

本邦及び海外規制当局における 患者向け情報提供について ～患者参画検討WGの立場から～

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

患者参画検討WG

漆谷 隼

2021年12月10日

第42回日本臨床薬理学会学術集会

セッション「患者に適切な医薬品情報は提供できているか？」

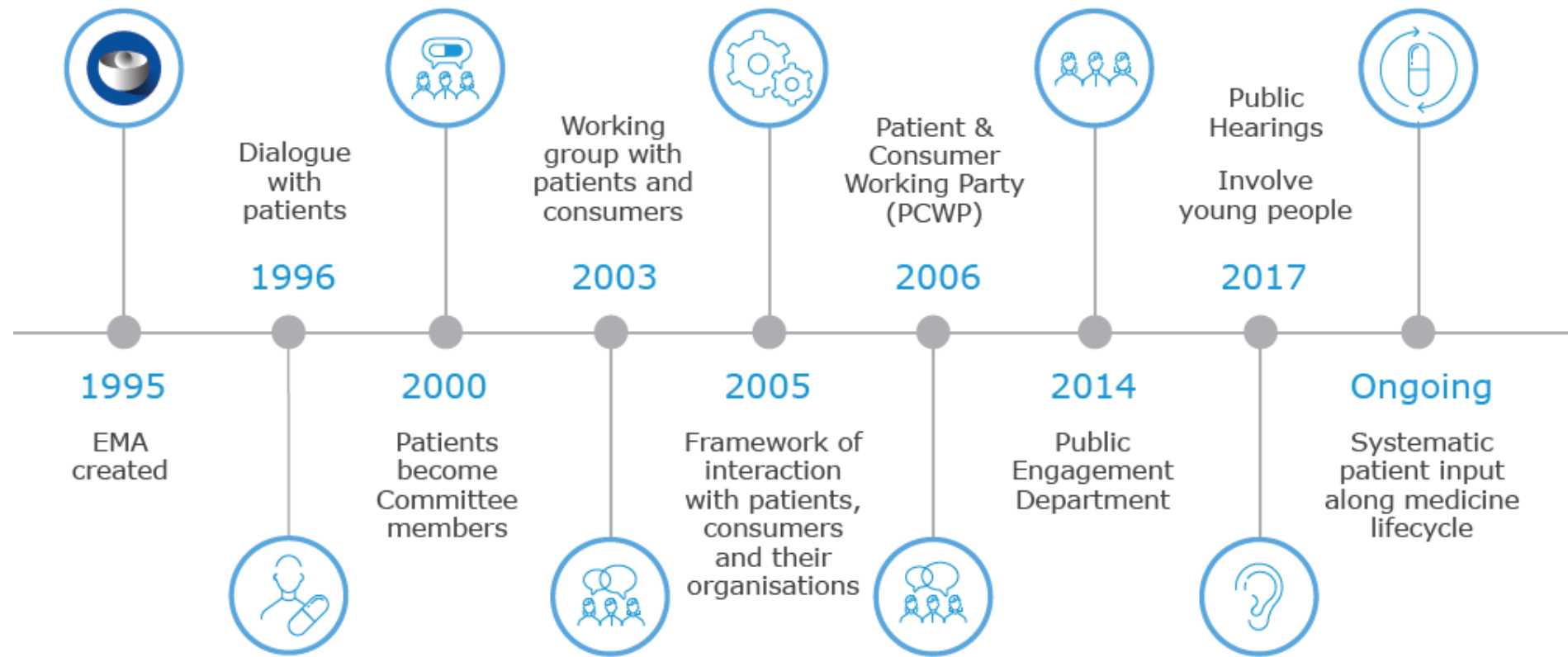
利益相反（COI）について

- 本演題発表に関連して、開示すべきCOI関係にある企業等はありません。

Agenda

- 海外の規制当局における動向
 - EMAの状況
 - FDAの状況
- 本邦における患者向け情報提供
 - 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

