

# 2026年12月16日開催 ■ 難病シンポジウム アンケート結果



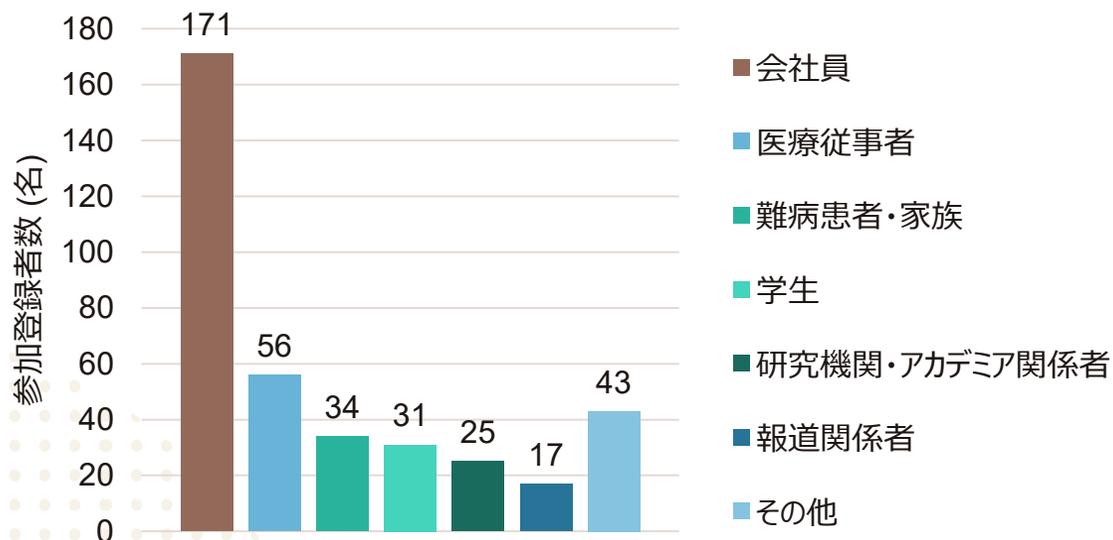
# 2025年12月16日 難病シンポジウム 結果概要

200名以上の幅広い層の方が参加、アンケート回答者の満足度は高かった。

参加登録者数と内訳 (カッコ内は当日参加者)

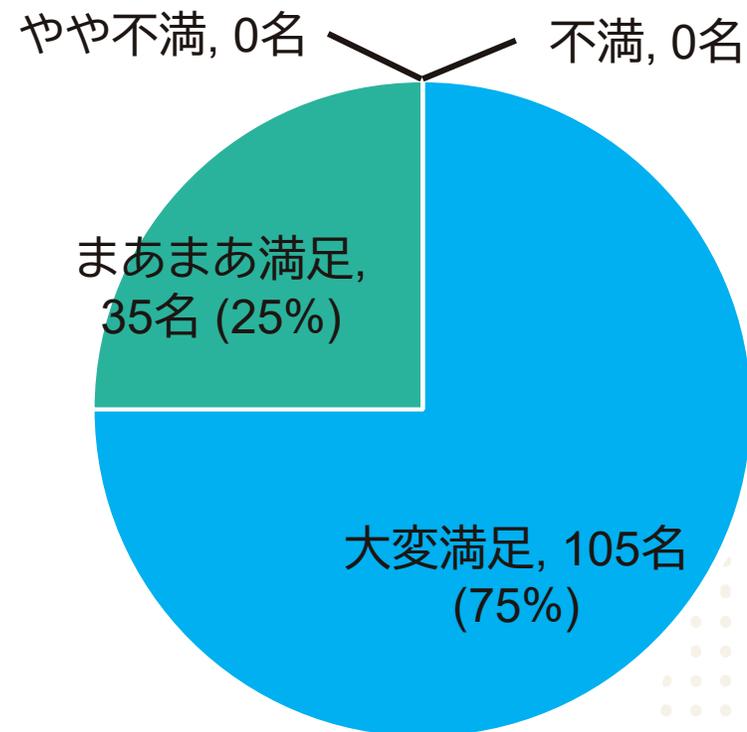
- ▶参加登録者:341名 (214名; 参加率登録者の63%)
  - ▶現地参加:98名 (74名)
  - ▶オンライン参加:243名 (140名)

