

# 第1回 日本における患者参画と ペイシエントエクスペリエンスデータ(PED)に 関するラウンドテーブル: PEDの体系的な実装に向けて

—オリジナル英語版は臨床評価ウェブサイトに掲載—

著者:八木伸高<sup>1,4</sup>, Hayley Chapman<sup>2</sup>, 星山真澄<sup>1,3</sup>, 石塚達樹<sup>4</sup>, 眞島喜幸<sup>5</sup>,  
永野克将<sup>6</sup>, 奥瀬正紀<sup>1,7</sup>, 杉原美希<sup>1,4</sup>, 鈴木竣介<sup>1,8</sup>, 手塚 瞬<sup>9</sup>, 松山琴音<sup>1,10,11</sup>

<sup>1</sup> 一般社団法人 YORIAILab, <sup>2</sup> The Synergists / Patient Focused Medicines Development,  
<sup>3</sup> メルクバイオファーマ株式会社, <sup>4</sup> 日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社, <sup>5</sup> 特定非営利活動法人パンキャンジャパン,  
<sup>6</sup> 株式会社三菱総合研究所, <sup>7</sup> 一般社団法人日本乾癬性疾患協会, <sup>8</sup> 会津大学, <sup>9</sup> 独立行政法人医薬品医療機器機構,  
<sup>10</sup> 国立研究開発法人国立成育医療研究センター, <sup>11</sup> 特定非営利活動法人患者中心の医療を共に考え共に実践する協議会

国立研究開発法人国立成育医療研究センターとの共催  
2025年10月18日、東京にて現地・オンラインハイブリッド開催  
本ラウンドテーブルは、国立研究開発法人国立成育医療研究センターの運営費交付金により実施した。  
—オリジナル英語版は臨床評価 53 巻 3 号下記ウェブサイトに掲載—  
Original English version is in the website of Clinical Evaluation Vol. 53 No. 1  
[https://cont.o.oo7.jp/53\\_3/53\\_3contents\\_e.html](https://cont.o.oo7.jp/53_3/53_3contents_e.html)

2025年10月18日、日本で初めての「患者参画とペイシエントエクスペリエンスデータに関するラウンドテーブル」を開催した。この国際ラウンドテーブル会議には、患者コミュニティ、アカデミア、医療従事者、規制当局、製薬産業界の代表者が参加した。

基調講演では、Hayley Chapman 氏が患者参画およびペイシエントエクスペリエンスデータ (PED: Patient Experience Data) の国際的な動向を概観し、PED は患者参画に取って代わるものではなく、共創や文脈化を通じた相補的役割を持つことを強調した。また、医療システムや医薬品開発における本質的な意思決定に PED を意味のある形で組み込むために患者と協働することの重要性が示された。

その後の議論では、日本における患者参画および PED の現状と、体系的な実装に向けた将来の可能性、ならびに臨床研究や規制の枠組みにおける課題について検討が行われた。本ラウンドテーブルを通じて、PED が患者コミュニティおよび医療アウトカムに真に資するものとなるためには、関係者間での明確な、共通の目的設定と、協働による行動が不可欠であることが改めて確認された。本会議は、患者の声が単に「聞かれる」だけでなく、医療および研究における意思決定に実質的に反映され、行動につながる形で活かされる、日本における患者中心のイノベーション推進に向けた重要な一歩となった。

キーワード: 患者参画、ペイシエントエンゲージメント、ペイシエントエクスペリエンスデータ(PED)、患者経験データ、患者・市民参画(PPI)、患者視点の医薬品開発、医療技術評価(HTA)、患者報告アウトカム、患者選好、グローバル PED ナビゲーター

## はじめに

近年、ペイシエントエクスペリエンスデータ (PED: Patient Experience Data、「患者経験データ」ともいう) は、患者視点の医療を推進するうえで極めて重要な概念として注目を集めている。PED と

