

日本製薬工業協会
「患者の声を活かした医薬品開発」シンポジウム
2023.7.11.

医薬品への患者・市民参画：課題と展望

武藤 香織

東京大学医科学研究所附属ヒトゲノム解析センター
公共政策研究分野



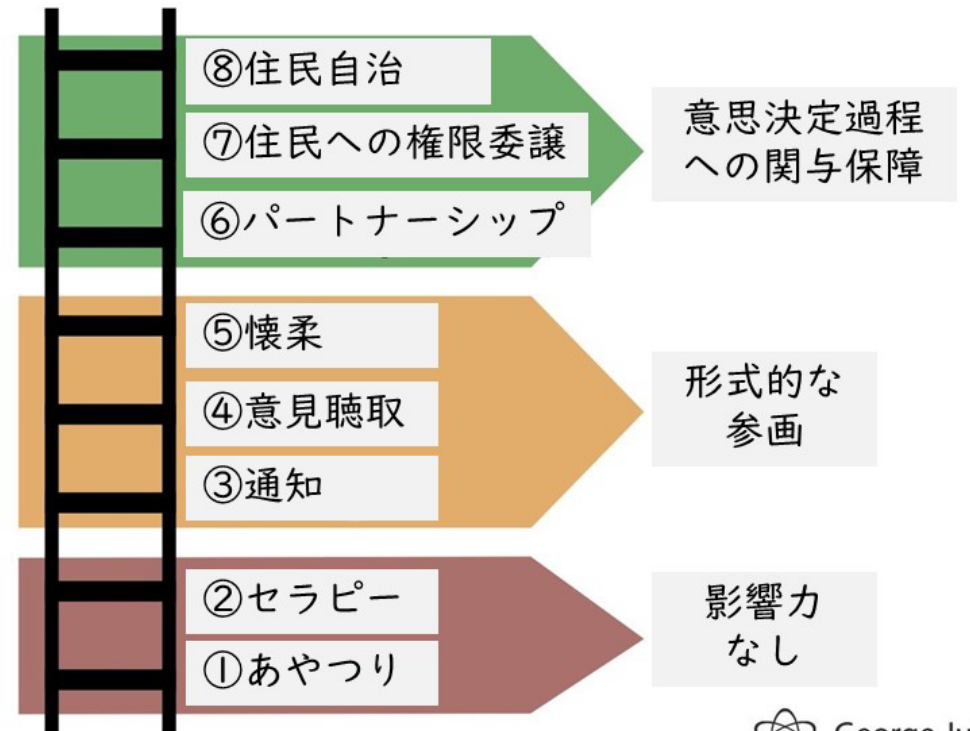
患者・市民参画とは何か？

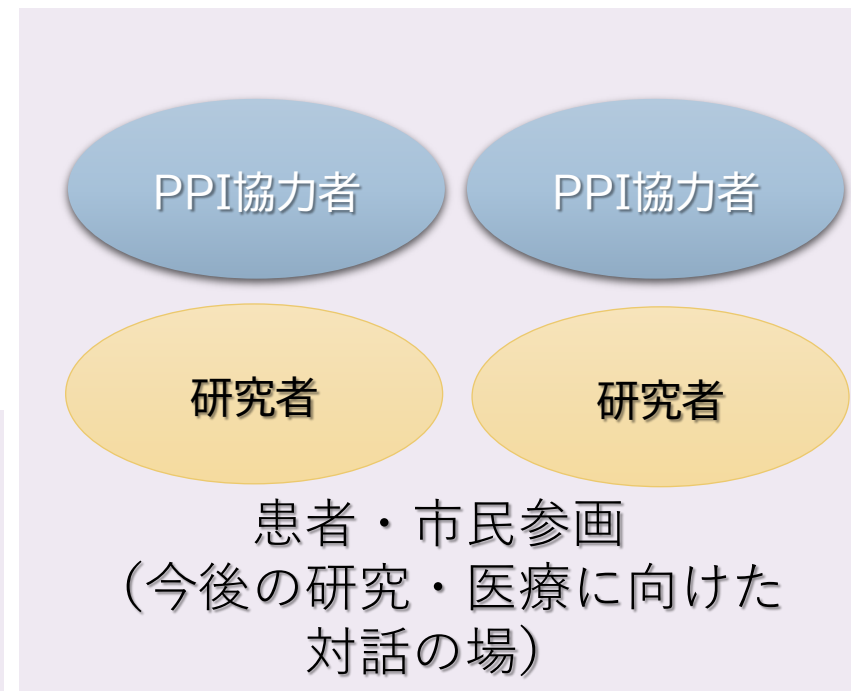
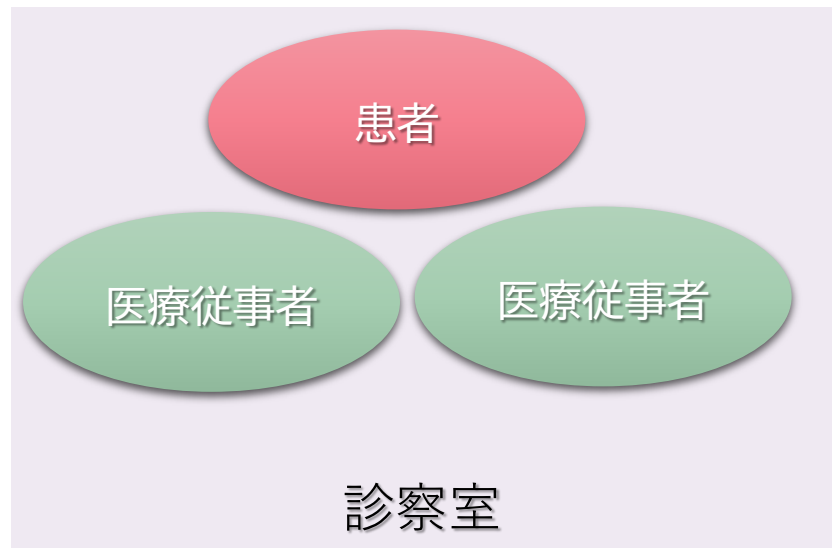
患者・市民参画の根源的な価値

