

# Guidance of Patient Engagement for the Pharmaceutical Company

製薬企業向け患者参画（PE）ガイダンス

日本製薬医学会（JPhMed）臨床研究 Working Group

## 目次

1	<a href="#">前書き</a>	- 3 -
2	<a href="#">用語の定義</a>	- 4 -
3	<a href="#">対象とする課題・領域・テーマの設定</a>	- 7 -
4	<a href="#">エンゲージメント計画（PE Plan）の策定</a>	- 8 -
4.1	<a href="#">エンゲージメントの目的</a>	- 8 -
4.2	<a href="#">エンゲージメントの概略（対象、時間、人、資金）</a>	- 8 -
4.3	<a href="#">対象者の要件（コンピテンシー）</a>	- 8 -
4.3.1.	<a href="#">患者団体や患者コミュニティ</a>	- 8 -
4.3.2.	<a href="#">患者個人</a>	- 9 -
5	<a href="#">エンゲージメント（PE）の流れ</a>	- 10 -
5.1	<a href="#">事前準備</a>	- 10 -
5.2	<a href="#">リクルート</a>	- 10 -
5.2.1.	<a href="#">患者団体や患者コミュニティ</a>	- 10 -
5.2.2.	<a href="#">患者個人</a>	- 10 -
5.3	<a href="#">契約締結</a>	- 10 -
6	<a href="#">エンゲージメント方法</a>	- 12 -
6.1	<a href="#">グループディスカッション</a>	- 12 -
6.2	<a href="#">定性的インタビュー</a>	- 12 -
6.3	<a href="#">オンラインアンケート調査</a>	- 12 -
6.4	<a href="#">Patient Advisory Panels (PAP)</a>	- 13 -
6.5	<a href="#">Community Advisory Board (CAB)</a>	- 13 -
6.6	<a href="#">公聴会の開催</a>	- 13 -
6.7	<a href="#">ソーシャル・メディア・リスニング（Social media listening ; SML）</a>	- 14 -
6.8	<a href="#">エンゲージメント結果・報告</a>	- 14 -
7	<a href="#">付録</a>	- 14 -
7.1	<a href="#">契約についての注意事項</a>	- 14 -
8	<a href="#">参考文献</a>	- 14 -
	<a href="#">【附録】患者個人・患者団体と契約をする際のガイダンス</a>	16

## 1 前書き

Patient and Public Involvement（患者・市民参画、以下 PPI と略す。）は、ヨーロッパが中心となり、医療評価だけでなく、医療研究開発や臨床研究についても医療の提供を受ける方の代表者である患者さんの意見を取り入れることであり、近年その重要性が注目されている。<sup>1)</sup>

2021 年 10 月にステップ 4 になった ICH E8 (R1)（一般指針）においても、医薬品開発に患者さんの意見を取り入れることが明記された。<sup>2)</sup>

医療研究開発や臨床研究に対する患者・市民参画は、欧州では、EMA（欧州規制当局）が 2006 年から具体的活動が進められている。The European Patients' Academy on Therapeutic Innovation (EUPATI) は、2012 年に Innovative Medicines Initiative (IMI) プロジェクトとして発足し、患者団体に対する教育トレーニングを開始している。現在は、オランダの NPO として活動しており、“EUPATI Guidance for Patient Involvement in Medicines Research and Development: Health Technology Assessment”を 2018 年に発表している。<sup>3)</sup>

また、EU 連合の Horizon 2020 のプログラムとして IMI と EFPIA（欧州製薬団体連合会）が資金提供している PARADIGM (Patients active in research and dialogs for the Improvement Generation of Medicines) において、製薬企業と患者さんの Engagement をサポートするツールとして、Patient engagement toolbox を作成してホームページで公開している<sup>4)</sup>

一方、日本においても AMED（日本医療研究開発機構）が「研究への患者・市民参画 (PPI)」の取り組みを促進しており、ガイドブックを 2019 年に作成・公表している。<sup>5)</sup>

この様な流れの中、PPI については、製薬業界を中心に注目される様になり、患者さんの意見を医薬品開発や臨床研究に取り入れる活動が活発化してきている。<sup>6),7)</sup>

日本においても、製薬企業が如何に患者さんや患者団体とコミュニケーションを取ることが望ましいかについて示したガイドラインも幾つか作成されているが<sup>8),9)</sup>、患者さんと直接製薬企業がコミュニケーションをとるためには、企業秘密の保護やインサイダーや利益相反等への対応も必要であり、具体的な活動が進んでいない状況にある。

その一方、ICH GCP のおいても、患者中心の医療や医薬品開発が推奨されており、日本においてもその重要性が高くなってきている。

そこで、日本の現状に則したガイダンスが必要と考え、PARADIGM 等を参考に、日本製薬医学会として、「製薬企業が Patient Engagement (PE) 活動を行う上でのガイダンス」を作成することとした。

