

第2部 医薬品開発の近ミライを語る

患者の声を活かした医薬品開発を 日本に根付かせる

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会 臨床評価部会
継続タスクフォース11 植木 進

本日のトピック

- はじめに
- これまでのタスクフォースチームの活動
- 日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）
- 日本における患者参画の取組み
- 患者の声および患者・患者団体の取組み
- 製薬企業での実装に向けた課題アクション
- 今後の展望
- Take Home Message

本日のトピック

- はじめに
- これまでのタスクフォースチームの活動
- 日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）
- 日本における患者参画の取組み
- 患者の声および患者・患者団体の取組み
- 製薬企業での実装に課題とアクション
- 今後の展望
- Take Home Message

はじめに

これまでの医薬品開発では

- 製薬企業と医療関係者及び規制当局が中心となり行われており、治験や医薬品開発のプロセスに患者の声を直接入手する機会を設けることはあまり行われていなかった。

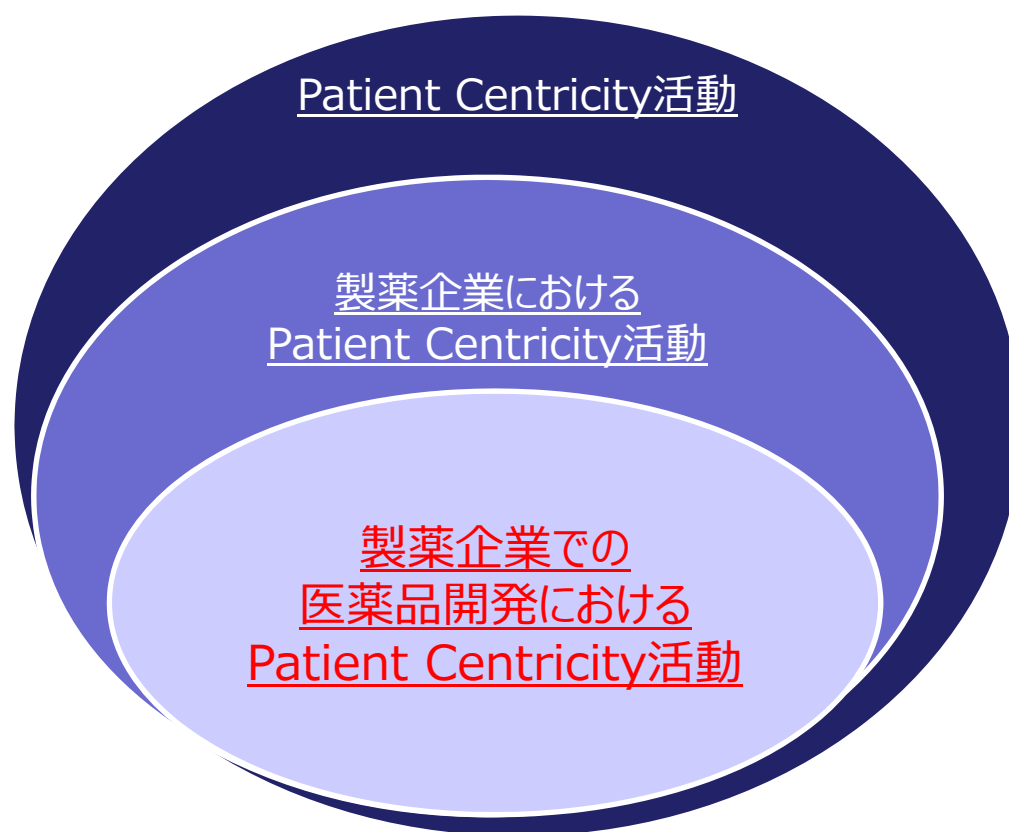
これからは

- 医薬品を最終的に使用する患者のニーズを満たすため、より効果的な方法をとる
- 製薬企業や業界団体が患者/患者団体、医療機関および規制当局と協力することで、医薬品開発での新たな視点や価値を探っていくべき



患者の声を活かした医薬品開発の機運の高まり
(Patient Centricity)

