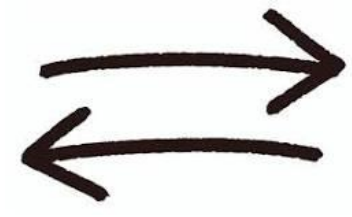


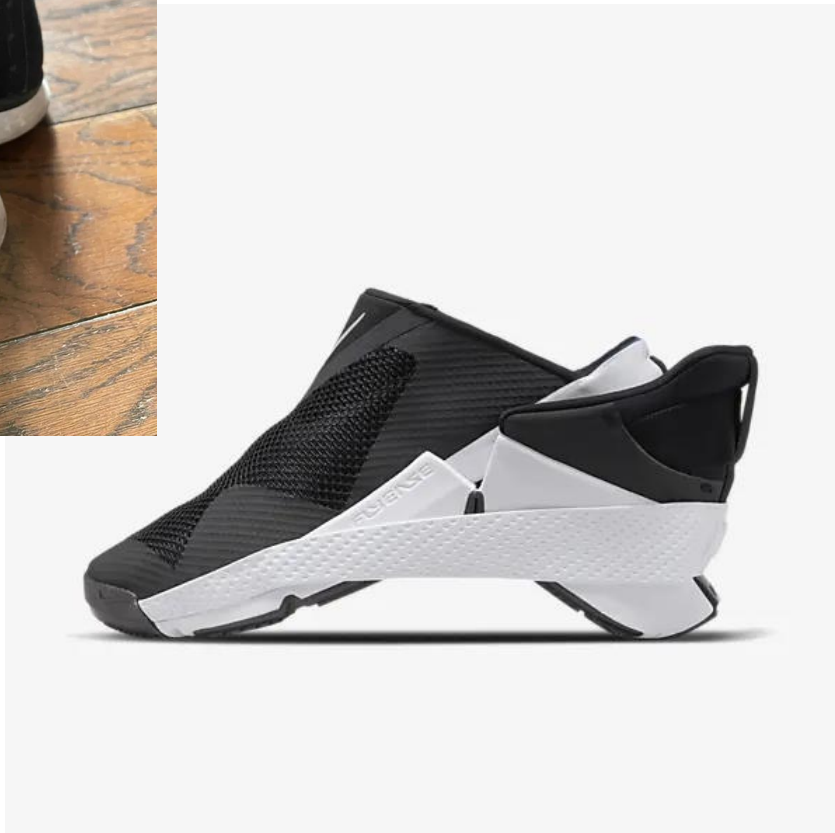
薬の価値や評価への患者・市民参画について

-産業の立場より-

日本製薬工業協会
医薬産業政策研究所
主任研究員　吉田　晃子

発表内容は発表者個人の見解に基づくものであり、所属する組織の公式見解ではありません。

患者・市民参画とは「双方向」



ナイキ ゴー フライイーズ

https://www.takeda.com/ja-jp/announcements/2023/IBD-partyplate/

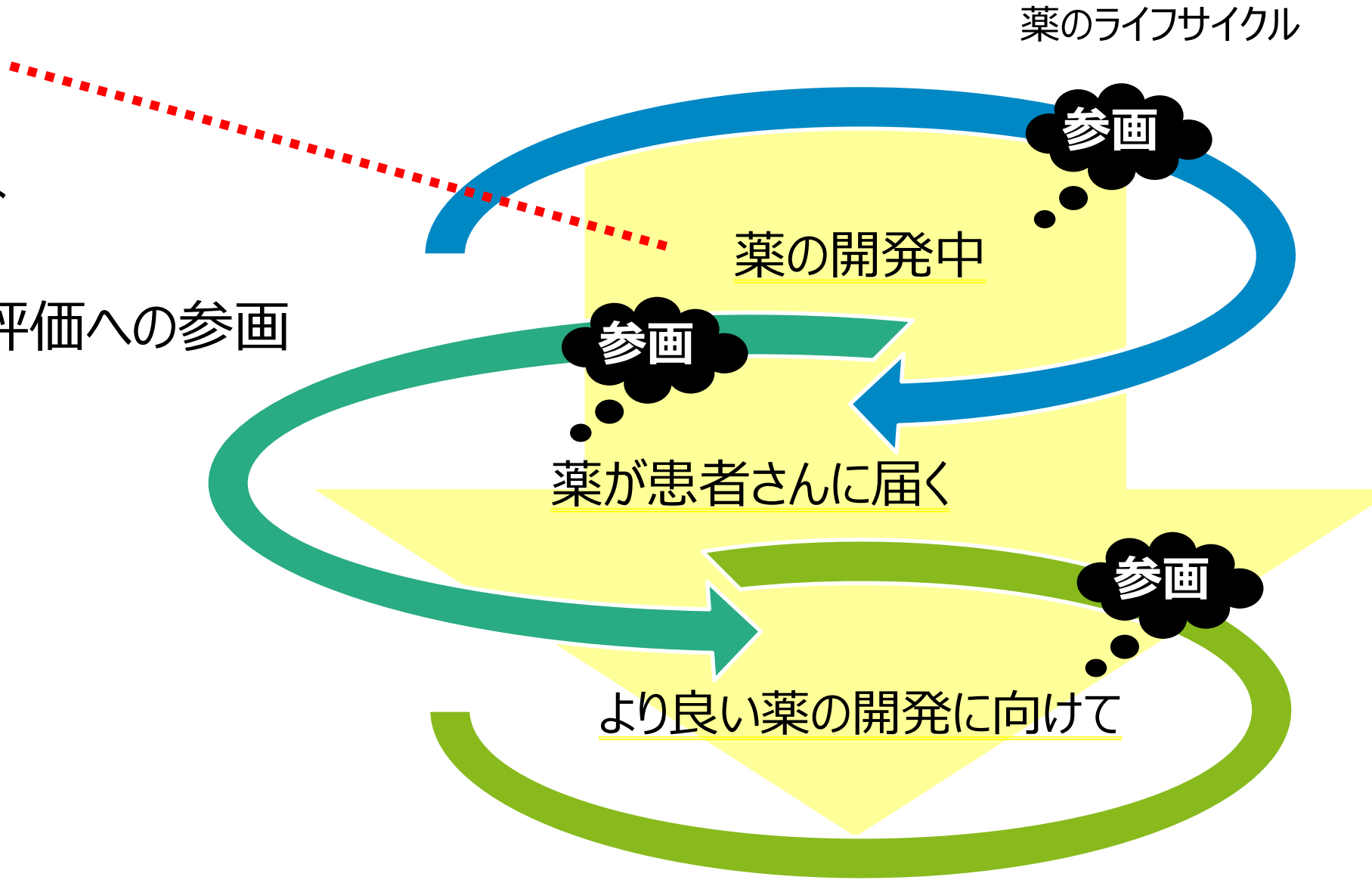
本日お話すること

OPIR
Office of Pharmaceutical Industry Research

1. 評価への参画

2. 価値へのインサイト

3. これからの価値や評価への参画



PRO （Patient Reported Outcome）の潮流

OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research

PRO：症状やQOLに関して、**患者が自分自身で判定**し、その結果に医師を始め**他の者が一切介在しない**という評価方法

かつて

利用せざるを得ない【**消極的**な活用】

今

医師による評価が可能なものであっても、患者が直接評価することで同等あるいはそれ以上に意義のある評価が得られる場合【**積極的**な活用】

包括的尺度としてSF-36、EQ-5D、疾患・症状特異的尺度として、疼痛に用いられるVAS、関節炎・腰痛に用いられるWOMAC等がその代表例。
患者自身の症状や印象の変化が重要な疾患が対象。

PMDA－患者参画ガイダンス （2021年9月7日に公表）

- PROは「**審査において患者のBenefit を評価するための有用なツール**」であり、「**活用することは、臨床的意義が患者に支持される医薬品等の効率的な開発に資する**」との記載がなされていることから、今後、PROを評価項目の一部とした治験の結果を含む承認申請が日本でも増加することが想定される。

