

PPI(Patient and Public Involvement)で 創る未来

新たな一歩に向けた PPI 事例集

日本製薬工業協会
患者団体連携推進委員会

はじめに

日本製薬工業協会(以下、製薬協)患者団体連携推進委員会(以下、当委員会)は、製薬協の事業方針および当委員会の実施計画に沿って、患者団体および患者支援団体(以下、患者団体)と協働しながら、患者さんにとってよりよい医療環境を実現することを目指しています。そのためには、医療への患者・市民参画(Patient & Public Involvement(以下、PPI))が大変重要であることから、PPIを推進し、患者団体と製薬企業双方の相互理解、および新たな協働機会の創出を掲げ、活動しています。

製薬協の各委員会や各製薬企業においても PPI の取り組みは広がりつつありますが、そうした情報が患者さんや社会に向けて十分に共有されていない現状があると認識しています。

そこで、これまで当委員会の各製薬企業が実施してきたPPIの事例および関連情報を集約した本書を作成し、みなさまへ広く知っていただく機会とすることといたしました。そして今後、患者団体の方々からのご意見もいただきながら、ともに本書の内容を充実させていきたいと考えています。

本書が、みなさまに PPI の事例を一つでも多く知っていただき、PPIへの理解を深めていただく一助になるとともに、さらなる具体的な事例の積み重ねに向けた新たな協働機会の創出と、患者団体・製薬企業双方の相互理解の促進につながることを願っています。



目次

I. PPI とは	3
1. 日本における PPI	3
2. 製薬協のこれまでの取り組み	5
II. 製薬企業の取り組み事例	8
1. 患者さんの視点、ニーズを学ぶ機会	8
2. 患者団体との協働に関する社内の手順整備に向けた取り組み	13
3. 製剤開発・治験・臨床研究に患者さんの視点を取り入れる取り組み	15
4. 治験や疾患に関する情報提供活動に関する患者団体との協働	20
III. くすりが届くまで	25



I. PPIとは

1. 日本におけるPPI

Patient and Public Involvement の略称であり、日本語では一般的に「患者・市民参画」といわれています。

PPI は、英国で最初に採り入れられた考え方であり、「患者・市民のために、または患者・市民について、研究が行われること」ではなく、「患者・市民とともに、または患者・市民によって、研究が行われること」という、元々は研究分野(医学研究や臨床試験など)に寄った定義がありました¹。

日本では、2017年に厚生労働省が発表した「がん対策推進基本計画」で患者さんの参画について言及され、2019年には国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)がPPIガイドブックを発表、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)で患者参画検討ワーキンググループが発足、2020年には一般社団法人PPI Japanや一般社団法人医療開発基盤研究所(Ji4pe)が設立されるなど、さまざまな機関・団体がPPI推進のための活動を行なっています。PPIには確立した一つの定義はないものの、総じて、医薬品の研究開発に患者・市民の声を取り入れて患者・市民とともによりよい薬剤・治療法の実現につなげる取り組みを指すことが多いようです。

さらに最近では、研究分野に限らず医療政策など全般において、その意思決定の場に患者・市民の参画を求めるという考え方に発展し、患者は、確立された医療を享受するだけでなく、よりよい医療を作り上げるパートナーとして認識されるに至っています²。

製薬企業においても、医薬品のあらゆる段階で、患者さんに寄り添い、患者さんの声を取り入れ、患者さんとともに、よりよい医療を実現するためのさまざまな活動が推進されてきています。



¹ 吉田晃子:「医薬産業政策研究所ニュース No.65 「PPIの最新動向 患者・市民参画の成長期」(2022年3月): https://www.jpma.or.jp/opir/news/065/65_2.pdf

² 武藤香織:「臨床研究への患者・市民参画政策の黎明期に」: https://www.jstage.jst.go.jp/article/iken/28/1/28_29.035/_pdf

各組織・団体が示す PPI

AMED	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(患者、家族、元患者(サバイバー)、未来の患者を想定)の知見を参考にすること ³
PMDA	患者等の声を把握、理解し、業務に活用することを患者参画と定義し、患者参画により”Patient First” という PMDA の取組みを具現化する ⁴
(一社) PPI Japan	患者やその家族、市民の方々の経験や知見・想いを積極的に将来の治療やケアの研究開発、医療の運営などのために活かしていこうとする取り組み ⁵
(一社) Ji4pe.tokyo	誰もが健康と福祉を享受できるように、専門家だけでなく国民全体が医薬品の開発や使用、医療データ、技術革新の導入などに際しての公共課題の解決に関わっていくこと ⁶

³ AMED: <https://www.amed.go.jp/ppi/teiginado.html>

⁴ PMDA: <https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/cross-sectional-project/0020.html>

⁵ 一般社団法人 PPI Japan: <https://www.ppijapan.org/>

⁶ 一般社団法人医療開発基盤研究所: <https://ji4pe.tokyo/index.html>

2. 製薬協のこれまでの取り組み

製薬協では、2016年に「製薬協 産業ビジョン 2025⁷」を策定して以降、PPIの理念に基づいた患者参加型医療の実現に向けた活動を続けています。主な活動を時系列に掲載するとともに、当委員会が関わる活動についてご紹介します。

年月	活動内容
2016年 1月	「製薬協 産業ビジョン 2025」を策定
2018年 6月	「患者の声を活かした医薬品開発-製薬企業による Patient Centricity ⁻⁸ 」を作成
2021年 3月	「第3回 患者団体の意識・活動調査結果報告書 ⁹ 」を作成
2021年 5月	「製薬協 産業ビジョン 2025 追補版（患者とご家族に向けて） ¹⁰ 」を策定
2022年 3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（2022年版） ¹¹ 」を作成
2022年 5月	「患者団体との協働に関するガイドライン」を改訂…①
2023年 2月	「希少疾病患者さんの困りごとに関する調査 ¹² 」を作成
2023年 3月	「治験の探し方～jRCTのみかた～」を作成
2023年 6月	「臨床試験にみんながアクセスしやすい社会を創る会」に参画…②
2023年 7月	「難病・希少疾病患者に関する提言 ¹³ 」を作成
2023年 11月	医薬・医療領域における啓発イベント「病いと生きる。希望と生きる。写真展～まだ見ぬ答えを、生み出す未来へ～ ¹⁴ 」を開催
2023年 12月	PPI 推進に向けた「患者団体アドバイザリーボード」を開催…③
2024年 2月	「製薬協 Rare Disease Day2024 シンポジウム ¹⁵ 」を RDD Japan 事務局と共催

