

患者の声を活かした医薬品開発

製薬企業が患者団体と

ペイシエント セントリシティ

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

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

目次

1. はじめに	4
1.1 製薬企業が医薬品開発で患者団体と協働することの意義	4
1.2 本ガイドブック作成の背景	4
2. 患者団体との協働を開始する前に	6
3. 協働相手となる患者団体の探し方	7
4. 初めて患者団体とコンタクトするとき	7
5. 患者団体での協働相手先の紹介に関する依頼方法	8
6. 協働開始に向けての事前対応	8
7. 当日の対応	8
8. 意見交換終了後のフォローアップ	8
9. おわりに	8

略語一覧表

略号及び用語	内容
製薬協	日本製薬工業協会
本タスクフォース	臨床評価部会タスクフォース 3
PC 活動	Patient Centricity に基づく活動
薬機法	医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律

用語解説

Patient Centricity に基づく活動（PC 活動）：

日本製薬工業協会（製薬協） 臨床評価部会タスクフォース 3（本タスクフォース）では、製薬企業による PC 活動を「患者から直接又はその家族や患者団体を通じて得た患者の声を企業活動に活かすこと」、製薬企業による医薬品開発での PC 活動を『開発コンセプトの立案、治験の計画、実施、承認・申請までの過程に患者の声を活かすことに加え、患者の「知りたいという声」に応える企業活動（例えば情報公開）も含む』と定義している。薬を開発する段階から新しい医薬品として厚生労働省の承認を受けるまでの過程に、患者の意見や考え、経験等を活かすことは治験参加に伴う患者の負担軽減などに繋がり、医薬品開発の成功確率を上げ、開発期間の短縮を目指し、新しい治療の選択肢をより早く患者へ提供することに貢献できると考えられる。なお、製薬企業では Patient Centricity という用語を用いることが多いが、活動主体によって「患者参画」、「患者との協働」、「患者の声を活かす」又は「患者と共に」といった表現も使われている。

患者団体：

多様な形態の患者団体が存在するが、本ガイドブックでは以下のように定義する。

「患者・家族、その支援者が主体となって構成され、患者の声を代表し、患者・家族を支えあうとともに療養環境の改善を目指し、原則として定款・会則により定義された役割や目的を持つ患者会及び患者支援団体を指す。但し、法人格の有無、設立形態は問わない。」

ただし、協働の相手は患者個人又はその家族や支援者等の場合も十分に考えられる。本ガイドブックでは患者団体という言葉を使用しているが、協働の相手は上記定義の患者団体に限るものではない。例えば、患者と医療者の双方のコミュニケーション力の向上を目的とした患者支援団体も含まれる。

1. はじめに

1.1 製薬企業が医薬品開発で患者団体と協働することの意義

これまでの医薬品開発では、製薬企業が患者の声を得る場合には医療関係者を介して聞くことが多かったが、医薬品の最終的な使用者が患者であることから、近年患者の声を直接聞き医薬品開発に活かすことの重要性が認識されている¹。

すなわち、製薬企業は医薬品開発の計画段階から医薬品の最終使用者である患者と協働し、その患者の声を医薬品開発に反映することで患者にとってより良い医薬品の早期上市に貢献することが、Patient Centricity に基づく活動を実装する上での最も重要な意義である。

欧米では既に複数の製薬企業が医薬品開発での PC 活動を開始している。具体的には、患者の意見を取り入れた治験デザインの立案や同意説明文書の作成、患者による直接評価である Patient Reported Outcome の活用、患者への治験情報の提供及び患者への治験結果の共有等が挙げられる。

医薬品開発で PC 活動を行うことにより、患者、製薬企業双方にとって以下の効果が期待できる。

- ・ 患者の声を反映した治験実施計画の立案は、患者が重要とするアウトカム指標の採用、患者が参加しやすい治験実施計画（治験参加に伴う負担軽減）に繋がる。さらに、同意取得率の向上による短期間での症例集積、同意撤回・中止脱落減少、治験実施計画からの逸脱及び計画書の改訂回数の減少に寄与し、その結果、治験期間の短縮、治験データの質の向上及び費用の低減へ繋がり、早期に医薬品を患者のもとに届けることができる。
- ・ 同意説明文書の記載内容に対する患者からの意見等を内容に反映することで、治験及び治験実施計画内容に対する患者の理解度向上や治験参加への不安の軽減に貢献できる。
- ・ 治験に参加した患者へ治験結果をフィードバックすることで、医薬品開発の必要性と重要性に対する患者の理解がさらに深まる。