「患者の声を活かした医薬品開発」とは



患者を常に中心に据え、患者に焦点をあてた対応を行い、最終的に患者本人の判断を最大限に尊重すること



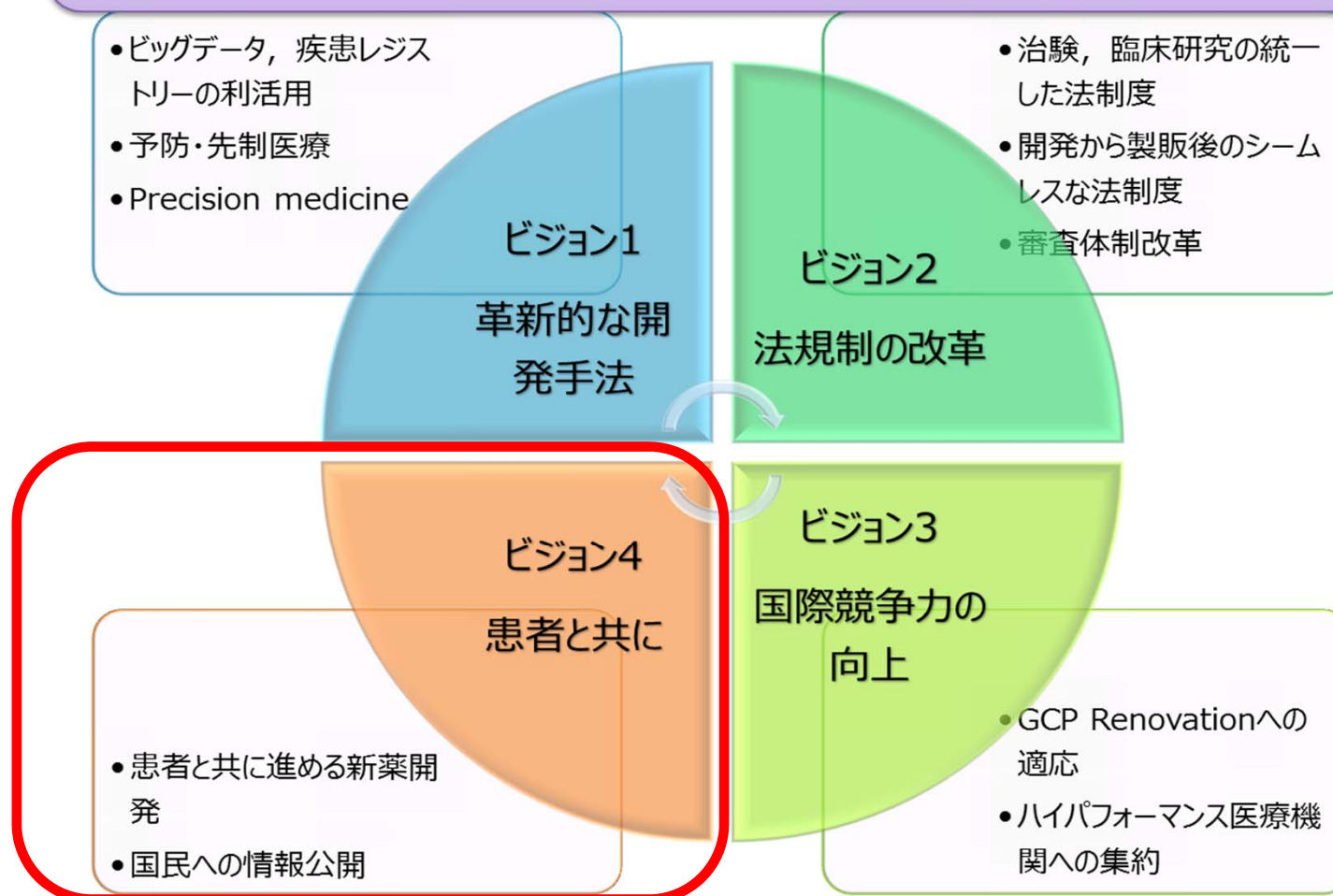
患者から直接またはその家族や患者団体を通じて入手した患者の声を企業活動に活かすこと



開発コンセプトの立案、治験の計画、実施、承認・申請までの過程において患者の声を活かすこと
(患者の「知りたいという声」に応えた企業活動も含む)

私たちの目指すべき先

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 –



本日のトピック

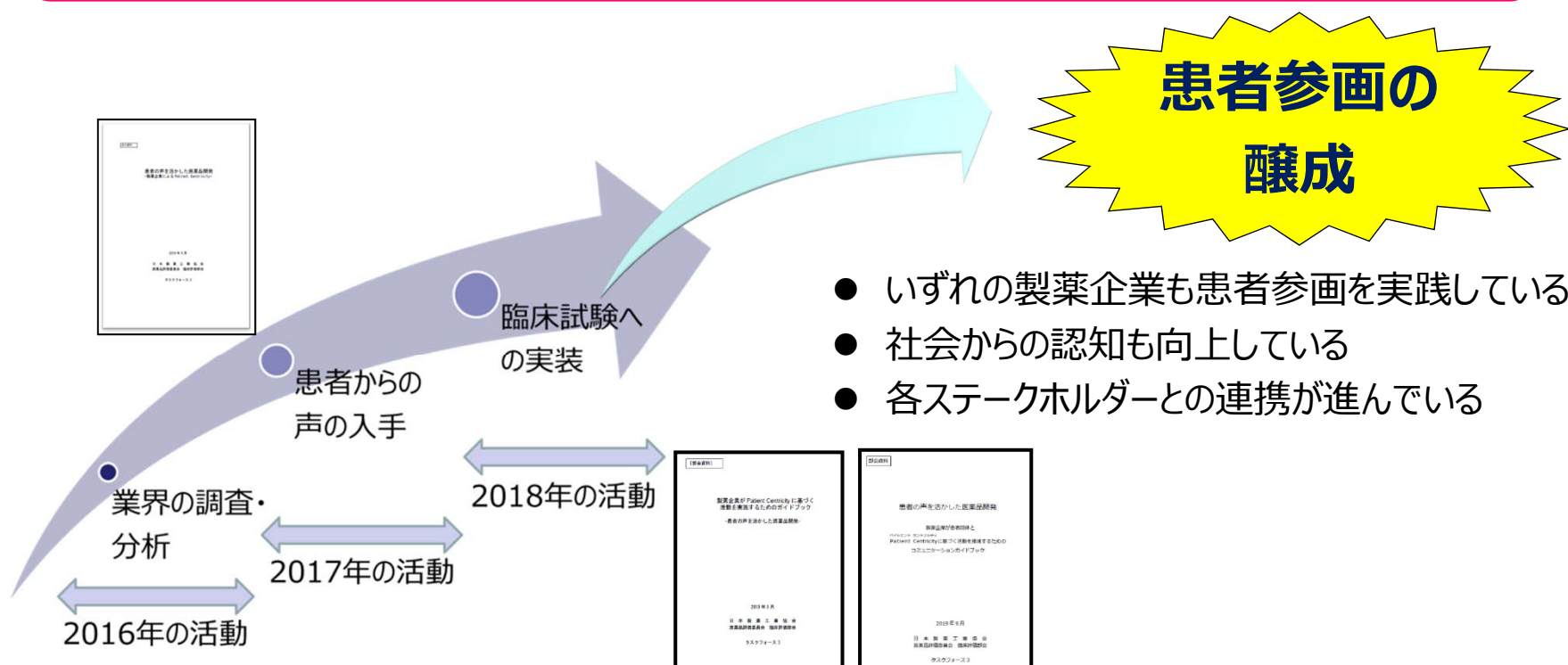
- はじめに
- **これまでのタスクフォースチームの活動**
- 日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）
- 日本における患者参画の取組み
- 患者の声および患者・患者団体の取組み
- 製薬企業での実装に向けた課題とアクション
- 今後の展望
- Take Home Message

KT-11 2019年度の活動方針

活動の目的： 患者と共に新薬開発を進める

活動のゴール： 患者参画の醸成

いずれの製薬企業も患者参画を実践している状態、社会からの認知も向上している状態、また各ステークホルダーとの連携が進んでいる状態



製薬企業での取り組みが進まない背景

多くの企業が重要性を理解しているものの、
実際に取り組んでいる企業は少ない。



患者団体等と協働の経験が少なく、取り組みに躊躇している。
また、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。