は、疾患や治療に関する患者自身の経験について、患者から直接収集されるエビデンスを包含する量的および定性的な情報で、研究開発、臨床現場、政策立案など、幅広い分野における意思決定に活用することができる。PED への理解を深め、その意義を日本において共有することを目的として、一般社団法人 YORIAI Lab は、Patient Focused Medicines Development (PFMD) の協力のもと、マルチステークホルダー形式のラウンドテーブルを、2025 年 10 月 18 日、AP 東京八重洲にて開催した。開催にあたっては、「臨床評価」誌および特定非営利活動法人患者中心の医療を共に考え共に実践する協議会 (JPPaC) の後援を得た。本ラウンドテーブルには、患者コミュニティ、アカデミア、医療従事者、規制当局、製薬産業界、シンクタンクなど、多様な分野の関係者が一堂に会し、PED の定義、課題、そして今後の可能性について議論が交わされた。本報告書では、会議当日の主要な発表内容、議論の要点、および会議を通じて示された今後の方向性について、包括的にまとめる。

このイニシアチブには、創薬初期から臨床現場、さらには医療政策立案に至るまで、医療のさまざまな段階における患者参画の体系的な実装に尽力してきた人々が招待された。参加者はいずれも、患者・市民参画 (PPI: Patient and Public Involvement)<sup>1</sup>とも呼ばれる患者参画活動を積極的に推進しており、日本およびアジア太平洋地域における PED とその実装に強い関心を持っている。

本ラウンドテーブルは、このテーマにおいて初めて開催されたもので、11 名のパネリストが議論に参加したほか、1 名のグラフィックレコーダー、運営スタッフと複数のオブザーバーが参加した。会議には、患者参画と PED に関する国際的な議論を牽引してきた The Synergists の Hayley Chapman 氏を迎えた。議論はすべて英語で行われ、オンライン参加者向けには日本語の同時通訳が提供された。本ラウンドテーブルの目的は、表 1 に示すとおりであった。

表 1: ラウンドテーブルの目的

- |   |
|---|
| <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 医療における意思決定のための PED とは何かを理解し、その価値を最大化するために患者参画がどのように統合されるべきかを明らかにすること</li> <li>2. 目的 (用途) に適した (fit-for-purpose) PED の概念や、医療の各段階における実践例を含む、最新の国際的な議論について理解を深めること</li> <li>3. 日本における患者・市民参画 (PPI) の現状を踏まえ、患者参画および PED に関する可能性と課題を検討すること</li> <li>4. PED を体系的に実装するための第一歩として、優先的に取り組むべき領域を特定すること</li> <li>5. 日本における患者参画と PED のイニシアチブの役割、目的を明確にするとともに、ラウンドテーブル後も継続的な議論を担い、推進役 (チャンピオン) となり得る適切かつ関心を有する関係者を明確にすること</li> </ol> |
|---|

参加者は、約 3 時間にわたり、複数の重要なテーマについて将来を見据えた議論を行った。セッションは、「Designing Future Medicines Development with PE and PED」と題した Hayley Chapman 氏による基調講演から始まり、そこでは PED の概要が示された。続いて、日本における患者・市民参画

1 本稿では、日本において通常、患者参画に言及する際に用いられる「患者・市民参画 (PPI: Patient and Public Involvement)」に代わり、「患者参画」という表現を使用する。

(PPI) の現状について、患者コミュニティ、アカデミア、臨床現場、規制当局、製薬産業界、ならびに医療技術評価 (HTA : Health Technology Assessment) <sup>2</sup>分野の参加者からの見解が共有された。最後に、患者参画を体系的に実装するための機会や、直ちに取り組むことが可能な実践例について検討が行われ、議論が締めくくられた。

## Designing Future Medicines Development with PE and PED—Hayley Chapman 氏による基調講演

ラウンドテーブルの開会にあたり、基調講演では、患者参画および PED とは何か、PED がどのように、どこで活用されているのか、誰が利用しているのか、PED に関する活動をサポートする実用的ツールの活用を含め、世界的にどのような動きがあるのかについて説明された。