1.2 本ガイドブック作成の背景

本タスクフォースの最終的な目標は、製薬企業による医薬品開発での PC 活動の実装である。2016 年に本タスクフォースが国内の製薬企業 73 社を対象に PC 活動に関連する取り組みのアンケートを実施した時点では（55 社から回答入手）、治験開始時に治験実施計画書や同意説明文書の作成のために患者団体等へ直接意見聴取した経験のある国内企業は、それぞれ 4%（2/55 社）、5%（3/55 社）に留まっていた。一方、臨床開発段階での PC 活動を重要だと考えている国内企業は 96%と大多数を占めたことから、今後国内でも PC 活動が活発になることが想定される。しかし、前述のアンケートでは PC 活動を行う上での課題として、患者団体等とどのようにコミュニケーションを取ればよいか分からないとのコメントが多く寄せられた²。また、2017 年に本タスクフォースが患者等の立場から見た医薬品開発に対する考えを理解する目的で、製薬協の患者団体連携推進委員会アドバイザーボードメンバー 5 名に『「治験情報の公開」及び「治験の啓発活動」に関する現状と今後に向けた課題と提案』という 2 つのテーマについてインタビュー調査を実施した。その結果、患者による治験情報の検索性

の向上や治験自体及び治験に係る用語の理解を促進させるための様々な提案を受けることができ、患者や患者団体が医薬品開発に自分達の声を活かしたいというニーズがあると考えられた²。実際、希少・難治性疾患では、「(患者会向け) 研究協力・連携ガイドライン」が作成されており、研究への協力や連携への理解を促進する取組みが行われている³。そこで、本タスクフォースとしては、製薬企業が日本で医薬品開発でのPC活動を患者団体と協働する際のコミュニケーションに焦点をあて、協働の進め方や留意点を紹介する本ガイドブックの作成に至った。

「患者団体との協働に関するガイドライン⁴」では、患者団体との協働は「製薬企業と患者団体が、対等の立場で力を合わせて活動することです。交流、支援から共有の課題解決を目指す活動まで、幅広い範囲とします。」と解説されている。この解説に基づき、本ガイドブックでは「協働」という言葉を「医薬品開発の過程に患者の意見や考え、経験等を取り入れること」と定義する。また、協働の形態としては、製薬企業側に十分な経験がない現状を踏まえ、相互に理解を深められる対面での意見交換を想定している。しかし、協働の相手となる患者の病状や状況によっては対面する場所までの移動が患者の大きな負担となる場合もあるため、電話やインターネット会議等での意見交換も考慮する。

協働の相手については、現在製薬協から発行しているガイドライン^{4,5}が患者団体との協働を念頭に置いた内容であることを考慮し、患者団体を想定して記載している。しかし、協働の相手は患者団体に限られるものではなく、患者個人又はその家族や支援者等も十分に考えられることに留意する。