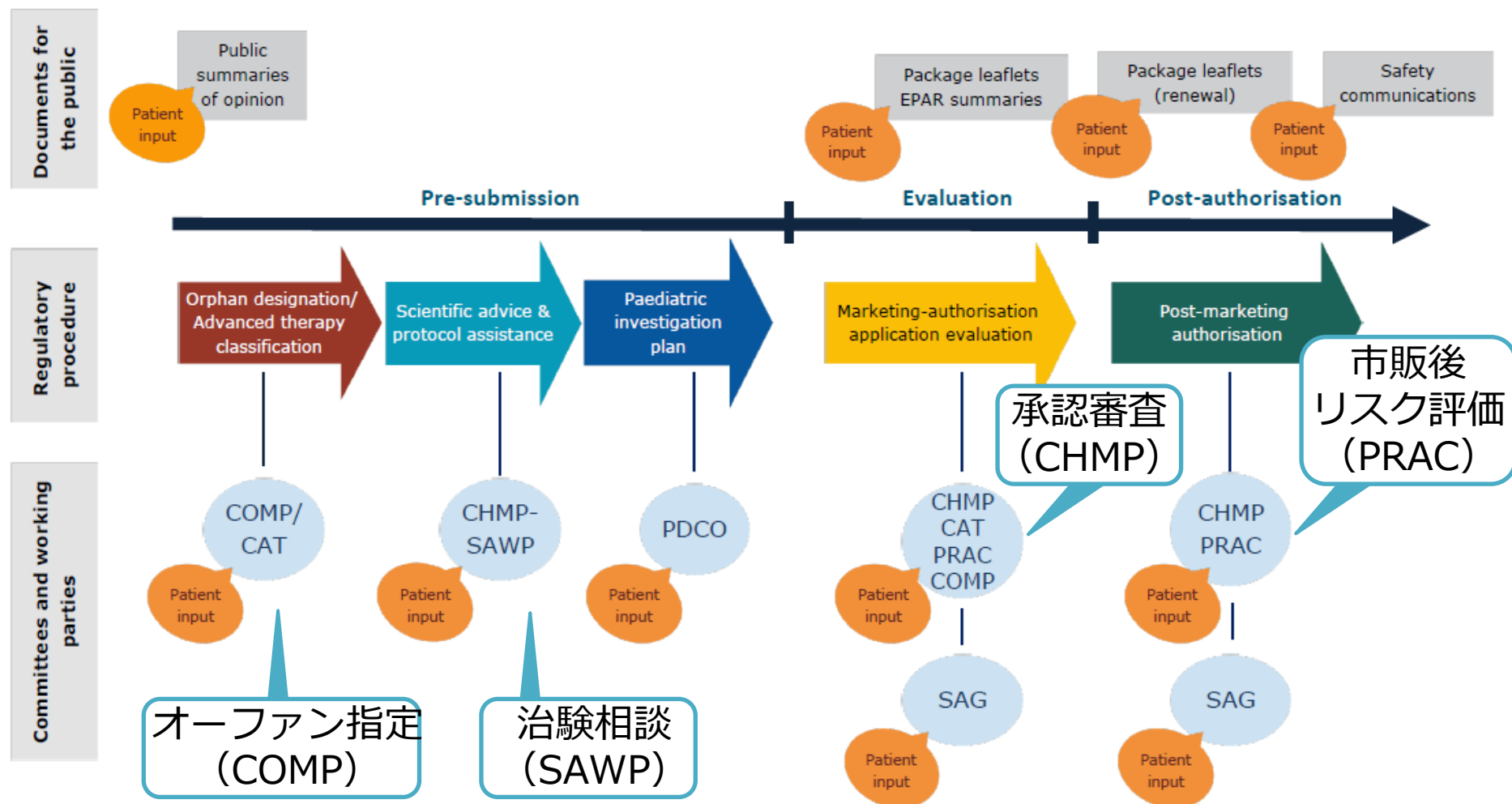
2003年 患者とのワーキンググループ設立

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

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

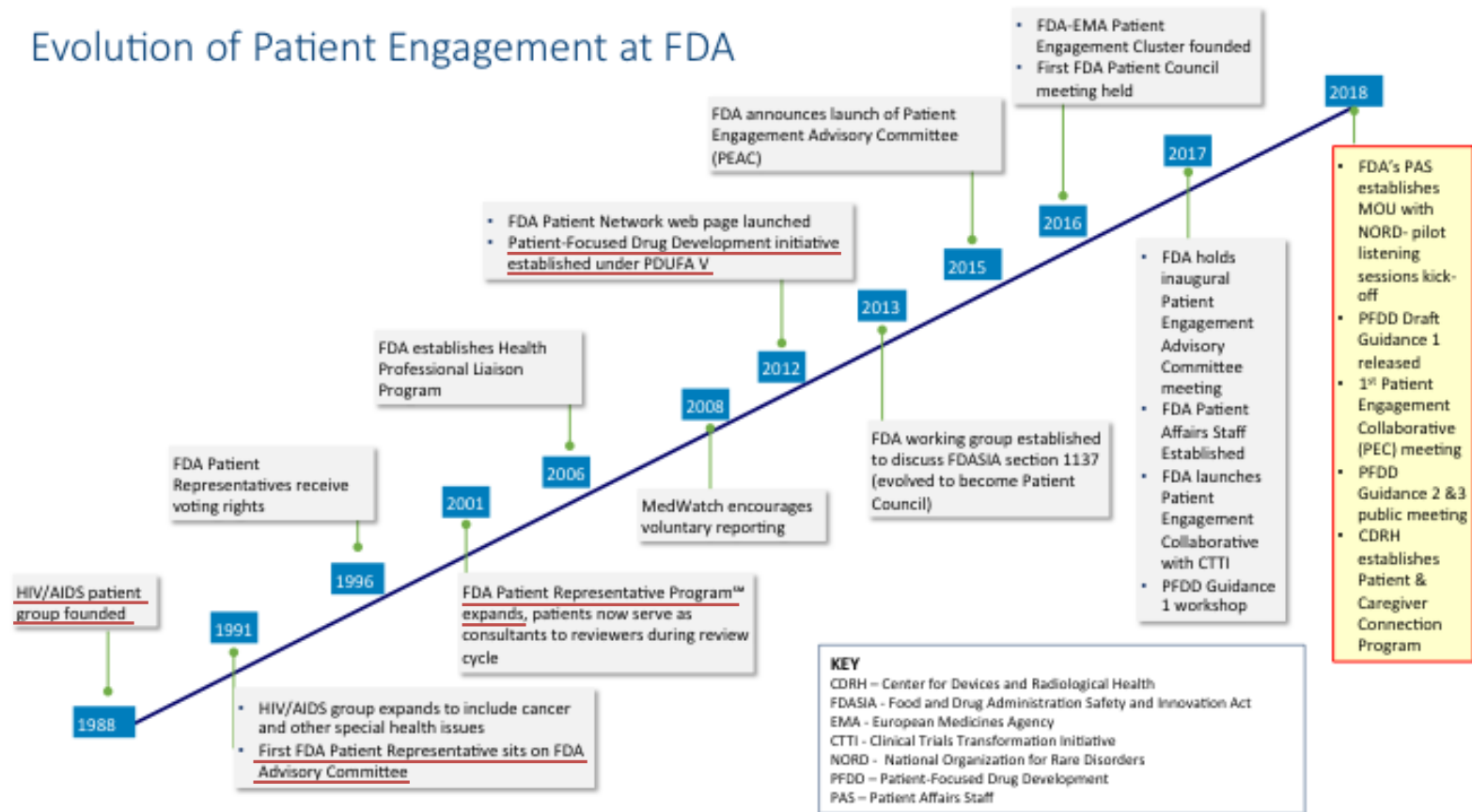
EMAにおける取組み③～医薬品のライフサイクルと患者の声



- 医薬品の市販後安全対策を含め、EMAの活動に患者の声を取り入れることが可能

FDAにおける取組み①～患者との連携の経緯

Evolution of Patient Engagement at FDA



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 (PFDD) Initiative” 開始
(患者の声を医薬品開発/承認審査に取り入れることを目的とする施策)

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 VI (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

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 ddi@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。

国際的な取組み～CIOMS（国際医学団体協議会）

- 1949年にWHOとUNESCOにより設立
- 様々な医学領域の団体で構成
- ガイダンス発行を通して公衆衛生の発展を図る
- 2018年4月に患者参画に関するWorking Group XI（Patient Involvement）が始動
- 患者団体、産業界、規制当局、アカデミア、世界医師会が参画
- Patient Involvementに関する国際的ガイダンスの作成が開始