この目的は、単に概念を明確にすることにとどまらず、議論を実際の意味決定の文脈に位置づけ、患者参画と PED を意味のある形で統合することにより、規制、医療技術評価 (HTA)、臨床、政策上の意思決定やアウトカムをいかに強化できるかを検討することであった。

### 1. 患者参画と PED とはなにか

まず、簡単なイラストを使って、重要な視点が共有された(図 1<sup>3</sup>)。

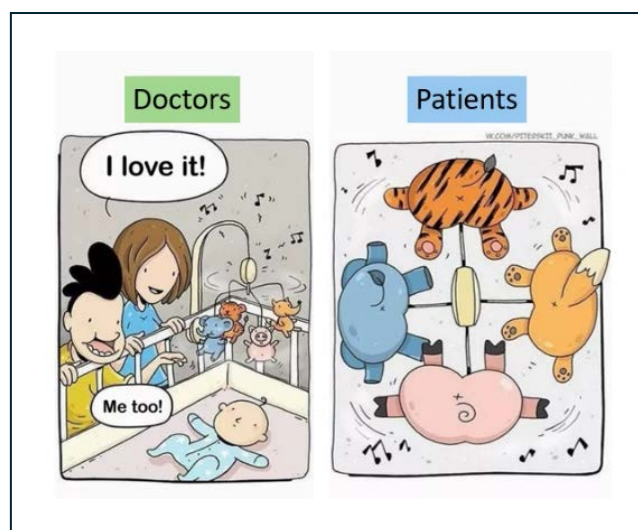


図 1: 見え方は少々異なる

臨床医や医療システムの中にいる立場から見ると、ベビーベッドの上に吊るされたモビールを見て、「いいね！赤ちゃんが喜んで」と感じるかもしれない。

しかし、立ち止まって患者の視点から見てみると、その見え方はまったく異なる可能性がある。

2 日本における医療技術評価 (HTA) は、新規医療技術 (医療製品) の費用対効果に基づく価格調整の補助的プロセスとして実施されており、製品が保険償還されるかどうかの意思決定に直接的な影響を与えるものではない。[参照: <https://c2h.niph.go.jp/en/> (アクセス日: 2026 年 1 月 18 日)]

3 Jill Feldman ISMPP 発表資料, 2024 年.

この視点の転換こそが患者参画の本質である。「医師」を、産業界、規制当局、あるいは医療技術評価（HTA）機関に置き換えてもその教訓は変わらない。患者参画とは、医療システムと、患者やその家族が日々直面している現実との接点を認識することである。

患者参画の本質は、次の点にある。

- 協働と相互学習
- 価値を認められること、そして価値ある存在であること
- 受動的な意見聴取ではなく、能動的かつ意図的な参加

患者参画は、患者本人だけでなく、介護者、患者家族、そして疾患を抱えて生活する人や治療を受ける人を支える周囲の人々も含むものである。

### PED の定義

米国食品医薬品局（FDA：Food and Drug Administration）<sup>4</sup>が採用する定義によれば、PED には以下に関する患者からのエビデンスが含まれる。

- 症状および機能への影響
- 生活の質
- 治療に関する経験
- 意味のあるアウトカムに関する見解
- 治療に関する選好やトレードオフ



言い換えると、PED は、疾患とともに生活している場合であれ、治療を受けている過程であれ、患者が実際に何を経験し、何に価値を置いているのかを捉えるものである。

重要な点として、PED は患者選好研究や患者報告アウトカム（PRO：Patient-Reported Outcome）に限

---

4 US Food and Drug Administration. US patient-focused drug development: collecting comprehensive and representative input. Silver Spring (MD): FDA; 2020 Jun. [参照：<https://www.fda.gov/media/139088/download>（アクセス日：2026年1月18日）]