本ガイドブックでは、患者団体との協働の進め方を以下の図のように想定し、各段階の概観として3～8章にまとめた。

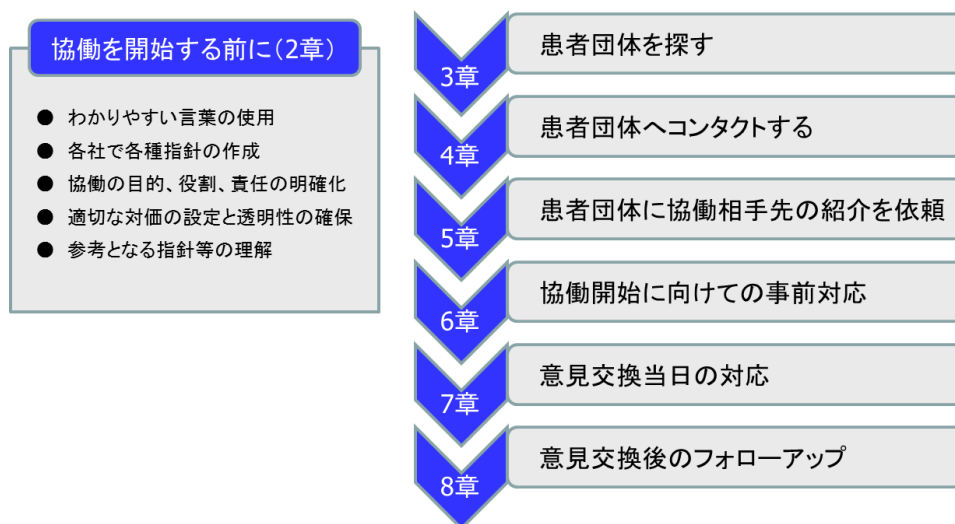


図 患者団体との協働の進め方

本ガイドブックは、本タスクフォースメンバーが所属する会社の経験を基に、製薬協の患者団体連携推進委員会アドバイザリーボードメンバー及び患者団体連携推進委員会の協力を得て作成した。最新の情報を考慮しつつ、医薬品開発にて患者団体と協働する際の一助となれば幸いである。

2. 患者団体との協働を開始する前に

患者団体や患者と PC 活動を始めるにあたって準備しておくこと、及び主要な留意点を以下に整理する。

患者にとってわかりやすい言葉の使用や治験の理解促進

患者団体との協働が円滑に進むよう、医薬品開発に係る専門用語など協働相手先によってはなじみがないと考えられる文言をわかりやすく説明することは非常に重要である。また、協働を円滑に進めるためには、協働前に、医薬品が開発され上市されるまでの流れをわかりやすく示した資料等を用いて患者による治験理解の促進を図るべきである。なぜならば、双方の考えがすれ違うことなく通じるようにしなければ、協働活動自体が意味をなさないものになってしまうからである。

患者団体との協働に関する各社指針の作成

製薬協には、患者団体に関わる自主基準として「患者団体との協働に関するガイドライン⁴」、「企業活動と患者団体の関係の透明性ガイドライン⁵」がある。また、患者団体等を含むステークホルダーとの交流に係る行動基準を示した「製薬協コード・オブ・プラクティス⁶」がある。患者団体との協働を開始する前には、これらの自主基準を遵守する形で「患者団体との協働に関する指針」及び「患者団体との関係の透明性に関する指針」を各社で作成する必要がある。既に社内に前述の指針を有する製薬企業では、当該指針を遵守した上で患者団体との協働を開始する。各社とも、まずは自社の患者団体に関わる指針の有無や患者団体との窓口担当者、患者団体とのコミュニケーション手順等を確認し、すでに確立された手順があればそれに従うことが求められる。

患者団体との協働の目的、役割及び責任の明確化

「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（薬機法）」及び医薬品等適正広告基準にて一般人を対象とする医薬品等の広告が規制されており、広告行為あるいは広告と疑われる行為は厳に慎まなければならない。製薬企業は患者団体との協働が自社製品及び未承認薬の広告・宣伝ではないことを説明できるよう、患者団体との協働開始時から、協働の目的、役割及び責任に関して相互理解を形成しておくことが重要である。また、協働時に患者団体側から医薬品開発に関連することや治験内容に対して何らかの要望が寄せられる可能性があるが、製薬企業の開発戦略や関連する規制要件等により、全てに対応できるわけではないことに留意する必要がある。そうした場合は、なぜ対応できないかを、例えば法律の条文を提示するなどして具体的かつ丁寧に説明することを推奨する。

協働に伴う適切な対価の設定及び透明性の確保

製薬企業が協働相手先と意見交換を実施する場合、協働相手先には実体験を含めた貴重な意見を聴取することに加えて、書類の内容の確認等を依頼するケースもある。こうした協働は、一般的には「製薬

協コード・オブ・プラクティス」の「8. 業務委託」に該当することから、協働に対しては適正な対価を設定する。対価とは謝金の支払いだけでなく、それ以外の対価（例 勉強会の実施等）もあり得ると考えられる。対価の設定では、依頼内容や準備にかかる労力、当日の拘束時間、意見交換終了後のフォローアップ等を加味する。患者への不適切な利益供与及び誘導にあたらぬことを示す上でも、協働の目的や役割・責務を明確化した上で、結果の活用方法や公開範囲、報酬の算定根拠及び支払い方法を文書で合意しておくことが協働の透明性確保の観点から必要である。実際、「患者団体との協働に関するガイドライン」には「患者団体との協業における活動項目や資金提供については、その目的・内容等について、書面による合意を交わし、記録に残すこと」と記載されており、前述の「患者団体との協働に関する指針」や「患者団体との関係の透明性に関する指針」に当該内容を盛り込む必要がある。一方、AMEDによる「患者・市民参画（PPI）ガイドブック⁷」にも記載があるが、患者団体側にも適切な利益相反の対応が求められている。協働によって生じる可能性のある利益相反という考えについて十分患者団体側と理解が共通となるよう、製薬企業側は協働前に配慮する必要がある。

