

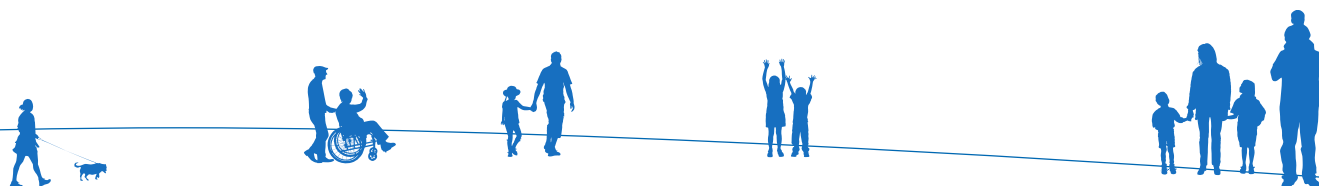
ICH E22

General Consideration for Patient Preference Studies 患者選好研究に関する一般指針

Rio de Janeiro meeting, May-June 2026



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
手塚 瞬（Topic leader）



- Overview of topic -患者選考研究（PPS）の概要も含めて-
- リオデジャネイロ会合前までの進捗 -Public consultation等-
- リオデジャネイロ会合でのactionと成果
- 今後のWork Plan : Key Milestones and Activities



患者選考研究（PPS）についての一般的な指針に焦点を当てたハイレベルのガイドライン
Label（添付文書）への記載はscope外であり、PPSを申請の要件とするものではない

ICH Reflection Paper on PFDD (Patient Focused Drug Development)



ICH Reflection Paper
Endorsed by the ICH Assembly on 2 June 2021

ICH Reflection paper

Proposed ICH Guideline Work to Advance Patient Focused Drug Development

This paper identifies key areas where incorporation of the patient's perspective could improve the quality, relevance, safety and efficiency of drug development and inform regulatory decision making. It also presents opportunities for development of new ICH guidelines to provide a globally harmonized approach to inclusion of the patient's perspective in a way that is methodologically sound and fit-for-purpose for both regulated industry and regulatory authorities.

A. Background

Patients have direct experience in living with a disease. They have firsthand knowledge of the impact of the disease on their life and on how they feel and function. They bring unique and valuable perspectives to drug development that cannot be provided by the clinical, scientific, legal and other experts. It is important for health authorities and for drug developers to incorporate the patient's perspective early in the drug discovery and development stage and to continue throughout the entire drug lifecycle.

Growing patient advocacy and patient engagement, and continued advances in communication technologies, internet, social media, and a proliferation of information services and sources, have created a rich yet complex environment for eliciting and incorporating patient perspectives throughout the drug development process. In this environment it is increasingly critical to develop a harmonized approach to collecting and incorporating patient perspectives for these to become more prominent in drug development and decision making.

In many instances patient focus is already considered in traditional development plans, and patient input is already sought except that the methods for identifying, collecting, and analyzing what is meaningful to patients, are not standard or harmonised. Similarly, studies of patient preferences may not be useful in some cases, but when they are, it would be beneficial that the methods followed were

現状

患者の視点を特定・収集・分析する方法が標準化されておらず、患者選好研究も統一された基準が存在しない。

2つの新たなICHガイドラインを提案（2021年6月）

- PRO等の臨床アウトカム評価（COA）についてのガイドライン
- 患者選好情報（PPI）についてのガイドライン（ICH E22）

Patient-Focused Drug Development (PFDD)

✓ ICH Reflection Paper on PFDD

The ICH Reflection Paper on *Patient-Focused Drug Development* (PFDD) identifies key areas where incorporation of the patient's perspective could improve the quality, relevance, safety and efficiency of drug development and inform regulatory decision making. It also presents opportunities for development of new ICH guidelines to provide a globally harmonized approach to inclusion of the patient's perspective in a way that is methodologically sound and sustainable for both regulated industry and regulatory authorities.

The Reflection Paper was endorsed by the Assembly in November 2020 and was published on the ICH and other ICH Regulators' websites for public consultation up to March 2021. As a result of this public consultation, the Reflection Paper was revised and endorsed by the Assembly in June 2021, and can be downloaded below.



Reflection paper :

ICHでの調和活動が必要と考えられるガイドライン等を提案する文書

related decision making.

”What”：患者選好研究（PPS）とは？

2025年11月公開のStep2b到達のICH E22ガイドライン案の冒頭より

1. INTRODUCTION

1.1 Background

Patient preference studies (PPS) aim to assess the relative desirability or acceptability of actual or potential health interventions, or their characteristics and outcomes. PPS can generate structured insights about the relative importance of characteristics, also referred to as attributes, that are considered by patients. PPS studies may include, for example, efficacy and safety characteristics.

「既存若しくは可能性のある医療介入、又はその医療介入の特徴や結果に対する相対的な望ましさや受容性を評価することを目的とするもの」

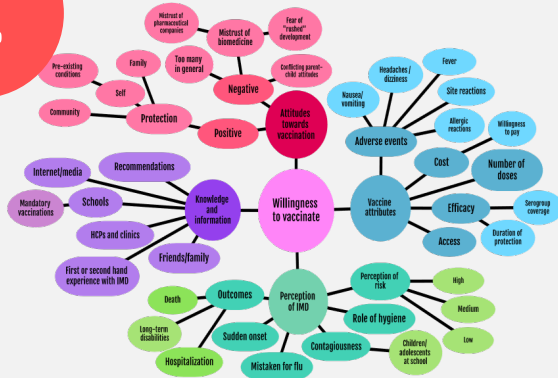
https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_E22_Step2_draftGuideline_Assembly_Endorsed_FINAL_2025_1119.pdf