## 2 用語の定義

### **Code of conduct（行動規範）**

許容される行動、許容されない行動、あるいは期待される行動とは何かを含む規則・規範集。

### **Community Advisory Board（コミュニティ・アドバイザー・ボード）**

臨床研究のスポンサーに専門知識を提供し、その分野で複数のスポンサーに助言を行う患者団体を指す。CABは自律的な組織であり、スポンサーとは関係なく、またスポンサーによって選ばれたものでもない。

### **Confidentiality Agreement (CA) / Non-disclosure agreement (NDA):（秘密保持契約）**

少なくとも2つの当事者間で締結される法的な契約。当事者が特定の目的のために互いに秘密情報を共有し、または第三者への開示を制限したい趣旨が記載されている。

### **Consultancy（コンサルティング）**

企業またはアカデミアが主導する臨床試験プロトコルおよび関連文書、必須文書または検討中の製品（医薬品、バイオマーカーなど）に関する情報、戦略的取り組みおよび商業的または学術的に関連性のあるその他プロジェクトに関するアドバイスの提供。

### **Design of clinical trials（臨床試験デザイン）**

プロトコルの設計、患者負担の検討、患者関連アウトカムを検討。

### **Memorandum of Understanding (MoU)（覚書）**

2者（両者）またはそれ以上（複数者）の当事者間の合意の一つ。法的拘束力がない場合もあるが当事者間で共通の行動指針を進める意志を表明するものである。

### **Participating Organization / Engaging Partner（参加団体 / 参画パートナー）**

患者参画の活動を企画、または参加している団体。

### **Patient:（患者等）**

- **Individual Patients：（個々の患者）**

病気とともに生きる個人的な経験を持つ人々たちである。研究開発や規制プロセスにおける技術的な知識を持っている場合もあれば、持っていない場合もある。

注）個々の患者が、PE活動に参加する主な目的は、自らの治療ではなく、主観的な疾患や治療の経験で今後の医療の発展に貢献することである。

- **Carers：（介護者）**

「介護者」とは、患者を支える家族や、有償・無償のヘルパーなどを指す。

- **Patient Advocates：（患者支援者）**

特定の病気とともに生きる、より多くの患者を支援するための見識と経験を持つ人のこと。彼らは組織に属している場合もあれば、そうでない場合もある。

- **Patient Organization Representatives：（患者団体代表者）**

特定の課題や疾患領域について、患者団体として意見を代表して説明する役割を担う者。

- **Patient Experts : (患者専門家)**

疾患に関する専門知識に加えて、医薬品の R&D 全般に関する研修を受けており、研修や経験を通じて R&D や薬事に関する専門知識を有する患者。

- **Patient community : (患者コミュニティ)**

患者、その家族や介護者を含む患者代表、患者支援者、患者団体。

### **Patient engagement (患者参画)**

医薬品等のライフサイクルにおけるプロセスや意思決定において、患者、患者支援者、患者団体代表、介護者が、適切な場合には他のすべての関係者とともに、効果的かつ積極的に協働すること。

### **Patient organizations (患者団体)**

患者に焦点を当てた非営利団体であり、患者および/または介護者（患者が自分自身を代表できない場合は後者）が運営組織のメンバーの過半数を占めるものと EMA では定義されている。

### **Pharmaceutical industry (製薬業界)**

ヒトや動物の健康のために医薬品を発見、開発、製造、販売する多くの公的および民間組織で構成されている。

### **Three main decision-making points (主な意思決定ポイント)**

医薬品の開発ライフサイクルにおける重要なポイントとして定義されている。PE に係る 3 つの意思決定ポイントは、研究の優先順位設定、臨床試験の設計、規制当局や医療技術評価機関との早期対話である。

### **Vulnerable / underrepresented groups (社会的弱者／不特定多数のグループ)**

小児や若い患者、認知症患者およびその介護者。この定義には、不特定多数のグループ（例：移民や非定住者、薬物使用者、投獄者、認知症以外の精神疾患を持つ人々）も含めることもある。

### **Terms related to conflict of interest/competing interest (利益相反・競合利益に関する用語)**

- **Insider trading : (インサイダー取引)**

公開企業の株式やその他の証券（社債やストックオプションなど）を、その企業に関する重要な未公開情報に基づいて取引すること。

- **Intellectual property (IP) : (知的財産 (IP) )**

発明、文学・芸術作品、デザイン、商業で使用される記号・名称・画像など、個人の精神活動による創作物を指す。

知的財産は、例えば知的財産権（特許権、著作権、商標権など）によって法律で保護されており、これによって人々は発明や創造をしたものから認識や金銭的利益を得ることができるようになる。知的財産制度は、革新者の利益とより広い公共の利益との間で適切なバランスを取ることであり、創造性と革新性が花開く環境を促進することを目的としている。

### **Non-compete clause (NCC) : (競業禁止義務 (NCC) )**

契約法において、競業禁止義務条項（しばしば NCC）、または競業禁止義務契約（CNC）は、一方の当事者（通常は従業員）が他方の当事者（通常は雇用主）に対して競合する同様の職業や取引を開始しないことに同意する条項である。



### 3 対象とする課題・領域・テーマの設定

会社の戦略に応じて臨床現場の情報を入手する必要がある。また、会社の経験や開発・販売状況によって収集したい情報は変わってくる。まず領域としての経験があるか、次に調査対象の疾患についての経験の有無、治験や臨床研究の有無、現在会社として販売する治療薬の有無に分類される。