<参加登録者内訳>



アンケート回答者数:140名

シンポジウムの満足度について

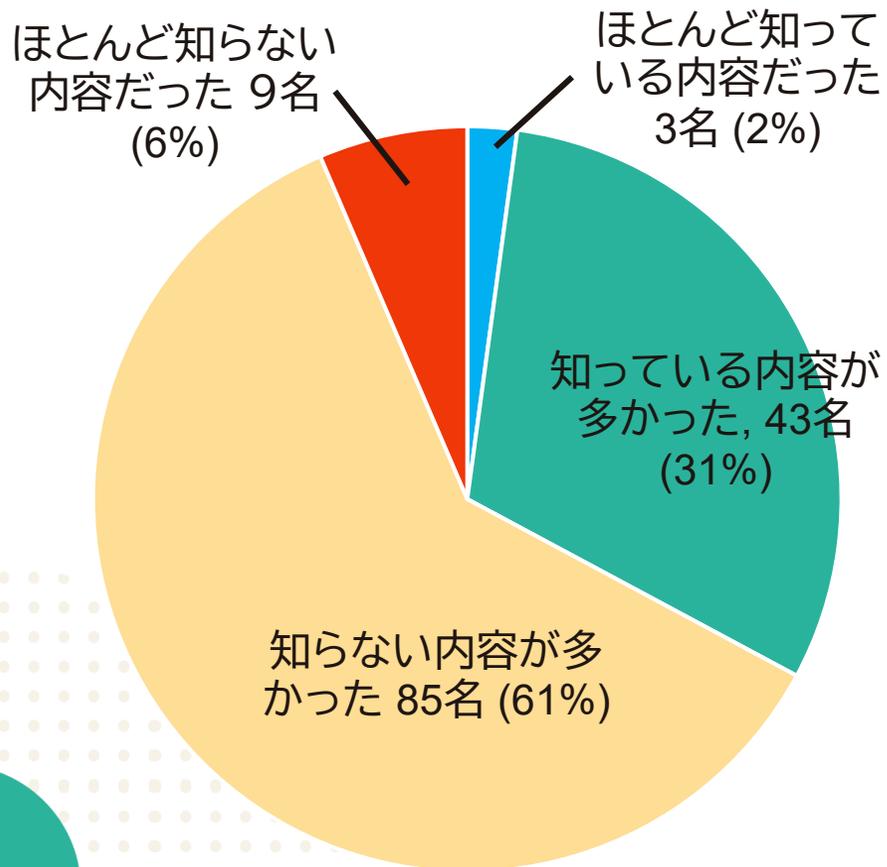


# 「シンポジウム内容の理解」に関するアンケート結果

参加者にとって知らない内容が多かったが、各講演の理解度としては高い傾向にあった。

アンケート回答者数:140名

シンポジウム全体の内容について



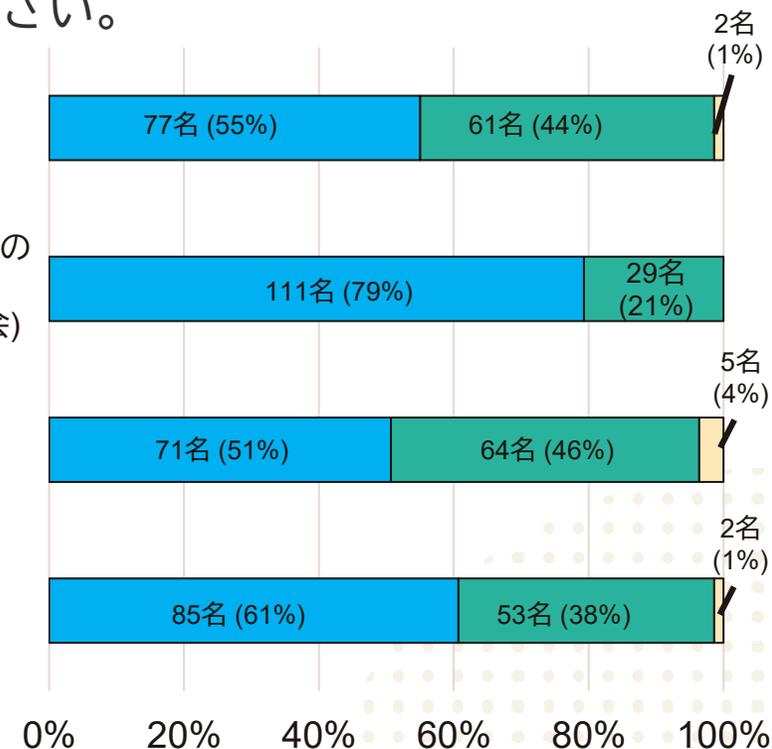
講演・パネルディスカッションの内容について、理解度を教えてください。

講演1 「新生児・小児ゲノム解析の最前線」  
講演者:小崎 健次郎 (慶応義塾大学 教授)

講演2 「患者・家族の視点で考える早期診断の重要性と新薬への期待」  
講演者:大山 有子, 佐藤 亜実 (SMA家族の会)

講演3 「政策への期待—共に創る未来に向けて—」  
講演者:河野 結 (HGPI)

パネルディスカッション  
モデレーター:桜井なおみ (IfNH委員)  
登壇者:小崎 健次郎, 大黒 宏司 (IfNH委員), 濱村 美砂子 (アレクシオンファーマ)



