



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

# 「患者の声を活かした医薬品開発」について - 規制当局の立場から -

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA)

新薬審査第一部

(新薬審査第四部・五部、医療機器審査第二部併任)

手塚 瞬

2023年7月11日 (火) 「患者の声を活かした医薬品開発」シンポジウム

# 自己紹介



独立行政法人  
医薬品医療機器総合機構

## <学歴>

- 2009年 金沢大学医学部医学科卒業
- 2019年 横浜市立大学医学研究科医科学専攻修了

## <職歴>

- 2009年 横浜市立大学附属市民総合医療センター（初期研修）
- 2011年 藤沢市民病院消化器内科
- 2015年 神奈川県立がんセンター消化器内科肝胆膵
- 2017年 横浜市立大学附属市民総合医療センター消化器病センター内科
- 2018年 PMDA新薬審査第五部（出向）
- 2020年 神奈川県立がんセンター消化器内科肝胆膵
- 2022年 PMDA新薬審査第一部（新薬審査第四部・第五部、医療機器審査第二部併任）（プロパー）  
（※週1回金曜に神奈川県立がんセンターで非常勤医師として臨床の研修日あり）・・・現在に至る

<PMDA内での部横断的な活動> 患者参画検討WG, オーフアン（希少疾病用）医薬品WG,

Backboneは、  
肝胆膵の癌を専門とする  
消化器内科医です。

はじめに・・・



独立行政法人  
医薬品医療機器総合機構

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。

1

PMDAのこれまでの取組み

2

欧米規制当局の取組み

3

今後の展望と課題（個人的見解を含め）

1

PMDAのこれまでの取組み

2

欧米規制当局の取組み

3

今後の展望と課題

# PMDA（医薬品医療機器総合機構）とは・・・

## ● 厚生労働省管轄の独立行政法人

- 優れた医薬品，医療機器，再生医療等製品等を，より早く提供するために迅速かつ公正な承認審査を行っている。
- 独立行政法人であることにより，自主性及び自律性が担保され，リスクベネフィットバランスの評価についてのサイエンス（レギュラトリーサイエンス）に基づく審査が可能となっている。

品質、有効性及び安全性を担保

トライアングルの中心は国民  
"Patient Centricity"



世界に例がない日本独自のトライアングル

PMDAの業務の3本柱（セーフティ・トライアングル）

4F（First）の実現に向けて

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

PMDAの実現目標（2019年～）

# 患者の声を活かすための行政の取組み

## ● 薬剤（未承認薬・適応外薬）へのアクセス

2005年 「未承認薬使用問題検討会議」の設置

▼ 発展的解消

2010年 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の設置  
欧米等で使用が認められているものの、国内で承認されていない医薬品等について、  
要望に基づく検討を行う：学会だけではなく患者団体や個人からの要望も対象

2016年 「人道的見地から実施される治験（拡大治験）」及び  
「患者申出療養」の制度の設立

# 患者の声を活かすための行政の取組み

## ● 研究における患者参画の促進

2017年 医療分野研究開発推進計画（内閣健康・医療戦略推進本部）

「立案段階から被験者や患者の参画を促進」

2017年 第3期がん対策推進基本計画

「患者，がん研究者の参画によってがん研究を推進」

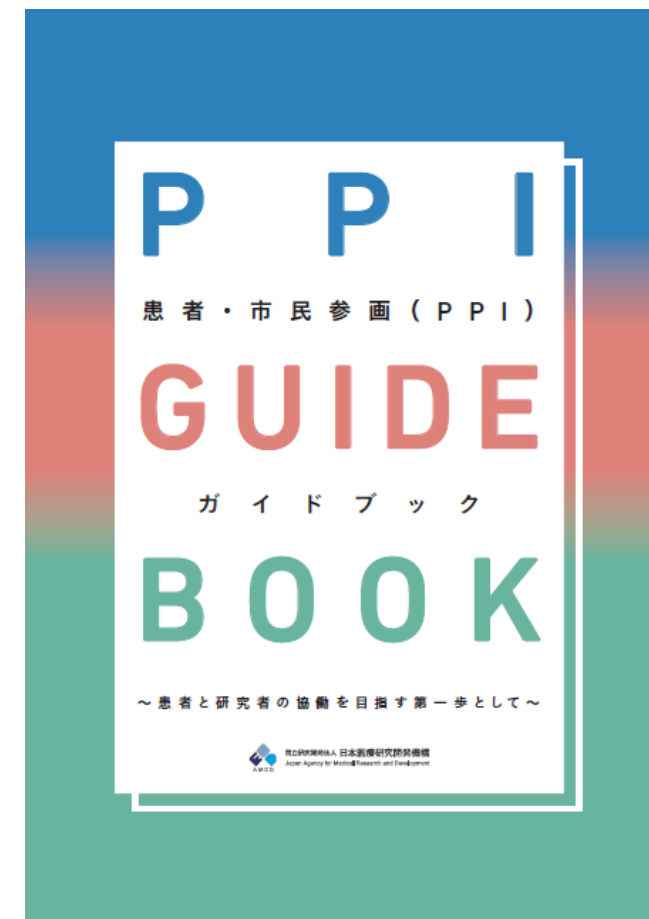


<AMED>

✓ 「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～」発行（2019年3月）

✓ 2019年度から，研究開発提案書にPPIについての記載を求めている。





# 患者の声を活かすためのPMDAの取組み（-2018）



独立行政法人  
医薬品医療機器総合機構

## 2018年の製薬協による報告書より

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。

- 2018年まで、患者参画及び市民参画を明言した活動はほぼなかった。
- ただし、業務の性質もあり、安全や救済といった部門は既に患者中心の視点で整備されていた。