Agenda

- 海外の規制当局における患者向け情報提供
 - EMAの状況
 - FDAの状況
- 本邦における患者向け情報提供
 - 現状とこれまでの取組み
 - 今後の課題

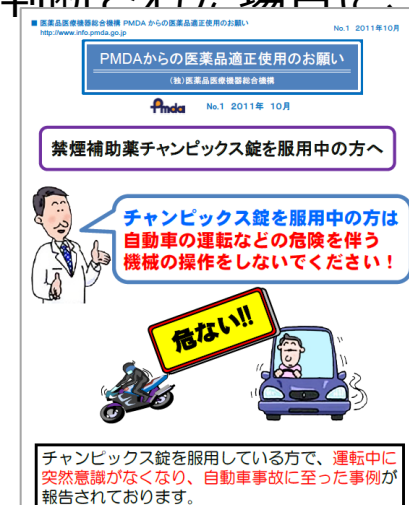
国内の動向

- 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）

本邦の規制当局における患者参画

患者向け情報提供

- 患者向医薬品ガイド（2005～）
 - 患者や家族の方等に、医療用医薬品の正見等に役立てていただくために提供
- 重篤副作用疾患別対応マニュアル（2005～）
 - 患者や家族の方に知っておいていただきたい副作用について、症状と早期発見・早期対応のポイントを説明
- 安全性速報（ブルーレター）（2011～）
 - 医療用医薬品等の添付文書が改訂された際に、一般的な使用上の注意の改訂情報よりも迅速な安全対策措置をとる必要があると判断された場合に、製造販売業者が作成
 - 国民（患者）向けの資材は必要に応じて作成
- その他患者向け情報提供
- （適正使用のお願い 等）



本邦の規制当局における患者参画

■ 患者からの情報提供

- 患者副作用報告（試行：2012～、正式化：2019～）
 - 医薬品による副作用が疑われる症例についての情報を、患者や家族の方から直接収集することにより、医薬品の安全対策に活用
- 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（2009～）
 - 医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討等を行う
- 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

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

活動成果

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
患者参画ガイダンス(令和3年9月7日作成)

The screenshot shows the PMDA (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency) website. The header includes the PMDA logo and navigation links for Japanese and English. The main content area features a sidebar with links to various regulatory topics and a central section titled '患者参画検討WG' (Patient Participation Working Group). This section includes details about the group's purpose, start date (May 2019), and members. A callout box at the bottom right of the screenshot points to the 'Patient Participation Guide' document.

