

PMDAの患者参画の取組みと今後の展望

- 規制当局の業務・判断に患者の声をどう活かしていくか -

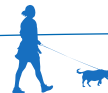
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA)

新薬審査第一部 (主任専門員, 臨床担当) / 患者参画WGリーダー

ICH E22 (General Consideration for Patient Preference Studies) Topic Leader (MHLW/PMDA)

手塚 瞬

2026年3月17日 (火) RDD YOKOHAMA 2026



本日の内容については、
演者の個人的見解や検討中の事項を含んでおり、
必ずしもPMDAの公的見解ではないことにご留意ください

PMDA (医薬品医療機器総合機構)

- 厚生労働省管轄の独立行政法人 (2004年4月1日設立, 前身: 医薬品医療機器審査センター等)



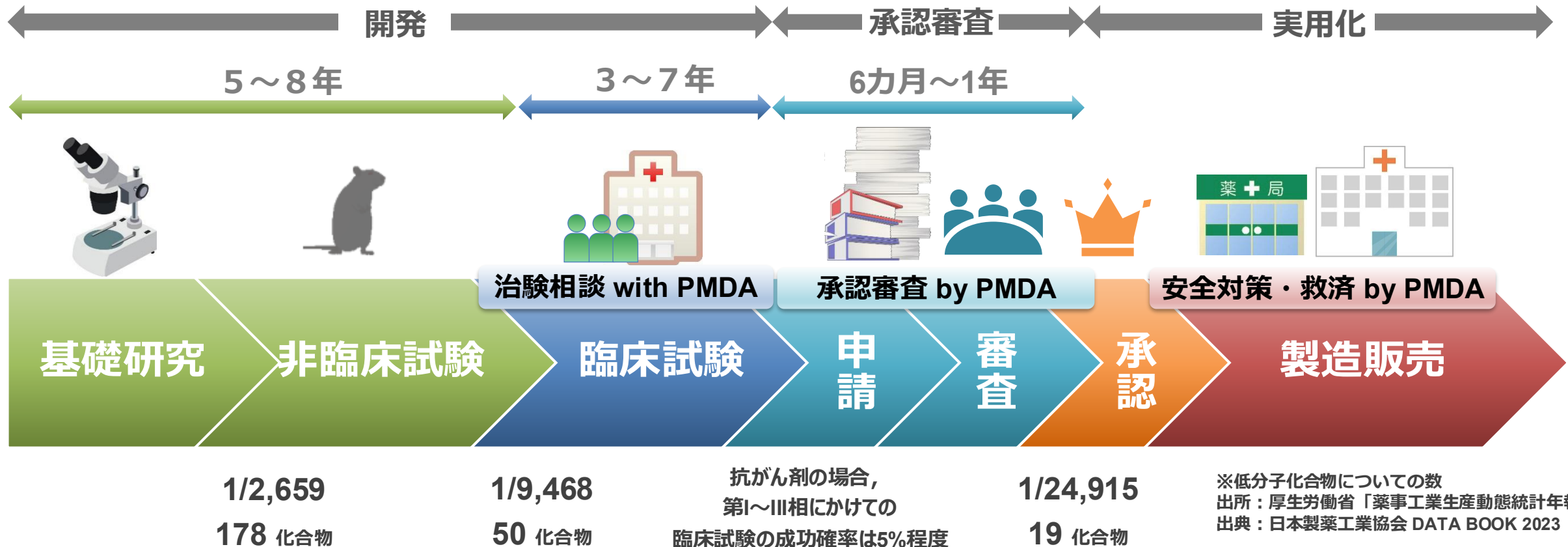
科学的判断 (レギュラトリーサイエンス) に基づき, より安全でより品質のよい製品をより早く医療現場に届け, 医療水準の向上に貢献することを目的としている, 「規制当局」と呼ばれるカテゴリーの組織です



職員数: 約1,000人 (うち, 医師 (臨床担当) は約50人)



ドラッグライフサイクル：医薬品の開発から販売まで



医薬品の申請から承認，販売に至るまで

- 製薬企業等が様々な臨床試験を実施し，品質，有効性及び安全性について問題がないか検討
- 試験結果に基づき，厚生労働大臣へ承認申請を行い，PMDAでの審査において，品質，有効性及び安全性に問題がなければ承認され，薬価が決まり，医療現場で使えるようになります

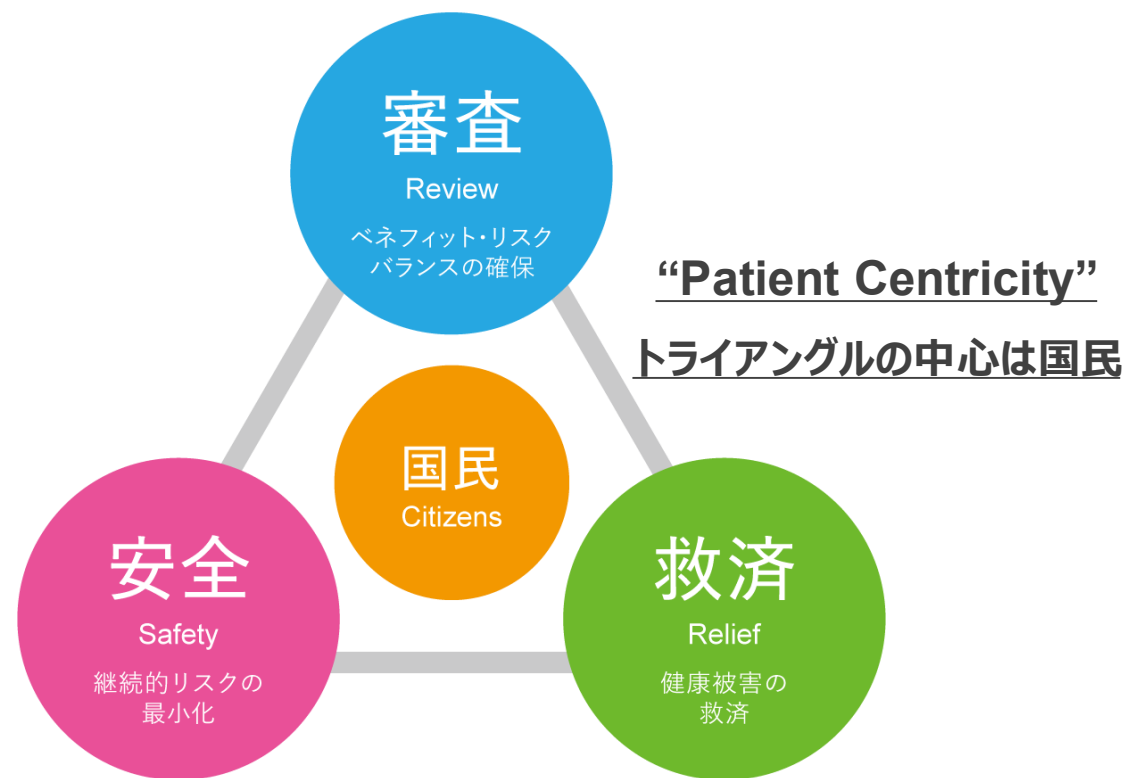


国民を中心とした「セーフティ・トライアングル」



New logo from last year !

セーフティ・トライアングルの概念



世界に例のないマネジメント体制で品質、有効性、安全性を担保

PMDAの3つの役割（セーフティ・トライアングル）

科学的判断の実施

- 医薬品等の審査・調査，治験相談
- 副作用等報告の受理・収集・整理・評価・調査
- 副作用等情報の提供
- 拠出金の徴収，救済給付金の支給 等

PMDAの仕事を一言で言うと，「評価」・・・審査部門では，有効性，安全性等の評価

PMDAの患者参画のこれまでの歩み

2019年4月より「患者参画」を明示した歩みを始め、着実に歩みを進めてきた

2019年

2021年

2024年

2025年

“4F”の一つとして、
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展

疾患別意見交換会
の開始



PMDAや厚生労働省が開催する会議への患者代表の参加



患者・その家族の声を聴く目的の研修を実施（年1回、全役職員向け）



学会等の患者参画関連プログラムの登壇・企画



患者参画プラットフォームとの協働（意見交換，イベント開催，講演）



患者団体・患者支援団体との協働（意見交換，講演，イベント開催，資材作成）

患者参画についてのPMDAの活動の契機は2019年

～2018年度

「患者参画」を明示した活動は2019年3月まではなかった

- ✓ 2018年6月の製薬協による報告書では、「日本では欧米の規制当局が実施しているような活動はほとんど実施されていない」と言及

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

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会 臨床評価部会

タスクフォース3

2.4.2 日本での官民連携及びその他の活動

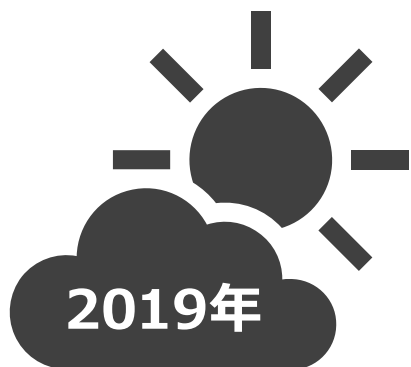
厚生労働省及びPMDAのホームページの調査、並びに「患者中心」「Patient Centricity」などのキーワードでインターネット検索を実施したが、Patient Centricityに関連した官民連携組織などは認められなかった。