- ① 製薬企業が取組んだ事例の具体的な遂行手法や実施時の留意点等を集約したガイドブックを作成
- ② 医薬品開発で患者団体等と協働する際のコミュニケーションに焦点をあてたガイドブックを作成

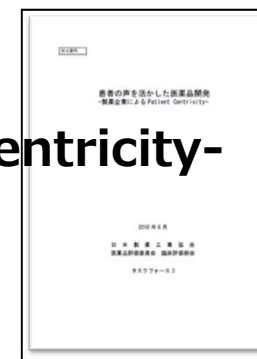
**各製薬企業において、患者の声を活かした医薬品開発の
実装に向けた一助になることを期待している**

Patient Centricityに基づく活動を後押しする ためのガイドブックを発行しました（2019年 9月）



2018年 7月公開

- ◇ 患者の声を活かした医薬品開発 –製薬企業によるPatient Centricity–



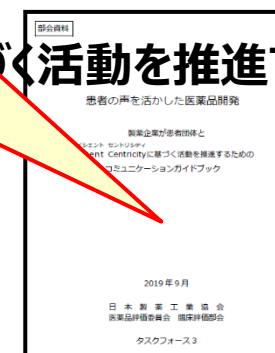
2019年

- ◇ 製薬企業

患者団体アドバイザーボードメンバー、
患者団体連携推進委員会
と協働しました！

ためのガイドブック

- ◇ 製薬企業が患者団体と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



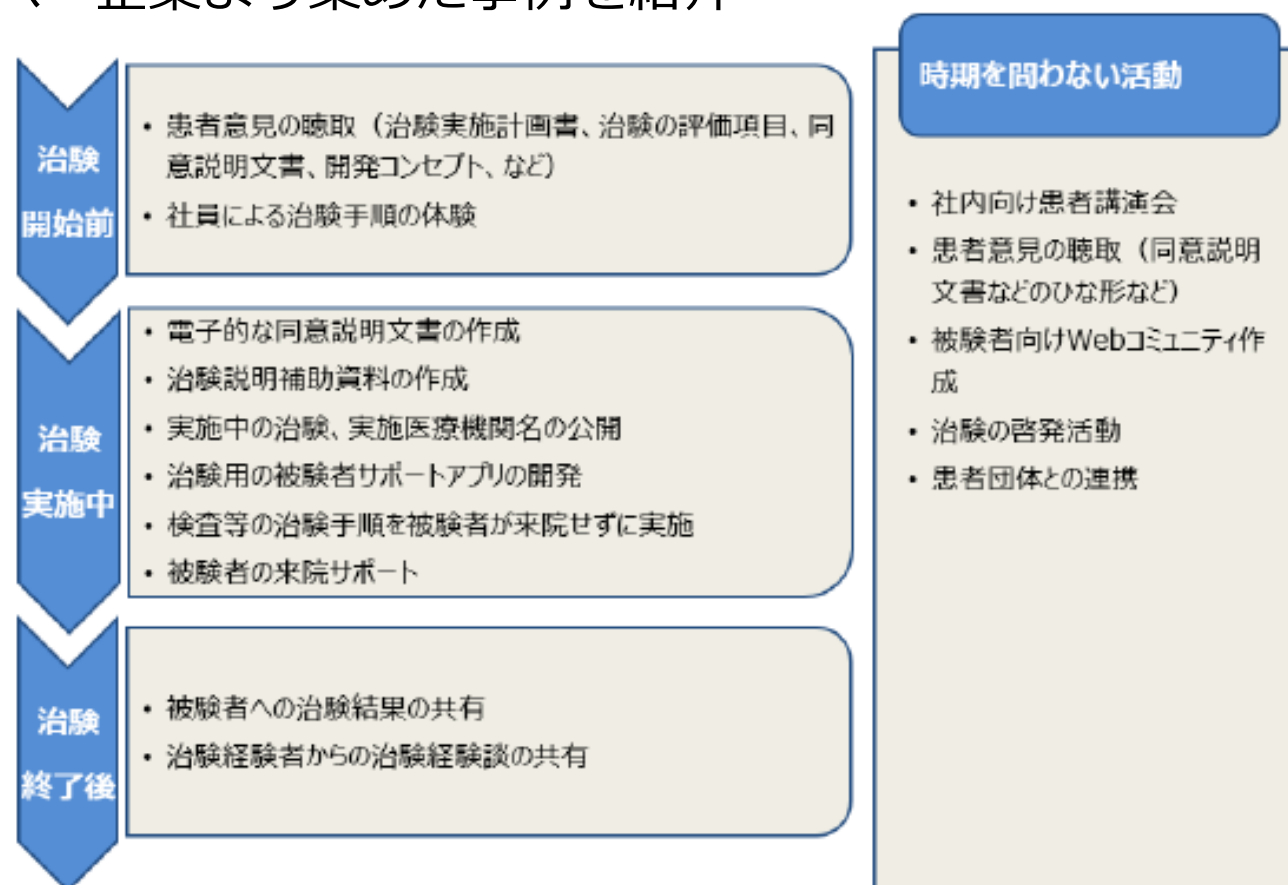
製薬企業がPatient Centricityに基づく活動を実施するためのガイドブック

(2019年9月公開 部会資料)