# PMDAにおける安全・救済の取組み

## <患者向け情報提供>

- ✓ 患者向医薬品ガイド（2005-）
- ✓ 重篤副作用疾患別対応マニュアル（2005-）
- ✓ イエローレター，ブルーレター
- ✓ その他，患者向け情報提供（適正使用のお願い等）

## <患者からの情報提供及び相談>

- ✓ 患者副作用報告制度（試行を経て2019-）
- ✓ 医薬品副作用被害救済制度相談窓口
- ✓ 患者・一般の方からの相談窓口
- ✓ その他，要望受付等

- ✓ PMDAの中で患者さんと直接関わっている部門の一つが救済。
- ✓ 救済業務の委員会には、患者団体での養成講座を修了した方も委員として参加

## PMDAの救済部門についての論説

> [Lancet](#). 2021 May 8;397(10286):1707-1708. doi: 10.1016/S0140-6736(21)00784-4.

### **No-fault compensation schemes for COVID-19 medical products**

[Yasuhiro Fujiwara](#)<sup>1</sup>, [Yutaka Onda](#)<sup>2</sup>, [Shuichiro Hayashi](#)<sup>3</sup>

Affiliations + expand

PMID: 33965083 PMCID: [PMC8102048](#) DOI: [10.1016/S0140-6736\(21\)00784-4](#)

