

Disclaimer: 本発表は演者の個人的見解を示すものであり、所属する組織の公式な見解ではないことをご留意ください。

The contents of this presentation represent the view of this presenter only, and do not represent the views and/or policies of the MHLW



患者参画シンポジウム

－ 行政の立場から －

2021年10月4日

厚生労働省医薬・生活衛生局

監視指導・麻薬対策課長

佐藤大作 Daisaku Sato, Ph.D.

本日の話題

- ▶はじめに
気をつけていただきたいこと
(監視指導・麻薬対策課としてのお話)
- ▶患者参画のPMDAでの取り組み

1. 医薬品医療機器法の規制条文

(概要)

• 虚偽・誇大広告等の禁止(法第66条)

- 医薬品等の名称、製造方法、効能・効果、性能に関する虚偽・誇大な記事の広告・記述・流布の禁止。
- 医師等が保証したと誤解を与えるおそれのある記事の広告・記述・流布の禁止。
- 墮胎暗示、わいせつ文書・図画の使用禁止。

• 特定疾病用医薬品の広告の制限(法第67条)

- 使用に当たって、高度な専門性が要求される、がん、肉腫及び白血病の医薬品の医薬関係者以外の一般人を対象とする広告の制限。

• 承認前医薬品等の広告の禁止(法第68条)

- 承認(又は認証)前の医薬品、医療機器又は再生医療等製品について、その名称、製造方法、効能、効果又は性能に関する広告の禁止。

2. 薬事法における医薬品等の 広告の該当性

(平成10年9月29日医薬監第148号厚生省医薬安全局監視指導課長通知)

- 顧客を誘引する(顧客の購入意欲を昂進させる)意図が明確であること
- 特定医薬品等の商品名が明らかにされていること
- 一般人が認知できる状態であること

3. 医療用医薬品の販売情報提供活動 に関するガイドライン

(平成30年9月25日薬生発0925第1号厚生労働省医薬・生活衛生局長通知)

① 目的:

医療用医薬品の販売情報提供活動において行う広告又は広告に類する行為を適正化することにより、適正使用を確保し、もって保健衛生の向上を図ること。

② 適用範囲等:

- 医薬品製造販売業者、その委託先・提携先企業及び医薬品卸売販売業者が行う販売情報提供活動が対象。
- 「販売情報提供活動」とは、能動的・受動的を問わず、特定の医療用医薬品の名称又は有効性・安全性の認知の向上等による販売促進を期待して、情報を提供すること。
- 「販売情報提供活動の資材等」とは、当該活動に使用される資料及び情報をいい、口頭による説明、パソコン上の映像、電磁的に提供されるもの等、その提供方法、媒体を問わない。
- 医薬情報担当者、メディカル・サイエンス・リエゾンその他の名称やその所属部門にかかわらず、雇用する全ての者等に対し適用。

③ 基本的考え方:

- 販売情報提供活動の原則

④ 医薬品製造販売業者等の責務:

- 経営陣の責務
- 社内体制の整備
- 販売情報提供活動の資材等の適切性の確保
- 販売情報提供活動に関する評価や教育等
- モニタリング等の監督指導の実施
- 手順書・記録の作成・管理
- 不適切な販売情報提供活動への対応
- 苦情処理 等

⑤ 販売情報提供活動の担当者の責務:

