophy、Dystrophy Myotonic、Myotonic Disorders
- ハンチントン病：ハンチントン病；Huntington Disease
- 封入体筋炎：封入体筋炎；Inclusion Body Myositis
- 前頭側頭葉変性症：前頭側頭葉変性症、前頭側頭型認知症、Pick 病；Frontotemporal Lobar Degeneration、Frontotemporal Dementia、Frontotemporal Degeneration、Pick Disease
- 球脊髄性筋萎縮症：球脊髄性筋萎縮症；Spinobulbar Atrophy、Spinobulbar Muscular Atrophy、Bulbospinal Muscular Atrophy
- 進行性筋ジストロフィー：進行性筋ジストロフィー、デュシェンヌ型筋ジストロフィー；Duchenne muscular dystrophy、Becker muscular dystrophy
- 遠位型ミオパチー：遠位型ミオパチー；Distal Myopathy
- 筋萎縮性側索硬化症：筋萎縮性側索硬化症；Amyotrophic Lateral Sclerosis
- 多系統萎縮症：多系統萎縮症；Multiple System Atrophy、Multisystem Atrophy

#### 【検索条件】

- UMIN：試験のフェーズを選択（第 I 相～III 相まで選択し、繰り返し検索）し、終了していない治験情報を採用

- JAPIC CTI : 検索結果の詳細画面で、「試験のフェーズ」が「第 I~III 相」まで、「試験の現状」が準備／実施中の治験情報を採用
- 医師会 JMACCT : 検索結果の詳細画面で、「試験のフェーズ」が「第 I~III 相」まで、「試験の進捗状況」が「準備／実施中」の治験情報を採用
- ClinicalTrials : ”Status> Recruitment” : ”Recruiting OR Enrolling by invitation OR Active, not recruiting”, “Study Phase” : “Early Phase 1 OR Phase 1 OR Phase 2 OR Phase 3”の治験情報を採用

資料－3 2009年～2018年の間に公表された関連ガイドライン等

2018年度の調査では、「治療が行えているとはいえない」又は「効く薬がない」が100～50%の疾患・症候に該当しなくなった疾患・症候、及び治療満足度と薬剤貢献度ともそれぞれ10ポイント以上増加した疾患・症候における、関連ガイドライン等について以下に示す。

| 疾患名         | ガイドライン等の名称   |
|-------------|--|
| 筋強直性ジストロフィー | 診断基準 筋強直性ジストロフィー（筋緊張性ジストロフィー）<br>（2009年、2012年、本邦における筋チャンネル病の実態関す研究班） |
|             | 神経疾患の遺伝子診断ガイドライン2009（2009年10月、日本神経学会）                                |
| ハンチントン病     | ハンチントン病と生きる（2013年6月、神経変性疾患に関する研究班）                                   |
|             | 神経疾患の遺伝子診断ガイドライン2009（2009年10月、日本神経学会）                                |
| 封入体筋炎       | 封入体筋炎診療の手引き2017（2017年5月、日本神経学会）                                      |
| 前頭側頭葉変性症    | 認知症疾患治療ガイドライン2010（2010年10月、日本神経学会）                                   |
|             | 認知症疾患診療ガイドライン2017（2017年8月、日本神経学会）                                    |
| 球脊髄性筋萎縮症    | 脊髄性筋萎縮症診療マニュアル<br>（2012年5月、SMA診療マニュアル編集委員会）                          |
| 進行性筋ジストロフィー | デュシェンヌ型筋ジストロフィー診療ガイドライン2014<br>（2014年1月、日本神経学会）                      |
|             | 診断の手引きデュシェンヌ（Duchenne）型筋ジストロフィー<br>（2014年10月、日本小児神経学会）               |
|             | 診断の手引き エメリー・ドレイフス（Emery-Dreifuss）型筋ジストロフィー<br>（2014年10月、日本小児神経学会）    |
|             | 診断の手引き 肢帯型筋ジストロフィー<br>（2014年10月、日本小児神経学会）                            |
|             | 診断の手引き 福山型先天性筋ジストロフィー<br>（2014年10月、日本小児神経学会）                         |
|             | 診断の手引き メロシン欠損型先天性筋ジストロフィー<br>（2015年4月、日本小児神経学会）                      |
|             | 診断の手引き 顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー<br>（2015年10月、日本小児神経学会）                        |
| 遠位型ミオパチー    | 縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー診断基準<br>（2016年1月、日本神経学会）                             |
|             | 眼咽頭遠位型ミオパチー診断基準（2016年1月、日本神経学会）                                      |
|             | 三好型ミオパチー診断基準（2016年1月、日本神経学会）   |