2.5 欧米と日本での規制当局及び官民連携組織の活動のギャップ

日米欧における規制当局の Patient Centricity 活動を表 2-2 にまとめた。前述したように、欧米の規制当局はいずれも Patient Centricity 活動を積極的に実施しており、その活動は同じであった。具体的な活動として、審査制度、治験情報の登録・公開制度、官民連携組織の設立などがある。一方、日本では欧米の規制当局が実施しているような活動はほとんど実施されていないが、「2.4.1 日本の規制当局の活動」に記載したように 2017 年に発表された「がん対策推進基本計画」にはがん研究への患者の参画について言及されており、今後、日本でも規制当局によるより具体的な Patient Centricity 活動の開始が期待される。

https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000005m95-att/patient_centricity.pdf

患者参画についてのPMDAの活動の契機は2019年



2019年4月より「患者参画」を明示した歩みを始めた

… 研究においても、本邦での患者参画の機運が高まり始めた時期

- | | |
|----------|--|
| 2017年2月 | 医療分野研究開発推進計画（内閣健康・医療推進本部による）
：「立案段階から被験者や患者の参画を推進」
https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryousuisin/ketteisiryou/kakugi/170217senryaku.pdf |
| 2017年10月 | 第3期がん対策推進基本計画
：「患者，癌研究者の参画によってがん研究を推進」
https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000183313.html |
| 2019年3月 | 独立行政法人 日本医療研究開発機構（AMED）より『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～』が発行
https://www.amed.go.jp/ppi/guidebook.html |



患者参画についてのPMDAの活動の契機は2019年



2019年4月より「患者参画」を明示した歩みを始めた

… 研究においても、本邦での患者参画の機運が高まり始めた時期

- | | |
|----------|--|
| 2017年2月 | 医療分野研究開発推進計画（内閣健康・医療推進本部による）
：「立案段階から被験者や患者の参画を推進」
https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryousuisin/ketteisiryokakugi/170217senryaku.pdf |
| 2017年10月 | 第3期がん対策推進基本計画
：「患者，癌研究者の参画によってがん研究を推進」
https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000183313.html |
| 2019年3月 | 独立行政法人 日本医療研究開発機構（AMED）より『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～』が発行
https://www.amed.go.jp/ppi/guidebook.html |

4F（First）の設定（2019年4月）



4F：PMDAが率先
して取り組むもの

- ✓ Patient First
- ✓ Access First
- ✓ Safety First
- ✓ Asia First



患者参画についてのPMDAの活動の契機は2019年



2019年4月より「患者参画」を明示した歩みを始めた

… 研究においても、本邦での患者参画の機運が高まり始めた時期

- | | |
|----------|--|
| 2017年2月 | 医療分野研究開発推進計画（内閣健康・医療推進本部による）
：「立案段階から被験者や患者の参画を推進」
https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryousuisin/ketteisiryou/kakugi/170217senryaku.pdf |
| 2017年10月 | 第3期がん対策推進基本計画
：「患者，癌研究者の参画によってがん研究を推進」
https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000183313.html |
| 2019年3月 | 独立行政法人 日本医療研究開発機構（AMED）より『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～』が発行
https://www.amed.go.jp/ppi/guidebook.html |

4F（First）の設定（2019年4月）

- ✓ **Patient First**
- ✓ **Access First**
- ✓ **Safety First**
- ✓ **Asia First**

4F：PMDAが率先して取り組むもの



患者参画検討WGの発足（2019年5月）

部横断的WGの一つ，2024年10月に患者参画WGに発展

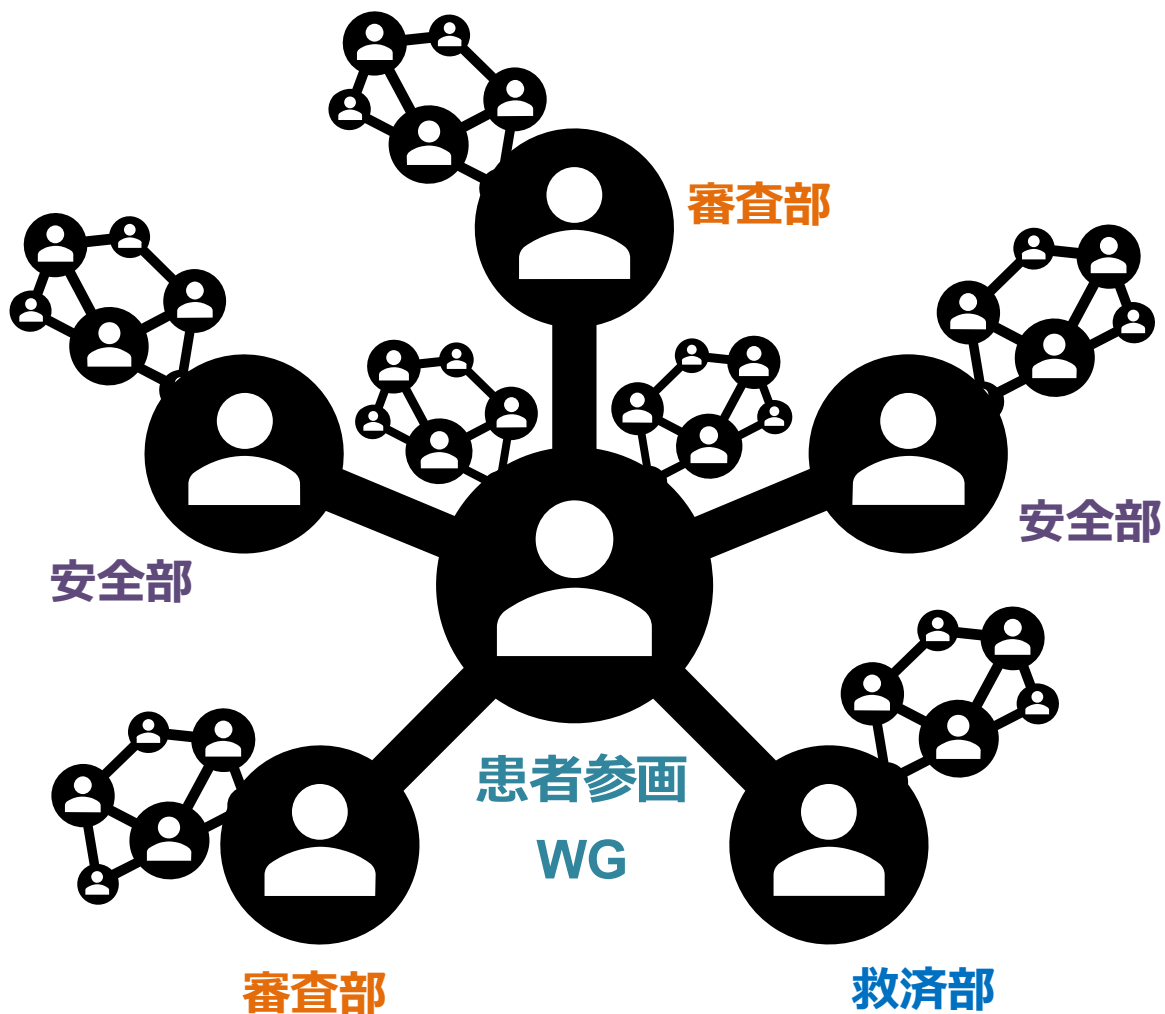
活動目的

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

PMDAの患者参画への取組みとして、患者団体及び患者支援団体との意見交換を行い、医薬品及び医療機器開発における患者の声の活かし方を検討



患者参画WG：PMDAの患者参画の「ハブ」として



- PMDAの患者参画のあるべき姿を検討
(ドライバーとして意見交換会を企画等)
- 各部門での患者参画活動の促進
- 各部門での活動を後方からサポート
- 各部門での独自の活動を横断共有

活動初期の成果物：PMDA患者参画ガイダンス

患者参画検討WG発足当初の主な活動内容が、PMDA患者参画ガイダンスの作成

2019年

2021年

**PMDA患者参画
ガイダンスの発出**



“4F”の一つとして、
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

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
基本的な活動指針を取りまとめたガイダンス <http://www.pmda.go.jp/files/000242830.pdf>

基本の方針

01 患者からのインプット

患者等の声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

02 患者へのアウトプット

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

03 インプットとアウトプットの双方による患者参画の推進



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
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) 本ガイダンスの目的
- (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

