

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 御中

令和4年度 臨床研究等に対する  
国民・患者の理解・参画促進に関する動向調査

報告書

令和5年3月

EY 新日本有限責任監査法人

本報告書は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構による「臨床研究等における患者・市民参画に関する動向調査」について、EY 新日本有限責任監査法人が実施し、結果を取りまとめたものです。

なお、「第4章 オンラインによる質問紙調査、ヒアリング調査」については、東京大学医科学研究所 教授 武藤香織氏、ならびに千葉大学大学院国際学術研究院・国際教養学部 准教授 東島仁氏のご指導の下、一般社団法人 PPI Japan に再委託して実施協力を得ました。

令和4年度 臨床研究等に対する  
国民・患者の理解・参画促進に関する動向調査  
報告書

目次

第1章	背景及び目的	1
1.1	調査背景	1
1.2	調査目的	1
1.3	調査内容	1
1.4	調査期間	2
1.5	調査の進め方及び全体像	2
第2章	臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する国内の動向調査	4
2.1	調査の背景と目的	4
2.2	調査内容、方法	4
2.3	調査結果のまとめ	9
2.3.1	取組体制	9
2.3.2	理解促進	9
2.3.3	参画促進	10
2.3.4	デジタルツールの活用	11
2.3.5	AMED に対する期待	11
第3章	臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する海外の動向調査	13
3.1	調査の背景と目的	13
3.2	調査内容、方法	13
3.3	調査結果(英国)	14
3.3.1	MRC Clinical Trials Unit, University College London (UCL)	14
3.3.2	NIHR Imperial Patient Safety Translational Research Centre (PSTRC)	18
3.3.3	Parkinson's UK	22
3.3.4	NIHR CED	27
3.3.5	Cancer Research UK	29
3.4	調査結果(米国)	31
3.4.1	FDA	31
3.4.2	PCORI	34
3.4.3	NCI	38
3.4.4	NCATS	40
3.4.5	NHLBI	48
3.5	調査結果のまとめ	49
3.5.1	理解促進	49

3.5.2	参画促進 .....	49
3.5.3	多様性・公平性・包摂性 (DE&I) に関する取組 .....	50
3.5.4	ガイドライン、研修 .....	50
3.5.5	デジタルツールの活用 .....	51
第 4 章	オンラインによる質問紙調査、ヒアリング調査 .....	52
4.1	調査の背景と目的 .....	52
4.2	調査内容、方法 .....	52
4.3	概要 .....	53
4.4	アンケート調査 .....	53
4.4.1	対象 .....	53
4.4.2	調査結果 .....	54
4.4.3	患者団体を対象とした 2018 年の調査結果との比較 .....	70
4.5	ヒアリング調査 .....	77
4.5.1	対象 .....	77
4.5.2	調査内容 .....	77
4.5.3	調査結果 .....	78
4.6	調査結果のまとめ .....	90

# 第1章 背景及び目的

## 1.1 調査背景

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下、「AMED」という。）は、中長期計画に示すように、医療分野の研究開発の司令塔として、基礎から実用化までの一貫した研究開発を推進している。医療分野の研究開発を推進するにおいては、ファンディングと並行して、研究開発に関する様々な仕組みの最新動向を把握することも重要となる。

我が国において、平成9年の新GCP施行及び平成27年の医療法における臨床研究中核病院の位置づけ等を背景に、臨床研究・治験（以下、「臨床研究等」という。）を取り巻く環境が大きく変化している。このような中、厚生労働省厚生科学審議会臨床研究部会において、我が国の臨床研究等の活性化策について議論が進められ、昨今の変化を踏まえた「臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について2019年版とりまとめ」（以下、「とりまとめ」という。）が公表された。その中で、臨床研究等を推進するための課題のひとつとして、国民・患者の臨床研究・治験への理解や参画の促進が挙げられており、今後の対応として「研究を実施する医師の理解の促進」、「幅広い国民・患者の臨床研究・治験に関する理解」、「意見発信についての教育・研修」等が挙げられている。

## 1.2 調査目的

前掲のとりまとめで示された課題、ならびに今後の対応はいずれも、AMEDが目指す「社会共創」の取組を推進するにあたっての課題でもある。また、本とりまとめにおいて示された臨床研究等の推進に係る基本的考え方を踏まえた戦略的取組を進めることが必要であり、この一環としてAMEDが実施している医療技術実用化総合促進事業において、日本全体の臨床研究基盤強化、日本発の有望な革新的医療シーズ等をいち早く実用化に繋げ国民へ還元できる取組を推進している。こうした取組を推進するためにも、本業務において、国民・患者の臨床研究等への理解や参画の促進に資する取組状況に関する最新の情報を収集することで、臨床研究中核病院等を中心とした革新的研究実施基盤構築を促進することを目的とする。

## 1.3 調査内容

本件業務では、国民・患者の臨床研究等に対する理解や参画の取組について、以下3つの調査を実施した。なお、本調査の実施にあたっては、とりまとめ等を参考にした<sup>1</sup>。

---

<sup>1</sup>（1）理解促進の取組と（2）参画促進の動向については、一体的に実施されていることが多いため、本調査では国内・海外機関の調査結果をそれぞれ第2章・第3章に分けたうえで、（1）理解促進の取組と（2）参画促進の動向をまとめて掲載している。具体的には、以下のとおりである。

「（1）臨床研究等に対する国民・患者の理解促進に関する国内外の取組」及び（2）臨床研究等への国民・患者の参画促進に関する国内外の動向」のうち国内機関の取組・動向…①臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する国内の動向調査。

- ① 臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する国内の取組・動向調査
- ② 臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する海外の取組・動向調査
- ③ オンラインによる質問紙調査、ヒアリング調査

## 1.4 調査期間

令和4年10月4日から令和5年3月27日

## 1.5 調査の進め方及び全体像

前項の通り、本調査は「①臨床研究等に対する国民・患者の理解促進及び参画促進に関する国内の動向調査」、「②臨床研究等への国民・患者の理解促進及び参画促進に関連する海外の動向調査」、「③オンラインによる質問紙調査、ヒアリング調査」の大きく3つからなる。

上記①では、国内の状況に関して幅広く机上調査を実施し、国内43機関を対象としてメールインタビューを実施した。②では、英国・米国の状況に関して10機関を調査対象として机上調査を実施し、協力可能な5機関にオンラインインタビューを実施した。

上記③では、AMEDが指定する有識者の指導の下、国内の患者団体及び製薬企業に対して国民・患者の理解・参画促進に関する意識、懸念、実態、施策へのニーズを探索するため、オンラインでの質問紙調査を実施し、うち10件程度のヒアリング調査を実施した。③の実施にあたっては、アンケート・ヒアリング調査の実施及びとりまとめを一般社団法人PPI Japanに再委託した。

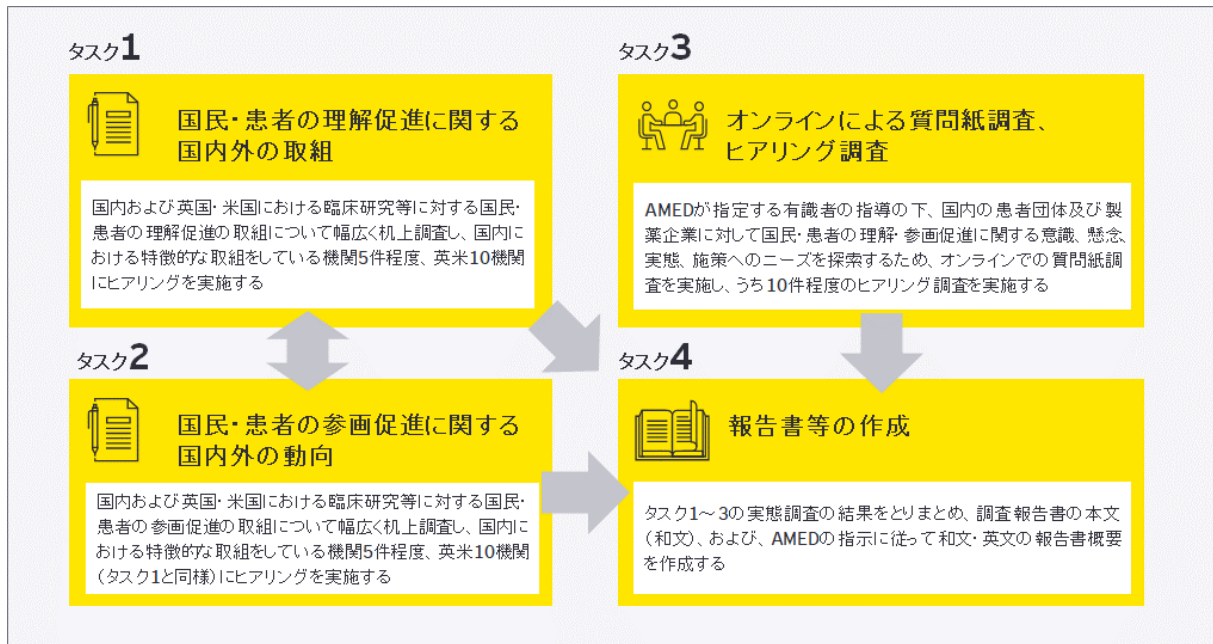
図表 1-1 調査③(第4章)にご協力いただいた有識者

所属	氏名
東京大学医科学研究所 附属ヒトゲノム解析センター 教授	武藤 香織
千葉大学大学院国際学術研究院・国際教養学部 准教授	東島 仁

---

(1) 及び (2) のうち海外機関の取組・動向…②臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する海外の動向調査。

図表 1-2 調査の全体像



## 第2章 臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する国内の 動向調査

### 2.1 調査の背景と目的

国内の調査対象における臨床研究等に対する国民・患者の理解促進、ならびに PPI (Patient and Public Involvement) の取組について実態調査を実施した。調査の実施にあたっては、調査対象のバイアスに留意した。

### 2.2 調査内容、方法

国内における臨床研究等に対する国民・患者の理解促進の取組、ならびに PPI の動向について幅広く机上調査を行い、以下の 43 の機関を調査対象としてメールインタビューを実施し、22 機関より回答を得た。メールインタビューの回答、ならびに机上調査により調査結果をとりまとめた。

図表 2-1 調査対象

1	日本医師会
2	日本医学会連合
3	国立がん研究センター中央病院
4	東北大学病院
5	大阪大学医学部附属病院
6	国立がん研究センター東病院
7	名古屋大学医学部附属病院
8	九州大学病院
9	東京大学医学部附属病院
10	慶應義塾大学病院
11	千葉大学医学部附属病院
12	京都大学医学部附属病院
13	岡山大学病院
14	北海道大学病院
15	順天堂大学医学部附属順天堂医院
16	神戸大学医学部附属病院
17	国立高度専門医療研究センター
18	国立循環器病研究センター
19	国立精神・神経医療研究センター



20	国立国際医療研究センター
21	国立成育医療研究センター
22	国立長寿医療研究センター
23	日本臨床腫瘍研究グループ (JCOG)
24	SCRUM Japan
25	一般社団法人 PPI Japan
26	ヘルス関連団体ネットワークの会 (VHO-net)
27	日本製薬工業協会
28	欧州製薬団体連合会 (EFPIA)
29	米国研究製薬工業協会 (PhRMA)
30	日本医療機器産業連合会
31	医療品医療機器総合機構 (PMDA)
32	認定 NPO 法人 ささえあい医療人権センター COML
33	一般社団法人ピーベック
34	特定非営利活動法人日本医療政策機構
35	一般社団法人医療開発基盤研究所
36	日本癌治療学会
37	日本再生医療学会
38	日本臨床試験学会
39	がん CRC 学会 患者との関わりに関する WG
40	公益財団法人日本医療機能評価機構
41	一般財団法人臨床試験支援財団
42	日本患者会情報センター
43	患者中心の医療を共に考え共に実践する協議会 (JPPaC)

図表 2-2 質問紙

### 国内メールインタビュー質問紙

\*回答枠はご自由に拡張・改変ください

#### 臨床研究・治験に対する国民・患者の理解・参画促進に関する取組体制

1. 貴機関における取組は、マネジメント上の方針（理念、行動規範やガイドライン）としてどのように位置づけられているでしょうか。取組を担当する役員や部署、担当者などの人数や専門性などの構成をご教示ください。

2. 電話・メール・来訪等による受付や相談窓口の設置状況や、ホームページやブログ、SNS等の広報・コミュニケーションのためのツールの利用有無も教えてください。

#### 臨床研究・治験に対する国民・患者の理解・参画促進に関する取組の実施状況

3. 上記ツールを用いた貴機関からの情報発信の頻度や特徴はいかがでしょうか。逆に、貴機関に対する国民・患者からの問い合わせや相談の頻度や特徴はいかがでしょうか。差し支えない範囲で概要をお聞かせください。

4. セミナーや市民講座など、国民・患者に向けた研修や教育機会の提供はありますか。逆に、内部の組織構成員に向けて、どのように国民・患者への理解・参画を促進するかについての研修や教育は行っているでしょうか。

5. 患者との意見交換会や患者参画型の内部組織・研究プロジェクト、理解・参画促進のために組織内外の関係者による公式・非公式なネットワークやコミュニティーがあればご教示ください。

**臨床研究・治験に対する国民・患者の理解・参画促進に関する取組の成果**

6. 貴機関による情報発信や、外部からの問い合わせ・相談への対応を通して、国民・患者の理解が促進されたり、あるいはその方々の認識や行動の変容につながったというような例はあるでしょうか。印象的なエピソードがあれば、ぜひご共有ください。

7. 外部者向けないし内部構成員向けの研修や教育において、事後インタビューなどによって参加者の意識や関心、理解がどのように変わったかを調べたりすることはありますか。個別や全体の印象でも結構ですので、参加者の変化について教えてください。

8. 患者との意見交換会など国民・患者が研究マネジメントや研究プロセスに関わる機会があれば、そのことで個人や組織としてどのような気づきやメリットが得られたか教えてください。

**臨床研究・治験に対する国民・患者の理解・参画促進に関する取組に関する今後の課題**

9. これまでの取組において実務的な課題、困っていることや悩んでいることはありますか。

10. デジタルツールやデータの活用によって国民・患者に対する理解・参画を促進したいという意向はあるでしょうか。また、その際に課題として感じておられることを教えてください。

11. 先進的な研究や技術の発展にかかる倫理的・法的・社会的課題についての情報発信や、国民・患者との対話・協働のあり方について何らかの検討や取組があればお聞かせください。

**その他、他機関と共有・連携できることや、AMED に期待すること**

12. AMED を含む他機関と共有・連携できそうなこと、したいことはありますか。

13. 今後の取組に向けて、AMED にどのようなことを期待しますか。

質問は以上です。ご協力どうもありがとうございました。

## 2.3 調査結果のまとめ

### 2.3.1 取組体制

調査対象は大学病院から国立研究所、研究プロジェクトや業界団体、学協会、市民社会組織など様々な使命や目的を持つ組織や団体であり、①大学病院や国立研究所のように実際に臨床研究・治験に携わり、そのなかで国民・患者の理解・参画を促進している《現場の機関》と、②研究開発や政策における国民・患者の理解・参画を促進する《支援機関》に大きく分けられる。したがって、国民・患者の理解・参画促進に関する取組体制としては、調査対象機関の特性によって大きく異なり、治験や臨床研究、先進医療開発を推進するセンターや部署という単位で言えば数十名体制で、医師から薬剤師、臨床研究支援専門職、CRC、データマネージャー、薬事や知財の専門家まで揃っているところもあれば、PPIに特化している担当レベルで言えば専任の事務職員が1名で医療職の兼任職員が数名というところもある。また、理解促進のために広報部門を窓口とし、出版社勤務経験や企業広報経験のある職員を配置している機関も見られる。また、支援機関においては人文・社会科学研究者や企業担当者、患者や患者支援者なども含め、人員構成はより多様である。

### 2.3.2 理解促進

国民・患者の理解促進のためのプラットフォームとしては、現場の機関では、機関のホームページやSNS（Twitter, Facebook, Instagram, LinkedIn）、YouTubeでの臨床試験等の情報発信、施設やメール、電話での相談・支援窓口の設置が主である。また、市民公開講座も定期的を開催しているところが多い。市民公開講座の参加者から、「臨床試験の実施には倫理面、安全面においても厳しいルールがあることがわかり、治験に対する意識が変わった」「薬が承認され一般的に使われるようになるためには多くの市民の参加が不可欠だということがわかった」等の意見が多くあったという機関もある。また、別の機関では市民公開講座の事後アンケートにおいて、治験に対するイメージが好転したという意見のほか、治験の参加について約9割から前向きな回答を得ている。ただし、市民公開講座や治験参加の周知度や関心度の向上が課題であると考えているところも多く、広く興味が得られている疾患領域情報をチェックして公開講座のテーマに採用したり、治験参加を促すポスターをパブリックスペースに掲載したりといった工夫をしている機関もみられる。

また、地元の中学校からの施設訪問学習先に選ばれ、生徒による訪問・インタビューを受けた機関もある。そこで新薬開発の必要性や治験の認知度が低い問題などを説明し、治験についての理解を深めてもらえたという。さらに、治験への参加を促すための理解促進ばかりではなく、臨床試験の参加者に対する試験結果の説明についても取組を進める現場の機関がある。そこではわかりやすく結果を示した説明文書（レイサマリー）を作成、公開を予定している。研究内容ばかりでなく、研究プロセスについてもより深い理解を促すため、説明同意文書の読み解きや、模擬倫理審査委員会などのテーマでラウンドグループディスカッションを実施しているところもある。ある支援機関では、これまでとは異なる立場での患者参画を促進するため、「被験者」ではなく「治験参加者」と呼び名を変更するように啓発活動を行っている。

こうした理解促進の活動の結果、治験への参加を打診する際に治験に関する基礎知識を持っている患者家族が増え、説明がスムーズに行えたという機関も見られる。市民公開講座に先立って内部の構成員に向けたレクチャーを実施している機関では、当初、内部構成員は消極的であったがレクチャー後には積極的に関与したいという意識変化が見られたという。コロナ禍以前は実施していたが最近は取りやめている機関もあり、再びこうした理解促進活動が活発になることが期待される。今後はjRCT(臨床研究等提出・公開システム)での国民・患者へのわかりやすい治験情報の公開により治験を知ってもらいたいという声や、海外の患者会との違いを感じるため、臨床研究や治験に関する基礎知識に関して中高生の学習カリキュラムに取り込んでもよいのではないかという声も聞かれた。また、患者の立場からも、当事者になってからではなく、あらかじめ基礎知識として持っておくことが大切だという意見が多い。

### 2.3.3 参画促進

ある現場の機関では、患者との意見交換会を年に一度開催しており、参加者は30～40名程度を集めている。また、患者の意見からヒントを得た医師が医師主導治験を立ち上げたこともあるという。別の機関では、医師主導治験においてホームページ上に被験者募集のバナー掲載により、検索上位となって速やかな被験者エントリーにつなげることができたという例も挙げられた。また、希少疾患に対する新しい治療法についての臨床研究・治験への参加について、患者会等を通じて声がけすること等により、早期の被験者組み入れに資することができたという機関もある。革新的な取組の一つとして、医療安全セミナーにおいて、患者のエンパワーメントを通じて治療への積極的な参加を促し、結果的に慢性疾患の管理を成功に導くための、医療者に向けた教育手法である「糖尿病劇場」の実践をテーマの一つに取り上げたという例がある。糖尿病劇場とは、日常の糖尿病診療や療養指導を再現した演劇を見た後に、聴衆とディスカッションする参加型・双方向型のワークショップである。

一方、医療政策やイノベーション推進を担う支援機関では、患者団体代表者に提言やアドバイスを求める役職を設けているところもある。学会などでもプログラム委員に当事者参画が実現するなど、臨床研究・治験のレベルから組織のガバナンスや政策レベルに至るまで、それぞれの機関で異なるレベルでの国民・患者参画が広がりを見せている。PMDAでも2021年に「患者参画ガイドランス」を策定し、公開している。

現状では患者ニーズが研究開発やアカデミアの研究に反映されることの困難さがある一方、患者ニーズを開発に取り入れる大切さを改めて認識できたという意見や、患者の方に理解しやすい説明の仕方や資料を作成することの重要性に関する意見があり、患者参画の関心や意識が変わってきている。いくつかの機関でも同様の回答があり、患者や市民が研究者と協働することの重要性について認識が広まり、期待も高まっている。他方で研究者側は、一部の患者の強い発言が必ずしも代表的な声ではないこと、患者の意見は仮に誤っていても否定することに躊躇すること、医学的知識が不十分なため自分たちの研究を理解してもらうために時間やエネルギーを投入する余裕がないことなどの声が寄せられており、患者と研究者との間の意識の差が大きいという課題も指摘されている。

このほかの課題として、単に意見を求めるのみの参画だけでなく、患者や家族主導で研究活動を行う参画のあり方、研究者のあり方について共通認識がない。また、患者・家族の参加人数が多くなることで意見集約が困難になることがあったり、逆に、少ないと特定の個人の意見に偏ったりする懸念も示されている。同様に、患者エキスパートのような一部の人の取組でなく、誰もが患者の声を発信できる人材開発や、その声を活かせる環境づくりが必要だという意見もある。

#### 2.3.4 デジタルツールの活用

多くの現場の機関では理解促進のためのデジタルツールを多様に活用している。ブログや SNS での発信のほか、臨床研究やその取組に関する講演の YouTube 配信を行ったり、機関独自の ICT ネットワークで情報発信をしたりしているところも見られる。また、人材をバーチャルにプールしておき、必要なときに研究への参画や協力を得られる体制を整えている機関もある。なお、患者・当事者が医療および医療制度について自分事と感ずることが重要であり、そのためにもデジタルツールの活用は極めて重要だとする意見もあった。そこでは特に、PHR の推進や、患者・当事者が自分の健康データを常に把握できるデジタルヘルスの実現によって、根本的に臨床研究・治験への患者・当事者参画を推進していくと考えられている。

デジタルツールの活用にあたっての課題は三点ほど挙げられている。まず、ブログや SNS は専任のスタッフが必要となり、十分にエフォートを割けないということ。次に、クレーマー対策や誤解を避けるための文言の注意などのリスク管理が大変であること。そして第三に、高齢者をはじめとして、情報に自由にアクセスできる人々は限られており、多くの国民には必要な情報が届かないこと。逆に、マスコミによって過度の期待を持たせるような報道のあり方も問題となっている。

#### 2.3.5 AMED に対する期待

AMED や政府に対しては、第一に、研修や教育機会の提供が最も要望が多かった。特に研究者向けの患者・市民参画研修プログラムを策定、研究者向けに実装してほしいという要望が強く、このプログラムに患者・患者団体によるレクチャーやワークショップを盛り込み、実際の体験を組み込むことにより、医療従事者用にも展開可能だと期待する意見があった。一方で患者や市民の参画に対する理解を高める啓発活動によって、PPI の敷居を下げ、参画できる人々の養成を行うことも期待されており、研究者と患者双方がお互いの理解を深める取組が必要とされている。その意味で、複数の機関から AMED が作成した PPI ハンドブックは重宝しているとの好評を得ており、組織内での学習会に活用している例もある。今後は PPI の具体的な事例、医薬品開発の基本的な流れや自由意思による治験参加などを取り上げてみるのもよいという提案もあった。

第二に、理解促進という文脈においては、特に治験情報について具体的な取組を求める声が寄せられている。治験でウェブサイトを検索すると、治験バイトのような、いわゆる臨床薬理試験で比較的高額の協力費が支払われる試験が出て、国民が偏った情報や信用できない情報源にアクセスしやすい状況が生まれていると懸念される。そこで、厚生労働省

など国の公的機関が保証する正しい情報認証マークのようなものを作り情報を保証していくか、厚生労働省の治験の情報を提供しているウェブサイトを利用者フレンドリーにして、SEO（Search Engine Optimization）により検索上位に持ってくる必要があるという。また、治験情報について国民が学べる機会を保証するような省庁横断的な働きかけも期待されている。国民の治験情報の正しい認知度を PPI の進展にかかると一つの指標として、定期的なサーベイなどで測ることで、PPI の目標やアクションが立てやすくなるという見方もある。

第三に、PPI に関する科学的知見の蓄積である。たとえば本調査のように、国民・患者が共通して持っている疑問や課題に関して AMED で調査・分析し、発信すべき情報をセレクトして発信、全国の研究機関にフィードバックすることはもっと積極的に展開すべきという声があった。また、冒頭に掲げた研修や教育機会の提供についても、単に機会を提供するばかりでなく、研究者向けの効果的な研修のあり方を検討するにあたり、研究者の PPI に対する意識調査を行うことが必要であるという。公的研究支援機関である AMED だからこそできる横断的な意識調査によって研究者への研修や支援体制の構築を連携していきたいという期待が表明されている。

そして第四は、AMED を国民や患者に開かれた組織にするためのガバナンスのあり方に対する提言である。たとえば成果報告会に一般の方の傍聴を積極的に受け付けてはどうかという声や、PPI を活用した研究開発を優遇するような課題の設定、行政と臨床現場をつなぐ場の提供など、いくつかの具体的な提案が挙げられている。また、PPI の概念は、臨床研究・治験のみならず、医療政策の策定においても重要であり、諸外国でも多様に導入されている。そのため、国際的な協調や民間団体との協働のプラットフォーム事業への支援など、医療政策の策定における PPI についても AMED のイニシアティブが期待されている。



## 第3章 臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する海外の

### 動向調査

#### 3.1 調査の背景と目的

海外の調査対象における臨床研究等に対する国民・患者の理解促進及び参画促進の取組について実態調査を実施した。調査の実施にあたっては、調査対象のバイアスに留意した。

#### 3.2 調査内容、方法

英国 5 機関、ならびに米国 5 機関の計 10 機関に対して、臨床研究等に対する国民・患者の理解促進の取組、ならびに PPI の動向について幅広く机上調査を行い、うち、下表の 5 機関に対してオンラインインタビューを実施した。インタビューと机上調査を合わせて調査結果をとりまとめた。