- 起源は、住民による政策への関与のあり方に関する議論
- 科学技術政策など様々な分野で展開
- 2000年代以降、従来、臨床医や研究者、企業が独占的に主導してきた研究開発の領域に、患者・市民の立場から影響を与えることに民主主義的な価値を見いだす施策が展開



市民参加の8つのはしご (1969 アーンシュタイン)





研究に患者・市民の視点を入れる意義

専門家によるベネフィット評価

+ **患者によるベネフィット予想**

専門家によるリスク評価

+ **患者によるリスク予想**

専門家の過大・過小評価に対して、

患者による調整・是正が期待できる

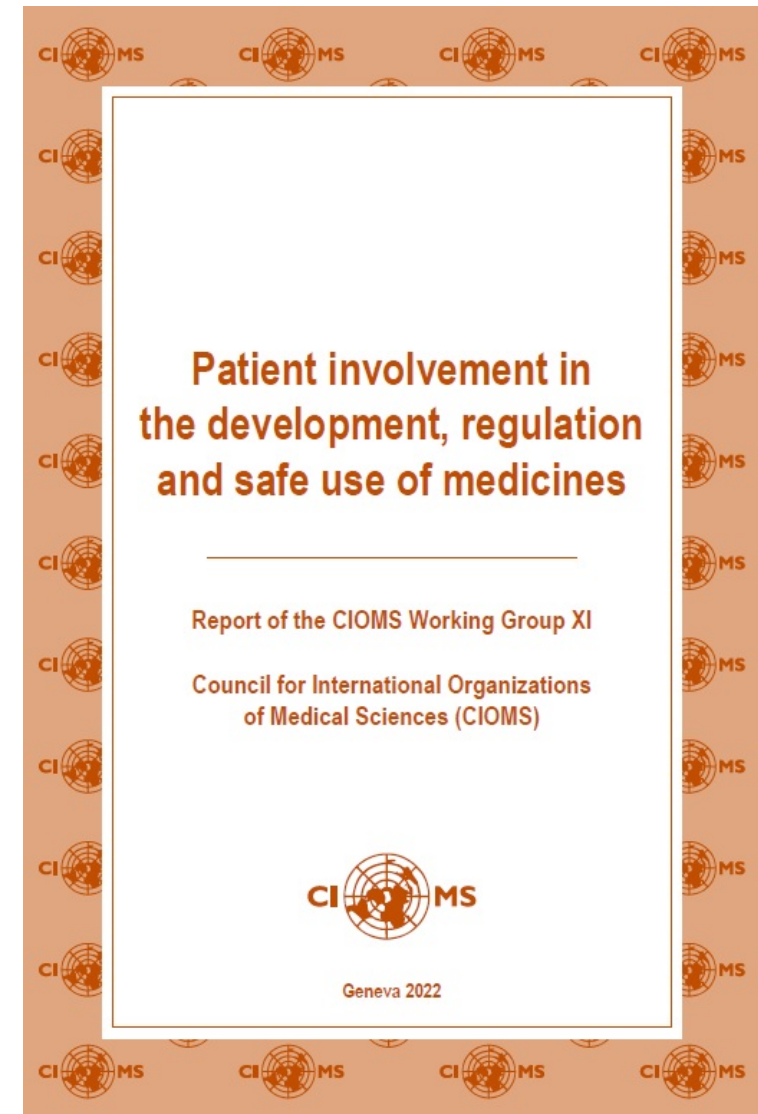
そして、患者にとってよりよい医療や研究を確立できるのではないか？

CIOMS 『医薬品の開発、規制、安全な使用への患者参画』（2022）

- ◎ 2018年4月に始動したWorking Group XI - Patient Involvementが中心に
 - 患者団体、産業界、規制当局、アカデミア、世界医師会からのメンバーが参加し、実践的なpoints to considerを練り上げ、ガイダンス発行によって現在の状況・取組みや今後の課題等を示す
 - 患者の視点を最適に考慮することは、安全かつ有効な医薬品の使用につながり、それゆえ個人と公衆の健康増進にもつながる、との信念を共有