出所：医薬産業政策研究所「PROの最新動向－臨床試験登録データベースを用いた調査・分析－」政策研ニュース No. 65（2022年3月）

PRO（Patient Reported Outcome）の動向（件数推移）

OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research

図1 PRO 関連臨床試験数と対象総臨床試験数に対する割合の年次推移

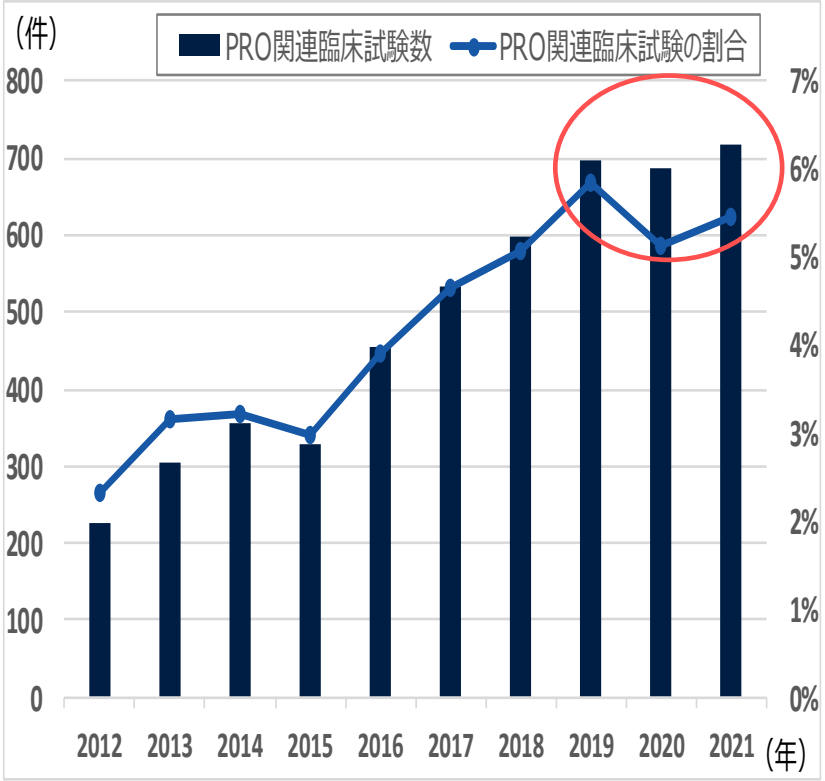


図2 地域別のPRO関連臨床試験数（5年間比較）

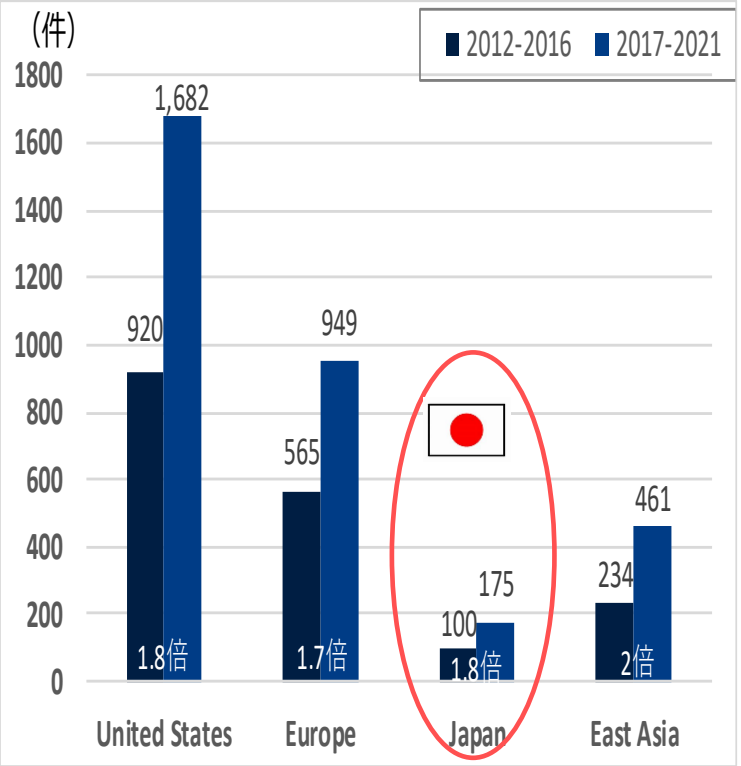
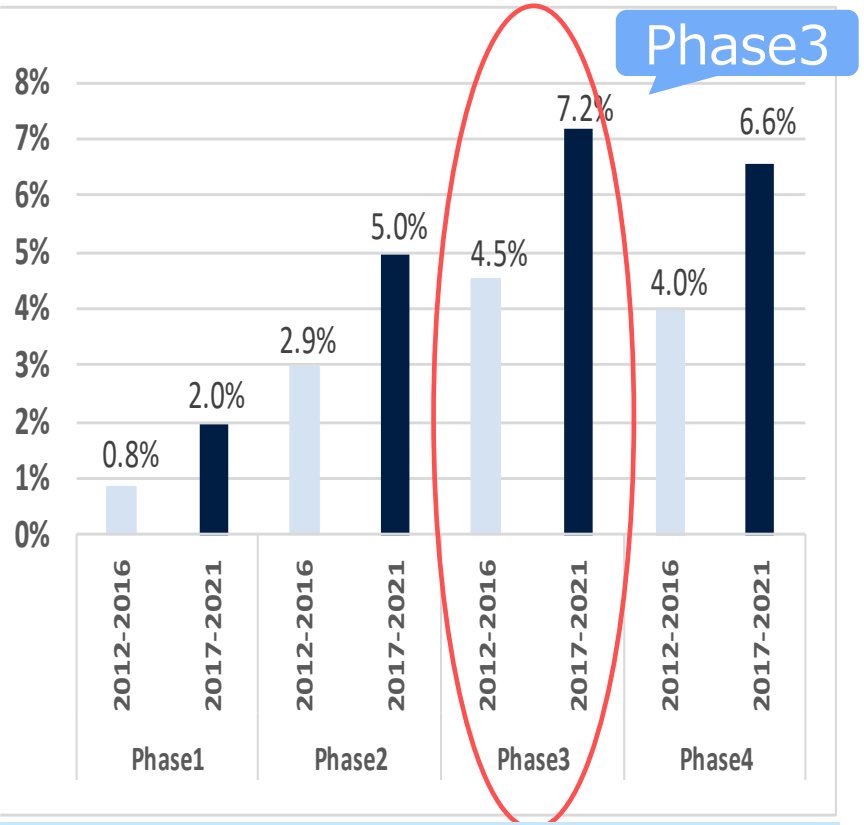