|   |   |
|---|---|
| 筋萎縮性側索硬化症   | 筋萎縮性側索硬化症診療ガイドライン 2013<br>(2013年11月、日本神経学会)                 |
|   | 紀伊 ALS/PDC の診断基準 (2014年1月、日本神経学会)                           |
| 多系統萎縮症  | 脊髄小脳変性症・多系統萎縮症診療ガイドライン 2018<br>(2018年5月、日本神経学会)             |
| レビー小体型認知症   | 認知症疾患治療ガイドライン 2010 (2010年10月、日本神経学会)                        |
|   | 認知症疾患診療ガイドライン 2017 (2017年8月、日本神経学会)                         |
| 慢性疼痛  | 標準的神経治療：慢性疼痛 (2010年7月、日本神経治療学会)                             |
|   | 神経障害性疼痛薬物治療ガイドライン第1版<br>(2011年7月、日本ペインクリニック学会)              |
|   | 神経障害性疼痛薬物治療ガイドライン改訂第2版<br>(2017年6月、日本ペインクリニック学会)            |
|   | 非がん性慢性疼痛に対するオピオイド鎮痛薬処方ガイドライン第1版<br>(2012年7月、日本ペインクリニック学会)   |
|   | 非がん性慢性疼痛に対するオピオイド鎮痛薬処方ガイドライン改訂第2版<br>(2017年7月、日本ペインクリニック学会) |
| 慢性疼痛治療ガイドライン<br>(2018年3月、慢性疼痛治療ガイドライン作成ワーキンググループ) |   |
| 多発性硬化症  | 多発性硬化症治療ガイドライン 2010<br>(2010年11月、日本神経学会、日本神経免疫学会、日本神経治療学会)  |
|   | 多発性硬化症・視神経脊髄炎診療ガイドライン 2017<br>(2017年6月、日本神経学会)              |
| 視神経脊髄炎  | 多発性硬化症・視神経脊髄炎診療ガイドライン 2017<br>(2017年6月、日本神経学会)              |
| アミロイドーシス  | 標準的神経治療：アミロイドーシス (2017年9月、日本神経治療学会)                         |
| HTLV-1 関連脊髄症                                      | HAM 診療マニュアル (2013年3月、HAM 診療マニュアル策定委員会)                      |

## 平成30年度神経疾患に関する医療ニーズ調査

ご回答にあたって

## 【はじめに】

本調査は、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（HS財団）が日本医療研究開発機構研究費（創薬基盤推進研究事業）を受けて、一般社団法人日本神経治療学会（神経治療学会）と共同で行う神経疾患全般およびアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）について一部詳細に実施するアンケート調査です。

本調査の研究開発課題名・事業名は、それぞれ以下の通りです。

研究開発課題名：革新的な治療薬の創出に向けた創薬ニーズ等調査研究  
事業名：日本医療研究開発機構研究費（創薬基盤推進研究事業）

医療ニーズ調査の経緯：医療ニーズ調査は、当初、わが国の基盤技術に関する研究開発の実態調査として開始したが、平成6年から医療ニーズ調査として実施している。特に社会的に重要な60疾患に対する治療満足度、薬剤貢献度などのアンケート調査は総合科学技術会議、日本製薬工業協会、各企業のアニュアルレポート資料として引用され、多方面で活用されている。

医療ニーズ調査の目的：医療に求められる要素を医療ニーズと定義し、その医療ニーズを明らかにすることによって、関係者がそれぞれの立場で的確に対応し、医療に関する満足度を向上させ、医療及び医療産業が発展することを目的とする。

今回の調査内容：平成25年度に神経治療学会と共同で実施した「神経疾患に関する医療ニーズ調査」から5年を経て、新たな治療薬や新たな医療技術の開発の進展を把握するため、今回、60神経疾患・症候に対する2回目の医療ニーズ（治療満足度・薬剤貢献度）調査を、当該学会と共同で継続して実施し、難病の多い神経疾患の医療ニーズの変化を明らかにする。併せて、前回の調査で治療満足度・薬剤貢献度ともに低かったアルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に対するアンケート調査を行う。神経治療学会の学会員、役員、評議員などの専門医を対象にインターネットを利用したWebアンケート調査を実施し、医療ニーズ（治療満足度、薬剤貢献度）や課題等を明らかにし、報告書としてまとめる。