⁷ 製薬協 産業ビジョン 2025:https://www.jpma.or.jp/vision/industry_vision2025/index.html

⁸ 患者の声を活かした医薬品開発-製薬企業による Patient Centricity:
https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000005m95-att/patient_centricity.pdf

⁹ 第3回 患者団体の意識・活動調査結果報告書:https://www.jpma.or.jp/information/patient/research/jtmgf00000012fm-att/research03_all.pdf

¹⁰ 製薬協 産業ビジョン 2025 追補版(患者とご家族に向けて):
https://www.jpma.or.jp/vision/industry_vision2025_supplement/lofurc0000004300-att/20210520_1-2.pdf

¹¹ 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(2022年版):
https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/rfcmr00000001oj2-att/patientcentricity_guide_202203.pdf

¹² 希少疾病患者さんの困りごとに関する調査:
https://www.jpma.or.jp/information/industrial_policy/rare_diseases/report/index.html

¹³ 難病・希少疾患に関する提言:
https://www.jpma.or.jp/information/industrial_policy/rare_diseases/proposal.html/index.html

¹⁴ 「病いと生きる。希望と生きる。写真展～まだ見ぬ答えを、生み出す未来へ～」:
https://www.jpma.or.jp/news_room/release/news2023/231120.html

¹⁵ 製薬協 Rare Disease Day 2024 シンポジウム:
https://www.jpma.or.jp/information/industrial_policy/rare_diseases/events/jpma-rdd240204.html

年月	活動内容
2024年 3月	第41回患者団体セミナー「PPIをもっと身近に～明日から取り組める医療への患者・市民参画～」を開催…④
2024年 4月	「治験への患者参画に関するアンケート結果報告書 ¹⁶ 」を作成
2024年 6月	「(治験で用いられる) 説明文書・同意文書 共通テンプレート ¹⁷ 」を作成
2024年 7月	「治験の探し方～jRCTのみかた～(第2版) ¹⁸ 」を作成



¹⁶ 治験への患者参画に関するアンケート結果報告書:

<https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/PPISurvey.html>

¹⁷ (治験で用いられる)説明文書・同意文書 共通テンプレート:

https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/CL_202406_material.html

¹⁸ 治験の探し方～jRCTのみかた～(第2版):

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

① 患者団体との協働における高い倫理観と透明性の確保への取り組み

製薬企業は、薬機法¹⁹、臨床研究法、販売情報提供活動ガイドライン²⁰など、様々な法律やルールを順守した行動が求められています。製薬協では、患者団体との協働において高い倫理観と透明性の確保を推進するため、「患者団体との協働に関するガイドライン」、「企業活動と患者団体の関係の透明性ガイドライン」を策定しています。

■ 患者団体との協働に関するガイドライン²¹

患者団体の方々とのあらゆる協働において、高い倫理観を持って誠実に行動し、患者団体の独立性を尊重するとともに、患者団体との協働の目的と内容について十分に相互理解をするように努めるため、ガイドラインを策定しています。

■ 企業活動と患者団体の関係の透明性ガイドライン²²

患者団体に提供している金銭的な支援等について、一定のルールの下で情報を開示することにより、一層の透明性を確保し、その活動が高い倫理性を担保した上で患者団体の活動・発展に寄与する誠実な活動であることについて広く理解を得るために策定しています。

② 臨床試験へのアクセス改善に向けた取り組み

製薬協は、患者団体、医療者、研究者が疾患を越えて、臨床試験にアクセスしやすい環境を創ることを目指して立ち上がった「臨床試験にみんながアクセスしやすい社会を創る会(以下、創る会)²³」の趣旨に賛同し、当委員会が事務局を務めています。創る会では jRCT²⁴の改修に向けた取り組みを行うとともに、臨床試験情報の啓発周知活動を推進しています。

③ 外部アドバイザーとの意見交換

製薬協が患者団体との協働を通じて PPI を推進していくにあたり必要な助言を得ることを目的に、患者団体アドバイザリーボード²⁵を 2011 年から開催しています。

④ 患者団体の方々との相互理解を目指した取り組み

製薬協では、患者団体の方々にお役立ていただける情報を提供するとともに、団体同士、さらには患者団体と製薬企業との相互理解を深めることを目的に、「患者団体セミナー²⁶」を開催しています。近年では、PPI について共に考え、一歩踏み出すことをテーマに開催しています。

¹⁹ 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律

²⁰ 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

²¹ 患者団体との協働に関するガイドライン：https://www.jpma.or.jp/basis/patient_tomeisei/aboutguide/kyodo.html

²² 企業活動と患者団体の関係の透明性ガイドライン：

https://www.jpma.or.jp/basis/patient_tomeisei/aboutguide/tomeiseigl.html

²³ 参考)臨床試験にみんながアクセスしやすい社会を創る会：

<https://www.jpma.or.jp/information/patient/tsukurukai/index.html>

²⁴ 臨床研究等提出・公開システム(Japan Registry of Clinical Trials)：<https://jrct.niph.go.jp/>

²⁵ 患者アドバイザリーボード：<https://www.jpma.or.jp/information/patient/advisory/index.html>

²⁶ 患者団体セミナー：<https://www.jpma.or.jp/information/patient/seminar/index.html>

II. 製薬企業の取り組み事例

当委員会に参画する製薬企業から、これまでに取り組んできた PPI に関する具体的な事例を収集しました。取り組み内容ごとに分けてご紹介します。

1. 患者さんの視点、ニーズを学ぶ機会

- 1-1. 【研究開発部門】治療ニーズを患者さんから学ぶためのインタビュー
- 1-2. 【研究開発部門】患者さんとの対話から学ぶ「Healthcare Café」
- 1-3. 【全部門】患者さん視点の業務推進に向けた、患者さんによる社内講演会
- 1-4. 【全部門】小人数での患者さんとの対話会
- 1-5. 【企業を超えて】患者団体2団体と製薬企業3社のトップ対談

1-1. 【研究開発部門】治療ニーズを患者さんから学ぶためのインタビュー

目的/概要

“ある検査値の慢性的な異常”に対する治療について、多くの文献では既存治療で対応ができていとされていた。しかし、治療の必要性について、医師の見解が統一されていないことから、治療の必要性を改めて検討するため、患者さんから疾患における困りごとや日常生活への影響について意見をいただいた。