なお、海外の調査対象は、平成 29 年～平成 31 年 3 月 31 に実施した、AMED-PPI 調査 (<https://www.amed.go.jp/ppi/doukouchousa2017-2018.html> ; 以下、「PPI 調査」という。) の update を前提とした。

図表 3-1 オンラインインタビューの対象機関及び対象者

国	組織名	組織分類	氏名（役職）	実施日
英 国	MRC Clinical Trials Unit, University College London	研究機関	Kate Sturgeon (Senior Research Nurse)	2022/12/14
	NIHR Imperial Patient Safety Translational Research Centre	研究機関	Anna Lawrence-Jones (Patient and Public Involvement and Engagement Lead)	2023/01/04
	Parkinson's UK	患者支援団 体	Nikul Bakshi (Research Involvement Manager)	2023/01/23
米 国	Patient-Centered Outcomes Research Institute	非営利の 研究助成団 体	Dominick Frosch (Public and Patient Engagement)	2023/02/13
	National Center for Advancing Translational Sciences	研究機関	Eric Sid, Program Director (Division of Rare Diseases Research Innovation)	2023/03/03

### 3.3 調査結果(英国)

#### 3.3.1 MRC Clinical Trials Unit, University College London (UCL)

##### (1) 基本情報

【名称】 The Medical Research Council Clinical Trials Unit (MRC CTU) , University College London (UCL)
【所在地】 ロンドン
【設立年】 1998年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://www.mrcctu.ucl.ac.uk/">https://www.mrcctu.ucl.ac.uk/</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://www.mrcctu.ucl.ac.uk/patients-public/patient-and-public-involvement/about-our-ppi-group/">https://www.mrcctu.ucl.ac.uk/patients-public/patient-and-public-involvement/about-our-ppi-group/</a>

##### (2) 組織概要

HIV や結核等の感染症、がんを主対象とするトランスレーショナルな研究拠点。主にフェーズ 3 の無作為化比較対象試験を行い、臨床研究と併せて方法論の開発、メタ解析や観察研究も進めている。1998年に設立され、2013年にUCL傘下となる。現時点で250人以上のスタッフをかかえ、60以上の臨床研究やメタ解析を行う。MRCでは、全体のPPIをモニタリングするPPI Groupの設置（スタッフと患者代表で構成）、各ユニット内でのPPIコーディネーターの任命、プロトコル検討委員会、データ共有グループ、品質管理アドバイザーグループ（Quality Management Advisory Group : QMAG）における患者代表の参画など、組織全体でPPIが促進されている。

##### (3) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

MRCでは、研究の質を高めるため、患者や一般市民を積極的に巻き込んでいる。組織内にPPI Groupと呼ばれる組織がある。同グループはMRC CTUのスタッフと、患者で構成されており、MRC CTUのスタッフや研究コミュニティに、PPIに関する情報提供やアドバイスを提供している。PPIグループには、現在5人の代表がおり、MRC CTUにおけるPPI活動や臨床研究などに参加している。PPIグループのメンバーは現時点で14名である<sup>2</sup>。

MRC CTUのPPI活動は3つのレベルに分けられる。個別研究におけるPPI、プログラムレベルにおけるPPI、戦略的PPIである。戦略的PPIでは戦略的に啓発を行うことで、PPIがユニットの文化全体や、品質管理などへ浸透することを目指している。例えば、臨床試験には必ずPPI計画を提出しなければならず、QMAGによって、計画書を含む臨床試験の品質管理に関する文書のレビューが行われる。プロトコル検討委員会では、患者代表が在籍しており、新しいプロトコルのチェックや患者向けの資料作成を行う。プ

<sup>2</sup> <https://www.mrcctu.ucl.ac.uk/patients-public/patient-and-public-involvement/about-our-ppi-group/>

ログラムレベルにおけるPPIでは、Youth Trial Board (YTB)<sup>3</sup>や英国のコミュニティ諮問委員会 (UK Community Advisory Board) のような団体と連携し、意見交換を行うなどしている。個別研究におけるPPIでは、PPIに関する研究やワーキンググループ、コミュニティでの会議が行われる。

#### 1) PPI 促進を行うコアメンバー

PPI 促進には、代表的存在が必要である。コアメンバーは存在しないが、PPI グループには、現在 5 人の PPI 代表が参加している。MRC CTU の PPI 活動のほとんどにこの代表者が参加しており、様々な試験や研究にも、それぞれ患者代表がいる。彼らがコアメンバーのようなものではあるが、“コアメンバー”と形づけている訳ではない。

#### (4) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

MRC では、まだ資金提供を受けていない研究を対象とした PPI パネルの立ち上げを行った。現在、方法論研究 (Methodology Research) により積極的に PPI を取り入れたいと考えており、すべての研究ではなく、3 つのプロジェクトにおいて、方法論研究を議論するためのパネルを設置した。当パネルには、PPI の複雑性を踏まえ、PPI に対する理解促進のためにも、PPI の経験が豊富で、PPI についての理解がある患者代表を募集する必要があった。そのため、より幅広い参加者を求めて、研究者向けのウェブサイトで募集した。PPI デザインや、PPI の複雑性について患者代表者にどのように説明するか、患者のアウトカム指標についてどのように考えるかなどが話し合われる。このような取組は比較的新しい。新型コロナウイルス感染症の研究でも同様のパネルが設置されたが、トライアルが早めに行われたこともあり、個々の実験でそれぞれの PPI 代表者を募集する時間はないと考え、まとめて募集をかけた。結果、幅広い経歴を持つ 10 人のメンバーが集まり、異なる新型コロナウイルス感染症に関する研究に取り組むことができた。

#### (5) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

##### 1) フォーカス・グループ

PPI 活動の一貫として、フォーカス・グループを実施する。例えば、大規模な前立腺がんの臨床試験の一環としては、「スタンピード」と呼ばれるフォーカス・グループが実施された。NIHR の PPI ページで募集をかけ、PPI パネルの立ち上げも行った。特定の症状を持つ患者だけを対象とする場合は、通常、慈善団体を利用するが、そうでない場合は研究職に就いている人たちを巻き込む場合もある。困難な点としては、マイノリティグループの人々を集めることである。そのため、マイノリティグループと協力している他の組織や慈善団体と協力することに努めている。

---

<sup>3</sup> HIV を持つ若者たち (16-21 歳) で構成されるグループ

## 2) MRC の保持するネットワークの活用

MRCは良いネットワークを持っていると言える。研究において苦勞している分野は、前回の報告書作成時同様に、結核（TB）である。結核の臨床試験でPPIの代表を集めるのは非常に困難である。というのも、結核の患者というのは、存在感の薄いグループや難民のような、手を伸ばしにくいグループに属す傾向にあるためである。PPIとTBをうまく組み合わせた臨床試験がないため、より良いアプローチがないか模索している。TBでは、医師が患者の何人かにアプローチして、彼らの診療所から採用することもある。TBに関しては主要なチャリティー団体が無いため、結核診療を行う医師たちのネットワークを利用する必要があり、他のアプローチ手段を模索中である。

## 3) コミュニティ・エンゲージメント

MRCでは国際共同治験を多く行っており、PPI コミュニティ・エンゲージメントと呼ばれている。エンゲージメントは参加（Participation）や関与（Involvement）とは異なる。エンゲージメントというと、学会で研究結果を発表したり、ロードショーで知見を広めたりすることを指すが、コミュニティ・エンゲージメントというと、PPI やコミュニティメンバーの試験での使用方法について話すことが多い。このように、国によって異なる用語に注意しなければならない。同ユニットでは、「患者・市民参加（Patient & Public Involvement）」と呼んでいる。

## (6) 研究者向け・患者向けのガイドライン、研修

MRCでは、いくつかの例外を除いて、ほぼすべての臨床試験や研究でPPIが義務付けられている。フォローアップが終了した試験や終了間近の試験で、PPIを開始するように要請することはないが、これから開始される試験には、すべてPPIを入れることを義務付けている。また、すべての臨床試験をサポートするためのトレーニングやガイダンス文書など、能力強化も行っている。

また、MRCでは、すべての新入社員向けにPPIに関するトレーニングを実施している。研修後も、数ヶ月に一度、トレーニングを実施している。社内に、PPI専用のメールボックスがあり、そこから質問を送ることができる。

すでに述べたように、研究費申請時に患者・市民参画を審査対象とする機関では、特に組織内の研究者、学生向けの研修や教材、助言や費用面での支援体制が整備されている。英国全体でみると、極めて多様で実践的な教材、研修が多数存在する状況である。

## (7) デジタルツールの活用

YTBでは、Red Capと呼ばれるツールを活用している。これは、若者たちがどのように意見を述べ、どのように貢献したかを収集するためのデータベースのようなものである。誰かにインタビューされるよりも、匿名でのインタビューを望むために導入された。

一方MRCでは、新型コロナウイルス感染症 PPI パネルの評価の際に、オンラインインタビューを実施した。その他、委員会やPPI Groupに参加するPPI代表のために、導入パ

ック (Introduction Pack) を用意している。これは、担当する試験の背景や、治験責任者の連絡先、謝礼や支払いに関する詳細などを説明するものである。また、導入パックは MRC のウェブサイトから閲覧可能となっている。これに対し、PPI 担当者からのフィードバックを受け付けている。「とても役に立った」、「導入パックをもらって本当に助かった」というコメントを受けている。昨年は、ベースライン調査のようなものを、スタッフだけでなく患者代表にも行い、自分たちが研究に価値を与えていると感じているか、私たちが与えているサポートは十分か、何か他に望むことはないか、ということをつねた。回答として、「導入パックは本当に役に立った」、「PPI コーディネーターが質問や問い合わせの窓口になってくれたことがよかった」とコメントされている。

#### (8) 今後の課題

MRC は様々なネットワークを保持しているものの、結核分野における PPI 代表を集めることが課題となっている。その背景として、接触しにくいグループが結核を患う傾向にあることが挙げられる。現在、PPI と TB をうまく組み合わせた臨床試験がないため、より良いアプローチを模索している。貧困で苦しむグループや、支援の手が届きにくいグループの PPI も改善すべき課題の一つである。

### 3.3.2 NIHR Imperial Patient Safety Translational Research Centre (PSTRC)

#### (1) 基本情報

【名称】 NIHR Imperial Patient Safety Translational Research Centre (PSTRC) 2023年4月より The Patient Safety Research Centre (PSRC) に変更。
【所在地】 ロンドン
【設立年】 2012年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://www.imperial.ac.uk/patient-safety-translational-research-centre/">https://www.imperial.ac.uk/patient-safety-translational-research-centre/</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://www.imperial.ac.uk/patient-safety-translational-research-centre/patient--public-involvement/">https://www.imperial.ac.uk/patient-safety-translational-research-centre/patient--public-involvement/</a>

#### (2) 組織概要

グローバルヘルスイノベーション研究所 (Institute of Global Health Innovation : IGHI) の傘下であり、Imperial College Healthcare NHS Trust と Imperial College London のパートナーシップにより、患者の安全と医療サービスの質を向上させることを目的に、共同研究を行っている。IGHI の傘下には PSTRC 以外にも様々なセンターが存在する。多くの学者や研究者は、センター全体で患者安全の研究と政策研究に取り組んでいる。

#### (3) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

##### 1) PPIE チーム

PSTRC には患者参画・コミュニケーション (Patient and Public Involvement and Engagement : PPIE) と呼ばれるチームがある。現時点では PPIE リードと PPIE オフィサーの2名が所属している。

##### 2) PPIE アドバイザリー委員会

PSTRC には、PPIE アドバイザリー委員会がある。これは、患者、家族介護人等の一般市民ならびにロンドン北西部に位置する組織に属する医療従事者や PPI の専門家を構成員とする委員会である。現時点では3名の患者と一般人が所属している。同委員会は PSTRC の理事会 (Executive Board) への報告義務を有し、後述のリサーチ・パートナー・グループの活動に対して責任を負っている。PSTRC では6つの研究テーマを取り扱っており、各テーマのリーダーは2年間同委員会に役員として務めることとなっている。その後はローテーションで別の人が担当する。このローテーションシステムは、シニアレベル間での PPIE に対する理解向上を目的としている。始動当時は、外部から多くの意見を聞く必要があったため、年4回集まっていたが、現在では年2回ミーティングが開催されている。

### 3) リサーチ・パートナー・グループ(RPG)

PSTRC にはリサーチ・パートナー・グループと呼ばれる組織がある。同グループは研究計画における患者・市民参画実行計画のレビューや研究者への助言、ネットワークどうしをつなげる役割を担っている。より頻繁に小規模の会合を開くため、25名ほどいたメンバーを12名にまで削減した。研究者へのPPIEに関する助言や、特定の研究プロジェクトのPPIE計画や戦略を検討することができるよう、多様性を重視したPPIEの経験が豊富なメンバーを募集した結果、年齢、人種、経験した疾患、介護者などが異なるメンバーが集まった。グループ会議は現在、年に4回開催されている。会議では、研究者2名が発表し、プレゼンテーションを受けてグループでの議論を行う。通常、PPIEリードは研究者の発表前に発表されるPPI計画について事前に議論する。研究者は、研究内容や聞きたいことをまとめ、事前にグループに共有する。(この際、その内容はPPIEリードによって確認される。)

### 4) Young Persons' Advisory Network (YPAN)

バイオメディカル・リサーチ・センター (Biomedical Research Centre : BRC) とインペリアルカレッジのトライアルユニットと共同でYPANを設立した。若者(17~25歳)をエンパワーし、現代および将来の医療とサービスに関する研究を形成することを目的としている。若者どうしの交流会や、研究発表会などが実施される。研究発表会では、PPIEに関するトレーニングも実施されている。

## (4) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

### 1) Can of Worms プロジェクト

同プロジェクトはデータの共有や、一般市民との信頼関係を構築することを目的に立ち上げられた。人々は、データを共有することのリスクやメリット、自分のデータがどこに行くのか、誰が管理しているのかをよく理解していない。そのため、同プロジェクトでは、デザイナーや一般の方、俳優、コピーライターと協力し、逸話に基づいた架空のデータ管理に関する物語を作成した。例えば、がん検診を受けに行った人の検診結果がシステムで失われていたり、間違った結果が出たりと、実際に起こりうる内容に基づいた内容が描かれた。これらの物語は、展示会において公開された。展示会では、作品を見た人々に自分が持つ希望や不安について記載してもらい、その内容を分析した。

### 2) Hearing Birdsong

同プロジェクトは、難聴者の方々と一緒に制作された。難聴の認知度を高めるための展示会が開催され、会場ではテレビの画面に鳥が映し出され、その後に鳥の鳴き声が再生される。流れる周波数が聞こえない、あるいは聞こえにくいことに気づいたら、会場内で適切な聴力検査を行うか、検査の登録をすることができた。難聴に対する人々の意識を高

めるだけでなく、難聴の治療やケア、診断や治療へのアクセス向上も図った。展示会実施後、このサービスはオンラインでも提供された。

## (5) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

### 1) Healthy environments, diverse perspectives

同プロジェクトは自然環境研究カOUNシル(Natural Environment Research Council:NERC)による資金提供のもと、実施された。プロジェクトの目的は、一般の人々の考える健康的な環境に関する研究の優先順位を知ることであった。特に、同プロジェクトでは健康的な環境づくりに積極的でない人たちに焦点を当てた。その結果、少数民族、障がい者、高齢者、若者などが、健康的な環境づくりに参加しにくいということが明らかになった。低所得者層は自然環境との関わりが希薄であるということが明確となり、そのようなグループに焦点を当てた活動がオンラインで行われた。同プロジェクトでは、健康的な環境について話し合う2つのワークショップと、アクティビティが行われた。3Dヘッドセットを利用し、身体障害者の参加も促進した。英語が話せない方のために多言語でもセッションが行われた。参加者の確保に関しては、宗教指導者や若者のコミュニティリーダーとの連携や、コミュニティにおいて信頼のある代表(ホスト)と呼ばれる人たちとの連携により行われた。

課題としては、コミュニティ・ホストであるファシリテーターの知識の浅さが挙げられる。研究者がファシリテーターを務めることが、より深い洞察を得ることができるのではないかと考える。更なるオンラインセッションを行うには予算と人材が必要であり、また、効果的なファシリテーション方法を考える必要がある。

### 2) REACT(Real-time Assessment of Community Transmission)

同研究は英国イングランドにおける成人人口の、SARS-CoV-2に対する抗体の有病率を測定するものであり、インペリアルグループと共同で行われた。2020年6月から2021年5月にかけて、90万人以上が参加し、ウイルス感染の割合把握や、最もリスクの高いグループの特定に役立った。PSTRCのPPIEチームの役割は、言葉を話せない人にも家庭での検査を可能にすることであった。委員会のメンバーと協力してビデオを作成し、リーフレットを作成した。抗原や抗体を調べるための様々なビデオも作成した。多くの人が理解しやすいように工夫したことが、コンプライアンス向上に繋がった。

## (6) 研究者向け・患者向けのガイドライン、研修

### 1) オンラインでの患者参画に係るガイドライン

安全で温和な環境をオンラインで作るにあたり、ガイドラインを作成した。同ガイドラインには、参加者との積極的な交わり方や、オンラインで使えるデジタルツール、センシティブな内容(自殺など)の際は、オンラインでの顔出しを必要としないなどの対応手法が含まれる。ファシリテーターは、精神的サポートの応急対応処置の訓練も受ける。



ファシリテーターは、ミーティングの前に一人ひとりと話をし、安全性について理解を深めている。特にセンシティブな話題の場合は、健康管理士に電話をしてもらったり、個人的にメッセージを送ったり、休憩時間や会議中に電話をかけてきてもらったり、会議後にフォローアップを行ったりなどしている。また、心理学者などの臨床家が関わることもある。若い参加者は友達と一緒に参加することも許可されている。

## 2) CCOPEY 研究

2020 年 4 月に開始されたこの研究は、新型コロナウイルス感染症によるロックダウン中およびロックダウン後の若者のメンタルヘルスと対応戦略を調査することを目的としている。オンライン調査、インタビュー、定性・定量データ分析など、すべての研究段階を通じて、精神的苦痛を経験した若者が研究に参加した。

## 3) Networked Data Lab(NDL)

研究者が自ら PPIE を実施できるようにトレーニングやサポートを行うことが PPIE チームが担っている役割である。NDL では、医療データ分析において患者や一般の人々の参加を促すことを目的としている。地元住民に、プレゼンテーションを通し、データに何を求めるかの優先順位付けを行ってもらっている。また、データの解釈と一般への情報発信の方法に一般市民を巻き込むようにしている。

## (7) 研究者への支援

資金調達の申請や研修、研究者の PPI 計画を見直したり、特定のコミュニティ・グループへの働きかけを手伝ったり、ポスターなどの資料の作成も行っている。

## (8) デジタルツールの活用

ミーティングをはじめ、物事はオンライン実施へと移行した。身体に障害のある人やロンドン郊外に住んでいる人は移動が時にストレスになることがあるため、PPI の面では、デジタル化により多くの人々が助かるということが明らかになった。

### 3.3.3 Parkinson's UK

#### (1) 基本情報

【名称】 Parkinson's UK
【所在地】 ロンドン
【設立年】 1969年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://www.parkinsons.org.uk/">https://www.parkinsons.org.uk/</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://www.parkinsons.org.uk/research/patient-and-public-involvement-research">https://www.parkinsons.org.uk/research/patient-and-public-involvement-research</a>

#### (2) 組織概要

より良いケアや治療、QOL を目指すパーキンソン病の英国最大規模のチャリティであり、特に研究開発への助成を熱心に行っている。

#### (3) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

PPI を促進するスタッフは、研究参画シニアオフィサー1名、ならびにマネージャー1名。関連業務を担う他業務担当者と密に連携を取る。Research Support Network に登録している会員は、現時点で 7,000 人程である。（RIGs のメンバーを含む。）

##### 1) 患者審査パネル(Patient Review Panel)

患者審査パネルは、研究プロジェクトの助成金申請を評価する役割を担っている。Parkinson's UK が行う研究費助成の審査では、患者パネルが審査の一部を担い、患者パネル委員の審査結果をもとにパネルミーティングを行って審査対象者を決定する。審査が患者パネル委員によって行われることは団体ウェブサイト内に明記されており<sup>4</sup>、申請書作成段階から患者等を参画させることが推奨されている。現在、研究プロジェクトのための助成金を申請中である。関与している患者は 10 人未満である。審査のプロセスは研究参画チームと、助成金チームによって管理されている。プロセスとしては、実際の申請書に対して、関係者が採点し、点数をつける。プレアプリケーションのような本申請でない場合、PPI の観点から何か問題があれば、本申請の前に調整を行うことができる。プロセスには、患者の参画についてアドバイスをする機会が、中間期間に設けられている。

#### (4) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

##### 1) Research Interest Groups(RIG)

パーキンソン病患者やその家族、研究者、医療専門家によって構成されているグループであり、全国に 12 団体ある。定期的に、最新の研究や地域で起きていることを話し合

<sup>4</sup> <https://www.parkinsons.org.uk/research/patient-and-public-involvement-research>

い、グループ内で共有している。

## 2) Race Equality in Research Steering Group(RERSG)

ダイバーシティに関連する新しいグループである。メンバーには、インド人、パキスタン人、中国人、黒人など、様々な背景を持つ人たちが参加しており、参加者と研究の多様化に努めている。また、研究プロジェクトの形成に関わる人々のダイバーシティ促進にも役立っている。これは昨年始まった比較的新しい取組であり、そのための資金が調達行われている。多様性については、障がい者、都市部、性的指向など、様々な分野に分かれるが、中でも人種に焦点を当てた理由としては、当時、「Black Lives Matter」運動が話題となり、政治的な状況も変化していたためである。そのため、まずは人種に焦点を当て、理解を深めた上で、他の特性を見ていくこととした。

実際、歴史的にほとんどの医薬品の臨床試験は、白人を被験者として行われ、主に白人が薬の開発に携わってきた。そのため、薬物によって民族や人種が異なる影響を受けるという点で、適切な証拠がない。プロジェクトにできるだけ多くの人を巻き込んで、人種による違いや成果の確認を行う予定である。

## 3) RERSG の今後の展開

同グループが発足して以来、他にも多くの運営グループができており、現在、同グループの見直しが行われている。例えば、バーチャル・バイオテクノロジー・ステアリング・グループ（Virtual Biotech Steering Group）が立ち上げられ、GDF 関与の運営グループも作られた。GDF は、現在資金援助している特定の臨床試験である。その際、元の試験に参加したことのある参加者と、その試験に参加する可能性のある新しい人々で構成されるグループを作成する必要がある。そのため、これらの新しい運営グループをすべて把握する必要があり、RERSG を新しい運営グループの中に、どのように組み込んでいくのか検討・調査している段階である。

## 4) アウトリーチの手法

ソーシャルメディアや通常のインターネットを通しての働きかけは可能であるが、コミュニティのすべての人に届くわけではない。そのため、実際にコミュニティを訪れ啓発を行った。例えば、西ロンドンでは、様々な地域の寺院やモスクを訪れ、リーフレットを配って意識を高めた。ウェブサイトや従来のソーシャルメディアのプラットフォームだけでは限界があるため、積極的な方法で、実際にコミュニティに赴き、関係を構築する必要がある。

## (5) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

### 1) リサーチ・チャンピオン

リサーチ・チャンピオンとは、地域社会と研究を結びつける役割を担っている人のこ

とを指す。チャンピオンの役割は、研究成果を全体として発信することである。地元のグループだけでなく、できるだけ多くの人に知ってもらうことを目的としている。例えば、チャンピオンを通し、イベントに関するニュースを共有したり、研究に参加する機会を提供したりしている。これは **Research Engagement** としての取組である。より多くの人に参加できるよう、情報発信することで、研究とのコミュニティを形成する。それが、エンゲージメントの側面となっている。これは 4、5 年前の時点では存在していなかった比較的新しい役割である。

## 2) ローカル・グループ

現在、約 365 のローカル・グループと、12 の **Research Interest Groups** がある。後者は、より研究的な側面に重点を置いている一方、ローカル・グループは、悩みや経験について語り合うインフォーマルな会から、医療従事者や療法士などの講師によるプレゼンテーションの聴講など、一般人の理解促進に焦点を置いている。同グループは、パーキンソン病の経験を持つボランティアによって運営され、**Parkinson's UK** のスタッフによってサポートされている。

## (6) 研究者向け・患者向けのガイドライン、研修

**Research Involvement Awards** は新型コロナウイルス感染症の影響もあり、対面での実施が困難のため、現在では実施されていない。

### 1) Priority Setting Partnership

パーキンソン病を患う人々が、より良い疾患管理のために特定した研究のトップ 10 を選定している。前回の **Priority Setting Partnership** は 2015 年、2016 年ごろに行われたため、かなり古くなっている。通常、英国でこの活動を実際に主導しているのは、**James Lind Alliance (JLA)** と呼ばれる組織である。当組織は、臨床医、患者、介護者が協力して、医療・介護の特定領域におけるエビデンスの不確実性を特定し、優先順位をつけ、研究によって答えが得られるような取組を行っている。トップ 10 リストの選定は、研究者、臨床医、患者によって行われる。

### 2) 他組織との連携

米国パーキンソン病財団とのコラボレーションは継続している。**UCB Parkinson's UK** と米国パーキンソン病財団は共同で患者参加評議会 (**Patient Engagement Council : PEC**) を立ち上げた<sup>5</sup>。PEC では、米国、英国、オランダからパーキンソン病患者が集まり、**UCSB**