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

PMDAについて

安全性情報
回収情報等

添付文書等検索

医療用医薬品

医療機器

再生医療等製品

一般用・従価等医薬品

体外診断用医薬品

よくあるページ一覧

お問い合わせ先

各機群式ダウンロード

地図・交通案内

訪問者別ナビゲーション

お好みのコンテンツにご案内します

製品種類別ナビゲーション

一般の方向け

医療従事者向け

アカデミア向け

企業向け

ホーム

審査関連業務

安全対策業務

健康被害救済業務

レギュトリーサイエンス・基準作成部
成案室・日本薬局方

レギュトリーサイエンス・基準作成部
成案室・日本薬局方

レギュトリーサイエンスセンターの概要

レギュトリーサイエンスについて

研究推進業務

国際的連携・連携大学等

患者参画検討WG

活動内容

患者参画や患者との協同に向けたPMDAの取組みとして、患者向け広報のあり方の検討や、患者活動とPMDAのかかわりのガイダンス作成等を行います。

開始時期

令和元年5月

関連部署

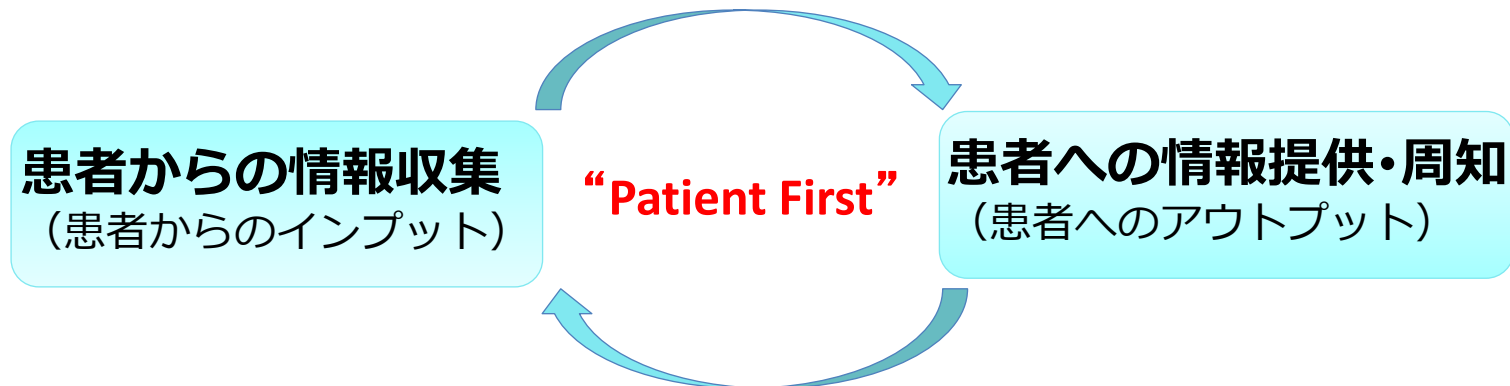
経営企画部、国際部、新薬審査第一～五部、再生医療製品等審査部、ワクチン等審査部、医療機器審査第一～二部、安全性情報・企画管理部、医薬品安全対策第一～二部、医療機器品質管理・安全対策部、研究支援・推進部等

これまでの活動について

【独立行政法人医薬品医療機器総合機構 患者参画ガイダンス】(令和3年9月7日)を公表しました。

PMDAにおける患者参画～基本的方針

- 患者の声・意見・要望を反映することにより、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、患者の薬事行政や医薬品・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**を作成した。(令和3年9月)
 - 「PMDA患者参画ガイダンス」の基本コンセプト：
 - **患者の声等の積極的な収集**を行い、“Patient First”というPMDAの取組みを具現化する。
 - 患者等からのより効果的な情報収集が可能となるよう、**患者等向け情報提供の充実**に努め、**PMDAの業務及び薬事行政に対する理解を深める**。
 - その**双方**によって患者参画の推進を図る。



「PMDA患者参画ガイダンス」の構成

I. 総論

- PMDAにおける患者参画の定義及び理念
- 本ガイダンスの目的
- 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

- 患者等からの情報の収集・反映について
- 患者等からの声を収集する枠組み
- PMDAの業務において得られる患者からの情報への対応

III. 患者等向け情報提供

- 患者等向け情報提供のあり方について
- 患者参画活動のために提供すべき情報
- 情報提供に用いる媒体等

IV. 用語の定義

「PMDA患者参画ガイダンス」における取組み



患者の声を聴く
意見交換会等の実施

PMDAが開催する会議
への患者参加を検討

既存の患者向け
情報の更なる充実

- ・ 患者のニーズを把握したPMDA
ウェブサイトの充実
- ・ PMDAからの情報提供の効果測定
(アンケート実施など)



PMDAの業務への反映

患者からの情報収集
(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)

“Patient First”

患者報告アウトカム
(PRO) の取扱い
を検討

**患者のPMDA業務への
理解の向上**

薬事制度の理解・普
及を促進する取組み

- ・ 学会の市民向け講座等を含め
PMDAの取組みの紹介
- ・ 特定の疾患や患者等にタイムリー
に情報を届ける配信ルートを検討

患者等向け情報提供について

III. 患者等向け情報提供

(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。

患者等向け情報提供について

III. 患者等向け情報提供

(2) 患者参画活動のために提供すべき情報

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材については、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。

患者等向け情報提供について

III. 患者等向け情報提供

(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。

患者等向け情報提供について

III. 患者等向け情報提供

(3) 情報提供に用いる媒体等

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。

ご清聴ありがとうございました。