方法

患者団体に所属する患者さんやそのご家族、計3名との意見交換を実施。別途医師や看護師にもインタビューを行った。

- 質問内容を事前に送付し、実施時間は1.5～2時間程度
- 準備期間から実施まで、およそ半年

成果

- 当該症状の患者さんの生活に影響を与える具体的な困りごと、例えば“特有の症状から起き上がれないこと”などがあることがわかった。
- 医療者へのインタビュー結果と併せると、患者さん>看護師>医師の順に、当該症状の治療ニーズに対する認識が低くなる傾向が判明した。
- 医療者間でも治療ニーズの認識に差があり、患者さんの声を聞くことの重要性を理解する機会となった。
- 直接命に関わらずとも新薬が必要な生活上の障害が少なからず生じていることが分かり、今後、患者さんの生活における行動変化を臨床試験の指標に活かしていくことで、真に患者さんにとって価値ある薬の創出につながると考えられた。

1-2. 【研究開発部門】患者さんとの対話から学ぶ「Healthcare Café」

目的/概要

患者さんの視点を医薬品の研究および開発に活かすことを目的として、病気や障がいを持つ患者さん・当事者の方と、社員が対話・交流を行う「Healthcare Café」(ヘルスケア・カフェ)を複数の製薬企業が協働で2022年から開催している。

方法

“患者さんとともに創薬活動に取り組む”という想いを同じくする複数の製薬企業が、患者さんやそのご家族との対話の機会を各社順番に企画。開催の形式に制限はなく、これまで以下の形式で実施している。

- 対面による少人数での座談会(社員1~2名/社+患者さん1名、ご家族1名で数グループ編成)
 - パネルディスカッション
 - 研究所見学
 - 患者さんのご自宅訪問
 - 患者さん、そのご家族のお話を聞き、その経験に共感し、想いを寄せるワークショップ
- 患者さんの日常生活における想いや治療環境に対する課題、製薬企業や社会に対する期待について伺い、企業側の考えもお伝えする対話を継続することで、互いの理解を深めることに努めた。
- 準備期間は企画によっても異なるが、およそ半年間

成果

研究段階での患者さんとの対話は、医師や文献などからは知ることができない、以下のような知見を得ることができ、研究開発戦略を立てる際のヒントを蓄積することができた。

- 患者さんの真のアンメットニーズ
- 副作用に対する許容度
- 好ましい投与形態
- 病気や治療が患者さん本人やそのご家族の生活に与える影響の大きさ

患者さんやご家族と対話することにより、患者像がより明確になり、自身の職務への向き合い方やモチベーションが向上するだけでなく、患者さんのために自分に何が出来るかを真剣に考える機会となっている。さらに、本取り組みの企業ホームページでの公開、メディアによる取材と記事化を通して、対外的にも患者参画活動および関わった患者さんの疾患を啓発する機会としても機能している。また、製薬企業各社のPPIの方法やその成果を共有する機会にもなっている。



1-3.【全部門】患者さん視点の業務推進に向けた、患者さんによる社内講演会①

目的/概要

社員が、“患者さんは病気とともに生活を送っているということ”を具体的に想像できるようになるために、様々な疾患の患者さんによる社内講演会を定期的実施している。

方法

患者さんから以下のような内容について1時間程度でご講演をいただく。

- 発症から診断までの経過
- 治療内容とその経過、治療において求めること
- 医師とのコミュニケーションにおいて感じること
- 病気がなければやりたいこと、将来の夢

形式や運営方法は以下の通り

- 実施方法はオンライン、対面、ハイブリッド形式など
- 事前に2時間程度の打ち合わせを行い、当日は社員が司会を務めるインタビュー形式で実施
- 講演後に社員が感想を共有するグループワークを行う場合もある

成果

聴講した社員から以下のような声があり、患者さんからの学びを自身の業務に活かしている。

- 診断までに数年を要したお話を伺い、診断のためには様々な診療科の医師に当該疾患を知っていただく必要があることを知った。
- 「患者さんは先生に本音や細かい症状を言わない」と言われている背景、患者さん側のお気持ちを理解することができた。
- 自身の発言に責任を持って、医師への情報提供活動を行いたい。
- 品質、安定供給の大切さを実感することができた。
- より良い製品を届けたいという思いが、一層強くなった。
- ひとりひとり状況が異なる患者さんに、必要な医療情報が届くよう活動していきたい。



1-3.【全部門】患者さん視点の業務推進に向けた、患者さんによる社内講演会②

目的/概要

PPI 活動は自社の使命や経営方針に合致するものの、社内全体で、言葉の意味を含め正しく理解されるには至っていない。部署単位で PPI の取り組みは行われている一方、その活動をさらに加速させ、文化醸成につなげていくための企画が必要であると考え、PPI に関する社内講演会を実施した。

方法

- 社員から自社の取り組みや PPI について概説したのちに、患者さんより、PPI の意義や製薬企業との実例を共有いただいた。
- 社内会議室とオンラインのハイブリッドで実施

成果

400 名を超える社員が参加した。開催前のアンケートによると、参加者の PPI に対する認知度は 2 割程度であったが、開催後、参加者の 97% が PPI を理解できたと回答した。社員が特に興味をもった内容は以下の通り

- PPI 活動について
- 患者団体の活動について
- 患者さんが製薬会社に求めること

次回開催を望む声が 8 割を超えたため、今後は定期開催を行う予定としている。

1-3.【全部門】患者さん視点の業務推進に向けた、患者さんによる社内講演会③

目的/概要

疾患をお持ちの当事者やそのご家族のニーズを知るための機会として、患者さんによる講演および意見交換会を実施。

方法

- 当事者や希少疾患のご家族による講演会(来社またはリモート)と、講演後のグループワークを実施。
- これまでの疾患に対する想いや喜怒哀楽をご講演いただき、製薬企業に期待するニーズや製薬企業として実施できる取り組みの可能性などについて意見交換を実施した。
- 実施時間は、当事者やご家族のご要望に合わせ、2.5~3 時間とした。