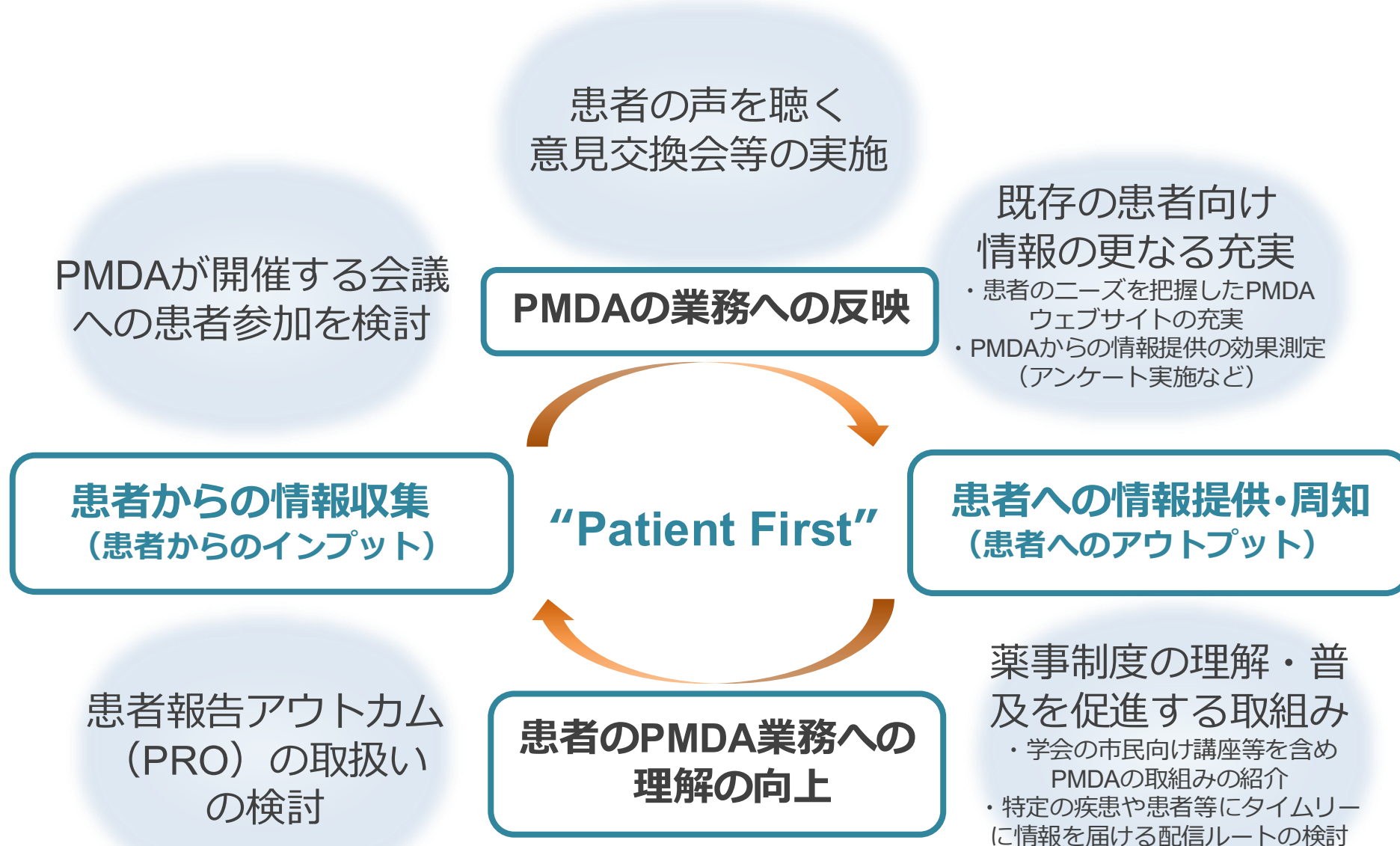
- (1) 患者等からの情報の収集・反映について
- (2) 患者等の声を収集する枠組み
 - ① 患者団体との意見交換・勉強会の実施
 - ② PMDAが開催する会議等への患者等の参加の検討
 - ③ その他既存制度による情報収集
- (3) PMDAの業務において得られる患者からの情報への対応
 - ① 開発段階における患者参画活動への対応
 - ② PMDAに直接寄せられる要望書等への対応

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 各種資料等の充実
 - ④ その他

IV. 用語の定義

PMDA患者参画ガイダンスの描いた患者参画



PMDAの患者参画のこれまでの歩み

これまでの活動を，参画の場やPMDAの協働のパートナーに基づき，5つに分けて

2019年

2021年

2024年

2025年

“4F”の一つとして，
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展

疾患別意見交換会
の開始



PMDAや厚生労働省が開催する会議への患者代表の参加



患者・その家族の声を聴く目的の研修を実施（年1回，全役職員向け）



学会等の患者参画関連プログラムの登壇・企画



患者参画プラットフォームとの協働（意見交換，イベント開催，講演）



患者団体・患者支援団体との協働（意見交換，講演，イベント開催，資材作成）

PMDAの患者参画のこれまでの歩み

これまでの活動を，参画の場やPMDAの協働のパートナーに基づき，5つに分けて

2019年

2021年

2024年

“4F”の一つとして，
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展



PMDAや厚生労働省が開催する会議への患者代表の参加

- 医薬品，医療機器，再生医療等製品等の審査においては，厚生労働省薬事審議会に患者・消費者の立場からの委員が参加
- PMDAの組織運営においては，PMDA運営評議会，審査・安全業務委員会，救済業務委員会等に薬害被害者や患者・消費者の立場からの委員が参加

患者・その家族の声を聴く目的の研修

これまでの活動を，参画の場やPMDAの協働のパートナーに基づき，5つに分けて

2019年

2021年

2024年

“4F”の一つとして，
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展



患者・その家族の声を聴く目的の研修を実施（年1回，全役職員向け）

- 医薬品の副作用等被害に関する研修（2005年度～）：2024年度の聴講数585名
- 患者さんからPMDA業務の社会的意義を学ぶ（2019年度～）：例年400名以上が聴講
 - 闘病体験や治療開発の期待などについて講演いただいている
（過去の演者）
 - ・全国がん患者団体連合会
 - ・日本難病・疾病団体協議会
（ムコ多糖症，筋萎縮性側索硬化症，マルファン病，強直性脊椎炎の患者・その家族）

学会等の患者参画関連プログラムの登壇・企画

これまでの活動を，参画の場やPMDAの協働のパートナーに基づき，5つに分けて

2019年

2021年

2024年

“4F”の一つとして，
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展



学会等の患者参画関連プログラムの登壇・企画

- 医薬品等のライフサイクル，PMDAの存在や患者参画活動を知っていただくような講演を実施
 - 日本臨床試験学会学術集会総会（2023年2月），製薬協のシンポジウム（2023年7月），がん研究の患者市民参画についてのがん対策推進総合研究事業に係る研修会（2024年7月）・セミナー（2025年4月），DIA日本年会2024（2024年10月）・・・等々
- 患者との協働で学会のシンポジウムやペイシエントアドボケイトプログラム（PAP）を企画
 - DIA日本年会2025：アジアの患者さんを招いてのシンポジウム（DIAMond Session2）を企画
 - 日本臨床腫瘍学会学術集会（JSMO2026）：患者選考研究をテーマにしたPAPをともに企画

学会等の患者参画関連プログラムの登壇・企画

これまでの活動を，参画の場やPMDAの協働のパートナーに基づき，5つに分けて

2019年

2021年

2024年

“4F”の一つとして，
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展



学会等の患者参画関連プログラムの登壇・企画

- 医薬品等のライフサイクル，PMDAの存在や患者参画活動を知っていただくような講演を実施
 - 日本臨床試験学会学術集会総会（2023年2月），製薬協のシンポジウム（2023年7月），がん研究の患者市民参画についてのがん対策推進総合研究事業に係る研修会（2024年7月）・セミナー（2025年4月），DIA日本年会2024（2024年10月）・・・等々
- 患者との協働で学会のシンポジウムやペイシエントアドボケイトプログラム（PAP）を企画
 - DIA日本年会2025：アジアの患者さんを招いてのシンポジウム（DIAMond Session 2）を企画
 - 日本臨床腫瘍学会学術集会（JSMO2026）：患者選考研究をテーマにしたPAPをともに企画中

学会等の患者参画関連シンポジウムとともに企画

Day3 | Tuesday October 21

DIAMond Session 2 TRACK1 9:00-10:30

Related Interest Area(s) : PE | Level : Beginning / Intermediate | Style : English

The First Step Toward “Tomorrow’s Normal”: The Aspiration of Asian Patients

As healthcare continues to globalize, international collaboration has become indispensable to advance drug development. But how far has cooperation and coordination actually progressed within Asia? Even within Asia, the medical and clinical trial environments vary from country to country. Given current circumstances, what steps can patients in Asia take to promote greater regional collaboration? In this session, patients and their families from several countries including Cambodia and Japan will speak about the healthcare environments in their respective countries, what they felt and struggled with when they or their loved ones fell ill, their efforts to address these issues, and the actions they believe that individuals and communities can take to overcome these challenges. They will also share their hopes and expectations for collaboration with other Asian countries, including Japan. Following these presentations, panel discussion with a Japanese physician who is actively engaged in patient involvement activities will lead exploration into how Asian countries can work more closely to advance medical care and drug development, and what kind of collaborations are needed to take the next step toward a better future.

Chair

Gatellier Laureline

Japan Brain Tumor Alliance / National Cancer Center Japan

Tezuka Shun

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

The 22nd DIA Japan Annual Meeting 2025
Strong Ties of Japan with Asia and the World for Delivering
‘Tomorrow’s Normal’ to Patients



HOPE in Adversity, STRENGTH in Community

Melissa Lim

Brain Tumour Society (Singapore)

There is Always Hope for New Day

Sokchamroeun Riem

Representative of people living with cancer in Cambodia

When “It’s about Me” Becomes “It’s about Us”, We Are All Empowered to Solve Problems Together!

