

令和 3 年 5 月 27 日現在

機関番号：14401

研究種目：挑戦的研究（萌芽）

研究期間：2017～2020

課題番号：17K19812

研究課題名（和文）患者・市民の主体的参加による新しい医学研究ガバナンスの構築に向けた研究

研究課題名（英文）Constructing a new governance model for medical research with active involvement of patients and citizens

研究代表者

加藤 和人（Kato, Kazuto）

大阪大学・医学系研究科・教授

研究者番号：10202011

交付決定額（研究期間全体）：（直接経費） 5,000,000円

研究成果の概要（和文）：医学研究のデザインや運営に患者が主体的に参画し、患者のニーズをよりよく反映させた研究を進めるための「患者参画」が注目を浴びている。本研究では、オックスフォード大学との共同研究により、ウェブによる患者登録と健康情報の入力システムRUDY JAPANを神経筋疾患、遺伝性血管性浮腫（HAE）、表皮水疱症の3種類の希少疾患を対象に構築した。そして、運営を患者とともにやり、実践を通して日本における医学研究への患者参画の実施可能性を検証した。その結果、患者の主体的な医学研究への参画が可能であることや、患者の提案で患者同士の交流の場が実現するなど、研究参画による利益の多様な可能性を見出すことができた。

研究成果の学術的意義や社会的意義

少子高齢化や疾病構造の変化に伴い、医学研究の重要性が増す中、欧米ではICT（情報通信技術）を用いた患者主体のデータ入力を用いた活動が複数始まっているが、日本では同様の活動はほとんど進んでいなかった。本研究では、患者主体のデータ入力を利用した医学研究システムRUDY JAPANをオックスフォード大学との共同研究で開発・実践し、日本での医学研究への患者の主体的参画が実践可能であることを示すことができた。医学研究への患者参画という新分野に関する実践的知見を得たことと、実際に多数の患者と医学研究者がパートナーとして医学研究に携わる場を構築、経験を共有できたことが、本研究の学術的・社会的意義である。

研究成果の概要（英文）：There is a growing interest in the active patient involvement in the medical research to better reflect needs of patients. In this project, we have constructed a new Web-based system for medical research called RUDY JAPAN with researchers of University of Oxford. Patients of rare neuromuscular disease, Hereditary Angioedema (HAE), Epidermolysis bullosa registered to the system and recorded their health conditions.

Through the work of the RUDY JAPAN project in collaboration with patients, we have shown that active involvement of patients in medical research is feasible in Japan, and that benefits for patients can be diverse such as the patient forum in which patients can meet those of the same disease as well as discuss with clinical researchers.

研究分野：医学倫理、研究ガバナンス

キーワード：患者との協働 患者とのコミュニケーション ICT QOL ダイナミック・コンセント 研究ガバナンス 患者参画

科研費による研究は、研究者の自覚と責任において実施するものです。そのため、研究の実施や研究成果の公表等については、国の要請等に基づくものではなく、その研究成果に関する見解や責任は、研究者個人に帰属します。

1. 研究開始当初の背景

少子高齢化の進展や疾病構造の変化が進む日本において、疾病の原因や病態の理解、健康と環境や生活習慣の関わりを明らかにし、効果的な疾病の予防・診断・治療およびケアの方法を開発・改善するための医学研究は、ますます重要になりつつある。研究はより多種・多量の試料や情報を利用・共有し広範に行われるようになり、従来よりも患者や市民の研究参画にむけた協力が必要になっている。一方、情報通信技術 (ICT) の進歩と広がりにより、これまで受け身であった患者や市民が、自らのデータをインターネット上で共有するなどして積極的に医学研究に関わる活動が欧米を中心に始まっている。研究参加へのインフォームド・コンセントについても、一回切りの説明と同意に代わり、ICT によるコミュニケーションのもとで継続的に意思表示できるシステム (ダイナミック・コンセント) が提案されている。申請者らは、こうした諸外国での動きに早くから注目し、オックスフォード大学の研究者が開発中であった患者によるデータ入力システム (「RUDY (ルーディ)」と名付けられたプロジェクト。整形外科領域の難病患者が QOL や痛みの状態、骨折の経験などを自らウェブ経由で入力する) を日本に導入する準備をしてきた。本研究は、そうした準備状況を踏まえ実施するものであり、日本での新しいシステム導入のための研究であると同時に、異なる文化的・社会的背景において、共通の課題と個別の課題について発信することで、世界で同様の活動を始めようとしている関係者に貢献することを目指している。