## 【ご回答にあたって】

ご回答に要する時間は20分～（自由回答欄へのご回答内容により）30分を想定しています。

## ◆調査対象疾患

調査の対象として挙げた疾患・症候は60疾患ありますが、それをプルダウンメニューに並べました（順不同）。

## ◆設問内容

設問内容は以下の5項目です。

- ・ Face sheet
- ・ 問1 60疾患・症候に関する治療の満足度
- ・ 問2 60疾患・症候に関する薬剤（医薬品）の治療への貢献度
- ・ 問3 新規治療法の開発が急務な神経疾患

・問4～問9 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

※Face sheet：回答必須項目です。ご回答をいただかないと先に進めません。

・F1では回答者の神経治療学会における会員IDを入力して下さい。本調査は会員IDで管理し、HS財団で個人を特定できないようにしています。

- ・F2、F3は、回答者の所属する施設につき、選択してご回答下さい。
- ・F4およびF5は、回答者の属性に関する質問です。それぞれあてはまるものをお選び下さい。
- ・F6は、回答者が日常遭遇する（診る）疾患について、プルダウンメニューより選択してご回答下さい。

◆ご回答要領

- ・「前へ」のボタンで前ページに戻り、ご回答を修正・追加することができます。「前へ」のボタンで前ページに戻らない時は、ブラウザの「戻る」ボタンを押して下さい。
- ・回答を中断したい場合は、そのまま画面を閉じて下さい。回答は保存され、再度画面を開いた時には、最初にパスワードをご入力いただくと終了時の画面が表示され、引き続きご回答できます。
- ・ご回答が全て終わりましたら「完了」ボタンを押して下さい。

【フェイスシート】

F 1．日本神経治療学会の会員ID番号を入力して下さい。（半角）

本調査票に回答された方に関して該当する項目を1つ選択して下さい。

F 2．所属機関

- 1．国公立大学病院
- 2．私立大学病院
- 3．その他の教育機関病院（医学部以外の大学に勤務者等を含む）
- 4．独立行政法人・国立研究機関・省庁
- 5．海外研究機関・国際機関（留学中を含む）
- 6．公立病院
- 7．民間病院
- 8．診療所
- 9．その他（製薬会社勤務者等を含む）

F 3 . 病床数

- 1 . 病床なし
- 2 . 1 ~ 1 9 床
- 3 . 2 0 ~ 9 9 床
- 4 . 1 0 0 ~ 4 9 9 床
- 5 . 5 0 0 床以上