図4 Phase別のPRO関連臨床試験数の割合（5年間比較）



- PRO関連臨床試験数は**増加傾向**
- **日本の増加比**は1.8倍と、**欧州や米国並み**
- PRO関連臨床試験数の割合は**Phase3で最も高い（増加傾向）**

目的：臨床試験の医薬品の評価においてPRO関連情報がどの程度用いられるようになっているのか、最新の動向を把握する。
概要：臨床試験登録データベース（Clinical Trials.gov）を用いた直近10年間の調査・分析を実施。

出所：医薬産業政策研究所「PROの最新動向－臨床試験登録データベースを用いた調査・分析－」政策研ニュース No. 65（2022年3月）

医薬品の価値イメージ

OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research

薬の価値感について、一般の方を対象に、アンケート調査を実施

ミクロ視点の価値

- **医療的な価値**
  自身に直接影響しやすく、直接感じられやすい価値

- **社会波及価値**
  自身やその周囲に波及的に影響をもたらし、その価値が社会にも影響しうる価値

マクロ視点の価値
自身やその周囲を越えて、社会全体に影響を及ぼす社会的価値

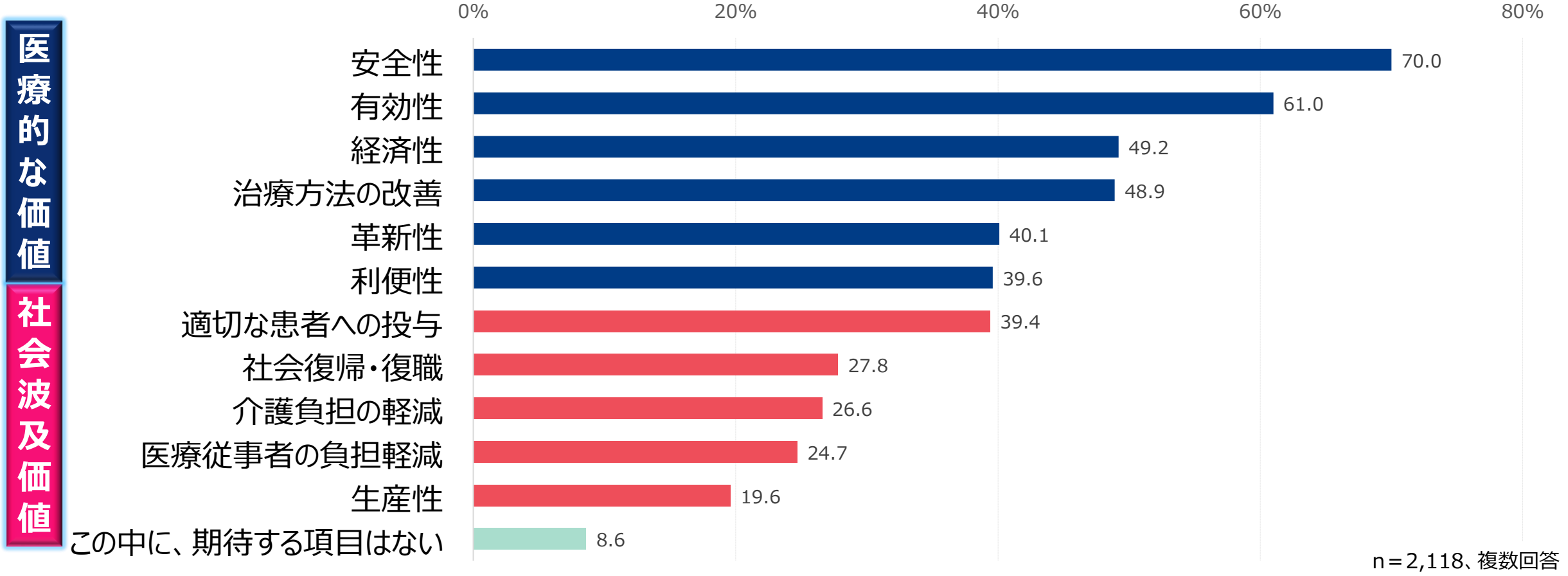
出所：医薬産業政策研究所にて作成

【医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査】
対象：20歳以上の男女、調査方法：インターネット調査、調査期間：2022年6月、回答者数：2,118人

