

令和6年度 欧米の薬事制度等 に関する調査・整理業務 －患者・市民参画－

1. 米国における薬品開発等における市民参画について

米国の患者参画プラットフォームの各取組について、主に下記事項を整理。

- ・ 取組の歴史的経緯
- ・ 具体的な活動内容と主な成果
- ・ 最新のニュースリリース
- ・ 医薬品開発パイプライン上の参画タイミング
- ・ 患者団体と国と企業との関係性
- ・ 参画する患者の選られ方



出典：医薬品等行政評価・監視委員会における海外調査（令和4年度・欧米の薬事制度に関する調査）

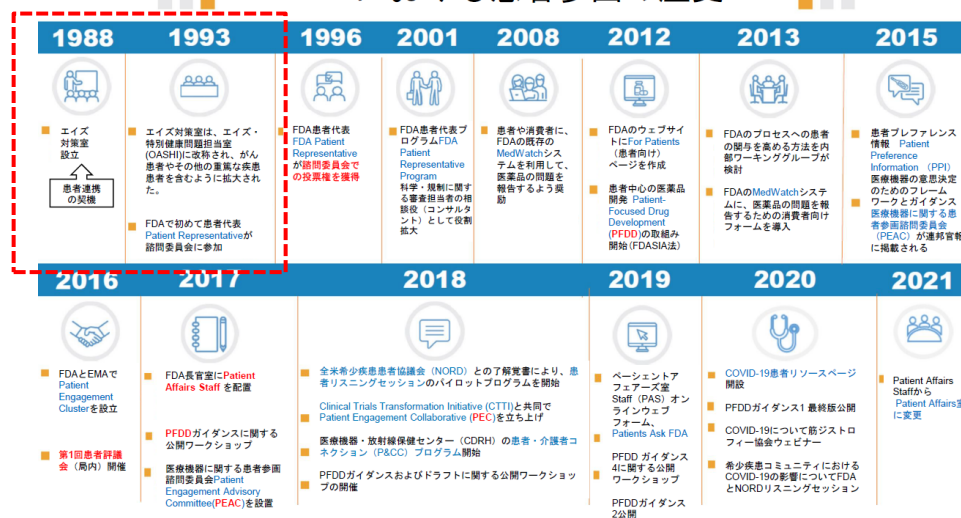
① 患者代表プログラム(PRP: Patient Representative Program)

医薬品開発に関する47の諮問委員会に、約200名の患者代表が参加し300超の疾患について、患者の意見を届けている。

取組の歴史的経緯

- 1980年代、米国政府や製薬会社によるHIV/AIDS対策・治療が進展しないことに対し、1987年、治療や新薬開発の加速化と、それに伴う患者参加を求める抗議団体「ACT UP」が設立される¹。
- 1988年に行われた大規模なデモを契機とし、FDAはHIV/AIDSのPatient Advocacy groupと連携する対策室を設置。1993年にはがんやその他の重大疾患へ対象を拡大させ、1993年には初めて患者代表が諮問委員会へ参加した²。
- ACT UPの出来事により、FDAは、患者やその介護者はある側面ではその病気のエキスパートであり、医療者や医薬品開発者が知らない、しかし知っておかねばならないことを有しているということを認識したことが、患者の声を聞く体制づくりに発展した¹。

FDAにおける患者参画の歴史



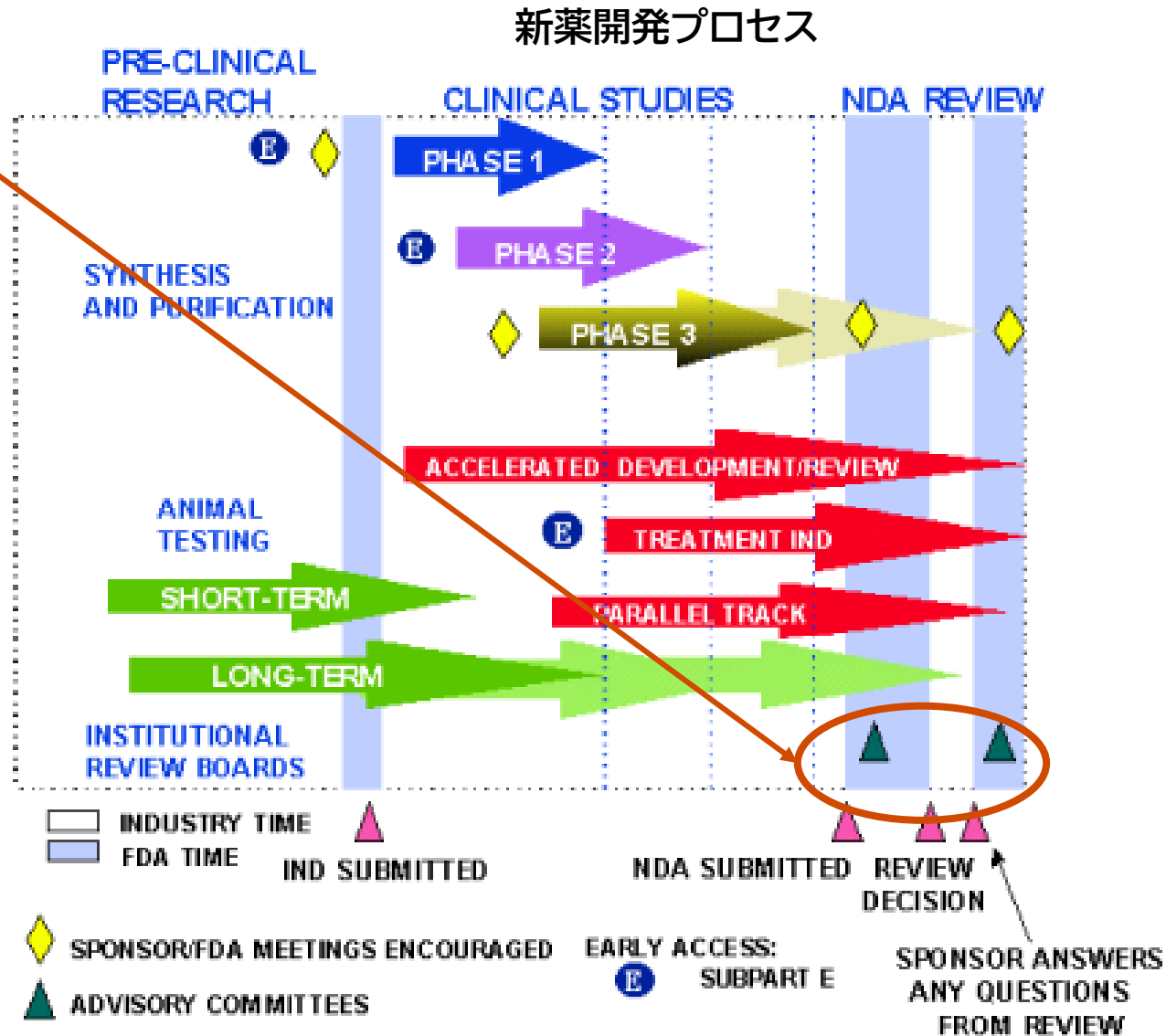
- <https://www.youtube.com/watch?v=IKOPEMQYdkI&t=163s>
- <https://www.fda.gov/media/150592/download>
- <https://www.mhlw.go.jp/content/10601000/001075365.pdf>

① 患者代表プログラム (PRP: Patient Representative Program)

患者代表が参画する諮問委員会は、医薬品ライフサイクルの全ての期間において開催される。

患者代表は、会議や審査部門との協議の中で、当局が意見を必要とするときにいつでも活動する。そのため、活動頻度はニーズに応じて異なり、1年に1回～数回活動する人もいれば、4年間の任期中にまったく活動しない人もいる。

<https://www.fda.gov/patients/about-office-patient-affairs/faqs-about-fda-patient-representative-program>



① 患者代表プログラム(PRP:Patient Representative Program)

患者代表プログラム④ リスクコミュニケーション諮問委員会 (PLLR) 妊娠・授乳期表示規則で修正された処方薬や生物製剤の妊娠・授乳期表示情報の影響について (b)

患者代表Aの意見

妊娠中の医薬品の使用について、産科医の意見に一貫性がない。(使用不可、部分的に可等)悩んだ患者は、ドクターショッピングする傾向にある。特に精神疾患の患者は、自己判断により薬物依存やアルコール依存に至るケースもみられる。

PLLRは医師向け表示規則であるが、医薬品の安全性に関するあらゆる情報の提供を網羅したオンラインツールが欲しい。医師からの提案を妊娠中の患者自身が自分で確認し答えを出すことができる情報ツールである。

また産科医向けのサポートダイヤルなどを設置し、産科の知識のある産科医の専門医と連携できるようにしてほしい。

世の中の価値観は母体ではなく、胎児の健康を優先する傾向があるが、まず優先すべきは母体の健康である。

患者代表Bの意見

(委員会でのアレルギー、呼吸器疾患専門医からの発表を受けて) <https://www.fda.gov/media/111610/download>

新しくなったPLLRの表示は叙述的で、想像にあたる医師にとって(アンケート結果からも)わかりづらいとのことだった。そもそものこの表示規則を「医師向け」ではなく、「患者向け」を考慮に入れて作成することにしてはどうか。

一般的に患者向けの薬の平均引きは1日に何回服用すればよいかわからない。投与情報はあまり書かれていない。「患者は医師に聞けばよい」という考え方は、情報にタイムリーかつ経済的にアクセスするという点を逃がしている。患者に分かりやすい言葉で説明することはとても重要である。

<https://www.fda.gov/media/113002/download>



https://www.youtube.com/watch?v=RoAYq_Q-4Zs

HCP (医療従事者)
フォーカス
グループ設立
2018年～

PRGRAC
妊娠・授乳期の女性
に特化した研究
タスクフォース
2017年 - 2021年

PLLR妊娠・授乳
期表示規則に関連
したガイダンスの
作成・改訂
2019年、2020年発行



<https://www.nichd.nih.gov/about/advisory/PRGLAC>



<https://www.fda.gov/advisory-committees>



<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/clinical-studies-in-pregnant-women>
<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/clinical-studies-in-lactating-women>

22

① 患者代表プログラム(PRP:Patient Representative Program)



患者代表プログラム⑤ 医薬品&リスクマネジメント諮問委員会 患者代表参加の例

2020年9月、オピオイドの使用・乱用・中毒・過量摂取が増加している社会情勢を受けて、オキシコンチン(一般名: オキシコドン)の新剤型(濫用防止製剤)*が公衆衛生に及ぼす影響を評価

*濫用では錠剤を粉砕し水に溶解して注射することが横行⇒水分を吸収するとゲル化する徐放製剤へ改良

審議の概要

オキシコンチン新剤型による中毒の継続的リスクを医療従事者、患者に周知することが重要である。
新剤型は非経口経路での乱用を抑止するよう見えるだけで、全体的な乱用や中毒のリスクを減じる効果は示されていない。

審議事項1

オキシコンチンの新剤型 (Reformulation) が、元の製剤と比較して、1つ以上の非経口投与による乱用を有意に減少させたことを現存するエビデンスで証明できるか？
YES 20, NO 7, 棄権1

審議事項1 YES!
術後に450MME*、現在でも150MME (150錠) のオピオイドを服用する11人の孫のいる患者としては、製品管理に規律(監視や乱用を防ぐ働き)が存在するという自体に意味がある

審議事項2

オキシコンチンの新剤型が、元の製剤と比較して、この製品の全体的な乱用を有意に減少させたことを証明できるか？
YES 2, NO 26, 棄権0

審議事項2 NO!
薬剤を粉砕しても過量放出(dose dumping)されないというメリットは評価できるが、これについてはNO以外の投票ができるデータが見当たらない

審議事項3

オキシコンチンの新剤型が、元の製剤と比較して、オピオイドの過量摂取のリスクを有意に減少させたことを証明できるか？
YES 1, NO 26, 棄権1

審議事項3 NO!
販売数全体の割合や、前述の他の交絡因子などを考慮すると、この質問に「YES」と答えるのはほぼ不可能である。とはいえ、この製品をキャビネットに入れている者として、私はこの製品があることをうれしく思う。代替品よりも安全な製品であると思う。

患者代表の意見

※使用者の立場から発言

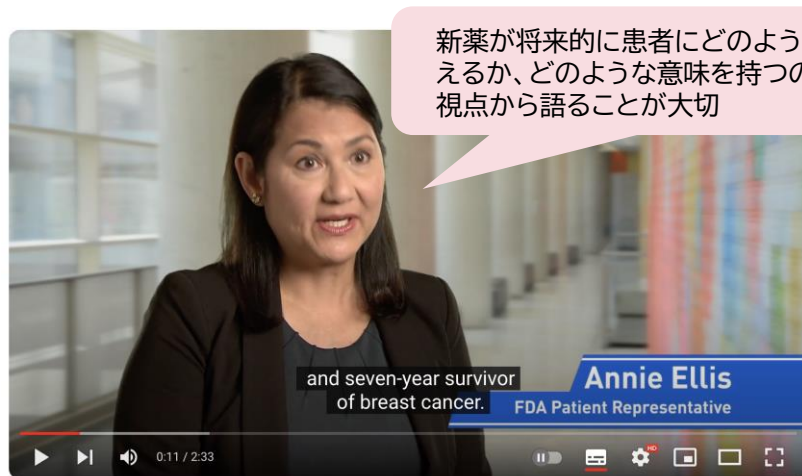
23
<https://www.fda.gov/media/144165/download>
<https://www.fda.gov/media/143918/download>

*MME(Morphine Milligram Equivalent): モルヒネミリグラム等量

① 患者代表プログラム(PRP: Patient Representative Program)

医薬品開発パイプライン上の参画タイミング

- 患者代表は当該分野における経験と知識が共に豊富である者が選出されており、FDAの患者代表以外の立場としても精力的に活動している者が多い。
- 例えば、がんサバイバーでもある患者代表のAnnie Ellis氏は、がん臨床研究財団の患者諮問委員会や、AACR(米国がん臨床研究協会)の科学者↔サバイバープログラムなどにも参画しており、様々なタイミングで意見発信を行っている。



When A Patient Speaks: Annie Ellis



Annie Ellis氏、PRPの声(FDA YouTube)

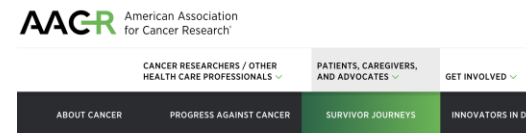
<https://www.youtube.com/watch?v=I6K2Z9Fv53I>



Welcome to Annie Ellis our new Patient Advisory Board Member

がん臨床研究財団の患者諮問委員会

<https://www.risingtide-foundation.org/2022/09/02/welcome-to-annie-ellis-our-new-patient-advisory-board-member/>



Annie Ellis

SHE HAD SYMPTOMS FOR NINE MONTHS AND NEVER THOUGHT IT COULD BE CANCER. THIS OVARIAN CANCER SURVIVOR, NOW IN REMISSION, TAKES AN ACTIVE ROLE IN MAKING TREATMENT DECISIONS.

On the morning of my birthday in late 2003, I looked into the mirror and thought to myself, "Damn, forty looks good on me!" Six months later on July 1, 2004, I woke up from surgery and found out I had ovarian cancer.