---

<sup>5</sup> 協議会の最初の任務は、**UCB** のパーキンソン病研究および初期臨床開発プログラムにおいて、患者の見識が全体的な戦略や活動の中心になるようにすることである。このパートナーシップを通じて協議会は、**UCB** のパーキンソン病治療薬開発プログラムの初期段階から各ステップを通じて患者の関与を促し、患者の転帰を改善することを目指している。長期的なビジョンとしては、すべてのパーキンソン病治療薬が、すべての主要関係者の間で完全に統合され平等なパートナーシップによって開発されることを目指している。 (<https://www.ucb.com/patients/magazine/detail/article/Partnering-with-Patient->

のパーキンソン病研究プログラムの形成を行う。患者参加に関する知識は非常に豊富なため、特に患者・市民参加の影響についてアドバイスを受けている。製薬会社とは具体的なプロジェクトと一緒に取り組んでいるわけではないが、PPI や PPI のベストプラクティスに関する一般的なアドバイスをしている。

### 3) 研修

PPIに関する研修は現在も継続して行っている。オンライン研修には3つのモジュールがある。PPI ネットワークに参加している人たちは（現在約 180 人が参加）、患者や市民が参加するイベントに参加する機会があり、参加に先立って研修を受けている。研究者に対する研修に関しては、Shared Learning Group を通じて行われる。Parkinson's UK は、このグループの一部である。その他、姉妹グループのチャリティ研究関与グループ（Charities Research Involvement Group）と呼ばれるものがあり、これは 40 ほどのチャリティ団体から構成されている。定期的に関われる会合は、国内の慈善団体がベストプラクティスや患者関与について学びを共有する場となっている。

## (7) デジタルツールの活用

### 1) コミュニケーションツール

新型コロナウイルス感染症の影響により、デジタル化が進み、国際的な組織とより簡単にコミュニケーションがとれるようになった。パーキンソン病を患う人たちにとって移動は困難であり、オンラインでコミュニケーションを取ることができるようになったことは利点の一つである。

### 2) 臨床研究における DX 化

現在、パーキンソン病に関する臨床試験を加速させる目的である、Act PD（Accelerating Clinical Trials and Parkinson's Disease）と呼ばれる新しい治験が行われている。複数の薬剤を使用する試験であるため、検査に必要なものを試験参加者の自宅に郵送し、サンプルを採取している。サンプルや血液サンプルなどを採取している。リモートでの参加が可能のため、より多くの人が治験に参加することができる。

## (8) 今後の課題

患者の研究に対する認識を高め、信頼を築くこと。理解してもらうことが最大の課題であると考えられる。また、平等、多様性、包括性における一般的に患者や一般市民の参加の影響をすぐに証明することは容易ではない。しかし、これは倫理的な考えであり、パーキンソン病に人種による違いがあるかどうかはわからないとしても、取り組むべき課題であると考えられる。基本的には、患者や一般の方の参加も同様である。患者や一般市民の参加が

研究に与える影響を必ずしも証明できないかもしれないが、プロジェクトを形成する上で、その疾患を持つ人々を参加させることは、倫理的に正しいことといえる。

### 3.3.4 NIHR CED

#### (1) 基本情報

【名称】 NIHR Centre for Engagement and Dissemination  
(NIHR INVOLVE は 2020 年 4 月に NIHR Dissemination Centre と合併し同組織に改組)

【所在地】 ロンドン

【設立年】 2020 年

【組織ウェブサイト】

<https://www.nihr.ac.uk/news/nihr-launches-new-centre-for-engagement-and-dissemination/24576>

【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】

<https://www.nihr.ac.uk/about-us/who-we-are/our-governance.htm#two>

#### (2) 組織概要

NIHR は、患者・市民参加、関与、参加における活動と、研究普及における強みを融合させた、新しい「関与と普及のためのセンター (Centre for Engagement and Dissemination)」を立ち上げた。同センターは、NIHR 全体の患者、サービス利用者、介護者、一般市民との連携においてすでに確立されている強力な協力体制をさらに強化し、医療・介護システム全体の調整とソートリーダーシップを提供することを目標としている<sup>6</sup>。

#### (3) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

CED のリーダーシップチームには、現時点で 3 名所属している。コミュニティから生まれるアイデアを活用するための一連のプロジェクトの運営を行っている。

#### (4) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

最近の医療・社会福祉研究の要約を、様々なフォーマットで分かりやすく作成している。これらには、研究の要約、主要なトピックに関するエビデンス集、優先度の高い医療・社会保障問題のテーマ別レビューなどが含まれる。これらには、患者、研究者、その他の利害関係者の見解が取り入れられており、NIHR Evidence のウェブサイトで公開されている。

#### (5) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

エビデンスユーザーコミュニティの構築と活性化を行っている。より良い成果を得るために、多様な人々やコミュニティが、医療・介護研究の優先順位付け、設計、実施、参加、活用において有意義に携わることができるよう、NIHR 全体およびパートナーとのパブリック・パートナーシップ業務を支援している。例えば、パブリック・パートナーシッ

<sup>6</sup> <https://www.nihr.ac.uk/news/nihr-launches-new-centre-for-engagement-and-dissemination/24576>

プの戦略的目標を設定・推進し、政策や実務に情報を提供し、改善するためのリーダーシップの発揮である。国際的組織、規制当局、慈善団体、産業界、その他の資金提供者と協力し、目標を一致させたシステム改革を推進している。パートナーと協力して、UK パブリック・インボルブメント・スタンダードの普及に努めている。また、一般市民や研究者などを含む、パブリック・パートナーシップ活動を行う人々への支援も提供している。ガイダンスやリソースの提供、問い合わせへの対応、イベントの開催、参加機会のマッチングを行っている。

#### (6) 研究者向け・患者向けのガイドライン、研修

一般市民・患者貢献者、一般市民貢献リーダー、研究者、エビデンス利用者のための学習と能力開発にも焦点をあてており、NIHR の他の組織と協力し、研究者や NIHR 職員に普及と知識動員のベストプラクティスに関するリソースやトレーニングの提供支援を行っている。

#### (7) 今後の課題

イノベーションを促進し、より包括的な研究文化を創造するために、人々やコミュニティの意見を巻き込みながら行動すること。



### 3.3.5 Cancer Research UK

#### (1) 基本情報

【名称】 Cancer Research UK
【所在地】 ロンドン
【設立年】 2002年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://www.cancerresearchuk.org/">https://www.cancerresearchuk.org/</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://www.cancerresearchuk.org/get-involved/volunteer/patient-involvement">https://www.cancerresearchuk.org/get-involved/volunteer/patient-involvement</a>

#### (2) 組織概要

1) 研究者や医師、看護師等への資金提供ならびに一般向けのがん情報発信を通じてがんと対峙すること、2) 寄付金を集めること、3) 英国政府のがんならびにがん研究に関する意思決定に対してエビデンスに基づいた情報を提供するためのポリシーを作成することをミッションに掲げるがん支援チャリティである<sup>7</sup>。

#### (3) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

研究への患者・市民参画専門チームがある。がん患者とその家族のニーズを確実に満たしながら、がんを克服するために、がん患者とその家族を積極的に活動に巻き込んでいる。

#### (4) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

##### 1) メディアボランティア

ボランティアたちは、個人的経験やエピソードをメディア上に公開し、がんに対する理解を深めてもらうための啓発を行っている。

##### 2) キャンペーンアンバサダー

Cancer Research UK が行う多種多様なキャンペーン活動の一環として、当該活動に関心を持ってもらえるように居住地域の議会議員に働きかけている。キャンペーン活動を支援するスタッフは、ボランティアマネジメント業務の経験やキャンペーン等を行う業務に携わる経験を持つことが多い。

#### (5) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

Involvement Network と呼ばれるがんと闘う人々の生活をより良くしたいと願う、がん罹患した人たちによって構成されるグループがある。調査やフォーカス・グループ、がんに関するインサイトを探るパネル（3つのパネルがあり、それぞれ15名で構成されてい

<sup>7</sup> <http://www.cancerresearchuk.org/about-us>

る)、インタビュー、患者パネルなどへの参加など、様々な活動が行われている。18歳以上であれば、メンバーとして様々な種類の活動に参加できる。参加が必要とされる活動は同団体のウェブサイトに掲載されており、定期的に更新される。

## (6) 研究者向け・患者向けのガイドライン、研修

### 1) 研修者向けツールキット

研究の質を高め、研究ががん患者にもたらす利益への理解をより深めるため、同団体は研修者向けの PPI 促進のためのツールキットを開発した。ツールキットには、患者参画を計画、実施、評価する際に役立つガイダンス、テンプレートが含まれる。Participation、Engagement、Involvement の違いや重要性、事例集の閲覧などを知ることができる<sup>8</sup>。

### 2) 研修

研修については、新たな情報は特にない。

---

<sup>8</sup> [https://www.cancerresearchuk.org/funding-for-researchers/patient-involvement-toolkit-for-researchers?\\_gl=1\\*\\_mlhkal\\*\\_ga\\*MTA0OTI3NDY4MS4xNjc3NTc3NzM1\\*\\_ga\\_58736Z2GNN\\*MTY3NzU3NzczNC4xLjEuMTY3NzU3ODE3NS41Ny4wLjA.&\\_ga=2.227350429.1076227105.1677577735-1049274681.1677577735#toolkit\\_landing\\_Accordion0](https://www.cancerresearchuk.org/funding-for-researchers/patient-involvement-toolkit-for-researchers?_gl=1*_mlhkal*_ga*MTA0OTI3NDY4MS4xNjc3NTc3NzM1*_ga_58736Z2GNN*MTY3NzU3NzczNC4xLjEuMTY3NzU3ODE3NS41Ny4wLjA.&_ga=2.227350429.1076227105.1677577735-1049274681.1677577735#toolkit_landing_Accordion0)

## 3.4 調査結果(米国)

### 3.4.1 FDA

#### (1) 基本情報

【名称】 Food and Drug Administration (米国食品医薬品局)
【所在地】 米国
【設立年】 1906年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://www.fda.gov/about-fda">https://www.fda.gov/about-fda</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement">https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement</a>

#### (2) 組織概要

Department of Health and Human Services (保健福祉省) の配下にある政府機関であり、公衆衛生を保護・促進する目標のもと活動している。FDA は 9 つのセンターと 13 の事務所から構成されている。

#### (3) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

##### 1) 患者担当部署 (Office of Patient Affairs)

FDA には、患者担当部署があり、患者コミュニティが FDA と関わる際の環境整備を行うほか、機関全体の患者エンゲージメント活動をリードする。具体的には、FDA 全体の横断的なプログラムおよび活動、官民協働・パートナーシップ、一般市民の認識拡大、患者、介護者、支援者へ FDA 関与の機会提供などである。

##### 2) Patient Science and Engagement Program team

Patient Science and Engagement Program team と呼ばれる社会学者、医療経済学者、統計学者、医療従事者、その他の専門家からなるチームが、患者をパートナーとして巻き込み、医療機器の開発および評価に患者の視点を取り入れることに尽力している。患者参画諮問委員会のほか、医療機器に焦点を当てた患者参画活動を主導しているほか、患者体験や考え方を測定するツールの開発・評価も行っている。

□

##### 3) 患者中心の医薬品開発 (Patient-focused drug development:PFDD)

FDA では、患者の経験、視点、ニーズ、優先順位を確実に把握し、医薬品開発・評価に有意義に取り入れるための体系的アプローチを取っている。患者を、病気と共存する専門家として捉え、医薬品の開発・評価における治療上の背景を理解するための情報提供をしてもらっている。PFDD スタッフは、患者の意見を意思決定に取り入れることを促進するため、医薬品評価研究センター (CDER) 内でイニシアティブをリードし、戦略、規制、プログラム、政策支援を提供している。

#### 4) 患者参加諮問委員会 (Patient Engagement Advisory Committee: PEAC)

全メンバーが患者、介護者、患者団体の代表者によって構成される諮問委員会である。医療機器の規制に関わる問題について、患者のニーズと経験が FDA の審議に含まれることを保証するために、同委員会が設立された。同委員会では、患者、介護者、患者団体、専門家を集め、患者関連の重要な問題についてより広範な議論が行われる。委員会は、9名の投票権を持つコアメンバーに加え、投票権を持たない業界代表1名と投票権を持つ消費者代表1名で構成されている。コアメンバー以外の専門知識を必要とする特定の会議では、他の諮問委員会に参加している専門家が招集されることもある。

#### (4) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

##### 1) FDA Patient Representative Program

FDA には長官事務局 (Office of the Commissioner) 内の Office of Health and Constituent Affairs (OHCA) が所管する「患者代表プログラム (FDA Patient Representative Program)」が存在する。ここでは、300 を越える疾患や症状を直接経験した患者またはその主たる介護者を Special Government Employee (SGE) として雇用し、FDA が所管する医薬品、生物製剤、医療機器 47 の諮問委員会やパネルへの参加を促進している。基本は、OHCA が SGE となる人物の採用、教育などに努めている。SGE 候補者は様々な会合や活動に対応できるよう研修を受ける。その研修を受けた上で、「患者代表」に期待される役割として、深刻な、あるいは生命の脅威となる疾患の影響を受けた患者や家族に特有の視点を FDA に提供する。具体的には、①FDA の諮問委員会で意見陳述すること、②患者に潜在的なリスクをしのぐベネフィットがあるかどうかを医師や科学者が確認する審査部門にコンサルタントとして加わること、③FDA 主催の会合や疾患特異的な事項、規制、健康を扱うワークショップに演者として加わることなどが挙げられている。なお、患者代表の募集はウェブサイト上で随時変更・募集されている。

患者代表を希望する者は、①患者あるいは主たる介護者としての経験談 (志望する理由、その経験をもとに候補者として選定された場合に予想される心境を含む)、②当該疾患に関するアドボカシー活動の経験 (当該疾患の患者の健康や福祉向上にどう貢献したかを含む)、③職歴とボランティア経歴 (職務経歴と当該疾患に関するボランティア活動の経歴を含む)、④患者の視点を代表し、意思疎通する能力の説明 (例として、関連諸団体との関係、フォーラムへの参画、スピーチの経験、論文・書籍・ブログ・ウェブサイトの筆者あるいは編者としての経験など) を論述して応募することが求められている。

##### 2) 患者の声を聴く会 (Patient Listening Sessions)

これは、医療製品センターが患者やその介護者と関わることを目的としたセッションである。セッションを通し、患者やアドボカシーコミュニティが、FDA スタッフに彼らの経験や見解を共有する場となっている。セッションは FDA の要請によるもの (FDA が特定の質問事項を設定している場合) と、患者主導によるもの (患者コミュニティが自分

たちの見解を FDA と共有したい場合) がある。これは、FDA が医療製品の開発、臨床試験のデザイン、患者の嗜好、規制を規定する際に役に立っている。原則、FDA、患者、介護者、アドボケート、およびコミュニティの代表者だけが参加する。

#### (5) 患者・介護者ネットワーク(Patient Caregiver Connection :PCC)

患者や介護者が、病気との共存経験や医療機器を使用した経験を、FDA の機器・放射線保健センター (Center for Devices and Radiological Health : CDRH) スタッフに共有する機会である。パートナー組織は、会員からフィードバックを収集し、そのフィードバックを CDRH と共有する。これらのフィードバックは革新的な医療機器の開発と評価、販売された機器の性能をモニタリングするために活用される。

#### (6) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

##### 1) Patient Engagement Collaborative(PEC)

PEC は、患者団体や個人の代表者が集まり、FDA における医療製品開発やその他の規制に関する議論において、より有意義な患者参加を実現する方法について議論するグループであり、欧州医薬品庁 (European Medicines Agency : EMA) の Patients' and Consumers' Working Party をモデルとしている。PEC は、FDA と Clinical Trials Transformation Initiative (CTTI) によって設立された官民パートナーシップであり、学术界、臨床研究者、政府・規制機関、産業界、施設審査委員会、患者擁護団体などを代表する組織や個人が集まり、臨床研究の課題に対するエビデンスに基づく解決法を開発している。PEC メンバーの選定は、患者支援者、CTTI および FDA のスタッフで構成される選考委員会によって行われる。患者や介護者、患者団体の代表者など、様々な立場の代表者が参加することを前提としており、PEC メンバーの任期は 2~3 年である。年に 4 回オンライン会議が開かれ、患者エンゲージメントの取組について話し合われる。

#### (7) デジタルツールの活用

FDA は「Patients Matter」と呼ばれるビデオを作成し、オンライン上で公開している。本ビデオは、FDA の患者への取組について、患者をはじめとするその他のステークホルダーに伝えるため、FDA の Office of Patient Affairs が開発した短編ビデオ集である。本ビデオでは、FDA について患者やその他のステークホルダーへの教育、病気や症状との共生、FDA への連絡方法などにに関する情報を提供している。

## 3.4.2 PCORI

### (1) 基本情報

【名称】 Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI)
【所在地】 米国
【設立年】 2010年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://www.pcori.org/">https://www.pcori.org/</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://www.pcori.org/about/about-pcori">https://www.pcori.org/about/about-pcori</a>

### (2) 組織概要

PCORIはPatient Protection and Affordable Care Act（いわゆるオバマケア）の元に設立された、独立した非営利の研究機関である。米国で患者・市民参画を本格的に導入した団体として知られており、患者やその他の人々が自分の健康や医療の選択をするための実用的な情報を得られるようにすることを目的としている。PCORIでは、どのような研究を行うか、どのようにしてテーマの優先順位をつけるか、また、個々のプロジェクトをどのように発展させ、最終的にエンドユーザーである患者と臨床医師の両方のニーズに応えられるようにするかを検討している。その他、治療法、サービス、医療行為を比較し、患者やその他の関係者がより良い情報に基づいた意思決定を行えるようにするための比較臨床効果研究（Patient-Centered Comparative Clinical Effectiveness Research：CER）に資金提供をしている。

PCORIの活動は、10年ごとに国会議員による活動承認を受ける必要がある。2019年に議会が10年間の更新を行い、現時点では2029年までが活動期間として認められている。更新の際には、重点的に取り組むべき優先事項が国会において定められる。以前の更新では、例えば、重要優先事項の1つに、母親の罹患率と死亡率が加えられた。また、知的障害や発達障害を持つ個人に関しての事項も追加された。また、米国では、多数派のコミュニティと、歴史的に存在感の低いとされるコミュニティとの間に、依然として格差があるため、より包括的で公平な健康上の成果の向上を目指している。

資金調達の仕組みとしては、毎年、議会で資金が決定されるわけではない。健康保険に加入しているアメリカ人はみな、数ドルを寄付または健康保険を通じてPCORIに支払い、その資金は、PCORIが支援する研究資金として利用できる仕組みになっている。

### (3) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

Public and Patient Engagement（PPE）と呼ばれる部署があり、その中でも2つのチームに分けられる。1つはパブリックエンゲージメント（Public Engagement）に関するチームであり、もう一つは患者エンゲージメント（Patient Engagement）に関するチームである。現時点で、全体で17人ほどで構成されている。

## 1) パブリック・エンゲージメント

患者会、臨床医、専門家、保険会社、製薬会社など、様々なステークホルダーに働きかけ、PCORI に対する意見を聴取している。ステークホルダーとの関係強化も行っている。

## 2) 患者エンゲージメント

患者や関係者、問題の影響を受ける人々を巻き込んで、これまでとは違う方法で研究を行っている。その一環として、PCORI に研究資金を申請する研究者には、プロジェクトに関連するステークホルダーを参加させることを企画書に記述するよう求めている。(多くの場合、研究者は企画書を書く前から、どのようなアイデアに焦点を当てるかを決めるため継続的な関係を築いていることもある。) PCORI の資金援助を受けるすべての研究者は、何らかの形でステークホルダーを巻き込まなくてはならない。しかし、どのようなアプローチをとるかどうかは、チームによってかなり差がある。そのため、PCORI のチームメンバーは、他のプロジェクトを担当しているメンバーの支援として相談を受けている。他にも、同僚や助成金を受けた研究者の相談に乗り、研究への取組を改善する方法や、研究者に対し、特定の問題を解決する方法について指導することもある。

## (4) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

### 1) PCORI Fund Announcement

昨年から PFA (PCORI Fund Announcement) と呼ばれる、エンゲージメントに焦点をあてた資金提供を開始している。この資金の目的は、エンゲージメントを行う好事例を理解する研究を通じて、エビデンスを生成することである。エンゲージメントの手法、ステークホルダーや文脈による相違などを模索する。例えば、エンゲージメントの科学 (Science of Engagement) への資金援助の一環として、エンゲージメントの経験をよりよく理解するためのアンケート調査などの測定機器を開発するプロジェクトに資金援助を行っている。これは、何がどのように機能しすれはうまくエンゲージメントの質を向上でき、より良い結果に結びつくのかという点に焦点を当て、より具体的なガイダンスを提供できるようにするため研究者と協力して仕事をする際にステークホルダーが感じていること、関係性などを調査している。

## (5) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

PCORI を監督する理事会には、患者やステークホルダーの代表が参加しており、取締役会のようなものである。また、患者やステークホルダーは、資金援助を受ける前と、資金援助を受けてプロジェクトが完了し、最終報告書を提出した後に行われるピアレビューやメリットレビューに参加している。現在審査が終わっている Science of Engagement の審査は 3 名の研究者と患者 1 名、1 名の利害関係者の合計 5 人で行われている。患者やステークホルダーは、効率性や質の向上のために PCORI から研修を受けている。このように、

PCORI ではあらゆるレベルで患者を巻き込もうと取り組んでいる。最近では医師と患者との対話が増えており、患者と共同の意思決定や、PPI に関する研究も増えている。病気について学びたいと思う患者も増えている。患者が自ら探してくる情報を活用できるように、医師が新しい診療方法を学び、より良い情報を見つける手助けをすることが大切である。

### 1) Engagement Award Program

ステークホルダーと定期的にコミュニケーションを取るだけでなく、エンゲージメント・アワードと呼ばれる、コミュニティにおけるエンゲージメントの能力を高めるための助成金を提供している。他にも、研究者と特定のステークホルダーを招集するようなエンゲージメント・アワードも用意されている。小規模なコミュニティベースの組織には、研究者とパートナーとして関わるための能力を高めるための特別な賞を設けている。従来とは異なるステークホルダーが参加することで、研究がより患者中心で有用かつ信頼性の高いものになり、最終的に患者やより広い医療コミュニティが研究結果をより活用することにつながると考えられている。

エンゲージメント・アワードはいわゆるオープンコンペであり、説明会の日時や意向表明書の提出に関してなどの明確な日付とともに公式サイトにて公開される。その後、意向表明書を受け取り、その資金提供の発表の要件に適合しているかどうか、内部でチェックが行われる。意向書の内容が適切であれば、意向書を提出した個人やグループに提案書の提出を求め、通常約 3~4 カ月後に提案書の提出期限を迎え、提案書の内容に関する審査を行う。（科学者 3 名、患者 1 名、ステークホルダー 1 名で審査される。）ステークホルダーは、臨床医や、健康保険に携わるような人になる。10 年間で 700 件近くのエンゲージメント・アワードが開催された。

### 2) アンバサダープログラム

健康研究の文化を変えること目的に活動する個人のボランティア・ネットワークである。アンバサダーは、地域や全国で、研究者と協力し、参加型イニシアティブを主導し、優先順位を決め、ステークホルダー参加型研究の重要性を広めることで、研究のあり方を変えている。アンバサダーは、異なる関心を持つグループとのつながりを持ち、研究成果を最も恩恵を受けられる人々に伝える重要な役割を担っている。アンバサダーはエンゲージメント・アワードの周知なども行う。

### 3) 研究者向け・患者向けのガイドライン、研修

PPE は同僚へのアドバイスをするための部署としても機能している。新しく PCORI に来たメンバーに対しての研修や、教材の配布なども行っている。



## (6) デジタルツールの活用

新型コロナウイルス感染症が流行したことで、オンラインでの会議参加など人よりも簡単に連絡を取ることができるようになった。

## (7) 今後の課題

### 1) 多様性を研究の優先課題とする際の課題

人種や民族的背景が異なる人たちと一緒に仕事をする多くの場合、信頼関係が重要な問題になる。信頼とは、すぐに得られるようなものではなく、地域社会が研究者を信頼し、ともに信頼関係を構築していく必要がある。特にアメリカのような歴史がある国では、信頼関係の構築には時間を要する。有色人種のコミュニティ出身の研究者は、この種の資金に応募するパイプがそれほど太くないことも課題の一つである。

### 2) エビデンスベースの手法開発

過去に行われた調査は主にインタビューを通し定性的に、彼らの経験を理解することであり、これらは定量化できるデータではない。これに対し、定量的な測定方法、アンケート、調査などを開発し、数値化し、結果を把握するため、昨年発表された資金提供のお知らせには、「3年間実施し、1年に3回のサイクルを行う」と記載をした。これは研究者が提案書を提出する機会が毎年3回あることを示している。(3年間で合計9回。) エンゲージメントの様々な側面について、人々が言葉で表現するような定性的なものだけでなく、実際に数値化できるようにすることを目標としている。

### 3.4.3 NCI

#### (1) 基本情報

【名称】 National Cancer Institute (国立がん研究所)
【所在地】 米国
【設立年】 1937年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://www.cancer.gov/">https://www.cancer.gov/</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://ncats.nih.gov/engagement">https://ncats.nih.gov/engagement</a>

#### (1) 組織概要

国立衛生研究所 (National Institutes of Health : NIH) は、研究所とセンターと呼ばれる 27 の異なる構成要素で構成されている。それぞれの研究所は、特定の病気や体の仕組みに焦点を当てた、独自の研究課題を抱えている。これらの構成要素のうち、3 つを除くすべてが議会から直接資金を受け取り、独自の予算管理を行っている。国立がん研究所 (NCI) は NIH に属している研究所の一つであり、がんの研究プログラムをリード、実施、サポートしている機関である。