経験の有無によって、臨床現場の情報収集目的は図1の様に変わる。

領域としての経験がない場合には、新薬候補品の開発戦略設定や Unmet medical needs\* の検索等が情報収集の目的となる。疾患についての経験がない場合には、特定領域、特定疾患における治療情報の把握も情報収集の目的になる。

(\* : 満たされていない医療ニーズ、つまり、いまだ有効な治療方法がない疾患に対する医療ニーズのこと)

このように領域や疾患の経験がない場合には、主に調査が目的になる。

一方、これまでに治験や臨床研究の経験がない場合や新たな試験を企画する場合においても臨床現場の情報収集が必要である。特に GCP renovation<sup>10)</sup>では患者を含むステークホルダーの意見を取り入れて試験計画を作成する必要があり、今後この状況においての情報収集が多くの部分を占めることになる。

また、既に販売する治療薬を持っていても他の治療方法との併用による効果や安全性、使用方法の利便性についての情報は、会社として重要である。

図1. 会社の状況による PE の目的 (概念図)

	領域	疾患	開発・臨床研究	販売
	<pre> graph LR     A[テーマ設定] --&gt; B[経験ある]     A --&gt; C[経験ない]     B --&gt; D[経験ある]     B --&gt; E[経験ない]     C --&gt; E     D --&gt; F[ある]     D --&gt; G[なし]     E --&gt; G     </pre>			
<b>PE の目的</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>新薬候補品の開発戦略</li> <li>Unmet medical needs の検索</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>特定疾患における治療状況</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>新薬候補品の開発戦略</li> <li>実施計画書の策定</li> <li>エビデンス創出</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>治療実態の把握</li> <li>製品改良についての情報</li> <li>併用療法・安全性情報</li> </ul>

## 4 エンゲージメント計画（PE Plan）の策定

### 4.1 エンゲージメントの目的

PEの目的は、事前に明確にしておく必要がある。対象とする領域や会社の戦略とエンゲージメントの目的は、PEの目的に応じて対象（患者個人、患者団体等）とエンゲージメントの方法を作成する必要がある。下表にも示した様に、いくつもの目的がある。

表1 PEの目的（例）

- |   |
|---|
| <ul style="list-style-type: none"><li>• Unmet medical needs の検索</li><li>• 特定領域、特定疾患における治療状況の把握</li><li>• 新たな治療方法の検証</li><li>• 新薬候補品の開発戦略</li><li>• 既承認医薬品の改良</li><li>• 既承認医薬品の新規適応症</li><li>• 疾患啓発活動、受療行動の促進（非販売促進活動）</li></ul> |
|---|

### 4.2 エンゲージメントの概略（対象、時間、人、資金）

対象となる患者や関係者へ依頼する前に、以下の項目を決めておく必要がある。

- ✓ エンゲージメントの設定根拠と目的および期待される結果の説明
- ✓ 活動の達成目標（例；意思決定への情報提供、知識の構築、仮説が患者にとって意味があるかの評価・理解の検証、分かりやすい資料の共同作成、試験実施計画の選択・除外基準の検討、エンドポイントが患者に有益なものかの検討等）の説明
- ✓ 患者や関係者に対してエンゲージメント活動として期待されることや役割
- ✓ 現在計画中または進行中の他のエンゲージメント活動との相互関係  
（活動の重複を避けることが可能。多くの患者団体では、リソースに限りがあることを注意する）
- ✓ 活動開始日、結果または調査の提出期限（スケジュールには柔軟性を持たせる（例；±数週間、数か月）
- ✓ 活動に必要な予算（依頼する前に確保しておく）
- ✓ エンゲージメント活動に必要な進行役（翻訳者）、小児や介護が必要な場合には、保護者や介護者
- ✓ 委託業者の有無・内容

### 4.3 対象者の要件（コンピテンシー）

PEの目的および概略を決定したのち、その目的に応じて具体的にどのような情報を入手、または相談する必要があるかを検討し、適切な対象者を決定する必要がある。

#### 4.3.1. 患者団体や患者コミュニティ

患者団体や患者コミュニティを選定する際、入手する情報により、考慮する点は、大きく3つに分類され、それぞれ考慮すべき項目を以下に示す。

1. 医薬品開発における業務遂行能力、産業界や他のステークホルダーとの協働する力



- ✓ 患者コミュニティのニーズが合致するパートナーとの協働
- ✓ 医薬品開発に対して患者参画に関心があるパネル、患者等
- ✓ 医薬品開発に参画するための経験、専門知識、体系的なアプローチ

## 2. 患者コミュニティとの関わりをサポート出来る能力

- ✓ メンバーや、それを越えた広い患者コミュニティとの確立したコミュニケーション手段
- ✓ 組織内部の運営、外部活動への会員の参加
- ✓ メンバーのトレーニングや指導を行うための資源