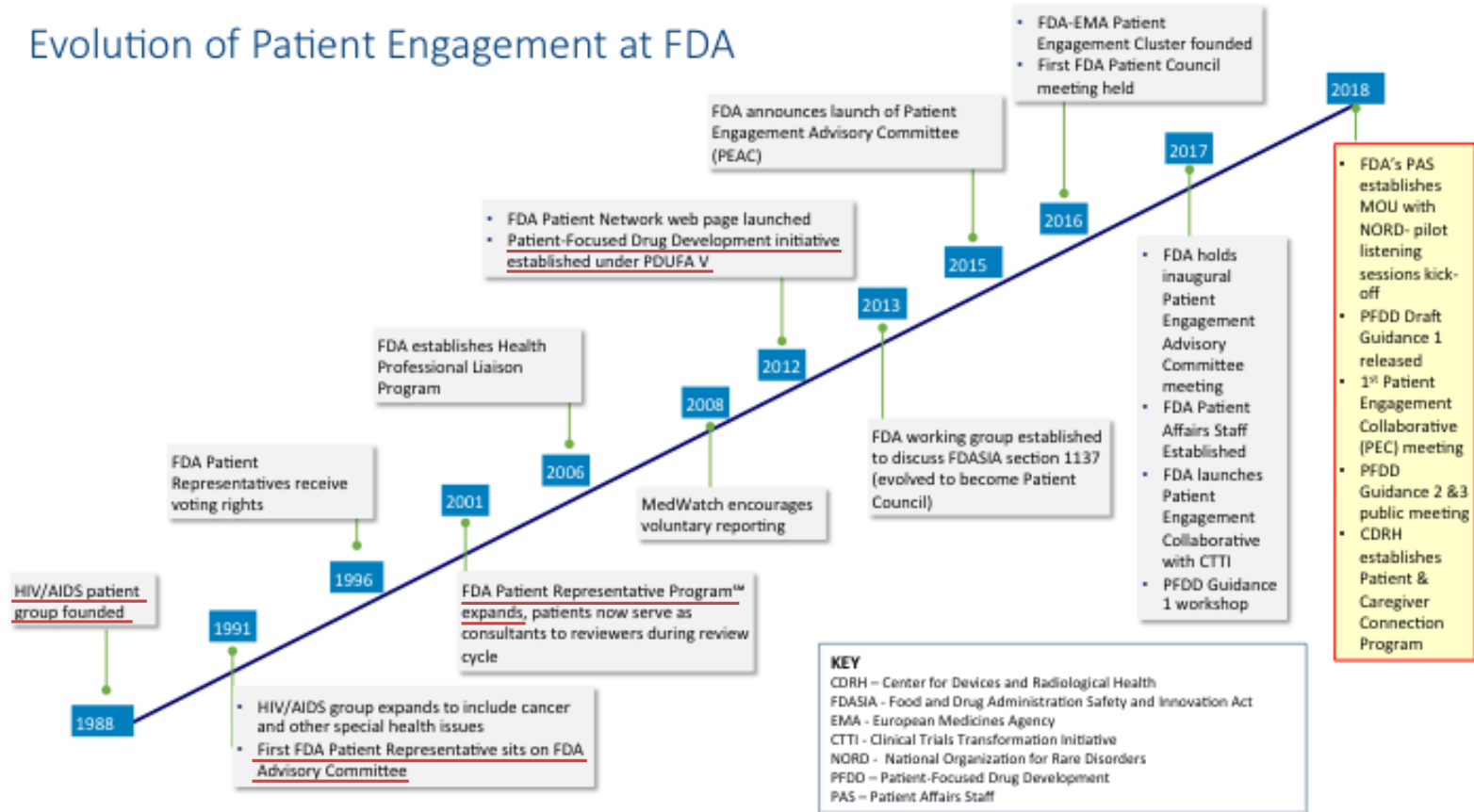
- 自己研鑽の努力
- 不適切な販売情報提供活動の資材等の使用禁止 等

⑥ その他:

- 関連団体における対応
- 未承認薬・適応外薬等に関する情報提供
- 医薬品卸売販売業者に関する特例
- 医薬関係者の責務 等

FDAにおける取組み～患者との連携

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 (連携の契機)