<https://cioms.ch/publications/product/patient-involvement/>

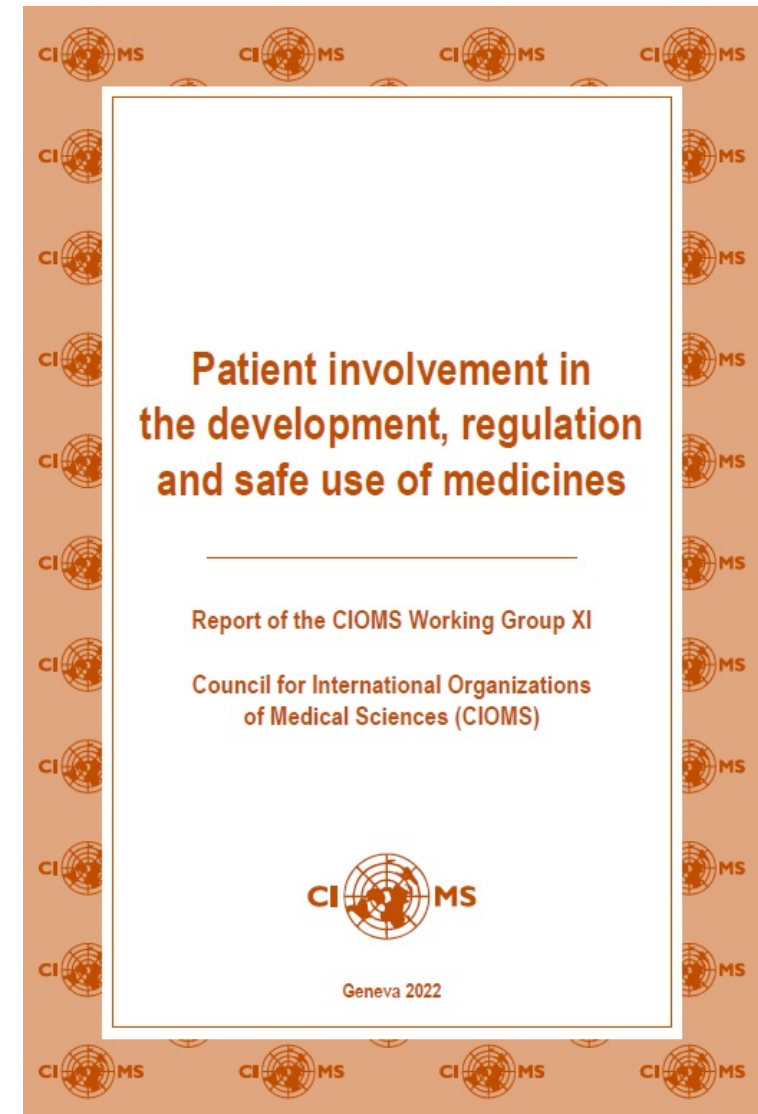


CIOMS 『医薬品の開発、規制、安全な使用への患者参画』（2022）

- 医薬品の開発早期から規制過程、継続的なモニタリング、日常医療における安全な使用まで、医薬品のライフサイクルを通じて、体系的に患者を参画させる重要性を指摘
 - 患者：患者団体、患者の家族、患者の介護者、様々なフォーラムにおける患者の代表者などが含まれる
 - 参画：患者と他の利害関係者との積極的かつ協力的な相互作用。患者独自の視点、経験、価値、専門性を認識し、パートナーとして患者の貢献による意思決定が導かれる。医薬品の開発、規制、安全かつ効果的な使用に患者の声を加えることを意味する



<https://cioms.ch/publications/product/patient-involvement/>



推奨されている研究への患者・市民参画の定義

- ◎ The active, meaningful, and collaborative interaction between patients and researchers across all stages of the research process, where research decision making is guided by patients' contributions as partners, recognizing their specific experiences, values, and expertise.
- ◎ 研究プロセスのすべての段階における、積極的で、意義のある、協力的な患者と研究者の相互作用であり、互いの特有の経験、価値観、専門性を認識しながら、パートナーとしての患者の貢献によって研究の意思決定が導かれること



Harrington RL et al. Defining Patient Engagement in Research : Results of a Systematic Review and Analysis: Report of the ISPOR Patient-Centered Special Interest Group. Value in Health. 23(6): 677-688, 2020.

