PMDAにおける
患者参画検討WGの取組み

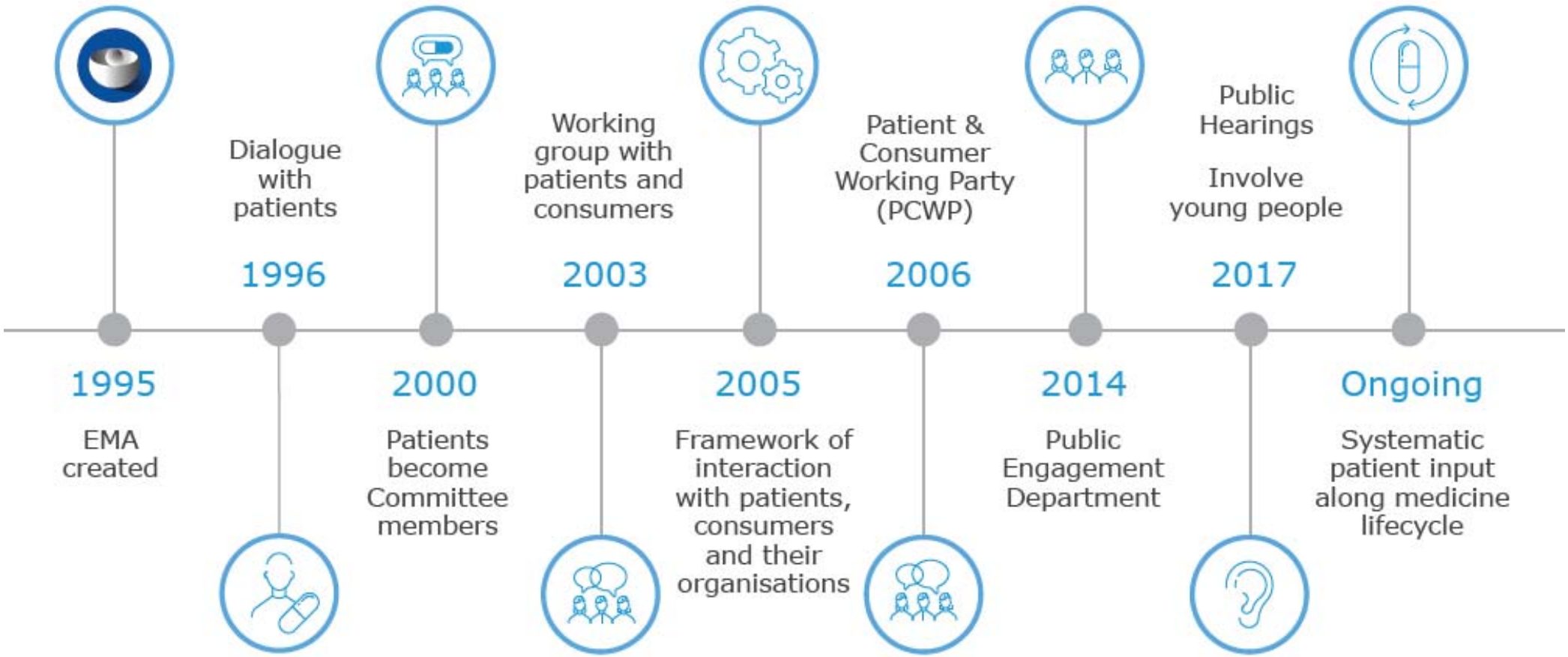
独立行政法人医薬品医療機器総合機構
患者参画検討WG
平松　彩佳

2020年9月11日
レギュラトリーサイエンス学会第10回学術大会
日本におけるPPI (Patient and Public Involvement)の実践

Agenda

- 海外の規制当局における患者参画に関する取組み
  - EMAの状況
  - FDAの状況
- PMDAにおける患者参画検討WGの取組み
  - 現状とこれまでの取組み
  - 今後の課題