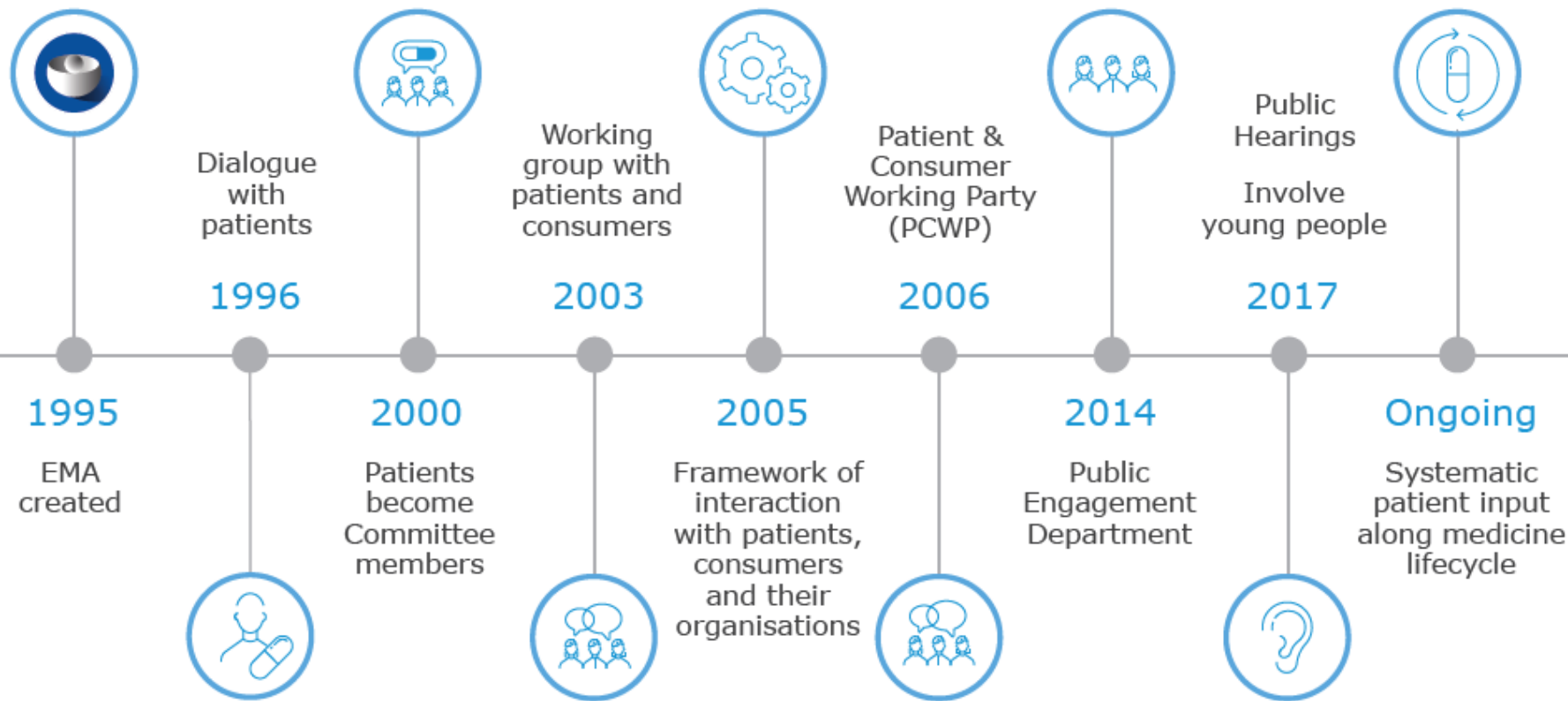
1991年 患者代表者が初めてAIDS治療薬のアドバイザリー委員会に参画

2012年 FDA Safety and Innovation Act (FDASIA) 成立

“Patient Focused Drug Development (PFDD) Initiative” 開始

(患者の声を医薬品開発/承認審査に取り入れることを目的とする施策)

EMAにおける取組み～患者との連携



1995年 EMA設立

1996年 HIV感染者の要望でEMA代表者が患者と対話 (連携の契機)

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 (連携の活発化)