定されるものではない。PED は、以下のような多様な手法を通じて創出されうるものである。

- 臨床アウトカム評価(COA: Clinical Outcome Assessment)
- デジタルヘルス技術
- バイオマーカー
- インタビュー、フォーカスグループ、観察などの定性的手法

PED は、新しい製品の規制当局への承認申請の文脈で語られることが多いが、その価値はそれにとどまらない。PED は、以下のような幅広い領域に貢献しうるものである。

- 医療システムのデザインへの示唆
- 患者団体のアドボカシー活動や政策提言の支援
- 臨床現場における共同意思決定の促進

## 2. PE と PED の統合がなぜ重要なのか

患者参画と PED は異なる概念であるが、その真の力は両者を統合することによって発揮される。

前述のとおり、PED はアンケート調査、フォーカスグループ、あるいは PRO などを通じて収集することが可能である。しかし、患者コミュニティとの意義ある患者参画がなければ、

- どのような問いを立てるべきか
- どのように、またいつ問いを投げかけるべきか
- 誰に問いかけるべきか

といった点が十分に検討されず、結果として得られるデータが不完全であったり、目的からはずれていたり、十分な意味を持たなかったりするリスクがある。

PED のデザイン、解釈、文脈化の過程に患者が参画することで、得られるエビデンスは、患者コミュニティにとって真に重要なことを反映したものとなる(図 2)。

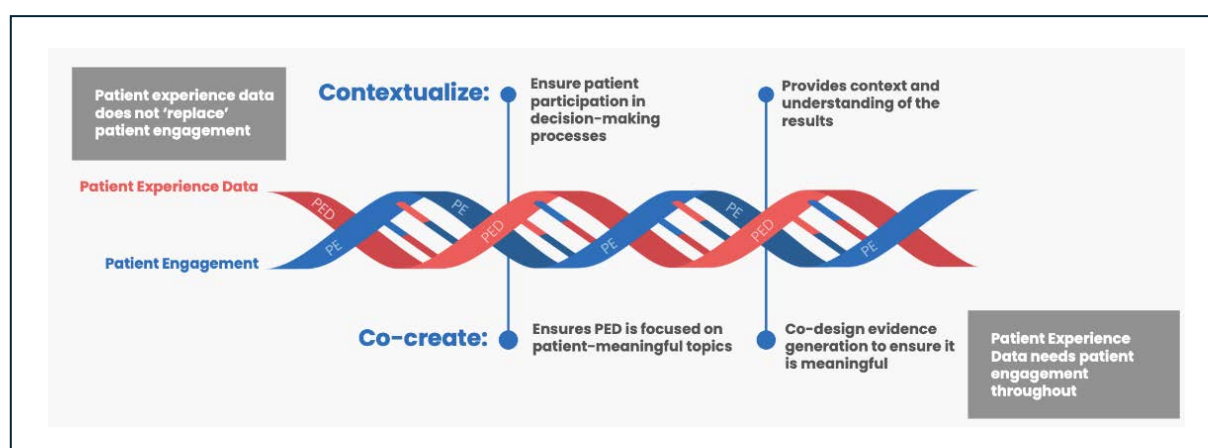


図 2: 患者参画と PED の統合

### 3. 世界的に起こっていること

近年、とりわけ規制当局と医療技術評価(HTA)機関を中心に、患者参画と PED をより重視する方向への明確な変化が世界的に見られる。

英語で公開されている規制や医療技術評価(HTA)に関連する文書やワークショップをレビューしたところ、以下の点が確認された。

- 約 75%の資料が、患者参画に言及している
- 約 46%の資料が、PED に言及している
- 約 30%の資料が、患者参画と PED の組み合わせについて明示的に取り上げている<sup>5,6</sup>

