

# 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 患者参画ガイドンス

令和3年9月7日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
患者参画検討ワーキンググループ

## 目次

### I. 総論

- (1) PMDAにおける患者参画の定義及び理念
- (2) 本ガイドンスの目的
- (3) PMDAにおける患者参画推進の基本的方針

### II. 患者等からの情報の収集・反映

- (1) 患者等からの情報の収集・反映について
- (2) 患者等の声を収集する仕組み
  - ① 患者団体との意見交換・勉強会の実施
  - ② PMDAが開催する会議等への患者等の参加の検討
  - ③ その他既存制度による情報収集
- (3) PMDAの業務において得られる患者からの情報への対応
  - ① 開発段階における患者参画活動への対応
  - ② PMDAに直接寄せられる要望書等への対応

### III. 患者等向け情報提供

- (1) 患者等向け情報提供のあり方について
- (2) 患者参画活動のために提供すべき情報
  - ① 薬事行政に係る基礎的な情報発信
  - ② 安全性情報等の積極的な情報発信
  - ③ その他
- (3) 情報提供に用いる媒体等
  - ① PMDA ウェブサイトの充実
  - ② 各種イベントへの参加及び開催
  - ③ 各種資材等の充実
  - ④ その他

### IV. 用語の定義

はじめに

医薬品等は、患者の疾病若しくはその合併症の治療、診断又は予防に使用されること、若しくは身体の構造又は機能に影響を及ぼすこと等が目的とされる物である。患者は、医薬品等による治療、診断又は予防の対象者であり、医薬品開発等の中心的な存在であるとともに、種々の身体的、精神的、社会的又は経済的な負担や症状の経験を有している。患者等の声を収集し、これを理解して業務に活用することは、本邦の薬事規制当局である独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）において、“Patient First”という PMDA の取組みを具現化するうえで不可欠である。さらに、患者のニーズを把握することにより、承認取得後に医薬品等がどのように使用される可能性があるかを想定した開発の支援や、市販後の安全対策の推進につながることを期待している。また、患者等が、薬事行政に対する理解を深めることにより、治療薬等が患者に最良の選択肢となるような開発に導く等のメリットが期待され、PMDA 及び患者等の双方にとって有益である。

しかしながら、治験相談及び承認審査並びに安全対策等を実施する上で PMDA が業務上必要とする情報の多くは、製造販売業者や医薬関係者（医療従事者）を通じて収集される。このため、患者の治療に関する情報、患者等の声を PMDA が直接収集する機会は限られている。未承認薬・適応外薬検討会議における開発要望の受付・評価や患者副作用報告等の取組みも開始されているが、PMDA が直接患者等から情報を収集する機会は未だ限定的である。

近年、患者等を中心とした医薬品開発及び承認審査等の取組みが国際的にも重要視されるようになり、欧米の規制当局では各種会議や関連ガイドラインの策定への患者等の参加が進められている。国内でも、日本製薬工業協会では「Patient Centricity に関するガイドブック」の策定や国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）が作成した「患者・市民参画（PPI）ガイドブック」により各企業、アカデミアにおける製品開発や臨床試験での取組みが本格化する等、患者参画に係る動きが活発化している。

PMDA においても、医薬品開発及び承認審査並びに安全対策等における患者参画を円滑に実施し推進するとともに、本邦における患者参画活動に貢献できるよう、PMDA 及びその役職員が参照すべき活動指針として、本ガイダンスを策定することとする。本ガイダンスに記載している具体策は例示であり、これに限定されるものではない。なお、本ガイダンスは患者参画活動の状況等を踏まえて必要な見直しを行っていくこととする。

## I. 総論

### (1) PMDAにおける患者参画の定義及び理念

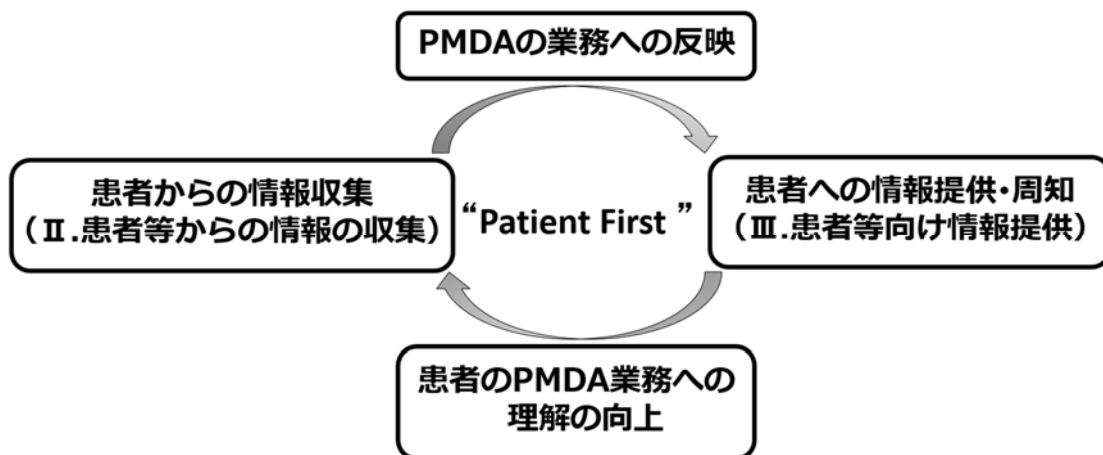
本ガイダンスでは、患者等の声を把握、理解し、業務に活用することを患者参画と定義し、患者参画により”Patient First”という PMDA の取組みを具現化するとともに、患者等の薬事行政に対する理解と満足度の向上を図ることを目指す。