## 3. 患者集団の人口や地域の多様性を代表する機能

- ✓ 患者参加活動のニーズに見合った地理的範囲
- ✓ 多様な患者集団を取り込むことへの取り組み
- ✓ 医薬品開発への患者参画／多様性の推進に対する障壁についての認識

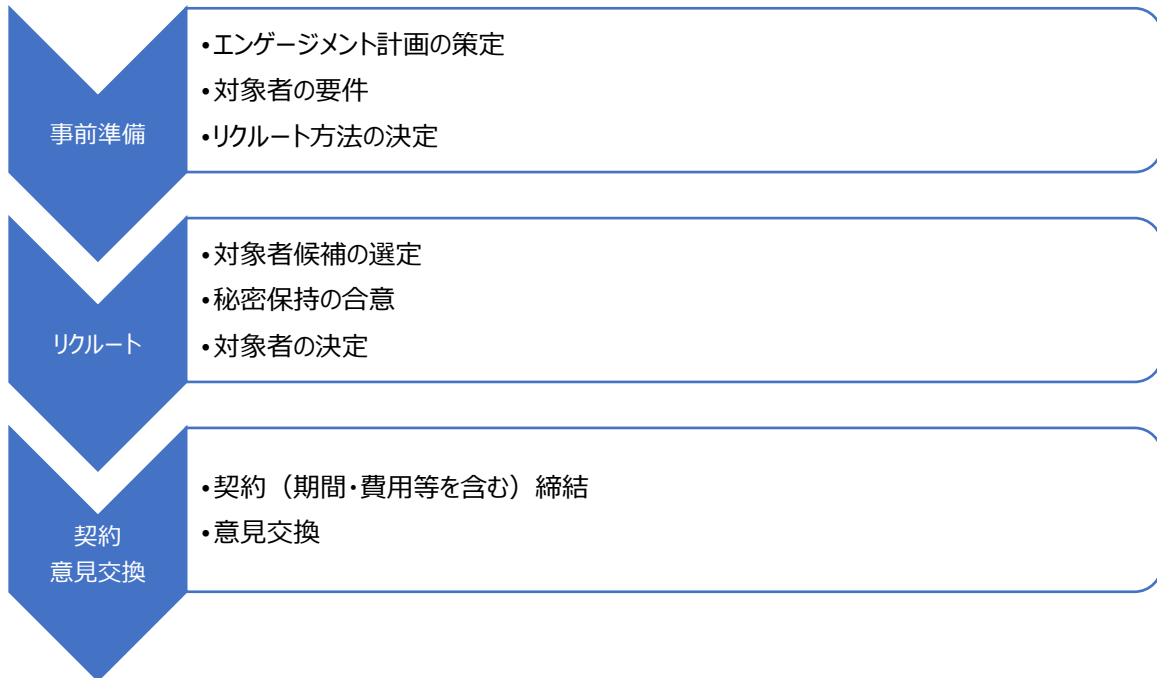
### 4.3.2. 患者個人

患者個人の選定に当たっては、目的に合った対象者を選定することが重要である。個人としての意見を聞くので開発や医療についての知識も必要となる場合もある。また、目的によっては、会社の秘密情報（インサイダー情報）を開示することがあるので、秘密保持の観点でも確認しておく。

患者個人を選定する場合に、患者自身が自己評価するツールとして表 1 に Competency Table を添付する。この結果のみで判断することは難しいが、面談する前に入手できれば、選定の際のサポートツールになる。

## 5 エンゲージメント（PE）の流れ

PEを実施する手順は以下の通りです。



### 5.1 事前準備

事前準備として4章に記載しているエンゲージメント計画（PE-P）を作成し、対象者の要件やリクルート方法を決定する。

### 5.2 リクルート

対象者のリクルートは、対象によって二つの方法が考えられる。

#### 5.2.1. 患者団体や患者コミュニティ

目的にあった患者団体または患者コミュニティと必要に応じて秘密保持契約を締結し、具体的なエンゲージメント計画（目的、期間、費用等）を提示した上で契約を締結する。

各団体に対して候補者の中から適任者の選定を依頼する。

#### 5.2.2. 患者個人

目的にあった患者個人は、患者団体や患者教育機関、インターネットでの募集により候補となる人を選定し、必要に応じて面接等で適任者を選定する。

適任者候補が選定されたら、必要に応じて秘密保持契約を締結し、具体的なエンゲージメント計画（目的、期間、費用等）を提示した上で契約を締結する。

### 5.3 契約締結

対象となる患者個人または団体とは、【附録】のヒアリング契約書を参考に契約を締結する。

契約内容としては、以下の点を含めておく必要があると思われるが、最終的には個々の企業の判断に委ねられる。<sup>11)</sup>

- ✓ 契約者の特定

- ✓ 業務内容
- ✓ 謝礼（業務に係った費用については、支払うべきであるが、社会的通念に合わせて妥当な金額とするべき）
- ✓ 経費の支払い（交通費、宿泊費、日当等）
- ✓ 独立性および利益相反（自社品の販売促進にならない旨）
- ✓ 契約期間（業務終了の通知）
- ✓ 守秘義務（秘密事項の定義、同意事項、守秘義務期間）
- ✓ 知的財産権（成果物の所有権、検討結果の公表等）
- ✓ 責任範囲（インサイダー取引の禁止）
- ✓ 個人情報の保護とデータ利用（対象者の個人情報の取得と利用範囲について）
- ✓ 合意事項
- ✓ 紛争（紛争が生じた場合の対応）
- ✓ 契約者（法人、個人、団体）