## PMDAのホームページでの窓口

### <患者からの情報提供及び相談>

- ✓ 患者副作用報告制度
- ✓ **医薬品副作用被害救済制度相談窓口**
- ✓ 患者・一般の方からの相談窓口
- ✓ その他, 要望受付等

# 患者の声を活かすためのPMDAの取組み（2019-）

## 患者参画検討WG発足（2019年5月）

### 活動目的

医薬品の開発や安全対策について、患者さんの視点による課題をPMDAで共有し、患者とPMDAとで相互にコミュニケーションを図るためのPMDAの取組みを検討する。

### 活動内容

患者団体との  
意見交換の  
あり方の検討、  
意見交換の実施

ガイダンス作成

患者向け広報や  
窓口の設置の  
あり方の検討



患者団体との意見交換の一例  
認定NPO法人ささえあい医療人権センター  
(COML) における意見交換

# 患者の声を活かすためのPMDAの取組み（2019-）

## PMDA患者参画ガイダンス（2021年9月公表）

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として作成（PMDAにおける患者参画の姿勢を示した）

### <基本的方針>

#### 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

#### 患者へのアウトプット

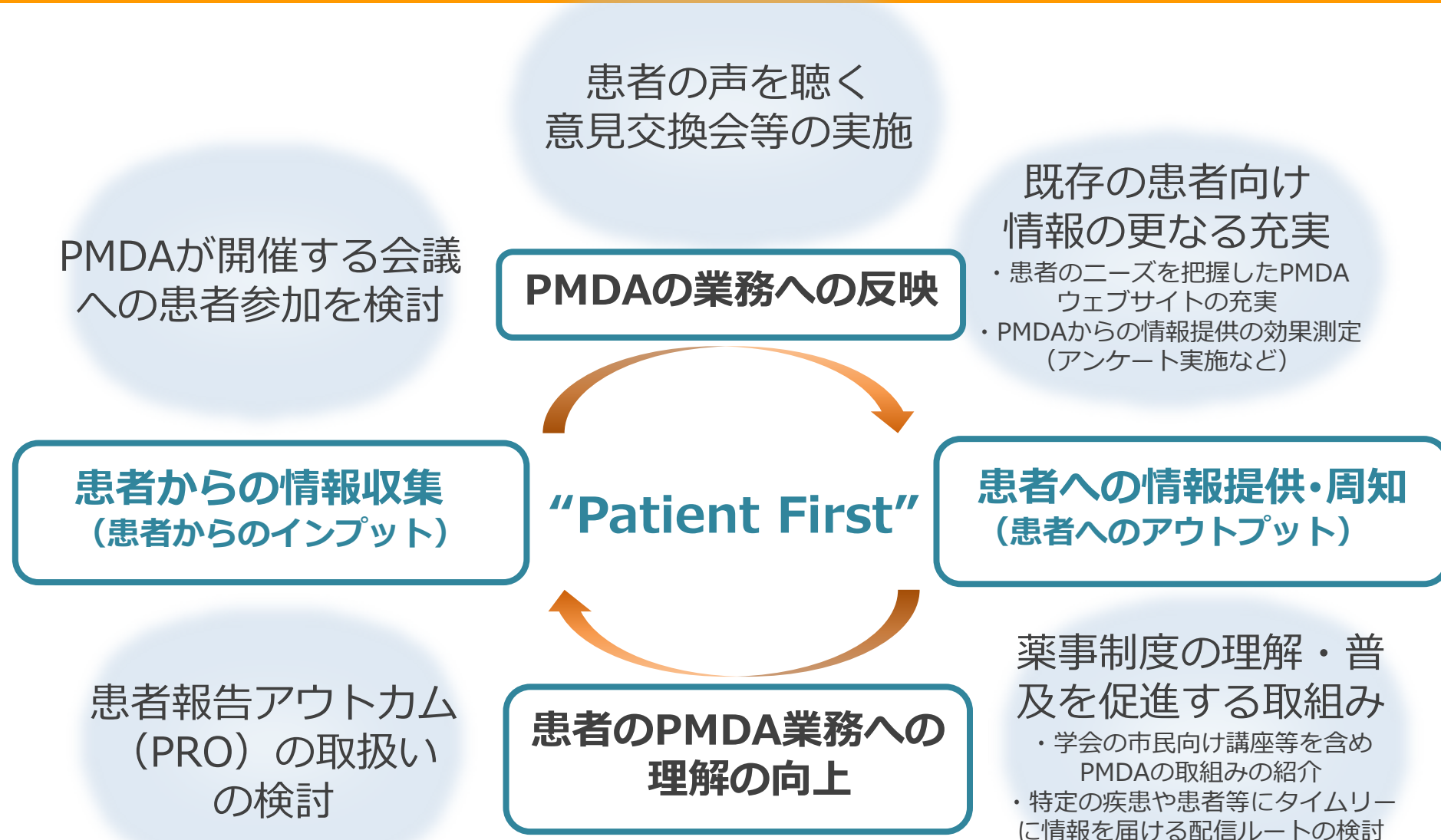
患者等からのより効果的な情報収集が可能となるよう、患者等向け情報提供の充実に努め、PMDAの業務及び薬事行政に対する理解を深める

#### 双方による

#### 患者参画の推進



# PMDA患者参画ガイダンスの目指す患者参画



# 課題解決のために必要な取組みを検討・実施中

厚生労働省薬事・食品衛生審議会薬事分科会, PMDA運営評議会等への参加.

PMDAが開催する会議への患者参加を検討

**患者からの情報収集**  
(患者からのインプット)

治験相談において、患者自身の治療の満足度を副次評価項目に追加することを提案したりも。

患者報告アウトカム (PRO) の取扱いの検討

患者の声を聴く  
意見交換会等の実施

**PMDAの業務への反映**

**“Patient First”**

**患者のPMDA業務への理解の向上**

患者会と連携した資材の作成.

既存の患者向け情報の更なる充実

- ・患者のニーズを把握したPMDAウェブサイトの充実
- ・PMDAからの情報提供の効果測定 (アンケート実施など)