その他参考となる指針等

参考となる指針として、前述したガイドライン以外にも下記に示した業界団体指針等が発信されており参考にすることができる。

- ・ 製薬協企業行動憲章 2018年⁸
- ・ 製薬協コンプライアンス・プログラム・ガイドライン 2019年⁹
- ・ Patient-Focused Drug Development: Collecting Comprehensive and Representative Input¹⁰
- ・ 日本における倫理的連携のためのコンセンサス・フレームワーク¹¹

3. 協働相手となる患者団体の探し方

製薬協のホームページに患者団体を検索する上で参考となるサイトを掲載しており¹²、患者団体を探すための一助になると考えられる。なお、患者団体は設立の背景が多様であり、製薬企業との協働を第一義的な目的においていない患者団体もあることを念頭に置く必要がある。製薬企業側は協働の目的や内容を明確にしたうえで、協働する団体を探すことが望ましい。疾患に特有の患者の意見や考え、経験を活かす内容が目的であれば患者団体との協働を検討するとよい。いずれの疾患にも共通と考えられる目的の場合には、協働相手先として患者支援団体も候補になり得ると考えられる。

4. 初めて患者団体とコンタクトするとき

患者団体の候補へ最初の打診を行う際には、協働する目的を明確にし、患者団体が理解できるように丁寧な説明を行うことが重要である。患者団体との協働の合意に際しては、患者団体内において協働に対するコンセンサスが確保されていることを確認しておくことを推奨する。また、医薬品開発での PC

活動に対する社会的認知度はまだ低いため、承認前の医薬品の広告目的の協働でないことを理解してもらえよう留意する。

5. 患者団体での協働相手先の紹介に関する依頼方法

患者団体と協働を合意した後、次の段階は協働していただく患者（以下、協働相手先）の紹介の依頼である。協働相手先には、治験に興味を持ち、治験に関する一定の予備知識を備えた患者を紹介していただくよう、患者団体へ依頼した方が効果的と考える。そのためには、製薬企業側が患者に、医薬品開発の中でどのような事に貢献してもらいたいかを明確に示すことが重要である。

6. 協働開始に向けての事前対応

協働相手先との協働開始前に、目的や役割、協働内容、秘密保持、対価等両者で協議の上、透明性の観点から書面で合意する必要がある。意見交換当日の議論が円滑に進むように、事前準備として、説明資料等の提示及び協働相手先からの意見の入手等を行うことが望ましい。意見交換の面会場所・人数・時間等の設定に十分配慮し、録音・撮影する場合は事前に承諾を得る等事前に両者でよく協議しておく。

7. 当日の対応

協働相手先に面会した際、はじめに製薬企業側の面会者の立場や意見交換の目的を協働相手先に伝え、協働相手先からの信用を得ることが重要である。意見交換では、専門用語の使用を避け、具体的な質問を心掛けることが望ましい。

8. 意見交換終了後のフォローアップ

協働相手先との意見交換後の段階として、患者団体及び患者との信頼関係の構築や今後の意見交換の継続性のためにもフォローアップが重要である。

9. おわりに

医薬品開発に患者の声を反映する上で、患者団体との協働におけるコミュニケーション方法の重要な留意点をまとめた。製薬企業が患者との協働の経験を積み重ねていくことで、本ガイドブックで触れた以外の協働の選択肢も増えていくことが期待される。様々な協働の機会を持つことで、患者の期待を実現する医薬品開発に繋がることを願っている。