Hiromi Todoroki

NPO Kibounokai

Panel Discussion All Session Speakers and

Kiyotaka Watanabe

Teikyo University



患者参画プラットフォームとの協働

これまでの活動を、参画の場やPMDAの協働のパートナーに基づき、5つに分けて

2019年

2021年

2024年

“4F”の一つとして、
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展



患者参画プラットフォームとの協働（意見交換、イベント開催、講演）

- PPI JAPANと定期的な意見交換会を実施，PPI JAPAN主催のセミナーでの講演（2024年12月等）
- 日本臨床腫瘍研究グループ（JCOG）の患者・市民セミナー（入門編）の講演の1つを担当，意見交換に参加（2024年8月，2025年8月，2年連続でWGメンバー中心に10名以上が参加）
- PFMD/EUPATI主催のPatient Engagement Open Forum（PEOF）のセッションに参画（2025年3月，2025年6月）
- 国立がん研究センター東病院を中心とするSCRUM-JapanのFairy'sとの共催による意見交換会を実施（2026年3月）

患者参画プラットフォームとの協働

これまでの活動を、参画の場やPMDAの協働のパートナーに基づき、5つに分けて

2019年

2021年

2024年

“4F”の一つとして、
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展



患者参画プラットフォームとの協働（意見交換，イベント開催，講演）

第9回JCOG患者・市民セミナー 入門編

Japan Clinical Oncology Group Patient and Public Involvement Seminar

申し込み期間: 2024年8月13日(火)まで

参加費: 無料

2024年 8月24日(土)13:00~

ZOOMによるweb形式のオンラインセミナーです
対象: 臨床試験に興味・関心のあるみなさん 200名

[お申し込みはこちら >](#)

プログラム

12:30~12:55 関係者の事前打ち合わせ

第一部(講義)

13:00~13:10 開会の挨拶 JCOG患者参画委員会委員長 丸山 大 先生

13:10~13:25 講義1: PPI(患者市民参画)とは? 丸山 大 先生

13:30~13:50 講義2: がん治療の全体像 岡野 晋 先生

14:00~14:20 講義3: JCOGと治験・治験開発 福田治彦 先生

14:30~14:50 講義4: 医薬品の審査と承認 市川野弓 先生

15:00~15:20 講義5: 臨床試験の例 遠藤 誠 先生

15:30~15:50 講義6: 臨床試験に固有の概念 柴田大朗 先生

15:50~15:55 第一部のまとめ

第二部(報告者のみ)

16:00~16:25 小グループに分かれて講義の質問や感想の語り合い

16:25~16:30 全体のまとめ 閉会

第11回JCOG患者・市民セミナー 入門編

Japan Clinical Oncology Group Patient and Public Involvement Seminar

申し込み期間: 2025年8月15日(金)まで

参加費: 無料

2025年 8月23日(土)13:00~

ZOOMによるweb形式のオンラインセミナーです
対象: 臨床試験に興味・関心のあるみなさん 200名

[お申し込みはこちら >](#)

<https://x.gd/otP80>

プログラム

12:30~12:55 関係者の事前打ち合わせ

第一部(講義)

13:00~13:10 開会の挨拶 JCOG患者参画委員会委員長 丸山 大 先生

13:10~13:25 講義1: PPI(患者市民参画)とは? 丸山 大 先生

13:30~13:50 講義2: がん治療の全体像 岡野 晋 先生

14:00~14:20 講義3: JCOGと治験・治験開発 福田治彦 先生

14:30~14:50 講義4: 医薬品の審査と承認 市川野弓 先生

15:00~15:20 講義5: 臨床試験の例 遠藤 誠 先生

15:30~15:50 講義6: 臨床試験に固有の概念 柴田大朗 先生

15:50~15:55 第一部のまとめ

第二部(報告者のみ)

16:00~16:25 小グループに分かれて講義の質問や感想の語り合い

16:25~16:30 全体のまとめ 閉会

Fairy's×PMDA 第1回 対話会 『出会う。語る。そして、歩む。』

—お互いを知り、明日の当たりまえをともに作るために—

- 主催 国立研究開発法人 国立がん研究センター東病院
- 共催 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA)
- 開催日時 2026年3月11日(水) 開始 18:30 - 終了予定 20:30
- 場所 国立がん研究センター中央病院 新研究棟1F セミナールーム
※会場への案内図は、お申し込み後に送られるメールにて送付させていただきます
- 参加費 無料
- 参加人数 約50名
- 参加対象 (現地参加: 25名 Web参加: 25名)
- 参加方法 Fairy'sプラットフォームの参加登録をされた方 QRコードより申し込みをお願いします お申し込みされた方へ事務局より会場案内図やオンライン用URLのご案内をさせていただきます

プログラム

開会・趣旨説明

開会のことば
PMDA 理事長 藤原 康弘

オープニングトーク
全国がん患者団体連合会 理事長 天野 慎介

「PMDAと患者・市民参画—取り組みの現在地とこれから—」

PMDA 新薬審査第五部 部長 井口 豊崇

PMDA 患者参画WG リーダー 手塚 瞬

小グループ対話

クロージングトーク

国立がん研究センター東病院 副院長 吉野 孝之

閉会

聞き手: 桜井 なおみ(全国がん患者団体連合会)
小村 悠(Fairy's コミュニティマネージャー)



PMDAの患者参画の歩みを加速させるために・・・

課題を振り返った上で、更に歩みを進め、加速させるために・・・

2019年

2021年

2024年

“4F”の一つとして、
”Patient First”を明示
患者参画検討WGが発足

PMDA患者参画
ガイダンスの発出

患者参画WG
に発展



PMDAや厚生労働省が開催する会議への患者代表の参加



患者・その家族の声を聴く目的の研修を実施（年1回、全役職員向け）



学会等の患者参画プログラムの登壇・企画



患者参画プラットフォームとの協働（意見交換、イベント開催、講演）



患者団体・患者支援団体との協働（意見交換、講演、イベント開催、資材作成）

これまでの患者参画を厳しく振り返ると・・・

- 外部からの提案や、単発のactionが多く、継続性・発展性に欠ける
- 単発の講演で認知は僅かに向上するものの、限界があり、どうしても一方向的
- 声を聴く患者さんとの距離が遠い、慣れた患者さんにどうしても偏る印象も
- PMDAがどうやって声を活かしていくかの全体像が見えにくい
- 安全や救済は業務の性質上もあり、患者さんと接したり、具体的な活動が見えるものの、審査については一歩を踏み出せていない印象
- 医薬品審査の最終段階の薬事審議会には患者等の声を代表する方が参加しているものの、そこに至るまでのPMDAの審査に患者の声を活かす場所が存在しない



ドラッグライフサイクル・PMDAにおける患者の声

承認申請前

- 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（厚労省）
- 要望書受付

←ここに患者の声を活かせるかどうかは今後の課題の一つ▲

審査

- 薬事審議会等（厚労省）◀ 審査の最終段階

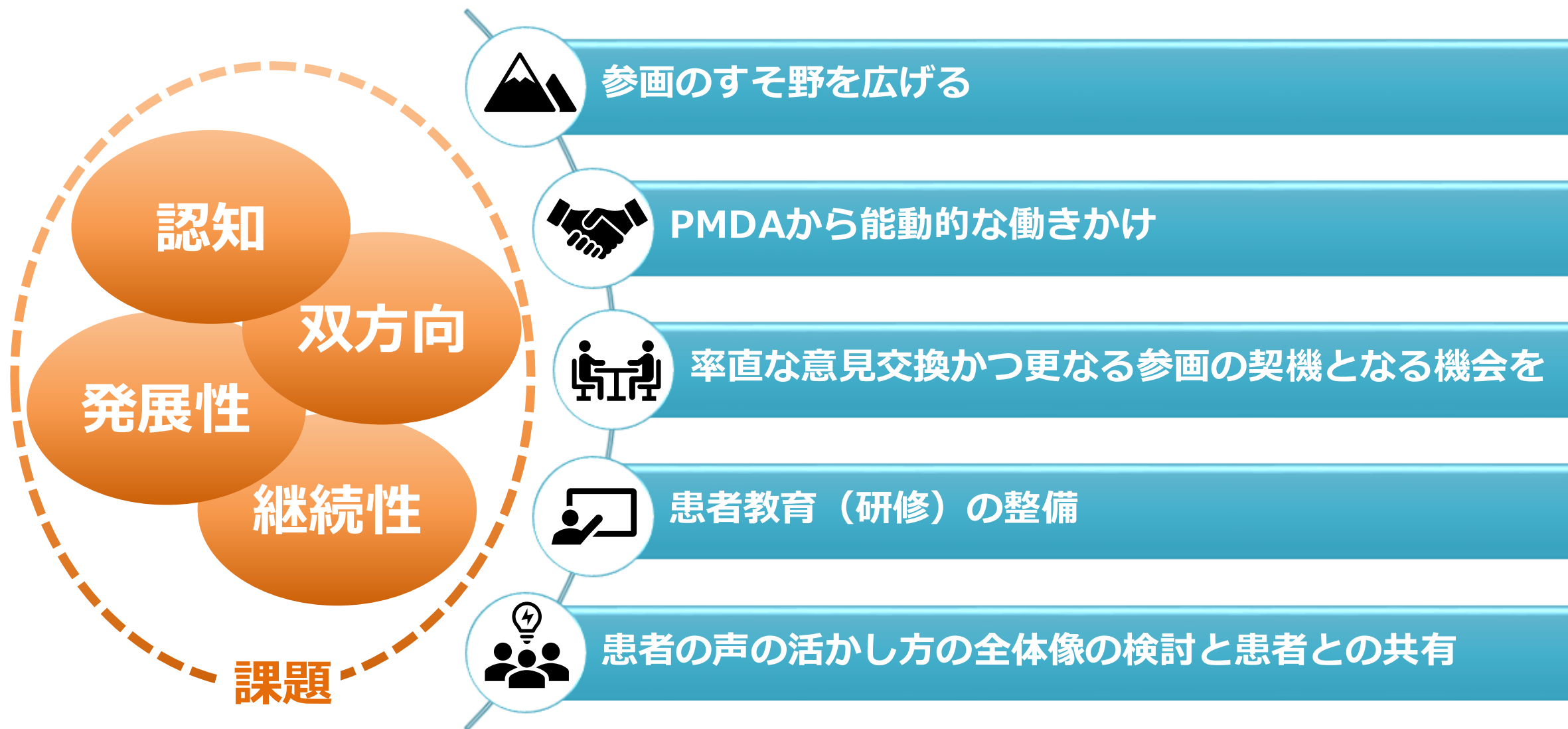
承認後

- 患者向け情報提供（PMDAウェブサイト等）
- 患者副作用報告受付
- 個別患者会との連携

組織運営関係

- PMDA運営評議会
- 患者家族等による研修実施
- 患者参画WG活動

これまでの患者参画の課題を踏まえて



これまでの患者参画の課題を踏まえて





患者代表として議論に参加（治験相談、審査等、様々な段階で）

患者パネル設置や患者専門委員の委嘱を推進→患者代表として意見
ただし、代表してのコメントのためには、**審査制度等を理解する研修が必要**



患者との疾患毎等の意見交換（患者とPMDAがお互いを知る）

患者参画の根幹、持続可能な患者参画のために必須
PMDA職員：患者が現場で**具体的に**何に困っているかを理解する機会
患者：PMDAの業務や制度を理解する機会、声**が求められている**ことを知る機会