#### (2) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

NCI には、アドボカシー関連局 (Office of Advocacy Relations : OAR) が設けられており、がんのアドボカシー団体や個人のアドボケートとの窓口として機能し、がん研究の理解促進、がん研究へのアクセス機会の保障、がん研究の進展をアドボカシー団体や個人とともに推進している。OAR は、「NCI リサーチ・アドボケート協議会」(NCI Council of Research Advocates : NCRA) を運営しており、年に 3 回程度開催され、がん研究を取り巻く諸問題を話しあったり、NCI 長官に提言をしたりしている。NCRA の構成員は、幅広い患者の視点を代表しうるとともに、がん研究や政策に関する高い専門知識を有していることが要件となっている。

#### (3) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

##### 1) 患者ネットワーク

がん研究は、がん患者、サバイバー、健康なボランティアの方々の参加があってこそ成り立つ。がんの生物学、がんの予防と治療方法、そしてすべてのがん患者にケアを提供する方法を理解するためには、患者や一般市民をがん研究に参加させることが重要である。NIC では、成人の免疫療法ネットワークや薬剤耐性ネットワークなど、患者と研究者を繋ぐ様々なネットワークを有している。

#### (4) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

##### 1) Cancer Moonshot

患者に利益をもたらす可能性が最も高いがん研究の分野に焦点を当てた、がん患者やリスクのある者、支援者、研究者、臨床医の大きなコミュニティである。25年以内のがん死亡率を半減させ、がん患者やがんサバイバーの生活を向上させるという目標を掲げている。そのため、(1) がん臨床試験により多くの人々を参加させる、(2) がん新薬のパイプラインを増やす、(3) 新しい標準的ながん治療へのアクセスの確保がん研究従事者の多様性を強化することに努めている。具体的な取組としては、複数のがん検出テストを評価する大規模臨床試験の実施や、Cancer Moonshot Scholars と呼ばれる、米国の人口を代表するがん研究者の人材育成に重点を置いた、早期キャリア助成プログラム、遠隔医療（テレヘルス）の利用が、がん関連のケアとアウトカムを改善できるかどうかを明らかにすることを目的とした NCI Telehealth Research Centers of Excellence (TRACE) プログラムなどが挙げられる。

##### 2) NCI Equity and Inclusion Program (EIP)

生物医学研究における構造的な人種差別をなくすことは、NCI の指導者やスタッフにとって最重要課題であり、がん研究者の多様性を高め、より包括的で公平な NCI コミュニティを構築し、がん格差に対処し、健康の公平性を推進することを目的に始められたプログラムである。EIP では 5 つのワーキンググループがあり、がん格差研究、がん研究人材、そして NCI に有意義な変化をもたらすために NCI に何ができるかを検討している。ワーキンググループのメンバーは、多様性を重視するため、役割や責任、経験、視点が異なる研究所全体から集まった多様な職員で構成されている。

#### (5) デジタルツールの活用

NCI のウェブサイトでは、NCI が支援する研究、NCI の助成金や研修プログラムについての情報が提供されている。ニュースリリース、研究記事、NCI の Cancer Currents<sup>9</sup> ブログを通じて、がん研究の進行状況を知ることができる。これらの情報は、各分野の専門家によって検討され、定期的に更新される。

---

<sup>9</sup> Cancer Currents は、科学者、医療従事者、がん患者やその家族、そして一般の人々に、がんの研究とケアに関する情報や研究進歩を配信するため、米国国立がん研究所 (NCI) が作成したニュースブログである。

### 3.4.4 NCATS

#### (1) 基本情報

【名称】 National Center for Advancing Translational Sciences (NCATS)
【所在地】 米国
【設立年】 2012年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://ncats.nih.gov/index.php">https://ncats.nih.gov/index.php</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://ncats.nih.gov/engagement">https://ncats.nih.gov/engagement</a>

#### (2) 組織概要

NIHには27の研究所とセンターがあり、それぞれ異なる臓器系に焦点を当てている。国立神経疾患・脳卒中研究所（National Institute of Neurologic Diseases and Stroke）、国立心臓・肺・血液協会研究所（National Heart, Lung, Blood Association Institute）などがある。NCATSはトランスレーショナルサイエンスに焦点を当てている。NCATSは、すべての人に、より多くの治療法をより早く提供することを目的に、疾患間で共通するものに注目し、トランスレーショナルプロセスにおけるボトルネックとなる課題を軽減、除去、回避するソリューションの開発を行う。

#### (3) 研究への国民・患者の理解・参画促進の担当部門・スタッフ

##### 1) 希少疾患研究イノベーション部門

NCATS内には、希少疾患研究イノベーション部門（Division of Rare Diseases Research Innovation : DRDRI）がある。他の研究所やセンターの多くは、希少疾患に焦点を当てた独自のプロジェクトを持っており、希少疾患の可視化をしている。例えば、心臓、肺、血液研究所には、嚢胞性線維症や鎌状赤血球貧血に焦点を当てたプロジェクトがある。一方で希少疾患研究イノベーション部門は、他の部門と違い、すべての希少疾患に共通するものを模索している。そのため、個々の希少疾患に焦点を当てるのではなく、複数の希少疾患のグループに焦点を当てている。

##### 2) 新型コロナウイルス感染症の影響(N3C:National COVID Cohort Collaborative)

新型コロナウイルス感染症による影響は、多くの人々が病院や診療所に行くのをやめたことである。これは、希少疾患と診断される多くの人々の動きが止まったことを意味している。したがって、パンデミックの間、ウェブサイトへのアクセスも減少した。一方、パンデミックのもたらした利点は、様々なデータをより透過的につなげる必要性を学ぶ機会を作り出したことである。NCATS内には、N3C（National COVID Cohort Collaborative）と呼ばれるより大きなプログラムがあり、新型コロナウイルス感染症に関連する複数のヘルスケアシステム、病院、診療所、医療システムからの何百万ものデータを保有している。これまで多くの場合、様々な病院や医療システムが互いにデータを共有することをためら

っていた。しかし、新型コロナウイルス感染症をきっかけに、人々がデータを収集できるプラットフォームアプローチを作成することに利点があると気づき始めた。また、希少疾患からみた利点として、遺伝子標的治療に関して現在、より多くの種類の研究が行われるようになったことが挙げられる。これにより、遺伝子治療や遺伝子編集に基づく治療法では、複数の希少疾患にアプローチできるプラットフォームアプローチが必要となる。そのため、現在当センターには、その分野に焦点を当てた様々なプログラムが存在している。

### 3) PPI 専門家の有無

アプローチにもよるが、一部の助成金は希少疾患の臨床研究ネットワークのためのものである。そのため、専門知識は必要なく、患者グループが関与する必要がある。助成金には、様々な患者グループを支援するための資金が割り当てられている。また、個々の患者グループの参加も促している。そうすれば、包括的な患者グループができる。その他、NCATS では疾患レベルの患者グループだけでなく、政府などのより大きな組織にも関与するようにしている。

法律により、連邦機関のすべてが、業務を行うことによって影響を受ける一般市民と、その分野の専門家や一種の専門家の両方で構成される諮問委員会を設置することが義務付けられている。委員会は NCATS の意思決定を管理する監督の役割をしているが、追加の種類のリダーシップとサポートの役割も担っている。したがって、ほとんどの場合、少なくとも数人の患者グループのリダーが諮問委員会のメンバーとして関与しており、リダーたちは研究者を募集するが、必要に応じて、政策、弁護士、法律などの専門家を募集する。

## (4) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

### 1) Genetic and Rare Diseases (GARD) Information Center

2002年に制定された希少疾患法（Rare Diseases Act of 2002）では、非常に具体的な焦点が当てられており、同法のもと、同センターが設立された。希少疾患に関する研究ベースの情報へのアクセスを改善し、臨床試験への参加について人々（特に患者や介護者、家族）が学べるようにすることで、トランスレーショナルサイエンスを用いて研究プロセスを改善し、より多くの治療法をより多くの人々に迅速に提供することを目指している。GARDでは、信頼性が高く、わかりやすい情報を無料で提供している。英語とスペイン語に対応している。GARDの持つ情報専門家は、電話や電子メールで、英語とスペイン語での質問について相談に応じる。情報源としては、国立医学図書館、Orphanet、Human Phenotype Ontology、患者支援団体、その他のNIH研究所やセンターが含まれる。

### 2) 希少疾患研究イノベーション部門の取組

以前は、患者会や特定の病気に詳しい臨床医を探すなどに重きを置いていたが、過去10年～15年の間にウェブサイトを立ち上げ、ここ2、3年では、データの活用法など、ウ

ウェブサイトを活用した活動を検討している。特に GARD プログラムでは、既存のデータを使って、患者が何かをよりよく理解できるようにすることに重点を置いている。収集された情報の中には、科学者や臨床医を対象としたものも多くあり、同部門では、規制への解釈にインフォグラフィックスを利用するなど、患者が情報にアクセスしやすくする方法を模索している。

患者は多くの場合、診断後の手順が分からずに戸惑うことが多い。そこで同部門では、欧州のリファレンスネットワークである ORPHANET が持っているデータを活用し、データベースにあるすべての希少疾患を臨床モデルとして整理した。その臨床モデルを使って、患者に手順を説明している。例えば、希少心疾患という項目があれば、循環器科医を推奨するとともに、循環器科医の説明をする。心臓専門医が何をやる人なのかを説明し、心臓専門医を見つけるためのリンクも提供する。このように、研究データをより患者にわかりやすい形に変換している。

### 3) 患者の声の取入れ

ユーザーエクスペリエンス (UX) とオーディエンスに適したヘルスリテラシーを活用し、Web サイトのデザインに好事例を適用している。プロトタイプを作り、ユーザーと対話し、試行錯誤を行う。調査情報を利用するほか、フォーカスグループやユーザーテストを実施し、ユーザーがサイトに来たときに見ているものと一致させるようにしている。

一方、UX の活用には科学的な側面もある。例えば、希少疾患の親や介護者を対象にしたアンケートでは、どのようなニーズがあり、どのような問題があるのか、ということをつまららかにするため、調査の多くは、自分自身に焦点を当てたものが多い。アンケート結果の一例として、診断に至るまでが大変だったということは、時間が経過しても、多くの人に記憶されていることが明らかになった。そこで、様々な論文や調査で発表されたものを見て分析をし、それをユーザーが理解できるようにコンテンツに変換している。

## (5) 研究への国民・患者に対する参画促進の取組

### 1) Rare Diseases Clinical Research Network(RDCRN)

RDCRN プログラムは、臨床研究の支援を提供し、共同研究、研究登録、データ共有を促進することで、希少疾患の医学研究を推進することを目的としている。RDCRN コンソーシアムを通じて、医科学者とその学際的チームは、患者擁護団体と協力して、全米のサイトで 200 以上の希少疾患の研究を行っている。それぞれの研究は 3 つ以上の関連する病気を対象にしている必要がある。例えば、ミトコンドリア異常症は、300 種類以上あると言われており、ミトコンドリア疾患に特化したグループがある。過去には、ライソゾーム貯蔵障害に焦点を当てたグループもあった。また、脆性骨疾患と骨形成不全症の骨の病気など、基本的に共通しているものは、一緒にまとめることもできる。

助成金の要件として、患者会の参加が条件となっている。その数は定かではないが、現在では少なくとも 22 の異なるコンソーシアムがあり、それぞれのコンソーシアムに、複数の患者会が参加している。患者会の参加が必要な理由は、希少疾患では、患者団体が

研究者と一緒にあって取り組まない限り、何も進まないからである。これにより、助成金で研究者と関わっている患者団体と、NCATS もつながることができ、様々な患者団体の連合体を結成に結び付いている。

## 2) 未診断疾患ネットワーク(Undiagnosed Disease Network:UDN)

NIH には 27 の研究所とセンターに加え、米国国立衛生研究所共通基金と呼ばれるものがあり、その元に様々な研究所やセンターが支援するプロジェクトがある。未診断疾患ネットワーク (Undiagnosed Disease Network : UDN) もその 1 つである。UDN は、未診断の症状に悩む患者や家族に情報を提供するために、米国国立衛生研究所共通基金 (National Institutes of Health Common Fund) が支援する研究調査である。未診断の希少疾患であれば、どのグループにも属する可能性がある。UDN は RDCRN と違う補助金であるが、補完的な関係にある。RDCRN では、研究のために病気が診断されている必要があるが、UDN は未診断の場合や、その病気特有の変異型を持っている場合、あるいは誰も発見していない病気である場合の支援を行っている。

UDN には多くの臨床センターとサイトがあり、疾患群に焦点を当てている。基本的には、病気の原因となる要因を評価するチームが配置されている臨床施設に焦点を合っている。例えば、GARD インフォメーションセンターに来た人たちが、未診断で未知の病気について調べたいが、どこに行けばいいのかわからないようなときに、研究プログラムとして UDN とつなげている。つまり、解明できていない潜在的な病気を特定するために存在している。

## 3) 患者連携で心掛けていること

患者会そのものと提携をすることを心掛けている。多くの患者会は、自分の病気に詳しい医療機関を探し、ウェブページに掲載しているが、ウィキペディアのような存在にならないようにしつつ、規模の拡大が必要であると考えている。また、一つの病気に特化してカバーすることはできない。これらの疾患にはどのような患者集団が存在するのかといった多くの病気に当てはまる質問を考えることが大切である。例えば、ミトコンドリア病には 300 種類以上があり、5 つか 6 つの大きな患者グループが存在する。その一つひとつをつなげていき、ミトコンドリア病について考えていこうとしている。また、患者会にはこれらの疾患の専門家を紹介するページが用意されている。そこで NCATS は、そのグループが臨床医や科学者を含む医療科学諮問委員会を持っているかなどを確認し、グループどうしをつなげる役割を担っている。医療科学諮問委員会の有無を確認することにより、患者会がリストを作成する際に、実際に批判的な評価をしている人がいるかどうかを確認することができ、不当な影響に関する質問を回避することができる。

## 4) DE&Iに関する取組

数年前に、ユナイテッドイニシアティブ (UNITE Initiative) と呼ばれる取組を開始した。これは、生物医学研究における構造的な人種差別の役割に関する懸念に対処することを目的と

した NIH 全体の取組であり、NCATS 内でも取り組んでいる。同イニシアティブは、健康格差/マイノリティ健康研究 (HD/MH)、NIH 内部の労働力、および外部の生物医学および行動研究の労働力という 3 つに焦点を当てている。NCATS の研究プロジェクトが非常に包括的かつ公平であるためには、背景を理解し、対処している可能性のある懸念や問題を認める会話ができる多様なスタッフが必要である。課題の 1 つは、希少疾患はまれであるため、難易度が増すということである。一般的に、すべての希少疾患に関する優れたデータはない。また、人々が実際にどのような疑問をもつのかも十分に理解されていない。まずは、それを明らかにすることが必要である。多様性について考えるに以前に、十分なデータがないことが課題である。しかし、研究者や患者側どちらも多様性を理解することは重要であり、その重要性は理解しておくべきである。一方で、薬物療法の開発のような角度から多様性は非常に重要である。なぜなら、治療法を患者集団に適用する必要があるからである。しかし、その重要性に早くから気づいていない人がいる可能性があるという課題がある。

## (6) 研究者向け・患者向けのガイドライン、研修

### 1) 外部の利害関係者向けプログラム

アワードのような大きな助成金に加えて、追加研究向けの補助金がある。希少疾患のような特定の概念に焦点を当てたものもある。これらの助成金は、大学に拠点を置くより大きなトランスレーショナル・サイエンス・センターに焦点を当てる傾向があり、多くの大学が疾患プログラムや希少疾患への取組を行っている。そのため、研究対象が被ることもある。

NCATS 内にはほかに、Office of Drug Development and Public Partnerships と呼ばれる別のグループがあり、研究出版物からのデータを使用してより多くの臨床的課題や質問の解決法を模索するプログラムに焦点を当てている。薬を転用するか、既存の治療法を別の方法で使用できるようにするために、出版研究を活用する必要があることがよくある。この場合、希少疾患には承認された治療法があまりないため、非常に良い使用例であることがわかった。

### 2) 利害関係者との関係

患者グループ、患者自身、研究者を始めとした様々な種類の利害関係者が関与している。規制当局の関係により、研究者との関係を重視し、臨床医とはあまり交流しない傾向がある（研究面でのコラボレーションを除き）。しかし、場合によっては患者のニーズを臨床医にしっかり理解してもらうために関係を保つことが重要となる。

### 3) 臨床医向けの希少疾患ネットワーク

独自の学協会を持つ多くの専門分野はあるが、それらすべてが相互関係を持っているわけではない。希少疾患は非常に異質であるため、複数のシステムに影響を与える可能性がある。例えばミトコンドリア病の中でも、その大部分はおそらく神経疾患であるが、他



の症状とは異なるものがあるかもしれない。このように一概には言い切れない点が課題である。臨床医は、希少疾患だけに取り組むことに慣れていない。課題のひとつとして、臨床医が行っていることが十分ではないことをどのように臨床医に理解させるかという点がある。たとえば、多くの希少疾患患者が抱える共通の課題は、診断を得るまでに平均で少なくとも6年から8年かかる。患者が必要としているのは、親身になってしっかりと話を聞き理解してくれる、専門家とも連携が取れた臨床医である。これにより、早期診断を受けることが可能になる。

## (7) デジタルツールの活用

### 1) NCATS Toolkit for Patient-Focused Therapy Development

治療法が医薬品、生物学的製剤、医療機器のいずれであっても、治療の研究開発（R&D）プロセスの最初から最後まで、患者団体が不可欠なパートナーとして関与することを保証すること目的に開発された。2017年9月に発表された同ツールキットは、患者グループが治療法開発のプロセスを進める際に役立つオンラインリソースを集め、医学研究を進めるために必要なツールを提供するために作られた。同ツールキットには、治療薬の研究開発を促進するために、主に希少疾患コミュニティ向けに開発されたリソースが含まれている。2016年初めから、NCATSは希少疾患コミュニティの多様なパートナーと協力し、利用可能なツールの広範な状況分析を実施し、リソースは、定義、特性化され、研究開発プロセスの進捗状況に関わらず、すべての患者グループに役立つ集中型ポータルに整理された。

ツールキットができた背景には、患者コミュニティからの要望があったことが挙げられる。患者グループは、試行錯誤の連続で、同じ問題を何度も経験するため、リソースや情報を作っている人たちが多くいる。しかし、それらのリソースをどのように見つけるかは長年の課題であった。

### 2) ツールキットにおける患者参画

ツールキットには、2つの補完的なプログラムがある。ひとつは、治療法開発（Therapy Development）に焦点を当てたツールキットで、もうひとつは、希少疾患登録プログラム（Rare Disease Registry Program）である。どちらも、患者グループに焦点を当てた教育プログラムである。希少疾患を克服するためには、基本的に新しい治療法を開発する段階まで持っていく必要があるが、そこに至るまでには、患者団体の関与が必要である。患者の参加者を募集する際には、患者団体の協力が必要となる。（実際に、臨床試験デザインの初期段階で患者団体を参加させれば臨床試験の成功につながることは、多くの出版物でも証明されている。）

課題の1つは採用である。治療研究に対する意識の高い人がいるグループもあれば、資金力のあるグループもあり、グループの構成はそれぞれ異なる。そのため、患者団体と治療法の開発との間に良い関係を結ぶことは研究サイドからも、患者側としても重要である。NCATSは、データを見つけやすく、アクセスしやすく、操作しやすく、再利用しやすい

というコンセプトのもと、データの管理（スチュワードシップ）を重要としている。患者グループと研究者との連携を容易にするためにも、より多くの教育を行うよう心掛けている。

### 3) ツールキットの普及状況

現時点で、ツールキットはそれほど多くの人に利用されていない。というのも、希少疾患団体や希少疾患患者のリーダーで、この活動を必要とする人があまりいないからである。新患リーダーをターゲットにすると、その数は多くない。そのため、効果を測定するのに一般的なウェブサイト上の追跡はあまり効果的ではないと考える。重要なのは、一緒に仕事をするグループのことをよく考え、彼らが抱く疑問に対して、手助けができるかどうかということである。今後は、これらのウェブサイトのを再編成していく予定である。GARD は、より幅広い読者を対象としており、一般的には、1 カ月に 80~100 万人のアクセスがあると言われている。しかし、これらの人々の多くは、必ずしも患者とは限らない。多くの方は、インターネットで病気を検索しているはずであり、そこで、患者に焦点を当てたセクションを増やし、リンクをクリックしたり、特定のセクションに時間を費やしたりしているかどうかを確認できるようにしたいと考えている。

### 4) データの活用法

NCATS では、患者のため、データ解釈方法を研究活動に結びつけて考えている。本当に必要なものは研究データそのものだけだが、研究データは GARD のように患者のために解釈することも、研究課題のために解釈することもできる。例えば、希少疾患がいくつ定義されているかという点での疑問は、その中にどのような違いがあるのか、ということである。データベースで希少疾患がどのように特定され、そして、どれくらいの方が影響を受けたのか、このような疑問にデータを活用し、国民全体や個々の病気のレベルでの負担を知りたいと考えている。患者にとっては、自分と似たような境遇の人を見つけられるかどうかの問題なのである。そのため、プログラムには、患者をつなぐという意味合いが強く含まれている。

### 5) 対象別の情報提供

GARD のウェブサイトは、研究者ではなく、患者をターゲットにしている。臨床医と患者は非常に異なるグループである。患者が探している情報はわかりやすい形で提供される必要がある。専門用語で書くことはできない。一方で臨床医は、医学用語や、おそらく特定の形式でのデータ開示を求めている。また、研究者向けに作られたページもある。NCATS と NIH が協力し、様々な対象者向けに様々な種類の情報を構築した。

### (8) 今後の課題

希少疾患で難しいのは、いくつかの病気に焦点を当てただけでは問題解決できないということである。変化をもたらすには、多くの人々に影響を与えることになる。患者もそ

れぞれ、自分の懸念への対処を最優先に考えており、プラットフォームや一般化できる解決策を生み出すことは非常に難しい。一つの病気だけではなく、複数の病気に対応する解決策を見つけようとすることもあるが、調査を実施するのに十分なケースが得られない場合がある。したがって、違いを十分に検出できるようにするためには、一定数の症例が必要である。また、自分たちが理解していないことを患者にどう理解してもらうのかも課題である。

### 3.4.5 NHLBI

#### (1) 基本情報

【名称】 National Heart, Lung, and Blood Institute (国立心肺血液研究所)
【所在地】 米国
【設立年】 2015年
【組織ウェブサイト】 <a href="https://www.nhlbi.nih.gov/">https://www.nhlbi.nih.gov/</a>
【研究への国民・患者の理解・参画促進に関するウェブサイト】 <a href="https://www.nhlbi.nih.gov/research/clinical-trials/how-studies-work">https://www.nhlbi.nih.gov/research/clinical-trials/how-studies-work</a>

#### (2) 組織概要

NHLBI は、心臓・肺・血液障害の予防と治療を促進し、すべての個人の健康を向上させるようにするための研究を実施している。NHLBI は下記に示す 8 つの目標を掲げている。(1) 正常な生体機能と回復力の理解、(2) HLBS 疾患の発症・進展に重要な新発見の病理生物学的メカニズムの解明、(3) 集団間の健康状態の違いをもたらす要因の調査、(4) 病態や治療に対する反応の個人差を説明する因子の特定、(5) HLBS 疾患の予防、治療、治癒のための新規診断・治療戦略の開発と最適化、(6) 健康増進と疾病軽減のための臨床研究および実施研究の最適化、(7) データサイエンスの新たな可能性を活用し、HLBS 研究の新たな可能性の開拓、(8) NHLBI の使命を達成できる科学的人材の更なる育成、多様化、そして持続性の向上。

NHLBI は、1990 年代から研究の優先順位の決定に患者の意見を聞く試みを実施しており、NHLBI は 65 件以上の市民団体 (Public Interest Organizations : PIOs) と連携している。

#### (3) 研究への国民・患者に対する理解促進の取組

##### 1) 地域医療従事者 (Community Health Worker: CHW)

都市部と農村部の両方で、地域の医療制度に関連して、有償またはボランティアとして働く地域社会の一般市民である。文化に合わせた健康増進・疾病予防プログラムを実施することで、地域社会に心臓病について啓蒙する重要な役割を担っている。地域の信頼できるメンバーとして、健康格差の是正に役立つ様々な健康問題について情報を共有し、健康的なライフスタイルを奨励している。具体的には、通訳や翻訳サービスの提供、文化的に適切な健康教育や情報提供、人々が必要なケアを受ける支援、健康行動に関するカウンセリングや指導、個人やコミュニティの健康ニーズを擁護し、応急処置や血圧測定などの直接的なサービスの提供などを行っている。CHW はサービスを提供する地域に居住しているため、最も必要とされる場所に情報を届けることが可能である。

#### (4) 研究者向け・患者向けのガイドライン、研修

CHW がコミュニティ活動で利用する心臓病に関するツールキットは公式のウェブサイトにて公開されている。

## 3.5 調査結果のまとめ

### 3.5.1 理解促進

研究への国民・患者に対する理解促進の取組としては、NIHR CED が最近の医療・社会福祉研究の要約を作成していることが挙げられる。単なる情報の羅列にとどまらず、患者や研究者、ステークホルダーの見解が取り入れられた形での包括的なエビデンスとして提供していることが特徴である。また、PSTRC の Can of Worms や Hearing Birdsong といったプロジェクトではアーティストやデザイナーと協働し、誰しもが当事者になりうる日常生活と連続した物語として研究や診断、ケアのあり方について意識や関心を高める試みを行っている。慈善団体である Parkinson's UK や Cancer Research UK では多様なボトムアップ的な活動によって幅広い国民・患者層に向けた啓発を実施している。Parkinson's UK では、オンラインだけでは地域のコミュニティに情報が行き届かないことを理解しており、実際に現地を訪れて啓発を行っている。Cancer Research UK ではボランティアが自らの経験やエピソードをメディア発信したり、居住地域の議会議員に働きかけるといった政治的なキャンペーンも実施している。