成果

- 科学的な根拠だけでなく、患者さんやご家族が実際に生活される上での課題やお気持ちを理解し、製薬企業として何ができるのかを考えながら対話できる機会は大変貴重であった。
- 患者さんやご家族からは、『私たちが日頃何を感じ、どうなれば良いと思っているのかを製薬企業の方に知っていただけるのは大変貴重な機会であった。製薬企業のみなさんがどのような想いで創薬されているのかを知ることができて良かった。』との感想をいただき、お互いの理解を深める一歩となった。



1-4. 【全部門】小人数での患者さんとの対話会

目的/概要

患者さんと社員がお互いの状況や想い(日頃疑問に感じていること・知りたいこと)を共有することで、患者さんと社員両者が新しい気付きを得る機会になることを目的に、患者さんと社員数名の小人数での対話会を実施している。

方法

少人数の社員で患者さんのお話を伺いながら、社員からも質問を行う対話形式で実施する。

- 実施方法はオンラインや対面
- 患者さん1名と社員3名で構成されるグループを複数作り、各グループの社員が入れ替わるワールドカフェ方式で実施
- 年に3回程度開催
- 複数の疾患領域の患者さんをお招きする
- 対話会の前には製薬会社の仕事について、紹介を行っている

成果

参加した社員から以下のような声があった。

- 患者さんがどのようなペイシャントジャーニーを歩まれてきたのか、その時のお気持ちや生活、仕事や家族とのご関係、何をどう乗り越え、今何に直面されているのかを知る機会となった。
- 医師を介して得られる情報と実際の患者さんの状況には乖離があることを認識した。
- 副作用の状況や慢性疾患をもつ方のニーズ、生活への影響を理解できた。
- 患者さんから「製薬会社の新薬開発に取り組む姿勢を知ること、将来の治療に対する希望を抱くことができた」との声をいただき、我々の仕事の価値を再認識できた。

1-5. 【企業を超えて】患者団体2団体と製薬企業3社のトップ対談

目的/概要

欧米では、患者さん・患者団体や医療関係者、行政/当局、製薬企業などマルチステークホルダー間で相互理解を深めるための対話の場をもつことが非常に重要であると言われており、日本ではそのような機会がまだ限られているのが実情である。患者団体からのお声掛けを受け、日本におけるさらなるPPI推進に向けて、製薬企業のトップと患者団体代表との対談を実施した。

方法

患者団体代表3名、製薬企業トップ3名で、「医薬品研究開発への患者参画」および「情報提供のあり方」をテーマに対談を実施した。

司会進行は患者団体代表に務めていただいた。

成果

対談を通じて、課題解決に向けた取り組みは一社一団体の力だけでは実現が難しいことが再確認でき、PPIを推進するためにより多くのステークホルダーを巻き込むべく、患者団体2団体、製薬企業3社で共同メッセージを策定し社会へ発信した。

2. 患者団体との協働に関する社内の手順整備に向けた取り組み

2-1. 「Patient Engagement を行うためのガイドブック」の作成および公開

2-2. 患者さんの視点を取り入れながら業務を進めるためのスキーム作成

2-1. 「Patient Engagement を行うためのガイドブック」の作成および公開

目的/概要

近年、医薬品の研究開発における患者さんとの協働(以下 Patient Engagement)の機運が高まってきている一方で、非臨床段階からの Patient Engagement の進め方を具体的に示した適切なガイドラインが存在しなかった。そこで Patient Engagement を進める上で遵守すべきルール、具体的な方法、実施時の留意点等をまとめたガイドブックを製薬企業2社が協働で作成し、広く公開することとした。

方法

- Patient Engagement を推進する製薬企業 2 社の社員が協働し、初案を作成
- 患者団体を含む外部有識者によるレビューを行い最終化

成果

- 2021年3月に初版、2022年9月に改訂第二版を作成し、各社のホームページ上で公開した。患者さんとの対話の機会がある研究開発部門の社員が活用している。
- Patient Engagement に関心がある複数の製薬企業から問い合わせがあり、ガイドブックを公開したことで業界における Patient Engagement 推進にもつながった。



2-2. 患者さんの視点を取り入れながら業務を進めるためのスキーム作成

目的

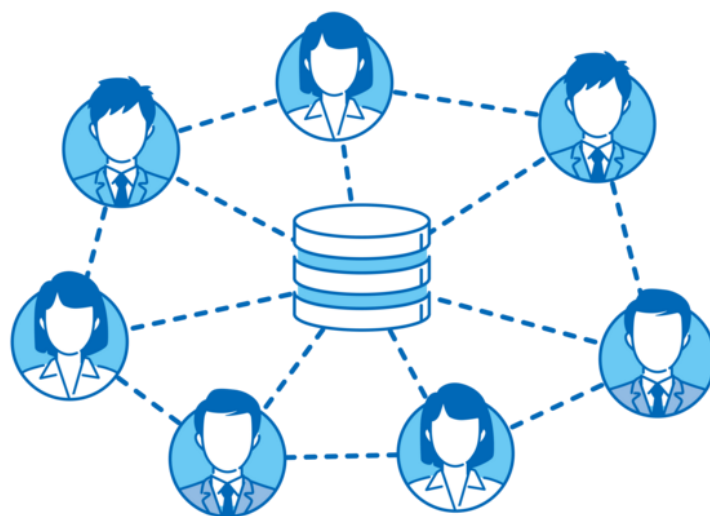
2020年より実施している患者団体と当社 CEO との対話にて、患者さんのニーズに合った薬を届けるためには、より早期の創薬研究段階から患者さんの声を取り入れる重要性が示されたことから、患者さん・ご家族の声を創薬研究に活かすためのスキーム作りを行った。

方法

- 患者団体代表者数名との意見交換を行いながら、患者団体と協働する際の手順と留意点をまとめた活動ガイドを作成。
- トライアルとして実際に2つの研究プロジェクトで患者団体との協働を実施し、そこから得られた患者さん視点の知見を反映させながら、スキームを完成させた。

成果

- 医療関係者や論文などからは得られにくい、患者さんの視点だからこそその知見(例えばある疾患では、医療者や研究者は有効性に重きを置きがちであったが、治療を経験した患者さんから見ると、安全性は有効性と同じかそれ以上に重要であった等)を取得することができた。同時に、患者さんのために創薬研究をより一層頑張ろうという研究者のモチベーション向上にもつながった。
- スキームが作られてからは、さらに新たな研究プロジェクトでも患者団体との協働を実施し、患者さん視点の知見を得ている。
- 患者さんとともに完成させたスキームは Patients・Pharma・HARMONY を掛け合わせ、「PHARMONY(ファーモニー)」と命名。翌年には創薬研究の段階のみならず、全ての部門において患者さん・ご家族の声を取り入れる活動へと再定義し、全社展開させたことで、より一層の患者団体との協働推進と、社員のさらなる意識醸成・浸透につながっている。