PMDAの判断の根拠として明示可能なデータとして

Patient Experience Data (PED)：患者の経験や体験を伝えるデータ
特に、Patient Preference Studies（患者選好研究、PPS）によるデータへの期待



患者代表として議論に参加（治験相談、審査等、様々な段階で）

患者パネル設置や患者専門委員の委嘱を推進→患者代表として意見
ただし、代表してのコメントのためには、**審査制度等を理解する研修が必要**



患者との疾患毎等の意見交換（患者とPMDAがお互いを知る）

患者参画の根幹、持続可能な患者参画のために必須
PMDA職員：患者が現場で**具体的に**何に困っているかを理解する機会
患者：PMDAの業務や制度を理解する機会、声**が求められていることを知る機会**



PMDAの判断の根拠として明示可能なデータとして

Patient Experience Data（PED）：患者の経験や体験を伝えるデータ
特に、**Patient Preference Studies（患者選好研究、PPS）によるデータへの期待**

Patient Experience Data (PED) とは？

“P”から始まるさまざまな患者に関するデータの中で最も広い概念

Patient Experience Data : 患者としての経験/体験を伝えるデータ

患者の経験に関するあらゆるデータのことを意味し、PROも、本日触れるPPI/PPSも、
広くは、これまでの医薬品の評価で用いている生存 (Overall survival) などのデータも含まれる

広い
概念

PEDの種類

1. Patient Reported Outcome (PRO, 患者報告アウトカム)
2. Patient Preference Information/Patient Preference Studies (PPI/PPS, 患者選好情報/研究)
3. 患者参画活動からのデータ

2025年9月公開のEMA (欧州規制当局)
によるPEDに関するReflection paper



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Medicines ▾ Human regulatory ▾ Veterinary regulatory ▾ Committees ▾ News & events ▾ Partners & networks ▾ About us ▾

Home > Patient experience data (PED) reflection paper

Patient experience data (PED) reflection paper

The reflection paper on the patient experience data (PED) encourages medicine developers and other stakeholders to include this type of data in medicine development and marketing authorisation applications for human medicines. These are data that directly reflect the patient experience, without doctors or

Page contents

Current version

Related content

This reflection paper encourages stakeholders and developers to engage at an early stage with regulators to discuss inclusion of patient experience data (PED) in medicine development programmes and marketing authorisation applications (MAAs).

Keywords: patient experience data, patient engagement, patient reported outcomes, patient preference studies, patient-generated digital data, clinical trials, real-world data

<https://www.ema.europa.eu/en/patient-experience-data-ped-reflection-paper>

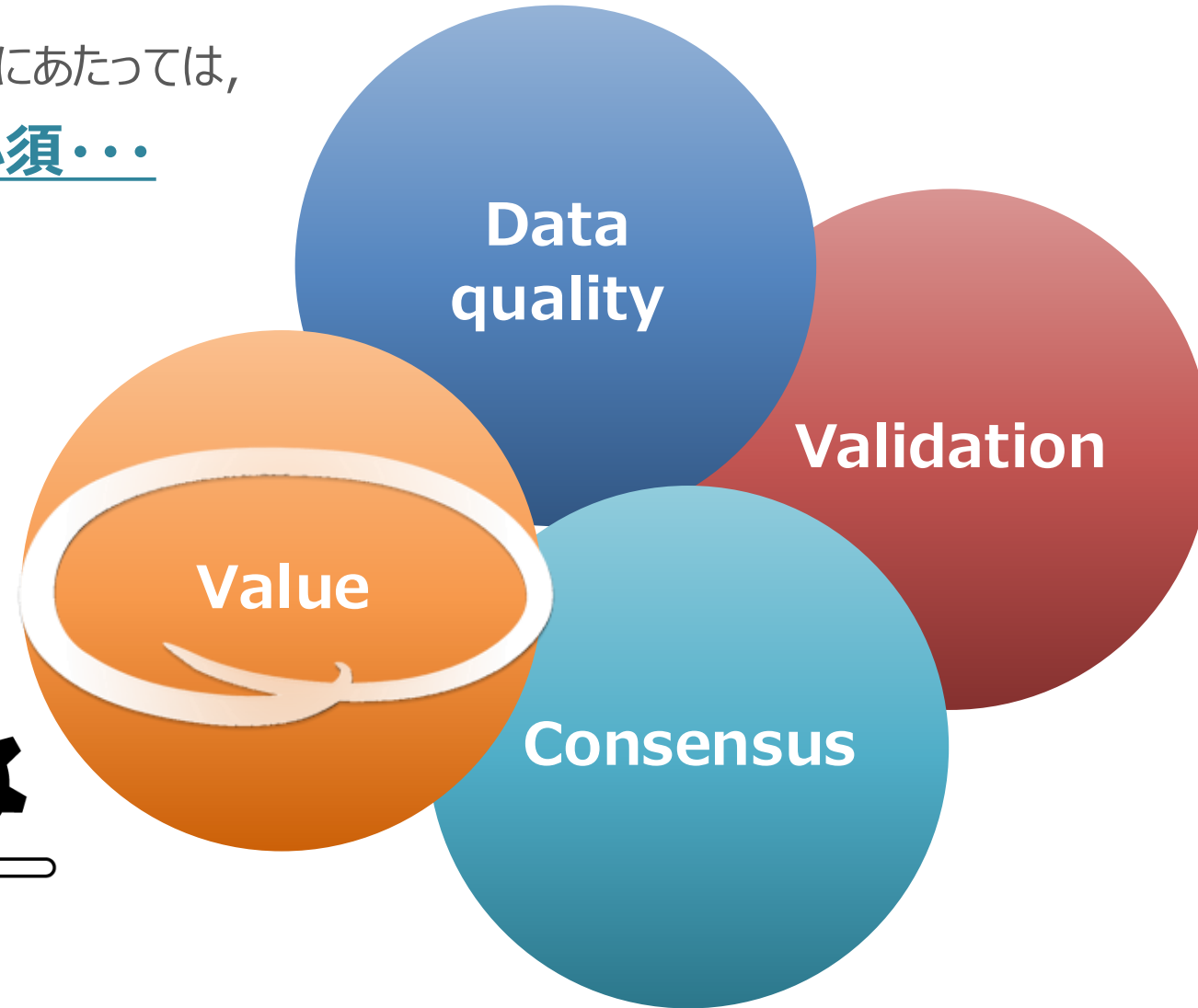


規制当局におけるPatient Experience Dataの活用

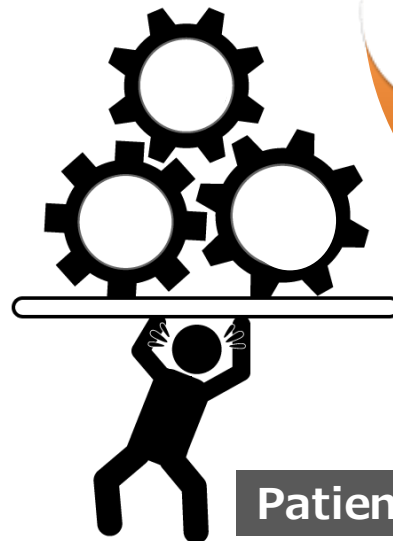
求められる水準は利用目的次第・・・規制当局での活用にあたっては、

Scientific rationale（科学的な根拠）は必須・・・

- Quality（データの質<欠測の存在等>）
- Validation（バリデーション）
- Consensus（疾患領域でのコンセンサス）
- Value of PED（PEDの価値の説明）



Patient Preference
Information/Studies
(患者選好情報/研究)
への期待



Patient Preference Information/Studies

PPS, ご存知でしょうか?

Patient Preference Studies (PPS, 患者選好研究) をご存知でしょうか?