### 3.5.2 参画促進

参画促進は理解促進の取組と補完的に実施されている機関が多い。専門家だけで発信をしても、必ずしも社会にとって理解しやすい情報とはならず、どのように国民・患者に研究や PPI について理解してもらうかについて、国民・患者とともに検討する必要があるからである。たとえば MRC CTU では PPI に対する理解促進のために患者が、PSTRC のリサーチパートナーグループ (RPG) では研究における PPI に関する助言のために患者や介護者が参加している。また、国民・患者の参画が個別研究ばかりでなく、プログラムや戦略のレベルにまで及んでいることも海外機関の特徴である。MRC CTU ではこの3つのレベルでの PPI 活動を明確に区分して実践している。Parkinson's UK でもプログラムレベルとして研究プロジェクトの助成金申請を評価する患者審査パネル、戦略レベルでは取り組むべき研究に優先順位を付ける Priority Setting Partnership を設けている。さらに、Parkinson's UK では、組織のガバナンスとしてばかりではなく、より長期的・社会的な影響も企図して地域社会との幅広い結びつきも強めている。地域社会と研究を結びつける役割を担うリサーチ・チャンピオンが任命されており、これを Research Engagement と呼んでいるように、研究のために患者や市民を関与させるのではなく、地域住民のために研究を関与させるという位置づけになっている。すなわち、従来の PPI が組織における研究やプログラム、戦略のためにどのように患者や市民を関与させるかに焦点を置いていたことに対して、地域にいる患者や市民のためにどのように研究が関与するかという正反対のベクトルを持った活動であり、ここには研究に対する理解促進の取組が含まれる。

また、参画するフェーズに対する焦点の違いもある。NIHR CED ではエビデンスユーザーコミュニティの構築と活性化によって、鍵となるステークホルダーがエビデンスの必要性を理解し、エビデンスや学びを共有することを目指している。ここで参画する国民や患者は研究のユーザーとしての位置づけであり、研究プロセスにおける参画というよりも、

研究の成果にどのような影響を受けるかについて把握するために参画を促しているといえる。いわば臨床試験において患者自身が身体・心理的症状を主観的に評価する患者報告アウトカム (PRO) のような参画様式である。米国でも、FDA の Patient Science and Engagement Program team では患者をパートナーとして巻き込み、患者体験や考え方を測定するツールの開発・評価を行っている。米国では NCI の Cancer Moonshot における患者も交えたステークホルダーコミュニティのほか、PCORI のエンゲージメント・アワードやアンバサダープログラムなど Parkinson's UK のような Research Engagement にも取り組んでおり、PCORI で Science of Engagement と呼ばれているように、患者のエンゲージメントの質の向上に向けた調査研究も支援している。PCORI はそもそも資金援助を受けるすべての研究者は何らかの形でステークホルダーを巻き込まなくてはならず、PCORI では患者のエンゲージメントについて相談に乗るなど支援を行っている。患者のエンゲージメントが手段に終わらず、人々の健康や医療のより良い選択のために欠かせないという科学的な意義を示すことが組織の使命でもあるため、科学的・人的側面の両方からの PPI に対する支援が手厚い。

### 3.5.3 多様性・公平性・包摂性 (DE&I) に関する取組

Black Lives Matter 運動に端を発して以来、英米の機関では特に人種的な側面において多様性・公平性・包摂性 (DE&I) を意識した取組を明示的に展開するようになった。米国 NIH では構造的な人種差別の解消に向けた UNITE Initiative という取組を 2021 年から開始しており、NIH 傘下の NCATS でも取り組んでいる。健康格差やマイノリティの健康という研究を通じてた活動とともに、NIH 内部のガバナンスの見直しのために、スタッフにも多様性を持たせることを配慮している。同様に NCI でも Equity and Inclusion Program (EIP) において、研究者やワーキンググループなどに多様な人々を巻き込んでいる。

英国では地域コミュニティにおけるマイノリティグループの参画について、社会的理由もありつつ、遺伝性疾患などの科学的理由によって促進している機関もある。ただし、MRC CTU ではマイノリティグループの人々を集めることに苦勞しており、すでに協力関係のある他の組織や慈善団体と協力するようにしているという。人種や民族的背景が異なる者との協働においては信頼関係が重要である。地域社会が研究者を信頼し、ともに信頼関係を構築していく必要がある。そのため、まずはすでに信頼関係を得ている団体から間接的につながっていくことは、機関のネットワークを広げる意味でも、DE&I を実践していく意味でも重要である。また、英国では若年層の参画にも積極的に取り組んでおり、MRC CTU における Youth Trial Board は当事者として、PSTRC における YPAN は研究者などの関与者として巻き込むことで、民族的多様性ばかりでなく、世代的な多様性の確保も狙っている。

### 3.5.4 ガイドライン、研修

ガイドラインや研修についてはどの機関も充実した体制を整えており、前回の PPI 調査から大きく変わるところはない。MRC ではほぼすべての臨床試験や研究で PPI が義務付けられているため、従業員に対して PPI に関するトレーニングを定期的実施していることは特徴的である。こうしたことから、PPI 活動に参加する患者に向けたパッケージプログラムも拡充されてきており、MRC における導入パックや、NCATS のツールキットなど、

一通りの知識と参画プロセスがわかりやすく理解できるようになっている。また、患者や研究者ではなく、両者をつなぐ中間支援人材の育成も PPI 活動を促進するうえで欠かせない。たとえば PSTRC は患者に接するファシリテーターのために、オンライン上で PPI を進める際のガイドラインを作成している。

### 3.5.5 デジタルツールの活用

コロナ禍にあってオンライン会議システムや SNS など、対面を避けてデジタルツールを活用したコミュニケーションが広まるなか、国民・患者の理解・参画促進においてもツールの発展が目覚ましくなった。Parkinson's UK では生体試料などを自宅で採取・郵送する形でリモート参加できるようなパーキンソン病の治験を実施しており、臨床研究における DX 化が進められている。しかし、直接的な研究への参画に活用するよりも、研究に対する理解促進や関係者間のコミュニケーションとして用いられる事例が多い。FDA をはじめ多くの機関では、短編ビデオやブログで患者や研究者の声を紹介している。また、NCATS では UX とヘルスリテラシーを活用し、ウェブサイトのデザインを洗練させている。科学的な内容にもアクセスして、ユーザーが理解できるような工夫をしている。さらに、患者グループに焦点を当てた教育プログラムもオンライン上で展開しており、これによって患者グループと研究者との連携を促進している。関係者どうしの日常的なコミュニケーションについて、多くの障がい者や患者、地方在住者にとって移動がストレスとなりうるため、PPI としてデジタル化はより多くの人を巻き込むことができたと考えられる。一方で、インタビューでも指摘があったように、対面でのコミュニケーションが必要な場合も少なからずあり、対面とリモートという選択肢が増えて都合に応じて使い分けられるようになったこと、PPI において対面でのコミュニケーションの意義が再認識されるようになったことは重要な教訓である。

## 第4章 オンラインによる質問紙調査、ヒアリング調査

### 4.1 調査の背景と目的

国内の調査対象における臨床研究等に対する国民・患者の理解促進及び参画促進の取組について実態調査を実施した。調査の実施にあたっては、調査対象のバイアスに留意した。

### 4.2 調査内容、方法

AMED が指定する有識者の指導の下、国内の患者団体及び製薬企業に対して国民・患者の理解・参画促進に関する意識、懸念、実態、施策へのニーズを探索するため、オンラインでの質問紙調査を実施し、うち 10 件程度のヒアリング調査を実施した。

図表 4-1 調査③(第 4 章)にご協力いただいた有識者【再掲】

所属	氏名
東京大学医科学研究所 附属ヒトゲノム解析センター 教授	武藤 香織
千葉大学大学院国際学術研究院・国際教養学部 准教授	東島 仁



### 4.3 概要

2019年にAMEDの「患者・市民参画(PPI)ガイドブック」が公表されて約4年が経ち、活発なPPI活動が国内の随所にみられる。本調査では、今後の方向性の検討の足掛かりとして、国民・患者の臨床研究・治験への参画促進の現状並びに課題を把握するために、以下のオンラインでの質問紙調査とヒアリング調査を行った。

質問紙調査は、患者代表や製薬企業、アカデミアのメンバーで構成された一般社団法人ピー・ピー・アイ・ジャパン(PPI JAPAN)の委員会メンバーが2018年の調査時に使用した調査票を参考に作成した調査票を用い、(株)マクロミルのウェブアンケートツール「Questant」で行った。患者団体向け調査は、(一社)全国がん患者団体連合会(加盟52団体)、(一社)日本難病・疾病団体協議会(以下「JPA」と表記:Japan Patients Association、疾病団体24及び準加盟団体39の計63団体)、(認特非)難病のこども支援全国ネットワークが事務局を務める親の会連絡会(以下、「難病こどもネット親の会連絡会」と表記:加盟68団体)の各々の代表者から加盟団体へ回答URLを通知し、また、企業向けの調査は、日本製薬工業協会を通じ同臨床評価部会加盟会社(75社)宛に回答URLを通知し、回答を得た。調査実施期間は、2022年11月18日から12月31日までとした。

ヒアリング調査は、質問紙調査への回答者から8社の製薬企業と8つの患者団体を対象に行った。詳細を以下に記す。

### 4.4 アンケート調査

#### 4.4.1 対象

回収数は患者団体37団体であり、内訳は、難病21団体(JPA:16/63回収率25.4%、難病こどもネット親の会連絡会:21/68回収率30.9%:21団体のうち16団体が両団体へ加盟)、がん16団体(回収率30.8%)であった。なお、このうち1団体はがんと難病の双方に加盟していた。製薬企業からは52社(回収率69.3%)から回答があった。

## 4.4.2 調査結果

### (1) デジタルツールの利用

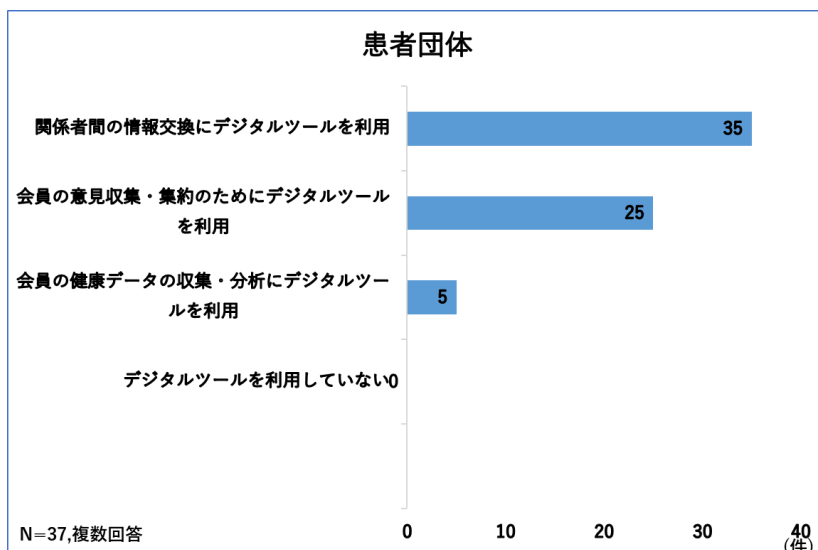
#### 【患者団体向け質問項目】

貴団体の活動において、関係者間の情報交換や意見収集・集約、健康データの収集・分析においてデジタルツールを利用していますか？あてはまるもの全てをお選びください。

なお、デジタルツールとは、SNS、メール、オンラインツール（Web 会議システム、ビジネスチャット、Web フォーム等）のことです。

患者団体では、「デジタルツールを利用していない」団体はなく、ほぼすべての団体で「関係者間の情報交換」に、また、約3分の2では会員の意見収集・集約のためにデジタルツールが使われていた。また、5件と少数ながら、会員の健康データの収集・分析にデジタルツールが使われていた。

図表 2-1-1 デジタルツールの利用



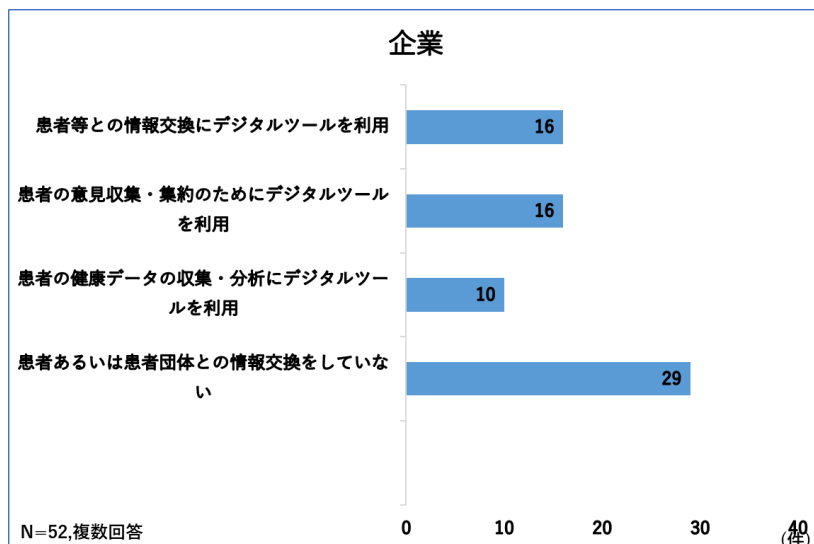
**【企業向け質問項目】**

貴社の活動において、患者あるいは患者団体との情報交換や意見収集・集約、健康データの収集・分析においてデジタルツールを利用していますか？あてはまるもの全てをお選びください。

なお、デジタルツールとは、SNS、メール、オンラインツール（Web 会議システム、ビジネスチャット、Web フォーム等）のことです。

企業では、「患者あるいは患者団体との情報交換をしていない」が 29 件と半数以上を占めたが、「情報交換」や「意見収集・集約」に利用しているがそれぞれ 16 件あり、「患者の健康データの収集・分析に利用している」が 10 件あった。

図表 2-1-2 デジタルツールの利用



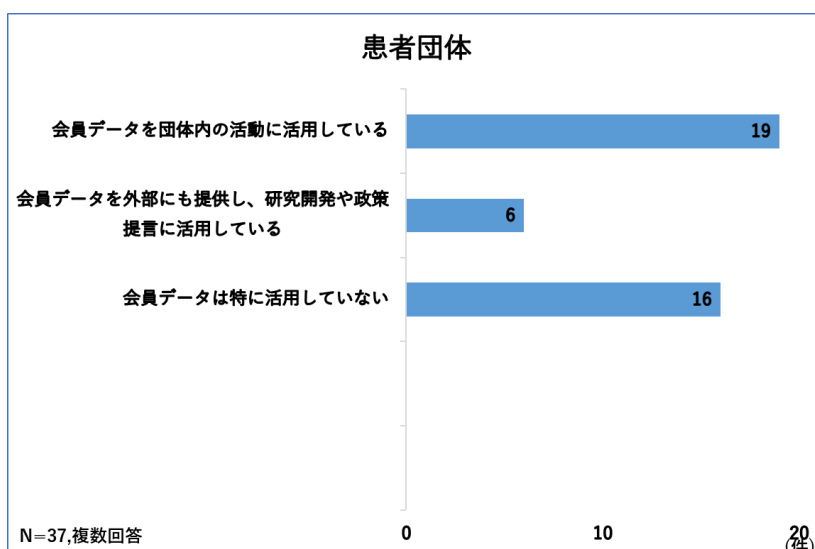
## (2) データの収集・活用

### 【患者団体向け質問項目】

貴団体の活動において、会員データ（会員の健康データや生活の質に関するアンケート結果など）を収集して活用していますか？

患者団体では、19 団体で会員データを団体内の活動に活用しており、6 団体で、外部にも提供し、研究開発や政策提言に活用していた。16 団体では会員データは特に活用していなかった。

図表 2-2-1 データの収集・活用



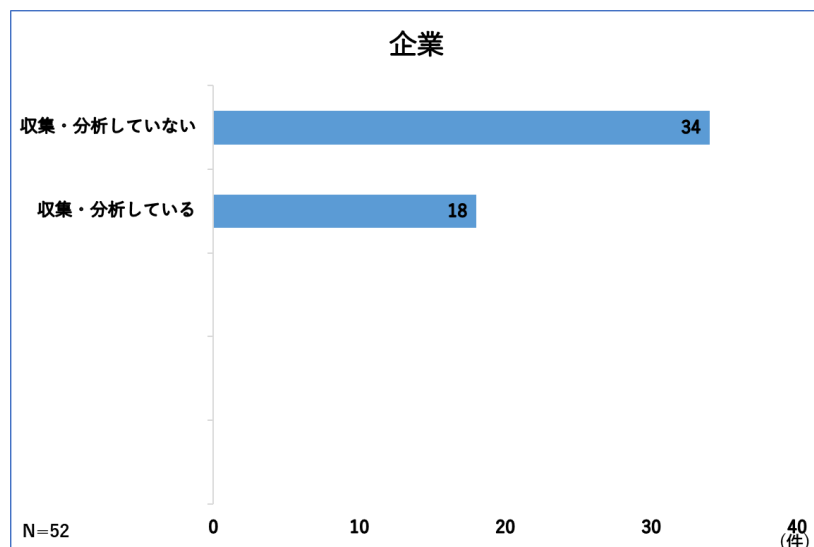
**【企業向け質問項目】**

貴社の活動において、患者あるいは患者団体から得た健康データや生活の質に関するアンケート結果などデータを収集・分析したりしていますか？回答で「2. 収集・分析している」を選択された場合はその内容を具体的に記述ください。

企業では、「患者あるいは患者団体から得た健康データや生活の質に関するアンケート結果などデータを収集・分析していない」が約3分の2を占めた一方、収集・分析している企業では以下のような具体例が挙げられた。

- ・ 臨床試験参加者へのアンケートの実施
- ・ Patients survey によりアンメットメディカルニーズを収集・分析
- ・ 外部ベンダーにて該当疾患領域に関するアンケート調査を実施
- ・ 臨床試験等で QOL(Quality of Life)に関する評価項目を設定
- ・ 患者から得た QOL や疾病負荷に関する調査結果を論文化
- ・ 疾患特有の症状や活動制限を薬効評価に使用するスコアとして反映
- ・ 臨床試験の中で Patient Reported Outcome
- ・ RWD(Real World Data)を利活用し治験デザインへの反映や疾患の患者背景の分析
- ・ 臨床試験で eCOA(Electronic Clinical Outcome Assessment)を使用
- ・ プロトコル作成の際に数人にアンケートを実施

図表 2-2-2 データの収集・活用



### (3) 企業と患者の交流状況

#### 【患者団体向け質問項目】

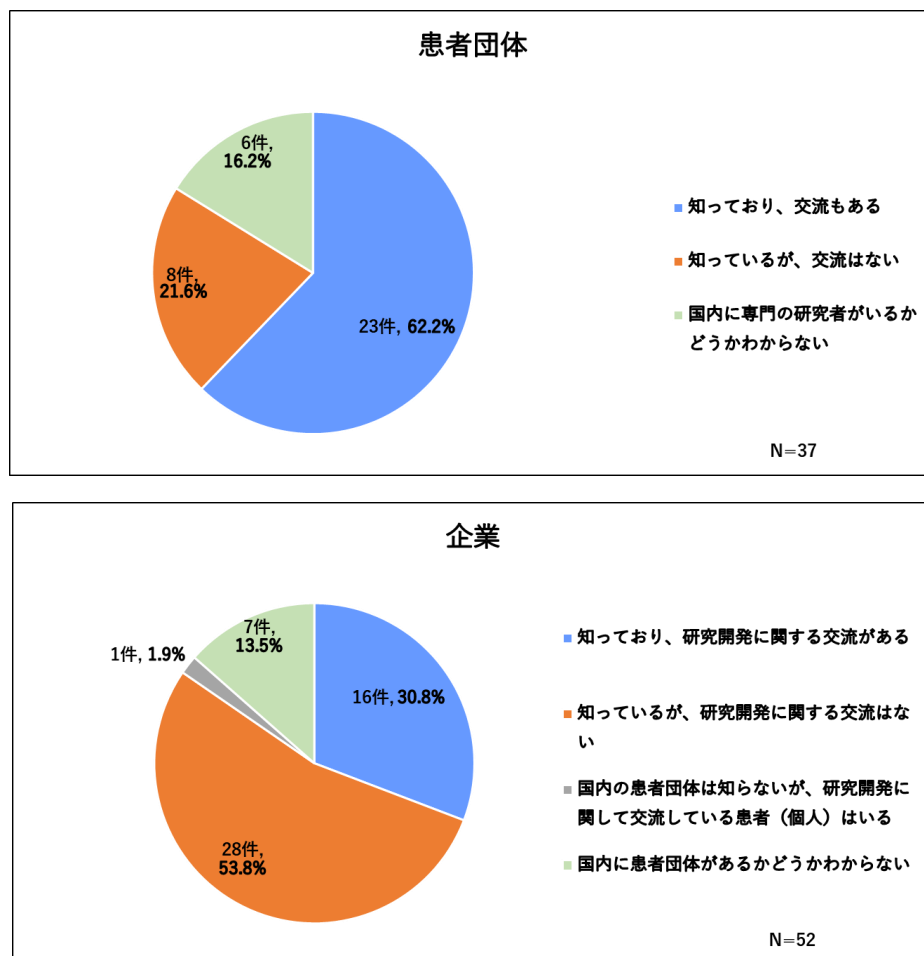
貴団体の対象疾患を研究開発している国内の企業を具体的にご存知ですか？（択一）

#### 【企業向け質問項目】

貴社が研究開発している対象疾患に関する国内の患者団体をご存知ですか？  
また、それらの患者団体と研究開発に関する交流がありますか？（択一）

患者団体では、「知っており、交流もある」が 62%、「知っているが、交流はない」が 22%、「国内に研究開発に取り組んでいる企業があるかどうか分からない」が 16%であった。  
他方、企業では、「知っており、研究開発に関する交流もある」が 31%、「知っているが、研究開発に関する交流はない」が 54%、「国内に患者団体があるかどうか分からない」が 14%であり、研究開発に関する患者団体との交流がある企業は全体の 3 割と限られていた。

図表 2-3 研究開発者と患者の交流状況



#### (4) 研究開発について患者から意見を聴く必要性

##### 【患者団体向け質問項目】

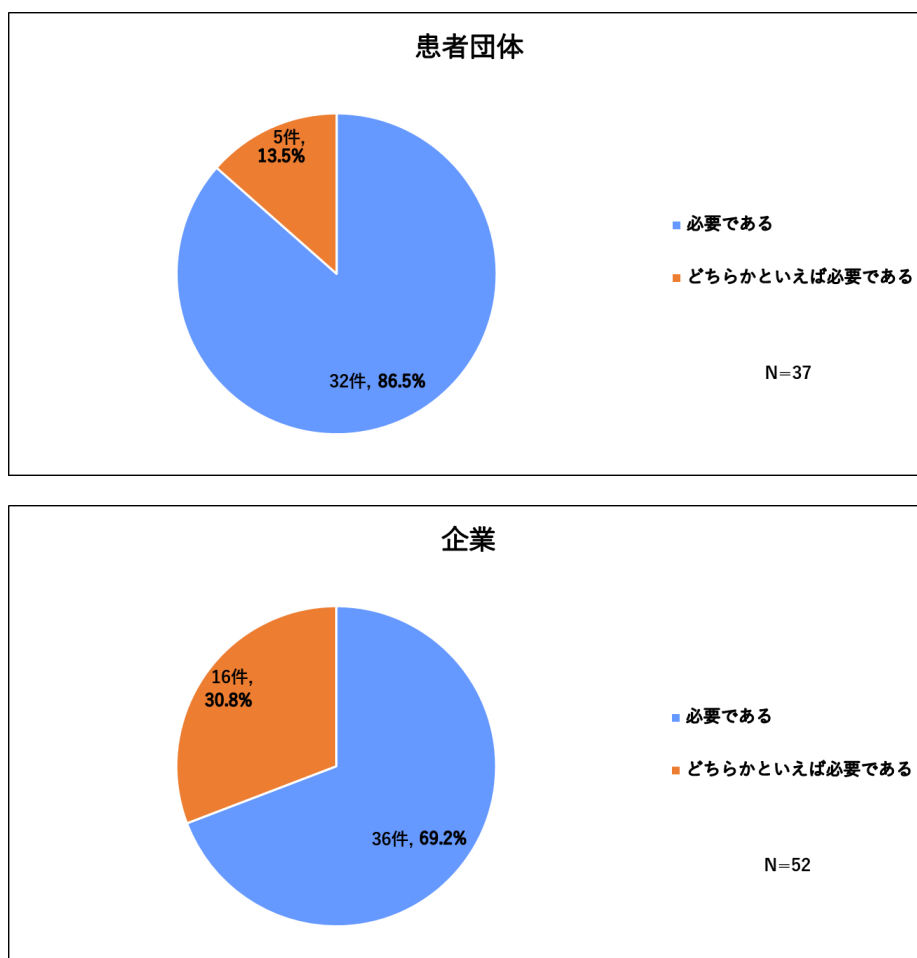
一般論としてお聞きします。研究者がよりよい医学研究を実施するために、あるいは企業がよりよい医薬品等の研究開発を実施するために、患者の立場からの意見を伝えることは必要だと考えますか？（択一）