数年前に実施した同様の分析と比較すると、これらの数字は十分に意味のある増加を示している。

この動きは、北米や欧州に限られたものではなく、アジア太平洋地域においても徐々に顕在化している。

最近の具体例としては、以下が挙げられる。

- 米国 FDA<sup>7</sup>によるワークショップにおいて、臨床試験開始前のトランスレーショナル段階など、可能な限り早期から患者が参画することの重要性を強調している。
- 欧州医薬品庁(EMA: European Medicines Agency)<sup>8</sup>の PED に関するリフレクションペーパーでは、

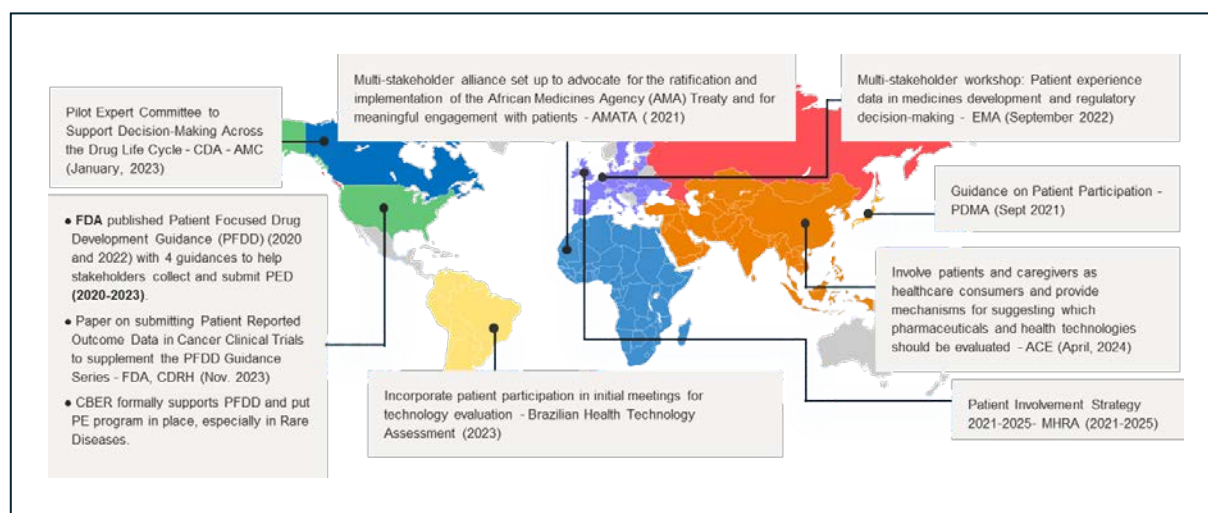


図 3: 規制当局や医療技術評価機関では患者参画と PED への関心が高まっている

5 Bertelsen N, Oehrlein E, Lewis B, Westrich-Robertson T, Elliott J, Willgoss T, et al. Patient engagement and patient experience data in regulatory review and health technology assessment: where are we today? *Ther Innov Regul Sci*. 2025 Jul;59(4):737–752. doi:10.1007/s43441-025-00770-6

6 Bertelsen N, Dewulf L, Ferrè S, et al. Patient engagement and patient experience data in regulatory review and health technology assessment: a global landscape review. *Ther Innov Regul Sci*. 2024;58:63–78. doi:10.1007/s43441-023-00573-7

7 US Food and Drug Administration. Patient-focused drug development: workshop #2 to discuss methodologic and other challenges related to patient experience data; 2025 Sep 18–19. [参照: <https://www.fda.gov> (アクセス日: 2026年1月18日)]

8 European Medicines Agency. Patient experience data (PED): reflection paper. Amsterdam: EMA. [参照: <https://www.ema.europa.eu/en/patient-experience-data-ped-reflection-paper> (アクセス日: 2026年1月18日)]

医薬品開発の最も初期の段階から PED を体系的に考慮することを明示的に求めている。

世界の規制および医療技術評価(HTA)システム全体(図 3)において、早期に患者の意見を収集することがより適切な計画策定、関連性の高いエビデンスの生成、ひいては患者のアンメットニーズとの整合性の向上に寄与するという認識が高まりつつある。