治療や治療の特徴について、患者にとってのトレードオフや相対的な重要性を評価すること



"What" : 患者選好研究 (PPS) とは？

1

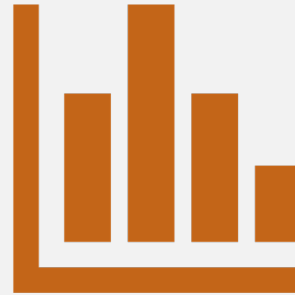


Coulter J, et al From Qualitative Research to Quantitative Preference Elicitation: An Example in Invasive Meningococcal Disease. Patient. 2024 May; 17(3): 319-33

What Matters to Patients

「何が重要か」

2



How Much it Matters

「どれだけ重要か」

3



Tradeoffs

Patients are Willing to Make Between
Benefits and Risks

「許容できるトレードオフ」

- Patient Preference Information (PPI, 患者選好情報)
: 治療等のさまざまな特性 (Attributes) について、患者にとって「何が」「どの程度」重要か
- Patient Preference Studies (PPS, 患者選好研究)
: PPIを、定性的 (Qualitative) 又は定量的 (Quantitative) に研究すること

➤➤➤ 臨床試験での評価項目の選択や得られた結果のベネフィットリスク評価などに寄与

”When & Where”：患者選好研究の活用可能性



医薬品開発の様々な段階で活用される可能性

→E22のScopeは、Regulatory submissionを企図した開発や評価での活用

開発早期

試験計画

開発後期

市販後



アンメットニーズ、
治療目的の優先順位、
患者の臨床試験参加の
意向等の理解に寄与

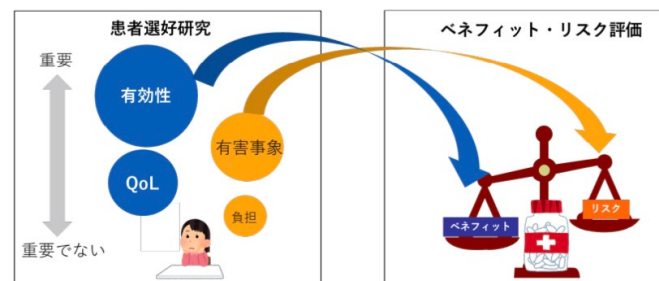


定性的

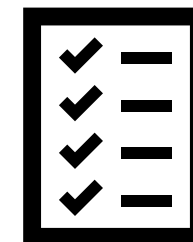


定量的

- ・ **エンドポイントの開発・選択**，優先順位付けに寄与
- ・ エンドポイントの値の変化の大きさの患者にとっての意義等の理解に寄与



患者の視点に基づく臨床
試験結果のベネフィット
・ **リスク評価への寄与**
(有効性と安全性の特性間で
、患者がどのようなベネフィ
ット・リスクを許容するか)



市販後のリスク管理計画
策定等への寄与

リオデジャネイロ会合まで①（2024-2025）

2024年

2024年3月

IWG発足
Web MTG開始

2024年6月

コンセプト
ペーパー承認
IWG→EWG

2024年11月

モントリオール会合

- ガイドラインの重要な要素・枠組みの
コンセンサス
- Stakeholder Engagement Planと
トレーニングマテリアルの検討開始



2025年

2025年5月

マドリード会合

- Step 1サインオフへ向けての
ガイドラインの最終化
- Stakeholder Engagement
についてのコンセンサス



2025年11月

Step 2a/b
サインオフ

2025年12月

ガイドライン案と
トレーニング
マテリアルの公開

リオデジャネイロ会合まで②（現在Step 3）

2026年

2026年4月までグローバルでのパブリックコンサルテーションを実施
日本でのパブリックコンサルテーション期間：2026年1月19日～4月10日



969

のコメント

- ・ 全体的にポジティブなフィードバック（PPSへの認知や期待の促進に）
- ・ 実践的なガイダンスをより期待する声

Stakeholder Engagement

- 1 グローバルでのウェビナーを2月6日に実施
：ガイドライン案・トレーニングマテリアルの説明と日米欧の患者代表とのパネルディスカッション
- 2 日本国内でも、ステークホルダーミーティングを1月21日に実施（3時間）
：5名の患者代表等，患者の声を代表するステークホルダーへのガイドライン案の説明とディスカッション
- 3 学術集会のPatient Advocate ProgramでPPSについてのセッションを患者団体と企画



YouTube
公開中

パブリックコメントを踏まえた対応を行い、順調に進行（on track）

- 対面会合前から対応を進め、残っていた論点について議論→合意へ
 - ガイドライン案のrevision→Line by lineのレビューを繰り返した
 - ガイドライン案の主なrevisionについて合意→revisionの最終化は近々



ガイドラインの適用のしやすさ、理解、今後の新たな手法にも適応できるよう、一般的指針の範疇であるように、ハイレベルのガイドラインを維持

- トレーニングマテリアルのrevisionの必要性和最終化への方向性に合意

今後のWork Plan -Key Milestones and Activities-

Expected Completion date	Deliverable
Sep. 2026	• PWP consultation on revised version of step 2b document; • Preparation of EWG step 4 presentation
Nov. 2026	• Training material completed • Include development of basic and advanced training module (ICH Pilot AI supported development)
Dec. 2026	• Step 3 sign-off • Step 4 adoption of final Guideline

当初のPlanどおり順調に進んでいます。
パブリックコンサルテーションや様々な
Stakeholder Engagementにご尽力いた
だいたみなさまに心より感謝申し上げます。