重視する医薬品の価値

OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research

「あなたが薬に対して期待する項目」を尋ね、12の選択肢から回答（複数回答）を得た。

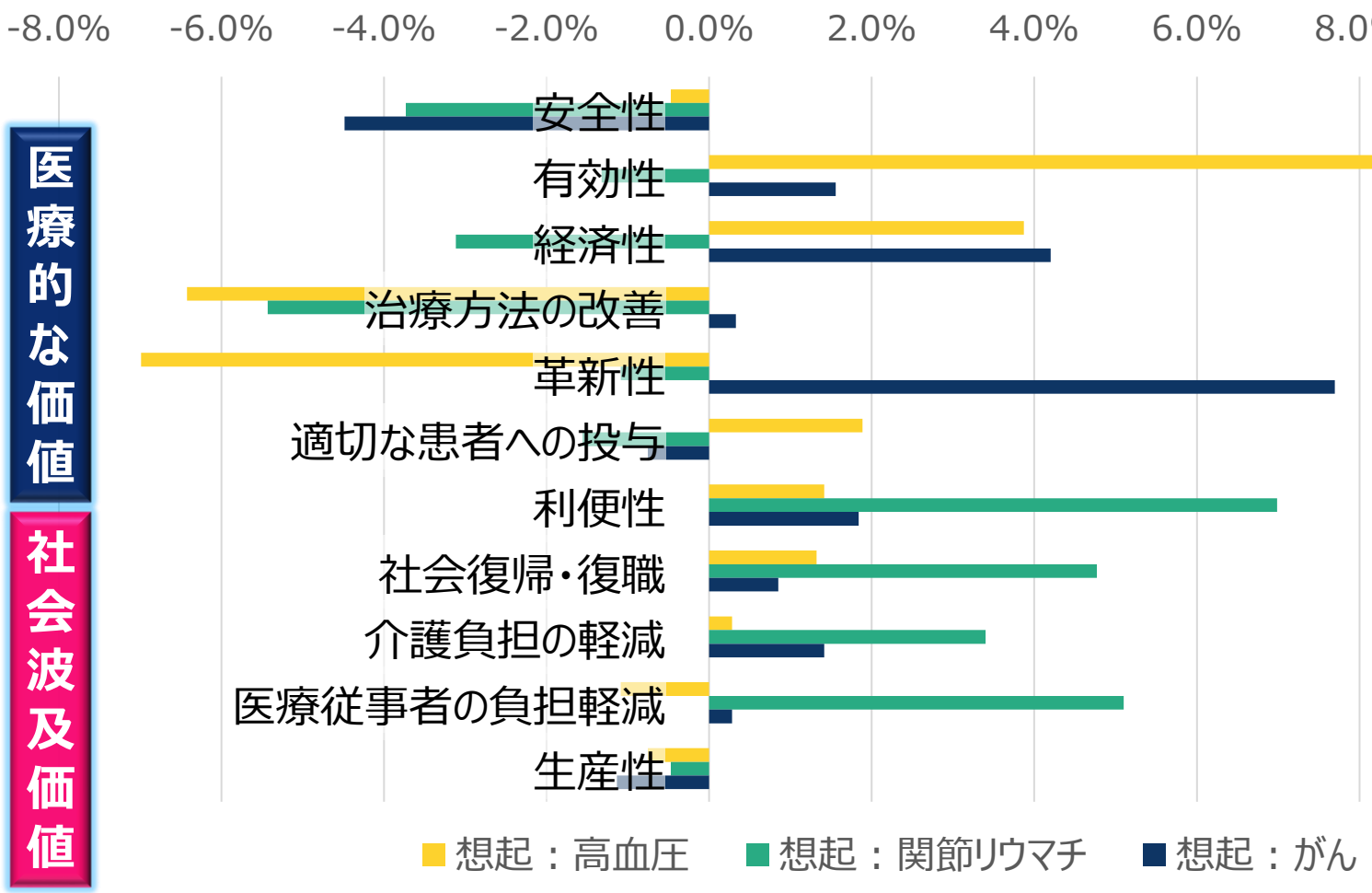


「医療的な価値」を重視する人が多かったが、一方で、**「社会波及価値」を選択回答した割合が一定程度存在した**ことより、**「社会波及価値」を重視する人もいる、ということがわかった。**

出所：医薬産業政策研究所「国民が重視する医薬品の価値－医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査結果報告 その②－」 政策研ニュース No. 68（2023年3月）