注目すべき点として、投資家コミュニティも患者参画と PED に注目しており、これらが投資判断のリスク低減や長期的価値の強化に役立つことが認識されつつある。

#### 4. 依然として解決すべき障壁

こうした進展にもかかわらず、依然として重要な課題が存在する(図 4)。主な課題は以下のとおりである。

- 患者団体の役割に対する認識が十分に広がっていない
- 患者参画と PED の統合が十分でない
- 規制や医療技術評価(HTA)の求める基準が明確でない

これらのギャップは、より明確なフレームワーク、共通の言語、実践的なツールの必要性を示している。

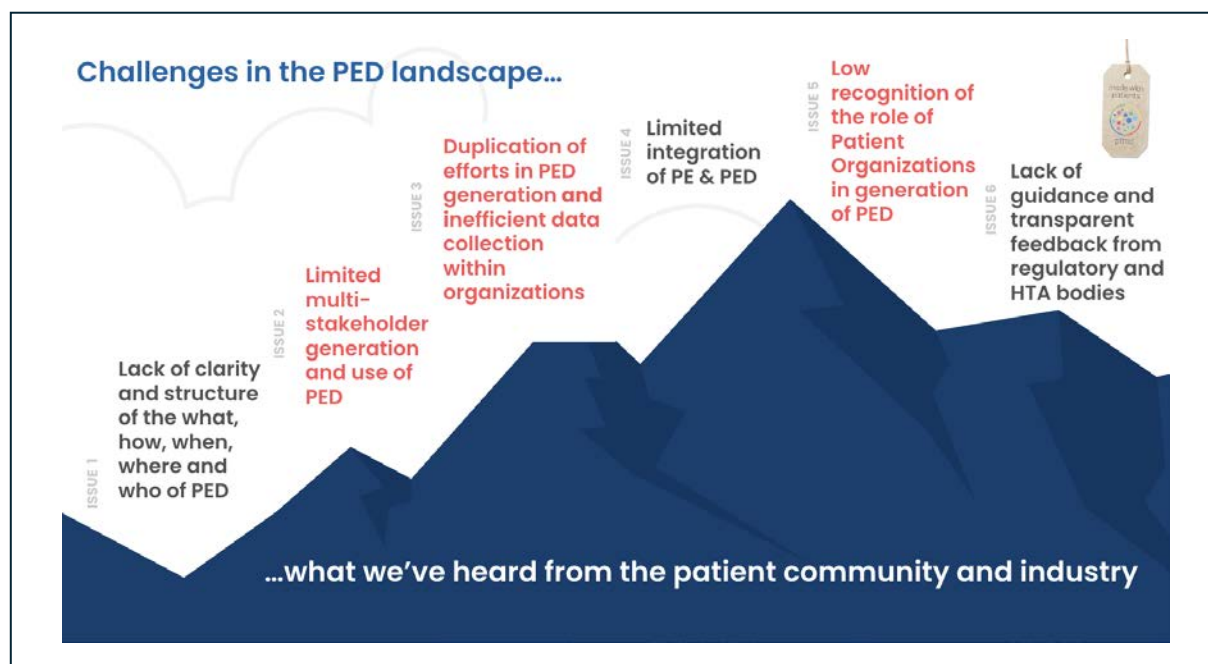


図 4: 規制や医療技術評価上の意思決定における患者参画と PED に対する障壁

#### PFMD の貢献: 原則から実践へ

PFMD による患者参画と PED に関する取り組みでは、以下の 4 つの核心的原則に焦点を当て、前述の課題に対応している。

1. PED のデザインから普及に至るすべての段階で、患者参画を組み込むこと
2. PED の基盤として、患者にとって最も重要な事項を測定すること

3. エビデンスに基づく意思決定のため、関係者間で協働し PED を構築、活用すること
4. 製薬産業界、患者団体、その他関係者横断的に、PED を効率的かつ効果的に収集、活用すること