■ 内容

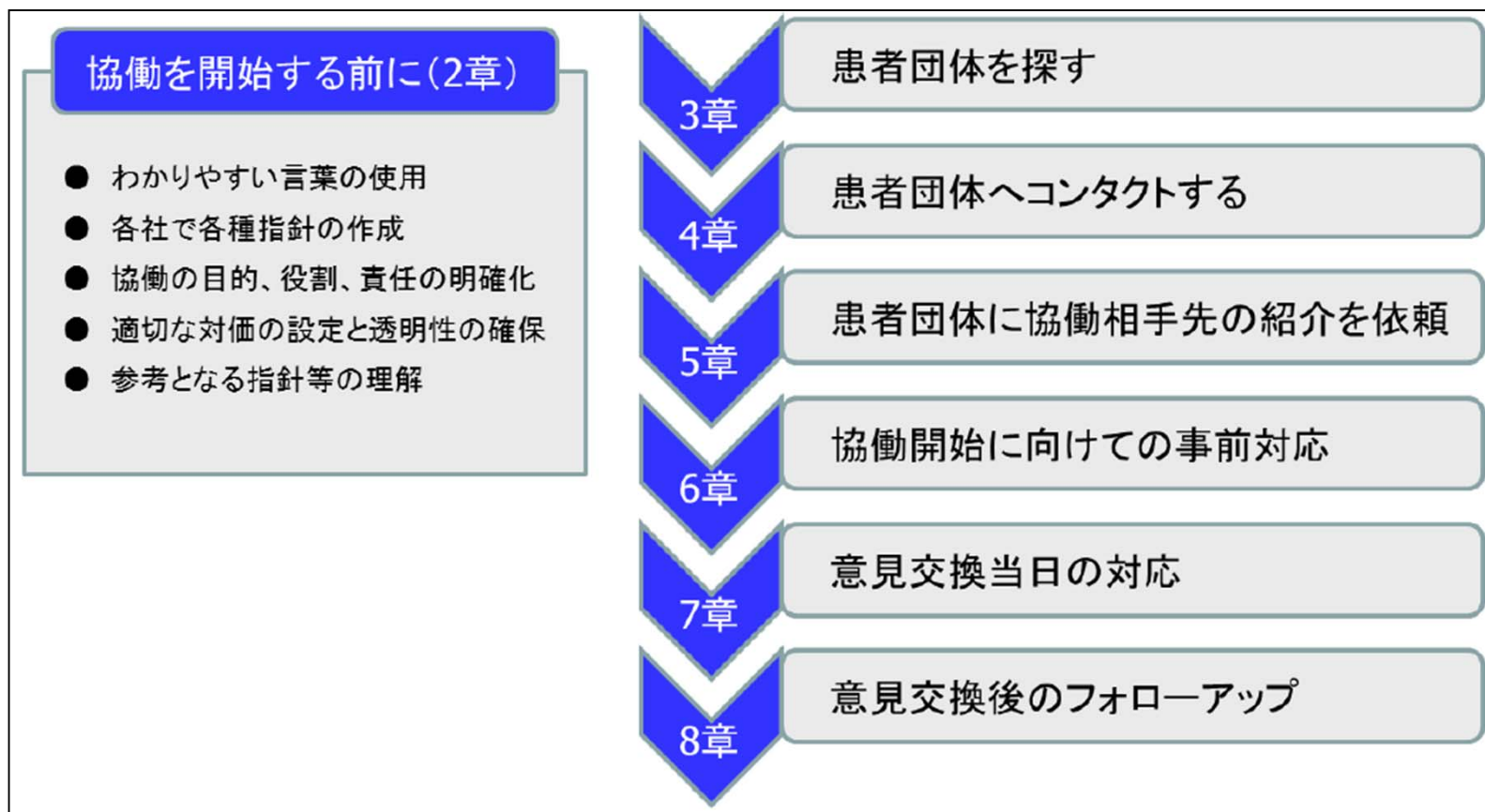
TF-3メンバー企業より集めた事例を紹介



出典：医薬品評価委員会の成果物＞患者の声を活かした医薬品開発 -製薬企業によるPatient Centricity-（2019年9月）
http://www.jpma.or.jp/medicine/shinyaku/tiken/allotment/patient_centricity2.html

製薬企業が患者団体と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月公開 部会資料、部会内資料)



部会内資料 = Q&A形式にて推奨方法や留意点を記載しました

本日のトピック

- はじめに
- これまでのタスクフォースチームの活動
- **日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）**
- 日本における患者参画の取組み
- 患者の声および患者・患者団体の取組み
- 製薬企業での実装に向けた課題とアクション
- 今後の展望
- Take Home Message

米国のPatient Centricityに関する取組み



【規制当局の取組み】

- 1980年代 医薬品開発への患者参画取組み開始。
- 1991年 AIDS拡散が契機となり、AIDS治療薬のFDAアドバイザリー委員会に患者代表が初めて参加。医薬品／医療機器の審査段階での意思決定に患者の声を反映させることを目的に**Patient Representative Program**と称される活動が本格実施。
- 2012年 “FDA安全及びイノベーション法”を受け、新薬開発／審査のために**“Patient-Focused Drug Development Initiative”**開始。
2016/09時点19疾患で公開会議開催を実施（計画は、2017年までに20疾患以上で開催）し、“The Voice of Patient Report”として公開。
- 2014年 Patient Reported Outcome含む医薬品評価の新たなツール開発に関するガイダンス施行。
- 2016年 医療機器において、患者視点を承認審査データの一部として任意に提出するためのガイドライン施行。

引用：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」（2018年6月）

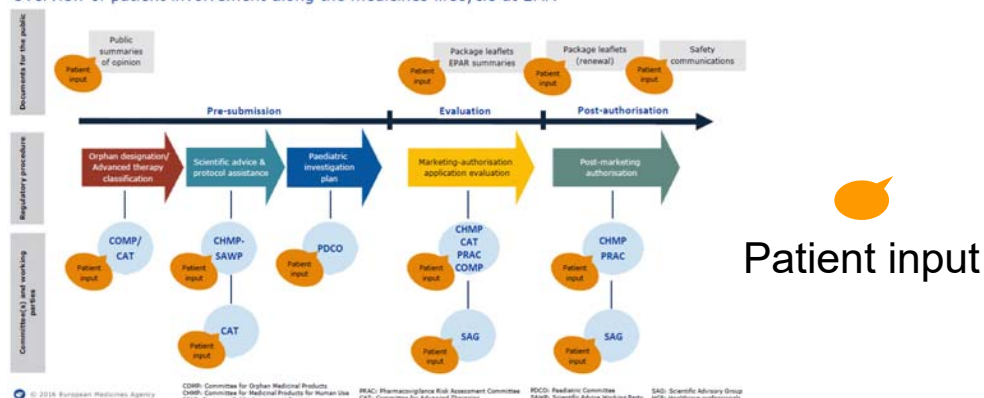
欧州のPatient Centricityに関する取組み



【規制当局の取組み】

- 1996年 HIV患者とEMA（旧EMEA）代表者との対話による両者の連携。
- 2000年 希少疾患指定申請のレビューを行うCommittee for Orphan Medicinal Products（**COMP**）への患者の参画や患者とのWorking Groupの設立。
- 2006年 Patients and Consumers Working Party（**PCWP**）設立により、患者の声を積極的に活かす取組みがさらに活発化、EMAの活動への患者参画に際しての手順をルール化、医薬品の開発段階から承認審査及び市販後の過程で患者の参画の開始。
- 2019年 治験依頼者に簡潔な試験概要を公開することを求める法規制施行予定