3. 製剤開発・治験・臨床研究へ患者さんの視点を取り入れる取り組み

- 3-1. 【製剤開発】製剤における、患者さんのニーズを確認
- 3-2. 【治験】治験実施後に、参加された患者さんから本治験に関する意見を収集
- 3-3. 【治験】「補償関連文書」の患者さんによるレビュー
- 3-4. 【治験】「治験実施計画書」の患者さんによるレビュー
- 3-5. 【治験・臨床研究】「同意説明文書」の患者さんによるレビュー

3-1. 【製剤開発】製剤における、患者さんのニーズを確認①

目的/概要

患者さんが使いやすい製剤を開発するため、患者さんからの意見収集を実施した。

方法

点眼薬の容器見本を2つの疾患の患者さんそれぞれ数名にご覧いただき、意見をいただいた。実施は外部調査会社が行った。

成果

- 使用時にキャップや容器自体が転がるのが、患者さんにとってはストレスになる場合もあることがわかった。
- 患者さんのご意見をもとに、より使いやすい容器にするための新たな研究テーマにつながった。
- 企業の製剤開発の取り組みを患者さんに知っていただける、相互理解の機会ともなった。



3-1. 【製剤開発】製剤における、患者さんのニーズを確認②

目的/概要

薬剤の包装材質・包装形態によって患者さんの服用時の負担が想定されるため、患者さんのニーズに応えた開発を進めていけるよう、患者さんおよび患者団体の意見収集を実施した。

方法

患者さんに、実際に薬剤サンプルに触れていただき、インタビューを行った。

成果

関節等に症状がある患者さんは、以下のような状況にあることが分かった。

- PTPシートポケットが小さすぎると開けることが難しい
- 錠剤が小さすぎるとつまむことが難しい場合がある
- ボトル包装の薬剤は開けることが困難である

3-1. 【製剤開発】製剤における、患者さんのニーズを確認③

目的/概要

薬の剤形や包装等を研究する部門の社員が、患者さんのニーズを知る機会は、製品改善要望書や医療従事者を通じて知る方法しかない。当該部門の社員が患者さんのニーズに応えた研究を進めていけるよう、患者さんによる講演および意見交換会を実施した。

方法

- 患者さんやご家族、数名に研究所へお越しいただいた。
- 罹患から治療、現在に至るまでの経験をご講演いただき、薬の剤形や包装に関して、社員との意見交換を実施した。
- 質問事項は事前に共有し、開催時間は3時間とした。

成果

- 薬の大きさは小さい方が飲みやすいと感じる患者さんがいる一方、末梢神経障害をお持ちの患者さんの中には、薬をシートから取り出す度に指が痛くて辛いので、たとえ薬の大きさが大きくなったとしても、シートから取り出す回数が一度で済む方がうれしいと考える方もいらっしゃる事が分かった。
- ある疾患においては錠剤を飲み込む際にさらさらした水よりも、とろみのある飲み物の方が飲みやすいという意見をいただき、治験薬の服用方法を変更した。

3-2. 【治験】治験実施後に、参加された患者さんから本治験に関する意見を収集

目的/概要

治験に参加する上で、治験特有の検査の負担や疾患特有の課題がある可能性がある。治験依頼者が認識できていない改善点がないかを確認し、治験参加者が治験依頼者に直接意見を伝えられる機会を提供するため、治験実施後に治験参加者から意見をいただく機会を設けた。

方法

- 治験の最終来院時に、治験参加者が自身のスマートフォンやタブレット端末等から二次元コードを読み取り、指定の URL へアクセスすることで、インターネット上のアンケートに回答いただいた。
- 治験参加経験に基づく意見や気付きなどに関する質問を設定した。
- 回答は任意とし、アンケート実施に同意いただいた治験参加者のみが回答した。

成果

- この治験に参加してよかったと感じる点や不安に思ったこと、ストレスに感じたこと、困ったことなどを、直接治験参加者から聞くことができ、今後の治験計画に活かす予定である。
- 得られた結果は概要をまとめ、協力いただいた医療機関の関係者にも提供した。本取り組みについて、医療機関の関係者からも前向きなコメントをいただいた。

3-3. 【治験】「補償関連文書」の患者さんによるレビュー

目的/概要

多くの疾患を対象とした治験がある中で、その補償対応の状況を振り返り、患者さんの目線から見て手順を見直すとともに、補償について理解いただける情報提供ができているかを確認するため、患者団体との協働を計画した。

方法

補償の手順や関連文書のレビュー(計9種類)を、患者さん・ご家族にご覧いただき、各文書に対する意見交換を実施した。

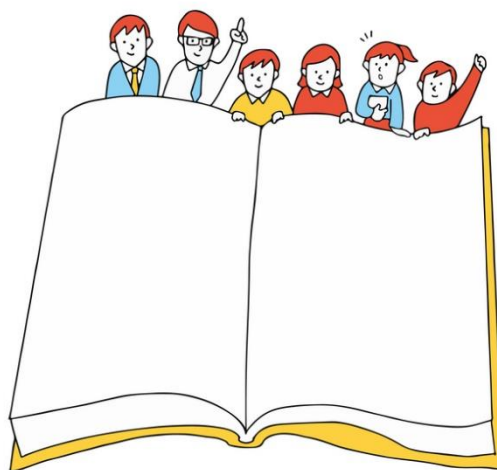
成果

GCP²⁷省令に基づいて補償を設定するため、硬い表現が「あるべき姿」で、「変えてはいけない」「こうあるべき」の思い込みがあったが、実際に求められているのはシンプルで平易な表現であり、思い込みを払拭するような新たな視点が得られた。

患者さん・ご家族からは以下のようなご意見・ご提案をいただいた。

- 安心感、信頼感をもたらすような、「速やかなお支払いを優先します」という姿勢を加える提案
- 「お体のご不調に…」など、過剰な配慮から、冗長となり、重要な情報が伝わりにくくなっている点の削除の提案 など