医薬品規制調和国際会議 (ICH)

E22のガイドラインのトピック

→2026年1月よりパブリックコメント開始

→2026年末にGlobalの最終化, 日本の通知へ



2024年11月モントリオール会合にて



2025年11月にStep2bに到達したガイドライン案が公開

INTERNATIONAL COUNCIL FOR HARMONISATION OF TECHNICAL
REQUIREMENTS FOR PHARMACEUTICALS FOR HUMAN USE

ICH HARMONISED GUIDELINE

**GENERAL CONSIDERATIONS FOR
PATIENT PREFERENCE STUDIES**

E22

Draft version

Endorsed on 19 November 2025

Currently under public consultation

みなさんが「くすり」に求めるものは？

安全性

品質

有効性

利便性

価格

価値は多様・・・これに限らず、
みなさんそれぞれ大事にしたいことがあると思います。



患者選好研究：患者にとって何が、どれだけ重要か？

安全性

品質

有効性

利便性

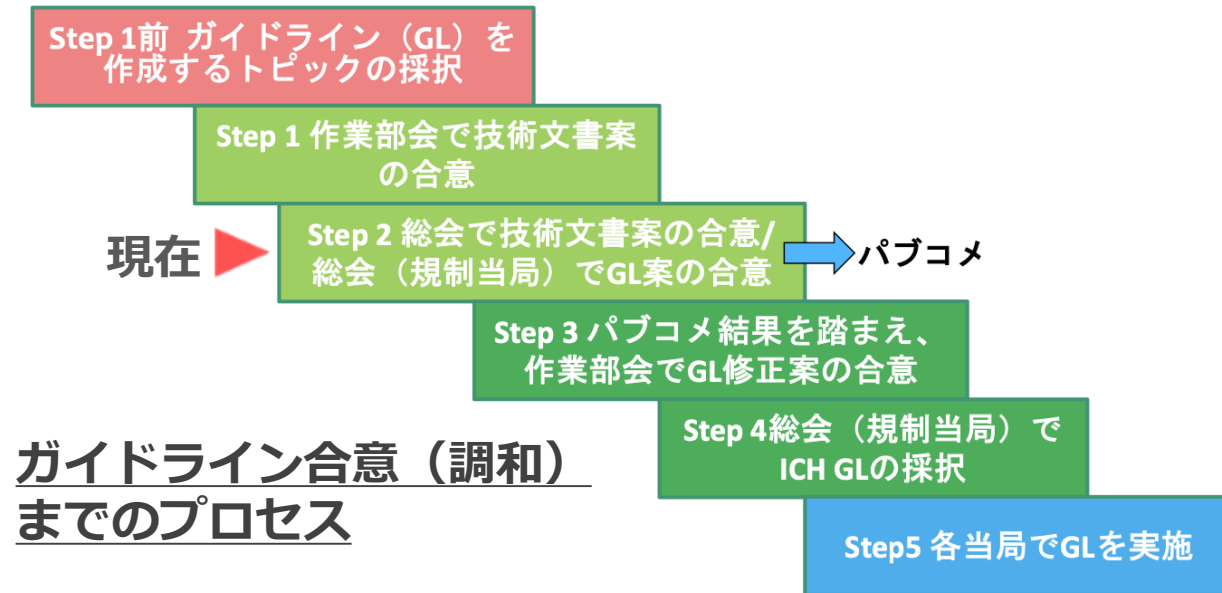
価格

「何が重要か」, 「どれだけ重要か」を科学的に適切な方法で明らかに

Patient Preference Studies (PPS, 患者選好研究)

ICH E22 (Step2b到達→パブリックコメントへ)

ICH E22 : 「Patient Preference Studies (患者選好研究) に関する一般指針」



= 通知等の発出



2024年 3月 議論開始

2025年11月 Step2bに到達

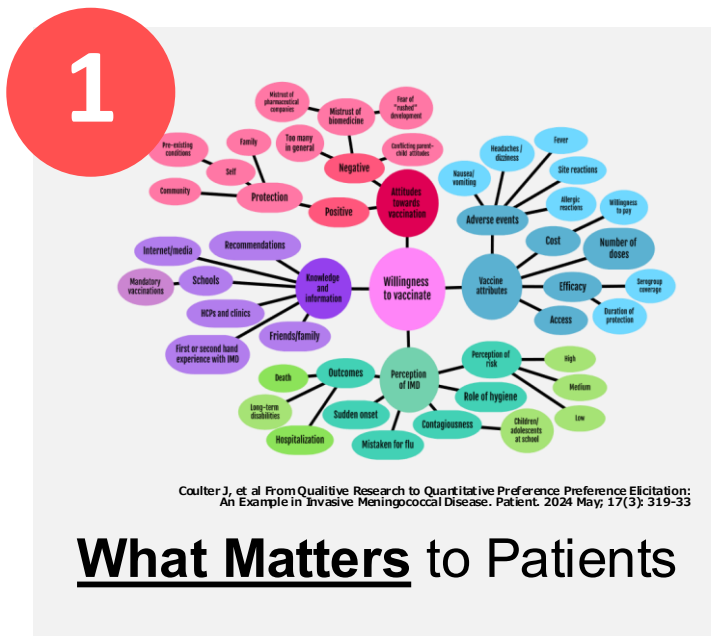
2026年 1月 **パブリックコメント・説明動画配信開始@日本**

2026年 2月 **Global Public Meeting (Web) 実施 (2月6日)**

2026年12月 Step4 (Globalとしての最終化) 到達予定→国内通知へ



”What” : 患者選好研究とは？



「何が重要か」



「どれだけ重要か」



「許容できるトレードオフ」

- Patient Preference Information (PPI, 患者選好情報)
: 治療等のさまざまな特性 (Attributes) について、患者にとって「何が」「どの程度」重要か
- Patient Preference Studies (PPS, 患者選好研究)
: PPIを、定性的 (Qualitative) 又は定量的 (Quantitative) に研究すること

臨床試験での評価項目の選択や得られた結果のベネフィットリスク評価などに寄与 >>>

“When & Where” : 様々な段階での患者選好研究の活用

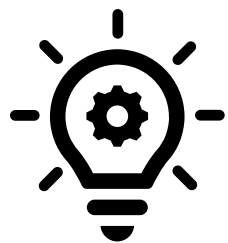
医薬品開発の様々な段階において, PPI/PPSが活用される可能性がある 

開発早期

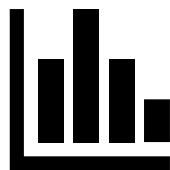
試験計画

開発後期

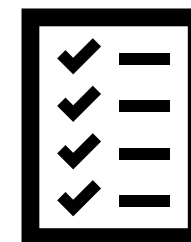
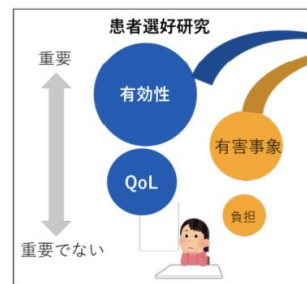
市販後



定性的



定量的



アンメットニーズ,
疾患管理の優先順位,
患者の臨床試験参加の
意向等の理解に寄与

- ・ エンドポイントの開発・選択, 優先順位付けに寄与
- ・ エンドポイントの値の変化の大きさの患者にとっての意義等の理解に寄与

患者の視点に基づく臨床試験結果のベネフィット
・ リスク評価への寄与
(有効性と安全性の特性間で, 患者がどのようなベネフィット・リスクを許容するか)

市販後のリスク管理計画策定等への寄与

定量的手法の際に用いられる質問表の一例









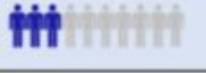











Attribute : 特性
ex. 「生存期間中央値」、
「下痢の発現割合」等

Level : 水準
ex. 生存期間中央値の水準は
「15ヶ月」「10ヶ月」等

Profile : プロファイル
ex. 「薬剤A」、「薬剤B」

Q13-1 薬剤Aと薬剤Bでは、あなたはどちらのお薬を使いたいですか。
必須

※「画像を拡大」をクリックしていただくと拡大してご覧いただけます。

	薬剤A	薬剤B
生存期間中央値	15ヵ月 	10ヵ月 
無増悪生存期間中央値	9ヵ月 	9ヵ月 
下痢の発現割合	50% 	50% 
悪心・嘔吐の発現割合	50% 	50% 
疲労・全身倦怠感の発現割合	30% 	10% 
発疹の発現割合	10% 	10% 
間質性肺疾患の発現割合	0% 	0% 
骨髄抑制の発現割合	0% 	0% 
投与頻度	週1回 	3週に1回 
投与時間	180分 	180分 