EMAにおける取組み①～患者との連携の経緯



1995年　EMA設立

1996年　HIV感染者の要望でEMA代表者が患者と対話（連携の契機）

2000年　Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) への患者参画

2003年　患者とのワーキンググループ設立

2006年　Patients and Consumers Working Party (PCWP) 設立（連携の活発化）

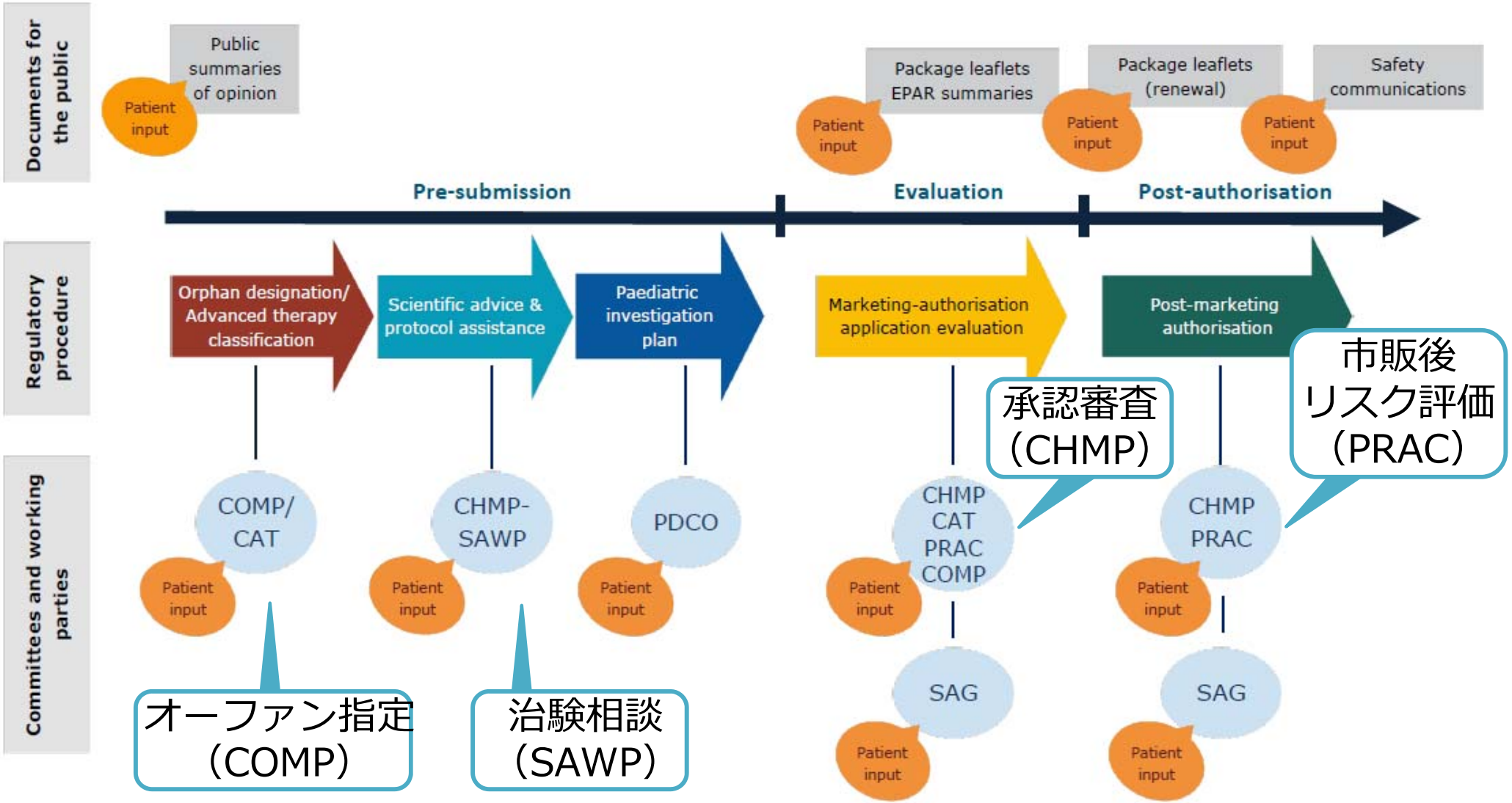
https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers（最終閲覧日：2020年8月14日、以下同じ）

EMAにおける取組み②～PCWP（Patients' and Consumers' Working Party）

- 2006年設立
- EMAと患者団体等との意見交換のための組織
- 適格基準を満たす患者団体等の代表者が参加
- Healthcare Professionals' Working Party (HCPWP)（EMAと医療従事者との意見交換のための組織）とともに議論を行う

https://www.ema.europa.eu/en/committees/working-parties-other-groups/chmp/patients-consumers-working-party