この意見交換は、より明確な気遣いを示しながら、シンプルな記載・表現へ改めていくきっかけになると同時に、患者さんと医師、そして企業が同じ目的のもと協働していく重要性を認識する機会となった。



²⁷ GCP : Good Clinical Practice 医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令

3-4. 【治験】「治験実施計画書」の患者さんによるレビュー

目的/概要

以下2つの目的のもと、患者さんに治験実施計画書をレビューいただいた。

- 会社として開発経験が無い、あるいは、少ない疾患において、開発段階の早期に患者さんのご意見をいただくことで、よりよい医薬品開発を進めることにつなげるとともに、開発部門社員の疾患に対する理解を促進する。
- 患者さんの治療や検査、通院などに関する悩みや、不便に感じていることを理解して、患者さんがより参加しやすい治験を計画および実施する。

方法

- 対象疾患の患者団体に紹介いただいた数名の患者さんに対し、オンライン会議(1~2時間程度)、およびその後のアンケート(30分~1時間)を実施した。
- 医薬品開発や疾患に対する専門的な知識がなくても回答できるよう、患者さん・介護者としての経験に基づいた質問に絞って意見をいただくようにした。
- 患者団体と良好な関係性を築くため、外部業者を介さずに開発部門社員が直接対応した。

成果

- 治験実施計画書全体に対してではなく、来院頻度や服用方法、検査項目などに焦点を絞って意見をいただいたことで、具体的なお意見をいただくことができた。
- 例えば、毎日自己注射を行う治験の場合、治験開始から一定期間は適切に投与できているかを確認するため、来院を必須としていたが、患者さんの状況によって来院は選択制にした方が患者さんの負担が軽減することがわかった。
- 一方的な情報の搾取にならないよう、社内での協議結果を、協力いただいた患者さんにできるだけ共有するように努めた。(いただいたご意見をどのように活かすのか、検討に時間を要する場合は報告書の内容をお伝えする際に併せてお知らせした。)



3-5. 【治験・臨床研究】「同意説明文書」の患者さんによるレビュー

目的/概要

治験や臨床研究で患者さんに提供する同意説明文書が、読みやすく理解しやすい内容となるよう、患者さんに「同意説明文書」をレビューいただいた。

方法

患者さん複数名に患者さんの視点で同意説明文書のレビューをいただいた。

成果

以下のようなご意見をいただき、同意説明文書の改訂につながった。

- 医療用語も含めて、治験依頼者側では当たり前のように使っている言い回しや用語が分かりにくい。
- 試験スケジュール表に患者ごとのスケジュール(日付)を書き込めるような欄を設けてほしい。
- 試験スケジュール表の来院日に、検査の実施項目が複数記載されている場合、採血のために何回針を刺されるのか分からない。
- 試験デザインを表す図や、自分が投与される薬剤の割り付けの仕組みなどが分かりにくい。

試験スケジュール				
	1週目 来院日 (/)	2週目 来院日 (/)	3週目 来院日 (/)	4週目 来院日 (/)
同意説明	●			
検査A	●			
検査B	●			
検査C	●	●	●	●

4. 治験や疾患に関する情報提供活動に関する患者団体との協働

- 4-1. 【治験情報】患者さんとともに作成した、治験ポータルサイトの立ち上げ
- 4-2. 【治験情報】治験へのアクセスについて、患者さんのニーズ調査
- 4-3. 【疾患説明】患者さん向けの疾患説明小冊子を、患者さんとともに作成
- 4-4. 【適正使用】患者さん向けの適正使用のための手引きを、患者さんとともに作成
- 4-5. 【疾患情報】患者さん向けの疾患情報サイトを、患者さんとともに作成
- 4-6. 【疾患情報】疾患に関する LINE 公式アカウントを、患者さんとともに開設
- 4-7. 【疾患情報】聴覚障がいのある患者さんの声から、医療情報へのアクセス向上を目指す取り組み

4-1. 【治験情報】患者さんとともに作成した、治験ポータルサイトの立ち上げ

目的/概要

患者さんやそのご家族が「治験」を知り、正しく理解した上で、関心を持っていただくために、自社が関わる治験に関する情報を発信するポータルサイトを立ち上げた。

方法

- 治験に関する新たなコンテンツの作成、および既存の治験情報サイトをリニューアル(検討期間: 1.5年)
- 患者さんに「治験についてのインタビュー」を実施し、サイトにインタビュー記事を公開(検討期間: 約4か月)

成果

- 自社が関わる治験に関する情報サイトを、治験に関する総合的なポータルサイトへアップグレードした。
- 「治験啓発」を目的として、「治験とは」、「治験の意義」などの一般的な内容を追加した。
- 治験参加経験のある患者さんに、治験についてインタビューを実施し、ポータルサイト上に記事を掲載することで、患者さんの視点や言葉で“より正しく治験を知ってもらう”機会の提供につなげた。



4-2. 【治験情報】治験へのアクセスについて、患者さんのニーズ調査

目的/概要

より多くの患者さんに治験情報を届けるため、また治験啓発を行いながら治験へのアクセスを改善するために、患者さんのニーズ調査を行った。

方法

以下に該当する患者さん 200 名に、オンラインのアンケート調査を実施した。

- 治験に参加したことがある方(途中で辞めた方も含む)
- 治験参加には同意したが、参加基準(病気の種類や重症度など)が合わず、参加できなかった方
- 治験に参加したことはないが、治験の実施内容について聞いたことがある方

成果

以下の調査結果に基づき、自社ホームページでの治験情報の掲載、および治験参加者への治験結果の公開を行うとともに、Thank you レターを用いて治験参加者への通知を行った。

- 治験結果の公開について
 - ・ 回答された患者さんの 80%が、自身の参加した治験、および自身の疾患で実施されている全ての治験において、「どんな結果でも知りたい」と回答された。
 - ・ 結果を知る方法としては、「病気に関する診断や治療をまとめたサイト」を望む声が最も高く、次いで「担当医等からの直接説明」を希望されていることが分かった。
- Thank you レターについて
 - ・ 製薬企業から治験参加者へ送られる Thank you レターを「受け取りたくない」と回答された方は少なかった。



4-3. 【疾患説明】患者さん向けの疾患説明小冊子を、患者さんとともに作成①

目的/概要

新たな疾患領域での治療薬発売に向け、患者さんが求める情報が掲載された疾患説明小冊子を作成するとともに、既存の冊子においても患者さんのニーズを取り入れた改訂を実施した。