**患者への情報提供・周知**  
(患者へのアウトプット)

薬事制度の理解・普及を促進する取組み

- ・学会の市民向け講座等を含めPMDAの取組みの紹介
- ・特定の疾患や患者等にタイムリーに情報を届ける配信ルートを検討



1

PMDAのこれまでの取組み

2

欧米規制当局の取組み

3

今後の展望と課題



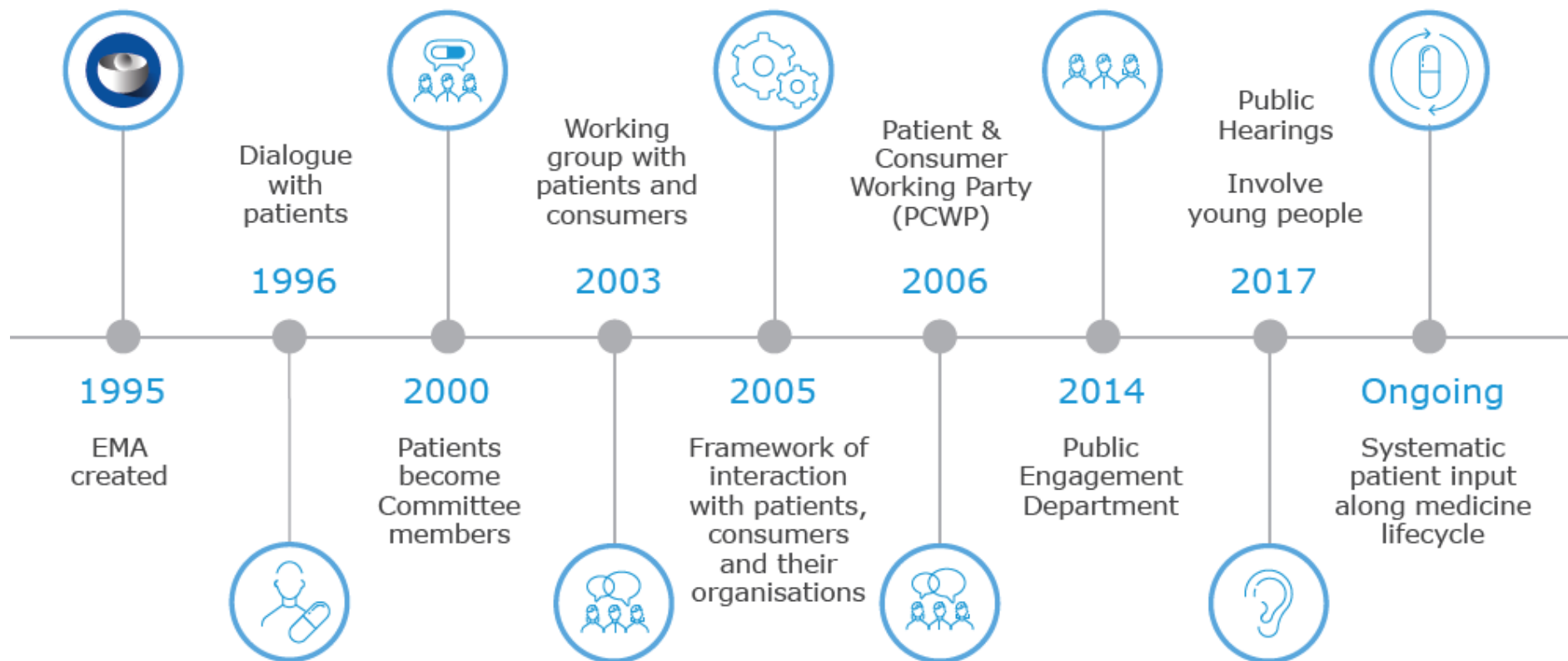
患者・市民  
参画については  
欧米が先行

<注目点>

- 意見を取り入れるためのプラットフォームづくり
- トレーニングプログラムの有無



# 患者参画・市民参画におけるEMAの取組み



1996年 HIV感染者の要望でEMA代表者が患者と対話 **(取組みの契機)**

2000年 Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) への患者参画

