

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会総会

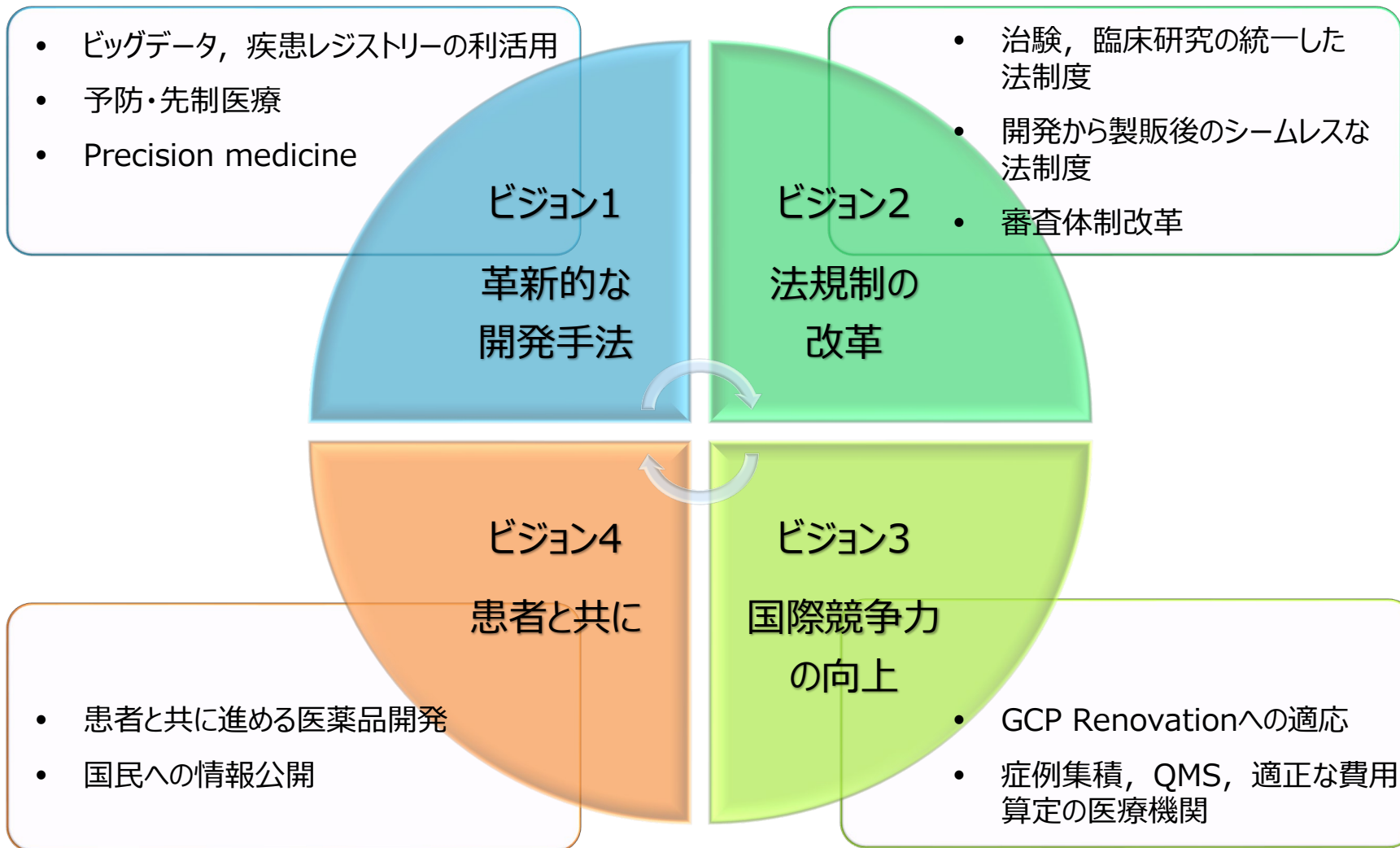
**今考える「Patient and Public Involvement」
～私たちの活動は誰のため～**

臨床評価部会の活動におけるPPI

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会
臨床評価部会 部会長 松澤 寛
2024年11月15日

臨床評価部会 ビジョン2025

新薬創出の総合戦略 – 開発から育薬まで –



ビジョン4：患者と共に医薬品開発を進める

【考え方】

患者，製薬企業がWin-winになることが患者参画型の医薬品開発の目的であり，欧米では最大のステークホルダーである患者がいち早く医薬品開発に参画している。一方，日本においては，臨床試験環境や国民性も考慮したうえで，いかに適正な形で患者に参画いただき，その価値を最大化するのか慎重に進めていく必要があり，あるべき連携の姿を模索していく。

あるべき姿へのアクションプラン

- 医薬品開発に対する相互理解の促進と適正な状態での参画の促進
 - 異なる視点を通して、より実施・継続可能な開発/育薬の推進
 - 患者が考える医薬品の価値の承認申請・薬価への反映
 - 患者視点を反映したUMNの特定
 - 試験デザイン、計画及び実施への患者視点の反映
 - ✓ エンドポイント（PROなど）、DCTの活用、など
 - 患者団体との連携の促進
 - 規制当局・他の業界団体・アカデミアとの協働
- 患者/家族、一般市民への臨床試験に関する情報提供の促進
 - 患者・国民の臨床試験情報へのアクセスの向上（PLS含む）
 - 患者・国民が求めている情報及び最適な公開方法の検討

KT-5（2016年～）
医薬品開発における
患者市民参画（PPI）

TP-2（2019年～）
患者のための治験情報
公開の促進

臨床評価部会 2024年度タスクフォース活動

タスクフォース

TF-1	製薬企業におけるデジタルヘルス／DX活用に向けた研究
TF-2	効果的・効率的な臨床試験の実施に向けた品質マネジメントの取り組みの啓発
TF-3	再生医療等製品の臨床開発における課題の検討

