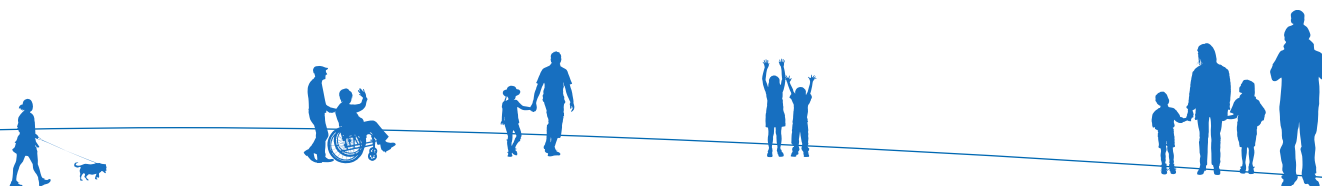


E22:患者選好研究(PPS)に関する一般指針

トレーニングモジュール：よくある質問

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。

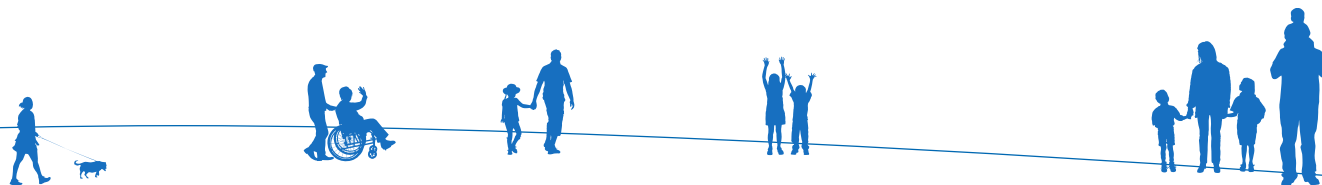
https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_E22%20Presentation_Step%202_Training%20material.pdf

◆ 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。

はじめに –よくある質問について–

- ◆ 本スライドは、患者選好研究に関する一般指針について、よくある質問に対する著者の見解を含んでいます。また、当局や業界の公式なガイダンスまたは方針を表すものではなく、ICH E22を超える追加のガイダンスを提供するものではありません。
- ◆ 本スライドは、ICH E22ガイドライン「患者選好研究に関する一般指針」における主要なメッセージの一部に焦点を当てるためのコミュニケーション目的でのみ提供するものです。完全な情報については関連するICHガイドラインを参照してください。

E22 – よくある質問



E22ガイドライン目次

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？
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？
3. PPSは、製造販売承認申請前に規制当局にとって有用となり得るか？
4. 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？
5. PPSは、選好研究結果が適用される対象と全く同じ状態の患者で実施されなければならないか？
6. なぜ介護者の選好は対象外なのか？
7. PPSが「仮想のシナリオ」で実施されるとはどういう意味か？
8. なぜ顕示選好法は本ガイドラインの対象外なのか？
9. 患者又は患者団体は、PPSに対してどのような異なる役割をもつのか？
10. 規制の観点からどの選好方法が受入れ可能か？
11. PPSは、独立した研究ではなく、臨床試験の一部として実施することは可能か？
12. 本ガイドラインは、製品の添付文書へのPPS情報の記載について言及しているか？



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は、製造販売承認申請前に規制当局にとって有用となり得るか？

- ◆ PPSは、申請前の様々な状況において、アンメットニーズの特定、臨床試験の計画、結果の解釈など、定性的及び定量的研究から知見を得るために使用される可能性がある。
- ◆ これらの側面は、将来的な申請を視野に入れて規制当局と臨床試験デザインについて議論する際に有益な情報となり得る。これには、試験の目的、アウトカム/エンドポイントの選択、エンドポイントの意義のある変化、ベネフィット・リスクの受容性などが含まれる。

詳細については、E22セクション1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。

4. 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。

5. PPSは、選好研究結果が適用される対象と全く同じ状態の患者で実施されなければならないか？

- ◆ 通常、PPSは、規制当局の申請の対象集団を代表する参加者を含むべきである—すなわち、選好結果が適用される患者と同じ疾患状態及び同じ状況下にある患者であり、人口統計学的特徴、疾患の特徴、治療の特徴が一致している必要がある。
- ◆ PPSの参加者と対象患者集団との不一致は、PPSから得た知見の一般化の可能性及び適用性を制限する可能性がある。
- ◆ 正確な一致が常に可能とは限らない。例えば、対象の患者が急性期の短期間しか該当しない場合があり、そのような状況下では、患者に負担をかけることは非倫理的であったり、急性期の期間内に調査を完了することが不可能な場合がある。
- ◆ 一致が不可能な場合、申請者は PPS 集団の選択肢とその根拠について規制当局と協議すべきであり、研究報告書には研究目的に対する PPS の妥当性を裏付ける考察を含めるべきである。