日常遭遇する疾患・属性について

F 4.<神経治療学会について>ご自身の該当する属性を選択して下さい。

- 神経治療学会理事
- 神経治療学会評議員
- 神経治療学会員（上記以外の会員）

F 5.<専門医について>ご自身の該当する属性をすべて選択して下さい。

なお、下記選択肢の「認知症専門医（\*）」は、日本認知症学会専門医、日本老年精神医学会専門医を指します。

- 神経内科専門医
- 認知症専門医（\*）
- その他

上記で「その他」を選択した場合は、こちらにご記入ください。

F 6 . 日常遭遇する（診る）疾患・症候

先生が日常遭遇する（診る）疾患・症候を、以下の一覧から、多い順に3つ選択してください。

※回答欄は疾患・症候一覧の下にあります。

< 疾患 >

|                             |                          |                          |
|-----------------------------|--------------------------|--------------------------|
| 脳出血                         | 多発性硬化症                   | 神経ベーチェット                 |
| くも膜下出血                      | 視神経脊髄炎                   | 神経サルコイドーシス               |
| アテローム血栓性/ラクナ梗塞<br>(非血栓性脳梗塞) | 急性散在性脳脊髄炎                | 片頭痛                      |
| 心原性脳塞栓症                     | 特発性顔面神経麻痺 (Bell麻痺)       | てんかん                     |
| ウイルス性脳炎・髄膜炎                 | ギラン・バレー症候群/フィッシャー<br>症候群 | ライソゾーム病/ペルオキシソーム病        |
| 細菌性脳炎・脊髄炎                   | 慢性炎症性脱髄性多発神経炎            | ミトコンドリア異常症               |
| 真菌性脳炎・脊髄炎                   | POEMS症候群                 | 血管性脊髄症                   |
| HTLV-1 関連脊髄症                | アミロイドーシス                 | 脊椎症と類縁疾患<br>(ヘルニア/狭窄症など) |
| プリオン病                       | 糖尿病性ニューロパチー              | チャージ・ストラウス症候群            |
| アルツハイマー病                    | 手根管症候群                   | 帯状疱疹後神経痛                 |
| 前頭側頭葉変性症                    | シャルコー・マリー・トゥース病          | Meige症候群/片側顔面痙攣          |
| レビー小体型認知症                   | 進行性筋ジストロフィー              | 傍腫瘍性神経症候群                |
| パーキンソン病                     | 筋強直性ジストロフィー              | レストレスレッグス症候群             |
| 多系統萎縮症                      | 多発筋炎/皮膚筋炎                | 正常圧水頭症                   |
| 進行性核上性麻痺                    | 封入体筋炎                    | 本態性振戦                    |
| 脊髄小脳変性症                     | 遠位型ミオパチー                 | 血管性認知症                   |
| ハンチントン病                     | 重症筋無力症                   |                          |
| 筋萎縮性側索硬化症                   |                          |                          |
| 球脊髄性筋萎縮症                    |                          |                          |
| 脊髄性筋萎縮症                     |                          |                          |

< 症候 >

|       |         |        |
|-------|---------|--------|
| 睡眠障害  | 痙性麻痺    | 神経因性膀胱 |
| 慢性疼痛  | 起立性低血圧症 | 眩暈     |
| ジストニア |         |        |

< 回答欄 >

疾患、症候

最も多い

2 番目に多い

3 番目に多い

治療満足度

問1. 60神経疾患・症候に関する治療の満足度

下記の各神経疾患や神経症候の「治療満足度」について、該当する項目を選択して下さい。

- ・十分満足のいく治療が行えている（十分に満足）
- ・ある程度満足のいく治療が行えている（ある程度満足）
- ・満足のいく治療が行えていない（不満足）
- ・治療が行えているとはいえない

< 疾患・症候 >

|                             | 十分に満足                 | ある程度満足                | 不満足                   | 治療が行えていると<br>はいえない    |
|-----------------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| 脳出血                         | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| くも膜下出血                      | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| アテローム血栓性/ラクナ梗塞（非塞<br>栓性脳梗塞） | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 心原性脳塞栓症                     | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ウイルス性脳炎・髄膜炎                 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 細菌性脳炎・脊髄炎                   | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 真菌性脳炎・脊髄炎                   | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| HTLV-1 関連脊髄症                | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| プリオン病                       | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| アルツハイマー病                    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 前頭側頭葉変性症                    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| レビー小体型認知症                   | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| パーキンソン病                     | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 多系統萎縮症                      | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 進行性核上性麻痺                    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

治療満足度

< 疾患・症候 >

|                      | 十分に満足                 | ある程度満足                | 不満足                   | 治療が行えているとはいえない        |
|----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| 脊髄小脳変性症              | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ハンチントン病              | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 筋萎縮性側索硬化症            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 球脊髄性筋萎縮症             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 脊髄性筋萎縮症              | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 多発性硬化症               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 視神経脊髄炎               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 急性散在性脳脊髄炎            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 特発性顔面神経麻痺 (Bell麻痺)   | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ギラン・バレー症候群/フィッシャー症候群 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 慢性炎症性脱髄性多発神経炎        | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| POEMS症候群             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| アミロイドーシス             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 糖尿病性ニューロパチー          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 手根管症候群               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

治療満足度

< 疾患・症候 >

|                      | 十分に満足                 | ある程度満足                | 不満足                   | 治療が行えているとはいえない        |
|----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| シャルコー・マリー・トゥース病      | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 進行性筋ジストロフィー          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 筋強直性ジストロフィー          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 多発筋炎/皮膚筋炎            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 封入体筋炎                | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 遠位型ミオパチー             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 重症筋無力症               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 神経ベーチェット             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 神経サルコイドーシス           | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 片頭痛                  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| てんかん                 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ライソゾーム病/ペルオキシソーム病    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ミトコンドリア異常症           | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 血管性脊髄症               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 脊椎症と類縁疾患（ヘルニア/狭窄症など） | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