日本での患者・市民参画（PPI）の定義

- ◎日本医療研究開発機構（AMED）における患者・市民参画（Patient and public involvement）の定義（2019）
 - 「医学研究・臨床試験プロセスの一環として、研究者が患者・市民の知見を参考にすること」
 - 「患者・市民」とは「患者、家族、元患者（サバイバー）、未来の患者を想定」
- ◎医薬品医療機器総合機構（PMDA）が示した「患者参画」の定義（2021）
 - 「患者等の声を把握、理解し、業務に活用すること」

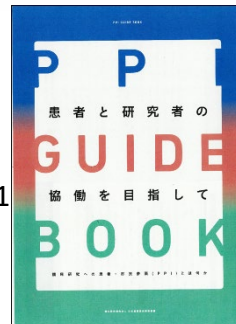
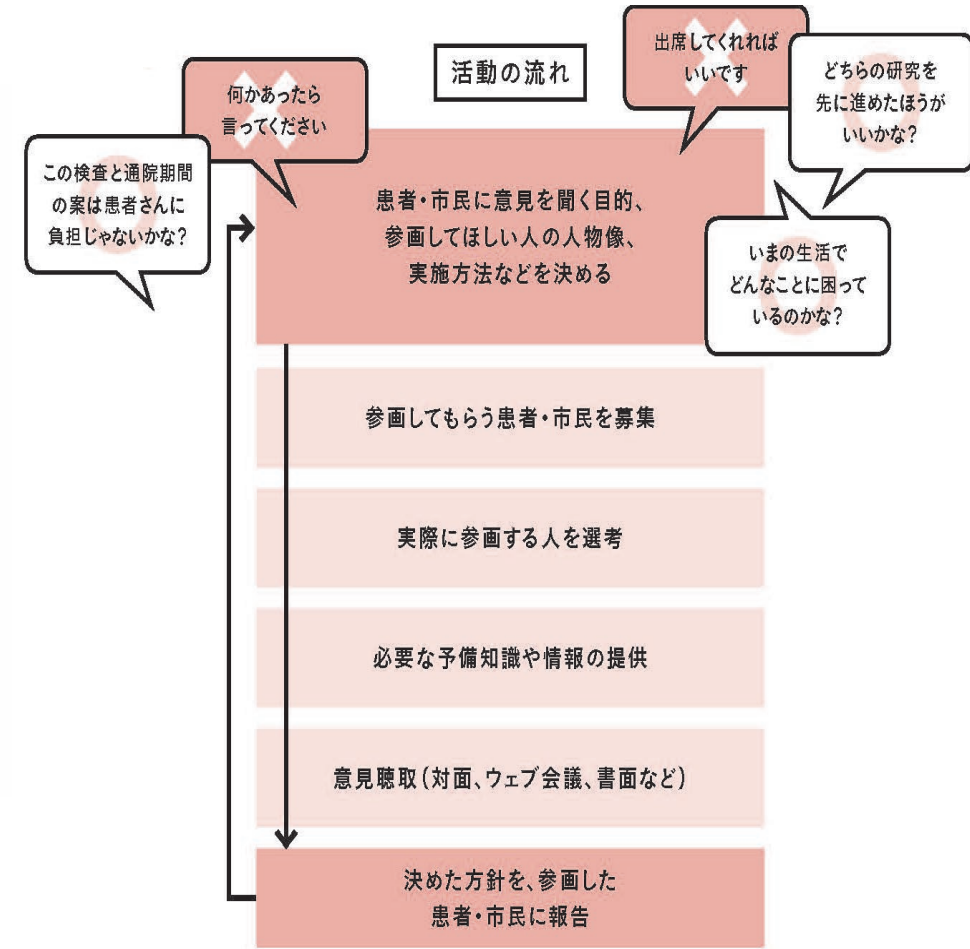
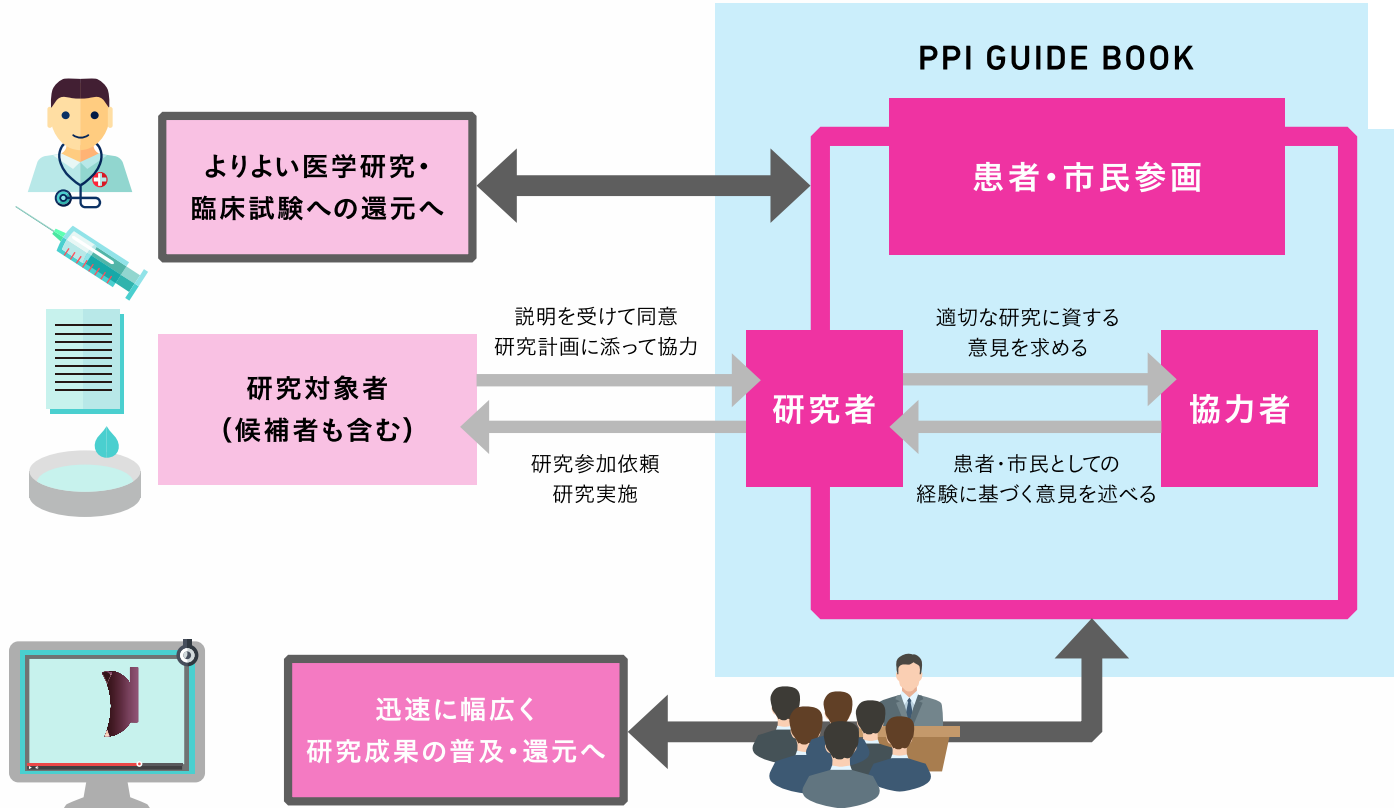
→参画や協働のニュアンスが控えめな定義