特別プロジェクト

TP-1	医療機関への来院に依存しない臨床試験（DCT）の促進
TP-2	患者のための治験情報公開の促進
TP-3	説明文書・同意文書（ICF：Informed Consent Form）共通テンプレート導入の促進
TP-4	治験関連文書の電磁化／電子化の促進
TP-5	臨床試験における契約書National Templateの導入

その他

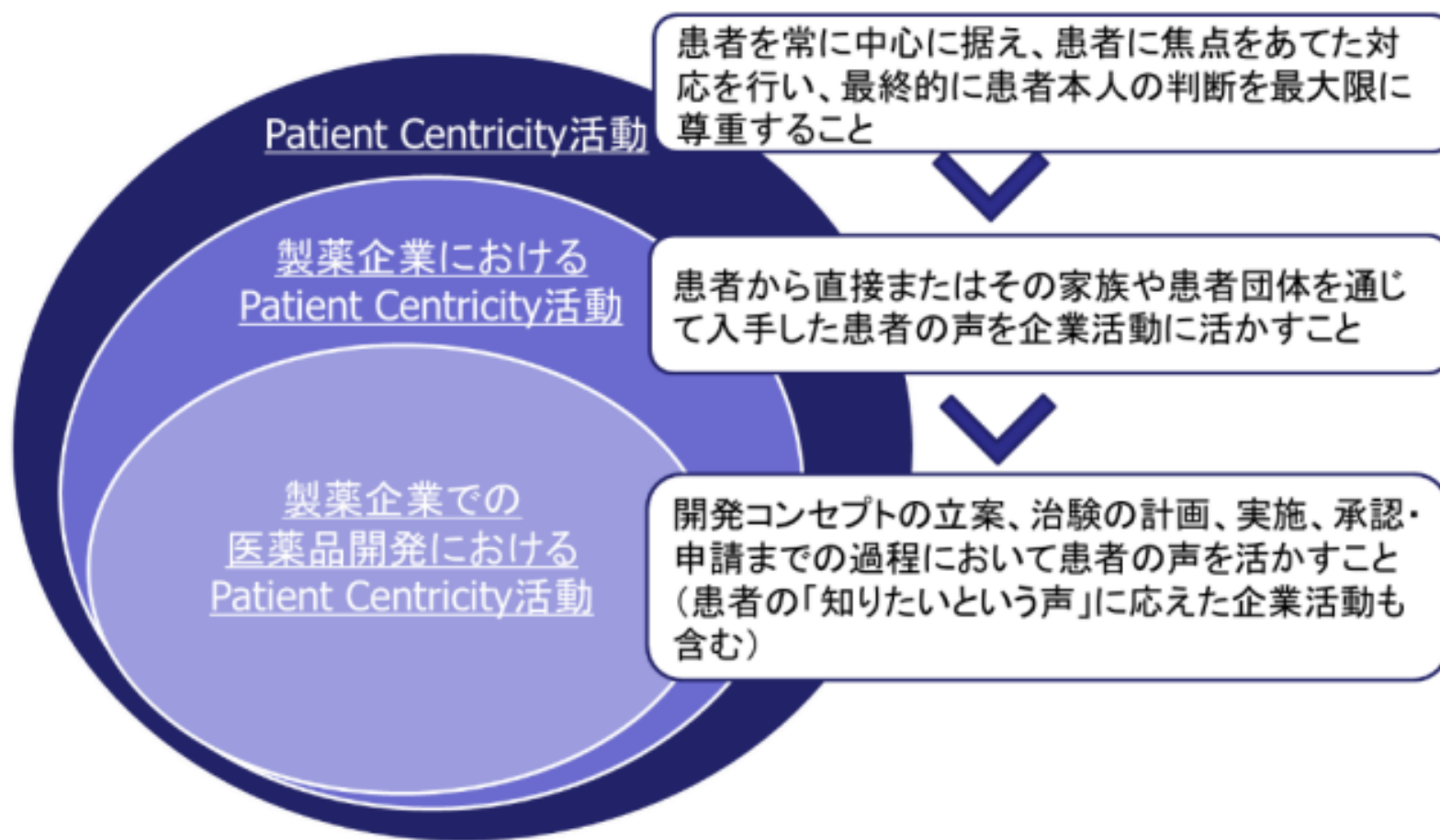
正副TF	GCP renovationの国内実装を視野に入れた国内治験環境改善
------	------------------------------------

継続課題対応チーム

KT-1	医療政策及び関連規制等への対応検討及びフォロー
KT-2	医薬品開発関連情報の収集及び分析
KT-3	治験119番
KT-4	臨床開発における安全性情報の取り扱いに関する国内規制，ICHトピック対応
KT-5	医薬品開発における患者市民参画（PPI）
KT-6	臨床評価部会広報
KT-7	小児医薬品開発
KT-8	臨床薬理
KT-9	医薬品開発におけるリアルワールドデータ・レジストリ利活用

KT-5：医薬品開発における患者市民参画（PPI）

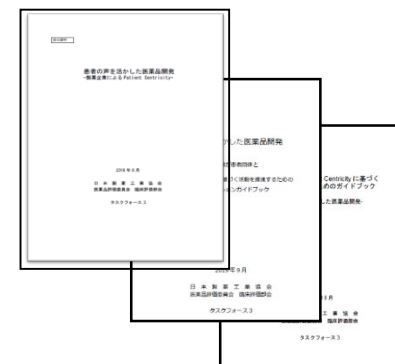
2016年～
製薬企業での医薬品開発に
焦点を絞って、
「患者の声を活かした医薬品
開発-製薬企業による
Patient Centricity-」を
テーマに活動を開始