2003年 患者とのワーキンググループ設立

2006年 **“Patients and Consumers Working Party (PCWP)”**設立 **(取組みの活発化)**

## PCWP -Patients and Consumers Working Party-

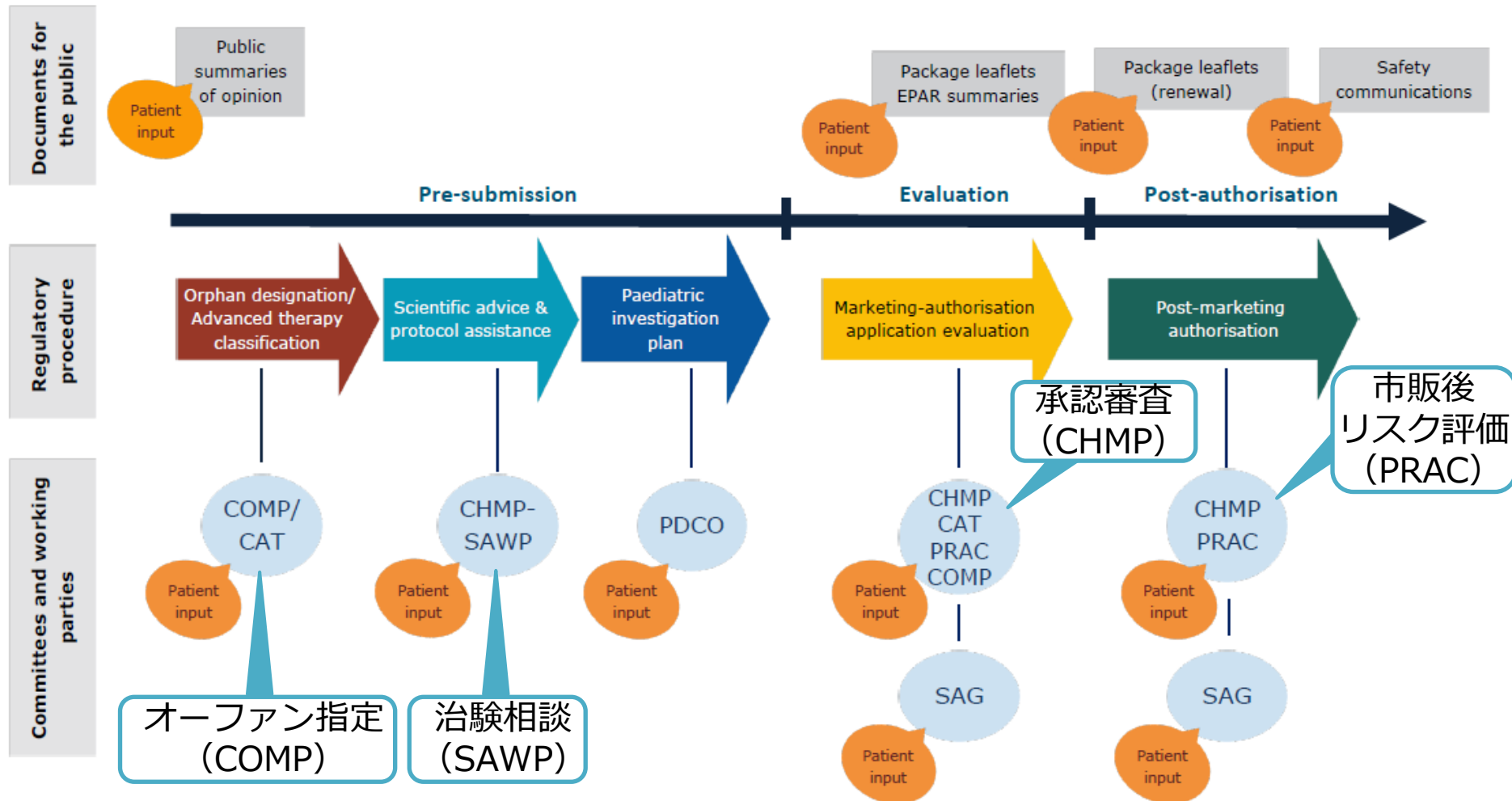
- 2006年設立, EMAと患者団体等との意見交換のためのプラットフォーム.
- 適格基準を満たす患者団体等の代表者が参加 (30人で構成, 任期3年) .
- Healthcare Professionals' Working Party (HCPWP) (EMAと医療従事者との意見交換のための組織) とともに議論を行っている.