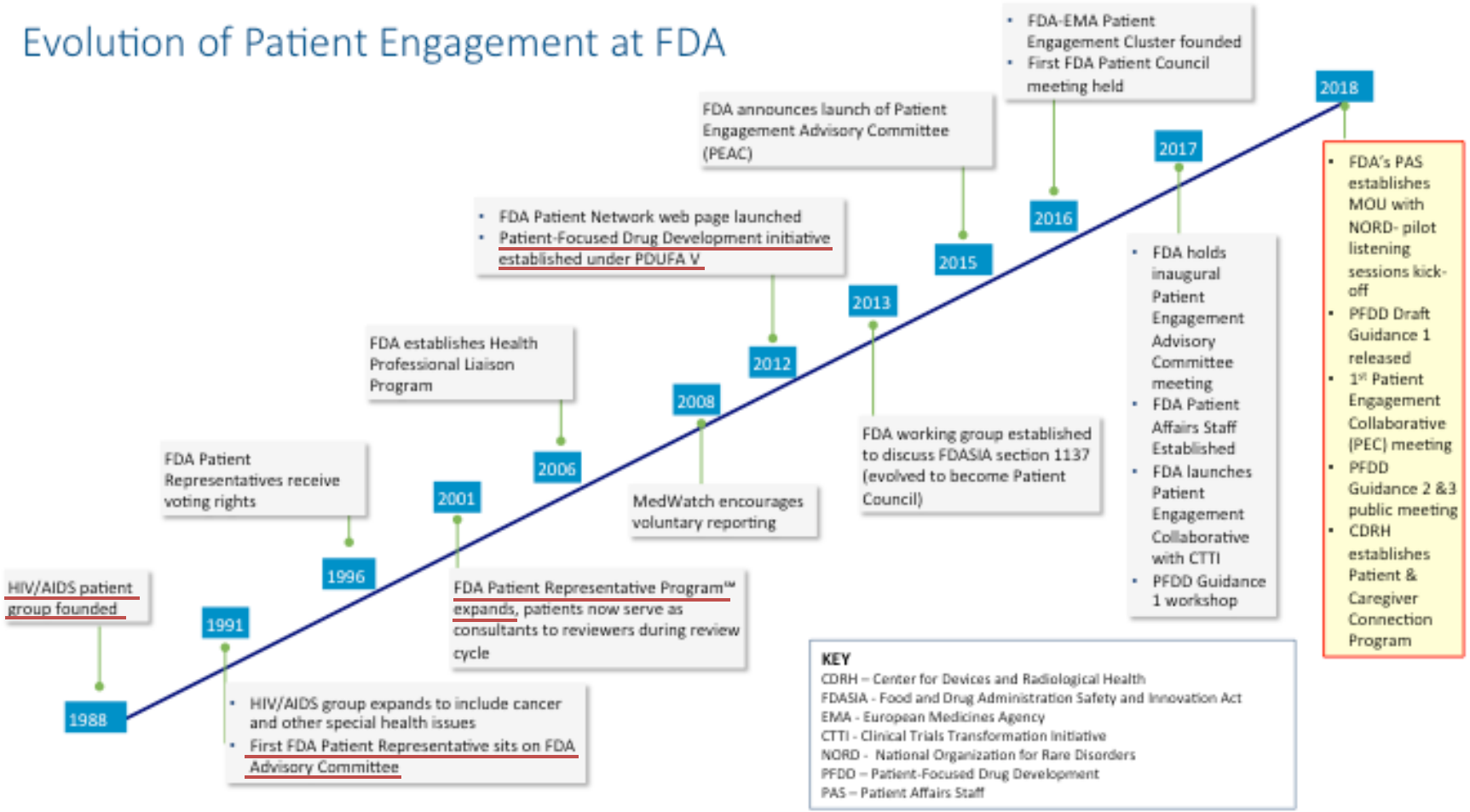
EMAにおける取組み③～医薬品のライフサイクルと患者の声



- 医薬品の開発段階、承認審査、市販後の全過程で、EMAの活動に患者の声を取り入れることが可能

https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers/getting-involved

FDAにおける取組み①～患者との連携の経緯



1988年　AIDS患者団体のデモ活動を契機にオフィス設立（連携の契機）

1991年　患者代表者が初めてAIDS治療薬のアドバイザリー委員会に参画

2012年　FDA Safety and Innovation Act（FDASIA）成立

“Patient Focused Drug Development Initiative”

（患者の声を医薬品開発/承認審査に取り入れる）

https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement

FDAにおける取組み②～PFDD (Patient-Focused Drug Development)