→倫理指針などでは位置づけられていない



患者・市民参画の位置づけ

患者・市民参画は、医学研究・臨床試験の現場がよりよいものとなること、またその成果が社会によりよい形で普及・還元されることに寄与します。



患者・市民参画に向けた課題

患者さんから お聞きする意見

- 「治験に関する知識がないので自信がない」
→学ぶ場の必要性。でもプロじゃないので不要。
必要なのは、患者体験を生かした客観的な助言
- 「急かされて協力したが、その後どうなったのか、フィードバックがない」
→信頼感の欠如、被搾取感
- 「何のために自分がいるかわからない」
→有意味性の欠如、形骸化

研究者・企業から お聞きする意見

- 「適切な人材がどこにいるかわからない」
- 「いつも同じ人が出てくる」
→人材マッチングの場の必要性。
- 「患者の意見を聞く意味がわからない」
→患者・市民の知見への信頼感の欠如
- 「コストに見合う成果があるのか」
→科学の民主化の進展、責任ある研究とイノベーション（RRI）の方向性が理解されていない
- 「患者に要望されても応えられない」
→患者が陳情する場ではない。趣旨を理解しない患者が関わらないよう、選考過程を大切に。



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

患者と研究者の協働を目指して 患者・市民参画(PPI)ガイドブック) (2019)

<https://www.amed.go.jp/ppi/>

PPIガイドブック以降の取り組み

「はじめての『研究への患者・市民参画』」

- ◎研究への患者・市民参画（PPI）に関するe-learning（疾患横断的、研究領域問わず）
- ◎対象：初めてPPIを学ぶ方
- ◎目的：研究へのPPIの理念から実践まで、基本的な知識を得る
- ◎教材の特徴：
 - どなたでも受講でき、自分のペースで教材を見られる
 - 身軽でメンテナンスが容易なスタイル：スライド＋音声で、1教材15分程度
 - 研究開発の専門用語については「理解する」より「慣れる」を重視
 - テストを受けて、一定の成績の人に修了証を発行
 - 患者・市民の査読を受けた教材づくり
 - 藤澤空見子、河田純一、木矢幸孝、武藤香織（東大医科研）が担当