本邦の規制当局におけるこれまでの患者参画活動

• 患者からの情報提供

– 患者副作用報告制度（試行：2012～、正式化：2019～）

- 医薬品による副作用が疑われる症例についての情報を、患者や家族の方から直接収集することにより、医薬品の安全対策に活用

– 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（2009～）

- 医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討等を行う

– その他要望書受付 等

• 会議体への患者参加

– 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



本邦の規制当局と患者会との関わり(一例)

PMDA 藤原理事長にお手紙を渡しました

遺伝子治療薬Zolgensmaは、2018年11月1日に製薬会社ノボリティス・ジャパンよりPMDAへ承認申請がされましたが、申請より一年以上経過した現在もいまだ未承認です。

そこでSMA家族の会では、2019年11月25日、この新薬の一日も早い承認と薬価収載を求める陳情書をお渡しするため、当事者を含む有志の会員6家族8名で、PMDA藤原理事長の元を訪れました。会としてPMDAを訪れるのは、今回で3度目です。

当日は乳幼児のSMA患者をもつ保護者を中心に、今すぐにもZolgensmaの投与が必要と思われる患者家族が集まり、心中を吐露するお手紙を朗読しました。お手紙には、このお薬の一日も早い承認を心待ちにしていること、また、新薬が子どもたちにとっていかに希望の光であるか、などが綴られていました。

さらに、当日同行が叶わなかった会員さんより寄せられたビデオレターを上映し、事前に預かったお手紙も直接手渡しました。

同行者も当局の職員も涙を見せる場面があり、私たち患者家族の切実な思いと、鬼気迫った状況が十分に伝わったかと思えます。

また前回の訪問時と同様に、Zolgensmaの承認によって期待できる経済的効果についてもお話ししました。SMAの罹患率を基に、今後10年間の推計患者数と一人当たりの経済的効果を算出し、具体的な数値をお伝えしました。

藤原理事長も真剣に聞いてくださり、Zolgensmaの早期承認に向けて、誠心誠意取り組んでくださると仰っていただきました。

遠方よりご参加くださった皆さま、真心のこもったビデオレターやお手紙をお寄せくださった会員さん、ご協力、本当にどうもありがとうございました。
遺伝子治療薬Zolgensmaは、難病治療の未来を担うものです。私たち患者の思いが通じ、一日も早く承認され、全国の必要としている患者さんの元に届くことを心より願っています。

- SMA(脊髄性筋萎縮症)家族の会
 - ゾルゲンスマの審査中に患者会がPMDA理事長と面会し、意見交換、早期承認を要望

■ 日本ムコ多糖症患者家族の会

- ムコ多糖症Ⅱ型(ハンター症候群)治療薬の先駆け審査指定制度に関する要望書を厚生労働省に提出



The banner features a central logo of a pregnant woman with a fetus, labeled 'MPS'. To the right, there are icons for 'ガラクトシアリドーシス' (Galactosidosis), 'ムコリビドーシス' (Mucopolysaccharidosis), and 'ムコ多糖症' (Mucopolysaccharidosis). Below these are icons for 'GM1-ガングリオシドーシス' (GM1-gangliosidosis) and 'GM2-ガングリオシドーシス' (GM2-gangliosidosis). The text reads: '日本ムコ多糖症患者家族の会' (The Japanese Society of the Patients and the Families with Mucopolysaccharidoses), 'ムコ多糖症 ガラクトシアリドーシス ムコリビドーシス GM1-ガングリオシドーシス GM2-ガングリオシドーシス'. At the bottom, there are seven navigation buttons: 'トップ' (Home), '病気について' (About the disease), '治療法について' (About treatment), '会について' (About the society), '入会ご案内' (Joining guide), '賛助会員について' (About supporters), and '顧問医師より' (From the advisory doctor).