AACR(米国がん臨床研究協会)の科学者↔サバイバープログラム

<https://www.aacr.org/patients-caregivers/survivor-journeys/annie-ellis/>

① 患者代表プログラム(PRP: Patient Representative Program)

医薬品開発パイプライン上の参画タイミング

- 例えば、患者代表であるがんサバイバー Peg Ford 氏は、Ovarian Cancer Alliance of San Diego(サンディエゴ卵巣がん協会)を設立している。
- 当協会は、卵巣がんの注意すべき要因についての認識を広めるために、医学界、地域団体、市民団体、一般の人々を対象に数多くのプレゼンテーションを行なっている。
- また、当協会は、卵巣がんおよび関連する婦人科がんの研究を進める世界最大の国際慈善団体(企業や個人からの寄付、業界との連携などにより多くの活動・研究資金を得ている)であるOvarian Cancer Research Allianceともコミュニティパートナーになっている。

専門家ではなく、1人の人間として、FDA、研究者、製薬企業が行っていることに人間性を持ち込むことに責任を感じている。



When a Patient Speaks - Peg Ford

FDA U.S. Food and Drug Admin...
チャンネル登録 高評価 共有 オフライン

Peg Ford氏、PRPの声(FDA YouTube)

<https://www.youtube.com/watch?v=UVan4qU27XA>

設立



<https://www.ocaofsd.org/>

パートナー



個人、企業からの寄付、業界との連携多数。集めたお金を研究者への助成金などに使用

① 患者代表プログラム(PRP:Patient Representative Program)

参画する患者の選ばれ方

自分の経験が以下の募集分野に合致する場合、患者代表に応募できる。

- ・個人的な疾患/医療機器の体験
- ・支援活動の経験
- ・仕事とボランティアの経験
- ・患者の視点を代弁および伝達能力

上記の内容を連絡先と共に電子メールで送付する。採用者にのみ、連絡がある。

<https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement/how-apply-fda-patient-representative-program>

※採用プロセスについては、「候補者は慎重に採用され、患者代表として働けるよう準備するためのトレーニングを受ける」とのみ記載されている。

2024.10.1アクセス時点で募集されている分野

募集分野	
自閉症	転移性乳がん
ベータサラセミア重症型	転移性非小細胞肺癌
小児脳性副腎白質ジストロフィー	転移性小細胞肺癌
慢性リンパ性白血病または非ホジキンリンパ腫の低悪性度	院内感染性および人工呼吸器関連細菌性肺炎（HABP/VABP）を含む多剤耐性グラム陰性菌感染症
びまん性大細胞型B細胞リンパ腫	神経芽細胞腫
類上皮肉腫	卵巣がん
血友病	トリプルネガティブ乳がん
HIV	1型糖尿病

② 患者中心の医薬品開発 (PFDD: Patient-Focused Drug Development)

患者中心の医薬品開発 (PFDD) は、特定の疾患やその治療法について、患者の視点を体系的に把握することを目的としたFDA主導の公開会議である。また、それをモデルとして、FDA主導の会議の検討対象となる疾患以外の疾患領域に関する意見を集約するために患者団体が主導する会議(Externally-led PFDD)も開催されている。

	FDA主導のPFDD会議	外部主導のEL-PFDD会議
会議形態	2つのパネルディスカッションとオープンディスカッション。会議の大部分は、患者や介護者から自分の病状についての見解を聞くことに費やされる。	FDAスタッフの意見を取り入れながら患者団体が企画・主催するもので、FDA主導のPFDD会議で確立されたプロセスをモデルとしている。
2023年実施回数	1回	13回
2024年実施回数 (10/1時点公開情報)	0回	11回

対象領域

- 患者からの情報提供の必要性が確認された場合
- 慢性的で、症状があり、機能および日常生活動作に影響を及ぼす疾患領域
- 臨床試験で正式には把握されていない疾患領域
- 現在、治療法が存在しないか、治療法が極めて少ない疾患領域、または利用可能な治療法が患者の気分、機能、生存に直接影響しない疾患領域
- 特定可能な集団(子供や高齢者など)に深刻な影響を及ぼす疾病領域

1. <https://www.fda.gov/industry/prescription-drug-user-fee-amendments/fda-led-patient-focused-drug-development-pfdd-public-meetings>
2. <https://www.fda.gov/media/160223/download?attachment>

② 患者中心の医薬品開発 (PFDD: Patient-Focused Drug Development)

取組の歴史的経緯

- 2012年、FDAは、特定の疾患とその現在利用可能な治療法について、患者の視点からより体系的に情報を収集することを目的とした「患者中心の医薬品開発(PFDD: Patient-Focused Drug Development)」イニシアティブを立ち上げた。
- PFDD会議は、患者を参加させ、次の2つのテーマについて患者の視点を引き出すように設計された形式となっている。
 1. 疾患の最も深刻な症状と日常生活への影響
 2. 現在の治療アプローチ
- FDAは、FDAが主導するPFDD会議以外で検討する疾患以外にも対応が必要な疾患領域が数多くあることを認識し、他の疾患領域に関する公的意見を収集することを目的として、2015年、外部主導(Externally-led)のPFDD会議の取組を行うことを発表。
- EL-PFDD会議は、FDAスタッフの意見を取り入れながら患者団体が企画・主催するもので、FDA主導のPFDD会議で確立されたプロセスをモデルとしている。



② 患者中心の医薬品開発 (PFDD: Patient-Focused Drug Development)

医薬品開発パイプライン上の参画タイミング

- PFDD会議は、患者、その家族、介護者、患者支援者から、最も重要な症状、疾患が患者の日常生活に及ぼす影響、現在利用可能な治療法の経験について直接話を聞くことができる重要な機会を、FDAや医療製品開発者、医療提供者、連邦政府のパートナーを含むその他の主要な利害関係者に提供する。
- これらの意見は、医薬品開発中、および販売申請の審査中の両方において、FDAの決定と監督に役立てることができる。
- PFDDの主要な目標として以下が挙げられる。
 - 医療製品の開発や規制上の意思決定に役立つ、患者や介護者からの信頼性が高く有意義な意見を収集し活用するための体系的なアプローチの促進と改善を行う
 - 患者登録を促進し、臨床試験への患者参加の負担を最小限に抑えるためのベストプラクティスの特定と利用を奨励する
 - 患者の好みに関する情報や、治療効果とリスクの結果のトレードオフの受容可能性を把握する方法についての理解を深め、その適切な利用を促進する
 - 市販後には、治療効果、リスク、負担に関して患者にとって最も重要な情報を特定し、患者の意思決定を支援するために、その情報を伝える効果的な方法を決定する

② 患者中心の医薬品開発 (PFDD: Patient-Focused Drug Development)

患者団体と国と企業との関係性 参画する患者の選られ方

- PFDD会議には医療者や専門家のほか、パネリストとなる患者や介護者等のステークホルダーと、投票等を通して公開議論に参加する参加者がいる。

	FDA主導のPFDD	外部主導のEL-PFDD
事例	2015年9月15日 ・ α 1-アンチトリプシン欠乏症 (AATD) ¹	2020年8月28日 ・ 巣状分節性糸球体硬化症(FSGS) ・ 全米腎臓財団(NKF)と希少なタンパク質漏出性腎疾患の支援組織(Nephcure)の共同主催 ³
パネリストの選別方法	・ 12名 ・ 選別方法記載なし	・ 27名 ・ NKFとNephCureの代表者がそれぞれの組織の会員から選出。パネリストの選定基準は、各パネルにおける臨床および人口統計上の多様性を最大限に高めるように設定。
聴衆の参加方法	・ 約850名 ・ webサイトやSNS、チラシで広報し、参加登録を促す ²	・ 投票に参加していたのは50名弱 ・ NKFのwebサイトから参加登録可能
企業との関わり		・ 報告書謝辞に5社の名前が記載

- <https://www.fda.gov/media/136516/download>
- <https://www.fda.gov/media/97245/download>
- https://www.kidney.org/sites/default/files/elpfdd_fsgs_vop_20210910.pdf

③ 患者リスニングセッション(Patient Listening Sessions)

患者リスニングセッションは、全米希少疾患患者協議会(NORD)とReagan-Udall Foundationとの協力により、希少疾患患者の体験や緊急性の高いニーズを小グループ、非公開の会議でFDA職員と共有し医薬品開発に役立てている。

取組の歴史的経緯

- 全米希少疾患患者協議会(NORD)の協力のもと、FDAは2018年から患者リスニングセッションのパイロットプログラムを開始した。

医薬品開発パイプライン上の参画タイミング

- 患者リスニングセッションは、FDAが特定の質問事項を用意する「FDA要請型」と、患者団体が自らの見解をFDAと共有したい場合の「患者主導型」の2種類がある。
- 患者リスニングセッションは、小規模で非公式、非規制、非公開のディスカッションである。最大1.5時間予定されており、FDAで直接か、電話で行うか、またはその両方で行うことができる。
- 患者リスニングセッションは、特定の医療製品(医薬品、生物学的製剤、または医療機器)ではなく、健康に関する経験や見解に関するものである。「FDAとの過去の会議や今後の会議で予定されている議題と同じ議題ではない」という基準があり、リスニングセッションで共有された情報は、(明言されてはいないが)参画タイミングとしては上流に位置するものと考えられる。なお、患者リスニングセッションは、医薬品の審査プロセスには関わっていない。

③ 患者リスニングセッション(Patient Listening Sessions)

- FDA要請型の患者リスニングセッションの現在までの検討テーマ(23テーマ)である。
- この他、患者主導型についても、現在までに66テーマが検討されている。

開催日程	テーマ
2024年3月15日、22日、29日	注意欠陥・多動性障害(ADHD)
2024年4月4日	先天性サイトメガロウイルス感染症(cCMV)
2023年4月27日	カルチノイド症候群
2023年3月20日	気管支肺異形成症
2023年1月24日	回腸人工肛門造設術(IPAA)手術後の腸管パウチ炎
2022年12月1日	プロテウス症候群
2021年6月29日	トランスジェンダーの思春期の医療上の課題と未充足の医療ニーズ(セッション#2)
2021年6月1日	トランスジェンダー成人における医療上の課題と未充足の医療ニーズ(セッション#1)
2021年4月6日	ループスセッション3 - 臨床試験における多様性
2021年4月2日	ループスセッション2 - 臨床試験における多様性
2021年3月31日	ループスセッション1 - 臨床試験における多様性
2021年3月25日	糖原病(GSD)1型 - 小児患者の介護者
2021年3月18日	糖原病(GSD)1型 - 成人患者
2020年9月11日	進行性多巣性白質脳症(PML)セッション2
2020年7月22日	進行性多巣性白質脳症(PML)セッション1
2020年2月4日	ハンター症候群
2019年12月2日	胃不全麻痺
2019年11月13日	小児脳性副腎白質ジストロフィー(CCALD)
2019年10月17日	サンフィリポ症候群 - 小児
2019年5月13日	サンフィリポ症候群
2019年2月20日	セリアック病
2018年12月4日	ファブリー病
2018年10月23日	遺伝子治療による血友病治療

③ 患者リスニングセッション(Patient Listening Sessions)

患者団体と国と企業との関係性 参画する患者の選られ方

- セッションに参加できるのは、FDA、患者、介護者、支援者、患者団体の代表のみ。

事例

- 2024年3月15日、22日、29日の3回に分けて、ADHDの患者リスニングセッションが開かれた²。これは、FDAスタッフは、「ADHDの診断と、ADHDの刺激薬および非刺激薬治療に関連するリスクとベネフィットに関する見解をよりよく理解し、成人の処方データにおける知識のギャップを埋める」ために、ADHDとともに生きる成人の意見を聞きたいという意図のもと、FDA主導で開催された。
 - 参加者は、各回5名、7名、5名の合計17名。FDAスタッフ以外では、Reagan-Udall Foundationから出席があった。
-
- 参加者は、リスニングセッションのトピックに関する利害関係があれば事前に申告が求められる(申告しなくても、リスニングセッションへの参加は可能である)。
利害関係の例は以下のとおり²。
 - ✓ 会社または団体が旅費やその他の費用を支払う。
 - ✓ 医療製品会社が助成金としてお金を支給する。

1. <https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement/how-do-i-request-patient-listening-session>
2. <https://www.fda.gov/media/179289/download?attachment>

④ 患者参画諮問委員会(PEAC:Patient Engagement Advisory Committee)

患者参画諮問委員会(PEAC)は、医療機器の規制や使用に関する複雑な問題について、患者や介護者がそれぞれのニーズと体験をFDAと共有、また議論することで今後の技術革新、開発、評価、導入に情報を提供している。

取組の歴史的経緯

- FDAは、医療機器の規制と患者によるその使用に関する複雑な問題に関するFDAの審議に、患者のニーズと経験が確実に考慮されるようにするための諮問委員会を2017年に設立した。

最新動向

2024年10月30日に、FDA規制医療製品の臨床試験における患者中心のインフォームドコンセントについて議論し、推奨事項を作成するための患者参画諮問委員会がオンラインで開催された。

内容:インフォームドコンセントは臨床試験の重要な要素であるが、フォームが長く、研究参加者が理解しにくい点に課題がある。今回の諮問委員会では、インフォームドコンセントのプロセスとインフォームドコンセントの焦点領域に関する推奨事項および、臨床試験の参加者に伝える際に考慮すべき要素に関する推奨事項を作成する。

- 議論の背景資料が、2営業日前までにwebサイトに公開。
- 会議はYouTubeでライブ配信。
- 議題に関するデータ、意見、情報は口頭または書面で提出できる。書面での提供は10月3日まで、口頭発表を希望する場合は、9月25日までにFDAの担当者に詳細を提出する。
- シナリオ議論セッションに参加したい場合は10月16日までに参加登録が必要。定員150名。

- <https://www.fda.gov/about-fda/division-patient-centered-development/cdrh-patient-engagement-advisory-committee>
- <https://www.fda.gov/advisory-committees/advisory-committee-calendar/october-30-2024-patient-engagement-advisory-committee-meeting-announcement-10302024#event-information>

④ 患者参画諮問委員会(PEAC:Patient Engagement Advisory Committee)

医薬品開発パイプライン上の参画タイミング

- PEACは、医療機器の規制・使用に関する諮問委員会である。特定の医療機器の開発に関与するわけではないが、患者の声を生かしたガイダンスの制定等に寄与している。
- また、以下のような議題についてCDRHに助言を行うことがある。
 - 機関の指針および方針
 - 臨床研究の設計
 - 実世界データ
 - 患者からの意見の科学
 - 医療機器の利点およびリスクの伝達
 - デジタルヘルス技術

PEACの過去の議題

2023年:医療機器における健康の公平性の向上

2022年:拡張現実と仮想現実の医療機器

2021年:医療機器のリコール:患者中心のコミュニケーション

2020年:医療機器における人工知能(AI)と機械学習(ML)

2019年:医療機器におけるサイバーセキュリティ

2018年:患者が生成した健康データ

2017年:医療機器の臨床試験における患者の関与

<https://www.fda.gov/about-fda/division-patient-centered-development/cdrh-patient-engagement-advisory-committee>

④ 患者参画諮問委員会(PEAC:Patient Engagement Advisory Committee)

- PEACからのフィードバックを受けてFDAが実施した措置には、以下のものがある。

年次	FDAが実施した措置
2024	「医療機器のリコールに関する情報伝達：文献の迅速レビュー」と題する文献レビューを実施し、公表。医療製品のリコール関連のコミュニケーションにおけるリスクコミュニケーションのアプローチ、方法、およびベストプラクティスに関する情報を調査。 - 患者および医療従事者によるAR/VR機器の使用に関するスペイン語のインフォグラフィックの作成。 - 医療機器における健康の公平性に関するディスカッションペーパーを公表。
2023	FDAウェブサイトを更新し、患者および医療従事者によるAR/VR機器の使用に関するインフォグラフィックを追加。
2022	- FDAウェブサイトを更新し、AR/VRを搭載した医療機器のリストを追加。 - 最終ガイダンス「医療機器の臨床試験の設計と実施における患者の関与」を発行。
2021	- バーチャル公開会議 - 医療機器の製品ライフサイクル全体における患者生成ヘルスデータ(PGHD)を開催。 - 人工知能/機械学習(AI/ML)行動計画を発表。AI/MLアルゴリズムにおけるバイアスの特定と排除に向けたレギュラトリーサイエンスの取り組みを支援する多様性計画を含む。 「患者へのサイバーセキュリティ脆弱性の伝達：フレームワークに関する検討事項」ディスカッションガイドを掲載。

<https://www.fda.gov/about-fda/division-patient-centered-development/cdrh-patient-engagement-advisory-committee>

④ 患者参画諮問委員会(PEAC:Patient Engagement Advisory Committee)

年次	FDAが実施した措置
2020	- 医療機器試験への参加を呼びかけるビデオを投稿。 - 患者向けビデオを含むサイバーセキュリティに関するビデオ・ミニシリーズの開発を発表。
2019	「医療機器の臨床試験の設計と実施における患者の関与」と題する指針草案を発表。
2018	公衆衛生の保護と促進を支援する医療機器で収集されたデータの共有

<https://www.fda.gov/about-fda/division-patient-centered-development/cdrh-patient-engagement-advisory-committee>

④ 患者参画諮問委員会(PEAC:Patient Engagement Advisory Committee)

参画する患者の選られ方

- PEACは、議長を含む9名の投票権を有する委員で構成される。
- 委員は、臨床研究、患者体験、患者団体の医療ニーズなどの分野に精通している者から選出される。
- 諮問委員会への参画希望者は、FDA諮問委員会申込ページから申し込める^{1,2}。
- PEACサイトからリンクされている申込サイトは専用のものでなく、通常のFDA諮問委員会の申込ページである。専門知識が求められる一方、罹病歴等の指定はない。

2024年10月時点でのPEACメンバー

名前	所属と職位
Letise Williams	Designated Federal Officer, Center for Devices and Radiological Health Office of Strategic Partnership and Technology Innovation
Rita T. Roy, M.D.	CEO, National Spine Health Foundation
Teresa M. Diaz	Co-Founder, Global Patient Advocacy Coalition
David M. White	Lead Proofreader (Nights) Debevoise & Plimpton
Ian D. Burkhardt	Vice President North American Spinal Cord Injury Consortium
Necie L. Edwards	Fibro Patient Education & Support
Mary S. Schrandt, J.D.	Founder, CEO & Chief Patient Advocate
Philip X. Rutherford, B.A.	Chief Operating Officer Faces & Voices of Recovery
Elizabeth A. Joniak-Grant, Ph.D.	Sociologist, Qualitative Research Consultant and Patient Experience Collaborator Injury Prevention Research Center University of North Carolina

1. <https://www.fda.gov/about-fda/division-patient-centered-development/cdrh-patient-engagement-advisory-committee>
2. <https://www.fda.gov/advisory-committees/advisory-committee-membership/applying-membership-fda-advisory-committees>

④ 患者参画諮問委員会(PEAC:Patient Engagement Advisory Committee)

患者団体と国と企業との関係性 参画する患者の選られ方



WHO WE ARE OUR

ELIZABETH JONIAK-GRANT

HOME - OUR WORK - PATIENT ENGAGEMENT - PATIENT ENGAGEMENT COLLABORATIVE - Elizabeth



Elizabeth Joniak-Grant is a sociologist and has served as a patient representative with the FDA since 2014. Her disease experiences include chronic daily migraine, fibromyalgia, arthritis, myofascial pain syndrome, occipital neuralgia, chronic pain, and Von Willebrand disease. She is a member of the American Sociological Association's Disabilities and Society and Medical Sociology sections, Migraine Research Foundation, Coalition for Headache and Migraine Patients, National Fibromyalgia and Chronic Pain Association, National Fibromyalgia Partnership, and the American Chronic Pain Association.

