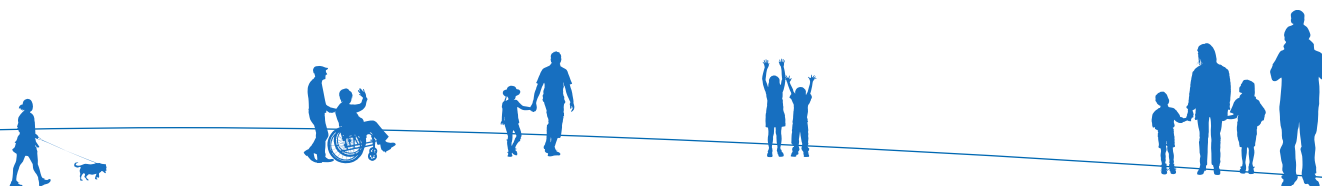


E22:患者選好研究(PPS)に関する一般指針

ICHプロセスのステップ2における意見募集のための説明動画

2025年11月26日



はじめに –本スライドについて–

- ◆ Step 2の日本でのパブリックコメント募集にあたって説明会のために作成したものです。
- ◆ Step 2のパブリックコメントのためのプレゼンテーションスライド（以下参照）をベースに作成しています。
https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_E22%20Presentation_Step%202_Guideline_2025_1211.pdf
- ◆ 本スライドは、ICHによる正式な承認を得たものではありません。

背景

- ◆ E22技術ドキュメントは、ICH規制当局メンバーによるパブリックコンサルテーションのためのStep 2a/bガイドライン案として承認された（2025年11月19日）
- ◆ 本ガイドライン案は、ICH総会に承認されたコンセプトペーパー（2024年6月2日）に基づいて作成された
- ◆ Step 4ガイドライン合意：2026年12月予定

基本的な考え方

- ◆ 疾患とその治療に関する経験や知識を持つ患者は、適切な視点を提供する
- ◆ これらの定性的及び定量的な知見を理解することは、アンメットニーズの特定、臨床試験の設計、結果の解釈など、医薬品開発のさまざまな側面にとって重要である
- ◆ PPSは、医薬品のベネフィット・リスク評価及び関連する規制当局への申請において、有効性及び安全性に関する情報とともに考慮し得るものである

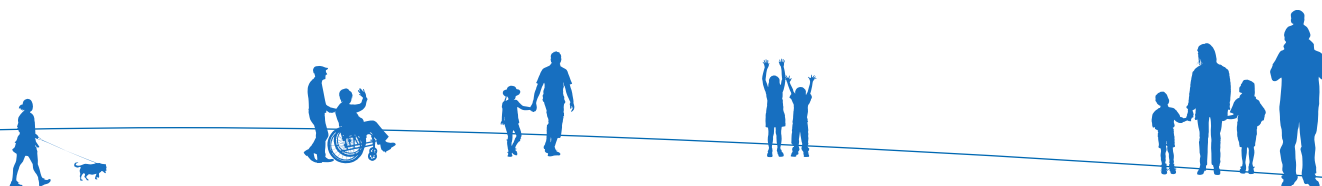
ガイドラインの目的

- ◆ 医薬品開発、規制当局への申請と評価、医薬品の承認、及びその承認の維持に情報を提供する際のPPSの使用、デザイン、実施、解析及び提出に関する一般指針を概説する

ガイドラインの適用範囲

- ◆ E22の焦点は、表明選好法（調査票又は面接を通じて患者が選択を表現するよう求められる研究）を用いた患者選好研究である
- ◆ 本指針は類似の有用性のある研究（例：介護者の選好研究や顕示選好研究など）にも適用可能かもしれないが、本指針の範囲外である
- ◆ PPSデータの添付文書への記載は地域毎の案件であり、本指針の範囲外である

ガイドラインの内容の要約



E22ガイドライン目次

1. 緒言
2. 一般的原則
3. 医薬品開発及び市販後評価におけるPPS
4. PPSに関する推奨事項と実施上の考慮事項



1 緒言

- ◆ PPSは、既存若しくは可能性のある医療介入、又はその医療介入の特徴や結果（例：有効性や安全性の結果）に対する相対的な望ましさや受容性を評価することを目的としている
- ◆ PPSがもたらす定性的及び定量的な知見は、アンメットニーズの特定、臨床試験の設計、結果の解釈など、医薬品開発のさまざまな側面にとって有用となるであろう
- ◆ ただし、PPSがもたらす情報は、有効性及び安全性に関する試験が提供する情報に取って代わるものではない



2.1 研究参加者の保護

- ◆ 倫理的行動、研究計画書の遵守、個人情報保護など、人を対象とする他の種類の研究に適用される原則は、PPSにも適用される
- ◆ PPSの参加者は、適用される規制及び法的要件に従って保護されるべきである