2. 研究の目的

医学研究が高度になり、多種の情報や試料を対象者である患者や健常人から集める必要が増すにつれ、患者や市民の主体的な参加による研究が重視されるようになってきている。欧米では、そうした患者・市民主体のデータ入力や研究者との協働を伴うプロジェクトが複数始まっている一方で、日本では同様の活動はほとんどみられない。また、欧米においても、個々の試みが独自に始まっている段階で、多様な手法と対象者についての利点と課題についての評価ができる状況には至っていない。本研究の目的は、国内外の状況把握と ICT 技術の試行的利用を日本において実施することにより、患者の主体的な参加を得て進める新しい医学研究ガバナンスの仕組みを構築するための知識・情報と経験、および理論的知見を得ることである。具体的には以下の 4 つの内容に取り組み、実践的および理論的成果を得ることを目指す。

- (1) 患者・市民の主体的な参加による医学研究の仕組み作りについて、国内外の状況を把握する。
- (2) 患者によるデータ入力のモデルシステムを作成・運用し、利点と課題についての評価を行う。
- (3) 一種類の難病から開始するモデルシステムについて、複数の疾患への適用可能性について検討する ICT の利用方法についてもケースごとに最適なアプローチを模索する。
- (4) 全体を通して得られた経験と知見を総合的な検討と、国際的比較分析を併せて行うことで日本型の新しい医学研究ガバナンスの仕組みを提示する。

3. 研究の方法

目的の各項目におおよそ沿った形で、以下の 4 つの方法で実施した。

- (1) 萌芽的な研究領域の現状を把握するのに適した手法である Scoping Review を用いて、患者が ICT を用いて主体的に医学研究に参加する研究プロジェクトである PCI (Participant-Centric Initiatives) について、英国、米国、日本を対象に把握する。
- (2) オックスフォード大学で運用されている患者主体の医学研究プロジェクト RUDY のソフトウェアを日本に導入し、希少な神経筋疾患を対象に登録を開始するとともに、できたシステムを用いた研究プロジェクトを患者参画により運営する。
- (3) (2) で開始した疾患の登録システムの運用と患者参画の経験を踏まえて、対象とする疾患を 1~2 種類増やす。実践を通じた経験を評価する。
- (4) 上記(1)~(3)を踏まえ、日本における医学研究への患者参画について考察を行う。

4. 研究成果

(1) Scoping Review においては、MEDLINE を始めとする 5 種の書誌データベースおよびウェブサイト等を対象にした gray literature の検索を行った後、独立した reviewer による検討を経て、最終的に得られた文献及びウェブサイトから PCI を同定した。それらの分析から、3 カ国 21 の医学研究プロジェクトが、ICT を用いた患者参画を実践していることが明らかになった(表 1)。

それぞれの実践活動について、詳細に分析を行った結果、2012 年以降に PCI が急速に増加したこと、希少疾患やがん、精神・神経疾患など幅広い疾患を対象として進められていることそして、PCI が収集したデータを用いて医学的な分析が行われ、これまでに少なくとも 270 以上の国際科学誌で学術研究の成果が発表されていることが明らかになった。

また、これらの PCI では、研究プラットフォームを利用したりサーチクエスチオンの提案や、運営委員会への患者の参加など、患者が研究者と対等なパートナーとして主体的に活動に参加していることがわかった(Hamakawa et al. *Journal of Medical Internet Research*, 2020)。

PCI は新しい動きであり、今後日本においても諸外国においても実践が増えていくことが予想される。

No.	プロジェクト名	国	登録者*	研究対象
1	23andMe	米	1,200,000	多様な疾患(230以上)
2	PatientsLikeMe	米	600,000	多様な疾患(2800以上)
3	PEER	米	15,000	多様な疾患(約50)
4	GenomeConnect	米	1,400	多様な疾患(すべての遺伝性疾患)
5	RUDY	英	993	線維性骨異形成, 血管炎, 骨形成不全など10疾患
6	MoodNetwork	米	不明	気分障害
7	mPower	米	15,000	パーキンソン病
8	J-RARE	日	47	遠位型ミオパチー, マルフアン症候群など6疾患
9	ABOUT Network	米	10,500	家族性乳がん
10	Arthritis Power	米	15,365	関節リウマチ, 線維筋痛症, 炎症性腸疾患など14疾患
11	IBD partners	米	15,680	クローン病
12	Rare Epilepsy Network(REN)	米	1,392	稀少てんかん症候群
13	COPD PPRN	米	75,000	COPD, 喘息
14	Health eHeart	米	75,000	心疾患
15	IAN	米	20,000	発達障害
16	iConquerMS	米	3,100	多発性硬化症
17	AD-PCPRN	米	57,000	アルツハイマー病
18	NephCure Kidney Network	米	666	特発性ネフローゼ症候群
19	PI CONNECT	米	5,040	原発性免疫不全症候群
20	V-PPRN	米	不明	ベーチェット病, 血管炎, 結節性多発動脈炎
21	MyApnea	米	12,677	睡眠時無呼吸症候群