Overview of patient involvement along the medicines lifecycle at EMA



引用：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」（2018年6月）

日本のPatient Centricityに関する取組み(1)



【規制当局の取組み】

- 2005年 “**未承認薬使用問題検討会議**”が設置され、未承認薬・適応外薬に対する検討開始。
- 2012年 **臨床研究・治験5か年計画2012**：「患者の臨床研究・治験に関する理解が進むように努める」との計画が掲げられた。
- 2016年 未承認薬・適応外薬へのアクセス制度：「**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**」の制度が設立。
- 2017年 **医療分野研究開発推進計画**：「立案段階から被験者や患者の参画を促進する」
- 2017年 **がん対策推進基本計画**：「患者、がん経験者の参画によって、がん研究を推進する」

日本のPatient Centricityに関する取組み(2)



- 2018年 薬生薬審発0326第3号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知「治験実施状況の登録について」（平成30年3月26日）：
「国内の臨床試験情報登録センターに治験に係る情報を登録すること」
- 2018年 **臨床研究法**（平成29年法律第16号）の施行。実施医療機関名を含む臨床研究の情報を厚生労働省が整備するデータベースへ登録して公開することが規定。
- 2018年 **免疫アレルギー疾患研究戦略検討会**：「患者を含む国民が参画する研究成果への効果的な還元を目指す」
- 2019年 **厚生科学審議会・臨床研究部会**“**臨床研究・治験の推進における今後の方向性について**”：「研究における患者参画の取組を継続しつつ、まずは、研究を実施する医師の理解の促進を図るなど、段階的に取組を進める。」

「臨床試験を実施する上で患者や患者団体から助言を受けることがより良い医薬品の開発を支援する」 ICH-E8(R1)



参照：ICH E8 (R1) 臨床試験の一般指針 ガイドライン（案）和訳

2.3 患者からの情報の試験デザインへの反映

臨床試験のデザイン、計画及び実施に際して患者及び／又は患者団体からの助言を受けることは、全ての視点をとらえることを確実にすることに役立つ。患者の意見は医薬品開発の全ての相で求めることができる。試験デザインの早期の段階に患者が関与することは、試験の信用を高め、組み入れを容易にし、試験の期間中継続しなければならない遵守を促進する可能性がある。また、患者は、特定の症状を持って生活しているという彼らの視点を提供し、それは患者にとって意味のあるエンドポイントの決定、適切な対象集団の選択、試験期間、適切な比較対照の選択に貢献する。これは最終的には、患者の必要性に、より適合させた医薬品の開発を支援する。

3.3.3 ステークホルダーの試験デザインへの関与の促進

患者や実際の診療に携わる医師を含む幅広いステークホルダーは、臨床試験デザインに最も良く情報を与える。試験依頼者自身の組織の専門家やステークホルダーからの意見も謙虚に聴取するべきである。試験担当者、コーディネーター及び他の現場スタッフ、並びに患者／患者団体等、試験の成功に貢献する人々の参画は、試験に質を組込むプロセスに良い情報をもたらす。試験担当者の候補である患者は、提案された適格基準を満たす被験者を登録できる可能性がある。試験スケジュールや手順が過度な負担となり早期脱落を生じ易いかといった組織の課題について、あるいはまた試験エンドポイントや試験の設定の、対象となる患者の一般的な妥当性に関して価値ある識見を有する（4.4項参照）。彼らはまた、倫理、文化、地域、人口統計及び対象となる患者集団内の部分集団等の観点から、治療の有用性についての洞察も提供する可能性がある。

国内では遅れていた「産官学連携」の実践と推進が必要

7 質に関する重要な要因を同定するための留意事項

質に関する重要な要因は、3項で示したように、試験の計画時点で積極的で枠組にとらわれない議論と意思決定によって支援されるべきである。異なった種類の試験においては様々な要因が重要であり、これは4項から6項に示されている。試験のデザインに際しては、質に関する重要な要因の特定の支援をするために、以下のような視点を検討すべきである。患者を含むすべての関連する利害関係者の関与は、試験の計画及びデザイン中に考慮される。

本日のトピック

- はじめに
- これまでのタスクフォースチームの活動
- 日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）
- **日本における患者参画の取組み**
- 患者の声および患者・患者団体の取組み
- 製薬企業での実装に向けた課題とアクション
- 今後の展望
- Take Home Message

日本における患者参画の取組み AMED : Patient & Public Involvement



➤ 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～

- ・「患者さんに1分1秒でも早く医療研究開発の成果を届けること」（AMEDミッション）
- ・PPIは医療研究開発を推進する上で必須の概念。
- ・PPIを始める前の心構え、基本、実践、経験などを網羅。

製薬協・臨床評価部会からも参加しました



2019年 3月発行



出典：「研究への患者・市民参画（PPI）」国立研究開発法人日本医療研究開発機構
(<https://www.amed.go.jp/ppi/index.html>)

日本における患者参画の取組み PPI CONSORTIUM IN JAPAN



▶ 患者・市民参画コンソーシアム

2019年 7月設立

- ・ **日本版EUPATI**(患者リテラシーの向上)の作成に向け活動を開始。
- ・ 患者・市民向けの医療・医薬品開発に関する教育。



引用： PPI CONSORTIUM IN JAPAN ウェブサイト <https://ppijapan.org/>

本日のトピック

- はじめに
- これまでのタスクフォースチームの活動
- 日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）
- 日本における患者参画の取組み
- **患者の声および患者・患者団体の取組み**
- 製薬企業での実装に向けた課題とアクション
- 今後の展望
- Take Home Message