患者と共に進める医薬品開発を目指して

多くの製薬企業も
患者参画を
実践している状態

-  製薬企業の活動事例ガイドブック
-  患者団体とのコミュニケーションガイドブック
-  海外における患者参画の情報調査
-  製薬企業向け勉強会
-  製薬企業・患者市民向けシンポジウム



社会からの認知も
向上している状態

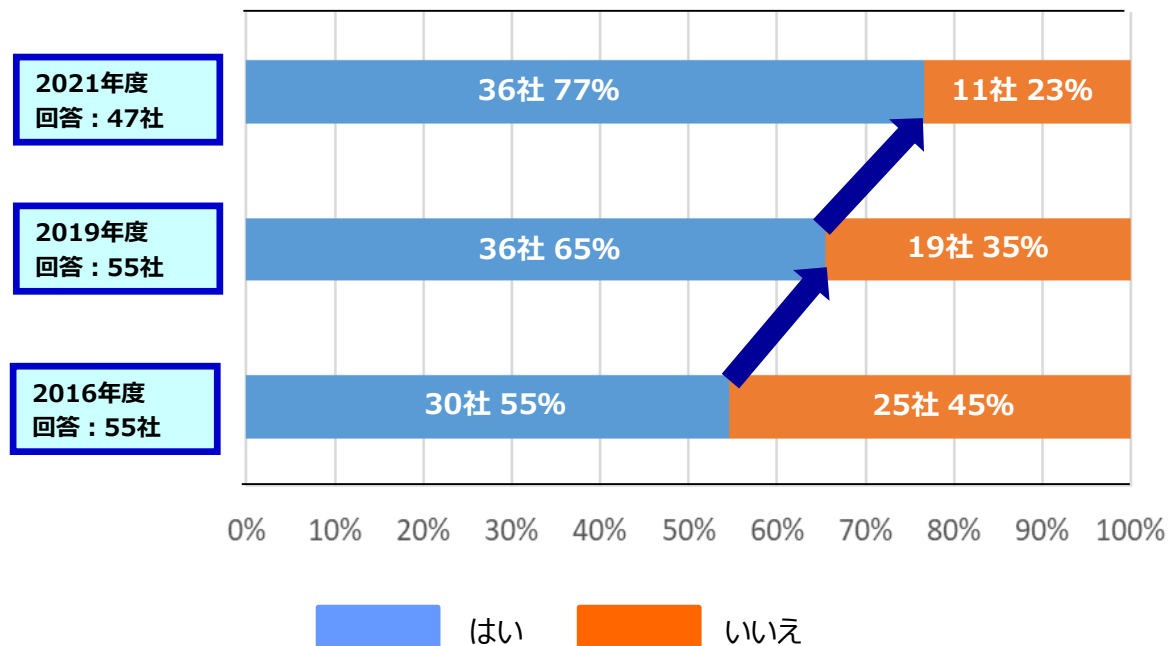
-  「くすり」と「治験」パンフレット
-  「くすり」と「治験」Q&A集
-  外部へ発信(講演, 論文, 成果物公開)
-  製薬協・患者団体セミナー

各ステークホルダーとの
連携が進んでいる状態

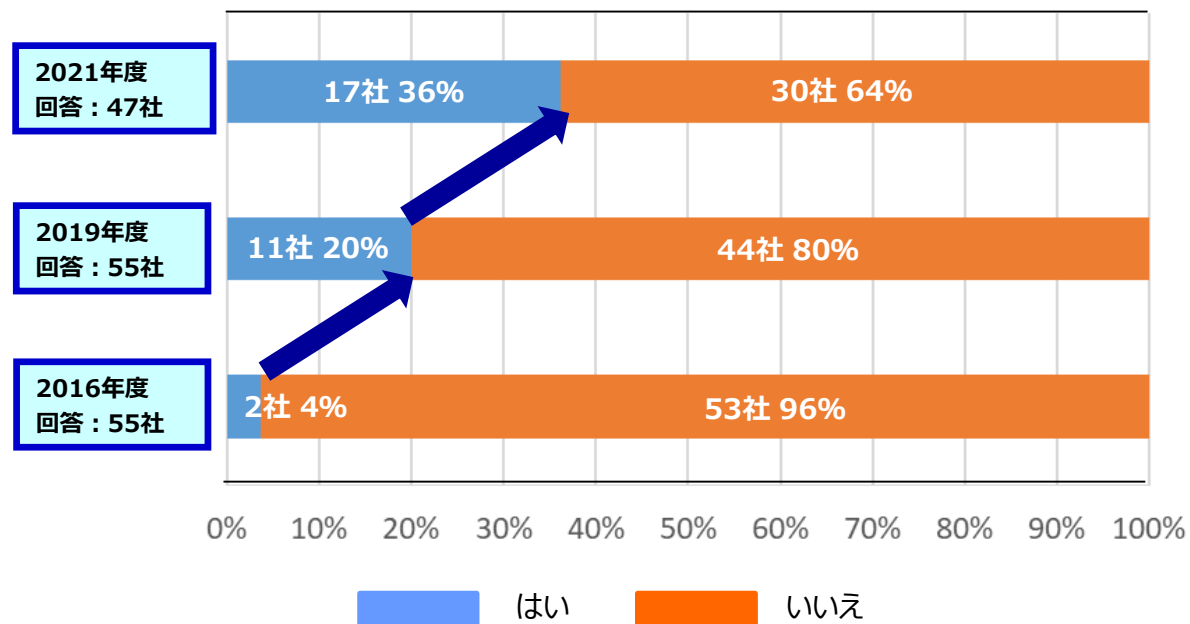
-  製薬協・患者団体アドバイザリーボードメンバー
-  様々なステークホルダーの研究会等で講演, WSに参加
-  製薬協・患者団体連携推進委員会