「はじめての『研究への患者・市民参画』」

◎研究者や製薬企業が行うPPI活動

- 協力する患者・市民の予習用の資料として活用
- 協力する患者・市民の応募条件として活用（修了証）
- PPI人材を登録する場合の基準の一つに

◎患者会や市民団体の活動

- 自主的な学習会の教材として活用

◎PPIを初めて知る研究者や行政・医療関係者も活用可能



完成した第一弾教材の一覧

	教材名	確認テスト予定
1	PPIとは何か	○
2	PPIのルール① 基本的な留意点	○
3	PPIのルール② ちょっと複雑な留意点	○
4	PPIでのコミュニケーション	○
5	研究とは何か① 診療と研究の違い	○
6	研究とは何か② 研究の長い道のり	○
7	実践のヒント～IC（インフォームド・コンセント）のPPI～	○
8	患者・市民参画の10か条	

難題への挑戦 ～緩和医療での参画、小児患者の参画

生命を脅かされる状態の 人々の参画を促進

- ◎自分の緩和医療・ケアに関する患者自身の意思決定ではない
- ◎他の領域と原則の違いはない (Chambers et al. 2019)
- ◎緩和医療・ケアへの患者・市民参画の留意点 (Johnson et al. 2020)
 - 機微的な話題に触れる際の感情的なサポートに配慮した安全な環境と信頼関係の構築・維持
 - 複雑で予測不可能な状況にある人々と柔軟に協働する能力
 - 研究対象である健康状態やサービスに関連した生活経験を持つ個人を選択すること



Department of
Public Policy
IMSUT

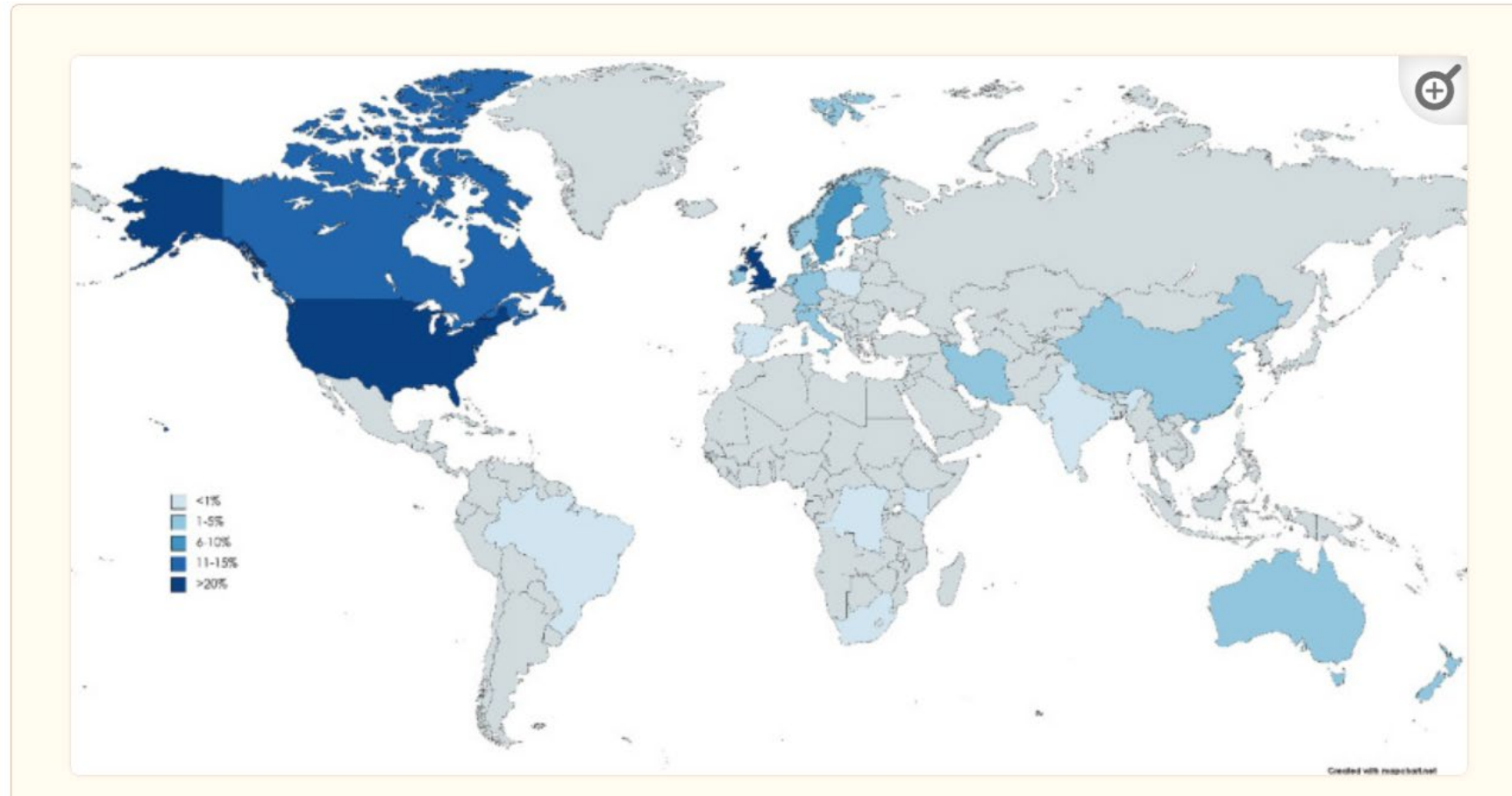
Public involvement principles



緩和ケアおよび終末期ケア研究に参画する利点と障壁、参画を促進するための提言 (Chatland et al. 2023)