治療満足度

< 疾患・症候 >

|                 | 十分に満足                 | ある程度満足                | 不満足                   | 治療が行えているとはいえない        |
|-----------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| チャーグ・ストラウス症候群   | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 帯状疱疹後神経痛        | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Meige症候群/片側顔面痙攣 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 傍腫瘍性神経症候群       | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| レストレスレッグス症候群    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 正常圧水頭症          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 本態性振戦           | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 血管性認知症          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 睡眠障害            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 慢性疼痛            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ジストニア           | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 痙性麻痺            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 起立性低血圧症         | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 神経因性膀胱          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 眩暈              | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

薬剤（医薬品）の治療への貢献度

問2．60神経疾患・症候に関する薬剤（医薬品）の治療への貢献度

下記の各神経疾患、神経症候に関し、我が国における「薬剤（医薬品）の治療への貢献度」について、該当する項目を選択して下さい。

- ・十分に貢献している（十分に貢献）
- ・ある程度貢献している（ある程度貢献）
- ・あまり貢献していない（あまり貢献していない）
- ・効く薬がない

<疾患・症候>

|                         | 十分に貢献                 | ある程度貢献                | あまり貢献していない            | 効く薬がない                |
|-------------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| 脳出血                     | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| くも膜下出血                  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| アテローム血栓性/ラクナ梗塞（非血栓性脳梗塞） | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 心原性脳塞栓症                 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ウイルス性脳炎・髄膜炎             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 細菌性脳炎・脊髄炎               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 真菌性脳炎・脊髄炎               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| HTLV-1 関連脊髄症            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| プリオン病                   | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| アルツハイマー病                | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 前頭側頭葉変性症                | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| レビー小体型認知症               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| パーキンソン病                 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 多系統萎縮症                  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 進行性核上性麻痺                | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

薬剤（医薬品）の治療への貢献度

< 疾患・症候 >

|                      | 十分に貢献                 | ある程度貢献                | あまり貢献していない            | 効く薬がない                |
|----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| 脊髄小脳変性症              | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ハンチントン病              | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 筋萎縮性側索硬化症            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 球脊髄性筋萎縮症             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 脊髄性筋萎縮症              | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 多発性硬化症               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 視神経脊髄炎               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 急性散在性脳脊髄炎            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 特発性顔面神経麻痺（Bell麻痺）    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ギラン・バレー症候群/フィッシャー症候群 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 慢性炎症性脱髄性多発神経炎        | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| POEMS症候群             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| アミロイドーシス             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 糖尿病性ニューロパチー          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 手根管症候群               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

薬剤（医薬品）の治療への貢献度

< 疾患・症候 >

|                      | 十分に貢献                 | ある程度貢献                | あまり貢献していない            | 効く薬がない                |
|----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| シャルコー・マリー・トゥース病      | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 進行性筋ジストロフィー          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 筋強直性ジストロフィー          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 多発筋炎/皮膚筋炎            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 封入体筋炎                | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 遠位型ミオパチー             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 重症筋無力症               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 神経ベーチェット             | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 神経サルコイドーシス           | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 片頭痛                  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| てんかん                 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ライソゾーム病/ペルオキシソーム病    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ミトコンドリア異常症           | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 血管性脊髄症               | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 脊椎症と類縁疾患（ヘルニア/狭窄症など） | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

薬剤（医薬品）の治療への貢献度

< 疾患・症候 >

|                 | 十分に貢献                 | ある程度貢献                | あまり貢献していない            | 効く薬がない                |
|-----------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| チャーグ・ストラウス症候群   | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 帯状疱疹後神経痛        | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| Meige症候群/片側顔面痙攣 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 傍腫瘍性神経症候群       | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| レストレスレッグス症候群    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 正常圧水頭症          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 本態性振戦           | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 血管性認知症          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 睡眠障害            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 慢性疼痛            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| ジストニア           | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 痙性麻痺            | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 起立性低血圧症         | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 神経因性膀胱          | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 眩暈              | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

新規治療法の開発が急務な神経疾患・症候

問3．新規治療法の開発が急務な疾患・症候（最大3疾患までご回答ください）

60神経疾患・症候の中で新規治療法の開発が急務と考える疾患・症候を、プルダウンメニュー一覧から3件まで選択してください。また、新規治療法の開発が急務とお考えの理由や、開発に向けた具体的な方策等についてのご意見を、創薬標的、ゲノム解析、バイオマーカー、画像診断、再生医療、遺伝子治療、予防医学、デバイスなどを勘案の上で自由にご回答下さい。