企業の取り組み推移（企業アンケート 2016年～2021年）

「Patient Centricity」の概念を企業理念やビジョンに取り入れていますか？



治験実施計画書を作成する際に患者さんの声を聴いたうえで項目・手順を設定した経験がありますか？



患者団体アンケート（2023年6月～7月）

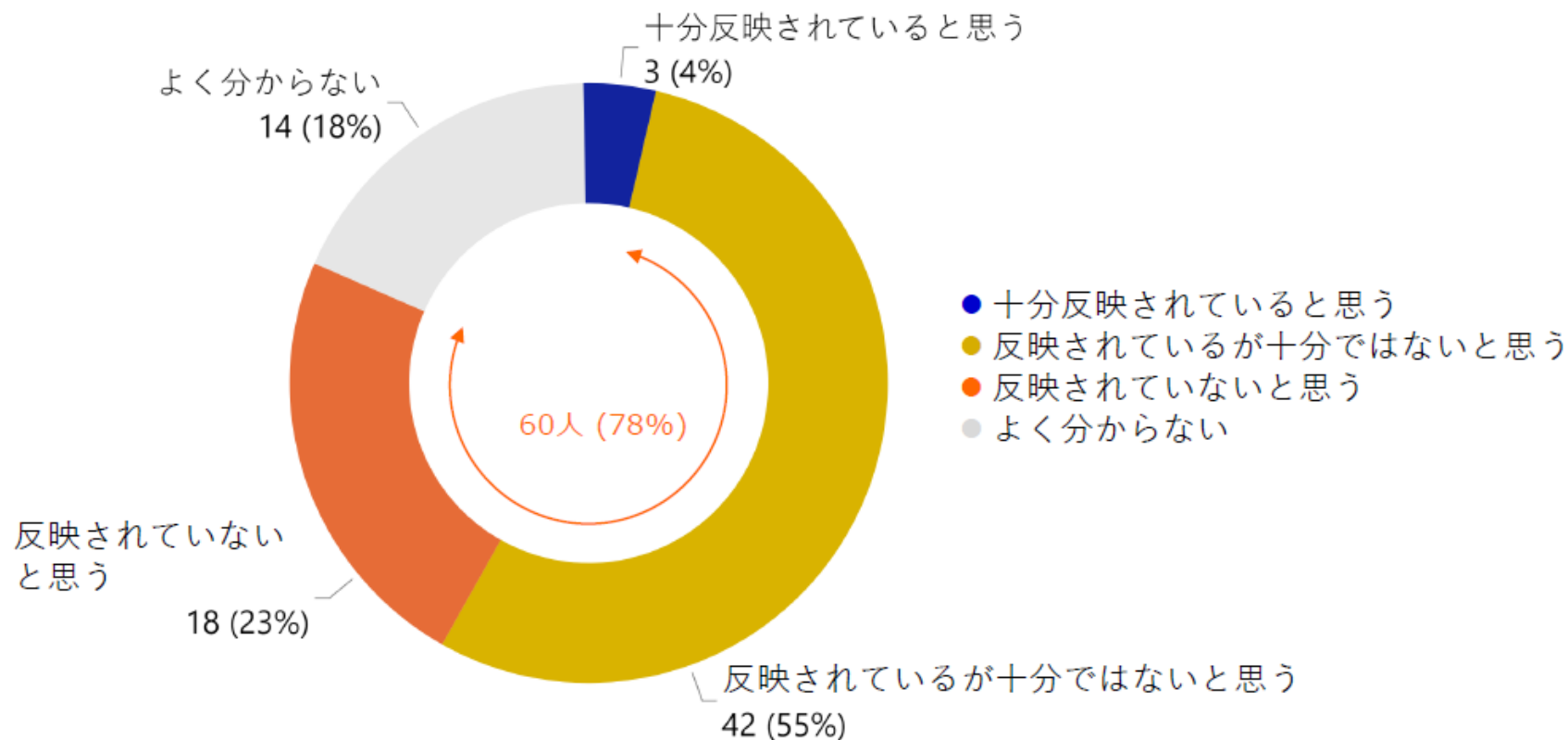
製薬企業による医薬品開発において、患者さんの声が十分反映されていると思いますか？

調査対象：全国の患者団体（339団体）へメールにて依頼

調査方法：インターネット

調査期間：2023年6月～7月

総回答数：77件



[単位：人（括弧内：％）]

TP-2：患者のための治験情報公開の促進

【活動目的】

患者の治験情報へのアクセスを改善するために，治験依頼者が取組むべき情報公開に関わる課題について検討し，その解決策の提言を行う。

【治験情報公開の意義】

- 治験の**透明性**を確保（製薬企業の手組みの透明化）
- 医療関係者及び国民／患者の治験情報への**アクセスの確保**
- 患者にとって治験参加の機会が広がると期待

患者の視点も踏まえた臨床試験情報公開を促進する活動



臨床研究等提出・公開システム

jRCT：臨床研究等提出・公開システム

治験情報をjRCTに公開することが法令で義務化*されています

*：厚生労働省 医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知「治験の実施状況等の登録について」（令和2年8月31日付 薬生薬審発0831第9号）

□ 企業登録担当者向け解説資料の公開

- 「治験の実施状況等の登録について」に関するQ&A
- jRCT登録項目一覧（2023年3月のJapicCTIからjRCTへの登録データ移行対応）

□ jRCTのあり方の検討

- 試験情報の登録を促進するために、jRCTの不具合改修や改善を厚生労働省や国立保健医療科学院へ継続的に要望
- 要望を踏まえたjRCT改修において、厚生労働省や国立保健医療科学院へ協力

□ jRCTのあり方検討に係る有識者委員会（2024年7月～）

- 円滑な研究の実施，治験等への理解・参加の促進を目的としたユーザーフレンドリーなデータベースの実現に向けた意見交換
- 業界団体の意見・要望伝えるべく委員として参画