■ よく理解できた

■ あまり理解できなかった

■ だいたい理解できた

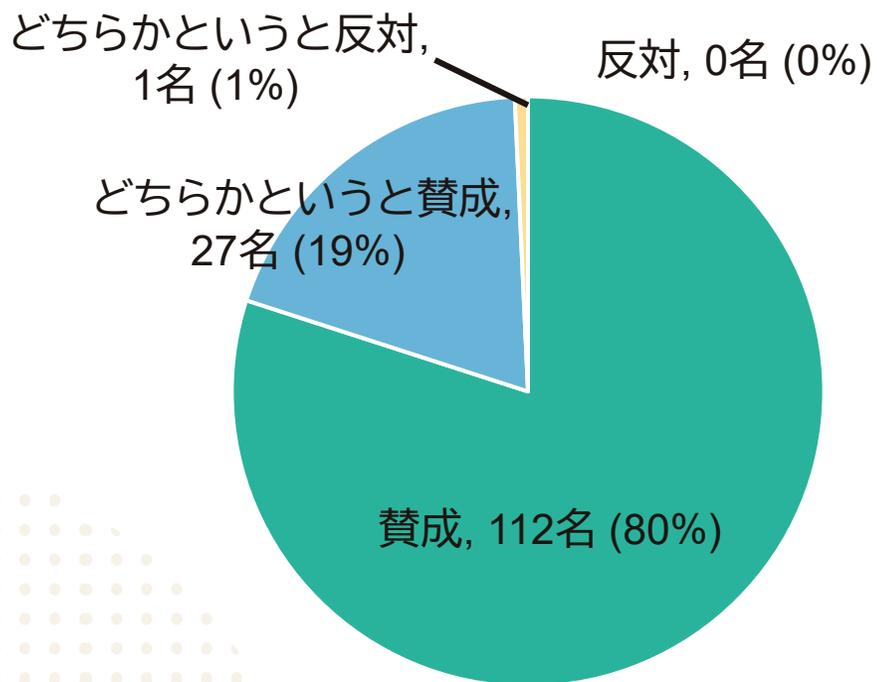
■ まったく理解できなかった

# 「重症新生児に対する全ゲノム検査」と「創薬への患者データ活用」に関するアンケート結果

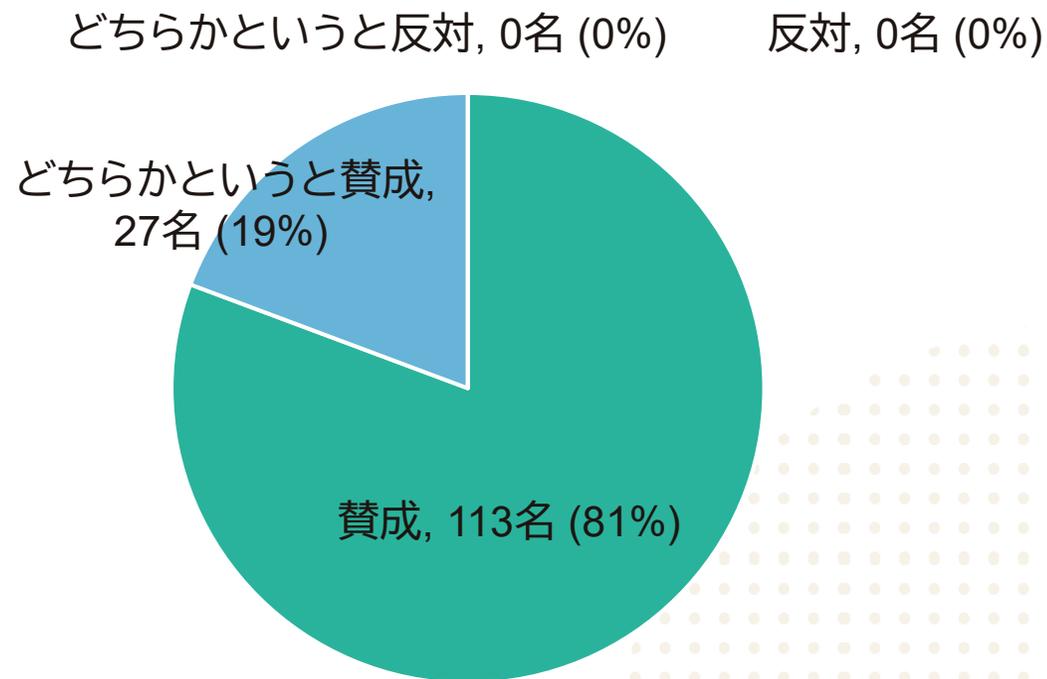
- 重症新生児への全ゲノム検査の実施については、ほぼ全員が賛成であった
- 治療薬の研究開発に患者のデータを活用することについて、全員が賛成

アンケート回答者数: 140名

早期診断・治療を目指した重症新生児に対する全ゲノム検査の実施について、賛否をお聞かせください。



難病治療薬の開発推進のための患者データ(診断情報、治療経過、ゲノム情報など)の活用について、賛否をお聞かせください。



# シンポジウム参加者からのコメント要約・抜粋

シンポジウムに参加して、知ることができて良かったことや興味・関心を持ったトピック、キーワードを教えてください

54件のコメント（キーワードのみの回答のぞく）

## コメント要約

### ・早期診断・早期治療の重要性 (11件)

診断ラグ・診断ロスが患者の予後に深刻な影響を与えることが再認識され、特に新生児へのゲノム解析への期待が高かった。