PMDAのHP(一般の方向けページ)か

The screenshot shows the PMDA website homepage. At the top left is the PMDA logo and the text '独立行政法人 医薬品医療機器総合機構' and 'Pharmaceuticals and Medical Devices Agency'. On the right, there are links for '本文へジャンプ' (Jump to main text), '文字サイズ' (Text size) with '標準' (Standard) and '拡大' (Enlarge) buttons, and language options for '日本語' (Japanese) and 'English'. Below these are 'サイトマップ' (Site map) and a search bar labeled 'サイト内検索' (Search within site) with a '検索' (Search) button. A row of utility buttons includes 'よくみるページ一覧' (List of frequently viewed pages), 'お問い合わせ先' (Contact information), '各種様式ダウンロード' (Download various forms), and '地図・交通案内' (Map and traffic information). A central navigation bar contains four buttons: '一般の方向け' (General), '医療従事者向け' (For medical professionals), 'アカデミア向け' (For academia), and '企業向け' (For companies). The '一般の方向け' button is circled in orange. To the left of this bar is a '訪問者別ナビゲーション' (Visitor navigation) section with 'おすすめのコンテンツをご案内します' (We will guide you to recommended content) and a link to '製品種類別ナビへ切替' (Switch to navigation by product type).

- くすりQ&A
- 患者向医薬品ガイド
- ワクチン接種を受ける人へのガイド
- 一般用医薬品/要指導医薬品の添付文書
- PMDAからの医薬品適正使用のお願い
- 緊急安全性情報/安全性速報
- 重篤副作用疾患別対応マニュアル
- 患者からの医薬品副作用報告
- 医薬品副作用被害救済制度相談窓口
- 医療機器Q&A
- PMDAからの医療機器適正使用のお願い
- 患者・一般の方からの相談窓口
- くすり・医療機器の承認情報

患者からの副作用報告の状況

1. 概要

- 厚生労働省の「薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会」報告書等を受け、平成24年3月より試行的に患者副作用報告のWebシステムによる受付を実施。
- 平成31年3月26日より、厚生労働省が作成する「患者からの医薬品副作用報告」実施要領に基づき、正式受付を開始。Webシステムでの受付に加え、郵送による報告の受付も実施。

2. 令和2年度の報告状況(令和2年4月1日～令和3年3月31日)

- 報告数: 126件
- 医薬品の延べ数: 175品目
医療用医薬品164品目、一般用・要指導医薬品11品目
- 報告者の内訳: 患者本人112件、家族14件
- 全ての報告内容を確認し、フォローアップが必要な報告については調査も実施した上で、安全対策措置を検討する際の情報のひとつとして活用した。

3. 周知の取組み

- PMDAのWebサイトのトップページに患者副作用報告のバナーを掲載、広報用リーフレット・ポスター・広報誌掲載用資材を作成し、関係機関の協力をいただき配布
- 厚生労働省より各都道府県宛の協力依頼通知、政府広報(令和元年11月)、SNS(twitter、Facebook)による配信、医薬品・医療機器等安全性情報(No.363)掲載



国内の動向①

● 日本製薬工業協会（製薬協）による報告書

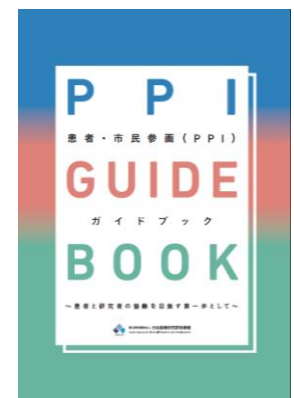
- 「患者の声を活かした医薬品開発-製薬企業によるPatient Centricity-」(2018年6月)
- 「製薬企業がPatient Centricityに基づく活動を実施するためのガイドブック-患者の声を活かした医薬品開発-」(2019年9月)
- 「患者の声を活かした医薬品開発 製薬企業が患者団体とPatient Centricityに基づく活動を推進するためのコミュニケーションガイドブック」(2019年9月)

● 製薬企業での医薬品開発におけるPatient Centricity活動：
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。加えて、患者の「知りたいという声」に応えた企業活動（例えば情報公開）も含む