利点(肯定的側面)	障壁(否定的側面)	留意点
利他主義 <ul style="list-style-type: none">• 他の患者や介護者のための改善• 意識の向上• 変化を提唱する• 医療従事者の理解を深める	<ul style="list-style-type: none">• 状況に圧倒されると感じる患者から焦点をそらすような参画は、自分には無関係と考えること• 実務的な障壁	コミュニケーション <ul style="list-style-type: none">• 研究の目的と要件を明確に• 研究結果の要約を提供• 協力者を尊重し、傾聴• 口調や言葉遣いに配慮
自己への利益 <ul style="list-style-type: none">• 感情的な洞察とサポート• サポートを受け、安心する• 希望が持てる• 自立した相談相手ができる• 介護の役割の再確認• 日々に役立つ示唆を得る	<ul style="list-style-type: none">• 患者であることを思い出す• 満たされないニーズへの失望• 自分への失望	参加者の視点から研究者の役割を理解する視点 <ul style="list-style-type: none">• 可能であれば、参加者が利用できる地域のサービスについて追加情報を提供• 可能であれば、データ収集の時期や方法について柔軟に対応

小児患者の参画を含む論文の割合 (N=288報)



臨床ケア (81%)、研究 (10%)、ツール開発 (9%)

Teela L et al. J Patient Rep Outcomes. doi: 10.1186/s41687-023-00566-y. 2023.

小児患者が参画した事例

◎臨床ケア

- 医療過誤の開示に関する小児患者の見解の確認
- 術後の疼痛や疼痛管理に関する小児患者の経験の確認
- がん治療の意思決定過程への小児患者自身の関わり方の確認

◎研究

- 小児患者が研究に参加する理由や参加しない理由
- 小児患者の意思決定に影響を及ぼす要因
- 慢性疾患の小児を共同研究者とする参加型研究アプローチ
- 慢性疾患の小児患者に研究の優先事項を確認