日本における患者団体の取組み

- 多様な形態の団体が存在(一般及び公益財団法人、社団法人やNPOなど)。
- ピアサポート活動を主とする団体が多く存在。一部はアドボカシー活動を展開。
- 医薬品開発へ積極的に関わることは稀であるとの報告も・・・
 - ・有効性評価尺度の日本語版作成研究への参加
 - ・治験への参加支援
 - ・新薬開発のための製薬企業へのアプローチ
 - ・治験への金銭的な支援
 - ・行政への治療薬承認要望等
 - ・医薬品開発に関する取り組み

患者団体の取組み事例



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) 一般社団法人 日本疾病・難病連絡協議会 (JPA)

本ガイドラインは、学術研究などに協力もしくは連携をおこないたいと考える患者会もしくは患者関連組織に向けて作成されたものです。現在既に行っている組織だけでなく、今後予定している組織にとってもわかりやすい内容となっています。このガイドラインを読んでいただき、研究協力もしくは連携に関する抵抗感を薄めていただくとともに、正しい姿勢で臨んでいただくことを期待しております。



COML 一般向け養成講座 認定NPO法人 ささえあい医療人権センター

- ・ 患者塾
- ・ 医療をささえる市民養成講座
- ・ 医療関係会議の一般養成講座
- ・ 患者と医療者のコミュニケーション講座



臨床試験に参加しよう (Clinical Trials) NPO法人 パンキャンジャパン

近年、遺伝子研究の進展による分子標的薬の出現で臓器がんを対象とする治療薬開発への期待も高まっています。NCCNガイドライン (※) では、すべてのがん患者に対する最良の管理法は臨床試験にあるとして、臨床試験への参加を強く勧めています。臨床試験/治験に参加するメリットについては以下を参考にしてください。

患者の知りたい声に応える活動は重要。

“日本語”で“治験実施医療機関名”の公開を！

- 「治験を実施している医療機関の名称を公開することの推奨について」
臨床評価部会から文書を発出し、再度周知しました。（令和2年1月20日付け）
- ✓ 治験情報の公開は「治験実施状況の登録について」により周知されています。
(平成30年3月26日付け薬生薬審発0326第3号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知)
→国内の臨床試験情報登録センターに治験に係る情報を登録すること
- ✓ 治験実施医療機関名も同様に、治験情報の一部として国内の臨床試験情報登録センターで公開しましょう。
- ✓ 治験実施医療機関名の公開が推進されることにより、患者が治験への参加を検討できる環境が構築されます。

厚生労働省、臨床研究法について。

<http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html>

厚生労働省 医政局研究開発振興課、臨床研究法の施行にあたって（AMED臨床研究課合同公募説明会）

<https://www.amed.go.jp/content/000025905.pdf>

平成30年3月26日付け薬生薬審発0326第3号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知。

<http://www.hourei.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T180327I0070.pdf>