重視する医薬品の価値：疾患想起無と比較した想起疾患による違い（上位3つ回答）

OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research



3疾患（高血圧、関節リウマチ、がん）の状態に関する説明文

高血圧	関節リウマチ
今は自覚症状はないものの、検査した結果、生活習慣病の高血圧と診断された。心筋梗塞など大きな病気を予防するために、薬による治療を始めることにした。	関節リウマチが発症し、命に別状はないものの、手足の関節が痛み、食事、歩行移動、トイレ、入浴などの日常生活や仕事、家事に支障が生じている。このことにより、生活の質も継続的に低下している。

がん
がんが発症し、余命への影響、痛み、倦怠感のような身体的不具合が生じる可能性がある。現在の抗がん剤治療を使用した場合には、治療中に感染症にかかりやすくなったり、貧血・吐き気・口内炎・下痢・脱毛・皮膚の障害などの症状が副作用として現れ、日常生活あるいは仕事や家事などにも支障が生じ、場合によっては介助が必要なほど生活の質が大きく低下することが想定される。

n＝2,118

「がん」想起時では「革新性」、「関節リウマチ」想起時では、「利便性」、「社会復帰」、「介護負担の軽減」、「医療従事者の負担軽減」といった回答割合が高い。疾患想起の有無、想起疾患による、回答の違いがみられた。

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

重視する医薬品の価値：主要な疾患の受診者と当該受診のない者による違い

OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research

アンケート回答者における受診疾患（上位15疾患）

高血圧
脂質異常症
アレルギー性鼻炎
糖尿病
腰痛症
緑内障
うつ病・うつ状態
白内障
不眠症
がん
痛風・高尿酸血症
逆流性食道炎
骨粗しょう症
喘息
湿疹・蕁麻疹

重視する価値の選択に、統計的に有意差があった事例（全てではない）

疾患：糖尿病
・「利便性」「経済性」を重視する確率が高い

疾患：うつ病・うつ状態
・「生産性」「社会復帰・復職」を重視する確率が高い

疾患：腰痛症
・「治療方法の改善」を重視する確率が高い

疾患：緑内障
・「有効性」「安全性」を重視する確率が高い

疾患：がん
・「革新性」「治療方法の改善」を重視する確率が高い

- 実際に疾患があり、**現在受診している者と、当該受診のない者では重視する価値に違いがある**ことが示唆された。
- **疾患を患った患者にしかわからない疾患特有の状況が、重視する価値やその優先度を変える可能性**がある。

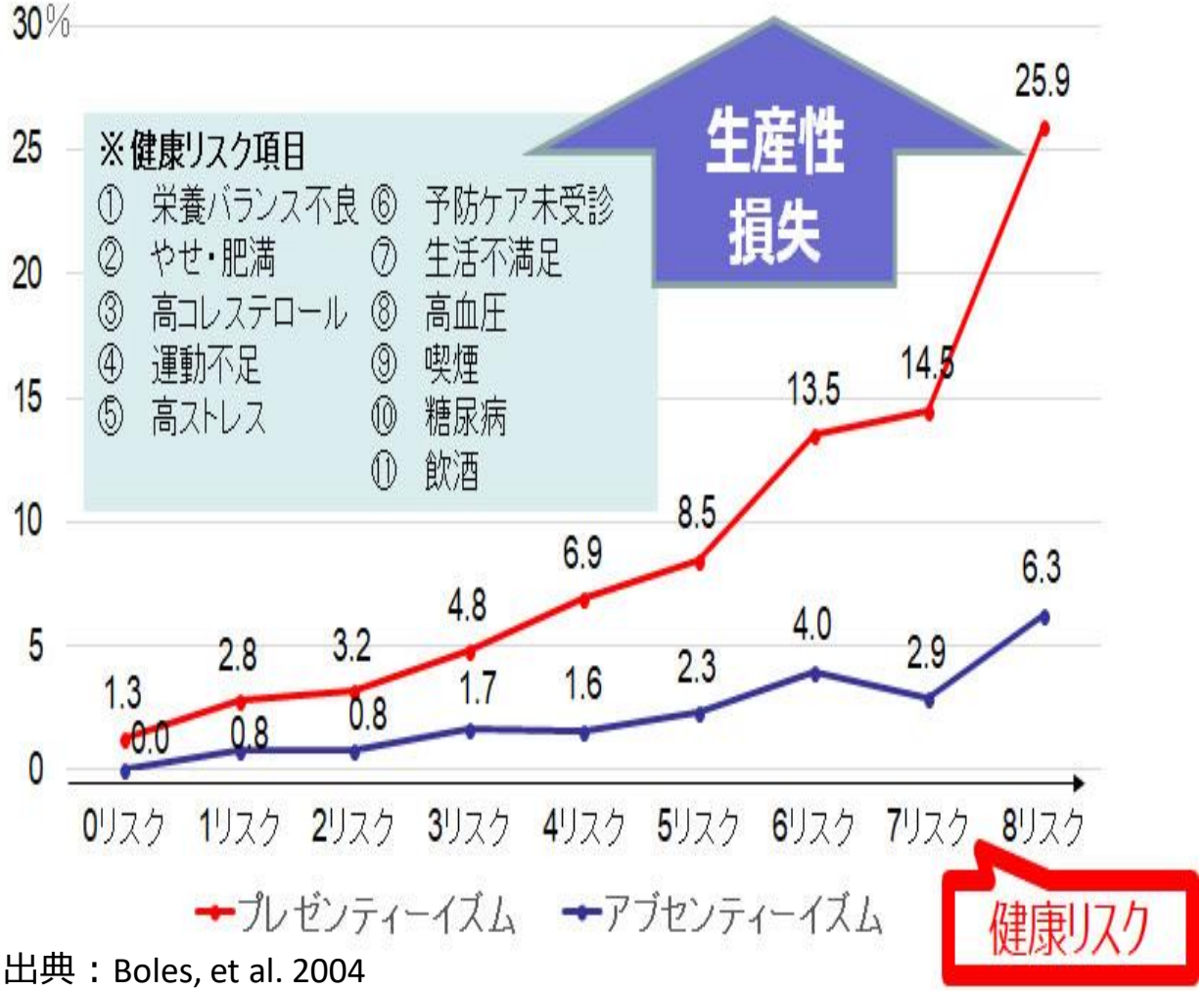
それぞれの価値要素を被説明変数とし、価値要素を選択回答した場合に1をとり、そうでない場合に0、受診疾患を説明変数とした線形確率モデルによる多重回帰分析を実施。その結果、統計的有意差があったもの（10%水準で有意）を特徴とした。なお、上位15疾患と、その他の疾患（上位15疾患以外の何らかの疾患での受診者）に分けている。