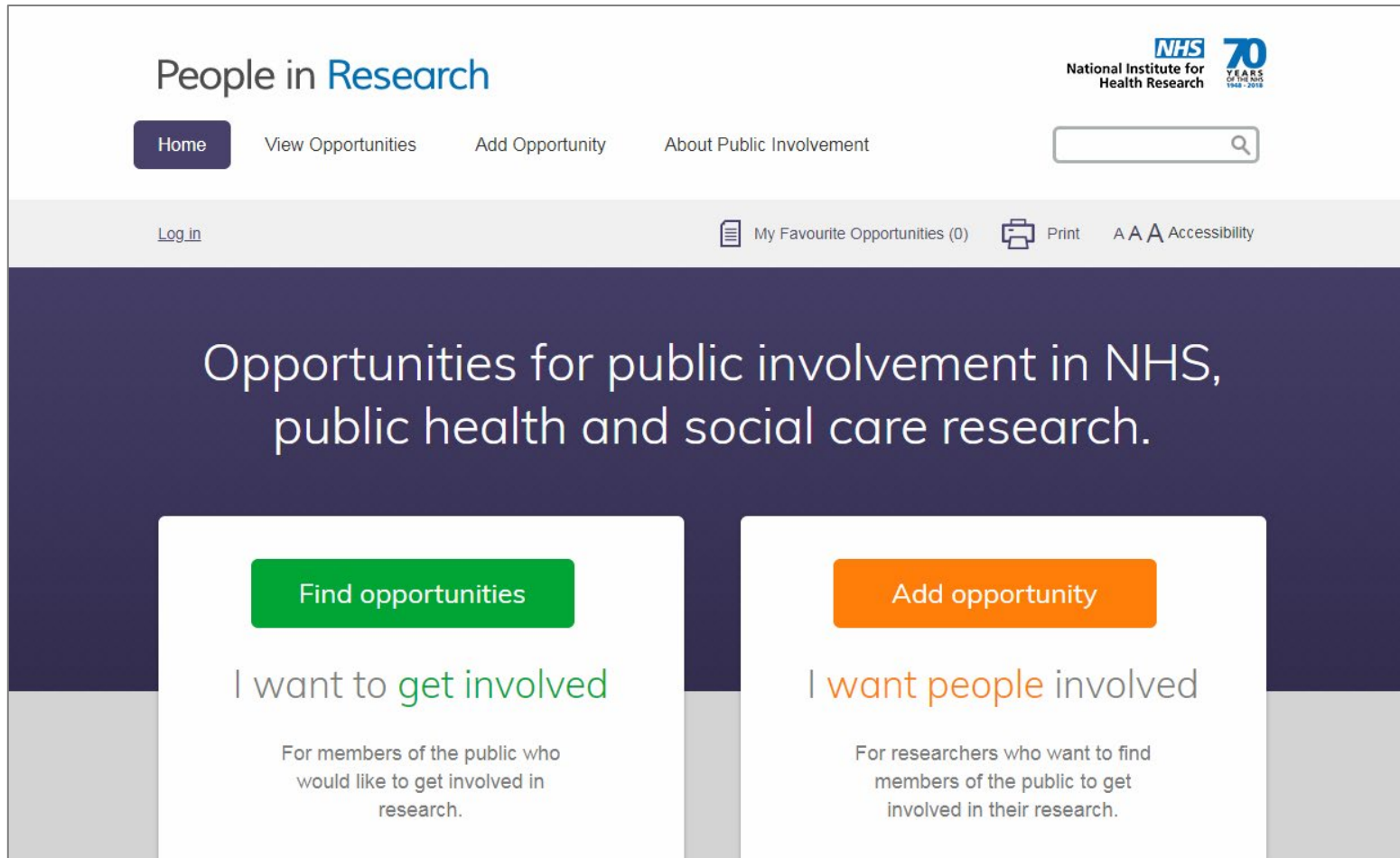
◎ツール開発

- 高度なケア計画のためのツールキット
- 病院での処置に備えるために小児患者に健康情報を提供する治療プラットフォーム
- アドヒアランスを高めるために開発されたスマートフォンアプリ
- 外来受診時に青少年がより積極的に関わるように動機付けるための教育ビデオ



今後の課題

参画したい人と、参画してほしい人の 出会いの場づくり



The screenshot shows the homepage of the 'People in Research' website. At the top, the title 'People in Research' is displayed in blue. To the right is the NHS 70th Anniversary logo (1948-2018) and the text 'National Institute for Health Research'. Below the title is a navigation menu with buttons for 'Home', 'View Opportunities', 'Add Opportunity', and 'About Public Involvement'. A search bar is located to the right of the menu. Below the navigation is a secondary menu with 'Log in', 'My Favourite Opportunities (0)', 'Print', and 'Accessibility'. The main content area has a dark blue background with the text 'Opportunities for public involvement in NHS, public health and social care research.' Below this are two white boxes. The left box has a green button 'Find opportunities' and the text 'I want to get involved' followed by 'For members of the public who would like to get involved in research.' The right box has an orange button 'Add opportunity' and the text 'I want people involved' followed by 'For researchers who want to find members of the public to get involved in their research.'



<https://www.peopleinresearch.org/>

PPIの評価の考え方 [Staley and Barron 2019]

インパクトの評価

◎ 研究者自身がPPIによって得られた気づきや発見が、研究にどの程度の影響を与えたかが最も重視されるべき

◎ 評価主体：PPIに携わった者（研究者、患者・市民等）

- 研究者自身も、患者・市民と対峙するまでは、「自分が何を知らないのか、わかっていない」状態にあり、「他者と対峙して初めて気付いたこと」は、彼ら自身にしか説明できない
- 定性的な項目：PPIの過程に対する満足度、患者・市民の参画により自分に／研究に／医療にどんな影響があったか、等
- 定量的な項目：リクルートした人数、同意撤回率など



研究倫理指針において考え得ること（試案）

- 研究機関の長は、研究者や倫理審査委員が患者・市民参画の意義や評価に関する研修を受ける機会を確保すること
- 研究者等は、自身の研究における患者・市民参画の必要性を一度は考慮すること。参画を求めない場合には、その理由を述べられるようにすること
- 参画を希望する患者の選考においては、必要な教育研修を受け、利益相反管理や守秘義務の誓約などを遵守させること
- 倫理審査委員会は、当該の研究計画での患者・市民参画についても確認すること（特に一般の立場の委員）
 - 「生命科学・医学系研究に関する知識を十分に有しているとは限らない研究対象者の視点から、研究の内容を踏まえた同意説明文書等の内容が一般的に理解できる内容であるか等、客観的な意見が言える立場」

謝辞



- ◎東島 仁さん（千葉大学）
- ◎中田はる佳さん（国立がん研究センター）
- ◎岩崎 甫さん（PPI Japan）
- ◎三木 敏さん（PPI Japan）
- ◎桜井なおみさん（CSRプロジェクト）
- ◎西村由希子さん（ASrid）
- ◎江本 駿さん（ASrid）
- ◎勝井恵子さん（AMED）
- ◎藤澤空見子さん（東京大学）
- ◎木矢幸孝さん（東京大学）
- ◎河田純一さん（東京大学）