### ・ドラッグラグ・ドラッグロスの課題 (10件)

海外で利用可能な薬が日本では使えない現状や、制度面での課題、患者視点の欠如に対して、解決されるべき課題としての理解・認知が高まった。

### ・患者・家族の生の声の価値と協働の重要性 (20件)

当事者や家族からの生の声への傾聴や、生活への影響への配慮の必要性について、理解・認知が高まった。

さらに、患者・当事者参画の意義や、他業界、国際社会との連携の重要性についての理解が深まった。

### ・その他 (13件)

イベント参加による知識の習得や、自分事としての意識変化が見られた。

希少疾患の現実を知る意義や、学生、一般参加者が新しい視点を得ることの重要性が強調された。

早期診断、早期治療ができるかどうかによって、患者さんの一生の生活が左右される現状を、改めて感じた

治療法があるのに診断されず見過ごされている疾患では、全ゲノム検査で診断がつくことで予後を大きく改善できるので、全ゲノム検査は必要

日本に生まれたから、日本に住んでいるから治療薬が使えない、ということがあってはいけない

医療は医者や企業だけが提供するものではなく、患者さんを始めとした生活者や国民全員で作っていくものであるという意識がこの日本で作れたら素晴らしい

難病は罹る人が少ないからこそ、こうして難病について知る、感じる機会そのものが非常に価値があると改めて感じた