2.2 PPSの開発における患者からの情報の反映

患者からの情報の反映は、以下のように開発全体を通じて有意義である：

- ◆ PPSの使用目的の特定
- ◆ PPSの実現可能性における課題の特定
- ◆ PPSの設計
- ◆ PPSの研究計画書の作成
- ◆ 特性と水準の選択
- ◆ PPSの結果解釈と、実用的な意味の明確化



2.3-2.4 事前調査と新規の選好研究実施の妥当性

- ◆ 徹底的な事前調査を通して、すべての関連情報が特定されPPSのデザインに含まれていることを確認する
- ◆ 患者コミュニティへの不必要な負担は避けるべきで、新規の選好研究の実施は常に正当化されるわけではない

2.5-2.6 国際的な適用性と早期の検討及び計画

- ◆ 状況によっては、他の地域で実施されたPPSが有用な場合がある
- ◆ 他の地域のPPSの結果がある地域に適用できる程度を評価し、妥当性を示すべきである
- ◆ 申請者が関連する規制当局と事前に議論する際に、この論点が役立つ場合がある
- ◆ 可能な限り早く、PPSの有用性を医薬品開発全体において体系的に検討すべきである

2.7-2.8 品質基準と多分野にわたる専門性の確保

- ◆ PPSは、同意説明文書、研究計画書、解析計画書等の研究文書を含む、適切な研究デザイン及び実施についての原則に従うことが期待されている
 - 研究デザイン及び統計解析計画は事前規定されるべきである
- ◆ レジストリ、同等のプラットフォーム又はその他の公式な登録システムを通して研究計画を事前登録することは、研究の信頼性と透明性を高めることに役立つだろう
- ◆ PPSの実施は「クオリティ・バイ・デザイン」アプローチの原則に一致すべきであり、信頼性が高く意味のある結果を生成するために、リスクに応じた方法を使用するべきである（ICH E8参照）
- ◆ PPSは関連するPPS方法論及び臨床的な専門知識を有する部門横断的な研究チームによって行われるべきである



3.1 PPSの種類

- ◆ 利用可能な方法は以下のように分類できる
 - 定性的研究（ナラティブ情報）
 - 定量的研究（統計的推定）
 - 混合研究法アプローチ
- ◆ 定性的研究は、定量的PPSのデザインについての知見をもたらす
- ◆ 定量的PPSは、例えば、異なる特性間で患者がトレードオフ可能と考える範囲の数値を推定するために使用できる
 - 特性：医療介入の特徴や結果（例：有効性や安全性の結果）

3.2 PPSを医薬品の開発と評価に活用する方法

◆ 医薬品開発の早期段階の例：

- アンメットニーズ、患者の臨床試験への参加意向に関する情報の提供
- 臨床試験のエンドポイントの選択への情報提供

◆ 医薬品開発の後期段階の例：

- 試験結果の解釈（特性間のトレードオフや、ベネフィットがリスクを上回るかどうか）やリスク軽減戦略への情報提供

◆ PPSは選好の不均一性（集団内や部分集団間の選好の分布）を記述するのに役立つ場合がある

4. 推奨事項と実施上の考慮事項

- ◆ PPSの計画には多くの方法が利用可能である
 - 外部資料が関連する知見や補足情報を提供できるだろう
- ◆ PPSの結果が規制当局への申請をどのように補足する意図であることを説明することは申請者の責任である
- ◆ 規制当局への申請者は、規制当局に提出した研究のすべての側面について最終的に責任を負う

4.1 研究目的とリサーチクエスチョン

- ◆ リサーチクエスチョンは研究目的と一致させるべきであり、一致させることで選択できる方法が決定する
- ◆ 研究目的：PPSが提供する情報を何に使うか
 - 例えば、ベネフィット・リスク評価への情報提供
- ◆ リサーチクエスチョン：研究目的を説明するために必要な回答に関連するもの
 - 例えば、ベネフィットと引換えに受入れ可能なリスクの水準はどの程度か？

4.2 研究デザインと方法の選択

- ◆ 方法の選択は、リサーチクエスション、患者集団、評価する特性やシナリオの数を含む、いくつかの要因に依存し得る
 - **PPS**は1つの方法に限定されず、定量的及び定性的アプローチの両方を含めることができる
- ◆ PPSは国際的に認められた科学的基準と推奨される実施方法に従うべきである
- ◆ 研究者は、利用可能な方法及びそれぞれの長所と限界について、より情報を得るために公表文献を参照することが奨励される