患者・家族，一般向け資料の公開

2024年1月作成

治験の探し方 ～jRCTのみかた～

～ 患者さんとそのご家族のみなさまへ ～

治験の情報は、公的なサイト



臨床研究等提出・公開システム

で探せます。

- 調べた情報で治験参加についてご家族や主治医と相談することができます。

jRCTへのアクセスはこちらから

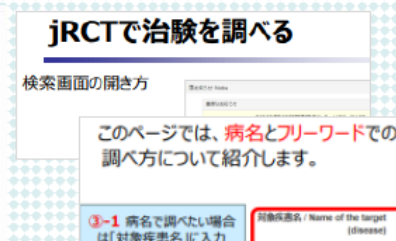
<https://jrct.niph.go.jp>

インターネット検索からもアクセスできます



探し方や使い方が分からない時は・・・

製薬協の「[治験の探し方～jRCTのみかた～](#)」
にアクセスください。



- jRCTで治験を検索する方法をわかりやすく紹介しています。

製薬協ホームページからアクセス
[治験の探し方～jRCTのみかた～](#)

https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/message/cl_jrct_mikata_20230407.html



本資料は、患者さん・ご家族・市民のみなさまの治験情報へのアクセスや検索方法をご紹介しますために製薬協（日本製薬工業協会）が作成しました。

患者及び一般市民を対象とした治験に係る情報提供の要領

「治験に係る情報提供の取扱いについて」（令和5年1月24日 薬生監麻発0124第1号）において、製薬企業等による治験情報の提供に関する要件が示されている。

製薬協では、製薬企業等が実施する、治験に係る情報提供全般を対象とした、「患者及び一般市民を対象とした治験に係る情報提供の要領 第3版」を作成し公開した。（2023年11月）

患者及び一般市民を対象とした
治験に係る情報提供の要領
第3版

令和5年11月

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会

1

治験に係る情報提供の関連通知

本要領5.1章 1)



情報提供の取扱い通知

<https://www.mhlw.go.jp/content/001048483.pdf>

「治験に係る情報提供の取扱いについて」（令和5年1月24日 薬生監麻発0124第1号）

- ✓ 「治験に係る被験者募集の情報提供の取扱いについて」（平成11年6月30日付医薬監第65号）は廃止
- ✓ 「治験に係る情報を求める者のみに対する情報提供」等、**通知の要件**を全て満たした場合

以下のいずれの要件も満たして治験に係る情報提供を行う場合、当該情報提供は「薬事法における医薬品等の広告の取扱いについて」（平成16年9月29日付医薬監第148号厚生省医薬安全部監査課長通知）で規定する広告に該当しないものとする。

- 1 治験に係る情報を求める者のみに対して情報提供できるような製薬企業等のウェブサイトに治験情報専用のウェブページを設ける。治験に係る情報提供を行うための資料及び情報は、治験情報提供システム等の他の目的で利用される資料及び情報は別々に用意する等、他の情報提供と切り分けられていること。
- 2 「治験の立派な取扱いの取扱いについて」（令和2年8月31日付厚生省薬事監第001号）第9号厚生省薬事監第001号「機微部等に関する治験の取扱いの取扱い等について」（令和2年8月31日付厚生省薬事監第001号）及び「治験情報等に関する治験の取扱いの取扱い等について」（令和2年8月31日付厚生省薬事監第001号）に基づき、国内が臨床試験情報登録センター（Japan Registry of Clinical Trials、以下「JRCT」という。）に当該治験に係る情報が登録されていること。ただし、令和2年8月31日以前に、JRCT以外の国内が治験情報登録センター（国内が治験情報登録システム、Japan CTE、日本医師会治験情報登録システム、以下「JRCT 以外の登録センター」という。）において登録されていた治験については、JRCT 以外の登録センターに登録されていることでも差し支えない。
- 3 提供する情報が、JRCT または JRCT 以外の登録センターに登録された情報の範囲内であること。なお、提供する情報については、登録された情報と同等であれば、より平易な表現とすることは差し支えない。

治験に係る情報を求める者のみに対する
情報提供
治験情報専用のウェブページを設ける

当該治験の情報がJRCT*に登録されている

提供情報が登録された情報の範囲内

医薬品等の広告に該当しない

治験薬の名称や治験記号等を含めた情報提供が可能

*JRCT:国内の臨床試験情報登録センター（Japan Registry of Clinical Trials）



8

情報を求めている者に限定
した情報提供なので



TF-1：製薬企業におけるデジタルヘルス／DX活用に向けた研究

「患者の声」を反映したdBMの開発事例（海外）

特発性肺線維症患者の声

- PFDD*会議（2014年9月）
- 現地参加 40名, Web参加 20名

*PFDD=Patient-Focused Drug Development

- 最も重要な症状
 - 息切れ
 - なかなかとれない疲労感など
- 日常生活での困りごと
身体機能の低下
 - 歩行
 - 階段の昇り降り など

中程度
|
高度

身体活動とその強度

Activity Intensity	Example Activities
Sedentary (<100 counts) (<1.5 MET)	• Lying • Standing • Computer work
Light (100-1,951 counts) (1.6-3.0 MET)	• Washing dishes • Washing windows • Vacuuming
Moderate (1,952-5,724 counts) (3.1-6.0 MET)	• Walking • Ascending/ descending stairs • Lawn mowing
Vigorous (>5,724 counts) (>6.0 MET)	• Slow/fast running • Intense sports

<https://www.fda.gov/media/91396/download>

Nathan SD. Chest 2020 Aug;158(2):637-645.