出所：「医薬品の価格や制度、価値に関する意識調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

これから重要な価値のひとつ：生産性

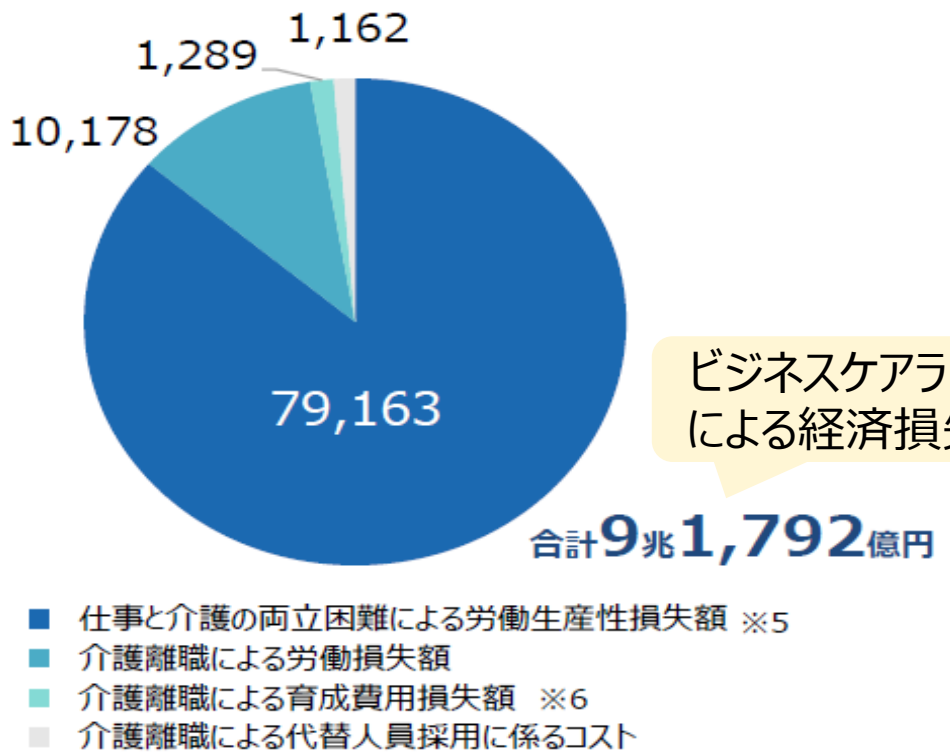
OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research