- PEAC参画への申込時点では、患者であることは求められないが、実際には患者としての体験を語れる専門家も選ばれる。
- 例えば、PEACメンバーである
Elizabeth Joniak-Grant氏は、社会学者であり、慢性連日性片頭痛、線維筋痛症、関節炎、筋筋膜痛症候群、後頭神経痛、慢性疼痛、フォン・ヴィレブランド病などの病歴を持つ。
- 彼女はPEACだけでなく、FDAの患者代表、希少疾病用医薬品局の希少疾患自然史助成金プログラムの審査委員会メンバーも務めている。

<https://ctti-clinicaltrials.org/our-work/patient-engagement/patient-engagement-collaborative/elizabeth-joniak-grant/>

⑤ 患者参画コラボレイティブ (PEC: Patient Engagement Collaborative)

患者参画コラボレイティブ(PEC)は、FDAとデューク大学のCTTIによる官民パートナーシップで行われている。患者団体や患者代表が集まり、FDAにおける医薬品の開発やその他の規制に関するテーマにおいて、より有意義な患者の参加を実現する方法について議論する。

取組の歴史的経緯

- FDA安全イノベーション法(FDASIA)第1137条「医療製品に関する議論への患者参加」において、「医療製品開発プロセスにおいて患者の意見を求める戦略を開発・実施し、規制に関する議論において患者の視点も考慮する」ことの価値が認められた。
- そこで、2014年、FDAは、このプロジェクトをどのように実施するかに関する情報を収集するために、一般からの意見を募集。その結果、FDAの各センターにわたって患者参加のあり得る形態についてアイデアを提供する外部グループ(FDA職員以外)の創設を提案する意見が多く寄せられた。
- そのフィードバックに応え、FDAとCTTI(Clinical Trials Transformation Initiative:臨床試験改革イニシアチブ)※は2017年にPECを創設し、2018年に第1回会合が開催された¹。

※2007年にデューク大学とFDAによって設立されたCTTIは、臨床試験の質と効率を向上させるプラクティスを開発し、その採用を推進することを使命とする官民パートナーシップ。

1. https://ctti-clinicaltrials.org/wp-content/uploads/2023/05/PEC-Framework_Compliant-Apr-10-2023_FINAL.pdf

⑤ 患者参画コラボレイティブ (PEC: Patient Engagement Collaborative)

医薬品開発パイプライン上の参画タイミング

- PECは、患者団体が議論し、見解や視点(アイデアや経験)を交換する機会である。
- PECはFDAの諮問委員会とはみなされず、規制政策の決定に直接関係するものではなく、非拘束的なものである。また、特定の医療製品や治療法について議論することはなく、保険適用範囲や医療費に関する患者の懸念など、FDAの権限外の話題は避けるようにしている。
- PECの主な活動内容は下記の通り。

コミュニケーションおよび教育	関与
PEC、CTTI、およびFDAにとって共通の関心事となっているトピック(例. 患者がFDAの方針に関与し、コミュニケーションを図り、理解するための方法)の整理を支援する。	患者コミュニティからの情報や経験を共有し、患者の関与活動を促進する。
患者コミュニティ(患者、介護者、支援者)のためのコミュニケーションツールおよび教育リソースの潜在的なニーズを特定する	患者の関与を強化するための新しい創造的なアイデアを模索する。
患者向けウェブページ、FDAの役割に関する背景情報など、コミュニケーションツールや教育リソースの開発に貢献する。	FDA/CTTIと協力し、FDA/CTTIのコミュニティに公聴会やリソースに関する情報を提供する。
患者コミュニティにおける医療製品規制に関する認識を高め、双方向の教育に参加する。	

<https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement/patient-engagement-collaborative>

⑤ 患者参画コラボレイティブ (PEC: Patient Engagement Collaborative)

患者団体と国と企業との関係性

- PECのメンバーは、表明された見解はすべて自分自身のものであることを明記しなければならない。PEC活動についてFDAやCTTIを代表して発言することはできない。
- また、FDAとCTTIは、必要な利害関係者に情報を提供するために、専門家やオブザーバーをPEC会議に招待することがある。PECでの話し合いは、患者団体の代表者とFDAとの間で、共通の関心分野に関する情報交換に重点を置く。民間企業の医療製品に関する情報は議論されない。
- メンバー、オブザーバー、外部専門家を問わず、PECの全ての討議に参加する者は、利益相反の可能性が生じた場合、それを開示することが期待されている。

参画する患者の選ばれ方

- PECは、社会人口統計学的要素(年齢、性別、民族性、教育レベル、収入など)や疾病経験を含むが、これらに限定されない、患者団体の幅広い代表者最大16名で構成される。
- 会員の任期は2年で、毎年8名のメンバーを交代で入退会させる。プロジェクト完了のために延長が必要な場合は、その可能性もある。メンバーは2期まで務めることができる。
- 希望者は、申請期間に「患者擁護活動の経験と関連活動を要約した経歴書」「PECに関連する活動で密接に協力してきた患者グループからの推薦状」を添えて応募する。最低2カ月かけて、患者擁護団体、CTTIのスタッフ、FDAで構成される選考委員会がすべての申請書を審査し、適格者を選出する。
- 2024年10月現在、PECメンバー16名中、当事者は10名(患者6名、介護者3名、両方1名)である。

⑥ 患者と介護者のコネクション(P&CC:Patient & Caregiver Connection)

CDRH(Center for Devices and Radiological Health:医療機器・放射線保健センター)の職員とパートナー団体が、患者と介護者から医療機器の使用に関するフィードバックを収集し、医療機器の設計、評価、安全性監視、製品の改良に役立てている。

- P&CCはFDAのCDRHのスタッフが患者と介護者の体験に幅広くタイムリーにアクセスできるようにするパートナーシップである¹。
- CDRHは、センターの規制活動の背景となる下記の3種類のフィードバックを患者から取得するために、「患者と介護者のつながり(the Patient and Caregiver Connection:P&CC)」を開発した。
 - ✓ 特定の病状を抱えながら生きる患者の経験
 - ✓ 患者の診断、治療、または病状の管理に使用される機器に関する患者の経験
 - ✓ 使用している、または治療に用いられる可能性のある医療機器に関する現在の問題や傾向
- P&CCは、患者団体と提携し、患者および介護者のグループが、治療、診断、評価に関連する特定の質問を提起する手段を提供する。意見の提出が必要となった場合は、患者団体のメンバーとCDRHスタッフを結びつけるように努めている。なお、患者および介護者のP&CCへの参加は無償である²。

1. <https://www.fda.gov/about-fda/division-patient-centered-development/cdrh-patient-and-caregiver-connection>

2. <https://www.federalregister.gov/documents/2016/11/07/2016-26784/establishment-of-the-patient-and-care-partner-connection-establishment-of-a-public-docket-request>

⑥ 患者と介護者のコネクション(PCC:Patient & Caregiver Connection)

- CDRHの「2016-2017年度戦略的優先事項」¹によると、CDRHは、患者や患者団体のニーズをよりよく理解し、CDRHの活動に意見を求めるために、患者や患者団体との関わりを深める努力をしている。
- さらに、エビデンスとしての患者からの意見も増加傾向にあることを受け、ベネフィットに関する患者の視点とリスクに対する許容度を、市販前承認の決定における重要な要素として特定した。



- それにより、以下の目標を立てた。
 - ✓ 2016年12月31日までに、CDRHの職員が、CDRHが直面する市販前および市販後の主要な問題について患者から意見を得るための1つ以上の新たな仕組みを確立し、10の患者団体の参加を促進する。
 - ✓ 2017年12月31日までに、これらのメカニズムに参加する20の患者団体の参加を促進する。
 - ✓ 2016年12月31日までに、CDRH職員の50%が職務の一環として患者と接する。
 - ✓ 2017年12月31日までに、CDRH職員の90%が職務の一環として患者と接する。

- なお、PCCは、CDRHスタッフが患者の視点に触れる機会を増やすことを目的としており、政策に関するアドバイス、推奨事項、または意見を提供することを目的としたものではない²。

1. <https://www.fda.gov/media/95317/download>

2. <https://www.fda.gov/about-fda/division-patient-centered-development/cdrh-patient-and-caregiver-connection>

⑥ 患者と介護者のコネクション(PCC:Patient & Caregiver Connection)

- PCCのパートナー組織は今後も拡大予定である(2024年10月時点)

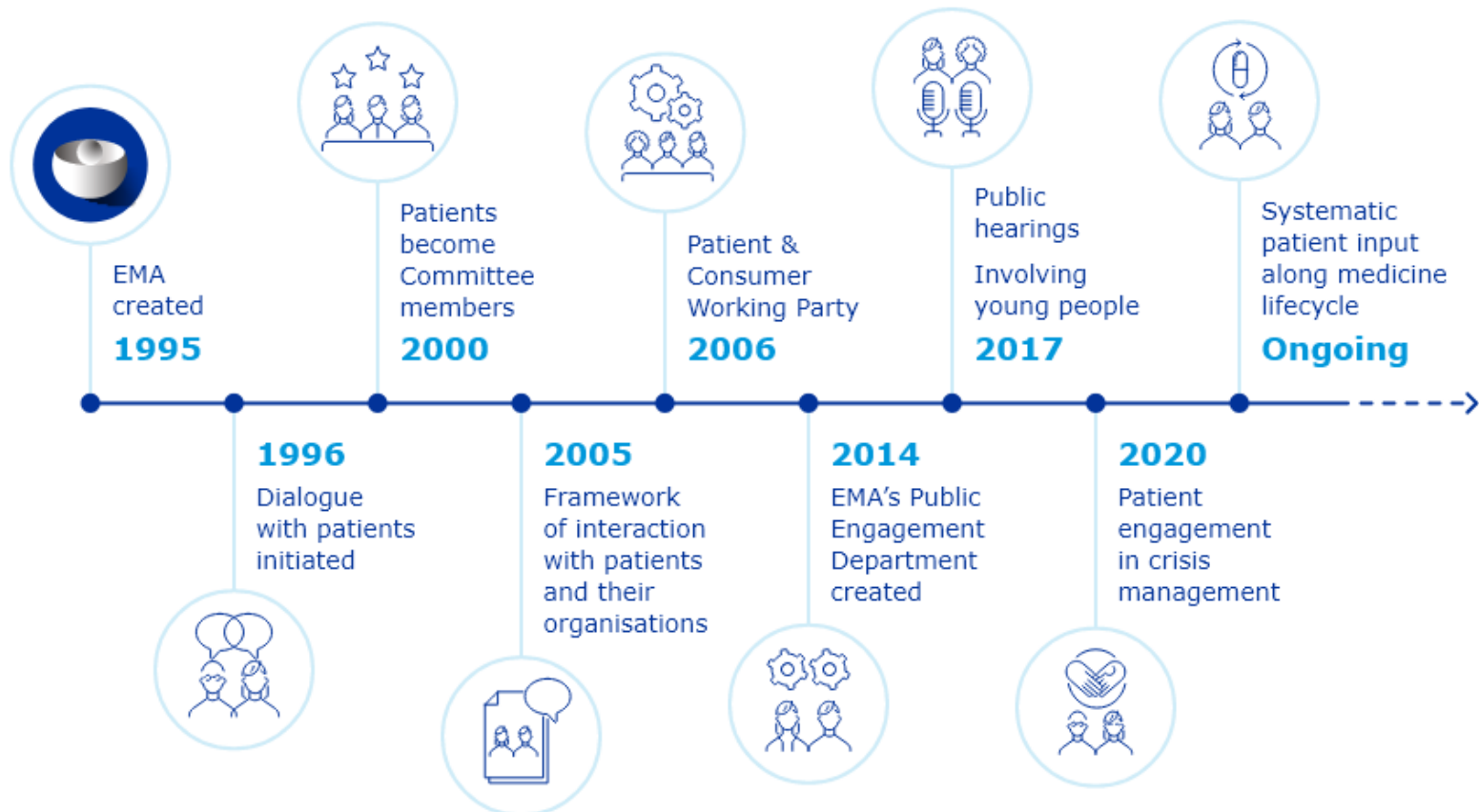
米国腎臓病患者協会(AAKP)	Global Healthy Living Foundation (GHLF) (慢性疾患患者支援財団)
米国脳協会(ABC)	国際子ども諮問ネットワーク(iCAN)
米国睡眠時無呼吸症候群協会(ASAA)	Mended Hearts (心疾患支援団体)
Breakthrough T1D(1型糖尿病)	筋ジストロフィー協会(MDA)
乳房インプラント手術の安全性同盟(BISA)	全米介護者同盟(NAC)
慢性閉塞性肺疾患財団	全米平滑筋肉腫財団(NLMSF)
Faces and Voices of Recovery (FAVOR)(依存症回復支援団体)	全米希少疾患機構(NORD)
Facing our Risk of Cancer Empowered (FORCE)(遺伝性癌)	北米脊髄損傷コンソーシアム(NASCIC)
脊柱側弯症の真実(SSS)	二分脊椎協会(SBA)
顎関節症協会	

<https://www.fda.gov/about-fda/division-patient-centered-development/cdrh-patient-and-caregiver-connection>