Photo credit: Roberto De Lisa (EMA)

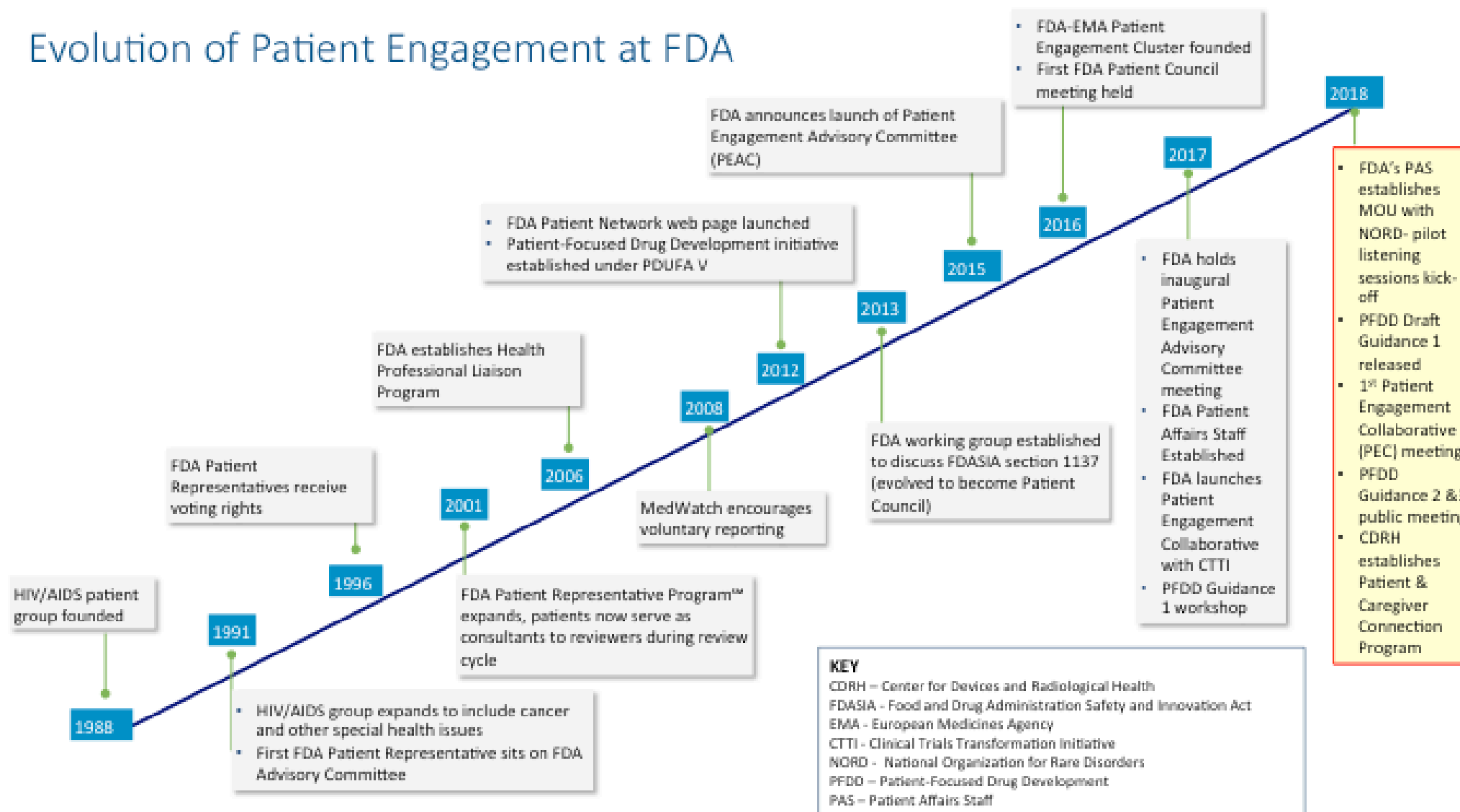
# 患者参画・市民参画におけるEMAの取組み

医薬品の開発段階、承認審査、市販後の全過程で、患者の声を取り入れることが可能。



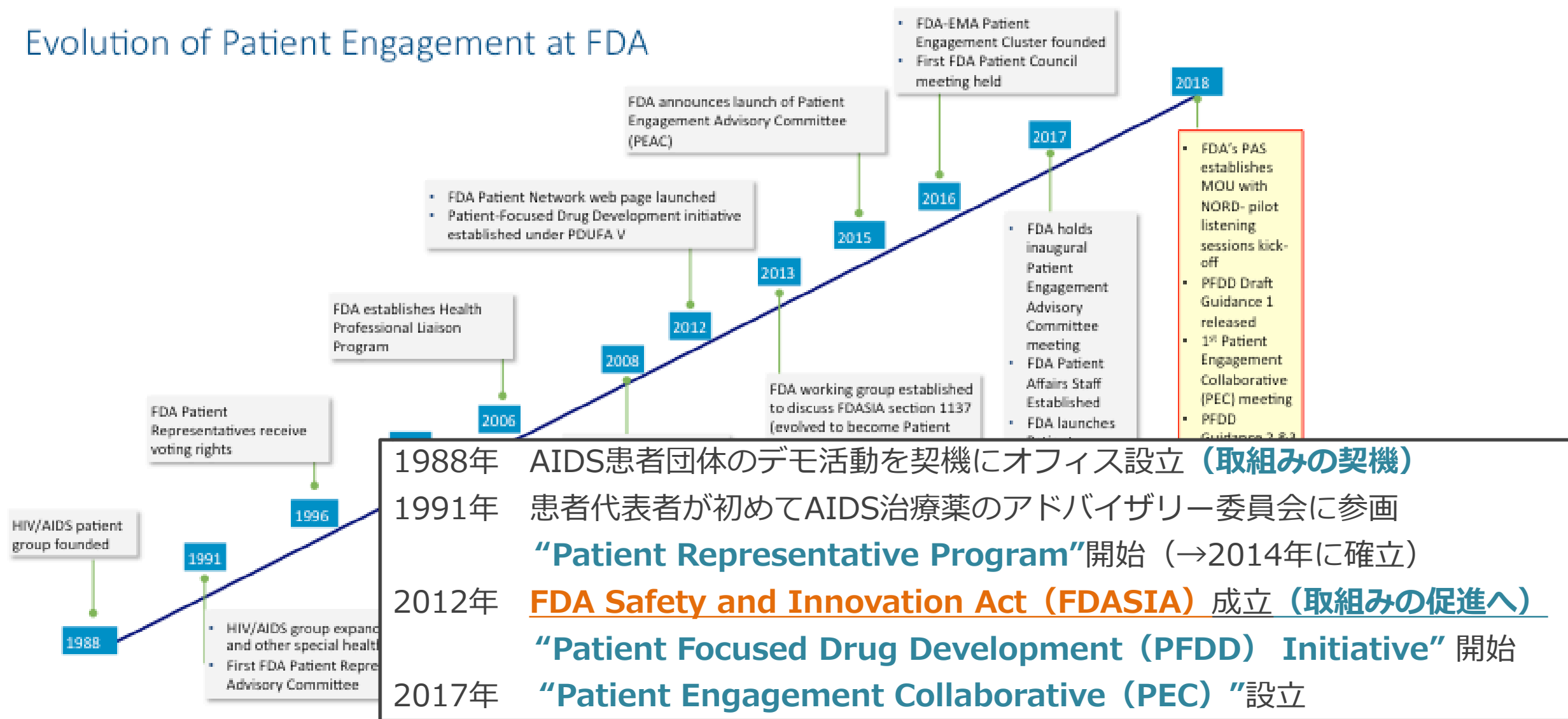
# 患者参画・市民参画におけるFDAの取組み

## Evolution of Patient Engagement at FDA



# 患者参画・市民参画におけるFDAの取組み

## Evolution of Patient Engagement at FDA



1988年 AIDS患者団体のデモ活動を契機にオフィス設立 (取組みの契機)

1991年 患者代表者が初めてAIDS治療薬のアドバイザリー委員会に参画  
“Patient Representative Program”開始 (→2014年に確立)