##### 【企業向け質問項目】

一般論としてお聞きします。研究開発者がよりよい医学研究・医薬品等の研究開発を実施するために、患者の立場からの意見を聴くことは必要だと考えますか？（択一）

患者から意見を聴く必要性について、一般論として「必要」と回答したのは、患者団体の87%に及んだ一方、企業では、69%であった。

図表 2-4-1 一般論として研究開発について患者から意見を聴く必要性



**【患者団体向け質問項目】**

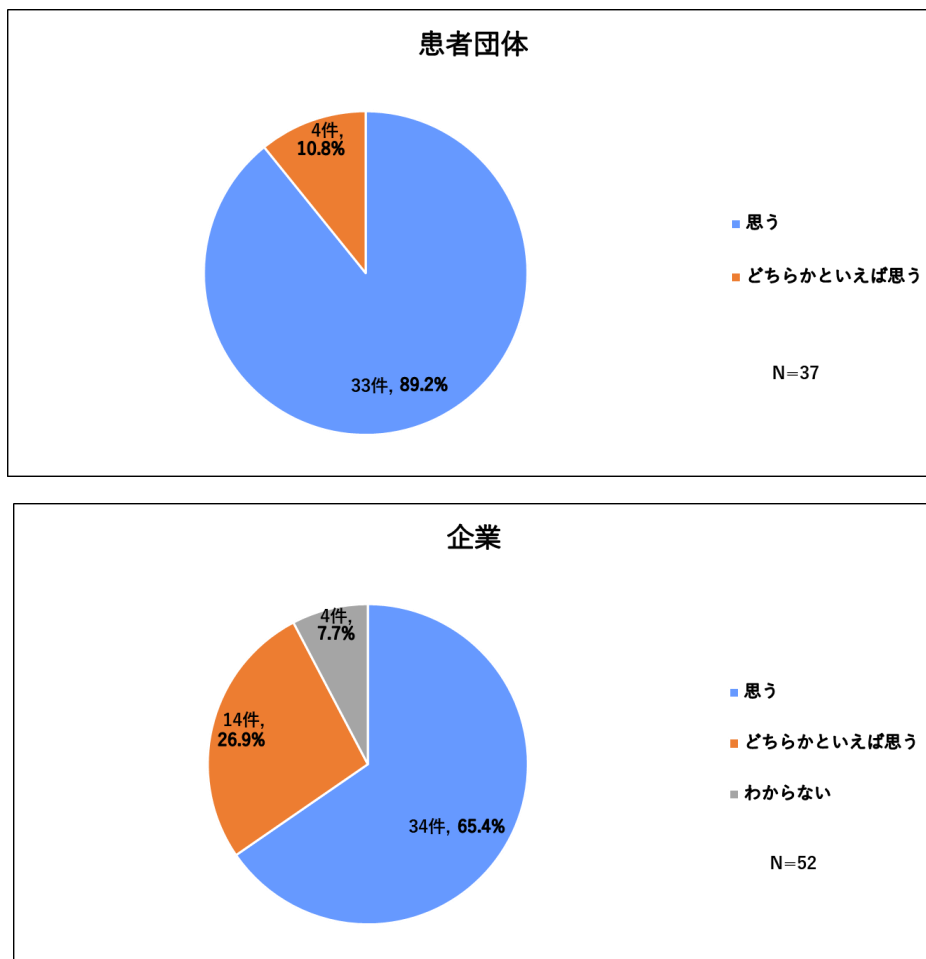
貴団体の対象疾患に関する研究開発の場合についてお聞きします。研究者がその疾患に関する医学研究を実施する際、あるいは企業が医薬品等の研究開発を実施する際に、患者の立場からの意見を伝えることは、よりよい研究開発の実現につながると考えますか？（択一）

**【企業向け質問項目】**

貴社の研究開発の場合についてお聞きします。貴社が対象疾患に関する医薬品等の研究開発を実施する際に、患者の立場からの意見を聴くことは、よりよい研究開発の実現につながると考えますか？（択一）

対象疾患に関する研究開発について患者の意見を伝える／患者から意見を聴く必要性があると回答した患者団体は 89%、企業は 65%であった。

図表 2-4-2 対象疾患に関する研究開発について患者から意見を聴く必要性





## (5) 意見聴取・交換におけるルール

### 【患者団体向け質問項目】

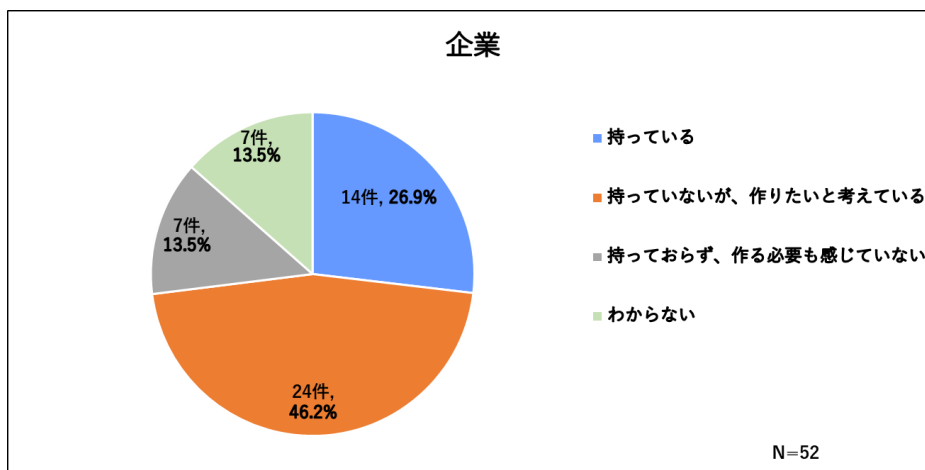
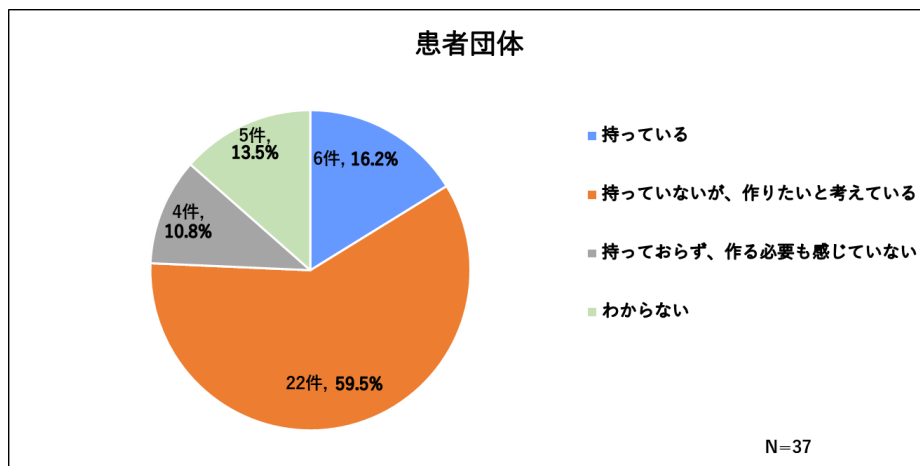
貴団体では、研究者、あるいは研究開発に取り組んでいる企業から意見を求められた場合に、どのような対応をするか、ルール（規則、手順書など）を持っていますか？（択一）

### 【企業向け質問項目】

貴社では、患者団体へ意見を求める場合に、どのような対応をするか、ルール（規則、手順書など）を持っていますか？（択一）

意見聴取や意見交換の際のルール（規則、手順書など）については、患者団体では、「持っている」が16%、「持っていないが、つくりたいと考えている」が60%、「持っておらず、つくる必要性も感じていない」が11%、「わからない」が14%であった。他方、企業では、「持っている」が27%、「持っていないが、作りたいと考えている」が46%、「持っておらず、作る必要性も感じていない」が14%、「わからない」が14%であった。ルールの必要性を感じている患者団体、企業はそれぞれ76%、73%と多く、今後整備が進むことが期待される。

図表 2-5 意見聴取・交換におけるルールについて



(6) 研究開発への患者・市民参画の過去5年間の経験について

**【患者団体向け質問項目】**

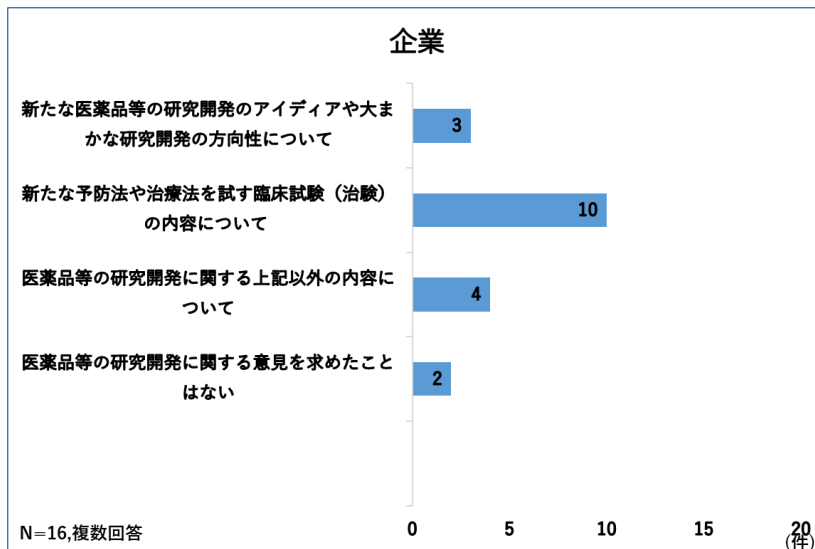
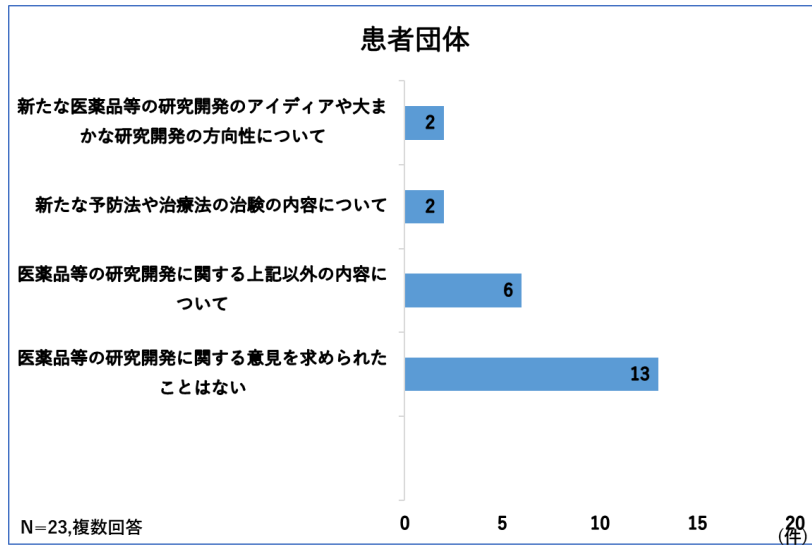
過去5年間の振り返って、貴団体は研究開発に取り組んでいる企業から研究開発に関する意見を求められたことがありましたか？ 求められたことがあれば、その内容に関するものを全てお選び下さい。(複数選択可)

**【企業向け質問項目】**

貴社の過去5年間の振り返って、貴社から患者あるいは患者団体に対して、研究開発に関する意見を求めたことはありましたか？あてはまるものを全てお選びください。(複数選択可)

過去5年間の経験について尋ねると、患者団体では、「医薬品等の研究開発に関する意見を求められたことはない」が13件と最も多かった。他方、企業では、「治験の内容について」意見を求めたことのある企業が10件と最も多かった。

図表 2-6 研究開発への患者・市民参画の過去 5 年間の経験



## (7) 研究開発への患者・市民参画に関する今後の施策について

### 【患者団体向け質問項目】

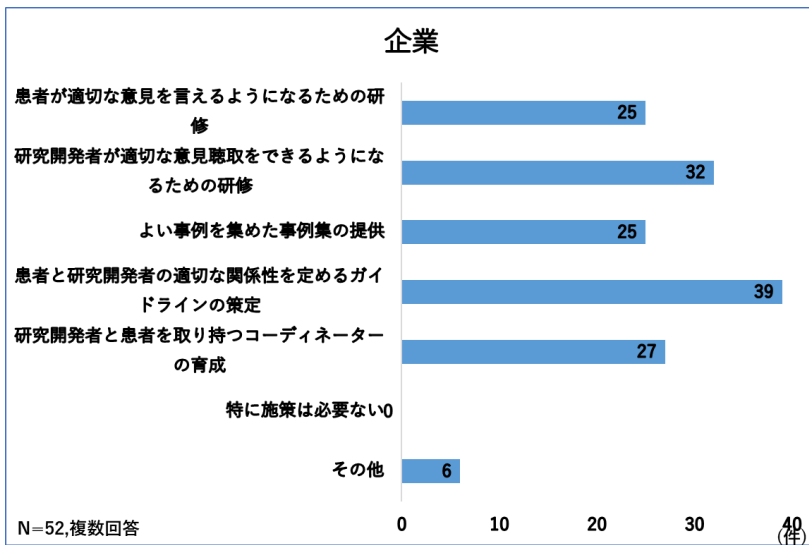
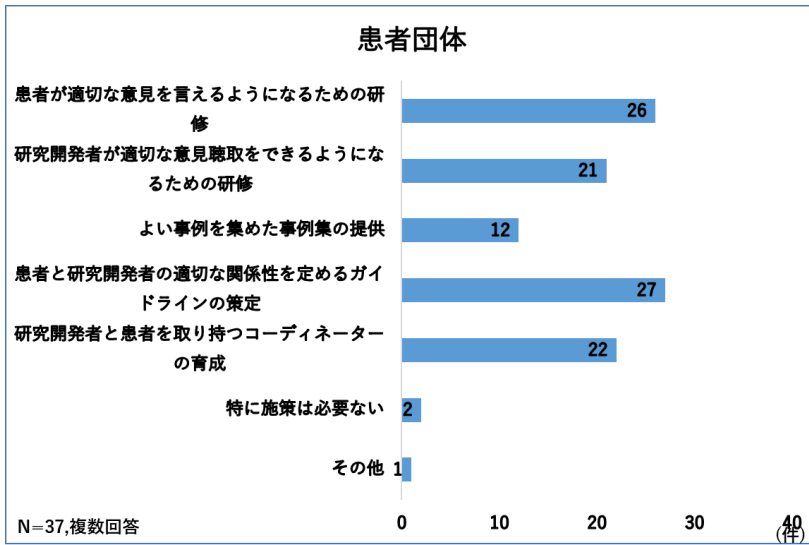
貴団体は、今後、医学研究・医薬品等の研究開発を進める際に、患者の立場からの意見を伝えることが推奨されるようになったとしたら、どのような施策が必要になると考えますか？（複数選択可）

### 【企業向け質問項目】

貴社は、今後、医薬品等の研究開発を進める際に、患者の立場からの意見を聴くことが推奨されるようになったとしたら、どのような施策が必要になると考えますか？（複数選択可）

今後必要とされる施策については、患者団体、企業共に、「患者と研究開発者の適切な関係性を定めるガイドラインの策定」が最も多かった。次いで、患者団体では、「適切な意見を言えるようになるための研修」、企業では、「研究開発者が適切な意見聴取をできるようになるための研修」、そして患者団体、企業共に「コーディネーターの育成」が続いた。

図表 2-7 研究開発への患者・市民参画に関する今後の施策



## (8) 自由記述欄の意見

### 【患者団体向け質問項目】

今後の医学研究・医薬品等の研究開発と患者の関わり方について、ご意見・ご要望などをご自由にお書き下さい。(例：医学研究・医薬品等の研究開発を進める際に、患者の立場からの意見を伝えることの意義や問題点、貴団体が研究開発者からの様々な協力依頼に関して心がけていること等)

### 【企業向け質問項目】

今後の医学研究・医薬品等の研究開発と患者の関わり方について、ご意見・ご要望などをご自由にお書き下さい。(例：医学研究・医薬品等の研究開発を進める際に、患者の立場からの意見を聴くことの意義や問題点、患者団体等への様々な協力要請に関して貴社が心がけていること等)

### 1) 患者団体からは以下のような意見が寄せられた。

- ・ 医薬品開発には企業と患者団体との連携体制（守秘契約・ガイドライン整備）が必須、を前提としていただきたいと思います。
- ・ 多様性が尊重されると良いと思います。また、患者は職業ではないので、便利な無償ボランティアだと思わないでいただきたい。
- ・ 患者が日常生活において何に悩んでいるかを理解していない研究者が多い。
- ・ 患者抜きにして、患者のための医療・医薬品開発は考えにくいと思っています。疾患だけでなく、患者の生活・人生にも目を向けてほしいと常々思っており、特に患者のQOL維持のためには患者参画は必要だと感じています。
- ・ 医学研究において当事者の意見（想い）を第一に考えて進めてもらえることが何よりも大事だと考えています。
- ・ 医学研究者や研究開発者の目線と患者や家族の目線とは必ずしも一致しているわけではないので、患者や家族の思いや困っている点などを伝えることで、研究に当事者目線を活かすことができると考えています。またそのような視点から、研究者等に対応することを心がけています。
- ・ 個人情報保護などの倫理面での遵守について、透明性をもって開示をしていただくことが重要と思います。
- ・ 患者の意見を反映した医学研究等を行っている研究者等に、何らかのインセンティブを与える制度を作りたいです。また医学研究等の進捗や成果が、意見した患者に伝わる制度があれば更に良いと思います。
- ・ 企業との協働は、正直難しいと感じることが多い。企業側がやろうと持ちかけてくることと、こちら側がしてほしいこと、必要だと感じることはズレがあることが多い。

営利を目的に活動する企業と、患者本人や家族の思いは必ずしも一致しないため、啓発活動もこちらの意図せぬ方向へ行ってしまうこともある。適度な距離感をキープしながら進めていくよう心がけている。

- ・ お互いに理解し、同じ方向を向いてやっという意思の確認が大切に感じる。
- ・ 患者側からの意見を無秩序に言う機会を作るのではなく、そのような機会にどのような形式にするのが良いか、双方の立場からの議論の場が優先して必要だと感じています。
- ・ 製薬企業の研修のみならず学会などにおいても、顔が見える関係で、人が対象であるという認識、我々患者サイドも同様に研究者の頑張りを実感できる機会が今後増えていくと良いと思います。
- ・ できる限り、対等な立場での議論をお願いします。患者会に対してのみではなくて、広く市民や社会に伝える活動を積極的にお願いします。
- ・ 患者にわかり易い言葉・説明を。守秘義務。

## 2) 企業からは以下のような意見が寄せられた。

- ・ 開発計画に患者からの意見要望を落とし込むためには、論文化や診療ガイドライン等に反映してエビデンスレベルをあげるの必要性を感じています。
- ・ これまで経験はないため、患者団体の意見を聞くための手順などが含まれたガイダンスなどが作成されるとありがたく思います。
- ・ 患者の意見は間違いなく重要であると感じる一方で、患者から意見を聞かなくても開発を進められてしまうという現状が悩ましい点です。新薬審査に患者がより関わるようになってくると企業もさらに患者のエンゲージメントに前向きになると考えられることから、PMDA（Pharmaceuticals and Medical Devices Agency：独立行政法人医薬品医療機器総合機構）の患者参画検討WG（Working Group）の一層踏み込んだ対応を期待しています。
- ・ 患者が医薬品のエンドユーザーであることを忘れてはいけません。弊社では実際に患者から治験に対するご意見を聴いているが、企業側の盲点となる率直なご意見を頂きハッとさせられることがある。例えば軽微な副作用でも患者にとっては極めて不快となりうることなど、企業側と患者の意識にギャップがあることを知ることがPPIの第一歩である。PPIの問題点としては企業側が患者と関わってはいけないのではないかとこの固定観念を持っていることと感じている。企業と患者のみならず、規制当局や医療機関も一緒に社会全体としてより良い医薬品を作ろうという機運を製薬業界全体で作っていったら良いと考える。
- ・ 患者からの意見聴取は、企業・規制・患者のすべての立場で一体となって取り組むべき課題である。業界全体で進めるために、欧米のように規制として義務化することも必要ではないかと考える。

- ・ 患者と医師あるいは研究者の情報の非対称性を解消する必要がある。また、企業と患者の透明性のある関係を構築する必要がある。
- ・ 臨床開発部門におきましては、社内タスクフォースにより、患者による同意説明文書レビューや臨床試験結果のレイサマリー (Lay Summary) 公開等を検討しております。製薬協の成果物や各社からの情報共有により、患者参画のための企業活動の事例蓄積は進んで参りましたが、企業側の満足で終わってしまうことのないよう、患者のニーズに合った取り組みか、患者の声を反映できているか、反映した結果が患者のメリットに繋がっているかを検証し、継続的に改善していく活動サイクルを作ることが必要と考えております。
- ・ 医薬品開発へ患者の声を反映することについて、規制当局に率先して主導してほしいと思います。また、患者の声をデータとして分析する手順の確立、それを企業横断的に共有する手順が必要と感じます。
- ・ 患者から聞いた意見を活かすためにも、議論における要点などは予め両方で目線をすり合わせる必要があると感じるので、ガイドライン等である程度明記されていると良いのではないかと。
- ・ 多様な患者意見、価値観の集約、研究開発計画に落とし込むことの難しさ。
- ・ 製薬企業側の“都合の良い”枠にはめるようなアンケートやインタビューで、患者を傷つけているケースが多分にあるのではないかと感じる。意見を取り入れられる範囲には限界があることを患者側に伝えつつも、患者に寄り添うスタンスでオープンな対話を心掛けるべきと思う。
- ・ 患者参画による、より良い研究開発を進めていくためには、両者の認識・想いの違いを理解し縮めていくことが必要と考えます。
- ・ 患者団体にも知識レベルや影響力のレベルが様々だと思うので、患者団体への教育(自分たちの意見を届けるにはどんな知識が必要で、どのような知恵・手段を使えばよいか等) プログラムやセミナーのようなものがあつたらよいと思います。
- ・ 患者から、意見をうまく引き出せるような環境づくり (ファシリテーションスキルの向上等を含む) が必要。患者団体と企業の関係性がフラットとは言い難い側面もあると思ひ、課題に感じている。
- ・ 業界として、ガイドラインの策定が必要なのではないかと考える。
- ・ 両者が対等の立場で対話ができる環境づくり (相互理解が進む仕組み)
- ・ 患者の立場は個々や直近の立場での意見が大きく、また期待 (フィードバックを受けること) も大きい。一方、研究開発側は中長期的で患者の期待や意見にすぐ対応することができないケースも想定され、双方のギャップをできるだけなくす取り組みにする必要があると考えられる。
- ・ 患者団体から有用な意見をいただくためには、1 回のみ意見聴取ではなく、長年のコミュニケーションに基づく信頼関係が重要だと考えています。各社単独では限界が



あるため、複数社が共同して多くの患者団体と意見交換の場を取り持つようなコンソーシアムができれば非常に有用だと考えます。

- ・ ここ数年、各企業から「患者視点」をキーワードに患者団体に様々なアプローチが増えているようですが、企業のためだけの取組みに陥らないように、患者・市民のための取組みであることを常に振り返り、企業の自己満足で終えないマインドを持つことも大切であると考えています。DCTやデジタル技術やバーチャル技術等、新しい手法を取り入れた治験が患者の治験への参加に寄与するために、患者が自身の人生や生活に合わせて治験に参加できる環境構築（規制、技術、GCP、評価等）がスムーズに進むよう産患官学の協働も今以上に必要であると思います。企業が患者・市民とコミュニケーションを取ることの心理的ハードルを取り除くこと、例えば、新規開発品の医薬品名称や予想する効能効果等の情報提供の禁止を意識するあまり、本質的な意見交換が妨げられる懸念を払拭できれば、患者視点の意義ある活用に結びつくでしょうし、両者が気軽に交流できる良い信頼関係の構築ができることが主要なポイントのひとつだと考えています。

#### 4.4.3 患者団体を対象とした2018年の調査結果との比較

2019年4月にPPIガイドブックが公開されて以来のPPI活動の進捗の変遷を把握するため、患者団体宛に2018年の調査と同様な質問を設定し、比較した。

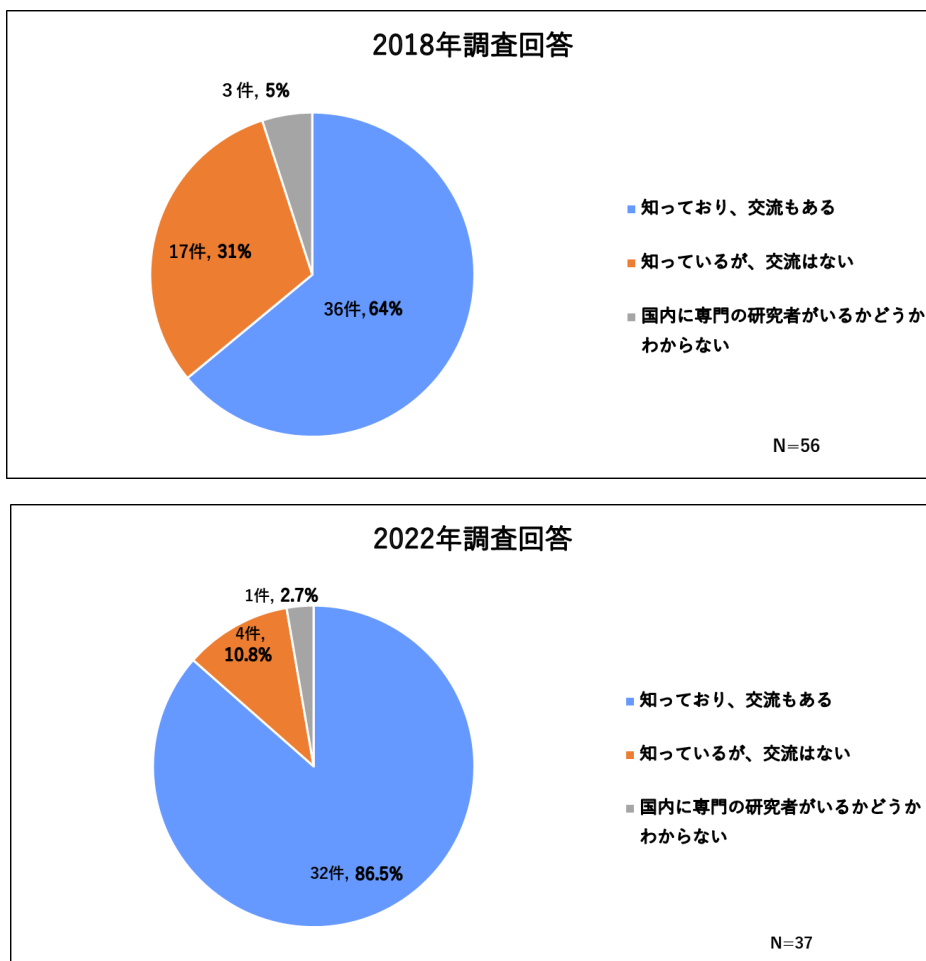
##### (1) 研究者と患者の交流状況

【患者団体向け質問項目】(2018年、2022年の調査)