(2) 患者による健康データの入力システムについては、プロジェクトの名称を RUDY JAPAN (ルーディ・ジャパン) と名付け、2017 年 12 月に希少な神経筋疾患を対象に登録を開始した。また、プロジェクトの運営自体を患者とともに検討する「運営ミーティング」を定期的を開催し、出された意見を反映させて運営を行った。2018 年 10 月には、やはり希少な疾患である遺伝性血管性浮腫 (HAE) を登録対象に加えた。その際には、浮腫の発作を記録するための新しい質問票を患者と研究者が共同で作成したが、これは患者参画による活動の一つとして実施したものであった。2020 年 6 月には同じく希少疾患である表皮水疱症を登録対象とした。季節ごとの QOL を記録しようという計画で、継続的な患者の参加が症状や QOL の季節変化を明らかにすることが期待されている。

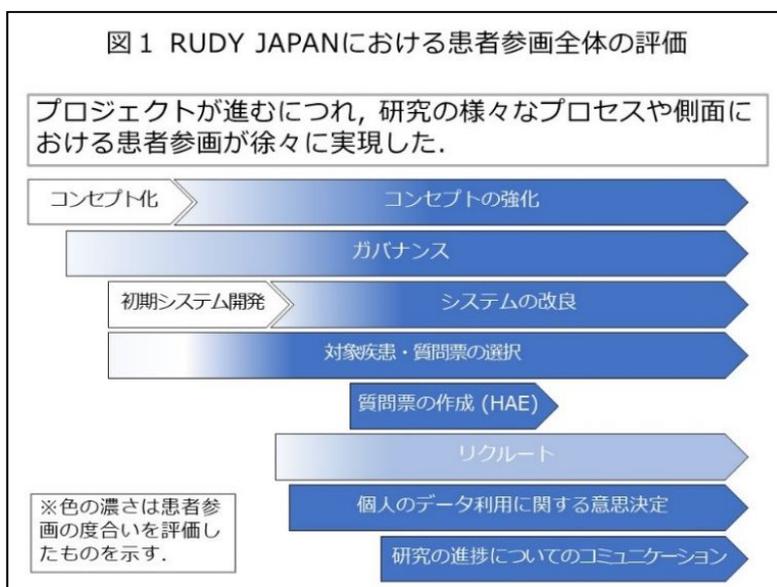
これらのプロジェクト運営過程で実践された患者参画活動と評価をまとめたのが図 1 (次頁) である。

コンセプト化や初期のシステム開発といったプロジェクトの初期の段階では、患者参画はわずかであったが、システムの改善や質問票の作成、研究の進捗についての外部とのコミュニケーションをはじめとして、次第に主体的な患者参画が実現した。

こうした様々な形での患者参加を伴う活動を実践することで、医学研究への主体的患者参加に関して、いくつかの重要な点が考察できる。日本においても高いレベルの患者参加が実現できることがわかった。参画した患者は熱意を持って参加していた。予想されたことであるが、ICT は患者と研究者を対等なパートナーとして繋ぐために大いに役に立った。患者が大学の建物

を訪れずに自宅の部屋から研究活動に参加できたことで、伝統的な専門家と非専門家のヒエラルキーが障害になることなく研究が行えた可能性もある。英国で開発されたソフトウェアを日本に導入するに当たっては細かいレベルの修正が必要であった（郵便番号の入力欄などは一例）。プロジェクトメンバーは、そうした経験を通して異なる社会・文化の間で共同研究を行うために必要な点を、コンセプトレベルでも、実務レベルでも学ぶことができた。患者と研究者の協働から新しい活動が生み出される経験ができた。具体的には、日ごろ同じ疾患の患者と出会うことが少ない患者同士が、臨床医療の専門家とともにいろいろな経験を共有しながら「話をする場」として「患者フォーラム」という場を設けることになった。そこでは、患者会が存在しない非常に希少な疾患の患者がお互いの経験を共有することができたり、臨床医療の専門家が患者から学んだりするなど、新しい交流の場となった。多様な患者参画の活動を継続的に実現していくために、研究に慣れない患者との対話には様々な配慮も必要であり、研究者の側でも努力や負担が必要であった。それにも関わらず、協働することの利益は、全体として負担を上回ると考えられる。