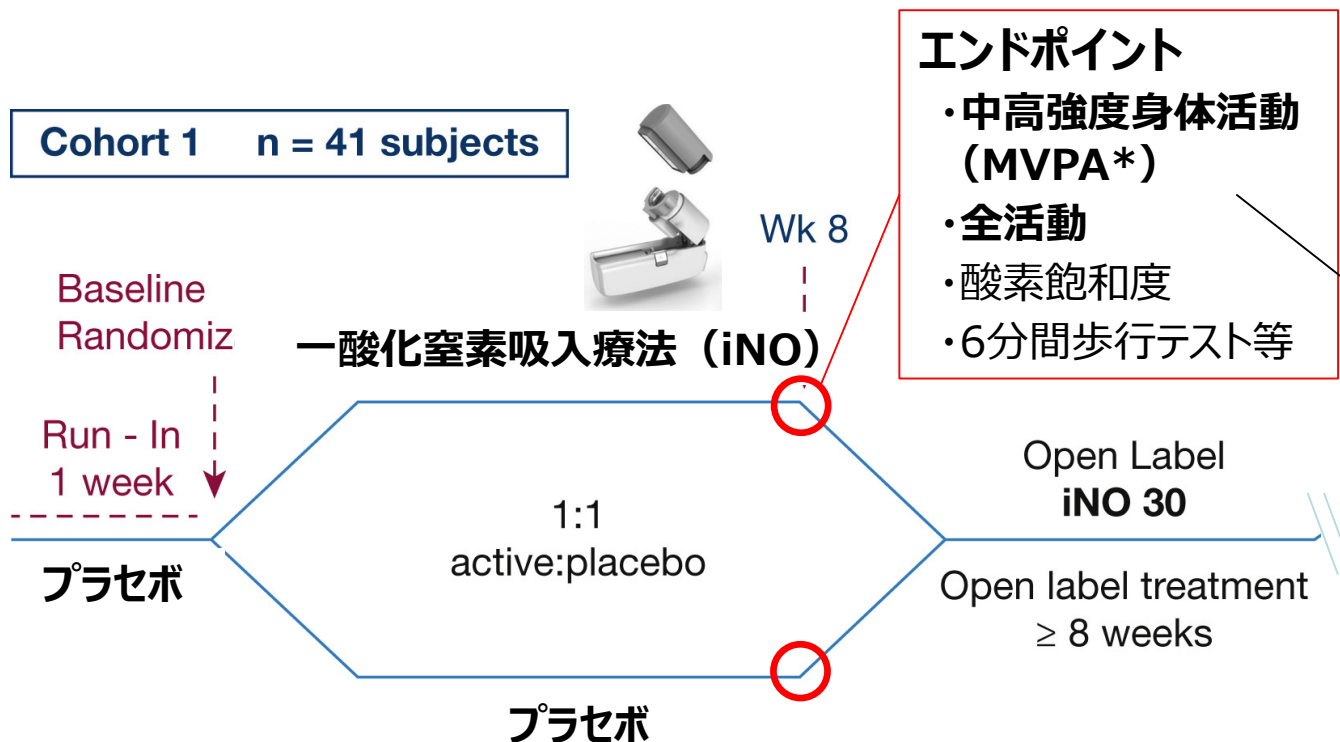
TF-1：製薬企業におけるデジタルヘルス／DX活用に向けた研究

Phase 2b/3試験

P2bパート

P3パート

特発性肺線維症
を含む線維化を伴う
間質性肺疾患



プライマリーエンドポイント

・6分間歩行テスト

P2bの結果で変更する
可能性を当初より想定

ウェアラブルデバイス
(Actigraph GT9X)
によって測定

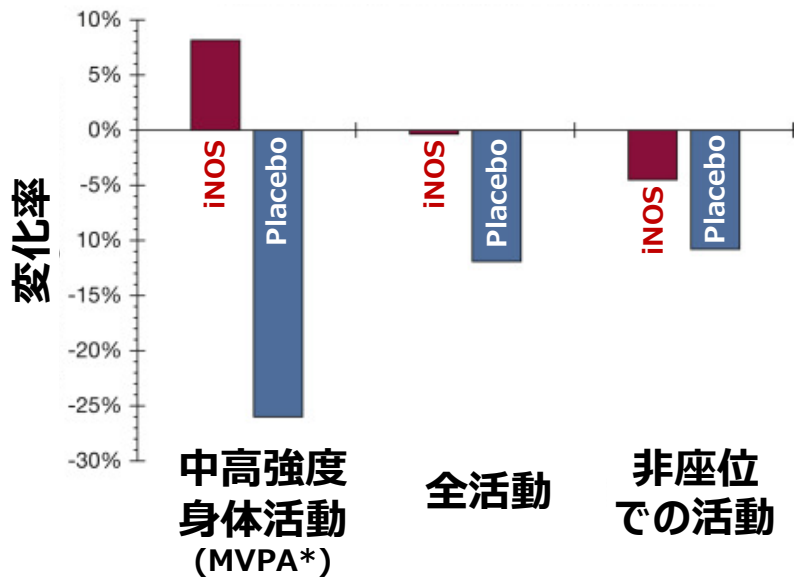


*MVPA=Moderate to Vigorous Physical Activity

Nathan SD. Chest 2020 Aug;158(2):637-645.

TF-1：製薬企業におけるデジタルヘルス／DX活用に向けた研究

P2bパート（試験結果）



Nathan SD. Chest 2020 Aug;158(2):637-645.