貴団体の対象疾患を研究している国内の研究者を具体的にご存知ですか？(択一)

2018年の調査では、自分の疾患の研究をしている研究者を「知っており、交流もある」団体が64%を占め、その多くは難病であった。2022年の調査では、87%を占め、がんでは81%、難病では91%とともに多くみられた。

図表 3-1 研究者と患者の交流状況



## (2) 研究について患者から意見を聴く必要性

### 【患者団体向け質問項目】（2018年の調査）

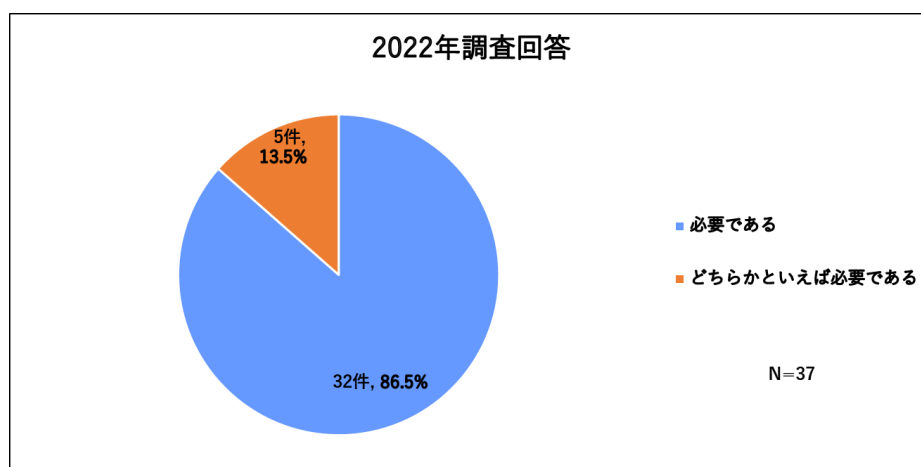
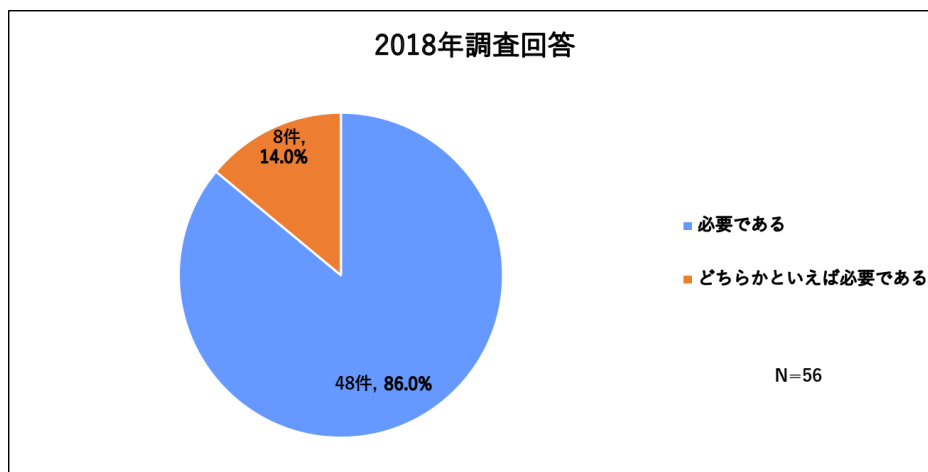
一般論としてお聞きします。よりよい医学研究を実施するために、患者の立場からの意見を聴くことは必要だと考えますか？（択一）

### 【患者団体向け質問項目】（2022年の調査）

一般論としてお聞きします。研究者がよりよい医学研究を実施するために、あるいは企業がよりよい医薬品等の研究開発を実施するために、患者の立場からの意見を伝えることは必要だと考えますか？（択一）

2018年の調査では、患者から意見を聴く必要性について、一般論として「必要」と回答したのは、86%に及んだ。2022年の調査でも87%と同様であった。

図表 3-2-1 一般論として研究について患者から意見を聴く必要性



【患者団体向け質問項目】（2018年の調査）

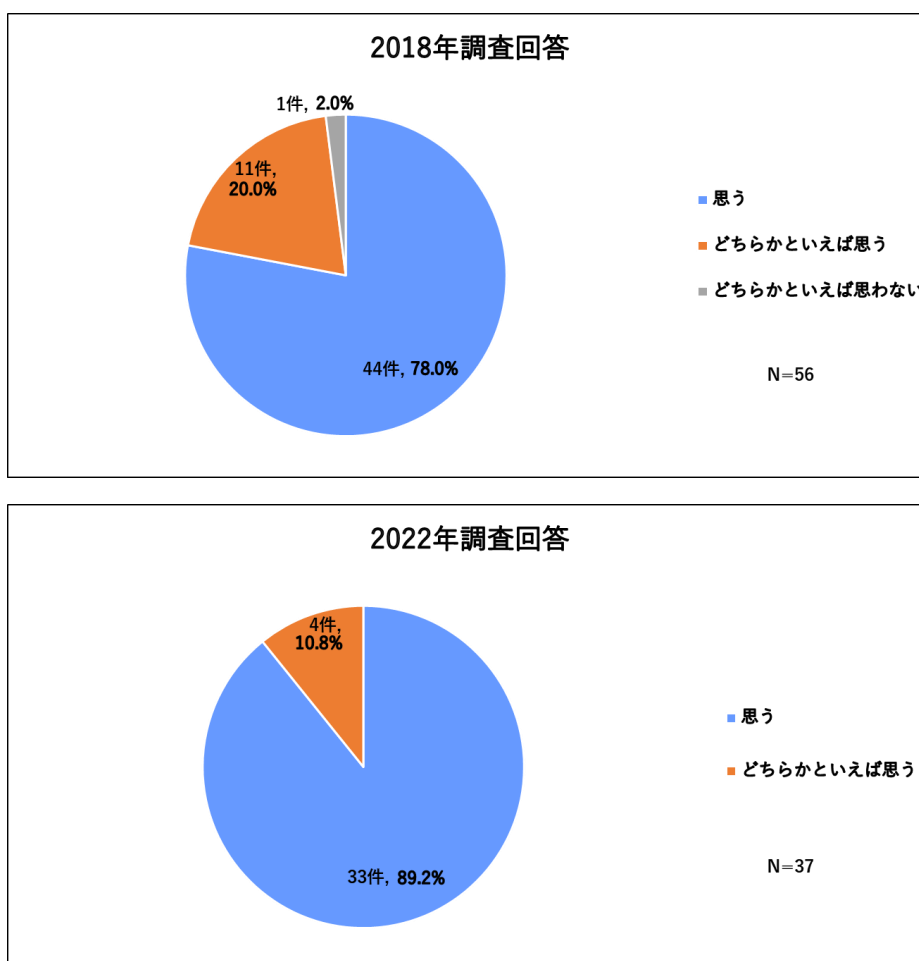
貴団体の対象疾患に関する研究の場合についてお聞きします。研究者がその疾患に関する医学研究を実施する際に、患者の立場からの意見を聴くことは、よりよい研究の実現につながると考えますか？（択一）

【患者団体向け質問項目】（2022年の調査）

貴団体の対象疾患に関する研究開発の場合についてお聞きします。研究者がその疾患に関する医学研究を実施する際、あるいは企業が医薬品等の研究開発を実施する際に、患者の立場からの意見を伝えることは、よりよい研究開発の実現につながると考えますか？（択一）

2018年の調査では、当該疾患の研究で患者から意見を聴かれる／伝える必要性について、78%が必要と考えていた。2022年の調査では、回答した団体のうち90%が必要と考えており、患者団体サイドでは必要性が強く認識されてきている模様である。

図表 3-2-2 当該疾患の研究について患者から意見を聴く必要性



### (3) 研究への患者・市民参画の過去5年間の経験について

#### 【患者団体向け質問項目】(2018年の調査)

過去5年間を振り返って、研究者から研究内容について意見を求められ、それに応えて意見を述べる機会がありましたか？ あてはまるものを全てお選びください。(複数選択可)

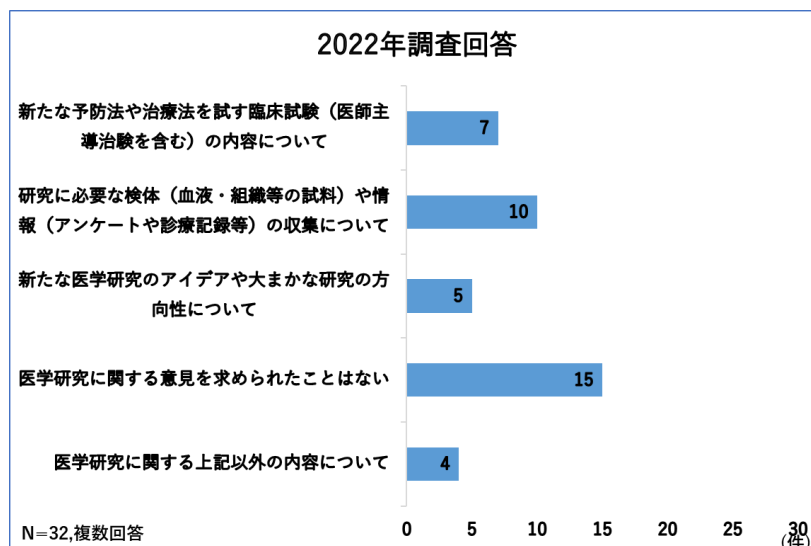
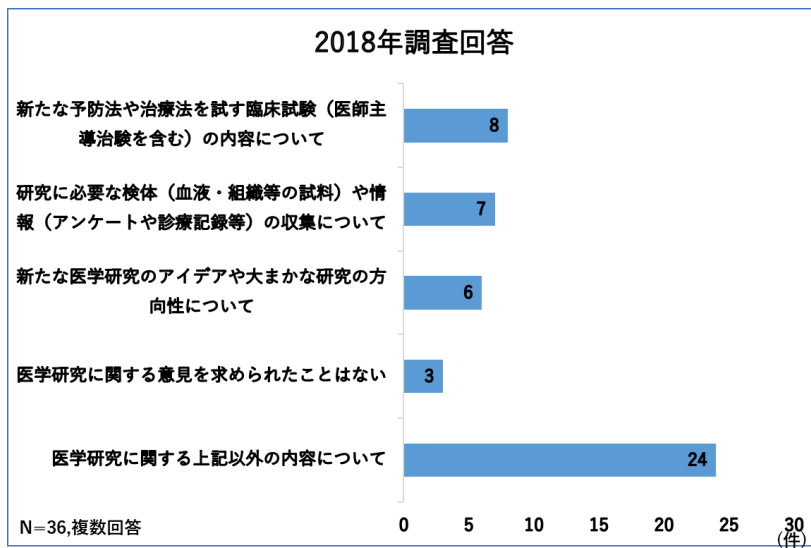
#### 【患者団体向け質問項目】(2022年の調査)

過去5年間を振り返って、貴団体は研究者から医学研究に関する意見を求められたことがありますか？ 求められたことがあれば、その内容に関するものを全てお選び下さい。(複数選択可)

2018年の調査では、「過去5年間の経験について尋ねると、難病を中心に基礎研究での経験が多く、一部、臨床試験に関する事柄も報告されていた。わずかではあるが、研究者と患者団体の双方において、リクルートの協力について言及したものがあり、患者・市民参画の概念が十分理解されていないことを浮き彫りにしているといえる。」と報告されていた。

2022年の調査でも、過去5年間の経験について「医学研究に関する意見を求められたことがない」が回答した患者団体の約半数の15件であったことが特徴的であり、研究への患者・市民参画が進んでいないことを示唆する結果であった。その反面、様々な経験も報告されており、がん、難病ともに疾患あるいは患者団体による偏りが起こっている可能性が示唆された。

図表 3-3 研究への患者・市民参画の過去5年間の経験



#### (4) 研究への患者・市民参画に関する今後の施策について

**【患者団体向け質問項目】（2018年の調査）**

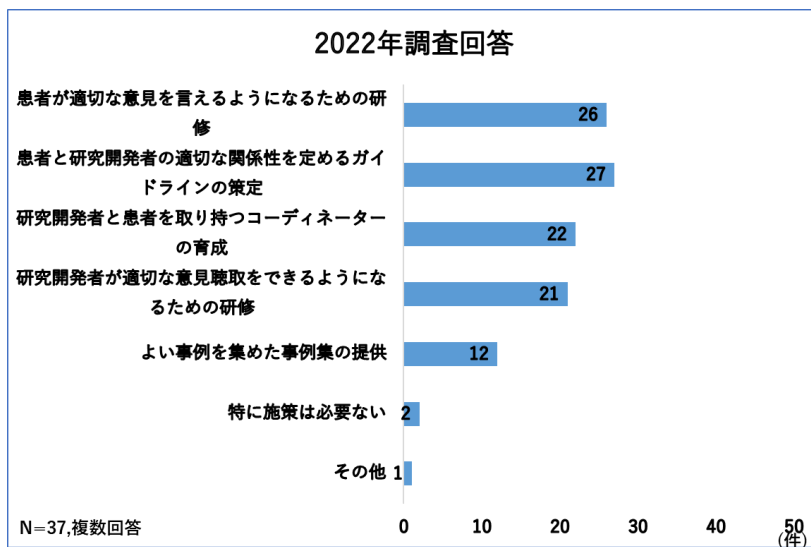
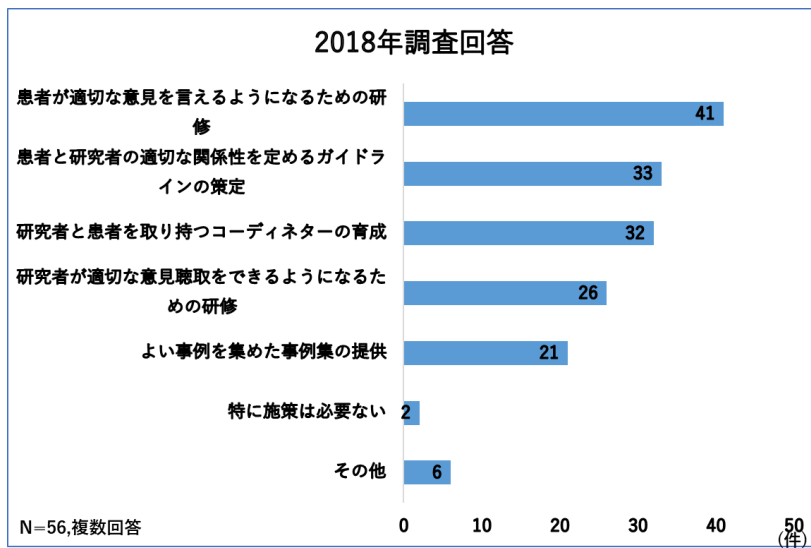
あなたは、今後、医学研究を進める際に、患者の立場からの意見を聞くことが求められるようになった場合、どのような支援が必要になると考えますか？（複数選択可）

**【患者団体向け質問項目】（2022年の調査）**

貴団体は、今後、医学研究・医薬品等の研究開発を進める際に、患者の立場からの意見を伝えることが推奨されるようになったとしたら、どのような施策が必要になると考えますか？（複数選択可）

2018年の調査では、今後必要される施策については、患者向けの研修のニーズが最も高く、研究者との関係性についてのガイドライン策定、コーディネーターの育成を求める声が次いでいた。2022年の調査でも、研究開発者との関係性についてのガイドライン策定、患者向けの研修のニーズが高く、次いでコーディネーターの育成、研究開発者の研修が次いだ。

図表 3-4 研究への患者・市民参画に関する今後の施策





## 4.5 ヒアリング調査

### 4.5.1 対象

#### (1) 患者団体

アンケートへの回答内容に基づき、医学研究及び医薬品等の研究開発に関する研究者、企業と具体的な連携事例を持つがん、難病のそれぞれより4団体の計8団体の協力を得た。

#### (2) 企業

アンケートへの回答内容に基づき、医薬品等の研究開発に関して患者団体と具体的な連携事例を持つ内資系企業3社と外資系企業5社の計8社の協力を得た。

### 4.5.2 調査内容

#### (1) 患者団体

患者団体に対しては、主に下記の項目について質問を行った。

1. 研究者・企業との接点について（疾患の特性から見て）
2. 研究者・企業の行う「臨床研究・治験」への協力内容の詳細について
3. 研究者・企業が患者（会）の視点や意見を取り入れることの意義や成果、あるいは課題について
4. 研究者・企業が患者（会）の視点や意見を取り入れるようにするために必要な施策について
5. 要望・意見について

#### (2) 企業

企業に対しては、主に下記の項目について質問を行った。

1. 患者（会）との接点を有するご研究開発の内容について
2. 患者（会）と接点を持つようになった背景や経緯、具体的な接点の内容について
3. 患者（会）の視点や意見を取り入れることの意義や成果、あるいは課題について
4. 患者（会）の視点や意見を取り入れるにあたって必要な施策について
5. 要望・意見について

### 4.5.3 調査結果

本ヒアリングは、実施したアンケート調査回答の内容について、患者団体と企業、あるいは研究者との交流の実態を詳細に理解することを目的とした。また、ヒアリングに協力する意向がある団体・会社の回答であるため、医学研究や医薬品等の研究開発へのPPIに対して、より前向きな姿勢を持った回答となっている。なお、回答者の匿名性を確保するため、全体の概要報告として記載する。ヒアリング期間は2023年1～2月であった。

#### (1) 患者団体

##### 1) デジタルツール

汎用されているデジタルツールとしては、メール、オンラインツールとしてWeb会議システムのZoom、LINEが挙げられた。特に、コロナ禍を反映し、Zoomの利用が多数を占め、コロナ禍以前は対面式で行われていた団体の役員会議、総会、交流会などに多岐にわたって使用されていた。主に、交流会、勉強会などでは移動を伴わず、時間的余裕を持つことから全国各地の会員の参加が可能になったことがポジティブな側面であった。一方、小グループでの意見交換や議論等は対面式が好まれるとの意見も多くみられた。今後、コロナ禍の制限がなくなった場合には、オンラインと対面のハイブリット式ミーティングを利用する声が増えた。LINEについては、使いやすさや汎用性における特長があり、比較的若年の会員やその家族での利用が進んでいる一方、スタンプ機能や気軽にコメントできることで、発信者の想いと受信者の心情に食い違いが起こる懸念もあり、受信者にとっての不安や負担となる可能性から利用に慎重な団体もあった。また、蓄積された情報の共有といった点では、団体のホームページ上への掲載やメールマガジンの配信が適切と考えているとの意見があった。さらに、特に小児患者の家族では親世代が若いこともあり、スマートフォンの使用者が増え、パソコンを利用しないケースも多く、スマートフォン対応のツールが望ましいことが指摘された。

##### 2) 研究者・企業との接点、経験

###### ◆ 研究者・医療者

専門医とのつながりを求め、疾患に関する勉強会の開催を通じて接点や交流が始まった団体が多かった。また、医療者の提案で患者団体が設立されたケースも見られた。講演会の開催、その後の談話会、交流会等を開催する中で、医療者が参加した患者へ話しかけることから信頼関係が形成されてきたことが伺えた。例えば、医療者側からは、診療の場を離れて患者と交流することで、自分たちにとってわからなかった患者の思いが理解でき、交流を継続したいという言及がなされていた。参加した患者側からは、標準治療の理解ができたことと主治医の用いる言葉の意味が理解できたというフィードバックが寄せられていた。また、患者が学会に招聘されて講演、あるいはポスターセッションに参加した経験や、学会に患者向けシンポジウムが設置されるなど、患者の養成・育成を目指した患者アドボカシー委員会が設置されるに至った例などがあった。

## ◆ 企業

研究者・医療者を通じて企業との接点生まれ、患者団体が企業から依頼を受けることがある場合や、数年～10年ほど企業と連携事例がある場合があった。前者では、企業の社員向け教育資材ビデオの制作や、疾患についての聞き取り調査でいずれも単発の経験であった。後者では、治験関係資料（同意説明文書やサンキューレター等）のレビュー、治験のデザイン設計への意見聴取、薬の副作用説明書のレビュー、会員向けアンケート調査に関する意見聴取、ウェブサイトのコンテンツ制作協力、マスコミ取材への協力、海外へのミーティング参加依頼など多岐にわたった経験があった。

以下に患者団体から良好な結果と感じていた事例、あるいは課題を感じていた事例を記した。

- ・ 小児希少疾患において、ある企業が社会貢献（CSR: Corporate Social Responsibility）として患者のニーズを聞きとり、医療者とともに三位一体で薬の開発を実践した事例
- ・ 長年の関与で培った信頼関係の下、患者団体の事務局が企業と連携して、治験の進捗状況について会員が不安を持たず、誤解しないような配慮のもとに情報を提供している事例
- ・ 複数の企業と医療者と患者団体が会議体を立ち上げ、その場の議論では協働姿勢があったものの、企業側が持ち帰って検討した成果物が期待と異なったものになってしまった結果、患者団体としてはその立場の弱さを感じながら、最終的に患者のメリットにつながることを選択し、譲歩して結果を受け入れた事例
- ・ 企業との様々な経験を通して、患者団体が実際に必要と感じていることと企業側が患者が必要としているだろうと誤解していることに違い・ズレがあると感じていた事例
- ・ 企業側ですでにシナリオを描いていて、そのシナリオに沿う形での患者紹介の依頼を受けた際に、患者側の意向にまったくそぐわないとの判断から断った事例

### 3) 現状の課題

ヒアリング調査において収集した課題をコミュニケーション、患者リテラシー、個人情報、利益相反、研究者（医療者）・企業との関係に分けてまとめた。

#### ◆ コミュニケーション: 立場の違いによって捉え方が異なっている実態が見えた。

- ・ 「治る」という言葉は、医療者にとっては症状が改善することであるが、患者や家族にとっては症状がなくなり、病気から解放されるという意味に捉えている。
- ・ 研究者・医療者の言葉、特に専門用語は、難しいと感じている。
- ・ 患者は医療者の方針や意見に反対や提案をしにくいと感じている。例えば、「副作用が強いから、先生、薬を変えてください」とは言えない。もし、言ったら医師と患者との関係が険悪になってしまうと思っている。

- ◆ **患者リテラシー:** 患者に求められる資質、素養と実情や立場の違いによる期待感に様々な思いがある。
  - ・ 患者は自分のことがその病気のすべてのように思う人が多くいる。
  - ・ 患者、家族は自分の伝えたいことをきちんと医療者に伝えられるノウハウを身につけていないことが多くある。
  - ・ 医学研究や医薬品の研究開発などをサポートしようとしている立場と自らの病気を治すために薬が欲しい人の立場は異なる。
  - ・ PPI 活動に係わるために最低限の教育が必要である。現状は、一部のノウハウを持った人に様々な依頼が集中している。
  - ・ e ラーニングで最後までやり遂げたら修了証が発行されるトレーニングの仕組みについては研修効果の適切性を危惧している。
  
- ◆ **個人情報:** カルテは個人情報ながら、必ずしも患者や家族の手にはない実情がある。
  - ・ 病歴を正しく記憶するには、患者・家族は自分自身のカルテを保持しておく必要があるが、病院での保存期間は 10 年である。そして、患者自身が必要な場合でもアクセスには制限があり、カルテは誰のものなのかという疑問がある。
  
- ◆ **利益相反:** 適切な対応が大切であるとの認識がある一方、十分な知識を持たず、学ぶ場も限られている。また、立場によって利益相反への認識が異なることを理解する必要がある。
  - ・ 利益相反やコンプライアンスについてもっと勉強する必要があると感じている。
  - ・ 患者会からの利益相反と企業側の利益相反は異なるものだと感じている。
  
- ◆ **研究者(医療者)・企業との関係:** 必ずしもフラットな関係とは言えず、患者側は立場的に弱いことが伺える。
  - ・ 患者はいつも上から目線で話されていると感じている。例えば、患者は医療者や研究開発者と話をする際、「あなたたちのためにやっているんです」という態度を感じている。
  - ・ 医療者は診療科によってプライドの持ち方が異なるように感じる。例えば、小児科医は自分に何ができると必死に検索したり、知り合いの医療者に連絡してくれる一方、ある特定の診療科の医師は他人の教えを受けたくないという意識が強いためか、関係学会内の横のつながりから学ぶ姿勢も希薄であるように感じる。大学病院においては他の診療科にかかる際、医師から情報提供するのではなく、患者に病状や診療内容等について医師に伝えるように言われるなど、患者中心ではないと感じることがある。
  - ・ 年代によらず、治療法に関して自身の信じているものを頑として譲らない医療者もい