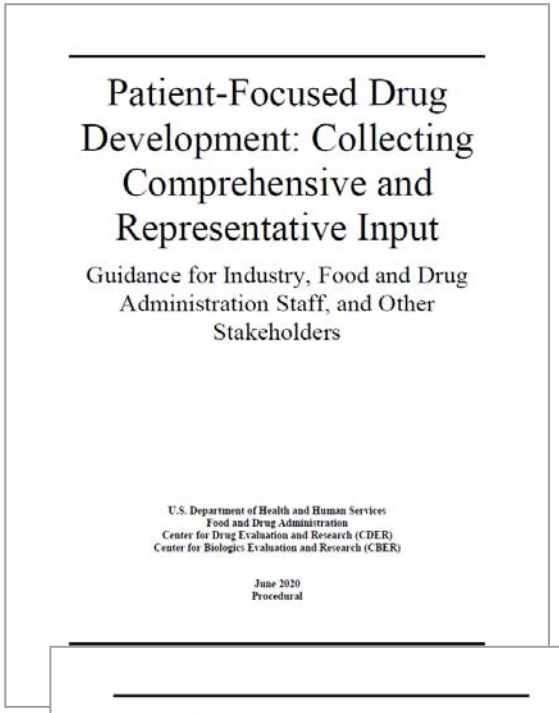
- 体系的に患者の経験、視点、ニーズ、プライオリティを医薬品の開発や承認審査に取り入れることを目的に、患者、アカデミア、医療従事者、企業、規制当局等のステークホルダーが参加する会合を疾患別に開催
- Prescription Drugs User Fee Act (PDUFA) V (2013-2017年) に基づき、2013年より開始し、2018年までに26の疾患についてPFDD meetingを開催
- 現在は、21st Century Cures Act (2016年12月制定) 及びPDUFA V (2018-2022年) に基づき、 PFDDガイダンスの作成を目指している

開催年	現在までにPFDD meetingが開催された疾患（領域）
2013	慢性疲労症候群／筋性脳脊髄炎、HIV、肺癌、ナルコレプシー
2014	鎌状赤血球症、線維筋痛症、肺動脈性肺高血圧症、先天代謝異常症の神経学的兆候、遺伝性出血性疾患（血友病A&B、フォンウィルブランド病等）、特発性肺線維症 、女性の性的機能不全
2015	乳癌、シャーガス病 、機能性胃腸障害 、ハンチントン病 、パーキンソン病、α1-アンチトリプシン欠乏症、肺非結核性抗酸菌症
2016	乾癬、末梢神経障害に伴う神経因性疼痛 、臓器移植
2017	サルコペニア、自閉症、円形脱毛症、遺伝性血管性浮腫
2018*	オピオイド使用障害、慢性疼痛

* PDUFA VIに基づき実施

https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/cder-patient-focused-drug-development
https://www.fda.gov/industry/prescription-drug-user-fee-amendments/fda-led-patient-focused-drug-development-pfdd-public-meetings

FDAにおける取組み③～PFDDガイダンス

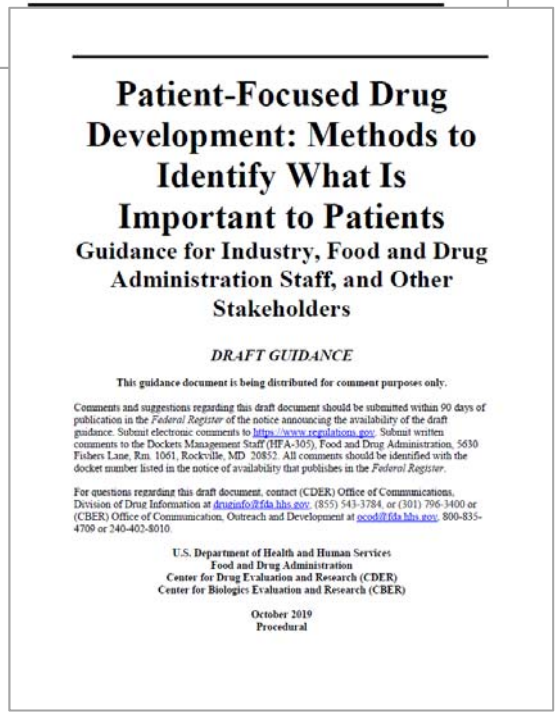


Patient-Focused Drug Development: Collecting Comprehensive and Representative Input

Guidance for Industry, Food and Drug Administration Staff, and Other Stakeholders

U.S. Department of Health and Human Services
Food and Drug Administration
Center for Drug Evaluation and Research (CDER)
Center for Biologics Evaluation and Research (CBER)

June 2020
Procedural



Patient-Focused Drug Development: Methods to Identify What Is Important to Patients

Guidance for Industry, Food and Drug Administration Staff, and Other Stakeholders

DRAFT GUIDANCE

This guidance document is being distributed for comment purposes only.