2. 欧州における薬品開発等における市民参画について

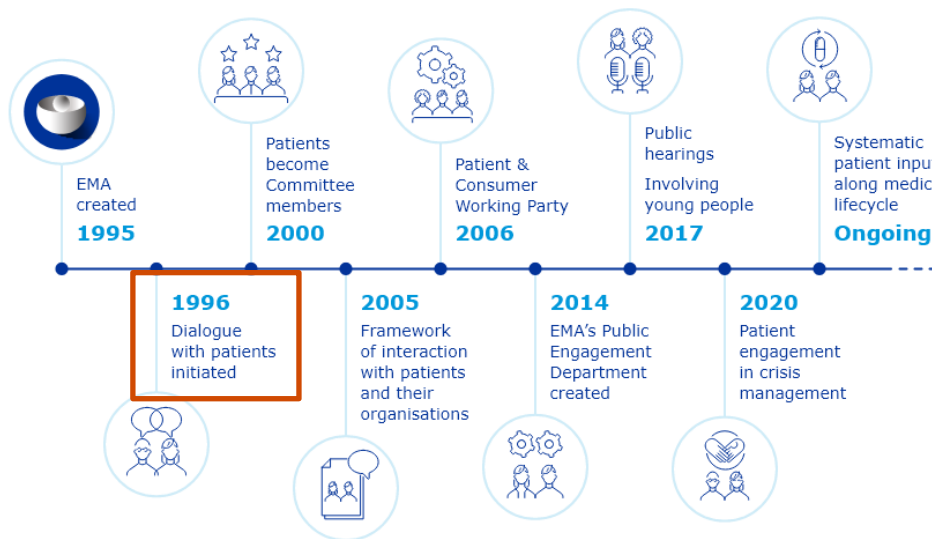
欧州の患者参画のマイルストーンとなった取組について、主に右記事項を整理。

- ・ 取組の歴史的経緯
- ・ 医薬品開発パイプライン上の参画タイミング
- ・ 参画する患者の選ばれ方

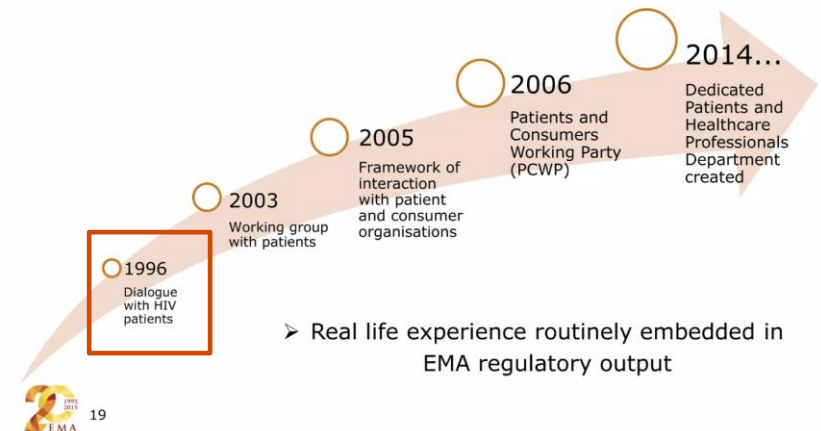


① Dialogue with patients initiated (1996年)

- 欧州医薬品庁(EMA)は1995年に設立され、翌年の1996年には、規制プロセスに患者や消費者を関与させる取り組みの一環として、患者との対話を開始した¹。
- 1996年には、HIV患者との対話が行われた²。この出来事は、その後のEMAにおける患者参画の足がかりとなっている。



Interaction with patients: the EMA journey... so far



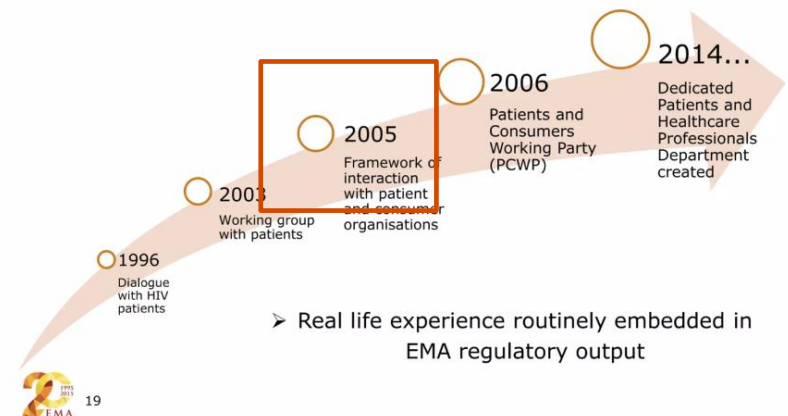
1. <https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers>
2. <http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/training-resources/2015/d4s1.pdf>

② Framework of interaction with patients and their organizations(2005年)

取組の歴史的経緯

- 2002年5月、EMAは患者および消費者団体との初のワークショップを開催し、2003年には患者および消費者団体8団体からなる作業部会を設立した。
- 作業部会の経験を基に、2005年には、EMAは患者および消費者団体(PCO: Patients and Consumers Organizations)との公式な交流の枠組みを策定した。この枠組みには、PCOの明確な定義、EMAの活動への参加を希望する市民社会組織(Civil Society Organisations)が満たすべき基準、そして2006年の患者・消費者ワーキングパーティ(PCWP: Patients' and Consumers' Working Party)の創設が含まれていた¹。
- この枠組みは、患者・消費者との交流をより良い形で構造化・公式化するために達成すべき目標を定義し、実施計画を定めたものである²。

Interaction with patients: the EMA journey... so far



- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK459045/>
- <https://www.ema.europa.eu/en/documents/report/first-report-progress-interaction-patients-and-consumers-organisations-and-analysis-degree-satisfaction-patients-and-consumers-involved-european-medicines-agency-activities-during-200-en.pdf>
- <http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/training-resources/2015/d4s1.pdf>

③ Patients & Consumer Working Party (2006年)

患者・消費者ワーキングパーティ(PCWP)は、EMAと患者および消費者の間で共通の関心事項に関する情報交換と議論を行うプラットフォームを提供する¹。

取組の歴史的経緯

- 欧州議会および理事会規則(EC) No.726/2004、特に第78条(1)は、欧州医薬品庁(EMA)、その経営委員会および委員会に対し、患者および消費者とのコンタクトを発展させる追加的な責任を与えている。
- 2005年12月15日に開催されたEMAの経営委員会において、EMAのヒト科学委員会との連携を図りながら、EMA内にPCOとの交流の場を設けることを目的とした「EMAとPCOとの相互交流の枠組み」(EMA/354515/2005-Final)が承認された。
- この枠組みの承認を受けて、患者・消費者ワーキングパーティ(PCWP:Patients' and Consumers' Working Party)が2006年に設立された。なお、主要なステークホルダーとの関係管理のための原則については、2014年12月に採択された「相互作用の枠組み改訂版」(EMA/637573/2014)で再定義された。

1. <https://www.ema.europa.eu/en/committees/working-parties-other-groups/comp-working-parties-other-groups/patients-consumers-working-party>

2. https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/mandate-objectives-and-composition-patients-and-consumers-working-party-pcwp_en.pdf

③ Patients & Consumer Working Party (2006年)

取組の歴史的経緯

年次	主な進捗
2008 ¹	- EMAの活動に関与するPCOの代表者の数が大幅に増加(2007年77名⇒2008年165名)。 - これは主に、製品関連情報手順の品質に関する見直しの参加者が増加したことによる。EMAの業務のあらゆるレベルでの参加者の増加(例えば、科学委員会の委員数の増加、作業部会(WP)やその他のEMAイベントへの参加の増加)も要因となっている。
2009 ²	- EMAの活動に参加した患者・消費者の数が大幅に増加した(2008年165件⇒2009年213件)。 - これは、EMAのあらゆるレベルの活動への参加が増加したためである(例えば、科学委員会のメンバーの増加、作業部会やワーキンググループへの参加の増加、科学的助言に関与する専門家の増加、CHMPやPhVWPから相談を受けるPCOの増加、ENCePPやPROTECTのようなEMAのプロジェクトへの関与)。
2010 ³	- EMAの活動に関与するPCO代表者の数は2010年には307名に増加した。患者・消費者の参加回数総数は479回となった。 - この増加は、科学諮問委員会(SAG)会議への患者専門家の参加増加、CHMPの協議の増加、医薬品安全性監視作業部会における患者代表の参加など、多くのレベルでEMAの業務への関与が強化されたことによるものである。さらに、EMA文書の審査への参加も強化され、安全性に関するコミュニケーションも含まれるようになった。また、ENCEPP、Eudravigilance、臨床試験関連活動、EnprEMAなどの他の長期プロジェクトへの継続的な関与も行われている。 - 患者の関与が多くの機関の活動で拡大し、より幅広い治療分野をカバーする必要性が高まるのに伴い、2010年にはPCWPの会員数が拡大し、新たに5つの患者団体および消費者団体が加わった。これにより、PCOの会員数は合計15団体となった。さらに、EMAと協力する資格を得るために申請する団体の数も増加し、2007年の19団体から2010年末には29団体に増加した。

1. Report on the progress of the interaction with patients' and consumers' organisations and analysis of the degree of satisfaction of patients/consumers involved in EMEA activities during 2008
2. Third report on the progress of the interaction with patients' and consumers' organisations during 2009
3. Fourth report on the progress of the interaction with patients' and consumers' organisations (2010) and Results/analysis of the degree of satisfaction of patients and consumers involved in EMAactivities during 2010

③ Patients & Consumer Working Party (2006年)

医薬品開発パイプライン上の参画タイミング

- PCWPの定義された役割¹の中では、医薬品開発パイプラインに対応するもの(赤字項目)もある。

EMAと患者・消費者団体間の相互作用に関する枠組み内の提案の実施と監視	患者や消費者のニーズに合わせた情報提供
適切なコミュニケーションツールの開発への貢献と、組織全体および会員への情報伝達の促進	医薬品の使用に関する患者の意識向上に貢献
患者・消費者団体のネットワークの発展と育成に貢献	EMAのヒト科学委員会の要請による、医薬品の非機密事項に関する助言の提供
利害関係者(医療従事者団体、学会、学术界、製薬業界)との連携	利害関係者(医療従事者団体、学会、学术界、製薬業界)との連携
トピックグループの設定(詳細なディスカッションが必要な場合、対象となる組織から他の人を招待)	薬事法の施行、EUネットワーク戦略およびEMAの多年度作業計画から生まれるイニシアティブに適宜貢献
特定の公衆衛生のニーズに対応するEMAのイニシアティブ(例:小児用医薬品、高齢者の医薬品使用、新しい効果的な抗生物質治療の選択肢)への意見提供	医薬品開発プロセスを強化し、医薬品開発・供給におけるギャップを埋めるとともに、新規・新興科学の課題に対処するためのEMAのイニシアティブに適宜貢献

https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/mandate-objectives-and-composition-patients-and-consumers-working-party-pcwp_en.pdf

③ Patients & Consumer Working Party (2006年)

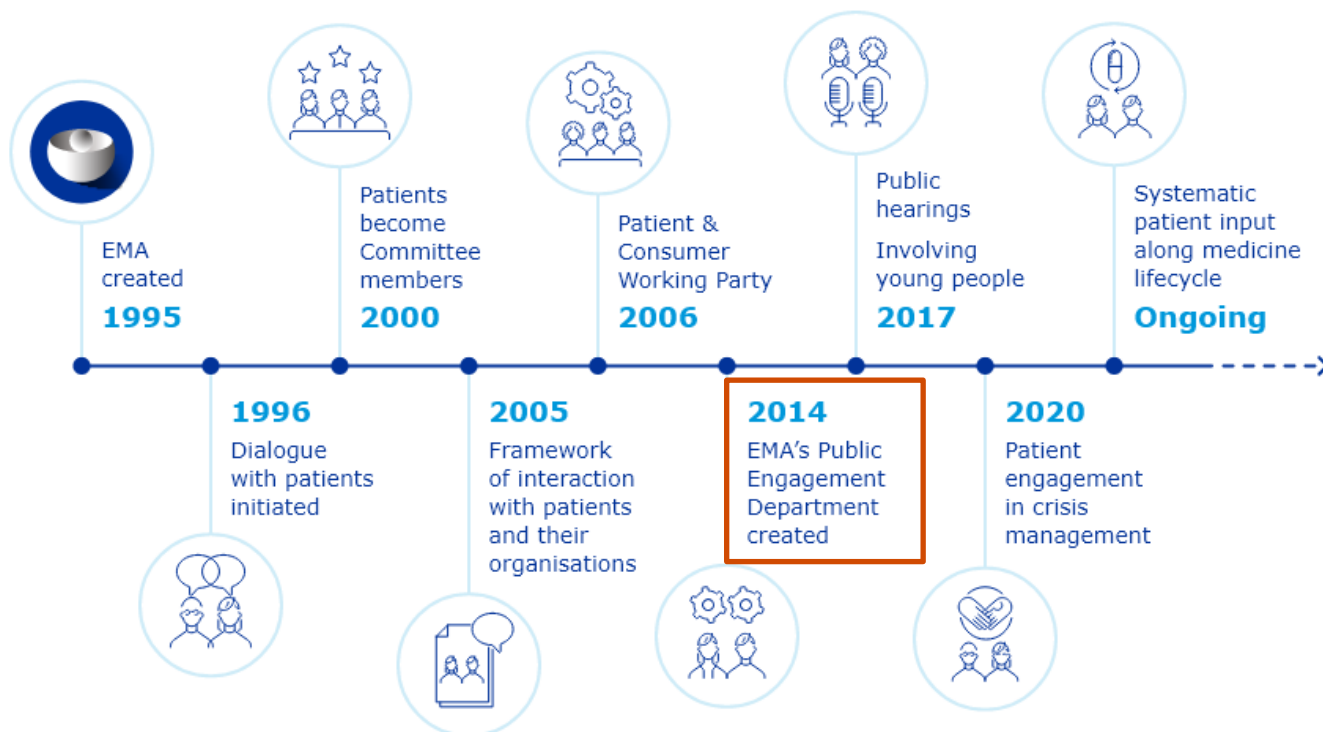
参画する患者の選られ方

- PCWPは30人のメンバーで構成されている。
 - ✓ 事務局長の決定により、EMA適格団体のリストの中から22名が任命される。
 - ✓ EMAの各人間科学委員会(CAT、CHMP、COMP、HMPC、PDCO、PRAC)から6名が任命される。
 - ✓ 1名の委員長がメンバーから選出される(PCWP共同委員長)。
 - ✓ 議長は、事務局長の決定により、EMA事務局の中から1名指名される(EMA共同議長)。
- 患者・消費者団体の委員は、EMA事務局によって、EMA適格団体リストの中から、ワーキングパーティの任務範囲内で扱われるテーマとの関連性に基づき、関心表明の募集に従って選出される。
 - ✓ 一般消費者団体、一般患者団体、集中手続きの必須範囲(希少疾病用医薬品、HIV/AIDS、がん、糖尿病、神経変性疾患、自己免疫疾患およびその他の免疫機能異常)に特定の関心を持つ団体。
 - ✓ 同じ地域の複数の組織に資格がある場合、EMAは適宜、1つまたは複数の組織を選択する。
 - ✓ PCWP委員は事務局長の決定により指名され、任期は3年で、更新されることもある。各組織は、代表1名と補欠1名を任命する。
 - ✓ 各組織から任命された個人は、PCWP活動のためにその代表として行動するのであって、個人的な立場で行動するわけではない。したがって、任命された代表者は、取り上げるべきトピックについて組織の立場を示すため、所属組織と連絡を取る責任がある。それと並行して、代表者はPCWPの活動について報告しなければならない。
 - ✓ 代表者または補欠者は、製薬会社に雇用されることはできない。
 - ✓ PCWPの代表者が専門家として(すなわち個人の資格で)他のEMAの活動に関与する場合、科学委員会の委員および専門家の利益相反の取り扱いに関するEMAの方針に基づいて、それぞれの活動ごとに利益相反の評価が別途行われる。

④ EMA's Public Engagement Department created(2014年)

取組の歴史的経緯

- 欧州医薬品庁(EMA)のパブリック・エンゲージメント部は、患者、消費者、医療従事者(HCP)、学術関係者の同庁の業務への関与を促進するために設立された¹。



https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/public-engagement-highlights-2018_en.pdf

⑤ Public hearings Involving young people (2017年)

取組の歴史的経緯

- 2007年にEC規則No1901/2006が発効され、EMAは、相互に価値と利益をもたらすことができる場合、若者たちの使用を目的とした医薬品について、若者たちの意見や見解を聞く責任をより一層担うことになった。
- 2015年には、PCWP及びHCPWP(Healthcare Professionals' Working Party)に、特定のトピックスについて議論を行う会議体「トピックグループ」が設置された。当初の検討トピックは下記の通り。
 - EMAの活動における患者の関与の影響/価値の測定。
 - 患者の意見が当局の活動に反映されていることを認め、周知すること
 - EMAの活動に関与する患者に対するトレーニング
 - EMAの活動への若者の関与。
 - ソーシャルメディア
 - リスク最小化策とその有効性の評価
 - 医薬品に関するEMA/CHMP/PRACのプロジェクト
 - 学術機関、学術団体、医療従事者団体

https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/principles-involvement-young-patientsconsumers-within-ema-activities_en.pdf