る。

- ・ 研究には「研究者の思い」があつて進められることを理解する一方、思いがバイアスを生むことは適切ではないと思う。悪い結果であっても、研究結果はわかりやすく公表すべきである。
- ・ ガイドラインは、法律ではなく、罰則もないので守らなくてよいという理解では困る。
- ・ 専門医による監修済みの資材をレビューするような企業からの依頼は、患者団体として何も言えない状況であることを理解してほしい。
- ・ PPI が企業の宣伝のために用いられているのではないかと思える。企業が PPI として行っていると思っていることは、患者に届いていないし、やっていることは PPI ではないと感じる。

#### 4) 必要な施策

ヒアリング調査において収集した必要な施策については、患者が適切な意見を言えるようになるための研修、PPI に関連したガイドラインの策定、コーディネーターの育成が多く挙げられた。

##### ◆ 「患者が適切な意見を言えるようになるための研修」

科学的根拠を知った上での研修は極めて重要であり、また、患者は、医学研究や医薬品等の研究開発関係の人に接する際に病気を俯瞰的な見方を持って意見をまとめる能力が必要である。一方、全員に同じ教育研修は必要ではなく、PPI のような取組に興味があり、やる気の高い人は相応なレベルまで、そこまでではなく、基本的な知識を求める人にはベーシックなレベルで良いと考えられる。

##### ◆ 「PPI に関連したガイドラインの策定」

PPI 活動では患者の病歴や普段の生活など、より機密性の高い情報を扱うため、個人情報保護の観点からガイドラインの策定が必要と考えられる。また、患者と医療者、研究開発者とが一定の適切な距離感を持ち、コミュニケーションとして普通にボールの投げ合いができるようになる、すなわち、研究開発者と患者がイコールパートナーとなるためにもガイドラインが必要である。

##### ◆ 「コーディネーターの育成」

研究開発者、患者の視点はそれぞれ違っており、その違う視点を上手にコーディネートすることができる人、そして確実に物事を動かしてくれる人、つなげてくれる人が必要とされている。また、疾患や患者の状況をよく理解し、信頼できる客観的な情報をもとに企業を紹介し、企業と患者会をつなぐ役割が望まれている。

## 5) 要望等

ヒアリング調査において以下のような要望や意見が挙げられた。

- ・ 希少難病では、現代科学で治ることはなく生涯付き合う病気だということを前提に、どうすれば病気と上手く付き合えるのかが永遠のテーマであることを医療者に考えて欲しい。
- ・ 疾患を知ってもらう活動の他にも、先頭に立てる人材の育成が重要課題であり、患者団体の役割である。
- ・ 誰もができることではないので、コーディネーターを資格とするには懸念がある。時間が掛かってもやりたいと思い、やる必要があるという理解がある人でないと未来の医療は考えられない。
- ・ 企業の活動が製薬協のルールで縛られており、思うようにできないように感じているため、製薬協で理解を深め、規制などを見直す等を検討してほしい。
- ・ 企業は、薬を発売した後も、継続的な服用のため、あるいは長期の症状改善を考えて患者側のニーズを患者団体とともに継続的に聞き取りをしてほしい。
- ・ PPI 活動を研究開発に絞るのではなく、幅広くとらえて就労や社会との接点を考えていくことも必要であろう。患者の QOL を維持しながら社会とつながっていくために何をやる必要があるかは、関係者が一緒に考えて、初めてアイデアが出てくると思う。
- ・ PPI 活動を進めるうえで、ボランティア活動の力を使えるようにするため、ボランティア活動関連情報へのアクセスをまとめたポータルが望まれる。

## (2) 企業

### 1) デジタルツール

汎用されているデジタルツールとしては、メール、オンラインツールとして Web 会議システムの Teams、Zoom が利用されており、Web 会議システムによる患者アドバイザーボードや一対一の面談等が行われていた。従前は面談式であったミーティングは殊にコロナ禍で Web 会議システムにより増加した。また、データの収集・分析の点では患者情報の収集のためにベンダーを介したウェブアンケート調査や、アプリを利用して患者の QOL に関する情報収集を行っている事例、将来的に医療経済評価に繋げるために QOL データの収集を臨床試験に取り入れている事例、臨床試験に ePRO(Electronic Patient Reported Outcome)を使用している事例、臨床試験参加者を対象にしたウェブアンケート調査で試験開始段階、試験実施中と試験終了時の 3つのポイントで 5段階評価の聴取を実施することに取り組んでいる事例、RWD を活用して試験計画に反映している事例、希少疾患の治験において患者が自宅で撮ったビデオによるアセスメントを利用した事例、また、臨床研究として倫理審査委員会の承認を得た上で、患者の経験データを RWD として入手している事例等多岐にわたった。一方で、患者団体を通じたデータ収集を行っていない企業もあった。

## 2) 患者団体との接点、経験

患者団体との接点は、企業内のコーポレート部門（広報・コミュニケーション、渉外調査、Patient Centricity 部門など）が担い、実際の協働活動に入る段階から研究開発部門の担当者等が連絡を取り、実働している場合が多かった。また、研究開発部門内の各機能から代表を選出し、タスクフォースチームを設けて対応している場合も見られた。一方で、患者とのコミュニケーション専任担当者を各領域に配置している企業や PPI に関する専任部署、専任担当を設けて活動の推進に当たっている企業もあった。さらに、研究開発部門で PPI 活動を始めていたものの、最近になってこの活動を全社展開するため既存のコーポレート部門へ統合して、強化推進する動きもみられた。役割分担としては、コーポレート部門は適正なガバナンス体制としてコンプライアンス、契約締結、透明性確保等に責任を持ち、一貫性のある患者団体への窓口機能と社内包括管理を担っており、初期の患者団体との連絡、交渉を行っていた。また、契約締結後では主に担当者が患者団体と具体的な協働を担い、コーポレート部門との連携、連絡する形態であった。さらに、患者団体との協働は組織対組織が基本であり、患者団体のない疾患を対象とする場合などはコーポレート部門と相談の上、医療者を通じて開発部門が接している場合があることがわかった。医療者を通じる場合では、昨今、医療機関側で厳格なルール化が進みつつあり、倫理審査委員会を通すべきとの動きもあり、プロセスの煩雑化によって医師側の協力の困難化が否めない懸念も示された。

患者団体との経験としては、開発計画や治験計画に関してアドバイスやインプットを得た事例が多くみられた。

- ・ エンドポイントの適切性、プロトコルの骨子、同意説明文書、患者に渡す副作用マネジメントのリーフレットのレビュー、治験を進捗させるための患者登録に対するアドバイスを得ることが代表的な活動であった。また、治験実施上の負担軽減策として、オンライン診療の活用やその他来院の利便性を高める工夫について意見聴取を行っていた。
  - 同意説明文において、文章が分かりづらい、専門的すぎるという患者の声から改良点があり、企業や医療者では気づかない部分への示唆を得た事例。
  - 企業がこの目的のためにはこういう形が良いだろうと思って提示したものが、患者サイドから見ると、患者にとって負荷が大きいとか、目的を果たすなら別の方法の方が目的にかなった形になったという事例。
  - 同意説明文書にどのような改善が必要なのかを試験ごとに聴き、協働して会社としてのテンプレート作りへつなげる取組事例。
- ・ 臨床試験参加者を対象にしたウェブアンケート調査の実施、患者の健康データの収集にデジタルツールの利用として、アメリカで患者側が作成した評価基準のビデオアセスメントを使用するなど新しい活動があった。
- ・ ある企業では、開発計画や、特定の治験の計画に対して患者からのインプットを得る

ために、開発早期の段階からグローバルアドバイザーボード、あるいはそれに類似するような活動に取り組んでいた。具体的には、議事録の最終化前に参加者へ内容の確認を依頼し、グローバルの場合は英語版の日本語訳の提供、最終版の共有を行っていた。さらに治験計画を変更した内容についてフォローアップのミーティング等で報告したり、患者を共著者として論文化する試みが行われていた。また、協働する患者団体へ「営利企業であり、薬を作ることでお金を儲けている。そのお金がない限り、次の品目の開発には繋がらないので、このビジネス目的をぜひ理解していただいたうえで一緒にやりましょう。」と必ず伝えている等先進的な取組が行われていた。

- ・ 他の企業では、事前に設定していた医師による評価スコア（エンドポイント）に加えて患者が治療効果の目安としている臨床検査値を評価スコアに追加した事例があった。
  - 患者から「エンドポイントの改善が自分の症状や生活にどう変化をもたらすかイメージできない」とのフィードバックを得た際に、患者にとって日常どのような視点で自分の症状が改善されるかについて話を聞き、「ある一つの検査値で結構関連している」との回答を得たことから、これを探索的なエンドポイントとして追加した事例。
- ・ 有効性評価に関して患者介護者の評価が必要な疾患を対象にした試験計画立案の初期段階で数名のインタビューより実態を調査し、試験立案に向けて今後専門家との検討に役立てる予定の事例があった。
- ・ 治験経験のある患者を招いた講演会において、治験実施上、患者自体に負荷がかかっていることに気づきがあった。

その他、前述のものとはやや異なる企業としての PPI 活動事例があったので、以下に概要をまとめた。

- ・ 研究部門においては、患者の意見は 100%研究に反映しなければいけないという使命感と、それが実現できないかもしれないという不安感から患者団体の方と協働することから距離を置いていた実態があった。しかし、研究者と患者団体の方との間で意見交換をした際、患者側からも研究者の大変さがよくわかったという言葉聞き、研究者としては「目から鱗」の経験もあった。患者の意見を 100%反映するというより、一緒に協働して一緒に作っていくことに気づかされたことが大きな変化を促した事例
- ・ 今後の活動に生かすため、複数の患者団体にインタビュー調査を実施した結果、①患者団体の代表者たちが製薬企業に対して抱いているイメージが悪かったこと、②企業としては患者とつながりたいとの思いがあるが、患者も同様に繋がりたいと思っているかという点においては、思いや関心が異なっており、まったく捉え方が違ったこと、③治験に関しては、一般的に言われているように、情報がないから入りにくい、イメージがないこと、また、治験の検索がしにくいということを学んだ事例

### 3) 現状の課題

ヒアリング調査において収集した課題をマインドセット／コーポレートカルチャー、広



告規制の解釈、時間との闘い、発言できる患者が少ない、社員の対話スタイルや姿勢、業界団体の実態に分けてまとめた。

#### ◆ マインドセット／コーポレートカルチャー

今までステークホルダーは、規制当局や医療者が確実に入っていたが、患者中心はもちろん考えてはいるものの、パートナーとして一緒にという考えに至っているかというところはまだ十分とは言えない。

- ・ 部門の業務目標に設定されていたり、経営上層部からのトップダウンの指示が出ていたり、新入社員による PPI への興味関心が高いなど、企業内に PPI の活性化の機運がある。一方で、部門間や個人に温度差があり、規制要件に PPI が示されているわけではなく、これまで実施していないことを導入することへの反発感を持つ社内抵抗勢力があることを担当者は率直に感じている。
- ・ 活動を全社的に展開していくためには、協力する人がもっと増えていく必要がある。

#### ◆ 広告規制の解釈

企業側が情報提供について必要以上にセンシティブになりすぎて、必要な情報まで提供できてない場合がある。プロモーションではなく、必要かつ適切な情報がきちんと患者に提供でき、理解されるような仕組み、環境が各社の判断に委ねられており、横並び思考になりがちである。

#### ◆ 時間との闘い

適切なインプットを得て、臨床試験の計画に患者の意見を反映するには約6か月必要という意見があったが、既存の治験計画を含む開発計画時のタイムラインには十分反映されていないと考えられる。また、グローバル試験に計画の早い段階で日本も参加していくという態度を表明しておかないと日本の患者の意見は反映できない可能性がある。

#### ◆ 発言できる患者が少ない

パートナーとして臨床試験計画に関して適切な発言をしてくれる患者を探すのが大変であり、また、患者の意見がその一人の経験談なのか、患者団体などのマジョリティとしての考えとして述べられているのかも考慮すべきである。アドボケートの育成は一企業だけでは困難であるが、患者側での育成は進めていくべきである。

#### ◆ 社員の対話スタイルや姿勢

企業の社員にとって患者と接する機会は非常に少なく、「何でも聞きます」という姿勢や、医療者との面会時と同じように応対し、かしこまり過ぎでフランクに話しができず、心を

開いてもらえないという意見があった。また、データや課題を捉えて、課題解決姿勢の視点が先行し、説得モードになりがちである。殊に開発系ではディスカッションの上で何かを決めていくことに長けている社員が多く、患者と話すときも患者が言ったことに対してディスカッションのように質問に回答しなければと必死に答えようとしてしまうため、コミュニケーションを取りたい人（患者側）に対してディスカッションを挑む（企業側）という構図になりがちである。

#### ◆ 業界団体の実態

製薬協加盟会社の中で PPI 活動の理解・認識に温度差があり、取組が進んでいる会社と進んでいない会社の二極化が進んできたのではないかという感想があった。各社の考え方がある中で業界としてどこまで積極的に関わっていくか今後の課題である。

#### 4) 必要な施策

ヒアリング調査において収集した必要な施策については、患者が適切な意見を言えるようになるための研修、研究開発者が適切な意見聴取をできるようになるための研修、コーディネーターの育成、よい事例を集めた事例集の提供、ガイドラインの策定が挙げられた。

#### ◆ 「患者が適切な意見を言えるようになるための研修」

知識や要望には人それぞれに差があり、知識や要望のレベルによって必要となる研修プログラムの準備が必要である。そして、どのような立場でどのような発言をすべきかに関する患者への研修が必要であり、十分に理解した人を増やすことが重要である。また、有用なプログラムのコンテンツ作りや適切な利用を可能にするプラットフォーム作りが必要である。

#### ◆ 「コーディネーターの育成」

患者の意見をデータやエビデンスとして捉えるために研究者、患者がつながり、計画や結果を共有できる場をコーディネートする役割が求められている。また、患者アドバイザーボードのような会議をファシリテーションできる第三者としてのコーディネーターの育成を提案する声や、企業内に患者とのコミュニケーション専任担当者を設けている事例に倣い、これを社内ライセンスとして資格化する提案を検討中という動きもある。

#### ◆ 「研究開発者が適切な意見聴取をできるようになるための研修」

PPI を含めた研究者・医療者や企業側の人間の研修が必要であり、研修における交流を図ったり研修を広く展開をさせることが重要である。患者目線と企業目線の見方が異なることの認識と、それぞれの意向や期待のズレを感知することの学びや、その違いがあることの認識などに基づく質問の仕方を身につけることが必要である。また、研修については企業サイド、業界サイドでさらに議論、意見交換すべきである。

#### ◆ 「役に立つ事例を集めた事例集の提供」

事例を集めて、公開する、共有することが重要であり、PPI活動に踏み出せない、なかなか前に進めない、あるいは未経験の人たちには、一步目を踏み出せる事例が必要である。

#### ◆ 「ガイドラインの策定」

企業側が患者団体と繋がりたいと思っても、業界として線引きは必要である。つながりをより深めるほど、規範、規律が必要となる。

### 5) 要望等

ヒアリング調査において以下のような様々な要望や意見が挙げられた。

- ・ いろいろな企業に聞くと、ガイドラインも何もなく、国からも何も言われていないので、PPIはやらないというスタンスの企業が多くみられる。厚生労働省から通知としてメッセージが送られることが、業界としては極めて重要で、影響力が大きい。
- ・ 少子化対策、子育て支援のように、国として「PPIを進める！やります！」と明確に宣言してほしい。
- ・ 社会全体としての大きな動きにしていくためには、例えば国からの何らかの指示、指針が降りてくれば、各企業が取り組み、業界団体として横串を刺す形で対応することで、大きなうねりになる。
- ・ 患者が適切な意見を言えるようになるための研修には、適切に言えるようになるための土壌となる情報提供する仕組みが必要であり、環境整備は業界では対応に限りがあるので、厚生労働省が指針を示すことで、業界サイドも動きやすい。臨床試験情報のところは少し緩和されたものの、広告に関する規制は捉え方を変える必要があると思う。
- ・ 企業行動に結びつける一つ的手段として、国や行政が患者の声を価値として評価する姿勢を示すことによって、患者の声をきちんと収集して、それに合致したデータなりエビデンスを出そうとする企業行動につながると思う。すなわち、企業は患者の声を収集し、それに合致するデータを創出して最終製品化に努めると思う。
- ・ 治験の推進、治験を一般の方に広めていくという点で、例えば厚生労働省のホームページにおいて「治験」に関する情報にアクセスするのは患者や市民にとっては容易ではない。行政として改善し、推進、訴求して欲しい。
- ・ 治験に参加することの意義をどのように伝えていくかについては、業界としても限界があり、行政主導で対応して欲しい。
- ・ 米国や欧州等では、国主導で治験の啓発活動や患者団体への治験、医薬品開発のトレーニングなどを推進、あるいはガイダンスを出していると認識しており、日本でも同じように進んでいくと、企業の立場上、PPI活動へ一步踏み出すハードルが低くなる

と感じている。具体的には厚生労働省の後押しの下、PMDA が主幹になってくれるのが良いと思う。

- ▶ PMDA に主導して頂くために企業の患者との連携経験をより多く共有する。
- ▶ データを共有するプラットフォーム、情報共有するプラットフォーム（社会的な価値としての患者の声・当事者の声というものを活用するプラットフォームや方法）がないことが大きな課題であり、公的に作り上げることの重要性を認識し、対応してほしい。
- ・ 患者が誰の声を聞くのかということ医療現場の方であり、企業が題材を提供し、実際ファシリテートを医療機関の中でやってもらうことの方が、断然耳を傾けてくれると思う。
- ・ 病気になってからでは治験の勉強をしても遅いので、高校教育等で治験をベースの知識に取り入れることが重要と思う。理解があれば、親や家族が治験参加に反対しないという状況が作れることは大事である。
- ・ 患者が最初に自分の医療に対して課題を感じて相談できるのは医療者であり、アカデミアや医療者へのアプローチを提案したい。医療者側も患者と対等な立場を築きにくいと思うので、医学部での教育段階で、「患者さんは助けてあげるだけではなく、時にはパートナーとして一緒にその医療に対して向き合えるステークホルダーである」ということを知る機会があると、患者側が自分の医療に対して医療者に相談しやすくなると思う。患者側も、医療を受けるだけではなくて、PPI の取組が盛んになったときに関心を持って参加する病気を持った方（患者）も増えると思う。
- ・ 患者も含めたステークホルダーが全員で PPI に関する何か一つのものを作り上げていくというような活動があると、みんなパートナーだという思いも一つになると思う。
- ・ 研修プログラムの策定は色々な立場で可能であるが、策定されたものをどのように浸透させていくかとか、どう広めていくかが重要である。
- ・ 患者団体としては信頼関係がない状態でまったく付き合いのない企業が「こういった内容を聞かせてください」と聞いてもあまり有益な情報を提供しない、従って企業は必要な情報が得られない可能性が高い。このことは、今後 PPI の取組を進めていく上で、各社担当者が直面する壁になると考えられる。従って、産官学が連携して患者団体とのコミュニケーションを取り持つような仕組みを構築することで、患者からの意見を反映する取組が日本でも進むものと思う。
- ・ 昨年、国内の製薬会社何社かで患者団体と共同作業を行ったが、患者団体側の負担も大きいと思うので、他社と協働して一つのプラットフォームで対応すると、よりお互いに負担、負荷が少なくなるのではないかと思う。
- ・ 業界団体全体で進めていく必要があり、また、業界団体内でも同じようなペイシエン トエンゲージメントのタスクが混在しているので、横のつながりを作るべきである。

## 6) 企業内におけるPPI活動の経緯

ヒアリング調査に協力頂いた企業は、いずれも患者団体との具体的な経験を持っており、その活動の経緯を以下にまとめた。

活動の開始時期は早い企業では2016年頃であり、次いで2018年～2019年、2021年～2022年に本格的に着手した状況であった。また、活動開始のきっかけとしては、欧州を中心とした海外でのPatient Engagemenet活動と製薬協のPatient Centricity活動の影響、企業経営陣や研究開発部門の役員・部門長の意向、また、近年ではPatient Centricityマインドセットを勉強した上で入社した社員の声などがあり、トップダウンとボトムアップの両方の動きが見られ、複数の企業では部門の年次事業目標に反映されていた。数年前までは、「企業の研究開発者は患者（被験者）さんと接することは極力避けるべきだ」という風潮の方が大きかったが、最近では積極的に取り入れていくべきだという風潮に変わってきているとの意見もあった。一方、企業内、特に開発部門内には温度差もあり、タイムラインに影響を及ぼす可能性があり、かつ、規制として必須ではないことであれば敢えて行う必要はないという意見も根強い。その解決策として実現可能な妥協策を講じている場合や社員の患者との対話への不安や懸念に関して対話を行う前段階のセミナー等を企画するなどの対応が見られた。

## 4.6 調査結果のまとめ

2019年4月にPPIガイドブックが公開されて以来の変遷を把握するために、患者団体宛に2018年調査と同様な質問を設定し、回答を得た。2018年の調査結果と2022年の調査結果では、「研究者を知っており、交流もある」団体の割合が20%ポイント増加しており、PPIの促進が図られつつあると考えられる。これを反映し、「当該疾患の研究について患者から意見を聴く必要性」も12%ポイント増加しており、患者団体としては必要性がより強く認識されていることが伺える。一方、「研究への患者・市民参画の過去5年間の経験」については、研究へのPPIが進んでいない可能性や、がん、難病ともに疾患あるいは患者団体による偏りが起こっている可能性が示唆された。「今後の施策」については、2022年の調査で「ガイドラインの策定」が多く挙げられたが、その背景として、PPIにおける利益相反への関心の高まりを示していると考えられた。この約4年の歳月にはコロナ禍をはじめ、これまでにない様々な出来事に見舞われたが、患者団体側のPPI活動への思いは従前に比べてより強くなっていると言える。

また、今回の調査では、患者団体と企業を対比する形で行ったが、研究開発に関する患者団体との交流がある企業が全体の3割、対象疾患に関する研究開発について患者から意見を聴く必要性については、患者団体は89%、企業は65%とバランスがとれていなかった。また、研究開発への患者・市民参画の過去5年間の経験については患者団体では、「医薬品等の研究開発に関する意見を求められたことはない」が13件と最も多く、企業側の対応、体制が十分でないことが伺える。これは、「企業と患者の交流」の歴史が浅いことにも起因していると考えられた。今後必要とされる施策については、患者団体、企業ともに「患者と研究開発者の適切な関係性を定めるガイドラインの策定」が最も多かったのは、企業と患者団体の関係性において個人情報保護並びに利益相反に関する関心の高さや懸念の大きさを表しているものと考えられる。

さらに、企業の回答について内資系、外資系に分類して集計したところ、顕著な差が認められた項目があり、以下に示す。

質問	内資系 (35社)	外資系 (17社)
研究開発している対象疾患に関する国内の患者団体を知っており、交流もある	23% (8社)	47% (8社)
対象疾患に関する研究開発について患者から意見を聴く必要性については、「必要と思う」	54% (19社)	88% (15社)
患者団体へ意見を求める場合にルール（規則、手順書など）を持っている	9% (3社)	65% (11社)
今後の施策において「ガイドラインの策定」が必要	86% (30社)	53% (13社)
今後の施策において「患者が適切な意見を言えるようになるための研修」が必要	34% (12社)	77% (13社)

これらの結果から、外資系企業において PPI 活動への取組や準備が進んでいるものと推察され、内資系企業ではガイドラインや規則の必要性を強く感じていることが伺えた。従って、現時点では企業における PPI 活動は導入初期から過渡期であると考えられた。

最後に、アンケート調査並びにヒアリング調査の結果を踏まえ、今後さらに PPI 活動を実りあるものとして推進していくためのアイデアをまとめた。

- ・ PPI に当たって求められる考え方は「患者のために」ではなく、「患者のために、そして、患者と共に」である。
- ・ 互いに対等な立場を求めるより、むしろ、互いの立場を尊重し、相互理解を進めることが肝要ではないか。
- ・ PPI において協働を目的としたコミュニケーションに求められているのは、対話であり、説得ではない。
- ・ 患者は、協議内容や意見・提案の採否に関する適切なフィードバックを求めている。
- ・ 患者は、医学研究や医薬品等の研究開発関係の人と接する際、疾患や症状を俯瞰的な見方を持って意見をまとめる能力を身につける必要がある。
- ・ 患者は研究者・医療者に対し、平易な言葉使いや当事者の想いを大切にすること、そして、人と人のつながりを重視する関係性の構築を求めている。
- ・ 真の顧客は「患者」(疾患を抱えた人)であり、PPI 活動を企業のイメージ戦略とすることなく、地道ながら、持続可能なあり方、やり方を構築すべきである。
- ・ 産官学連携の下、すべてのステークホルダーによって一つのことを成し遂げることが求められている。
  - ▶ 患者が適切な意見を言えるようになるための研修のプログラムを研究者・医療者、企業、行政など産官学連携で構築・提供する。
  - ▶ PPI のあるべき姿と達成に向けたロードマップをすべてのステークホルダーの意見交換で作り上げる場を設ける。

令和4年度 臨床研究等に対する国民・患者の理解・参画促進に関する動向調査  
報告書

令和5年3月

(委 託) 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構  
東京都千代田区大手町 1-7-1 読売新聞ビル 21 階

(受 託) EY 新日本有限責任監査法人