【参考】PARADIGM Consultation Agreement <sup>12)</sup>

## 6 エンゲージメント方法

患者や患者団体の代表者からインサイトを抽出する方法は、対象者の特性に基づき、様々な方法を検討する必要がある。目的とする情報を得るために必要な患者数、あるいは（患者に求められる）必要な（適応）コンピテンシーを検討する必要がある。ここでは、最も一般的に使用される方法における簡単な解説を行う。

### 6.1 グループディスカッション

患者または患者団体の代表者でのオープンディスカッション。通常対面で実施され、専門知識を有するもの（例；研究者、心理学者）が進行する。グループディスカッションは、参加者が意見を述べたり、説明したり、反対意見を共有することを促すことにより相乗効果が期待される。オープンディスカッションによる定性的なインタビューからは、疾患および治療の理解、開発プログラムや臨床研究の結果の評価に関する情報が得られる。

さらにフォーカスグループインタビューは、臨床試験（治験）における患者エンゲージメントを強化し、追加ニーズの検出をサポートする。

グループディスカッションにおける主な考慮事項には、研究目的、トピックの複雑さ、トピックのデリケートな部分（例えば性的健康、精神疾患等は、一般的にグループディスカッションには適さない）、グループのサイズ／グループあたりの参加者数、グループの多様性／異質性、必要なグループの数およびファシリテーターの有無がある。

### 6.2 定性的インタビュー

定性的インタビューとは、リサーチクエストに結びつく様に数多くの詳細なデータを収集するために患者または患者団体代表者とのインタビューを、半構造化して実施することを指す。

これには、病気の経験や治療に対する理解と姿勢、影響度も議論に含まれる場合がある。この方法は patient-reported outcomes measures (PROMs)を開発するため、開発早期において定性的なインサイトを得るため、または、薬剤のライフサイクルの後半にしばしば用いられる。

定性的インタビューから得られた情報は、病気／治療方法の理解、臨床開発プログラムやアウトカム評価を作成するのに役立つ。加えて、定性的インタビューは、臨床開発の決定をサポートし、臨床試験への患者エンゲージメントを強化し、追加ニーズのサポートになる。

患者からの直接的なエビデンスが必要な場合、例えば規制当局へ患者の経験をフィードバックする必要がある場合、定性的インタビューは最も価値のあるものとなる。

このタイプの一次研究は、特にコストやタイムラインの面で多くのリソースが必要な可能性があるため、限られたリソースの最適化が必要である。研究に必要なことを把握するため事前調査を実施し、収集したデータが他の患者エンゲージメントで補完可能かの評価も推奨される（例：文献検索）。

### 6.3 オンラインアンケート調査

オンラインでの患者アンケートは、患者または患者団体の代表者が、入力することで完了し、集めたデータを定量的および定性的に活用することが出来る。掲示板とは異なり、患者個人の結果が他人に見られることはない。

患者アンケートは、病気を取り巻く患者のインサイトを得ることができる。患者アンケートのテーマは調査目的毎に設定され、患者の持つアンメットニーズを評価することが出来る。

異なるターゲットプロダクトプロファイル（TPP）や特殊な属性についての価値も評価できる。

調査によって臨床研究に関連するインサイトを見つけることも可能である。例えば、一般的な臨床試験への啓発や患者からの特殊なプロトコルに関する質問、患者が経験したことを理解することなどである。

患者アンケートは、関係者からの意見／理解、定量的な疾患負担やアンメットニーズを評価する上で最も価値のあるものになる。この様な調査方法は、定量的な分析をするための大規模なデータセットが必要となる患者が地域的に分散しているときには不可欠なものとなる。

大規模な集団の横断的調査は、迅速かつ経済的であるが、縦断的調査は、リテンションバイアス（特定のグループや現象に対して、ある属性や特性が偏って観察される傾向）がおこりやすく、費用が高くなる可能性もある。

#### 6.4 Patient Advisory Panels (PAP)

患者の視点でチームに情報を提供するために召集された患者の専門家（患者、患者の擁護者または介護者）で構成されるパネルのこと。

PAP 下記の様な幅広いトピックを患者の視点で提供できる集団である。

- ✓ 疾病の理解
- ✓ アンメットメディカルニーズ
- ✓ 研究の優先順位
- ✓ ペイシエント ジャーニーに関するインサイト
- ✓ 患者が直面している主な課題
- ✓ 開発および臨床試験の課題に関するアドバイス
- ✓ 製品/バリューメッセージと患者向け資料のレビュー
- ✓ 患者が直面している心理社会的および医療制度に関する課題
- ✓ 支援を提供する患者団体の役割