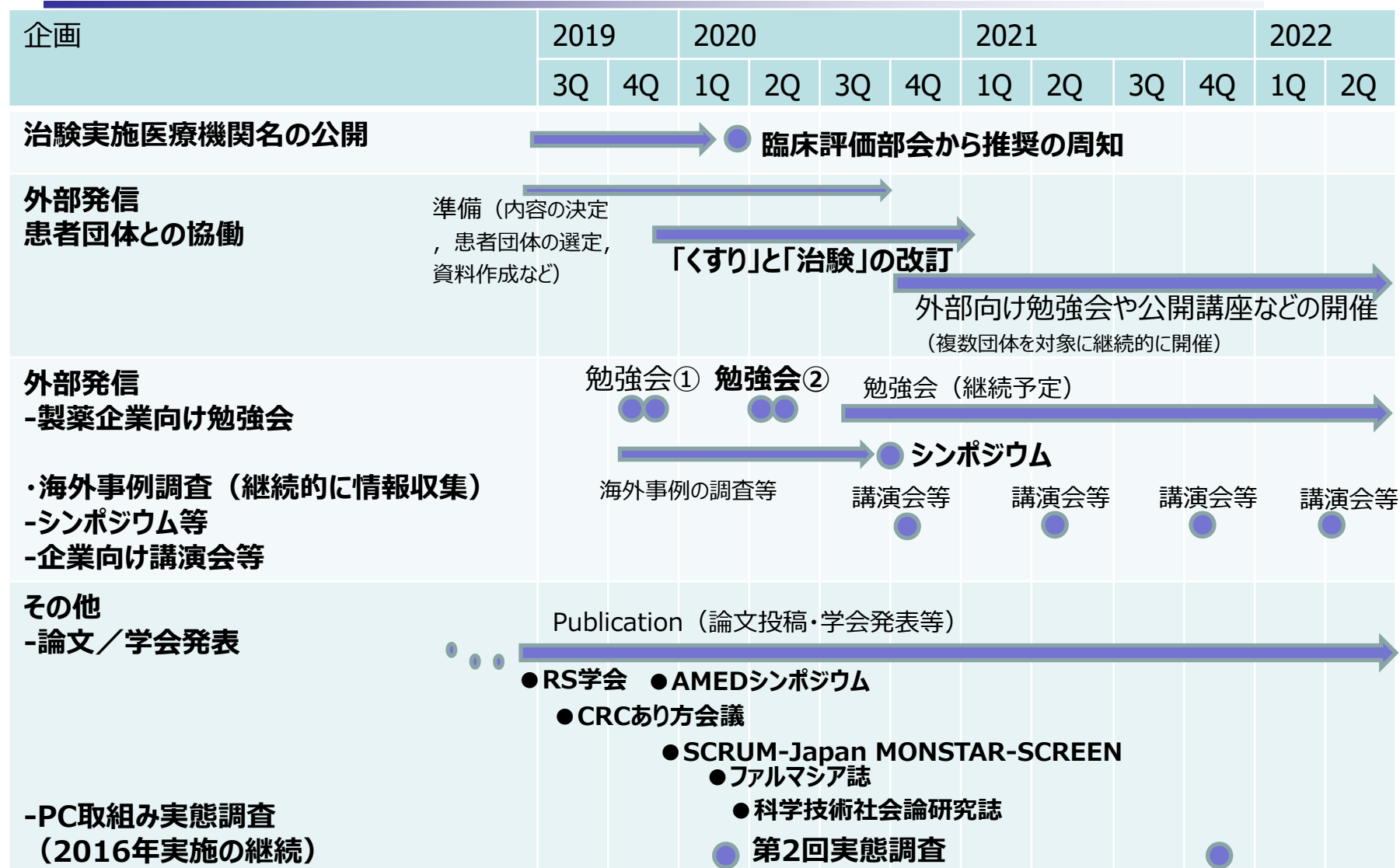
本日のトピック

- はじめに
- これまでのタスクフォースチームの活動
- 日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）
- 日本における患者参画の取組み
- 患者の声および患者・患者団体の取組み
- **製薬企業での実装に向けた課題とアクション**
- 今後の展望
- Take Home Message

製薬企業における現状の課題

- Patient Centricity に基づく活動の重要性は認識しているものの、具体的な取り組みはまだ活発ではない
- 指針やガイドラインもなく、取り組み方は各社次第
- 患者団体等との協働の経験が少ない
- 治験情報公開が不十分

KT-11 アクションプラン



製薬企業対象の勉強会を開催

事例提供していただきました講師の皆様と
ご所属会社に御礼申し上げます。

- 昨年11/26と12/5に勉強会を実施
- 臨床評価部会加盟会社から30社が参加
- 治験実施計画書に対する患者の意見聴取，患者団体／患者とのコミュニケーション方法，患者への治験結果の共有などについて各社の具体的な事例及び経験を基に意見交換
- 参加者の大半から有意義だったとの意見をいただいた



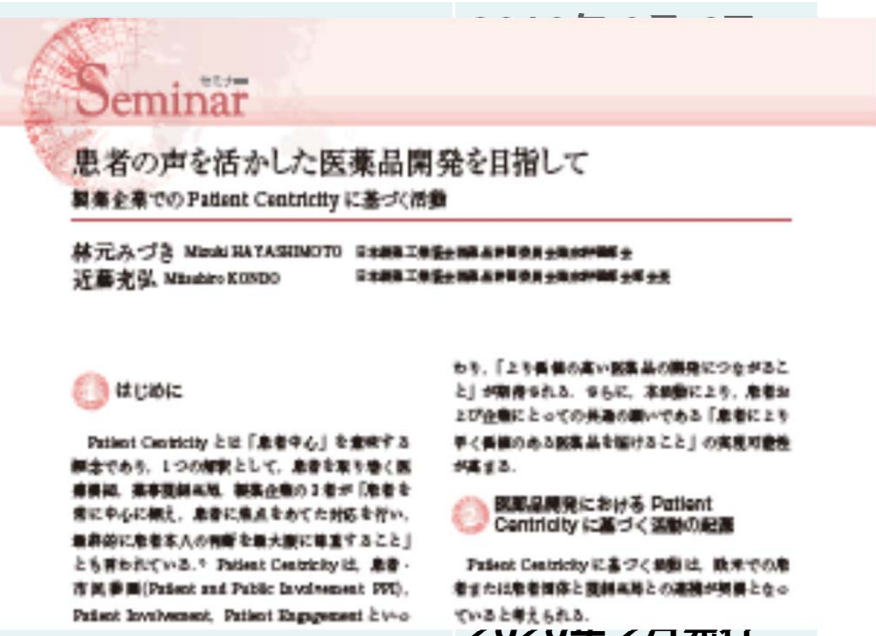
勉強会実施後のアンケート結果より

- 社内講演などで患者の声を聞いてはいるが，活かしていない。
- 現状，患者団体との窓口が無いなど，社内体制を整える必要がある。
- 国際共同治験が多いため，どのように日本の患者の声を届けていくか，課題を感じる。
- 業界内でも積極的な動きがあることを知ることができた。
- 自社に持ち帰り検討しようという案件が沢山あった。
- 説明文書・同意文書や治験実施計画書へ患者の声を活かしていこうという姿勢がもっと必要だと感じた。
- QOLの評価について，まず国内試験で取り組みたい。

Patient Centricityに基づく活動の拡がりと展開

1/2



対外活動	日程
AMED PPI ワークショップ 患者・市民参画PPIガイドブックの活用	2019年 5月21日
PPI Consortium in Japan設立記念世話人会 患者教育・EUPATI日本語版 発起人 鈴木 和幸 氏（ノバルティス ファーマ）	2019年 7月24日
第9回レギュラトリーサイエンス学会 シンポジウム2「患者と共に進める医薬品開発の現況」 講演 木村 崇史 氏（ファイザーR&D）	
第19回CRCと臨床試験のあり方を考える会議2019 シンポジウム8「医薬品開発における患者参画」 講演 松山 翔 氏（科研製薬）	
2019 年度 第2 回 SCRUM-Japan MONSTA 新規プロジェクト紹介2「患者・市民参画の現状について」 講演 宮田 雅代 氏（ヤンセンファーマ）	
AMED シンポジウム 2019 ワークショップ2「医療研究開発における患者・市民参画」 講演 西川 智章 氏（ヤンセンファーマ）	
ファルマシア誌 Vol. 56. No.2. 2020 「患者の声を活かした医薬品開発を目指して」 林元 みづき 氏（セルジーン）, 近藤 充弘 氏（大塚製薬）	
科学技術社会論研究誌 Vol.18. 2020 「製薬企業でのPatient Centricityに基づく活動の試み」 林元 みづき 氏（セルジーン）, 近藤 充弘 氏（大塚製薬）, 他	2020年 3月発行 予定