定量的手法の代表例の一つ：離散選択試験（DCE）

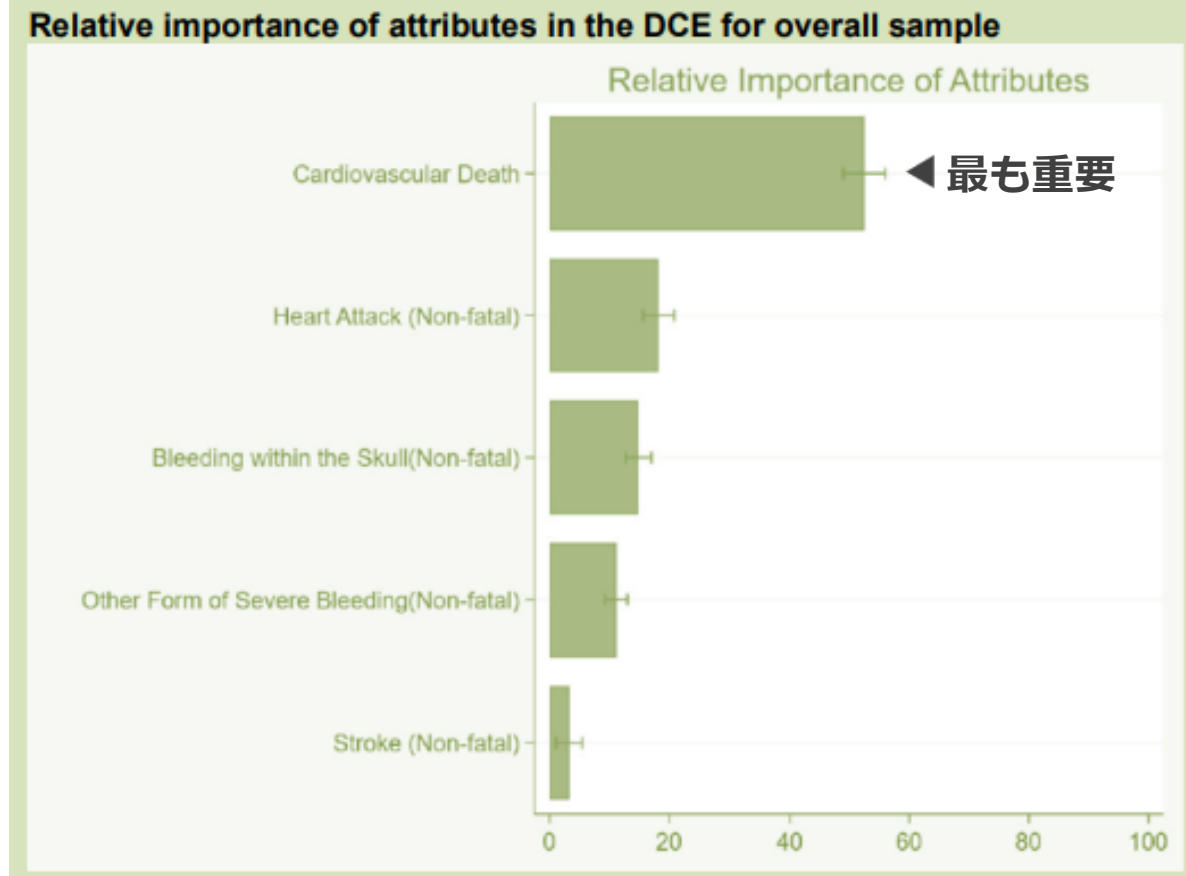
「離散選択試験」（Discrete Choice Experiment, DCE）

01 1つの質問表につき、各特性のレベルを組み合わせた**仮想の治療法が複数設定**され、いずれの治療法を好むかを回答（複数の質問表のセットが用意される）

02 全回答者の結果に基づき、各特性の**相対的重要度を推定**：何が、どれだけ、患者にとって重要か

質問：どちらの治療法を好みますか？

治療法1	特性	治療法2
錠剤	投与方法	注射
毎日	頻度	月1回
1%	軽度短期副作用 悪心・嘔吐	10%
10%	副作用発現 脱毛	0.1%
0.1%	副作用発現 睡眠障害	1%
30%改善	有効性 RA症状	70%改善



複数の質問表
のセット

国内での肺癌の離散選択試験 (DCE) の一例

Front Pharmacol. 2021 Jul 20;12:697711. doi: [10.3389/fphar.2021.697711](https://doi.org/10.3389/fphar.2021.697711)

Patient Preferences for Attributes of Chemotherapy for Lung Cancer: Discrete Choice Experiment Study in Japan

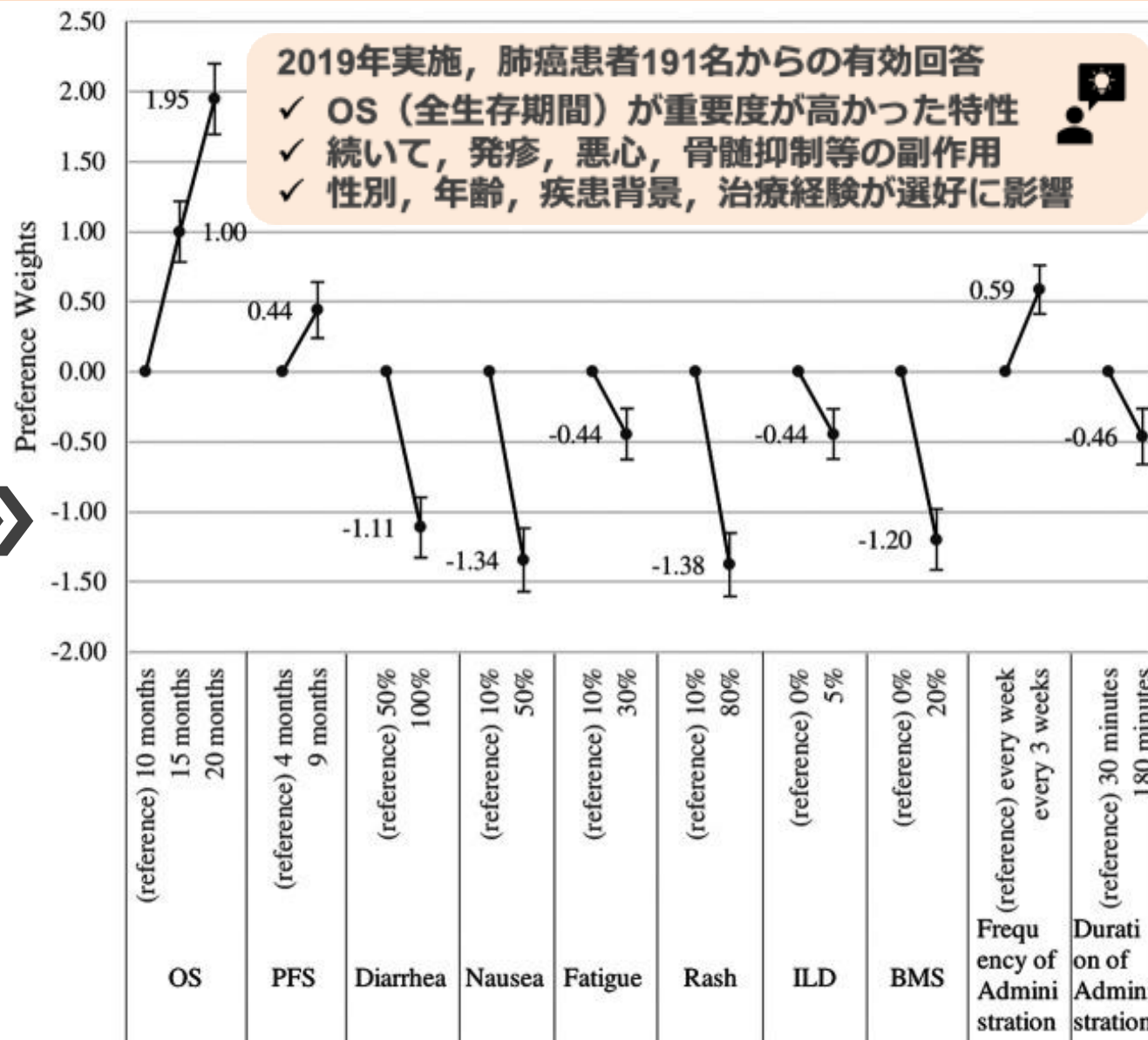
Yasuo Sugitani^{1,2,*}, Kyoko Ito³, Shunsuke Ono²

Author information Article notes Copyright and License information

PMCID: PMC8329447 PMID: [34354590](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34354590/)

Q13-1 薬剤Aと薬剤Bでは、あなたはどちらのお薬を使いたいですか。
必須

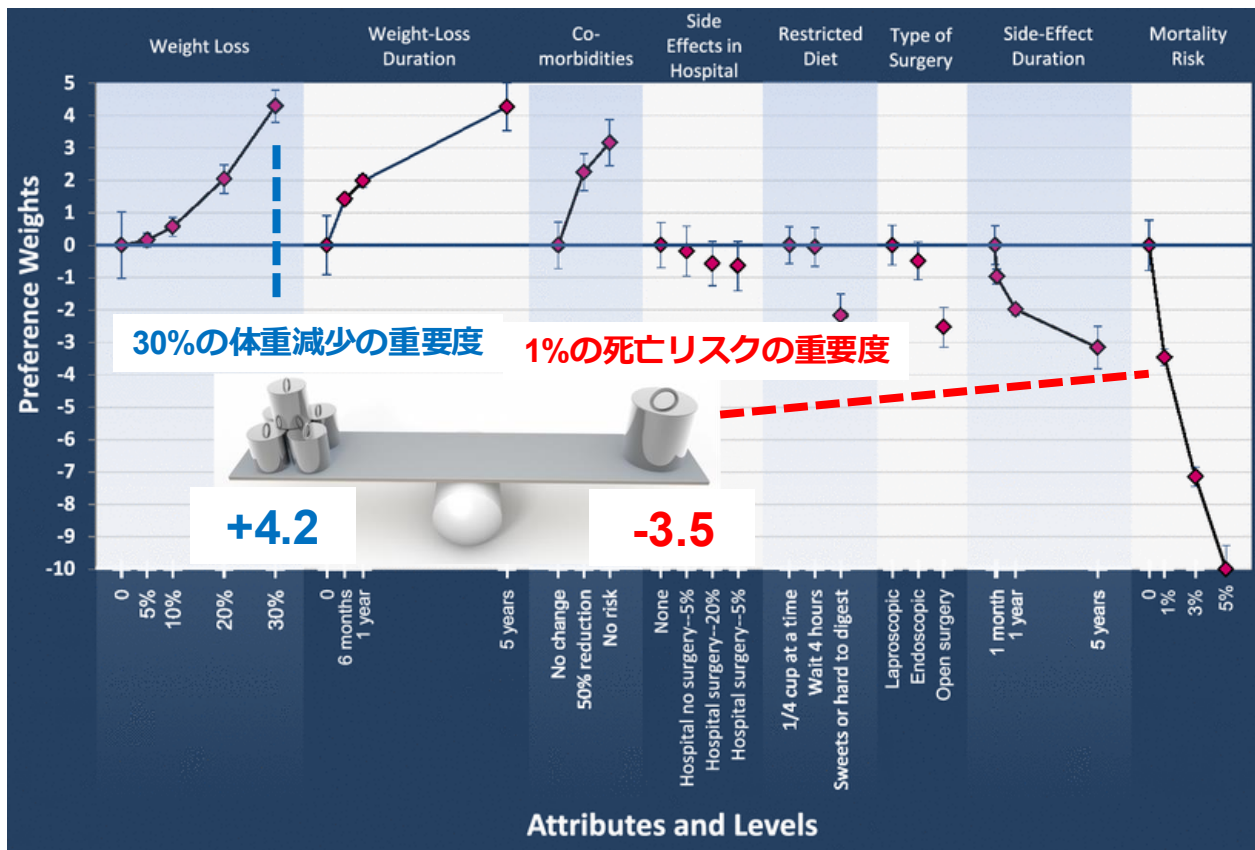
	薬剤A	薬剤B
生存期間中央値	15ヵ月	10ヵ月
無増悪生存期間中央値	9ヵ月	9ヵ月
下痢の発現割合	50%	50%
悪心・嘔吐の発現割合	50%	50%
疲労・全身倦怠感の発現割合	30%	10%
発疹の発現割合	10%	10%
間質性肺疾患の発現割合	0%	0%
骨髄抑制の発現割合	0%	0%
投与頻度	週1回	3週に1回
投与時間	180分	180分