疾患・症候①

疾患名・症候名

新規治療法の開発が急務とお考えの理由、開発に向けた具体的な方策等

疾患・症候②

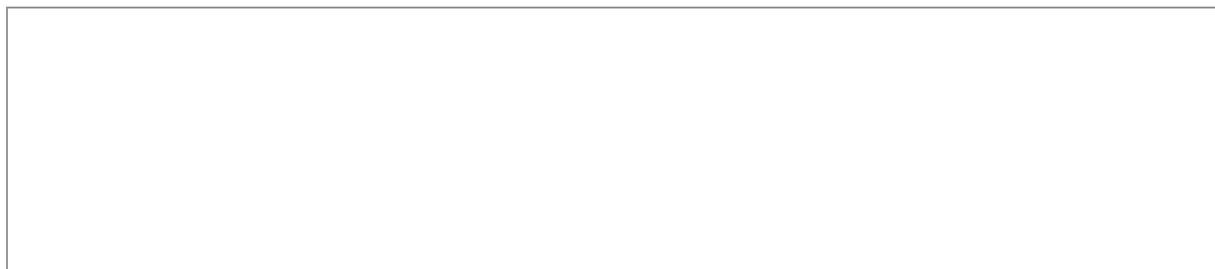
疾患名・症候名

新規治療法の開発が急務とお考えの理由、開発に向けた具体的な方策等

疾患・症候③

疾患名・症候名

新規治療法の開発が急務とお考えの理由、開発に向けた具体的な方策等



アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

問4 - 1.アルツハイマー型認知症に関する治療の満足度

アルツハイマー型認知症の症状、機能障害等に関する「治療の満足度」について、該当する項目をそれぞれ1つ選択して下さい。

<治療の満足度>

- ・ 十分満足のいく治療が行えている（十分に満足）
- ・ ある程度満足のいく治療が行えている（ある程度満足）
- ・ 不満足な治療しか行えていない（不満足）
- ・ 治療が行えているとはいえない

|                              | 十分に満足                 | ある程度満足                | 不満足                   | 治療が行えているとはいえない        |
|------------------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| 1)アルツハイマー型認知症の認知機能障害         | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 2)アルツハイマー型認知症の生活機能障害         | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 3)アルツハイマー型認知症の行動・心理症状 (BPSD) | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 4)アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 5)アルツハイマー病による軽度認知障害 (MCI)    | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

問4 - 2.アルツハイマー型認知症に関する薬剤（医薬品）の治療への貢献度

アルツハイマー型認知症の症状、機能障害に関する薬剤（医薬品）の治療への貢献度について、該当する項目をそれぞれ1つ選択して下さい。

< 薬剤の貢献度 >

- ・十分に貢献している（十分に貢献）
- ・ある程度貢献している（ある程度貢献）
- ・あまり貢献していない（あまり貢献していない）
- ・効く薬がない（効く薬がない）

|                              | 十分に貢献                 | ある程度貢献                | あまり貢献していない            | 効く薬がない                |
|------------------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|-----------------------|
| 1)アルツハイマー型認知症の認知機能障害         | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 2)アルツハイマー型認知症の生活機能障害         | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 3)アルツハイマー型認知症の行動・心理症状（BPSD）  | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 4)アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感 | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |
| 5)アルツハイマー病による軽度認知障害（MCI）     | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> | <input type="radio"/> |

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

問5 - 1

「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」で効能・効果を現時点で取得している薬剤（※）で効果があると思われる症状、機能障害につき、あてはまるものをお選び下さい。（複数回答可）

（※）ドネペジル、メマンチン、ガランタミン、リバスチグミンの4剤を指します。

- アルツハイマー型認知症の認知機能障害認知機能障害
- アルツハイマー型認知症の認知機能障害生活機能障害
- アルツハイマー型認知症の認知機能障害行動・心理症状（BPSD）
- アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感
- なし
- その他（具体的にご記入ください）

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

問5 - 2

「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」で効能・効果を現時点で取得している薬剤（※）以外の薬物療法で効果があると思われる症状、機能障害につき、あてはまるものをお選び下さい。（複数回答可）