方法

- 患者団体所属の患者さん数名へ、2時間のオンライン会議にて、「疾患に関連して求める情報」について意見を収集した。
- 個別、および集団形式で実施した。

いただいたご意見をもとに小冊子を作成し、ドラフト版について患者さんの意見が反映されているか1時間程度で再度ご確認ください。

成果

患者さんからいただいた以下のようなご意見を踏まえ、小冊子の作成、改訂を行った。

- 専門用語を使用せず、文字の大きさにも気を付けてほしい。
- 副作用のページには、もともと冊子に記載されていない副作用も書き込めるような空欄があると良い。
- 症状だけでなく、重症度や継続期間についても記載してほしい。例えば「微熱」だけでは、何度の熱が何日持続している状態を指しているのか分からず、病院受診の判断材料として不十分である
- モデルになっている患者さんが、高齢の男性だが、高齢の男性以外の患者さんがこの冊子を見た時に落ち込まないよう(若いのにこんな病気になってしまったなど)、色々な年齢、性別の患者さんをモデルにした方が良い。

4-3. 【疾患説明】患者さん向けの疾患説明小冊子を、患者さんとともに作成②

目的/概要

若年の患者さんは、病気とともに学校生活を送る中で、様々な課題を抱えている。学校関係者や周りの生徒が当該疾患の知識を持つことにより、少しでも学校生活を送りやすくなることを目指して、学校関係者に向けた疾患説明小冊子の作成とその情報発信を行った。

方法

- 就学中に病気を発症した患者さんから社員に向けたご講演をいただくとともに、社員からの質問にお答えいただく対話会を実施した。
- 疾患説明小冊子を患者団体と協働して作成するためのアドバイザー会議を実施した。

成果

- 学校関係者に向けた疾患説明小冊子は、印刷したものを学校関係者へ郵送し、自社ホームページでも電子ファイルをダウンロードできるようにした。
- 冊子公開時には、自社ホームページに、これまでの約10倍のアクセスがあった。



4-4. 【適正使用】患者さん向けの適正使用のための手引きを、患者さんとともに作成

目的/概要

これまで医師のみの監修で作成していた医薬品の適正使用のための手引きを、より分かりやすい内容とすることで患者さんの疾患理解や適正使用の推進へつなげるために、患者さんに編集協力を依頼した。

方法

オンラインの打ち合わせで概要をお伝えし、数週間で当該医薬品の適正使用のための手引きドラフト版の確認およびコメントをいただいた。コメント内容について、詳細を確認するためのオンライン打ち合わせも実施した。

成果

患者さんからいただいた以下のようなご意見を踏まえて検討し、作成を行った。

- 患者さんに必要な情報を届けるためには、情報を盛り込みすぎない方が良い。
- 患者さん自身が気づいて対処できる副作用を優先して掲載すると良い。
- 患者さんが理解しづらい表現は避け、患者さんが分かりやすい言葉を用いる。

4-5. 【疾患情報】患者さん向けの疾患情報サイトを、患者さんとともに作成

目的/概要

慢性疾患の患者さんは、長い期間疾患と付き合うため、ライフステージごとに悩みが変化する一方、各ライフステージで患者さんが必要とする情報をまとめたサイトがないという課題もあった。そこで、患者さんが必要とする情報を自社ホームページで発信するために、コンテンツや発信方法について患者さんから意見をいただいた。

方法

患者団体所属の患者さん数名と、オンラインまたは対面で会議やワークショップを数回実施した。

成果

医師の監修のもと、以下のような患者さんが求める情報をまとめ、自社ホームページに掲載した。

- 疾患に関する説明や治療内容
- ライフステージごとの日常の悩みとそのアドバイス
- 他の患者さんの声(これまでの治療に関する想いなど)



4-6. 【疾患情報】疾患に関する LINE 公式アカウントを、患者さんとともに開設

目的/概要

希少疾患の患者さんは、疾患や治療薬等の情報が少ないため、必要な情報の取得に苦勞されている。製薬企業として、患者さんやそのご家族に科学的根拠に基づいた分かりやすい情報を提供するため、LINE 公式アカウントを作成することとした。

方法

患者さん数名とオンライン会議を実施し、意見交換を行いながら LINE 公式アカウントを開設した。

成果

LINE 公式アカウントを開設したことで、今後、希少疾患の患者さんとそのご家族が知りたい疾患情報や治療情報等の情報提供、および患者さん視点のブログや音楽の配信等を実施する予定。

4-7. 【疾患情報】聴覚障がいのある患者さんの声から、医療情報へのアクセス向上を目指す取り組み

目的/概要

聴覚に障がいのある患者さんは、医療機関やドラッグストア等において治療に関する説明や情報が十分に得られない等コミュニケーション上の様々な困りごとに直面している。また、医療従事者も障がいのある患者さんの困りごとや適切なコミュニケーション方法が分からず対応に苦慮することがある。障がいのある患者さんと医療従事者のコミュニケーションにおけるバリアを解消し、障がいのある患者さんの医療アクセスを向上するために、資材の作成やセミナーを実施した。

方法

- 聴覚に障がいのある従業員や当事者団体へのヒアリングを行い、検診時の指示を聞き取れない方向けの『検診の流れ』をイラストで説明したポスターや、聴覚に障がいがあることを医療従事者に伝えるためのコミュニケーション資材等を作成した。
- 聴覚に障がいのある従業員や患者さんによる医療従事者向けの啓発セミナーや研修を実施した。

成果

- 作成したコミュニケーション資材等は医療機関に配布するとともに、自社ホームページ上で公開した。
- 医療従事者向けセミナー等を通じて、障がい者が医療機関を受診する際に直面する困りごとや望ましい対応についての啓発につながった。



Ⅲ. くすりが届くまで

基礎研究や各種試験、国による承認審査という長い道のりを経て、はじめて患者さんのもとへ届けられる新薬。さらに、発売された後も多くの患者さんたちに実際に使われていくなかで、安全性や有効性が繰り返しチェックされ、より安心できる、効果の高いくすりへと成長していきます。そのステップの中に、製薬企業の様々な部門が関わっています。