⑤ Public hearings Involving young people (2017年)

取組の歴史的経緯

- PCWPに設置されたトピックグループ「EMA活動への若者の関与」における議論を踏まえて、2017年に、“Principles on the involvement of young patients/consumers within EMA activities(EMA活動における若年患者／消費者の関与に関する原則)”が公表された。
- この原則は、小児用医薬品に関する議論において、EMAの科学委員会がケース・バイ・ケースで 若年患者・消費者及び／又は介護者と協議できる枠組みを確立するものである。
 - ✓ 科学的な意見を作成するための関連情報を得るためには、彼らの関与は有益である。
 - ✓ 提案された相互作用は、関係する特定の年齢層に適合した方法で実施され、関係する「インタビュアー」は、相互作用の繊細な性質を尊重するために十分に準備されていること。
- これらの原則は定期的に見直され、得られた経験を考慮して必要な場合には改訂されるべきであるとされている。

https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/principles-involvement-young-patientsconsumers-within-ema-activities_en.pdf

⑤ Public hearings Involving young people (2017年)

参画する患者の選ばれ方^{1・2}

- 若年患者／消費者およびその介護者は、彼らの関与が議論に付加価値をもたらす場合にのみ意見を求められるべきであり、彼らに意見を求めることが有益である場合、およびその意見聴取の方法については、EMA／委員会メンバー／報告者が個別に決定する。
- 若年患者／消費者／介護者が関与する前に、協議のための連絡や対話の形式(例えば、直接対面、電話会議、書面)について合意する必要がある、さらに、参加者が適切な方法で参加することを確保するための必要な措置を講じる必要がある。この点に関して、以下の点を考慮する必要がある。
 - ✓ 必要に応じて親の同意を得る(18歳未満の未成年者の参加)
 - ✓ 英語で自己表現できるかどうか
 - ✓ 以下の点を、事前に本人がしっかりと認識できているか
 - 法定後見人が記入する必要のある登録、利益相反や秘密保持
 - どのような一般的なサポートや個別サポート、情報提供が提供されるか
 - 交流後のフォローアップと、貢献が議事録に記録される方法

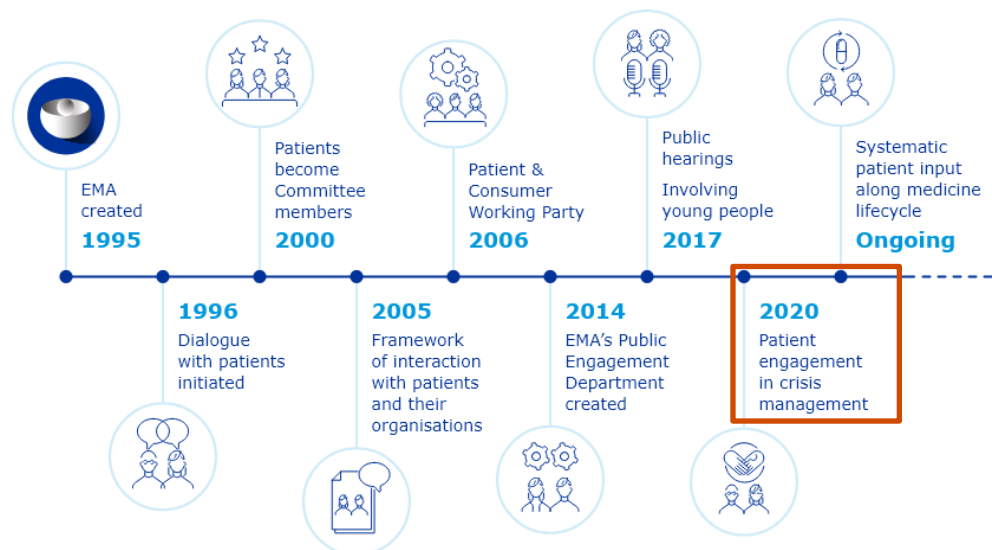
1. https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/principles-involvement-young-patientsconsumers-within-ema-activities_en.pdf

2. <https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers>

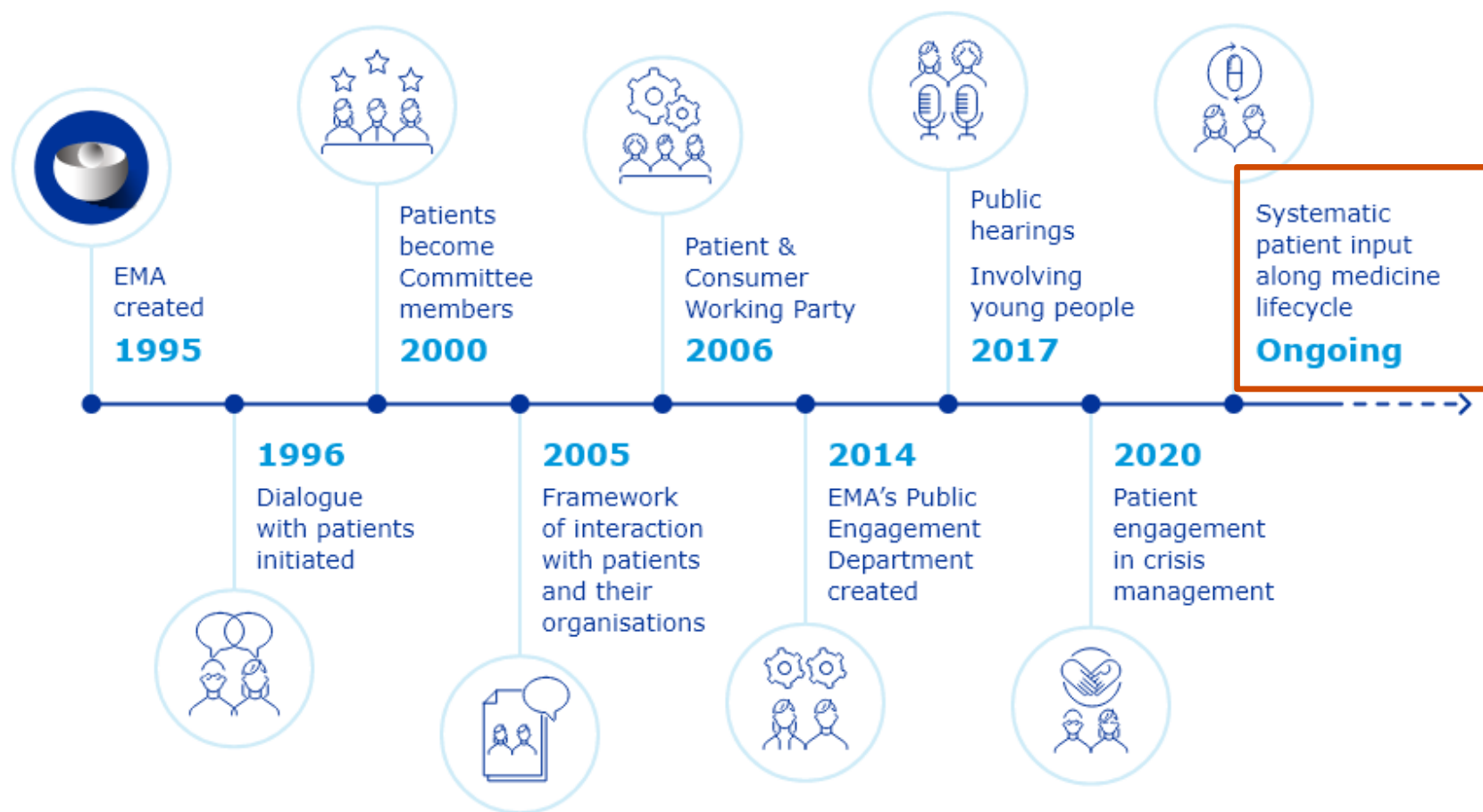
⑥ Patient engagement in crisis management(2020年)

取組の歴史的経緯

- 2020年6月、リスク最小化策に関する医薬品安全性監視業務(GVP)のモジュール(GVPモジュールXI)の改訂に関連して、PCWP及びHCPWPとの早期協議が開催され、意見が収集された。
- このモジュールは、リスク最小化策(RMM)のツールを明確化し、強化するとともに、RMMの有効性評価方法と、患者の安全性を確保するためにRMMを調整する必要性について検討することを目的としている。
- また、関連する規制プロセスにおける患者および医療関係者との連携に関する指針も含まれており、正式なパブリックコンサルテーションに先立って実施されたこの早期の取り組みにより、ガイドライン改訂の提案の実現可能性について、さらなる見識が得られた。



⑦ Systematic patient input along medicine lifecycle(進行中)



⑦ Systematic patient input along medicine lifecycle(進行中)

EMAのBiennial Report2023-2024¹より

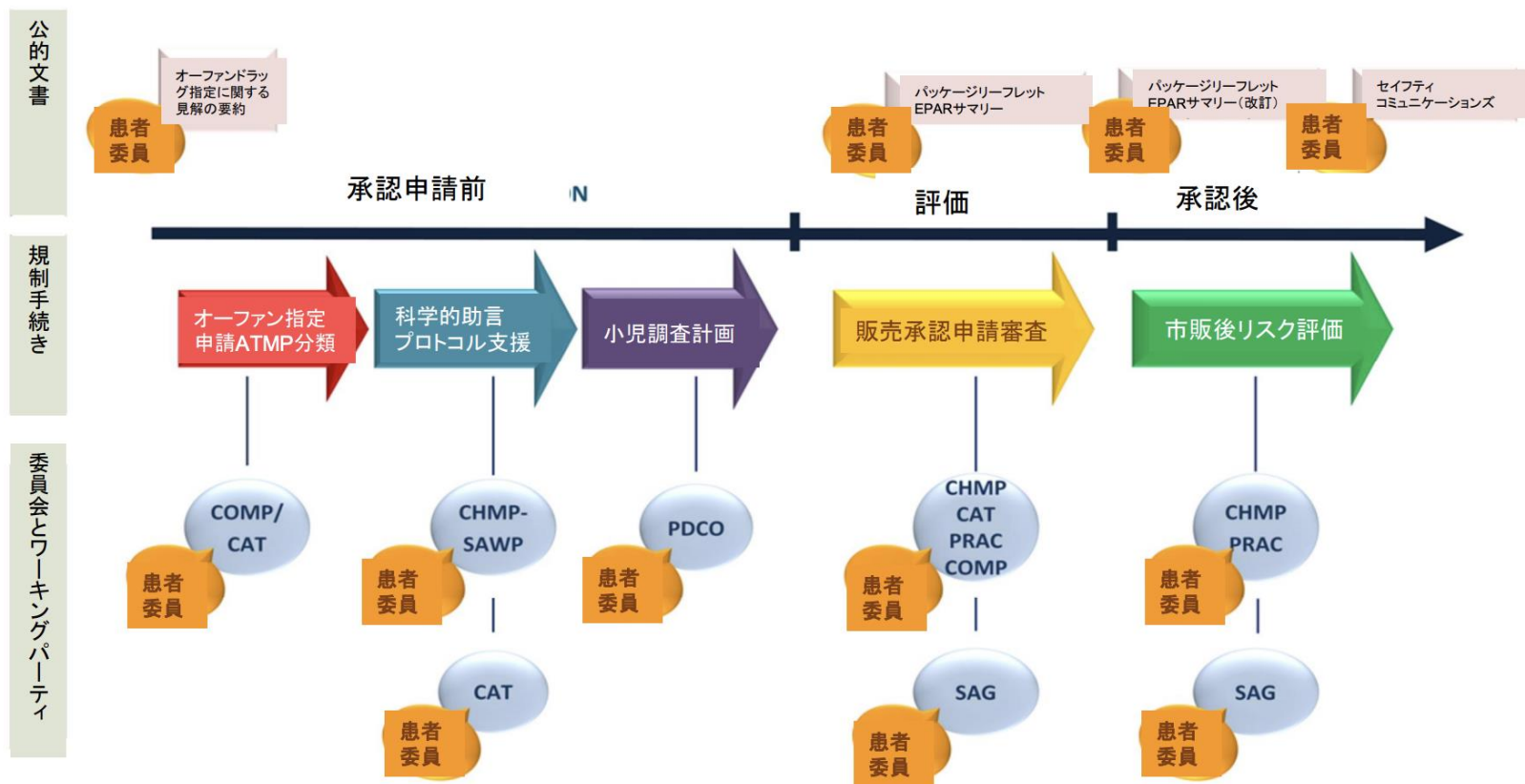
- 患者を活動の中心に据えつつ、危機への備えだけでなく科学技術の発展についても相互理解、協力、知識共有を可能にするため、多面的な対話を継続することが重要である。
- 患者団体や消費者団体との今後の主な活動には、CHMPの早期連絡方法を通じて得られたものなど、患者や医療従事者の意見を反映させるために、欧州医薬品審査報告書テンプレート(EPAR)を適応させることが含まれる。
- **患者の意見をより早い段階で取り入れる機会については、特に有益性と危険性の評価に関して、患者体験データイニシアティブと並行して検討される。**
- **医薬品やワクチンに関する情報やコミュニケーションへの関与は、特に薬剤耐性や誤報やデマへの対応に関して、強化される。**
- **EMAの業務に参加する患者代表および患者代表団の能力を向上させる上で、研修は依然として重要であるため、ビッグデータ、実世界データ、人工知能などの新たな複雑なトピックに焦点を当てた研修ニーズのマッピングが行われる予定である。**
- **医療従事者団体、学生団体、学術機関とのより組織的な協力体制を確立することで、次世代の医療従事者とどのように関わりを持つのが最善であるかに焦点を当てる。**

EMA's biennial report on stakeholder engagement activities 2022-2023

⑧ EMAにおける患者参画のタイミング

医薬品のライフサイクルにおける患者委員参加の機会

医薬品開発段階、承認審査、市販後の全過程で患者の声をEMAの活動に取り入れることが可能



https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-how-european-medicines-agency-interacts-patients-consumers_en.pdf 31

4

⑧ EMAにおける患者参画のタイミング

- 患者、消費者、介護者は、活動の性質に応じて、欧州連合(EU)の患者および消費者団体の代表、自身の団体の代表、または個人の専門家として関与できる。

参画の方法	参画の場	患者参画の概要
患者団体を代表	経営委員会 ²	EMAの統合統治機関であり、予算および計画事項、事務局長の任命、および庁の業績の監視に関する全般的な責任を負う監督役を担う。年に4回の会合があり、患者団体の代表者2名が委員として参画している。
	科学委員会 ³	EMAには7つの科学委員会があり、うち4つの委員会で患者代表が委員として参画している。 - 医薬品安全性リスク評価委員会(PRAC)⁴: 患者団体の代表1名と代理1名 - 希少疾病用医薬品委員会(COMP)⁵: 患者団体代表3名 - 先進治療委員会(CAT)⁶: 患者団体の代表2名と代理2名 - 小児委員会(PDCO)⁷: 患者団体の代表3名と代理3名

- <https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers/getting-involved-ema-activities-patient-consumer-or-career>
- <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/who-we-are/management-board>
- <https://www.ema.europa.eu/en/committees/how-committees-work>
- <https://www.ema.europa.eu/en/committees/pharmacovigilance-risk-assessment-committee-prac>
- <https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-orphan-medicinal-products-comp>
- <https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-advanced-therapies-cat>
- <https://www.ema.europa.eu/en/committees/paediatric-committee-pdco>

⑧ EMAにおける患者参画のタイミング

参画の方法	参画の場	患者参画の概要
組織を代表	患者・消費者ワーキングパーティ (PCWP)	PCWPIは、医薬品に関するあらゆる関心事項についてEMAとそのヒト科学委員会に勧告を提供する。
	EMA consultations	参画方法不明
	Workshops	参画方法不明