Patient Centricityに基づく活動の拡がりと展開

2/2



製薬協の活動	日程
患者団体連携推進委員会定例会議 講演「2018年度TF-3活動報告」 松山 翔 氏（科研製薬）	2019年 9月25日
患者の声を活かした医薬品開発の勉強会 1-1 （製薬企業向け）	2019年11月26日
患者の声を活かした医薬品開発の勉強会 1-2 （製薬企業向け）	2019年12月 4日
患者団体連携推進委員会勉強会 講演「患者さんによる講演会」 中前 修一 氏（武田薬品工業）	2020年 1月29日
患者の声を活かした医薬品開発の勉強会 2-1 （製薬企業向け）	2020年 4月10日 （予定）
患者の声を活かした医薬品開発の勉強会 2-2 （製薬企業向け）	2020年 4月15日 （予定）
Patient Centricityに基づく活動 シンポジウム	2020年 9月 （予定）

本日のトピック

- はじめに
- これまでのタスクフォースチームの活動
- 日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）
- 日本における患者参画の取組み
- 患者の声および患者・患者団体の取組み
- 製薬企業での実装に向けた課題とアクション
- **今後の展望**
- Take Home Message

今後の展望

－さらなる推進のために製薬協・製薬企業は何をする？－



企業内の取組み

- Patient Centricity に基づく活動を実装している企業から、これから取組み始める企業へ事例共有（勉強会）
- 学会などでの企業や医療関係者への啓発活動
- 事例の蓄積による量的な効果の累積

患者との取組み

- 患者団体との協働を通じた推進のための議論を継続
- 患者・患者団体のリテラシー向上のための活動
- 協働の事例を各企業がひとつでも多く積み重ねる

情報公開

- わかりやすい言葉・日本語での情報発信
- 治験実施施設情報の日本語での公開促進
- 治験情報公開サイトの利便性向上

医療研究への患者参画はますます拡がりを見せています。 製薬企業の動きは・・・



産

製薬協臨床評価部会による製薬企業の後押し
一部の製薬企業による積極的な取り組み

患

患者リテラシーの向上のための患者団体の取り組み
産官学との意見交換や協働

官

患者参画検討ワーキンググループの活動を開始
患者参画を推奨するメッセージを発信

学

臨床研究において患者・市民参画（PPI）を推進
研究機関で患者参画の取り組みは始まっている

本日のトピック

- はじめに
- これまでのタスクフォースチームの活動
- 日米欧の規制当局の患者参画の取組み（おさらい）
- 日本における患者参画の取組み
- 患者の声および患者・患者団体の取組み
- 製薬企業での実装に向けた課題とアクション
- 今後の展望
- **Take Home Message**

Take Home Message from KT-11 member



- Patient Centricityに基づく活動は医薬品開発に良い影響をもたらします
- 目的やビジョンの明確化のもと、患者と協働を
- **患者の声を活かした医薬品開発を
日本に根付かせましょう**
- 試験実施医療機関名の公開を！
- 皆さまの熱意は患者・患者団体に伝わります。さらに前進しましょう。

日頃のご支援に深く感謝申し上げます。



- 😊 患者団体アドバイザリーボードメンバーの皆様
- 😊 患者団体連携推進委員会委員の皆様
- 😊 製薬協の皆様
- 😊 臨床評価部会の部会長・副部会長・監事・推進委員・すべてのTFの皆様
- 😊 臨床評価部会の加盟会社の皆様
- 😊 本日の総会にご参加の皆様

**2016年度から2019年度まで
延べ 95名／95社、実質 52名／48名。
の皆さまのご尽力とご貢献がありました。**



- 山田 絵美（アステラス製薬）
- 伊勢 千明（アストラゼネカ）
- 池原 修（E Aファーマ）
- 松山 翔（科研製薬）
- 牛丸 和美（キッセイ薬品工業）
- 林元 みづき（セルジーン）
- 北島 五輪男（大正製薬）
- 竹川 慶美（大日本住友製薬）
- 中前 修一（武田薬品工業）
- 後藤 和典（中外製薬）
- 鈴木 和幸（ノバルティス ファーマ）
- 植木 進**（バイエル薬品）
- 木村 崇史（ファイザー R&D）
- 駒場 環（ブリストル・マイヤーズスクイブ）
- 西川 智章*（ヤンセンファーマ）
- 杉原 一弘（ユーシービー・ジャパン）

**：リーダー *：サブリーダー

- 担当副部長：宮田 雅代（ヤンセンファーマ）
- 担当推進委員：藤岡 慶壮（大日本住友製薬）
- 監事 ：岸本 早江子（小野薬品工業）

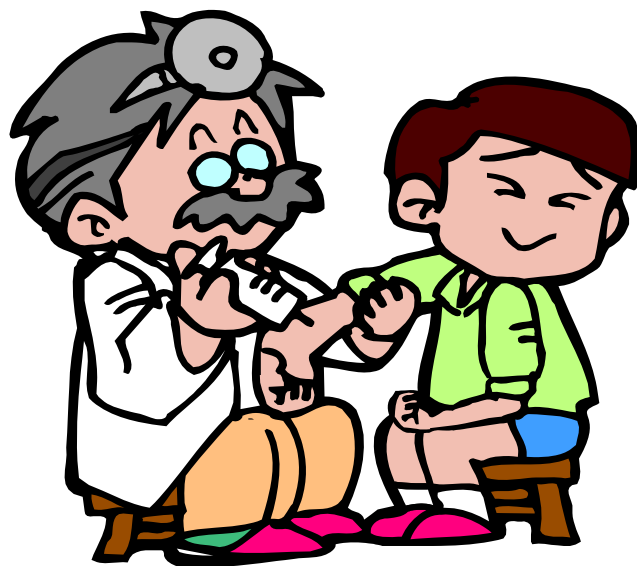
ご協力・ご参加をお願いします！



イベント	時期
Patient Centricityに基づく活動の実態調査 （臨床評価部会加盟会社向け）	～2020年 3月
Patient Centricityに基づく活動の勉強会 ～第2弾～	2020年 4月10日(金) (予定) 2020年 4月15日(水) (予定) @日本橋ライフサイエンスビル／東京
Patient Centricity シンポジウム （仮称）	2020年 9月(予定) @東京

ご清聴ありがとうございました。

より良い医薬品を
より早く患者さんのもとに



第2部 医薬品開発の近ミライを語る

患者の声を活かした医薬品開発を 日本に根付かせる

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会 臨床評価部会
継続タスクフォース11 植木 進