(1) 基礎研究

くすりの開発は、将来くすりとなる可能性のある新しい物質(成分)を発見したり、化学的に創り出すための研究から始まります。くすりのモトは、天然素材(植物・動物・微生物など)からの抽出や、合成、バイオテクノロジーなどの多様な科学技術を駆使した手法が用いられ、最近ではゲノム情報の活用も進められています。さらに新規物質の性状や化学構造を調べ、スクリーニング(ふるい分け)にかけて取捨選択します。医療関係者や文献などからは得られにくい、患者さん視点のご意見が研究戦略を立てる際のヒントとなることがあります。



(2) 非臨床試験



くすりとして可能性のある物質を、動物や培養細胞を用いて試験し、有効性と安全性を研究します。また、その物質の動態(吸収・分布・代謝・排泄の過程)や、品質、安定性に関する試験も行います。動物実験は、動物福祉の観点から、関連する法令や指針・ガイドラインに沿って適正に行います。

(3) 臨床試験

必要な非臨床試験を通過したくすりの候補が、安全で実際にヒトに効果があるかどうかを調べる最終的な確認が臨床試験(治験)です。治験はGCPといわれる規準に従い、専門家による検討や審査に基づいて実施されます。治験は医療機関で、健康な人や患者さん(被験者)を対象に同意を得た上で行われ、治験結果などの情報が事後的に被験者や患者団体等に提供されることもあります。また、治験で 사용되는文書を患者さんにとってより分かりやすいものにするために、作成する際に患者さんのご意見を伺う場合があります。



治験は一般的に3段階に分かれます。

第1相試験	少数の健康な人を対象に、副作用などの安全性について確認します
第2相試験	少数の患者さんを対象に、有効で安全な投薬量や投薬方法などを確認します
第3相試験	多数の患者さんを対象に、有効性と安全性について既存薬などとの比較を行います

患者さんなどが研究パートナーとして研究計画、デザイン、管理、評価、結果の普及に関与することもあります。

(4) 承認申請と審査

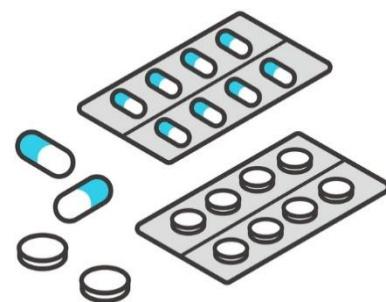


各種試験で有効性、安全性、品質などが確認された後に、厚生労働省に承認の申請を行います。そして、PMDA および学識経験者などで構成する薬事・食品衛生審議会の審査を受けることになります。

信頼性保証業務では、申請に使用する資料が厚生労働大臣の定める基準および申請資料の信頼性の基準に従って収集、作成されたものであるかを確認します。

(5) 製造

くすりは、法律により、有効性と安全性を確保するための厳格な管理が義務付けられています。製造する段階では、原料の受け入れから製品(くすり)の出荷に至るまでの製造工程全般にわたる管理はもちろんのこと、工場の建物や機械設備の配置などについて人為的なミスをなくすための基準があります。患者さんがより飲みやすく、使いやすいようにするために、患者さんのご意見を伺って、剤型(くすりの形)や包装、容器などを工夫し、くすりを高品質かつ安定してつくることに取り組んでいます。



(6) 承認と販売



「くすり」として承認されると製造販売することができます。医療保険の対象となる医療用医薬品の品目と価格(薬価)は、薬価基準制度に基づいて厚生労働省により決められます。製薬企業の営業担当者である医薬情報担当者(以下、MR)は、医薬品の適正使用を推進するため、科学的な根拠に基づいた医薬品情報を医師・薬剤師等の医療関係者に提供し、使用された医薬品の情報を収集・報告するとともに、集めた情報を解析した結果を医療関係者に伝達しています。

(7) 育薬

くすりはさまざまな医療機関で多くの患者さんに使われることによって、開発段階では発見できなかった副作用や適正な使い方につながる情報が得られることがあります。そのためくすりは発売後も、さまざまなチェックが義務付けられています。MR が、医師・薬剤師等を通じてこれらの情報を収集しています。

販売後に得られた情報をもとに、より安全なくすりの使い方の検討やより使いやすいくすりへの改善が行われます。これにより、治療の効率が上がったり、適応症(対象となる疾病)が増えたり、次の新薬開発のヒントを得ることもあります。

患者さんのよりよい治療のため、病気や治療の説明、副作用の情報の資料を作成するには患者さんのご意見を伺うこともあります。



参照元

- 創薬と育薬 新薬開発のステップ(製薬協)
https://www.jpma.or.jp/about_medicine/guide/discovery/index.html
- 医療分野における「患者・市民参画」(Patient and Public Involvement)を考える(製薬協)
<https://www.jpma.or.jp/opir/news/058/01.html>
- 信頼性保証業務(PMDA)
<https://www.pmda.go.jp/review-services/inspections/0001.html>
- くすりの情報 Q&A Q37.最近よく耳にする「育薬(いくやく)」とはなんですか(製薬協)
https://www.jpma.or.jp/about_medicine/guide/med_qa/q37.html
- くすりの情報 Q&A Q38.くすりの品質はどのように確保されているのですか(製薬協)
https://www.jpma.or.jp/about_medicine/guide/med_qa/q38.html
- MR 認定センター
<https://www.mre.or.jp/whatsmr/aboutmr/>

患者団体連携推進委員会

ケイパビリティ向上タスクフォース 情報発信分科会

武田薬品工業株式会社	三澤 賢治	(委員長)
中外製薬株式会社	竹内 沙紀	(副委員長)
グラクソ・スミスクライン株式会社	吉田 満美子	(副委員長)
住友ファーマ株式会社	沼田 聡美	(タスクフォースリーダー)
千寿製薬株式会社	藤本 拓也	(分科会リーダー)
旭化成ファーマ株式会社	加藤 英昭	
小野薬品工業株式会社	土井 一生	
キッセイ薬品工業株式会社	丸山 英彦	
塩野義製薬株式会社	大村 友泰	
田辺三菱製薬株式会社	池島 万里奈	
鳥居薬品株式会社	松本 晃彦	
扶桑薬品工業株式会社	倉田 綾歌	
ユーシービージャパン株式会社	加松 愛弥	



日本製薬工業協会

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町 2-3-11
日本橋ライフサイエンスビルディング
TEL. 03-3241-0326(代) FAX. 03-3242-1767
<http://www.jpma.or.jp>

2024年10月作成