- 以下の基準を満たす団体は、EMA適格組織としてwebから申請できる。資格は毎年再評価される。

正当性:原則として、EU/EEA加盟国のいずれかで正式に設立された組織であること。そうでない場合、EU域内に重点を置いて活動している証明が必要。

使命／目的:組織は、その使命／目的を明確に定め、EMAのウェブサイトにも掲載することに同意すること。

活動内容:組織は、その活動の一環として、医薬品に特定の関心を持つこと。

代表性:EU/EEA全域の患者・消費者または医療専門家を代表する組織であること。

組織構造:組織は、患者、消費者、またはその選出された代表者、医療専門家である構成員によって選出される運営組織を持つべきである。

- https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/criteria-be-fulfilled-patient-consumer-and-healthcare-professional-organisations-involved-european-medicines-agency-ema-activities_en.pdf
- <https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers/getting-involved-ema-activities-patient-consumer-or-career>

⑧ EMAにおける患者参画のタイミング

参画の方法	参画の場	患者参画の概要
個人の専門家	科学的助言/プロトコル支援手順	高品質で効果的かつ安全な医薬品のタイムリーで健全な開発をサポートする科学的アドバイスを行う中で、患者としての相談・助言を求められる。
	科学諮問委員会/特別専門家グループ	参画方法不明
	科学委員会の協議	参画方法不明
	文書の審査	参画方法不明

- 個人としての参加を希望する者は、EMAの個々の利害関係者データベースに登録することができる¹。
- 2022年に公表された論文によると、その時点で180以上の組織と500名以上の個人が登録されている²。

- https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/emas-individual-stakeholder-database-patients-consumers-healthcare-professionals-academia-frequently-asked-questions_en.pdf
- <https://www.frontiersin.org/journals/medicine/articles/10.3389/fmed.2021.811855/full>

Involvement in EMA activities: registration for interested individuals

Personal Details

First Name	Last Name
Nationality	Country of Residence
Phone	Email Address
Education (Optional)	Languages Spoken

Representation

☐ Patient
 ☐ Consumer
 ☐ Carer
 ☐ Healthcare Professional
 ☐ *Academia
 ☐ Other

<https://fmapps.ema.europa.eu/stakeholders/signup.php>

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2007	全体として、「相互交流の枠組み(the Framework of Interaction)」で特定されたすべての行動が実施された。PCOと機構のフォーラム間の連絡に関する規定については、これらはEMA管理委員会、EMA科学委員会、作業部会、科学諮問グループのレベルで確立された。これまでの作業により、EMAの業務のさまざまなレベルにおいて、患者および消費者のより組織的な関与と交流の基盤が確立された。しかし、確立された手順を正式なものとし、さまざまな分野における交流のレベルをさらに向上させる必要がある。情報提供に関しては、EMAは患者向けに適応され、患者向けに作成された製品情報の質を向上させるために適切な措置を実施した。このような情報の作成に患者や消費者を関与させるための手順が導入された。(例:EPARの要約や添付文書のレビューなど) 出典:Report on the progress of the interaction with patients' and consumers' organisations and analysis of the degree of satisfaction of patients/consumers involved in EMA activities during 2007
2008	2008年には、EMAの活動に関与するPCOの代表者の数が大幅に増加(2007年の77名から2008年には165名)。これは主に、製品関連情報手順の品質に関する見直しの参加者が増加したことによる。EMAの業務のあらゆるレベルでの参加者の増加(例えば、科学委員会の委員数の増加、作業部会(WP)やその他のEMAイベントへの参加の増加)も要因となっている。 - 昨年の報告書で得られた結論は、「相互交流の枠組み」で規定されたすべての措置が実施され、PCOとEMA管理委員会、EMA科学委員会、作業部会、科学諮問グループとの間で連絡が確立されたことを証明した。しかし、基礎的な作業は完了したものの、例えば、EMAの業務のさまざまな分野におけるPCOの関与に対するより系統的なアプローチが必要であるなど、これらの相互関係の手順面をさらに正式化し、改善する必要性が残っていた。この点に関して、MBが承認した2007年の報告書の範囲内で、EMAは2008年から2009年にかけて、より体系的な方法で相互関係をさらに発展させる方法を模索し、実施に向けた具体的な行動を提案する「リフレクション・ペーパー」の準備に取り組んでいる。この「リフレクション・ペーパー」は2009年後半にEMAの管理委員会に提出される予定である。情報提供に関しては、EMAは患者向けに適合・調整された製品関連情報の質を向上させるための措置を継続的に実施しており、2008年には、すでに実施されていた手順の範囲が拡大され、EMAはより多くの文書の作成にPCOの代表者を関与させるようになった(EPARの要約および添付文書のレビュー)。 出典:Report on the progress of the interaction with patients' and consumers' organisations and analysis of the degree of satisfaction of patients/consumers involved in EMA activities during 2007

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2009	2009年は、EMAの活動に参加した患者・消費者の数が大幅に増加した(2007年の77件から、2008年は165件、2009年は213件)。これは、EMAのあらゆるレベルの活動への参加が増加したためである(例えば、科学委員会のメンバーの増加、作業部会やワーキンググループへの参加の増加、科学的助言に関与する専門家の増加、CHMPやPhVWPから相談を受ける患者・消費者団体の増加、ENCePPやPROTECTのようなEMAのプロジェクトへの関与)。 2009年は、「EMAの活動への患者・消費者のさらなる参画に関するリフレクション・ペーパー」の準備の年であり、このリフレクション・ペーパーでは、この相互作用をより体系的に発展させる方法を検討し、実施のための具体的な行動を提案している。2009年12月にEMA経営委員会により承認されたこのリフレクション・ペーパーでは、さまざまな分野における患者・消費者の参加に関するEMAの経験が分析され、EMAの業務における患者・消費者の参加の付加価値が認められ、確認された。この認識には、EMAの活動に貢献する個人および組織の努力に対する評価も含まれ、具体的に定義された状況において患者・消費者に財政的支援を提供する提案につながった。 2008年度の業績指標の分析結果として過去に提案された措置は、その大部分が実施されている。この分析結果は、改善すべき分野を特定し、具体的な行動を提案するために使用され、前述のリフレクション・ペーパーの最終段階で検討された。これらの措置の実施は2009年に開始され、2010年中も継続される予定であるが、これは措置の一部が2010年および2011年のPCWP作業計画に組み込まれているためである。2008年にPCOから提案されたアクションの一つは、PCWPの拡大に関するものであった。この提言を受け、より多くの治療領域をカバーするために、より多くのPCOをエージェンシーの活動に参加させる必要性を考慮し、2009年にPCWPの拡大プロセスが開始された。情報提供に関して、当庁は、患者および一般大衆に適合し、方向づけられた製品関連情報の質を向上させることを目的とした措置を継続的に実施してきた。2009年中に、当初の審査手続の範囲が拡大され、現在では、より幅広い文書の作成にPCOの代表者が関与している。 出典: Third report on the progress of the interaction with patients' and consumers' organisations during 2009

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2010	- EMAの活動に関与するPCO代表者の数は年々増加しており、2010年も例外ではない。2007年の77名から2010年には307名に増加した。患者・消費者の参加回数(例えば委員会メンバーの会議出席回数)を考慮すると、その総数は479回となった。 - この増加は、科学諮問委員会(SAG)会議への患者専門家の参加増加、CHMPの協議の増加、医薬品安全性監視作業部会における患者代表の参加など、多くのレベルでEMAの業務への関与が強化されたことによるものである。さらに、EMA文書の審査への参加も強化され、安全性に関するコミュニケーションも含まれるようになった。また、ENCEPP、Eudravigilance、臨床試験関連活動、EnprEMAなどの他の長期プロジェクトへの継続的な関与も行われている。 - これまでの報告書の結論から、前述の「相互交流の枠組み」で当初特定された行動が実施され、PCOとEMAとの間で正式な相互交流が確立されたことが証明されている。例えば、ベネフィット/リスク評価への参加の強化、さまざまな科学委員会に関与する患者の役割の明確化、患者の関与を促進するための適切な支援の提供など、さらなる関与の拡大の余地が残されている。医薬品に関する情報提供に関しては、EMAは患者および一般市民向けの製品関連情報の質的向上に継続的に取り組んでいる。2007年に開始されたPCOによる当該情報のレビューの範囲は、EPARの要約、添付文書、Q&A文書、プレスリリースなど、より幅広い文書を含むように拡大されてきた。2010年には、PCOは添付文書のQRDテンプレートの改訂にも関与した。 - 患者の関与が多く機関の活動で拡大し、より幅広い治療分野をカバーする必要性が高まるのに伴い、2010年にはPCWPの会員数が拡大し、新たに5つの患者団体および消費者団体が加わった。これにより、PCOの会員数は合計15団体となった。さらに、EMAと協力する資格を得るために申請する団体の数も増加し、2007年の19団体から2010年末には29団体に増加した。EMAはPCWPと共同で「パフォーマンス指標」を策定し、2010年にEMAの活動に参加した患者の満足度や、新規または更新された活動の一部の影響を測定した。このアンケート調査の結果は、利益/リスク評価へのさらなる関与(枠組みの改訂)、患者専門家および適格組織のネットワークの拡大、相互利益となるさらなる関与分野の調査、患者/消費者向けトレーニングの拡充など、さらなる改善/強化分野の特定に役立った。これらの行動の実施は、2011年から2012年にかけて継続される。 出典:Fourth report on the progress of the interaction with patients' and consumers' organisations (2010) and Results/analysis of the degree of satisfaction of patients and consumers involved in EMAactivities during 2010

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2011	- 患者代表がEMAの業務の多くの側面に関与することは、現在では十分に確立されており、2011年には幅広い活動において再び広範な協力が達成された。患者団体との交流は極めて有益であることが証明されている。患者団体は医薬品に関する科学的議論に重要な患者の視点を提供し、貴重な洞察の提供に貢献している。規制当局の決定に最も影響を受ける患者の意見や経験に耳を傾けることは、公的機関にとって必要であり、期待されている。このような利害関係者と関わることで、当局と一般の人々はその結果に対してより大きな信頼と安心感を得ることができる。しかし、患者に関与させる上で重要なのは、患者に意見を求めるだけでなく、患者の専門知識と時間を最大限に活用するために、最も適切な方法で意見を求めることである。 2011年には、EMAにおける患者・消費者の参加がいくつかの分野で強化された。例えば、科学諮問グループ(SAG)会議への組織的な患者参加、EMA文書のレビューの増加(特に安全性に関するコミュニケーション(Q&A)や添付文書)、新薬安全性監視に関する新法に関連する新規活動への参加などである。これは、年間を通じて一貫して行われてきた、EMAの多くの活動における既存の定期的な交流に加えて行われたものである。EMAとPCOとの公式な協力関係をさらに発展させるため、相互協力の枠組みの改訂作業が継続されている。改訂では、ベネフィット/リスクに関する審議への患者参加の促進、科学委員会に関与する患者の役割の明確化、患者参加の促進と最適化に必要な研修と支援の明確化に重点が置かれる。これまでの進捗状況としては、科学委員会の委員としての患者の役割に関する文書の準備が挙げられ、この文書はすべての委員会で承認され、2011年12月に発行された。さらに、2月のPCWP会議では「トレーニングに関するブレインストーミング」セッションが開催され、EMAの活動に関与する患者に対するトレーニングのニーズと期待に関する情報を収集し、最終的には2012年中にトレーニング戦略を策定することを目的とした。 - 患者・消費者団体の関心は依然として高く、EMAとの協働を申請し、その資格を得た団体の数は、2010年末の29から2011年末には34に増加した。EMAは、EMAの活動に関与するPCOが満たすべき基準を更新し、いくつかの要件を明確化しました。さらに、団体の評価および再評価プロセスが合理化され、2011年には、EMAとPCWPが、団体の利益相反の可能性に対処する方法を改善する方法について検討を開始した。 出典:Fifth report on the interaction with patients' and consumers' organisations (2011)

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2012	2012年には、相互に有益な協力関係が再び達成され、2011年の423人から2012年には525人と、前年度と比較して大幅に増加した。しかし、来年度には関与の規模は横ばいになることが予想される。患者および消費者は、EMAの幅広い活動に関与してきた。特に注目すべきは、科学的諮問グループ、CHMP協議、科学的助言/プロトコル支援などを通じて医薬品のベネフィット/リスク評価への関与が増加していることであり、これは患者および消費者が、疾患や治療に関する実体験から最も付加価値の高い情報を提供していることを意味する。また、一般向けに作成された資料(添付文書、EPARの要約、安全性に関する通知)のレビューも継続して実施している。さらに、数多くの会議やワークショップに、しばしば講演者として参加しており、EMAの管理委員会、EMAの委員会、ワーキングパーティのメンバーでもある。 - さらに、EMAは、ベネフィット・リスク評価に患者の好みを反映させるための方法を模索する研究活動にも取り組んでいる。この作業は、複数の学術機関との共同作業として、IMI-PROTECTプロジェクトの支援を受けて実施されている。PCWPは、共通の関心事である幅広いテーマについて、EMAとPCO間の重要な情報交換の場として機能し続けている。EMAとPCO間の公式な協力関係をさらに強化するために、相互交流の枠組みの改訂作業が継続されている。 出典:Sixth annual report on the interaction with patients' and consumers' organisations (2012)

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2013	2013年を通して、患者、消費者、医療従事者との関係を一言で表すなら、「強化」ということになる。すなわち、患者および医療従事者とのやり取りに専念する、新設の部門である。利害関係者・コミュニケーション部門に新設されたこの部門は、これらの利害関係者との業務の質を、非常にオープンでコミュニケーション重視の方法で改善するよう努めている。 - また、従来の医療従事者作業部会(HCPWG)が正式に医療従事者ワーキングパーティ(HCPWP)となり、既存の患者・一般消費者ワーキングパーティ(PCWP)との連携がさらに強化された。2013年から2016年の期間における両ワーキングパーティの新たな権限が承認され、特に共通の関心事に関する両者の連携に重点が置かれている。相互利益の優れた例としては、新薬事監視規制における医薬品の追加モニタリングに関する認識を高めるための、一般市民への調整されたメッセージの準備と配信に関する共同貢献が挙げられる。患者、消費者、医療従事者団体のネットワークは、より幅広い治療分野と臨床背景をカバーする合計62の組織に拡大しました(前年度より9つ増加)。 - さらに、患者および医療従事者の代表者の参加が大幅に増加し(前年度比で61名増)、重要なワークショップが数多く開催された。特に注目すべきは、「医薬品の評価における患者の声に関するワークショップ」で、医薬品開発の初期段階から承認後まで、ベネフィット/リスク評価に患者を関与させるさまざまな方法が議論された。安全性に関するコミュニケーションの系統的レビューは特に注目に値する。これは、さまざまな疾患を抱える幅広い患者と、専門分野や臨床背景の異なる医療従事者の支援を受け、2013年に全面的に実施されたものであり、これにより、EMAが一般向けに作成するメッセージのさらなる明確化に貢献した。 - 結論として、2013年は患者、消費者、医療従事者との交流が成功した年であり、規制に関する議論に、当局の決定により直接的な影響を受ける人々の意見を取り入れるという当局の継続的な取り組みが示された。 出典:Annual report on EMA's interaction with patients,consumers, healthcare professionals and theirorganisations (2013)

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2014	2014年は、EMAと患者、消費者およびその組織との間の協力の枠組みが改訂され、EMAの管理委員会によって採択された年であった。この枠組みは5つの要素に依存しており、利害関係者の参加、協議、情報提供に重点を置いている。 - ベネフィット/リスクの評価は、2013年の患者の声に関するワークショップに続き、さらに2つのワークショップが開催されるなど、議題の上位に位置づけられた。この2つのワークショップでは異なる側面が取り上げられ、一方は規制と方法論の基準に焦点を当て、もう一方は医薬品の処方者、提供者、利用者へのコミュニケーションに焦点を当てた。ベネフィット/リスクは常に私たちの業務の中心であり、患者を関与させる機会も増えていることから、CHMPの会議で患者を直接ベネフィット/リスク評価に参加させるパイロット版が開始されたのは時宜を得たものであった。9月には、患者が初めてCHMPの全体会議に出席した。パイロット版は現在も進行中で、患者の病状に適した医薬品のベネフィット/リスクに関する患者の希望を収集するための他の方法論も模索されている。 - 医療従事者も今年非常に活発に活動し、アルツハイマー病やその他の認知症、さらには神経筋疾患に特化したワークショップにおいて、患者とともに意見を求められた。これは、規制レベルで下された決定が臨床現場で確実に実行されるようにするためである。同様に、妊娠可能な女性によるバルプロ酸の使用に伴うリスクに関する懸念についても、患者と医療従事者の意見が求められた。これらのグループによる貴重な貢献により、具体的なリスク最小化策が講じられるとともに、問題意識や規制当局の意思決定の背景にある規制プロセスに対する認識が高まった。 - 規制当局の意思決定のプロセスや決定事項を透明化することは、規制当局の決定により影響を受ける人々や関係者との関与と信頼を確保する上で重要である。例年通り、これらの規制当局の決定事項は、EMAと連携する患者、消費者、医療従事者の代表組織に伝えられ、各組織はそれぞれの会員に伝達した。これらの組織は、科学・技術文書や戦略・政策文書、またEMAが作成するその他の種類のコミュニケーションについても意見を求められている。 - 全体として、2014年は患者、消費者、医療従事者とEMAとの交流において、また新たな前進の年となった。HCPWPの統合は、PCWPとの利害の円滑な統合を果たした。合同会議は、これらのグループの経験が互いに異なる視点をもたらすだけでなく、EMAの業務にも有益であることが証明された。 出典: European Medicines Agency's interaction with patients, consumers, healthcare professionals and their organisations Annual report 2014