PAP は、研究デザイン、製品やバリューメッセージのレビュー、患者向け資料を作成する際に患者中心の手法が必要な場合に用いられる。PAP では、患者は研究参加者としてではなく、今後の医療環境を検討するアドバイザーとして位置づけられる。また、PAP は、患者からの適切な情報を収集するために他のエンゲージメント戦略と組み合わせて実施されることもある。

長期的な別の方法としては、特定の期間にわたってエンゲージメントを行う患者評議会がある。患者評議会は、定期的の方針に関する課題について患者の視点を提供するリーダーシップチームとエンゲージメントを行う。期間はおおむね 2 ～ 3 年である。

#### 6.5 Community Advisory Board (CAB)

CAB とは、革新的な考えに基づく会議体であり、米国では数十年前より、EU では最近になって展開している会である。患者コミュニティと医薬品産業界との長期的な関係を構築し、患者エンゲージメントの観点や医薬品開発、ライフサイクルマネジメントに関する意見を促進する目的で設立されたものである。

#### 6.6 公聴会の開催

特定の目的のためにカスタマイズした会合であり、患者またはその代表者、患者擁護者、そして臨床医、研究者、保険支払者等が、より広範な意思決定者の代表（業界代表者）のパネリストと共に行う会議。

米国においては、Patient-Focused Drug Development (PFDD) をサポートする会議、米国食品医薬品局(FDA)関連の PFDD 会議以外にも、医療技術評価(HTA)公開フォーラム、関心のある分野における患者類似の者を伴った公開の会議の機会が含まれる。

既存の治療における患者の見解や疾患負荷について患者および患者の代表者から情報を収集する複数の利害関係者による会議、あるいは、臨床開発や規制に関すること（例：政策/擁護、デジタル化とテクノロジー）を超えるようなテーマを議論する会議

公聴会の開催には費用がかかる可能性があり、その目的は必要な情報を収集することを主軸に慎重に検討する必要がある。

## 6.7 ソーシャル・メディア・リスニング（Social media listening ; SML）

オンラインを介して行われる患者やその代表者、介護者、および医療従事者(HCP)の間での対話を分析することにより、ペイシェントジャーニーに各段階における患者の立場からのアンメットニーズ、疾患の経験、感情や行動に関連するインサイトがもたらされる。SML では上記の対話の中で患者が使う言葉や用語を理解する上で重要である。

SML は、特定の病態における患者が経験したこと（例：疾患負担、感情や傾向がみられる行動、病気に対する心の状態、治療の経験、アンメットニーズ、好み、有害事象や予定外の出費などの経済的な情報）を理解するのに役立つ。また、治療を切り替えるという患者の決定に影響を与える要因、顧客/患者および医療従事者のインフルエンサー、臨床試験への意識（早期の医薬品開発のための臨床試験戦略を知らせるため）、または競合に関するインサイトというような周辺の情報をも提供し得るものである。

SML で得られたインサイトは、患者と介護者のもつアンメットニーズを理解することに用いる、また患者からの許可のもとに患者が現に経験したことを反映させられるような患者向けのマーケティング資材を作るためにも用いられる。しかしながら、患者報告アウトカム（PRO）の開発では、規制上正式なインタビューが必須となる。

## 6.8 エンゲージメント結果・報告

患者エンゲージメントによって得られた結果については、企業秘密情報に該当するものを除き、対象者および一般に公開すべきと考える。

# 7 付録

## 7.1 契約についての注意事項

# 8 参考文献

- 1) 田村浩司：「医療分野における「患者・市民参画」（Patient and Public Involvement）を考える」（政策研ニュースNo.58 2019年11月）
- 2) 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長：「臨床試験の一般指針」の改正について」（[000250244.pdf \(pmda.go.jp\)](https://www.pmda.go.jp/safety/000250244.pdf)）
- 3) Amy Hunter, et al.: "EUPATI Guidance for Patient Involvement in Medicines Research and Development: Health Technology Assessment" Front Med (Lausanne). 2018; 5: 231. Published online 2018 Sep 6. doi: 10.3389/fmed.2018.00231. (<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/30238004/>)
- 4) PARADIGM Patient Engagement Toolbox (<https://imi-paradigm.eu/petoolbox/>)

- 5) 日本医療研究開発機構 (AMED) : 「患者・市民参画 (PPI) ガイドブック ~患者と研究者の協働を目指す第一歩として~」 (<https://www.amed.go.jp/ppi/guidebook.html>)
- 6) 日本製薬工業協会 : 「患者団体との協働に関するガイドライン」 (2013.1.16策定)
- 7) 日本製薬工業協会 : 「企業活動と患者団体の関係の透明性ガイドライン」 (2012.3.14策定)
- 8) 日本製薬工業協会 : 「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、医薬品評価委員会 臨床評価部会 部会資料)
- 9) 第一三共COMPASS、武田薬品工業PCET編 : 「Patient Engagementのためのガイドブック (改訂第二版)」 (2022年9月)
- 10) ICH : 「ICH Reflection on “GCP Renovation”: Modernization of ICH E8 and Subsequent Renovation of ICH E6」 (Endorsed in January 2017)
- 11) Workgroup of European Cancer Patient Advocacy Networks Myeloma Patients Europe Patient Focused Medicines Development (WECAN) 塚原喜久男、他訳 : 「患者支援団体と製薬企業との間の適正な合意に関する指針WECAN –最終合意文書, 2018年10月23日, V 6.2\* 1」 (臨床評価 Vol.49, No.2, 2021)
- 12) PARADIGM Patient Engagement Agreements explained (<https://imi-paradigm.eu/petoolbox/contract-templates/>)