4.3-4.4 研究の参加者と参加者数

- ◆ PPSの参加者は、研究目的とリサーチクエスチョンによって導かれるべきである
- ◆ 規制当局への申請の対象集団を代表する参加者としてすることが、一般化の可能性と適用性の問題を最小化し得る
- ◆ 参加者の募集方法にはさまざまな種類があるため、研究者は募集方法を正当化し、潜在的なバイアスを説明すべきである
- ◆ PPSの参加者数はリサーチクエスチョン、方法の種類、研究の複雑さ（例：特性と水準の数）によって異なる

4.5 特性と水準

- ◆ 調査ツールを設計する時には、特性と水準に特に注意を払う必要がある
- ◆ 含まれる特性は、患者、研究目的、及びリサーチクエスションに関連すべきである
 - 無関係な特性を含めることは、負担を増大させる可能性がある
 - 関連する特性を省くことは、結果の有用性を制限する場合がある
 - 特性の水準の範囲は、臨床試験（治療群及び対照群）で予想される値を含むべきである
- ◆ 特性の選択には、患者の関与が奨励される

4.6 調査ツールのデザイン

- ◆ 調査ツール（例えば、面接ガイド、調査票）は、明確で理解しやすく、関連性のあるものとなるべきであり、潜在的なバイアスを最小限に抑えるべきである
- ◆ 以下のような点で、適切な考慮が必要となる
 - 数的思考力、複雑さ、多言語研究における翻訳、特性と水準の説明、認知バイアスの最小化
- ◆ 品質確認の実施
 - データ品質確認はPPSの重要な側面であり、データや研究の潜在的な限界を明らかにする可能性がある
 - 品質確認で明らかになった重要な問題に対処すべきである

4.6 プレテストとパイロットテスト

◆ 調査ツールのプレテストとパイロットテストは異なる目的を果たし、どちらも調査ツールの開発に不可欠な手順である

- プレテスト：調査ツールの患者理解又は解釈に関する問題を特定するための初期評価
- パイロットテスト：実施可能性、データ品質、及び運営の問題を特定するための、研究条件下でのテスト

4.7 解析計画書

- ◆ 解析は、事前規定された解析計画書に詳細を記載し、研究目的とリサーチクエスチョンに対処し、推奨される手法に従うべきである
- ◆ 定量的ベネフィット・リスク分析のように、状況によっては定量的PPSのデータを臨床試験データと組み合わせることがあるだろう
- ◆ 解析計画書では、すべての主要解析と探索的解析、及び必要に応じて品質確認の結果の扱いを指定すべきである

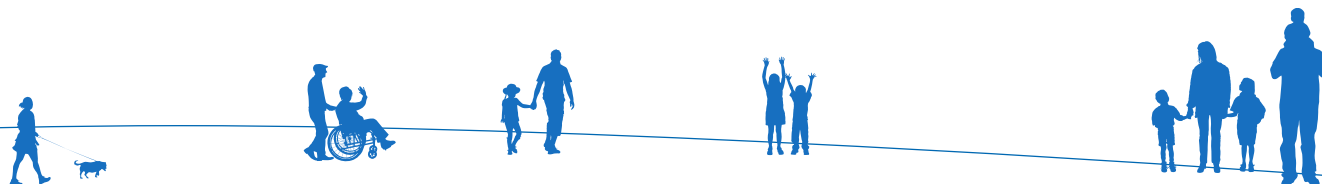
4.8 コモン・テクニカル・ドキュメント（CTD）への提出

- ◆ PPSはCTD 2.5.1「製品開発の根拠」に列挙することができる
- ◆ PPSの報告書はCTD 5.3.5.4「その他の臨床試験報告書」に含める必要がある
 - PPSの報告書は、総括報告書（ICH E3R1）の構造を参照できる
- ◆ 該当する場合、PPSの結果はPPSの批判的評価とともにベネフィット・リスクに関する結論（CTD 2.5.6）に含めることができる
 - PPS及び/又は定量的ベネフィット・リスク分析は、臨床に関する概括評価の補遺（CTD2.5.6.5）に含めることができる（詳細はICH M4E参照）