P3パート（試験計画）

プライマリーエンドポイント	必要症例数
・6分間歩行テスト (m)	300例
・中高強度身体活動 (分/日) (MVPA*)	140例

- ・P2bパートで**Effect Size**が大きかったこと
- ・「**患者の声**」を反映した指標であること
- を踏まえて改訂（FDAと合意）

*MVPA=Moderate to Vigorous Physical Activity

[Clinicaltrial.gov: REBUILD study](https://clinicaltrials.gov/REBUILD_study)

TP-1：医療機関への来院に依存しない臨床試験（DCT）の促進

DCTの背景 – 患者が抱える課題とテクノロジーの発展 –

■ 患者への調査

- 米国（2017年）¹：治験参加に重要なことは？
 - 医療機関の立地 60%
 - 来院間隔 49.5%
- 日本（2018年）²：治験に参加して悪かったことは？
 - 拘束時間の負担 23.4%（1位）
 - 通院の負担 22.3%（2位）

⇒ 患者が臨床試験に参加する際に「距離的」「時間的」課題がある

■ テクノロジーの発展と活用

- オンライン診療等の遠隔医療の実用化が進展
- IoT機器等による場所や時間に依存しない健康情報の収集の実用化が進展

新しい技術や手法の活用により、
従来の臨床試験で患者が抱える課題を解決し、**患者中心の臨床試験の実現へ**

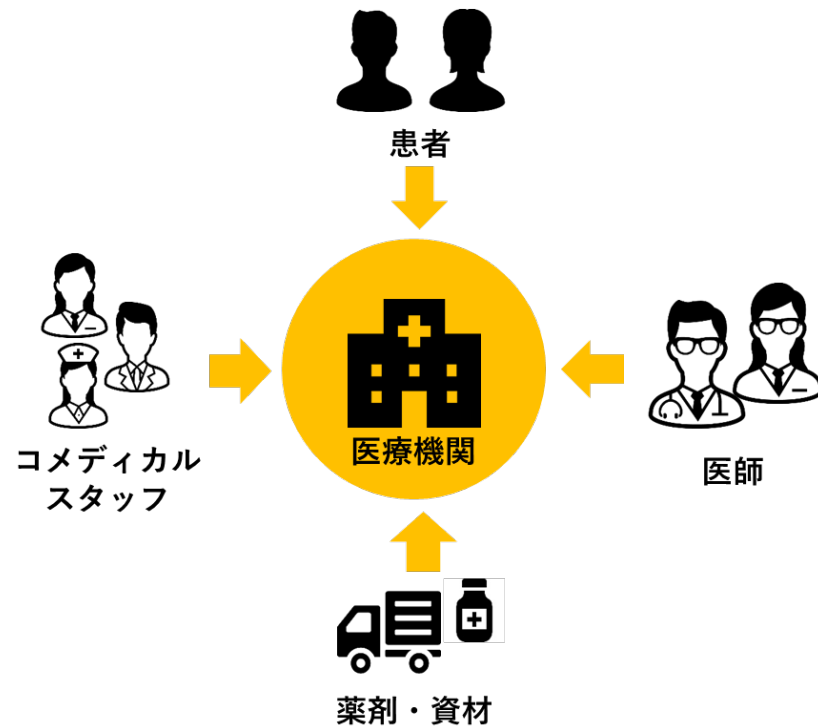
1. Anderson A et al., Global Public Attitudes About Clinical Research and Patient Experiences With Clinical Trials, JAMA Netw Open. 2018 Oct; 1(6).

2. 延山 宗能. わが国における治験実態および患者満足度調査—治験参加前, 治験参加後, 今後の治験への期待—. THERAPEUTIC RESEARCH 2019 40 (12) 961-80.

DCTの概要

医療機関中心から患者中心の臨床試験へ

従来の臨床試験
(医療機関中心)



来院に依存しない臨床試験：DCT
(患者中心)



DCTの導入によって期待される効果（被験者の視点）

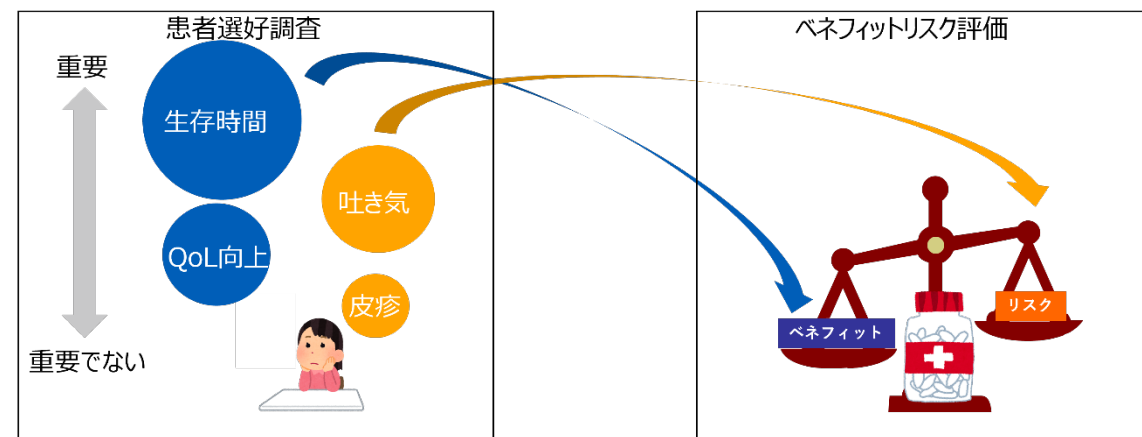
手法	被験者
オンライン診療	- 来院の負担が軽減する - 遠隔地から治験に参加できる - 有害事象の発現時に速やかに治験担当医師の診察を受けることができる
eConsent	- アニメーションや音声を用いることで、患者の理解を促し、治験手順の遵守向上につながる - 患者の理解度に応じた効率的な補助説明ができる - オンライン診療と併せて使用することで、遠方に居住する患者が来院することなく治験の説明を受けられる
治験薬の配送	- 他のDCTの手法と組み合わせることで来院の負担が軽減する - 来院時に大量の治験薬を持ち帰らなくてもよい
訪問看護	- 自宅に居ながら治験に必要な簡易な検査や薬剤の投与等が受けられる - 訪問看護師が被験者に対面でサポートすることで、被験者の安心感の向上につながる
パートナー医療機関	- 来院に要する移動時間が削減される - 治験参加の機会を得られる - 通い慣れた医療機関で治験に参加できる - 転院することなく主治医のもとで治験に参加できる