（※）ドネペジル、メマンチン、ガランタミン、リバスチグミンの4剤を指します。

- アルツハイマー型認知症の認知機能障害
- アルツハイマー型認知症の生活機能障害
- アルツハイマー型認知症の行動・心理症状（BPSD）
- アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感介護負担感
- なし
- その他（具体的にご記入ください）

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

問5 - 3

アルツハイマー型認知症の非薬物療法で効果があると思われる症状、機能障害につき、あてはまるものをお選び下さい。（複数回答可）

- アルツハイマー型認知症の認知機能障害
- アルツハイマー型認知症の生活機能障害
- アルツハイマー型認知症の行動・心理症状（BPSD）
- アルツハイマー型認知症患者の介護者における介護負担感
- なし
- その他(具体的にご記入ください)

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

問6. 「アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制」で効能・効果を現時点で取得している薬剤（※）が、病期や病状の進行により、治療効果が期待できないと判断された場合、その後の処方についてどのように対応していますか。

（※）ドネペジル、メマンチン、ガランタミン、リバスチグミンの4剤を指します。

- 継続
- 減量
- 中止
- その他（具体的に記入）

「継続」「減量」「中止」と記入した方は、差し支えなければそのように回答した理由をご記入下さい。

「その他」と記入した方は、具体的な内容をご記入下さい。

問7. アルツハイマー病(アルツハイマー型認知症)において、既存の薬剤とは機序が異なる根本治療薬が開発された場合、適切な治療開始時期はいつと考えますか。

- Preclinical
- 自覚的認知機能低下（SCI）
- 軽度認知障害（MCI）
- アルツハイマー型認知症

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

問8 アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）克服のためのご意見やお考えをお聞かせください。

\* 平成29年度HS財団調査報告書「アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）に関する医療ニーズ調査」では、解決に向け取り組むべき課題として下記①～⑧が抽出されました。

下記から重要と思われる課題を選択（最大3つまで選択可能）して下さい。また、選択した課題につきご意見、コメントがありましたら次頁にコメントをご記入下さい。

- ①MCIの治療法（ケアを含む）の確立
- ②BPSDの適時・適切な治療法（介護を含む）の確立
- ③高精度で簡便な早期診断法の確立（バイオマーカー、新規の認知機能検査など）
- ④新しい予防・治療法の開発に向けた、病態メカニズム研究の促進
- ⑤予防医療、先制医療実現に向けた、認知症発症前の被験者レジストリーの充実並びにその利活用
- ⑥生活習慣改善等による、予防介入（試験）の促進とエビデンスの獲得
- ⑦予防、治療、ケアに関する、地域における医療連携体制づくりの促進
- ⑧上記以外（下の欄に、課題を具体的にご記入ください）

アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）

問8 前頁で選択いただいた課題についてご意見、コメントがありましたらご記入ください。

①MCIの治療法（ケアを含む）の確立

②BPSDの適時・適切な治療法（介護を含む）の確立

③高精度で簡便な早期診断法の確立（バイオマーカー、新規の認知機能検査など）

④新しい予防・治療法の開発に向けた、病態メカニズム研究の促進

⑤予防医療、先制医療実現に向けた、認知症発症前の被験者レジストリーの充実並びにその利活用

⑥生活習慣改善等による、予防介入（試験）の促進とエビデンスの獲得

⑦予防、治療、ケアに関する、地域における医療連携体制づくりの促進

[Insert text from Other]

問9.アルツハイマー病（アルツハイマー型認知症）の日常診療上で問題となる点について、自由にご回答下さい。

ご協力ありがとうございました。  
ご回答が全て終わりましたら、「完了」ボタンを押して下さい。

平成 30 年度 (2018 年度)  
国内基盤技術調査報告書  
「神経疾患の医療ニーズ調査 (第 2 回)」  
-60 神経疾患、アルツハイマー病 (アルツハイマー型  
認知症) の神経内科医へのアンケート調査-

発行日: 平成 31 年 3 月 25 日

発行: 公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団  
〒101-0032  
東京都千代田区岩本町 2-11-1  
ハープ神田ビル  
電話 03(5823)0361 / FAX 03(5823)0363  
(財団事務局 担当 山下 剛一  
井口 富夫)

印刷: タナカ印刷株式会社  
〒135-0023  
東京都江東区平野 2-2-39