国内の動向②

- AMEDにおける研究への患者・市民参画（ Patient and Public Involvement 、 PPI ）～
 - 臨床研究等における患者・市民参画に関する動向調査の実施
 - 「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)
 - 研究への患者・市民参画に関する基本的な考え方の創出
- 医学研究・臨床試験における患者・市民参画とは：
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
- 理念：
 - ① 患者等にとってより役に立つ研究成果を創出する
 - ② 医学研究・臨床試験の円滑な実施を実現する
 - ③ 被験者保護に資する（リスクを低減する）



国内の動向③

- **患者・市民参画コンソーシアム(PPI Consortium in Japan) (2019年7月設立)**
 - 医療・医薬品の開発に関心を寄せる患者・市民とアカデミア・製薬業界関係者が共に協議し、医療・医薬品開発に関する考え方やそのプロセス、また倫理性、透明性の高い関係者間の協業の在り方などに関する情報発信をするためのプラットフォームとして設立。



PPI CONSORTIUM
IN JAPAN

国際的な取組み～CIOMS（国際医学団体協議会）

- 1949年にWHOとUNESCOにより設立
- 様々な医学領域の団体で構成
- ガイダンス発行を通して公衆衛生の発展を図る
- 2018年4月に患者参画に関するWorking Group XI (Patient Involvement) が始動
- 患者団体、産業界、規制当局、アカデミア、世界医師会が参画
- Patient Involvementに関する国際的ガイダンスの作成が開始



患者参画検討WG

- 2019年5月発足
- 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と共有し、相互にコミュニケーションするための、PMDAの取組みを検討。
- 欧米の状況や進行中の計画について状況把握を行い、日本の環境で最適な制度を探り、2年後を目途にガイダンス、広報のあり方などを公表。

- 患者会との意見交換のあり方の検討
 - 新薬・新機器承認審査
 - 安全対策関係
- 患者向け広報のあり方、窓口の設置のあり方
- 患者活動とPMDAのかかわりのガイダンスの作成



NEW

活動成果
独立行政法人医薬品医療機器総合機構
患者参画ガイダンス(令和3年9月7日作成)

患者参画検討WG

活動内容
患者参画や患者との協同に向けたPMDAの取組みとして、患者向け広報のあり方の検討や、患者活動とPMDAのかかわりのガイダンス作成等を行います。

開始時期
令和元年5月

関連部署
経営企画部、国際部、新薬審査第一～五部、再生医療製品等審査部、ワクチン等審査部、医療機器審査第一～二部、安全性情報・企画管理部、医薬品安全対策第一～二部、医療機器品質管理・安全対策部、研究支援・推進部等

これまでの活動について
[独立行政法人医薬品医療機器総合機構 患者参画ガイダンス] (令和3年9月7日) を公表しました。

患者参画検討WGの活動の例


- **認定NPO法人ささえあい医療人権センター（COML）の委員バンク登録会員との意見交換**

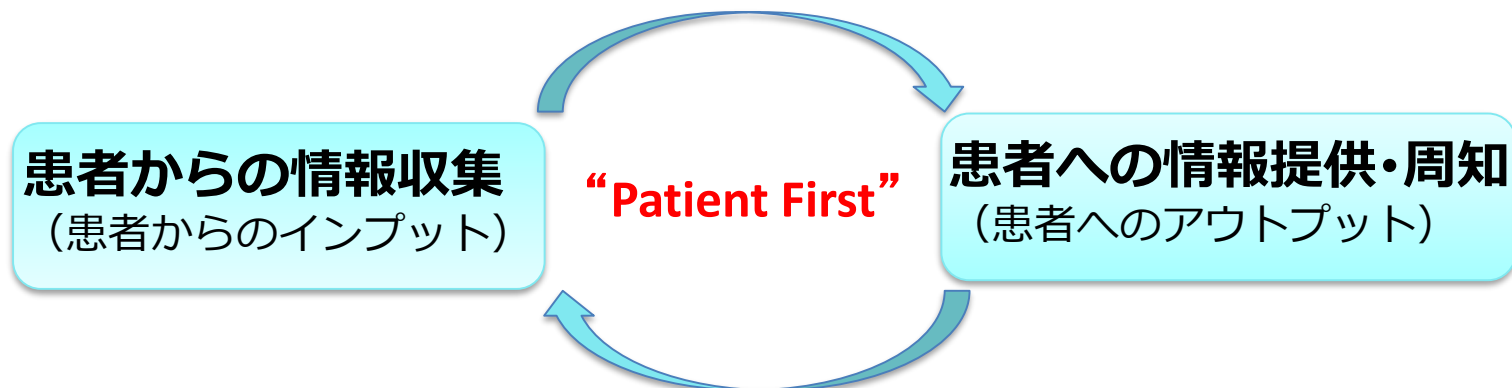
- 患者参画検討WGのメンバーからPMDAにおける審査・安全・救済の主な業務内容や薬事規制について紹介
- 患者の視点から見た際のPMDAの業務に関して活発な意見交換を実施