## 【付録】患者個人・患者団体と契約をする際のガイダンス

本ガイダンスは契約のテンプレートではありません。各社で自社用の契約書を作成しやすいように、全体の構成をお示しする目的で作成された参考目的のガイダンスです。以下、青字部分は留意事項です。

### ヒアリング契約

契約名は各会社でアレンジ可能です。条文の順序、語尾を、ですます調・である調・ものである調にするか等も各会社の仕様で構いません。

1. 製薬会社[甲]と[乙]は、甲が乙から別途定める聞き取り調査（ヒアリング）を実施するにあたり、その範囲や対価等の事項を次の通り合意する。

乙には患者/患者団体等が入ります。

2. 甲は、[Unmet medical needs の状況等を調査するため]、乙に対し別途定める範囲の情報の聞き取り調査（ヒアリング）への協力業務を依頼する。甲は乙に対し、協力業務に対し、協力金として[ ]円（この金額から源泉徴収予定）を支払う。甲は乙に、協力金は甲の社内基準に従ったものであることを説明し、乙は金額の定め方につき理解した。ヒアリングへの協力業務の履行に交通費が発生する場合は、別途実費を精算する。交通費以外の費用が発生する場合は、事前に甲の了承を得る。甲の支払と税務手続のため、乙は甲に銀行口座の番号とマイナンバーカードの情報を提供することを同意する。

文頭の調査の目的の箇所は、適宜アレンジしてください。ヒアリングの範囲、ヒアリングの日時や場所などは別紙で定めましょう。甲から乙への説明や乙の理解の箇所についてはなくてもかまいません。交通費や費用精算については、自社プロセスに合わせてください。銀行口座番号やマイナンバーカードの番号の共有のための文書が別途必要となります。

3. 甲は、聞き取り調査（ヒアリング）は、甲の製品または製品になりうるものの販売を促進することを目的としていないことをここに表明し、乙はこれを理解した。協力金の支払いが場合によっては贈収賄罪の対象、独禁法、その他外国の同種の法律の対象になること、その適用がないことを確認するために一定の質問を乙に対してする必要があることを甲は乙に説明し、乙は了承した。

患者への直接広告は薬機法違反であるため、製品名の言及は避ける必要があります。言及がなかったとしても推し量れるケースもあるでしょう。そのような場合であっても、販売促進の目的があると認定されないようなプランニングにする必要があります。後半は贈収賄/FCPA に関連する条項ですが、各社のフォーマットがあれば差し替えてください。反社条項を入れる会社は、各社のフォーマットに従って追記するとよいでしょう。

4. 本契約は、別途定めた聞き取り調査（ヒアリング）が完了し、協力金の支払いが完了した時点で終了する。なお、甲は甲の都合によりいつでも聞き取り調査（ヒアリング）を中止することができる。その場合には、協力金は支払われない。



中止の場合でも実費の精算等があるケースも考えられますが、そのようなケースが多発すると思われる会社は、文言を追記されるとよいでしょう。

5. 乙は聞き取り調査（ヒアリング）の内容を他者に口外せず、協力業務終了後 10 年間これを秘密として保持する。

配布する資料があれば秘密としてマークアップし、当日は回収して自社で廃棄する等の対応も検討してください。必要であれば、契約の条項もアレンジしましょう。公知の情報を秘密情報から外したい等については各社の通常の契約を参照しつつ差し替えてください。

6. 乙は、甲の株式を保有している場合には、その旨甲に申し出なければならない。また、乙はインサイダー規制を遵守することを約束する。

インサイダー取引規制への対応ですが、患者向けのヒアリングが、会社の意思決定と直結する情報になるケースは稀だと思われるので、法務部門に相談した上で、削除してもよいでしょう。

7. 聞き取り調査（ヒアリング）の質問項目、乙から得られた回答については、データの所有権、著作権については、甲が保有する。回答が撮影、録音、録画、機械書き取り等された場合のそのデータについても同様である。乙が、聞き取り（ヒアリング）調査に関連して作成した資料がある場合にはその著作権、またそのデータを記録した媒体（紙面、電子など種別を問わない）がある場合にはその所有権は、乙は甲に譲渡する。

コンパクトにまとめていますが、読み手にわかりやすい日本語にアレンジしてもよいでしょう。各社でフォーマットがあればそれに差し替えてもかまいません。

8. 甲は、聞き取り調査（ヒアリング）に関して乙から得た個人情報については、聞き取り調査（ヒアリング）とその結果の分析に必要な限度で使用することとし（取得および使用目的）、個人情報保護法および甲の個人情報保護ポリシーに従って、適切に取り扱う。