以上の成果は、2021年2月、国際誌に発表した（Hamakawa N, Kogetsu A et al. *Research Involvement and Engagement*, 2021）。



(3)今後の展望

RUDY JAPAN を実践の場とする患者参画を継続して進めるとともに、特に日本において医学研究への患者参画について関心を持つ人たちとのネットワーク作りを行うことが重要と考える。それにより、RUDY JAPAN で得た経験を広く共有するとともに、多様な視点から評価、検討することができると期待する。同時に、国際的な連携を進め、海外のプロジェクトとの経験の共有も重要である。さらには、希少疾患だけでなく、生活習慣病などでの展開の可能性についても検討したい。

5. 主な発表論文等

〔雑誌論文〕 計3件（うち査読付論文 3件/うち国際共著 3件/うちオープンアクセス 3件）

1. 著者名 Hamakawa N, Kogetsu A, Isono M, Yamasaki C, Manabe S, Takeda T, Iwamoto K, Kubota T, Barrett J, Gray N, Turner A, Teare H, Imamura Y, Yamamoto B A, Kaye J, Hide M, Takahashi M P, Matsumura Y, Javaid M K, Kato K	4. 巻 7
2. 論文標題 The practice of active patient involvement in rare disease research using ICT: experiences and lessons from the RUDY JAPAN project	5. 発行年 2021年
3. 雑誌名 Research Involvement and Engagement	6. 最初と最後の頁 1-15
掲載論文のDOI（デジタルオブジェクト識別子） 10.1186/s40900-021-00253-6	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている（また、その予定である）	国際共著 該当する

1. 著者名 Hamakawa Nao, Nakano Rumiko, Kogetsu Atsushi, Coathup Victoria, Kaye Jane, Yamamoto Beverley Anne, Kato Kazuto	4. 巻 22
2. 論文標題 Landscape of Participant-Centric Initiatives for Medical Research in the United States, the United Kingdom, and Japan: Scoping Review	5. 発行年 2020年
3. 雑誌名 Journal of Medical Internet Research	6. 最初と最後の頁 e16441 ~ e16441
掲載論文のDOI（デジタルオブジェクト識別子） 10.2196/16441	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている（また、その予定である）	国際共著 該当する

1. 著者名 Coathup Victoria, Hamakawa Nao, Finlay Teresa, Bell Jessica, Kaye Jane, Kato Kazuto	4. 巻 6(12)
2. 論文標題 Participant-Centric Initiatives and Medical Research: Scoping Review Protocol	5. 発行年 2017年
3. 雑誌名 JMIR Research Protocols	6. 最初と最後の頁 e245 ~ e245
掲載論文のDOI（デジタルオブジェクト識別子） 10.2196/resprot.7407	査読の有無 有
オープンアクセス オープンアクセスとしている（また、その予定である）	国際共著 該当する

〔学会発表〕 計11件（うち招待講演 4件/うち国際学会 1件）

1. 発表者名 磯野萌子、濱川菜桜、古結敦士、山崎千里、久保田智哉、岩本和真、真鍋史郎、武田理宏、松村泰志、山本ベバリー・アン、秀道広、高橋正紀、加藤和人
2. 発表標題 ICTを利用した患者参画型の医学研究における交流の場の構築
3. 学会等名 第7回日本難病医療ネットワーク学会学術大会、2019年11月15日～16日、福岡市
4. 発表年 2019年

1. 発表者名 磯野萌子、濱川菜桜、古結敦士、山崎千里、加藤和人
2. 発表標題 ICTを利用した患者参画型の医学研究における協働の場の構築
3. 学会等名 第31回日本生命倫理学会学術大会、2019年12月7日～8日、仙台市
4. 発表年 2019年

1. 発表者名 加藤和人
2. 発表標題 先端医科学の倫理と公共政策への取り組みについて
3. 学会等名 社会技術研究センター（JST）セミナー（招待講演）
4. 発表年 2018年