ICHの新しいトピック：E22「患者選好試験に関する一般指針」

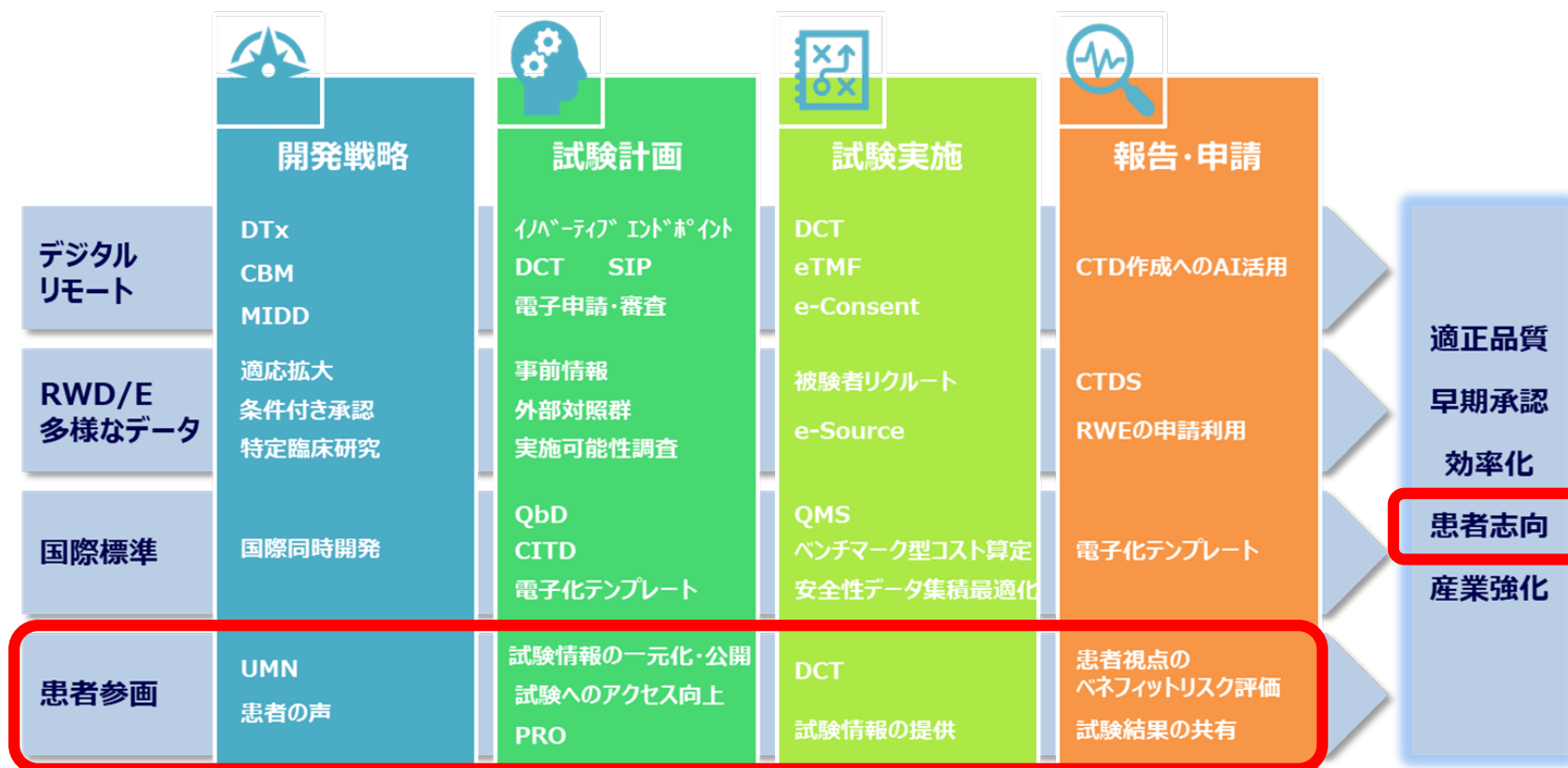
患者選好試験の計画・実施に関する一般指針を提供することで、1) 医薬品開発・製品ライフサイクルを通じた患者選好データの提供、2) 規制当局間の一貫した受け入れ、3) 規制当局による意思決定への活用、が促進されることを期待して提案、2023年6月に新規トピックとして採択された。2024年6月にコンセプトペーパーが承認され、現在、ガイダンス案の作成が進められている。

□ 患者選好調査の医薬品開発への活用

- 患者選好調査結果を医薬品のベネフィットリスク評価に活用することで、「患者さんにとっての医薬品の価値」を適切に議論可能にする。
- それ以外にも、メディカルニーズの理解、臨床試験のエンドポイント選択、臨床的に意味のある効果量の推定、異なる選好を持つ集団の理解、などへの活用が期待されている。



革新的で有用性の高い医薬品をより早く 患者さんや医療関係者，世界の人々にお届けするために



CBM : Clinical biomarkers, CTDS : Clinical Trial Data Sharing, CITD : Complex Innovative Trial Designs, CTD : Common Technical Document, DCT : Decentralized Clinical Trial, DTx : Digital Therapeutics, eTMF : Electronic Trial Master File, MIDD : Model Informed Drug Development, PRO : Patient Reported Outcome, QbD : Quality by Design, QMS : Quality Management System, RWD : Real World Data, RWE : Real World Evidence, SIP : Shared Investigator Platform, UMN : Unmet Medical Needs