仮に第三者や海外へ移転する必要がある場合は、その旨も記載が必要です。なお、業務委託者への情報の移転は第三者への移転には該当しません。この条項は、各社でフォーマットがあればそれに差し替えてもかまいません。この条項をアレンジして個人情報取得同意書を兼務する建付けにされてもかまいませんが、患者に個人情報の取得の同意をしたことを明確に確認していただくため、同意書を別途用意される方が会社としては安全策となるでしょう。

9. 甲乙は、他方当事者の事前の承諾を得ないまま、他方当事者の氏名、名称、ロゴ等を外部向けに使用してはならない。

特に患者団体と契約する場合は留意する必要がありそうです。法務部門に相談した上で、患者個人との契約では削除してもよいでしょう。患者団体に対する金銭の提供は、透明性ガイドラインにより公開が要請される場合もあります。各社にて確認しましょう。

10. 乙は、本業務の履行に関し、重過失または故意行為がない限り、聞き取り調査（ヒアリング）業務への協力の質につき何ら保証せず、回答に基づき策定された甲の事業計画やその履行状況について責任を負うことはない。

この条項はマストではありませんので、法務部門に相談した上で、削除してもよいでしょう。

## 署名欄

署名欄に日付をいれるかどうか、住所の記載が必要かについては、各社の法務部門/経理部門に確認しましょう。

## 別紙

1. 聞き取り調査（ヒアリング）業務内容[\* 後日追加でヒアリング調査をする可能性がある場合は、盛り込んでおくこと]/日時/場所を記載
2. 口座情報/マイナンバー/個人情報取得同意書

表 Competency Table

コンピテンシー		定義	グレード1	グレード2	グレード3
医療に関する専門知識	基礎医学の専門知識	医学的専門知識、解剖学的・心理学的専門知識、医薬品の研究・開発プロセスに関する知識	基礎医学の専門知識（解剖学、生理学、治療法の使用法）	広範な医学的専門知識（医薬品開発、医学的方法論）	あらゆる側面における深い医療知識
	適応症別専門知識	適応症・疾患、治療法、ケア、生活環境などに関する知識	基本的な適応症、治療、ケアの専門知識	拡大した適応症、治療、ケアの専門知識	最新の研究成果や治療に関する専門知識を含む、幅広い適応症・治療・ケアの専門知識
規制に関する専門知識	規制に関する専門知識	治療薬の評価、認可、償還プロセスなどの規制プロセスに関する知識	医薬品の承認プロセス、関連評価、償還手続きに関する基本的な知識	広範な医学的専門知識（医薬品開発、医学的方法論）	あらゆる側面における深い医療知識
	公衆衛生に関する専門知識	医療制度へのアクセスや参加に関する知識（例：ソーシャル法）、医療政策に関する知識	医療制度へのアクセスと参加に関する基礎知識	拡大した適応症、治療、ケアの専門知識	最新の研究成果や治療に関する専門知識を含む、幅広い適応症・治療・ケアの専門知識
方法論の専門性	コミュニケーションと説明能力	理論的で、解決志向のコミュニケーションスキル（デジタルおよびソーシャルメディアを含む）、および患者コミュニティのために適切な提言を行うための専門知識	客観的なコミュニケーションと適切な行動	明確で集中したコミュニケーションと、健全で一貫した意見	コミュニケーション、モデレーション、グループでの対話における高いスキル

	ネゴシエーションスキルと 当局折衝	当局折衝の専門家、交渉能力	当局折衝に関する専門知識 は特になし	誠実な人柄と優れた交渉力	良識ある当局折衝とコミュニケ ーション、強力な交渉力、一貫 した立場
パーソナルフレームワーク	個人的な経験	自らの経験に基づく疾患別の専門 性	罹患された方への共感的な関 わり	間接的に影響を受けている (例：家族)	直接的に影響を受けるもの
	コミュニティへのインサイ トと関与	特定地域の患者コミュニティに参加 している。個人的な経験を抽象化 して、より広いコミュニティを代表する 能力がある。	病気を持つ他の人たちとの直 接の交流	特定の患者コミュニティの様々 なニーズに対する幅広い洞察 力。地域の人々との頻繁な交 流	特定のコミュニティの人々と交 流する際のプロセスや意思決 定に関する構造化されたアプロ ーチ。コミュニティを代表する能 力
	タスクを実行する能力	特定の役割を果たすことを可能に する社会活動可能な環境または 支援、特定の仕事を遂行する能 力、十分な体力	時間的・労力的に厳しい制限 の中で、特定の課題に取り組 む能力	継続的、反復的な交流を行う 能力	より複雑で長期的な仕事を遂 行し、相当のコミットメント（努 力、時間、健康面）を必要と する能力

## JAPhMed MA 部会 臨床研究 Working Group

青井 澄子

飯泉 桜

江添 朋行

川平 岳治

武重 進也

富安 美千子

日野 優子

松山 琴音

吉田 浩輔 (リーダー)

本ガイドスにつきまして、難病サポート familia やまぐち / NIKAKU Lab 代表 岩屋紀子様レビュー頂いております。  
この場を借りて感謝申し上げます。