臨床評価部会 Patient Centricity –患者の声を活かした医薬品開発–
タスクフォース 3

資料作成者（2018 年度）

庭田 祐一郎	第一三共株式会社	(リーダー)
伊藤 哲史	アステラス製薬株式会社	(サブリーダー) (~2019年3月迄)
植木 進	バイエル薬品株式会社	(サブリーダー)
内田 雄吾	旭化成ファーマ株式会社	(サブリーダー)
関 洋平	塩野義製薬株式会社	(サブリーダー)
西川 智章	ヤンセンファーマ株式会社	(2019年4月より サブリーダー)
伊勢 千明	アストラゼネカ株式会社	
渡辺 聡子	大塚製薬株式会社	(~2018年12月迄)
松山 翔	科研製薬株式会社	
牛丸 和美	キッセイ薬品工業株式会社	
井上 麻里奈	グラクソ・スミスクライン株式会社	
久恒 麻里衣	興和株式会社	(~2018年9月迄)
林元 みづき	セルジーン株式会社	
北島 五輪男	大正製薬株式会社	
藤野 智大	大日本住友製薬株式会社	
遠藤 徹也	武田薬品工業株式会社	
植田 正樹	田辺三菱製薬株式会社	
権田 陽平	帝人ファーマ株式会社	
板保 智大	日本イーライリリー株式会社	
富森 裕規	日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社	
鈴木 和幸	ノバルティスファーマ株式会社	
木村 崇史	ファイザーR&D 合同会社	
駒場 環	ブリistol・マイヤーズスクイブ株式会社	
田中 佑樹	株式会社ヤクルト	
杉原 一弘	ユーシービージャパン株式会社	

監修	部会長	近藤 充弘	大塚製薬株式会社
	担当 副部会長	高杉 和弘	持田製薬株式会社
	担当 推進委員	神山 和彦	ファイザーR&D 合同会社 (~2019年5月迄)
	担当 監事	岸本 早江子	小野薬品工業株式会社

以上の資料作成にあたり、意見提供にご協力いただいた患者団体アドバイザリーボードメンバー、また、田中常務理事、患者団体連携推進委員会 吉永委員長、同ビジョン 2025 対応タスクフォースチーム、医薬品評価委員会 国忠委員長、並びに本資料の査読を実施頂いた査読担当者の諸氏に感謝致します。

【参考文献】

- ¹ EMA ホームページ. Patients and consumers.
http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/partners_and_networks/general/general_content_000317.jsp&mid=WC0b01ac058003500c
- ² 製薬協 医薬品評価委員会 臨床評価部会 タスクフォース 3 部会資料「患者の声を活かした医薬品開発-製薬企業による Patient Centricity-」
http://www.jpma.or.jp/medicine/shinyaku/tiken/allotment/patient_centricity.html
- ³ 希少・難治性疾患関連研究協力・連携ガイドライン（2016年3月1日）
<http://www.guidelineforpatients.info/html#procedure>
- ⁴ 患者団体との協働に関するガイドライン（2017年4月1日）
<http://www.jpma.or.jp/patient/tomeisei/kyodo/>
- ⁵ 製薬協 「企業活動と患者団体の関係の透明性ガイドライン（2012年3月14日）」
<http://www.jpma.or.jp/about/basis/tomeisei02/tomeiseigl.html>
- ⁶ 製薬協コード・オブ・プラクティス（2019年1月1日）
<http://www.jpma.or.jp/about/basis/code/>
- ⁷ 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～（2019年3月31日）
<https://www.amed.go.jp/ppi/guidebook.html>
- ⁸ 製薬協企業行動憲章（2018年10月18日）
<http://www.jpma.or.jp/about/basis/kensyo/kigyo/index.html>
- ⁹ 製薬協コンプライアンス・プログラム・ガイドライン（2019年4月1日）
<http://www.jpma.or.jp/about/basis/kensyo/compliance/compliance0-a.html>
- ¹⁰ Patient-Focused Drug Development: Collecting Comprehensive and Representative Input
<https://www.fda.gov/downloads/Drugs/GuidanceComplianceRegulatoryInformation/Guidances/UCM610442.pdf>

¹¹ 日本における倫理的連携のためのコンセンサス・フレームワーク

<http://mcprinciples.org/CMFiles/MS%20Ethical%20Collaborations/JapanConsensusFramework-final-signed.pdf#search='%E6%97%A5%E6%9C%AC%E3%81%AB%E3%81%8A%E3%81%91%E3%82%8B%E3%82%B3%E3%83%B3%E3%82%BB%E3%83%B3%E3%82%B5%E3%82%B9%E3%83%BB%E3%83%95%E3%83%AC%E3%83%BC>

¹² 製薬協ホームページ. 患者さんとともに. 患者団体検索

http://www.jpma.or.jp/patient/patient_link/