詳細については、E22セクション4.3「研究の参加者」を参照。



6.なぜ介護者の選好は対象外なのか？

- ◆ 介護者の選好は規制上の評価に重要で有用な情報となりえるものの、患者選好研究に焦点を当てた本ガイドラインの範囲外としている。介護者の選好を収集するための方法の多くと一般的な考慮事項の一部は、患者の選好に関するものと同じである。
- ◆ 介護者の選好は患者の選好を明らかにすることに代わるものではない点に留意することが重要である。介護者の選好は通常、患者の選好とは別の研究で収集され、それぞれの研究は異なるリサーチクエスチョンを有することが想定される。

E22セクション1.3「適用範囲と方向性」を参照。

7. PPSが「仮想のシナリオ」で実施されるとはどういう意味か？

- ◆ 本ガイドラインは、表明選好法と呼ばれる方法に焦点を当てている。表明選好法では、仮想のシナリオを用いて、患者は特定のアウトカムや治療の選択肢に対するトレードオフについて、自らの選択や許容可能な閾値を表現する（述べる）ことが求められる。もう一つの手段である顕示選好法は、E22の対象範囲外である（よくある質問の8を参照）。
- ◆ 表明選好法では、患者が評価するのは実際の医薬品ではなく潜在的な医薬品の特性であるため、仮想のシナリオが用いられる。これにより、まだ市場に存在しない医薬品や、実世界の顕示選好情報が入手できなかったり、取得が非倫理的であったり、又は外的要因（例：医薬品のアクセスの問題、医療提供者の影響）により交絡が起きている医薬品について、選好を評価することが可能となる。
- ◆ 該当する場合、仮想のシナリオにより、有効性や安全性アウトカムなどの個々の治療の特徴を体系的に変化させ、それぞれが選好にどのように影響するかを評価することが可能となる。これは実世界の顕示選好情報では不可能な場合がある（よくある質問の8を参照）。

詳細については、E22セクション1.3「適用範囲と方向性」を参照。



8.なぜ顕示選好法は本ガイドラインの対象外なのか？

- ◆ 顕示選好法とは、患者の実際の行動や選択を観察して患者の選好を得る方法である（例：ある薬剤を使用したか、それとも別の薬剤を使用したか）。
- ◆ 顕示選好は、患者が現在利用可能な選択肢の中から何を選んだかを示すものであり、既存の薬剤と同じ特徴を有しない新規又は潜在的な薬剤に対して患者がどのように反応するかを推測することは困難である。そのため、将来の新規薬剤の開発に情報を提供するための顕示選好法の使用には限界がある可能性がある。

現時点では、薬剤開発に情報を提供するために顕示選好法を使用した経験は限られている。

- ◆ 本ガイドラインは、適切であれば顕示選好法の使用を排除するものではないが、これらはE22の範囲には含まれない。

詳細については、E22セクション1.3「適用範囲と方向性」を参照。



9. 患者又は患者団体は、PPSに対してどのような異なる役割を持つのか？

◆ 患者又は患者団体からの情報の反映は、PPSの開発において、以下を含む複数の活動において価値がある。ただし、これらに限定されない。

- PPSの設計
- PPSの実施における実現可能性の課題の特定
- PPSの研究計画書の作成
- PPSの特性と水準の選択

詳細については、E22セクション2.2「PPSの開発における患者からの情報の反映」を参照。

10.規制の観点からどの選好方法が受入れ可能か？

- ◆ 選好研究は、広範かつ発展している分野である。本ガイドラインは、詳細な案内や方法ではなく、一般的な原則を提供するものである。
 - ◆ 原則として、
 - 研究目的及びリサーチクエスチョンが、方法、研究計画書、解析、データマネジメント、報告書を導くべきである。
 - 研究者は、利用可能な方法、方法選択の注意点及び様々な方法のそれぞれの長所と限界に関する詳細情報について、公表文献を参照することが奨励される。
 - 方法選択の明確な根拠が不可欠であり、特定の手法が研究目的及びリサーチクエスチョンへの回答をなぜ支援するかを説明する必要がある。
 - ◆ 可能な場合には、規制当局との早期の対話は、PPSが規制上の期待と科学的基準を満たしていることを確認するために役立つであろう。
- 詳細については、E22セクション3.1「PPSの種類」とE22セクション4.2「研究デザインと方法の選択」を参照。



11. PPSは、独立した研究ではなく、臨床試験の一部として実施することは可能か？

- ◆ 原則として、選好研究は臨床試験内で実施することも、独立した研究として実施することもできる。
- ◆ 可能な場合、申請者はPPSの実施オプションとその根拠について、事前に規制当局と協議すべきである。

PPSの対象集団についての一般指針は、E22セクション4.3「研究の参加者」を参照。

12.本ガイドラインは、製品の添付文書へのPPS情報の記載について言及しているか？

- ◆ PPS情報の添付文書への記載は、地域毎の案件であり、このガイドラインの範囲外である。
- ◆ 早い段階の規制当局との対話が、PPSが規制上の期待と科学的基準を満たしていることを確認するために役立つであろう。

E22セクション1.3「適用範囲と方向性」を参照。



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