本プロジェクトには 50 以上の組織から 500 名以上の個人が参画し、共有資料や出版物の作成に貢献している。これにより、この分野の議論をより明確かつ一貫したものにすることを目指している。

## 5. グローバル PED ナビゲーター:実践的な対応

PFMD の重要な資料のひとつが、実践を支援するために共同開発したグローバル PED ナビゲーター (Global PED Navigator) である。当初は英語で開発したが、現在では日本語でも利用できる。このナビゲーターは、ユーザーが次の 5 つの基本的な問いに答えることを支援している。

- 患者にとって最も重要なことは何か？
- それはどのように測定されるのか？
- 誰が関わるのか？
- PED をいつ活用するのか？
- なぜ PED を活用するのか？

ナビゲーターは、4 つの相互に関連するテンプレートで構成されている (図 5)。

- 患者の経験が影響を与える領域を特定するテンプレート
- 測定アプローチおよび手法をマッピングするテンプレート

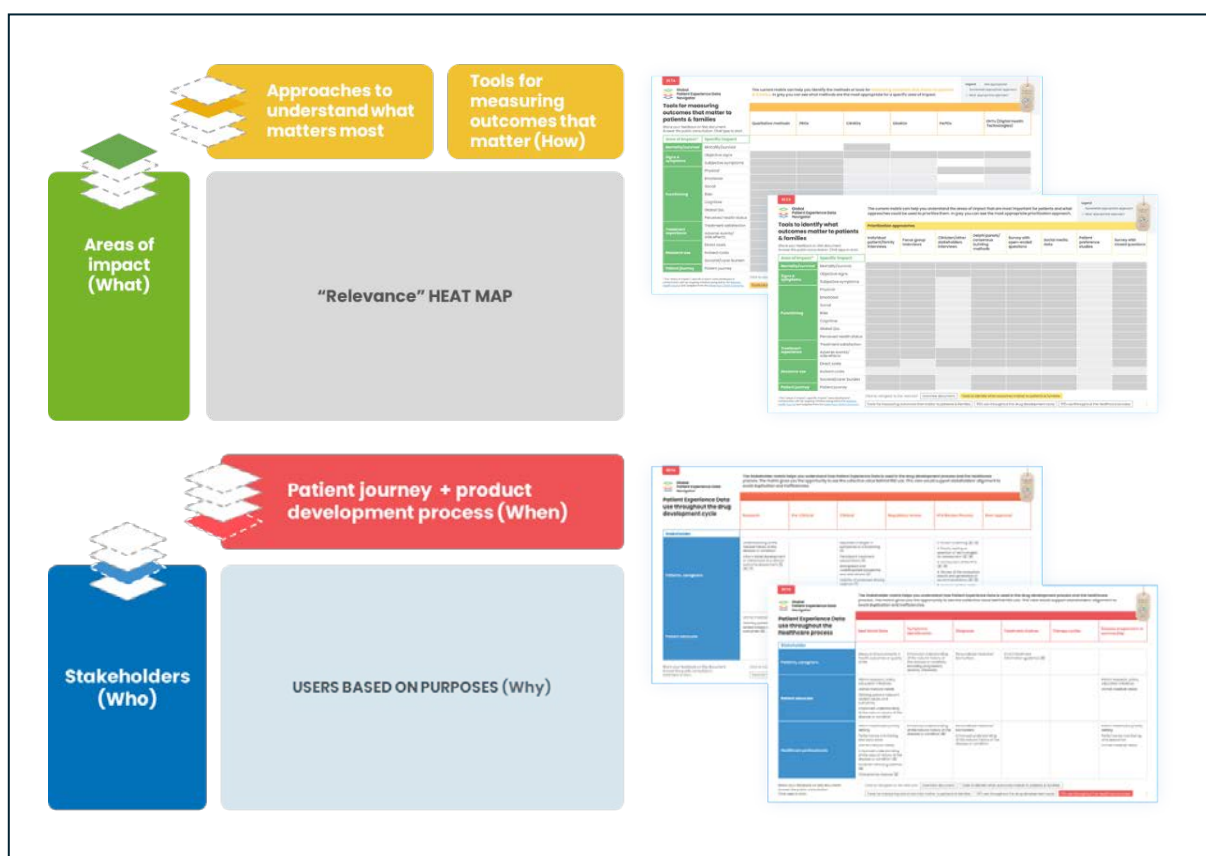


図 5: グローバル PED ナビゲーターの 4 つのテンプレート

- ステークホルダーの関わりを理解するテンプレート
- ペイシエントジャーニーのどの時点で PED を意思決定に活用するのかを明確にするテンプレート