### (2) 本ガイダンスの目的

本ガイダンスは、上記の理念の達成に向けて、PMDA の業務における患者参画を推進するため、PMDA 及びその役職員が参照すべき基本的な活動指針として作成した。

### (3) PMDAにおける患者参画推進の基本的方針

患者等の声の積極的な情報収集を行い、業務の質の向上を図る。患者等向けの情報提供の充実に努め、PMDA の業務及び薬事行政に対する理解の向上につなげる。この下図に示す情報交換を促進することによって患者参画の推進を図る。



## II. 患者等からの情報の収集・反映

### (1) 患者等からの情報の収集・反映について

海外では、欧州医薬品庁 (EMA) において、EMA の様々な活動について患者等へ情報提供し、また患者等の声を収集し、業務に反映することで公衆衛生の推進を進めることを目的とした Patients' and Consumers' Working Party (PCWP) が設立された。米国食品医薬品局 (FDA) は、臨床試験変革イニシアチブ (CTTI) 及び Patient Engagement Collaborative (PEC) を設立し、FDA において、医薬品等の開発や規制についてより有意義な患

者参画を達成できるよう、患者代表と議論を進めている。また、FDA は、患者とともに Patient-Focused Drug Development (PFDD) ガイダンスを作成し患者からの情報収集の方法について具体的な方針を公表するとともに、学会等が主催する会に FDA も参加し、積極的な情報公開を行っている。

PMDA における承認審査や安全対策等の業務は、科学的な議論を基本としており、患者等の声を収集・反映する場合においても、科学的な妥当性を意識して取り組む必要がある。

患者参画に当たっては、PMDA 情報セキュリティポリシー等の関連規定に従う。このため、PMDA は機微に触れる情報や企業秘密は患者等の外部には提供しないこととしている。一方、患者等が専門委員等である場合は、業務の要領や委嘱等の手続きにおいて、その職務を通じて知り得た秘密を漏らし、又は自己若しくは他人の利益のために使用してはならない旨が規定されており、これを遵守するものとする。

## (2) 患者等の声を収集する枠組み

### ① 患者団体との意見交換・勉強会の実施

患者団体との意見交換や勉強会の実施は、患者等の声を直接聴取することができる有用な機会であり、積極的に実施する。また、その際には、単に情報収集を行うだけでなく、Ⅲに記載する患者等向け情報提供を併せて実施し、双方向の情報交換を行うことが望ましい。

意見交換や勉強会の実施に際しては、患者団体の規模や疾患領域等を踏まえ広く参加することが求められることから、一定の公平性・透明性を考慮し、また利益相反を適切に制御する必要がある。

### ② PMDA が開催する会議等への患者等の参加の検討

患者等が参加することが会議での議論にとって有益と考えられる場合には、会議への参加について検討する。

### ③ その他既存制度による情報収集

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議や、医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会、患者副作用報告といった、患者等からの情報を受け付ける現行の枠組みについては、引き続き円滑な運用に努めるとともに、患者等の声を効率的に収集できるよう適宜運用の見直しを行う。

## (3) PMDA の業務において得られる患者からの情報への対応

### ① 開発段階における患者参画活動への対応

医薬品等の開発においては、医薬品等の対象者である患者のニーズや悩みを理解することが必要であり、治験等の実施に当たって、その立案段階から

患者等の声を活かす取組みが活発になっている。今後、患者等の声を基に開発した医薬品等や、患者報告アウトカム (Patient Reported Outcome : PRO) 等を評価項目の一部とした治験の結果を含む承認申請が増加すると考えられる。

対面助言等で相談者側に患者等が参加する場合には、対象品目の科学的な評価等に資する情報を得ることを目的とする。

PRO は、審査において患者の Benefit を評価するための有用なツールであり、これを活用することは、臨床的意義が患者に支持される医薬品等の効率的な開発に資すると考えられる。PRO 尺度の使用にあたり、当該 PRO 尺度がガイドライン等で示された科学的な方法に基づき開発及び言語バリデーションされていることを確認することが重要である。また、PRO 尺度の結果解釈においては、当該尺度により評価することの臨床的意義も考慮する必要がある。そのため、承認申請資料の一部として当該データが提出される際には、言語バリデーションの実施状況や臨床評価ガイドラインへの記載を含む国内外での使用実績等の観点に留意しつつ、その取扱いについて検討する。