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2015	2015年は、EMAの設立20周年と薬事法制定50周年という、医薬品業界にとって重要な年となった。EMAは、この記念すべき年を「科学、医薬品、健康：未来のイノベーションの中心に患者を」と題した科学会議を開催して祝った。設立以来、EMAは進化を続け、法改正に対応することで、希少疾患、生薬、小児用医薬品、先進医療などの分野を包含する業務領域の拡大を実現してきました。これと並行して、患者と医療従事者が関与できる活動も拡大している。 - 患者はほとんどの科学委員会のメンバーであり、2014年には、ヒト用医薬品委員会(CHMP)における口頭説明にも患者が参加するパイロット版が開始された。パイロット版の予定期間は延長され、より多くの事例に対応できるようになりました。これに加えて、ハーブ医薬品委員会(HMPC)との協議では、全体会議におけるオブザーバーとしての患者の関与、ハーブ要約の審査を行う専門家グループの設立、および委員会による臨時の協議への参加について話し合いが開始された。問題はもはや、これらの主要な利害関係者をどのように関与させるかではなく、彼らの関与をどのように支援し、彼らの活動の認知度を高め、場合によっては規制上の成果に対する彼らの貢献の影響を測定するかである。これらの問題の一部に対処するために、PCWPおよびHCPWPの枠組みの中で、特定のテーマ別グループが設置され、下記のトピックスが議論された。 ➤ EMAの活動における患者の関与の影響/価値の測定 ➤ 患者の意見が当局の活動に反映されていることを認め、周知すること ➤ EMAの活動に関与する患者に対するトレーニング ➤ EMAの活動への若者の関与 ➤ ソーシャルメディア ➤ リスク最小化策とその有効性の評価 ➤ 医薬品に関するEMA/CHMP/PRACのプロジェクト ➤ 学術機関、学術団体、医療従事者団体 出典:European Medicines Agency's interaction with patients, consumers, healthcare professionals and their organisations Annual report 2015

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2015 (続き)	- このトピックグループの創設は、本会議以外のワーキングパーティのメンバーとのEMAの協力を拡大する重要な新しい方法であり、また、相互に関心のある事項について、より多くの適格な組織と交流する方法でもある。トピックグループは、特に注意が必要と考えられるさまざまなトピックについて、ワーキングパーティおよびEMAに提出する勧告案を作成する。規制当局の決定の影響を受ける人々、および医薬品開発や公衆衛生において重要な役割を担っているがまだ関与していない人々のニーズを確実に理解し、最大限に汲み取るためには、現在の利害関係者グループの対象範囲を広げる必要があることが認識されている。こうした理由から、若年層の関与と、規制プロセスに彼らの声を反映させる方法を見つけることに関する議論が開始され、現在も継続中である。特定のPCWPのテーマ別グループが設立され、この分野での経験を持つメンバーで構成されており、彼らは現在、最善の方法を模索している。同様に、20周年記念の一環として、小児用医薬品の評価への若年層の関与に関する専用のセッションが開催された。 - EMAは、患者および医療従事者に対して、関心のある関連トピックに関する情報および教育を継続的に提供することに尽力している。今年は、複数の情報セッションおよびワークショップが開催された。特に関連性の高かったのは、バイオシミラーに関する情報セッションとリスク最小化措置に関するワークショップであった。EMAの年次研修日は、EMAにおける患者が関与する活動についてより実践的な経験ができるように再編成された。EMAのさまざまな活動に関する背景情報は、患者および医療従事者向けの専用ウェブページで提供されており、これにより、特定の手続きに関与するEMAスタッフに質問する機会や、より実践的な経験ができる時間が確保されている。 出典: European Medicines Agency's interaction with patients, consumers, healthcare professionals and their organisations Annual report 2015

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2016	2016年は、PCWPの10周年の節目の年であった。このプラットフォームは患者・消費者作業部会から発展したもので、患者・消費者との重要な接点であり続け、EMAがこれらの利害関係者と交流するための重要なメカニズムとなっている。このユニークなグループは多くの決定の中心であり、適格な組織とともに、EMAの必須範囲およびそれ以上の範囲で対象となる疾患の広範な範囲を代表している。 - ワーキングパーティの作業計画は、年次作業計画だけでなく、2020年までのEMAネットワーク戦略およびEMAの複数年作業計画を考慮した長期的なビジョンにも対応するよう構成された。また、2011年に初めて採択されたEMAと医療従事者との相互交流の枠組みの改訂も行われた。改訂された枠組みは、臨床試験における適応型デザイン、個別化医療、実臨床でのエビデンスのより広範な利用、臨床データの一般公開などの進歩により、臨床研究と臨床実践の接点において医療従事者と関わる新たな機会が生まれることを認識し、これまでの経験を盛り込んだものである。 2016年のもう一つの目標は、一般開業医との連携を強化することであり、この文脈においてワークショップが開催された。公衆衛生に対するこれらのグループの見解と、規制上の決定が及ぼす影響の重要性は明白であり、当庁は、彼らをどのように業務に最も効果的に関与させるかを決定するために連携している。さらに、学術関係者および研究者との連携を記述する枠組みが作成された。臨床実践を研究や教育から切り離すことは難しいかもしれないが、医療従事者の枠組みは主に臨床実践に重点を置いており、学術機関の枠組みは研究と教育に重点を置くことになる。 - 最後に、非常に重要なことであるが、この枠組みは患者団体や消費者団体との確立された協力関係を補完するものでなければならない。患者および消費者向けの枠組み改訂の目標の一つは、医薬品のライフサイクル全体を通じて患者の参加を確保するために、患者の専門家集団を確立することであった。これらの患者個人専門家は、必ずしも特定の組織に所属している必要はない。EMAの活動において患者を特定する際には、適格な組織が第一に検討されるが、患者が関与する活動の拡大と増加に伴い、追加のリソースが必要となっている。患者個人データベースへの関心表明の募集が開始され、1月には新しいデータベースに関する補足情報とともに、データベースが立ち上げられた。患者はすでにこの新しいツールを通じてEMAに登録され、関与している。 出典:European Medicines Agency's interaction with patients, consumers, healthcare professionals and their organisations Annual report 2016

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2016 (続き)	- CHMPの本会議に患者を参加させるパイロット版が終了した。特定の医薬品に関する6回の口頭説明の際に、患者に意見を提出するよう呼びかけた。この経験と結果の報告書はCHMPに提出され、2017年第1四半期に公表される予定である。この報告書には、CHMPのメンバーと出席した患者を対象とした調査の最終結果が含まれている。また、3月以降、患者はハーブ薬の概要の審査にも関与しており、2016年には29人の患者が25の概要を審査しました。審査グループは、2017年にはオブザーバーとしてHMPC会議に出席し、委員会のメンバーと会い、委員会の運営を直接確認する機会も設けられる予定である。他の委員会と同様に、必要に応じて、患者はハーブ医薬品委員会(HMPC)の臨時協議にも参加することになる。 - 患者、消費者、医療従事者、EMAがメンバーとなっている作業部会のテーマ別グループのうち、いくつかのグループは2016年に提言をまとめ、可能な範囲で実施プロセスを開始した。これらの提言は、他のグループの現状に関する最新情報とともに報告書にまとめられる。現在進行中のトピックグループのひとつは、EMAの活動への若者の関与に関するもので、EMAの活動への若者の関与を可能にするためのガイドラインが現在EMAの経営陣によって承認されている。もうひとつの進行中のトピックグループは、2017年にソーシャルメディアからデジタルメディアとヘルスケアへと対象範囲を拡大し、mHealthとリアルワールドエビデンスの進展も網羅する予定である。トピックグループは、作業部会の会議の合間に、EMAのすべての参加資格を有する組織が共通の関心事項について意見交換や議論を行う上で、非常に有益な方法となっている。 出典:European Medicines Agency's interaction with patients, consumers, healthcare professionals and their organisations Annual report 2016

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2017	- EMAは移転と英国のEU離脱に備え、2017年に事業継続計画(BCP)の第一段階を開始した。その結果、一部の業務の優先順位が変更され、中断または延期され、ブレグジットへの準備活動と中核的業務の保護にリソースが割り当てられることになった。特に優先されたのは、9月26日に開催された初の公聴会の準備であった。このイベントには、バルプロ酸含有医薬品のリスクを最小限に抑える追加措置について話し合うために、患者、介護者、医療従事者、その他の利害関係者が集まった。一般市民からの意見は、バルプロ酸の評価を最終決定し、リスクのある女性を保護するための新たな措置を推奨する上で重要な役割を果たした。その他の市民参加のハイライトには、以下のものがあった。 ➤ レチノイドおよびバルプロ酸の評価期間中には、関係者との専用会議を通じて重要な意見も得られた。患者および医療従事者は、PRACによる勧告作成を支援するために専門家の意見や経験を提供した。 ➤ CHMPの口頭説明におけるベネフィット・リスクに関する議論に患者を関与させることに合意した。パイロット版は終了し、報告書が公表された。EMAの管理委員会は、EMAの活動に若者を関与させる原則に合意した。 ➤ EMAは、この分野において正式に前進した最初の医薬品規制当局のひとつであり、この重要な患者グループからの意見収集を促進する枠組みを提供している。 ➤ 2016年のワークショップを基に、一般開業医を代表するさまざまなグループとのさらなる対話を行った。これは規制活動への関与を強化・改善することを目的とするものである。 ➤ 患者および医療従事者を代表するEMAの委員会メンバーに対する、より合理化された効率的な支援が現在検討されており、委員会内での役割遂行を支援することを目的とする。 ➤ 既存の枠組みのポートフォリオを補完するものとして、EMAの管理委員会は学術機関との協力のための枠組みを採択した。必要に応じて更新・改良される行動計画に従って、実施段階が開始された。 ➤ 合計131人の患者が科学的助言手続きに参加し、その中には医療技術評価(HTA)機関との18件の共同助言手続きも含まれている。 出典:Stakeholder Engagement report 2017 Patients, consumers, healthcare professionals, academics and their organisations

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2017 (続き)	- BCPの制限を遵守するため、PCWPとHCPWPの活動はより整合性が図られるようになった。2018/2019年の共同作業計画は、各作業部会のメンバーとの協力により策定された。この作業計画における優先事項は、今後待ち受ける課題に対処するために再編成されましたが、EMAの2020年までの作業計画および欧州規制ネットワークの共通戦略に沿ったものとなっている。 - 作業部会は、個別化医療と薬剤耐性という2つの主要テーマに焦点を当て、2つの専門ワークショップを開催した。個別化医療は複雑なテーマであり、政策の展開や臨床実践、すべての関係者の役割について議論が行われた。2つ目の抗生物質耐性に関するワークショップでは、抗生物質耐性に関する教育とコミュニケーションの改善に向けて、どのように力を合わせていくかについて意見交換を行うことを目的とした。 - 患者、消費者、医療従事者の各団体は、その会員を通じて幅広い働きかけを行っており、この情報を会員に伝達するとともに、彼らの視点も議論に持ち込むことができる。したがって、これらの団体や同様の団体による話し合いをワーキングパーティの議論の場に持ち込むことが不可欠である。 2017年には、患者が関与した活動は合計925件、医療従事者が関与した活動は445件であった。プレグジットへの備えやBCPによる制約があったにもかかわらず、患者や医療従事者からの活動への参加により、引き続きいくつかの利益がもたらされたことを意味する。 出典:Stakeholder Engagement report 2017 Patients, consumers, healthcare professionals, academics and their organisations

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2018 ～ 2019	• ここ数年、EMAは数々の課題に直面してきた。特に、英国のEU離脱とそれに伴うEMAのアムステルダムへの移転(2020年1月中旬に完了)である。移転を管理するために、EMAは公衆衛生に不可欠な中核的業務に重点を置いたBCPを実施した。 • BCPの一環として、年次利害関係者関与報告は実施されず、2018年と2019年の2年ごとの報告書がここに提示されている。この期間中、特定の医薬品の評価における利害関係者の関与は引き続きEMAの優先事項であったが、一般的なトピックに関する利害関係者の関与は優先度が下げられた。 • 2019年6月、EMAはUEMOおよびWONCA(一般開業医を代表する2つの主要組織)およびEFPC(欧州のプライマリケア専門家の主要組織)と共同声明に署名し、一般開業医(GPs)との連携を強化した。これにより、EMAは特定の規制措置が患者ケアに与える影響についてより深く理解できるようになり、プライマリケアの現場で医薬品がどのように使用されているかについて処方者から直接見解を収集できるようになる。また、プライマリケアの専門家に対して、EUの医薬品規制ネットワークの役割と活動について認識を高めることにもなる。 • 報告期間中のその他の主な取組は以下の通りである。 ➢ 2018年に実施されたキノロン系およびフルオロキノロン系含有医薬品に関する2回目の公聴会では、これらの医薬品による影響を受けた人々の証言がEMAの安全性委員会(PRAC)に貴重な意見をもたらし、同委員会の最終勧告に大きく貢献した。 ➢ 2018年には、EMA、欧州医薬品庁長官会議(HMA)、欧州委員会(EC)が共同で主催した電子製品情報(ePI)に関するマルチステークホルダーワークショップが開催された。これは、EUにおけるePIの開発と利用を導く共通の主要原則について、すべてのステークホルダーと1年間にわたってマッピング、分析、協議を行った結果である。次のステップは、これらの原則の実施に関わるもので、ePIの共通基準を定義し、パイロットフェーズ用のツールを提供するプロジェクトが含まれる。このようなパイロットでは、EMAおよび一部の国内規制当局がePIをテストし、その影響を評価する。 ➢ 承認済み医薬品の不足と供給は、患者、消費者、医療従事者にとって依然として重大な問題である。これらの利害関係者は製薬業界とともに、承認済み医薬品の供給に関するHMAEMAタスクフォースの作業に貢献した。タスクフォースは、医薬品の供給問題のより良い予防、特定、管理、コミュニケーションを目的として設立された。2018年11月のワークショップでは、タスクフォースの進行中の活動、期待される成果、およびこれらの成果に対するステークホルダーの貢献の重要性の強化に関する情報が提供された。 出典:STAKEHOLDER ENGAGEMENT REPORT 2018-2019 Engaging with patients, consumers, healthcare professionals and academia