E22:患者選好研究(PPS)に関する一般指針

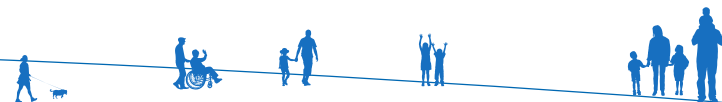
トレーニングモジュール：よくある質問から3つを抜粋

2025年11月26日



1.本ガイドラインは、すべての医薬品開発プログラムにおいて、患者選好研究（PPS）の実施を求めているのか？

- ◆ 本ガイドラインは、すべての医薬品開発プログラムにおいて患者選好研究の実施を要求するものではない。
本ガイドラインは、PPSが医薬品開発及び規制評価の両方に有用となり得る場合の一般指針と科学的原則を提供するものであるが、そのような研究の実施を要件として定めるものではない。
- ◆ 本ガイドラインは、患者の視点の理解を深め、医薬品開発の全過程にわたる意思決定に情報を提供できる場合において、患者選好研究の検討を奨励している。
- ◆ スポンサーは、PPSが自らの特定のプログラムに有用な情報を提供するかどうかを評価することが奨励される。場合によっては、既存の質の高い選好研究が、当該プログラムに関連する問いにすでに対応している場合がある。また他の場合、新規のPPSの実施が開発や評価の意思決定に有意義な情報を生み出す可能性が低い場合、その労力や負担を正当化できない可能性がある。
- ◆ E22は、PPSが、規制当局への申請やベネフィット・リスク評価だけでなく、幅広い開発活動に情報を提供し得ることを認識している。



2.選好研究は医薬品開発にどのように情報を提供できるか？

- ◆ PPSは、医薬品開発に関する意思決定を行う際に患者が考慮する治療特性の重要度について知見を生み出すことができる。PPSは、本ガイドラインに記載されているものを含む様々な状況において、医薬品開発のための定性的及び定量的な知見を理解するために使用される可能性がある。
- ◆ PPSの使用は、医薬品開発の段階に応じて異なる可能性がある。
 - 例えば、早期では、PPSはアンメットニーズ、患者にとって重要な治療の特徴、疾患管理の優先順位に情報を提供する可能性がある。
 - 臨床試験のデザインにおいては、PPSはエンドポイントの開発、選択、重み付け、スコアリング、患者がエンドポイントのどの程度の変化を意義のあるものとするかを反映した解釈に、情報を提供する可能性がある。
 - 後期では、PPSは試験結果の解釈を支援し、ベネフィット・リスクのトレードオフやリスクの閾値について情報を提供することができ、特にリスクが高い場合や不確実な場合に有用である。
- ◆ これらすべての活用において、PPSは、重症度ごとの集団間でのリスク許容度の違いなど、集団内又は部分集団内における選好の不均一性を記述することができる。

詳細については、E22 セクション1「背景」、及びE22 セクション3.2「PPSを医薬品の開発と評価に活用する方法」を参照。



3. PPSと患者報告アウトカム（PRO）の測定はどのように異なるか？

PPSとPRO測定は、患者中心の医薬品開発において、その目的及び科学的根拠としての役割の両方で異なる。

- ◆ **PPS**は、患者が異なる治療の特徴やアウトカムをどのように評価し優先順位付けするか、またベネフィットとリスクの間でどのようなトレードオフを受け入れるかを明らかにするために設計されている。定性的及び/又は定量的方法を用いて、PPSは、患者にとっての治療の特徴の相対的な重要性に関する構造化された科学的根拠を生成する。これらのデータは、エンドポイントの選択、ベネフィット・リスク評価、より広範な開発上の意思決定に情報を提供し得る（E22）。
 - ◆ **PRO**測定は、一方で、臨床医や他者による解釈を介さずに、疾患や治療に関連して患者がどのように感じ、機能し、又は生存しているかを直接捉える臨床アウトカム評価である。これらは、症状、日常生活機能、生活の質など、患者が経験するアウトカムを定量化する(ICHリフレクションペーパー[2021])。
- つまり、PPSは患者の価値観とトレードオフを評価するのに対し、PROは患者が経験するアウトカムを測定する—患者経験情報において、相補的ではあるが異なる構成要素である。



結語

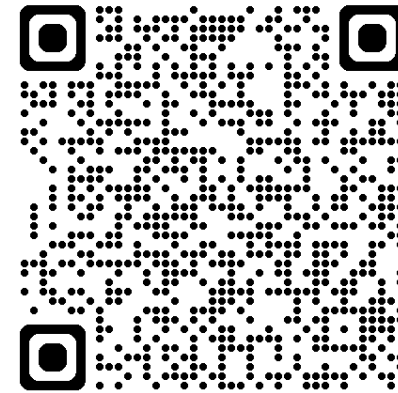
- ◆ E22一般指針は、PPSの必要性を検討する際のガイダンスを提供し、PPSが適切な方法論に基づき、厳密な結果をもたらすことを確保する

「ICH E22：患者選好研究に関する一般指針（案）」に関する御意見の募集について

パブリックコメント：1月19日（月）～4月10日（金）

以下のURL、又はQRコードからお願いいたします。

<https://public-comment.e-gov.go.jp/pcm/detail?CLASSNAME=PCMMSTDDETAIL&id=495250334&Mode=0>





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