- **個々の患者会との意見交換（ご要望ベース、医薬品評価の考え方など）**

PMDAにおける患者参画～基本的方針

- 患者の声・意見・要望を反映することにより、患者参画により“Patient First”というPMDAの理念を具現化するとともに、患者の薬事行政や医薬品・医療機器等への理解と満足度の向上を図ることを目指す。
- 
- 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活動指針を取りまとめたガイダンスを作成した。(令和3年9月)
 - 「PMDA患者参画ガイダンス」の基本コンセプト：
 - 患者の声等の積極的な収集を行い、“Patient First”というPMDAの理念を具現化する。
 - 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。
 - その双方によって患者参画の推進を図る。



「独立行政法人医薬品医療機器 総合機構 患者参画ガイドンス」

令和3年9月7日 公表

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 患者参画ガイドンス

令和3年9月7日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
患者参画検討ワーキンググループ

目次

I. 総論

- (1) PMDAにおける患者参画の定義及び理念
- (2) 本ガイドンスの目的
- (3) PMDAにおける患者参画推進の基本的方針

II. 患者等からの情報の収集・反映

- (1) 患者等からの情報の収集・反映について
- (2) 患者等の声を収集する仕組み
 - ① 患者団体との意見交換・勉強会の実施
 - ② PMDAが開催する会議等への患者等の参加の検討
 - ③ その他既存制度による情報収集
- (3) PMDAの業務において得られる患者からの情報への対応
 - ① 開発段階における患者参画活動への対応
 - ② PMDAに直接寄せられる要望書等への対応

III. 患者等向け情報提供

- (1) 患者等向け情報提供のあり方について
- (2) 患者参画活動のために提供すべき情報
 - ① 薬事行政に係る基礎的な情報発信
 - ② 安全性情報等の積極的な情報発信
 - ③ その他
- (3) 情報提供に用いる媒体等
 - ① PMDA ウェブサイトの充実
 - ② 各種イベントへの参加及び開催
 - ③ 各種資材等の充実
 - ④ その他

「PMDA患者参画ガイダンス」における取組み



患者の声を聴く
意見交換会等の実施

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）

PMDAが開催する会議
への患者参加を検討

PMDAの業務への反映



患者からの情報収集
(患者からのインプット)

“Patient First”

患者への情報提供・周知
(患者へのアウトプット)

患者報告アウトカム
(PRO) の取扱い
を検討

**患者のPMDA業務への
理解の向上**

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

PMDAにおける患者参画～今後の検討課題等

・ 患者報告アウトカム

～Patient Reported Outcome (PRO)～

- 患者の声・ニーズをどのようにPROに反映させるか（患者はどのような症状・問題を抱えているのか）
 - PROの指標の適切性（設問と疾患関連の変化が明確か、スコアの重みづけ、臨床的意義等）
 - 評価指標のバリデーション・施設担当者や被験者のトレーニングの方法
 - 国際共同試験の場合、医療環境・文化等の国内外差を踏まえたPROの結果の解釈
- **医薬品の評価において、患者の声を反映し、適切に収集するためのより体系的な方法を模索**

ご静聴ありがとうございました。