#### ② PMDA に直接寄せられる要望書等への対応

患者団体等から寄せられる要望書等の内容について、科学的な評価等に資する情報が記載されている場合には、参考とするよう努める。

PMDA の通常業務において受け付けた患者等の声については、その業務の枠組みの中で、改善に活用することを検討する。

### III. 患者等向け情報提供

#### (1) 患者等向け情報提供のあり方について

上記 II の患者等からの情報収集活動を推進するためには、患者等の PMDA の業務や薬事行政に対する基礎的な理解が前提となるため、患者等が理解を深める機会を提供する必要がある。その際には、上記 II の活動により収集した情報を適切にフィードバックできるよう検討を行う。

PMDA がこれまで患者団体等と直接的に関わった経験は限られている現状を踏まえ、PMDA が通常業務として実施している情報提供活動の観点とは別に、一般向けに理解できる情報提供のあり方について考慮する必要がある。

PMDA から患者等への情報提供の機会は限られていることから、様々な機会を活用して理解の促進を図っていく必要がある。例えば、上記 II の患者団体との意見交換・勉強会の実施の際においては、PMDA の業務や薬事行政に関する情報提供を併せて行うことが有用であると考えられる。

## (2) 患者参画活動のために提供すべき情報

### ① 薬事行政に係る基礎的な情報発信

PMDA ウェブサイトでの情報提供等、医薬品等の審査プロセスについて、透明性を確保し、適切な情報開示を行う。副作用や不具合に関する情報についても、分かりやすい情報提供を行う。

製造販売後に実施している副作用・不具合情報の収集や、PMDA が行っている疫学調査、安全性に関わる情報の発信や注意喚起の根拠等について、適切な情報提供を行う。

医薬品副作用被害救済制度等、患者等にとって有益な情報となるものについては、様々な媒体を利用して、広く情報提供する。

### ② 安全性情報等の積極的な情報発信

PMDA ウェブサイト上で提供している患者向医薬品ガイド等の患者等向け資料については、引き続き内容の充実・改良と周知方法の改善等、活用促進を図る。

安全性に関する問題等、医療従事者だけでなく患者等にもタイムリーに届ける必要がある情報について、発信方法・内容（情報を患者等が受け取った際にどのような行動をするべきか、誰に相談が必要か等）の検討を行う。

検討に当たっては患者団体の協力も必要に応じて得つつ、患者等にとって分かりやすい情報発信となるようにする。

### ③ その他

上記の他、Ⅱ（2）、（3）で収集した情報から患者のニーズを的確に把握し、各種情報提供の拡充を図る。これらの患者等向け情報提供に当たっては、可能な限りアンケートの実施等により効果の評価を行い、その後の改善に繋げる。

各部において、患者参画を行った事例があれば、内容とともに、具体的に有意義であった点、課題等を PMDA 内で適切に共有し、その後の患者参画に活用する。

## (3) 情報提供に用いる媒体等

### ① PMDA ウェブサイトの充実

ウェブサイトは、時間や場所を問わず、ユーザー側が必要とする情報を迅速に提供できるという面で、PMDA の業務において最も重要な媒体のひとつである。開発者や医療従事者のみならず、患者等自らが必要とする情報を容易に入手できるよう、PMDA ウェブサイトの改善を適宜行い、患者視点でのユーザビリティ向上を図る。

PMDA ウェブサイト以外にも患者にとってアクセスのしやすい方法（ソーシャルメディア（SNS 等）の利用、メール・動画サイト、出版物を利用した配信）等も検討する。

② 各種イベントへの参加及び開催

患者団体の活動や学会の市民向け講座等、患者等が参加している集まりにも積極的に関わり、PMDA 及びその業務の周知に努める。

国民向けシンポジウム等を PMDA が自ら開催することを引き続き検討するとともに、よりよい情報発信のための検討を行う。

③ 各種資材等の充実

患者等向けに分かりやすい解説資材を作成し、PMDA 内で広く共有することにより、上記の情報提供活動がしやすい環境整備を行う。

④ その他

特定の疾患の情報や患者等にタイムリーに届ける必要がある情報について、事前に患者団体等と協力し、配信ルート等を検討する。

#### IV. 用語の定義

本ガイドンスにおける各用語の定義については、以下のとおりとする。

用語	定義
医薬品等	医薬品、医療機器、再生医療等製品
患者等	医薬品等による治療、診断又は予防の対象者である患者、その介護者及び保護者。 ワクチン接種・一般用医薬品の対象者も想定される。
患者等の声	患者等の声・意見・要望等、患者等から得られる情報