FDA承認における患者選好研究活用の一例

2015年FDA承認の減量機器

- ✓ 臨床試験で治験機器群と対照群の減量割合の群間差10%以上が主要仮説
- ✓ 群間差8.5%超, 主要仮説検証されず
- ✓ 追加の定量的PPS (DCE) をFDAにより実施 (BMI \geq 30kg/m², 有効回答540例)



DCEの結果から、 以下を算出するツールを開発

- Minimum Acceptable Benefitを算出
(このリスクを受け入れるなら、最低でもこれだけの効果が欲しい)
- Maximum Acceptable Riskを算出
(この効果が得られるなら、ここまでのリスクは受け入れられる)

**「1%の死亡リスクのデバイスを受け入れる
解釈例 には、最低でも約30%の総体重減少が得られる
ことを要する」**

**PPSの結果に基づき臨床試験の結果を解釈
▶ベネフィットリスクバランスの判断に寄与**

詳細はPMDA内のICH E22説明会HPをご覧ください

PMDA内のICH E22説明会HPでは、パブリックコメント中のガイドライン案へのリンクや動画の他、トレーニングマテリアル（想定例/よくある質問）の日本語訳等も掲載中

国際関係業務

ICH E22「患者選好研究に関する一般指針（案）」説明会開催のお知らせ

★ よく見るページに追加

🖨 本文のみ印刷する

2026年1月28日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）

背景

ICH E22専門家作業部会（EWG）では、ICH E22「患者選好研究に関する一般指針」のガイドライン作成に向けて検討を続けてまいりました。その結果、2025年11月19日付けでICH E22ガイドライン案がStep 2に到達し、ICH公式ホームページに公開されました。本邦においても2026年1月19日にICH E22「患者選好研究に関する一般指針（案）」に対するパブリックコメントの募集が開始されました。

今般、本ガイドライン案に対する理解の促進、パブリックコメント収集を支援する目的で、ICH E22「患者選好研究に関する一般指針（案）」説明会を開催することと致します。

国際関係業務

国際関係業務の概要

国際調和活動

各国との取り決め等

海外規制情報

アジアとの協力

4. 動画及び資料

[動画はこちら](#) よりご覧ください。

資料は以下よりご覧ください。

- [説明会資料 \[1.70MB\]](#)
- トレーニングマテリアル和訳
 - [想定例 \[1.34MB\]](#)
 - [よくある質問 \[1.20MB\]](#)

日本の患者代表も参加したグローバルウェビナーも

2026年2月6日には、日本の患者代表にもパネリストとして参加していただいたICH E22のグローバルウェビナーも実施、国際的な動きを感じていただける動画となっております



ICH E22 public consultation global stakeholder webinar



すべて

提供: European Medicines A

13:30 Welcome and opening speeches

- Welcome and objectives of the meeting (F. Pignatti; EC, Europe)
- Keynote: Setting the stage for ICH E22 (T. Mullin; FDA, United States)
- ICH E22 – General considerations for PPS (video)
- ICH public consultation process (S. Almuhaideb; SFDA, Saudi Arabia)

14:10 Session 1: ICH E22 - Overview and Key Concepts

In this session, Expert Working Group members will present key aspects of the ICH E22 guideline, focusing on use cases and general methodological considerations of patient preference studies, and will introduce proposed training materials, including FAQs and illustrative examples.

- Purpose, scope, and key concepts (S. Tezuka; MHLW/PMDA, Japan)
- Common uses of PPS (B. Hauber; PhRMA)
- General methodological considerations (L.L. Johnson; FDA, United States)
- Patient input in the development of PPS (S. Dickinson; EFPIA)
- Frequently asked questions and examples (B. Levitan; PhRMA)

15:30 Break

16:00 Session 2: ICH E22 – Providing significant feedback

Moderated by: R. Bent, FDA United States

- Panel: J. Harris (National Psoriasis Foundation); F. Houyez (EURORDIS); N. Sakurai (Cancer Solution co, LTD); A. Valentine (Sick Cells)

In this session, members of the ICH E22 Expert Working Group will hear from invited patient representatives across different regions about their experiences with patient preference studies and gather initial feedback on the guideline. The goal is to foster meaningful engagement by encouraging comments related to the scope of the ICH E22 guideline, describing stakeholder perspectives, and providing examples of substantive feedback during the public consultation process. Rather than a traditional Q&A format, this interactive discussion is designed to facilitate constructive feedback that will inform the ongoing development of the guideline.

何よりも根幹はお互いを認知するための機会



患者代表として議論に参加（治験相談、審査等、様々な段階で）

患者パネル設置や患者専門委員の委嘱を推進→患者代表として意見
ただし、代表してのコメントのためには、審査制度等を理解する研修が必要
意見交換を契機に、認知→研修→代表者として参画という流れを将来的に期待



患者との疾患毎等の意見交換（患者とPMDAがお互いを知る）

患者参画の根幹、持続可能な患者参画のために必須

PMDA職員：患者が現場で具体的に何に困っているかを理解する機会

患者：PMDAの業務や制度を理解する機会、声が求められていることを知る機会

Patient Preference Studies（患者選考研究、PPS）参加促進を期待



PMDAの判断の根拠として明示可能なデータとして

Patient Experience Data（PED）：患者の経験や体験を伝えるデータ

特に、Patient Preference Studies（患者選好研究、PPS）によるデータへの期待

新たな取組みの一つ：疾患別意見交換会

これまでもPMDAと患者団体・支援団体等との意見交換は行ってきたものの・・・

- ✓ そもそも**機会**は非常に限られていた
- ✓ PMDAからの呼びかけで行ったものではなく、**患者会等からのアプローチ**によるもの
- ✓ 少人数でPMDA側も患者側も**参加人数が限られていた**（実務を担うPMDA職員の参加は**限定的**）
- ✓ **単発**の連続で、継続することはこれまでなかった
- ✓ 患者さんが日々何に困っているのかといった具体的な話よりも、薬事全般的な話になる傾向

PMDAからの呼びかけによる、具体的で双方向の疾患別の意見交換シリーズを開始

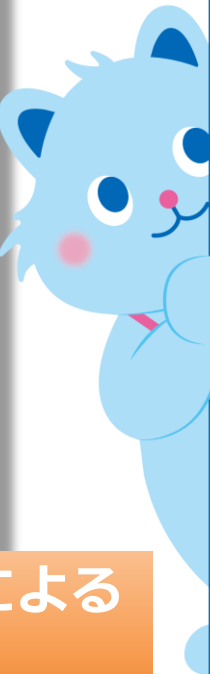


PMDA職員にとっての認知向上・・・具体的な患者さんの像、患者さんの声の重要性
患者さんにとっての認知向上・・・PMDAの存在、薬事制度、自分達の声が求められていること

新たな取組みの一つ：疾患別意見交換会を開始



2025年9月、IBDネットワークの患者さん21人とPMDA職員38人による意見交換を主とした1回目を意見交換会をPMDA主催で実施
実施したこと自体だけが意義にならないよう、次のアクションへ



PMDAの向き合うもの、大切にしたいもの

【パーパス】

令和 7 年 4 月 1 日

(担当)経営企画部広報課長 江崎 麻美






(電話) 03 (3506) 9454

健やかに生きる世界を、ともに、明日へつなぐ

PMDA のパーパス & バリューズが完成 ～新しい仲間「ピムット」とともに更に前進～

【バリューズ】

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、設立 20 周年を機にパーパスを策定するとともに、パーパスを体現するための価値観としてバリューズを策定しました。全従業員で、PMDA に必要な組織文化が何かを考え、語り合い、完成した 5 つのバリューに一人ひとりの職員が向き合い、パーパスが描く健やかに生きる世界を共創してまいります。

-  誠実さと公正さで、信頼と安心をつむぎ続ける
-  オープンさと前向きな対話で、多様性を尊重する
-  誇りとワクワクを大切に、ともに学び、讃え合う
-  未来や変化をとらえた一歩や挑戦を、応援する
-  枠を越え、発信し、社会に寄り添い共創する



「世界一幸せ」と言われる動物（クワッカワラビー）をモチーフに、PMDA のパーパス & バリューズのオープンさと医療を支える安心感、多様性を尊重する思いが込められています。

PMDA

Making everyone's lives brighter together