2012年 FDA Safety and Innovation Act (FDASIA) 成立 (取組みの促進へ)  
“Patient Focused Drug Development (PFDD) Initiative” 開始

2017年 “Patient Engagement Collaborative (PEC)” 設立

## Patient Representative Program

- 1991年に開始され, 2014年に確立したプログラム（患者代表プログラム）。
- 非常勤の特別公務員の立場。
- **承認審査や意見陳述のためのトレーニングの機会**が与えられる。

### <役割>

- ① 諮問委員会での意見陳述
- ② 事前審査担当者の相談役
- ③ FDA主催のワークショップの演者

### About the FDA Patient Representative Program

[f Share](#) [t Tweet](#) [in LinkedIn](#) [✉ Email](#) [🖨 Print](#)

The FDA Patient Representative Program<sup>®</sup> is the agency's flagship program that offers patients and caregivers the opportunity to provide critical advice to the agency as it regulates medical products—drugs, biologics, and devices.

## Patient Focused Drug Development (PFDD) Initiative

- 体系的に患者の経験，視点，ニーズ，及びプライオリティを医薬品の開発や承認審査に取り入れることを目的に，患者，アカデミア，医療従事者，企業，規制当局等のステークホルダーが参加する医薬品開発会議（PFDD meeting）を疾患別に不定期開催。
- 2013年開始、2018年までに26疾患について会合を開催。
- 患者からの情報収集方法に関するPFDDガイドンスの作成が進行中。

開催年	現在までにPFDD meetingが開催された疾患（領域）
2013	慢性疲労症候群／筋性脳脊髄炎、HIV、肺癌、ナルコレプシー
2014	鎌状赤血球症、線維筋痛症、肺動脈性肺高血圧症、先天代謝異常症の神経学的兆候、遺伝性出血性疾患（血友病A&B、フォンウィルブランド病等）、特発性肺線維症、女性の性的機能不全
2015	乳癌、シャーガス病、機能性胃腸障害、ハンチントン病、パーキンソン病、α1-アンチトリプシン欠乏症、肺非結核性抗酸菌症
2016	乾癬、末梢神経障害に伴う神経因性疼痛、臓器移植
2017	サルコペニア、自閉症、円形脱毛症、遺伝性血管性浮腫
2018	オピオイド使用障害、慢性疼痛



# 患者参画・市民参画におけるFDAの取組み



独立行政法人  
医薬品医療機器総合機構

## Patient Engagement Collaborative (PEC)

- 2017年設立
- FDAと患者等との患者参画についての定期的な意見交換のためのプラットフォーム。

### PEC establishment



In 2017, patient communities commented in [public feedback](#) to create an outside group to provide input on patient engagement across the agency. In response to that feedback and with help from patient organization representatives, the FDA and CTI established the PEC. The PEC was modeled after the European Medicines Agency's (EMA) Patients' and Consumers' Working Party. The PEC is facilitated by federal law to foster patient participation and incorporate patient experiences in the regulatory process.

### FDA Seeks Patient Insight: Call for Applications for the Patient Engagement Collaborative

Subscribe to Email Updates

Share

Tweet

LinkedIn

Email

Print



<https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement/patient-engagement-collaborative>

<https://www.fda.gov/news-events/fda-voices/fda-seeks-patient-insight-call-applications-patient-engagement-collaborative>



1

PMDAのこれまでの取組み

2

欧米規制当局の取組み

3

今後の展望と課題（個人的見解を含め）

# <再掲> 課題解決のために必要な取組みを検討・実施中



独立行政法人  
医薬品医療機器総合機構

厚生労働省薬事・食品衛生審議会薬事分科会, PMDA運営評議会等への参加.

PMDAが開催する会議への患者参加を検討

患者からの情報収集  
(患者からのインプット)

治験相談において、患者自身の治療の満足度を副次評価項目に追加することを提案したりも。

患者報告アウトカム (PRO) の取扱いの検討

患者の声を聴く  
意見交換会等の実施

PMDAの業務への反映

“Patient First”

患者のPMDA業務への理解の向上

患者会と連携した資材の作成.

既存の患者向け情報の更なる充実

- ・患者のニーズを把握したPMDAウェブサイトの充実
- ・PMDAからの情報提供の効果測定(アンケート実施など)

患者への情報提供・周知  
(患者へのアウトプット)