Comments and suggestions regarding this draft document should be submitted within 90 days of publication in the *Federal Register* of the notice announcing the availability of the draft guidance. Submit electronic comments to https://www.regulations.gov. Submit written comments to the Dockets Management Staff (HFA-305), Food and Drug Administration, 5630 Fishers Lane, Rm. 1061, Rockville, MD 20852. All comments should be identified with the docket number listed in the notice of availability that publishes in the *Federal Register*.

For questions regarding this draft document, contact (CDER) Office of Communications, Division of Drug Information at druginfo@fda.hhs.gov, (855) 543-3784, or (301) 796-3400 or (CBER) Office of Communication, Outreach and Development at ocod@fda.hhs.gov, 800-835-4709 or 240-402-8010.

U.S. Department of Health and Human Services
Food and Drug Administration
Center for Drug Evaluation and Research (CDER)
Center for Biologics Evaluation and Research (CBER)

October 2019
Procedural

- Guidance 1: Collecting Comprehensive and Representative Input
  - 対象集団の設定根拠やサンプリング方法を検討し、患者から情報（インプット）を得る計画について解説する。
- Guidance 2: Methods to Identify What is Important to Patients
  - 特定の疾患において、患者にとって重要な症状、疾患の影響、その他の問題点等の情報を収集する具体的な方法について解説する。
- Guidance 3: Selecting, Developing or Modifying Fit-for-Purpose Clinical Outcomes Assessments
  - 患者にとってベネフィットがあるアウトカム指標を開発する方法について解説する。
- Guidance 4: Incorporating Clinical Outcome Assessments into Endpoints for Regulatory Decision Making
  - 患者視点に基づくアウトカム指標の開発と解釈に関する最近のトピックについて解説する。

https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/fda-patient-focused-drug-development-guidance-series-enhancing-incorporation-patients-voice-medical

本邦の規制当局におけるこれまでの患者参画活動

- 患者向け情報提供
  - 患者向医薬品ガイド（2005～）
  - 重篤副作用疾患別対応マニュアル（2005～）
  - その他患者向け情報提供（安全性速報、適正使用のお願い　等）

- 患者からの情報提供
  - 患者副作用報告制度（試行：2012～、正式化：2019～）
  - 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（2009～）
  - その他要望書受付　等

- 会議体への患者参加
  - 厚生労働省薬事・食品衛生審議会薬事分科会
  - PMDA運営評議会　等

PMDAのHP（一般の方向けページ）から得られる情報

- くすりQ&A
- 患者向医薬品ガイド
- ワクチン接種を受ける人へのガイド
- 一般用医薬品/要指導医薬品の添付文書
- PMDAからの医薬品適正使用のお願い
- 緊急安全性情報/安全性速報
- 重篤副作用疾患別対応マニュアル
- 患者からの医薬品副作用報告
- 医薬品副作用被害救済制度相談窓口
- 医療機器Q&A
- PMDAからの医療機器適正使用のお願い
- 患者･一般の方からの相談窓口
- くすり･医療機器の承認情報

https://www.pmda.go.jp/pnavi-01.html

国内の動向

- 日本製薬工業協会（製薬協）による報告書
  - 「患者の声を活かした医薬品開発-製薬企業によるPatient Centricity-」（2018年６月）
  - 「製薬企業がPatient Centricityに基づく活動を実施するためのガイドブック-患者の声を活かした医薬品開発-」（2019年９月）
  - 「患者の声を活かした医薬品開発　製薬企業が患者団体とPatient Centricityに基づく活動を推進するためのコミュニケーションガイドブック」（2019年９月）

- AMED「患者・市民参画（PPI）ガイドブック～患者と研究者の協働を目指す第一歩として～」発行（2019年3月）

- 患者・市民参画コンソーシアム（PPI Consortium in Japan）（2019年7月設立）

患者参画検討WG

- 2019年５月発足
- 医薬品の開発や安全対策について、患者さんの視点による課題をPMDAと共有し、相互にコミュニケーションするための、PMDAの取組みを検討。
- 欧米の状況や進行中の計画について状況把握を行い、日本の環境で最適な制度を探り、2年後を目途にガイダンス、広報のあり方などを公表予定。
  - 患者会との意見交換のあり方の検討
    - 新薬・新機器承認審査
    - 安全対策関係
  - 患者向け広報のあり方、窓口の設置のあり方
  - 患者活動とPMDAのかかわりのガイダンスの作成

https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/cross-sectional-project/0020.html