【参考】年報等にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2018 ～ 2019 (続き)	➤ 臨床試験規則に関する最新情報が2018年と2019年の両方で提供された。この規則の目的は、被験者の安全性に関する最高水準と試験情報の透明性向上を確保し、EUにおける臨床試験の実施に適した環境を創出することである。臨床試験情報システム(CTIS)には、臨床試験のためのEUのポータルサイトとデータベースが一元化される。EMAは、欧州委員会、EU加盟国、倫理委員会と協力してCTISの開発に取り組んでいる。規制を実施するために必要なシステムの構築には、患者や医療従事者を含む利害関係者からの意見が不可欠である。 ➤ 「2025年までのレギュラトリーサイエンス」と題された戦略を通じて、ステークホルダーはEMAのレギュラトリーサイエンスの推進に貢献した。2019年に実施されたパブリックコンサルテーションでは約150の個人および組織から回答が寄せられ、2つのステークホルダーワークショップではさらなる協議と意見提出が可能となった。最終的な提言が公表された。 ➤ 2019年にEMAの評価の一環として、メトトレキサートの使用に伴う重大なエラーのリスクを最小限に抑えることを目的としたマルチステークホルダー会議が開催された。この会議では、患者との話し合いを促進するために、処方者/薬剤師向けの患者カードやチェックリストの導入などの提言がなされた。 ➤ サルタン系血圧降下剤(アンジオテンシンII受容体拮抗剤としても知られる)にニトロソアミン不純物が検出されたことを受け、教訓を学ぶための取り組みの一環として、2019年に医療従事者団体、患者団体、業界団体、国際規制当局の代表者による多者間会議が開催された。患者の懸念に対処できるよう、医療従事者から患者に情報をより早く共有してほしいという要望など、ステークホルダーから重要な意見が寄せられ、公開報告書の作成に役立てられた。同様に、患者は規制当局に早期の助言と平易な言葉によるリスクの明確な説明を求めた。 ➤ 患者および医療従事者を代表するEMA委員会メンバーの役割を説明する文書が更新され、これらのメンバーがEMAのさまざまな科学委員会に参加するための支援活動に関する情報や、欧州委員会の指名プロセスに関する情報が追加された。 ➤ 認可された医薬品が「研究室から患者に届くまで」の道のりを説明した参考小冊子が作成され、EUの複数の言語で入手可能となった。この小冊子では、EMAを通じて認可された医薬品が、規制当局による評価を経て承認・販売に至るまでの開発・進展の過程が説明されている。 ➤ CHMPによるベネフィット・リスク評価における患者の関与に関する現在の手法は、現在行われている口頭での説明や学会会議への専門家の参加に加え、書面による協議に重点を置いて拡充された。 • BCPの限界にもかかわらず、PCWPおよびHCPWPは、バーチャルおよび対面式の会議を開催し、新しい作業部会の任務の準備を含む重要なトピックに関する継続的な意見交換を可能にした。PCWPとHCPWPの3年間の共同作業計画(2019年～2022年)が策定された。2019年6月より、両作業部会で新しい委任が開始され、9月の会議で共同議長が選出された。 出典:STAKEHOLDER ENGAGEMENT REPORT 2018-2019 Engaging with patients, consumers, healthcare professionals and academia

【参考】年報にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2020 ～ 2021	2020年11月中旬、エマ・クック氏がEMAの執行役員に就任し、EMA初の女性トップとなった。2021年3月には、患者・消費者作業部会(PCWP)と医療専門家作業部会(HCPWP)の合同会議で初めて演説を行い、これらの利害関係者との継続的な関与に対する支持とコミットメントを表明しました。2020年はまた、EMAの25周年記念の年でもあり、1995年以降の主なマイルストーンを強調するビデオが作成された。 2020年6月、リスク最小化策に関する医薬品安全性監視業務(GVP)のモジュール(GVPモジュールXI)の改訂に関連して、PCWPおよびHCPWPとの早期協議が開催され、意見が収集された。このモジュールは、リスク最小化策(RMM)のツールを明確化し、強化するとともに、RMMの有効性評価方法と、患者の安全性を確保するためにRMMを調整する必要性について検討することを目的としている。また、関連する規制プロセスにおける患者および医療関係者との連携に関する指針も含まれている。正式なパブリックコンサルテーションに先立って実施されたこの早期の取り組みにより、ガイドライン改訂の提案の実現可能性について、さらなる見識が得られた。 「ICH E6(R3)医薬品の臨床試験実施に関する基準(GCP)」の改訂に関するワークショップが2020年6月に開催された。このガイドラインは、臨床試験をグローバルに実施するための参考資料であり、その改訂の目的は、臨床試験デザイン、データソース、臨床試験が実施されるさまざまな状況の多様性を認めることにある。臨床試験に関わるステークホルダーが表明した主な懸念事項が改訂で確実に反映されるよう、患者代表や学術臨床研究者の関与は不可欠である。また、新薬の開発、将来の臨床試験デザイン、将来のデータソースの利用を促進するために、ICH E8およびE6の改訂に関する最新情報も提供された。 2020年9月には、妊娠中および授乳中の医薬品のベネフィットとリスクに関するPCWPとHCPWPの合同会議が開催された。欧州では、母体と乳児に対するベネフィットとリスクの理解が限られているため、妊娠中または授乳中の女性に対して特別に承認された医薬品はごくわずかである。本ワークショップでは、妊娠中および授乳中の女性を対象とした体系的なデータ収集と承認後のエビデンス生成におけるギャップに対処する進行中のイニシアティブ(EUROmediCAT、Conception、CONSIGN)に関する情報が提供され、今後、それらの取り組みを基盤としていくことが可能となる。参加者とパネリストの間に活発な議論が行われたことは、妊娠中および授乳中の医薬品の有益性とリスクに関するより良い情報を得るためのEMAの戦略に貢献するものである。 出典:STAKEHOLDER ENGAGEMENT REPORT 2020-2021 Engaging with patients, consumers, healthcare professionals and academia

【参考】年報にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2020 ～ 2021 (続き)	2018年現在、EUにおける個人データの保護に関する新たな枠組みとして一般データ保護規則(GDPR)が制定された。2020年9月のPCWP/HCPWP合同会議では、医療分野におけるGDPRの適用とデータの二次利用に関する概要が発表されました。この会議では、欧州委員会のEU Health Data Space (EU健康データ空間)、EU全域にわたるガバナンスの枠組みと行動規範の開発、EMA-HMA共同ビッグデータ運営委員会(BDSG)の取り組みについても貴重な洞察が提供された。患者団体や医療従事者団体を含むステークホルダーからの意見は、これらのEUイニシアチブの進展にとって極めて重要である。また、ステークホルダーがGDPRを理解し、活用できるよう、EMAが作成中のQ&A文書にも、これらの意見や懸念が反映される予定である。 - 学術分野は革新的な医薬品開発において重要な役割を果たしており、このグループをより良く支援するための体制を整える必要性が以前から指摘されてきた。そのため、欧州医薬品庁と学術界との協力の枠組みに基づき、2020年3月にアカデミア・リエゾン(学術界との連携担当)の役職が新設された。アカデミア・リエゾンは、学術界のネットワークとの連携を調整し、関連トピックに関する学術界向けのイベント、研修、教育機会の共同設計を行う。また、規制科学戦略の開発、EU資金によるプロジェクトへの関与、欧州の主要機関とのコミュニケーションもサポートしている。さらに、アカデミア・リエゾンは、アカデミアとEMAおよびそのネットワークとの交流の窓口としても機能している。 - EUの規制当局との早期のやりとりは、学術機関が規制要件を理解し、医薬品の有益性とリスクを立証するために必要な確固たるエビデンスの作成を可能にするために重要である。これにより、規制プロセスを円滑に進め、最終的に発見を患者中心の承認医薬品へと転換することができる。 - アカデミアから寄せられたフィードバックによると、プロトコール支援(希少疾病用医薬品に対する科学的助言)にかかる規制手数料がEMAとの関わりにおける障壁となっていることが示されたため、同庁は2020年6月、希少疾病用医薬品を開発するアカデミアに対する科学的助言にかかる手数料をすべて免除することを決定した。 出典:STAKEHOLDER ENGAGEMENT REPORT 2020-2021 Engaging with patients, consumers, healthcare professionals and academia

【参考】年報にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2020 ～ 2021 (続き)	2021年7月には、EMAが主催する形で、電子製品情報(ePI)に関する2回目のマルチステークホルダーによるワークショップが開催された。EU共通基準の草案やePIの概念実証プロトタイプの開発など、プロジェクトの成果物に関する最新情報が提供された。ワークショップの参加者のフィードバックと公開協議の結果は、EU共通の電子基準とロードマップの最終版に反映され、これにより、将来的なユーザーのニーズを満たし、電子フォーマットでの製品情報へのアクセス、閲覧、および配信を可能にするプロジェクトとなることが確実になる。 2021年7月、EMAのPCWPとFDAのPECが初めて合同会議を開催し、それぞれがEMAとFDAの業務に関与していることについて、意見や経験を交換した。PECはFDAとCTTIの協働イニシアティブであり、EMAのPCWPをモデルとしている。PECの目的は、医薬品開発と規制に関する議論への患者の関与について話し合うことである。大西洋を挟んだ両グループの初の会合は、メンバーがバーチャルに集まり、患者の関与に関する規制当局との協力や規制当局間の協力など、患者の関与に関する共通のトピックについて話し合う機会となった。この初の会合が成功したことを受け、今後は毎年合同会議を開催することが合意された。 - 多数の医薬品からニトロソアミン不純物が検出されたことを受け、2019年に実施された「教訓の抽出」作業において、医療従事者および患者団体からEMAの広報活動に関するフィードバックが寄せられた。EMAは現在、コミュニケーションに関する提言を実施しており、ニトロソアミンに関する情報を掲載した専用ウェブページの開設など、いくつかの変更を行っている。EMAは、EU規制ネットワークのパートナーと協力し、医薬品の品質を確保するとともに、利害関係者や一般市民へのニトロソアミン不純物に関するコミュニケーションの改善に努めている。 - 医療規制におけるビッグデータの利用拡大に向けた主要な提言を実施することを目的として、HMA-EMA合同ビッグデータ運営委員会(BDSG)が設立された。2020年12月と2021年2月に開催された2つのバーチャルなマルチステークホルダーワークショップでは、BDSGの患者中心の作業計画、進行中の活動、および期待される成果(DARWIN EUなど)に関する最新情報が提供された。さまざまなステークホルダーグループのスピーカーがビッグデータに関する提言に対するフィードバックを提供し、その利点、課題、協力の可能性について話し合った。患者や医療従事者を含むEUの主要ステークホルダーとの活発な対話は、今後2年間の最優先事項のひとつであり、患者および医療従事者グループの代表者がBDSGおよびDARWIN EU諮問委員会に任命された。 出典:STAKEHOLDER ENGAGEMENT REPORT 2020-2021 Engaging with patients, consumers, healthcare professionals and academia

【参考】年報にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2020 ～ 2021 (続き)	- 臨床試験規則は2022年1月末に施行され、評価および監督プロセスの調和により、EUにおける臨床試験の実施方法を変更することになる。これは臨床試験情報システム(CTIS)を通じて促進されることになる。PCWPおよびHCPWPは定期的に進捗状況が更新され、患者からの意見が収集された。CTISは現在稼働中で、EMAがEU加盟国および欧州委員会と協力して維持管理することになる。このシステムは、規則で定められているように、臨床試験のためのEUの中央ポータルおよびデータベースを提供する。臨床試験の認可および監督は引き続き加盟国の責任であり、EMAはCTISを管理し、公開ウェブサイトへのコンテンツの公開を監督する。一般市民は、EUで実施されているすべての臨床試験の詳細情報を、EUのすべての公用語で閲覧できるようになる。 2021年9月に設立された庁全体のインフラである「学術機関連携マトリクス」は、学術機関との関連活動の一貫性、体系性、効率性を高めることを目的としている。学術機関連携マトリクスは、EMAの2022年から2024年の計画文書、2025年までのレギュラトリーサイエンス戦略に沿った行動計画を策定し、学術機関との最適な連携を実現するためにEMAが追求すべき目標を明確にした。この概要に示された行動の実施には、この連携が調整され、知識共有を基盤とし、規制科学およびパートナーシップ、イノベーション、コミュニケーション、研修、イベントという5つの戦略的領域において、学術界とのパートナーシップを発展させるために、EMAの各部門に権限を与えることを確実にするための、機関横断的なアプローチが必要である。 - 医薬品の規制は、高い規制基準と専門性を維持しながら、進化する科学と医療開発のペースの変化に追いついていかなければならない。規制当局はまた、基礎研究とイノベーションを患者中心の医薬品アクセスへと転換させることも求められる。これを達成するために、EMAは科学委員会、利害関係者、EUの規制パートナーとの広範なアウトリーチ、分析、協議に長い期間を費やしました。こうした意見を参考に、EMAは5カ年戦略を策定し、2020年3月に発表した。パブリックコンサルテーションの分析とレギュラトリーサイエンスにおける現在の知識のギャップを活用し、中核となる一連の推奨事項が優先され、「EMAレギュラトリーサイエンス研究ニーズ(RSRN)」にまとめられた。これは、研究者や資金提供機関がこれらのニーズに取り組むことを支援するイニシアティブであり、PCWPとHCPWPも貢献している。 出典:STAKEHOLDER ENGAGEMENT REPORT 2020-2021 Engaging with patients, consumers, healthcare professionals and academia

【参考】年報にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2020 ～ 2021 (続き)	2025年までのEMAネットワーク戦略の策定においても、ステークホルダーの貢献が鍵となった。この戦略では、科学、医療、デジタル技術、グローバル化、そして新型コロナウイルス感染症(COVID-19)のパンデミックのような新たな健康上の脅威の進展に直面する中で、ネットワークがどのように安全で効果的な医薬品の供給を可能にするかを定めている。2020年12月に発表されたこの戦略では、欧州委員会の「欧州製薬戦略」ロードマップに沿って、医薬品の入手可能性とアクセス、デジタル変革、イノベーション、薬剤耐性やその他の新たな健康上の脅威、サプライチェーンの課題、ネットワークの持続可能性、業務の卓越性の6つの優先分野が概説されている。戦略の策定にあたっては、患者、消費者、医療従事者、学術機関、獣医関係者などの組織からの初期の協議に基づく意見や、戦略草案に関する2か月にわたるパブリックコンサルテーションを通じて得られたステークホルダーからのフィードバックが考慮された。 出典:STAKEHOLDER ENGAGEMENT REPORT 2020-2021 Engaging with patients, consumers, healthcare professionals and academia

【参考】年報にみるEMAにおける患者参画の進展(2007～2023)

年次	進展の概要
2022 ～ 2023	2022年から2023年に採用されたエンゲージメント戦略では、最近の公衆衛生上の緊急事態から得られた教訓を考慮し、可能な限りマルチステークホルダーレベルでの対話を進めるとともに、必要に応じて代表的なグループとのエンゲージメントも実施した。今後は、患者を活動の中心に据えつつ、危機への備えだけでなく科学技術の発展についても相互理解、協力、知識共有を可能にするため、このような多面的な対話を継続することが重要である。 - 患者団体や消費者団体との今後の主な活動には、CHMPの早期連絡方法を通じて得られたものなど、患者や医療従事者の意見を反映させるために、欧州医薬品審査報告書テンプレート(EPAR)を適応させることが含まれている。患者の意見をより早い段階で取り入れる機会については、特に有益性と危険性の評価に関して、患者体験データイニシアティブと並行して検討される。医薬品やワクチンに関する情報やコミュニケーションへの関与は、特に薬剤耐性や誤報やデマへの対応に関して、強化されるであろう。EMAの業務に参加する患者代表および患者代表団の能力を向上させる上で、研修は依然として重要であるため、ビッグデータ、実世界データ、人工知能などの新たな複雑なトピックに焦点を当てた研修ニーズのマッピングが行われる予定である。医療従事者団体、学生団体、学術機関とのより組織的な協力体制を確立することで、次世代の医療従事者とどのように関わりを持つのが最善であるかに焦点を当てている。また、公衆衛生、臨床実践、医薬品情報(例:品薄、ePI、抗菌剤耐性、誤報・偽情報、欧州ワクチン情報ポータルなど)に関する関与の分野にも注目する。医薬品開発と評価を支援する既存の関与手法と利用可能な規制ツールの認知度向上を継続し、新規法の施行を含むEMAの活動全般における医療従事者の関与をさらに強化する。 - 学術界との関わりについては、EMAは、関連する規制上のサポートを提供し、イノベーションの種となる研究ニーズや学術パイプラインを特定するために、この重要なステークホルダーグループとのさらなる協力関係を築く意向である。EUの業界団体との戦略的および業務レベルでの関わりについては、特に、早期の意見や対話が、ヒトおよび動物用医薬品の集中手続き、モニタリング、監督、および技術やイノベーションの進歩にとって不可欠な重要なトピックの文脈において、ヒトおよび動物用医薬品の両方について、さらに推進される予定である。 - この点において、EMAの業界向けプラットフォームおよび二者間会議は、対話を促進し、経験に基づく改善の機会を継続的に提供していく。さらに、ISGは、EMAの拡大された権限の実施だけでなく、EUの医薬品規制の今後の改革など、将来の活動やその他の関連する戦略的イニシアティブについても、関与のためのフォーラムを提供し続ける。 出典:EMA's biennial report on stakeholder engagement activities 2022-2023