薬事制度の理解・普及を促進する取組み

- ・学会の市民向け講座等を含めPMDAの取組みの紹介
- ・特定の疾患や患者等にタイムリーに情報を届ける配信ルートを検討

# 患者・市民参画の段階と課題（個人的見解）

STEP  
01

認知



STEP  
02

研修



STEP  
03

参画



- 目標**
- ・多くの声を反映するためには、認知が不可欠
  - ・PMDA自体の認知
  - ・患者・市民の声が求められていることの認知

- ・個人の体験のみにとどまることなく、客観的に、集団を代表して参画できるように
- ・審査制度の概要の理解

- ・審査及び治験相談での声の反映
- ・定期的な意見交換

- 課題**
- ・産官学の中でも「官」は患者との距離が遠い
  - ・参画するモチベーションを感じにくい可能性

- 産官学で研修プログラムが複数存在することで、参画することの負担増となる可能性

- ・参画場所の検討（審査、定期的な意見交換等）
- ・審査の場合、どれくらい早いタイミング？（現在でも部会には患者団体の委員が参加）

- 行動**
- ・PMDAウェブサイトの充実
  - ・SNS等の積極的な利用
  - ・患者団体との交流，産官学の連携

- 産官学及び患者団体で研修プログラムを相互利用する検討（重複する内容の共通化等）

- まずは定期的な意見交換のプラットフォームを作ることが実現可能か（意見交換を通じて更なる患者参画の方法を検討する）

# いずれにしてもまずは認知が不可欠

STEP  
01

認知



STEP  
02

研修



STEP  
03

参画



- 目標**
- ・多くの声を反映するためには、認知が不可欠
  - ・PMDA自体の認知
  - ・患者・市民の声が求められていることの認知

- ・個人の体験のみにとどまることなく、客観的に、集団を代表して参画できるように
- ・審査制度の概要の理解

- ・審査及び治験相談での声の反映
- ・定期的な意見交換

- 課題**
- ・産官学の中でも「官」は患者との距離が遠い
  - ・参画するモチベーションを感じにくい可能性

- 産官学で研修プログラムが複数存在することで、参画することの負担増となる可能性

- ・参画場所の検討（審査、定期的な意見交換等）
- ・審査の場合、どれくらい早いタイミング？（現在でも部会には患者団体の委員が参加）

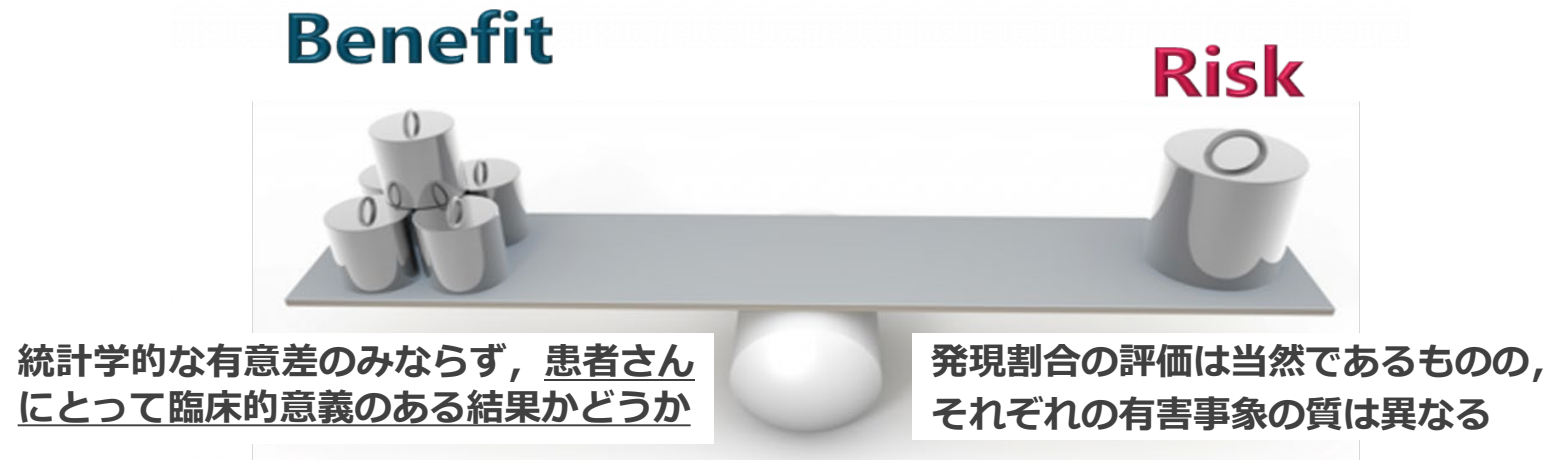
- 行動**
- ・PMDAウェブサイトの充実
  - ・SNS等の積極的な利用
  - ・患者団体との交流，産官学の連携

- 産官学及び患者団体で研修プログラムを相互利用する検討（重複する内容の共通化等）

- まずは定期的な意見交換のプラットフォームを作ることが実現可能か（意見交換を通じて更なる患者参画の方法を検討する）

# 患者・市民の声を求めています

✓ 臨床の審査はリスクベネフィットバランスの評価、数字での評価に限界がある。



✓ 治療の中心は患者（患者と医療者の関係もShared Decision Makingへ）

✓ アンメットニーズ（特に企業の開発優先順位が高くない分野）への理解が必要



# 今後ともよろしくお願いいたします

## 本日のまとめ

1. PMDAのこれまでの取組み
2. 欧米規制当局の取組み
3. 今後の展望と課題（個人的見解を含め）

ありがとうございました。  
患者さんを中心とした産官学の連携のため、  
今後とも何卒よろしくお願い申し上げます。