患者参画検討WGの活動

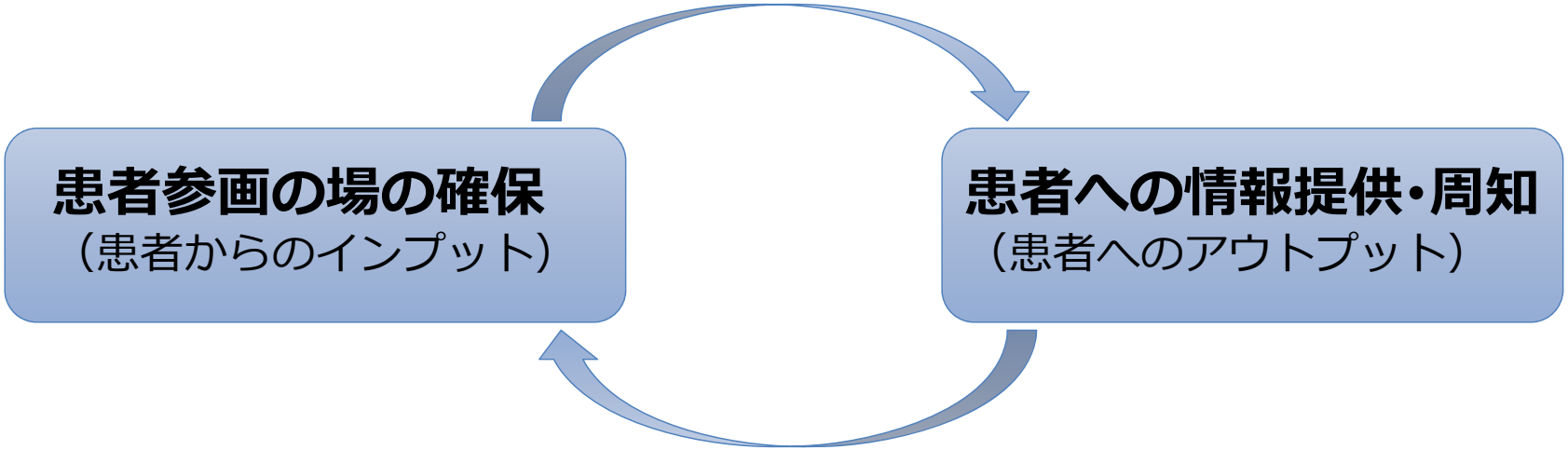
- 認定NPO法人ささえあい医療人権センター（COML）の委員バンク登録会員との意見交換
  - 患者参画検討WG のメンバーからPMDA における審査・安全・救済の主な業務内容や薬事規制について紹介
  - 患者の視点から見た際のPMDAの業務に関して活発な意見交換を実施

PMDAにおける患者参画～基本的方針

- 患者の声・意見を反映することによりPMDAの業務の質を高めるとともに、患者の医薬品・医療機器等への理解と満足度の向上を図ることを目指す。

- PMDAの業務における患者参画の推進に当たり、**PMDA及びその役職員が参照すべき活動指針を取りまとめたガイダンス**を作成する。

- ガイダンスの基本コンセプト（案）：
  - **患者の意見及び知見の積極的な収集**を行うとともに、より効果的な情報収集が可能となるよう、PMDAの業務及び薬事行政に対する理解を深めるための**患者向け情報提供の充実化**に努め、その双方によって患者参画の推進を図る。



PMDAにおける患者参画～今後の検討課題等

患者の声を聴く
意見交換会等の実施

PMDA職員の
患者参画への
認知・理解の向上

患者の薬事行政や
PMDAに対する
認知・理解の向上

患者参画の場の確保
（患者からのインプット）

患者への情報提供・周知
（患者へのアウトプット）

開発、審査、市販後調査
に患者の声を活用する
ためのインフラ整備

患者向け情報の充実
情報提供の場の拡大

これらの検討結果を基に、今後取りまとめるガイダンス（案）について、
ステークホルダーからの意見を募集する予定（ご協力をお願いします）