1. 発表者名 濱川菜桜、古結敦士、高橋正紀、久保田智哉、松村泰志、武田理宏、真鍋史朗、J.Kaye、H.Teare、N.Gray、J.arrett、M.K. Javaid、加藤和人
2. 発表標題 参加者主体の医学研究プラットフォームの構築
3. 学会等名 第12回ITヘルスケア学会
4. 発表年 2018年

1. 発表者名 濱川菜桜、古結敦士、山崎千里、磯野萌子、久保田智哉、高橋正紀、真鍋史朗、武田理宏、松村泰志、今村幸恵、山本ベバリー・アン、岩本和真、秀道広、加藤和人
2. 発表標題 ICTを利用した患者参画型の医学研究の実践
3. 学会等名 第6回日本難病医療ネットワーク学会
4. 発表年 2018年

1. 発表者名 濱川菜桜、中野瑠美子、古結敦士、山本ベバリー・アン、加藤和人
2. 発表標題 Scoping review: PCIs (participant-centric initiatives) を用いた新しい医学研究の現状把握と分析
3. 学会等名 第30回日本生命倫理学会
4. 発表年 2018年

1. 発表者名 加藤和人
2. 発表標題 医学・医療とビッグデータについて考える
3. 学会等名 研究倫理を語る会
4. 発表年 2019年

1. 発表者名 加藤和人
2. 発表標題 医学研究の実施に伴う倫理的課題とその対応 - ゲノム研究を中心に -
3. 学会等名 第90回日本整形外科学会学術総会（招待講演）
4. 発表年 2017年

1. 発表者名 加藤和人、大橋範子、山本奈津子、濱川菜桜
2. 発表標題 遺伝子医療の新時代と倫理的・社会的課題への対応
3. 学会等名 第22回日本ライソゾーム病研究会（招待講演）
4. 発表年 2017年

1. 発表者名 加藤和人
2. 発表標題 Precision Medicineにおける倫理的課題と対応
3. 学会等名 第90回日本婦人科がん会議（招待講演）
4. 発表年 2017年

1. 発表者名 Ryo Saito, Kazumasa Iwamoto, Akio Tanaka, Kazuto Kato, Michihiro Hide.
2. 発表標題 RUDY JAPAN: Hereditary angioedema (HAE) online registry using information and communication technology (ICT)
3. 学会等名 JSA/WAO Joint Congress 2020. September 2020 (オンライン). (国際学会)
4. 発表年 2020年

〔図書〕 計0件

〔産業財産権〕

〔その他〕

RUDY JAPAN https://rudy.hosp.med.osaka-u.ac.jp/ https://rudy.hosp.med.osaka-u.ac.jp/
--

6. 研究組織

	氏名 (ローマ字氏名) (研究者番号)	所属研究機関・部局・職 (機関番号)	備考
研究分担者	吉澤 剛 (Yoshizawa Go) (10526677)	大阪大学・医学系研究科・准教授 (14401)	2018年9月まで

6. 研究組織（つづき）

	氏名 (ローマ字氏名) (研究者番号)	所属研究機関・部局・職 (機関番号)	備考
研究分担者	三成 寿作 (Minari Jusaku) (60635332)	京都大学・iPS細胞研究所・特定准教授 (14301)	

	氏名 (ローマ字氏名) (研究者番号)	所属研究機関・部局・職 (機関番号)	備考
連携研究者	松村 泰志 (Matsumura Yasushi) (90252642)	大阪大学・医学系研究科・教授 (14401)	
連携研究者	高橋 正紀 (Takahashi Masanori) (20359847)	大阪大学・医学系研究科・教授 (14401)	
連携研究者	武田 理宏 (Takeda Toshihiro) (70506493)	大阪大学・医学系研究科・准教授 (14401)	
連携研究者	真鍋 史朗 (Manabe Shirou) (70626514)	大阪大学・医学系研究科・特任助教 (14401)	
連携研究者	山本 ベバリーアン (Yamamoto Beverley Ann) (10432436)	大阪大学・人間科学研究科・教授 (14401)	

7. 科研費を使用して開催した国際研究集会

〔国際研究集会〕 計0件

8. 本研究に関連して実施した国際共同研究の実施状況

共同研究相手国	相手方研究機関

英国	University of Oxford			
----	----------------------	--	--	--