健康リスク数別労働生産性損失の平均割合（n=2,264）



出典：Boles, et al. 2004

2030年における経済損失（億円）の推計



（出所）経済産業省「2022 年経済産業省企業活動基本調査速報（2021年度実績）調査結果の概要」、産労総合研究所「教育研修費の実態調査における2017～2021年の一人あたり研修費（5年平均）」、株式会社リクルートキャリア就職みらい研究所「就職白書2020」より日本総研作成
※5 ビジネスケアラーの生産性損失は、経済産業省委託調査（日本総研）「介護をしながら働いている方に向けたWEBアンケート調査」（n=2,100）の結果を基に算出（＝約27.5%） ※6 介護離職者の勤続年数は、大卒年齢である22歳から、雇用動向調査において最も人数が多い55～59歳階層の中央となる57歳まで勤続した場合の年数（＝35年）と仮定。

32

https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shin_kijiku/pdf/013_03_00.pdf

労働（家事）する者の健康/生産性の重要性、介護する者の生産性を高める重要性

患者さんや家族にとっての「生産性」低下/薬の有用性を示した事例

OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research

事例①：疾患が患者・家族にもたらす生産性の低下

疾患：多汗症

・**労働生産性や学習能率**が低下
・**不安障害やうつ病の有病率が高く、多汗症の重症度が高いほど、不安障害やうつ病の有病率が高い**

https://www.maruho.co.jp/medical/articles/hyperhidrosis/actual_situation/index.html

疾患：ドライアイ

・**約3日間／年欠勤しているのと同様の損失時間**がある

https://www.santen.co.jp/ja/news/20140325.pdf

疾患：骨粗鬆症性骨折

・**介護している家族の負担度は大きく、健康関連QOLが低い**
・**仕事に支障を来し**、週に約43,000円もの**生産性の損失**がみられる
→**社会的な損失につながっている**

https://www.evenity.jp/library/he/04-mail

事例②：治験における薬の有用性

疾患：乾癬

・有意な**労働生産性**の改善

疾患：花粉症

・**労働生産性低下**や**日常の諸活動への支障**に対する効果
・薬剤は花粉症罹患により大きく損なわれる**QOL及び労働生産性を改善させる**ことが期待できる

疾患：片頭痛

・**労働量の低下、労働時間の損失、全体的な労働の障害および日常生活の障害**いずれにおいても有意な改善

事例③：市販後の臨床研究における薬の有用性

疾患：大うつ病性障害

患者の24週間にわたる**労働生産性の有意な変化**が認められた

疾患：花粉症

花粉飛散時期3週間の**労働障害時間のうち、約3分の1**に相当する3,660万時間分の**有償および無償の労働障害を軽減できる可能性**が示された

疾患：月経困難症

・**健康関連QOLおよび労働生産性**などのスコアと関連

- 事例は**限定的**（特に、治験や市販後（事例②や事例③）で限定的）
- 多くは、WPAIなどの評価尺度（患者が自分自身で判定）を利用して評価する→**患者参画なくして成り立たない**

出所：プレスリリース、審査報告書、申請資料概要など公表資料をもとに医薬産業政策研究所にて作成

まとめ：薬の価値や評価への患者・市民参画について-産業の立場より-

OPIR Office of Pharmaceutical Industry Research

1. **評価への参画：PRO （Patient Reported Outcome）の動向**
   - ✓ PRO関連臨床試験数は増加傾向、日本の増加比は1.8倍と欧州や米国並み、PRO関連臨床試験数の割合はPhase3で最も高い（増加傾向）
2. **価値へのインサイト：アンケート調査の結果より、重視する医薬品の価値について考察**
   - ✓ 多くはないが、「社会波及価値」（国民や患者さんの周りの価値）を重視する人もいる
   - ✓ 疾患想起の有無、想起疾患別、現在受診の有無により、重視する価値に違いがある
   - ✓ 疾患を患った患者にしかわからない疾患特有の状況が、重視する価値やその優先度を変える可能性がある
3. **これからの価値や評価への参画：重要な価値のひとつとして「生産性」を例に、事例を提示**
   - ✓ 事例は限定的（特に、治験や市販後で限定的）
   - ✓ 多くは、WPAIなどの評価尺度（患者が自分自身で判定）を利用して評価する→患者参画なくして成り立たない

おわりに（私見）

- ◻ 患者・市民参画は”双方向”。
- ◻ 受診の有無など、様々な状況により、患者や市民にとって重視する価値に変化がある。その変化、価値観、疾患による困りごとや薬に期待することを、産業に届けてほしい。
  - ◻ PRO（e-PRO含め）を活用した治験や市販後臨床研究、その他の調査は今後ますます増えると推測される。
- ◻ 患者・市民の声、参画がイノベーションとなり、評価されることが、次なる原資（産業の活力）、革新的な医薬品創出へとつながっていく。
- ◻ 今日事例とした”生産性”は、超高齢社会（人口減少、働き手の減少）における社会に大きな価値をもたらす。
- ◻ 産業として、より患者・市民の声を大切にし、患者・市民にとっての様々な価値を社会に伝え、届けていく使命あり。