また、ワーキンググループは、PED の 4 つの主要なステージも定義している。

- デザインと計画
- データの生成と収集
- 分析と解釈
- コミュニケーションと活用(図 6)

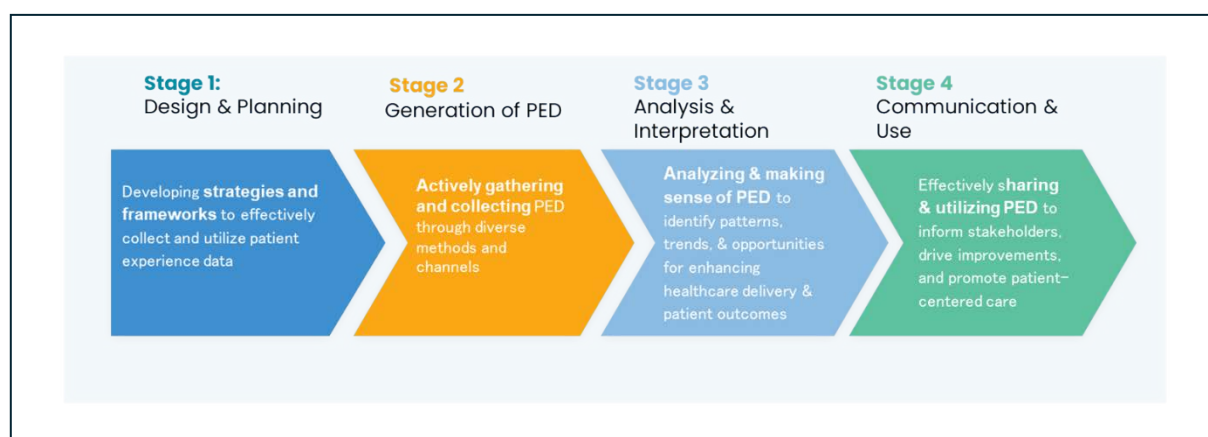


図 6: PED の生成と活用における 4 つのステージ

それぞれのステージには、患者参画活動を実践する具体的な機会が存在する。これを踏まえ、PFMD は現在、各 PED ステージに沿った参画活動を推奨するため、患者参画と PED を統合したナビゲーターを共同開発している。

また PFMD では、患者の経験が影響を与える領域をより広範に捉えることに着目している。感情的・社会的機能や介護者の負担などを含め、特に医療技術評価(HTA)の観点から社会的影響について検討を行っている。

## 6. 日本およびアジア太平洋地域の患者参画コミュニティの強化

最後に、アジア太平洋地域のコミュニティでも患者参画が積極的に拡大し、グローバルな取り組みへの活発な参加も始まっている。

これにより、次のことが可能になっている。

- 主要な患者参画ツールおよび資料の翻訳
- ウェビナー、オンラインセッションや対面での会議
- 日本およびアジア太平洋地域の状況に沿った地域視点での議論(図 7)

これらの取り組みは、患者参画と PED に関する地域レベルでの能力強化を支援するとともに、よりグローバルなアプローチの実装へも貢献している。

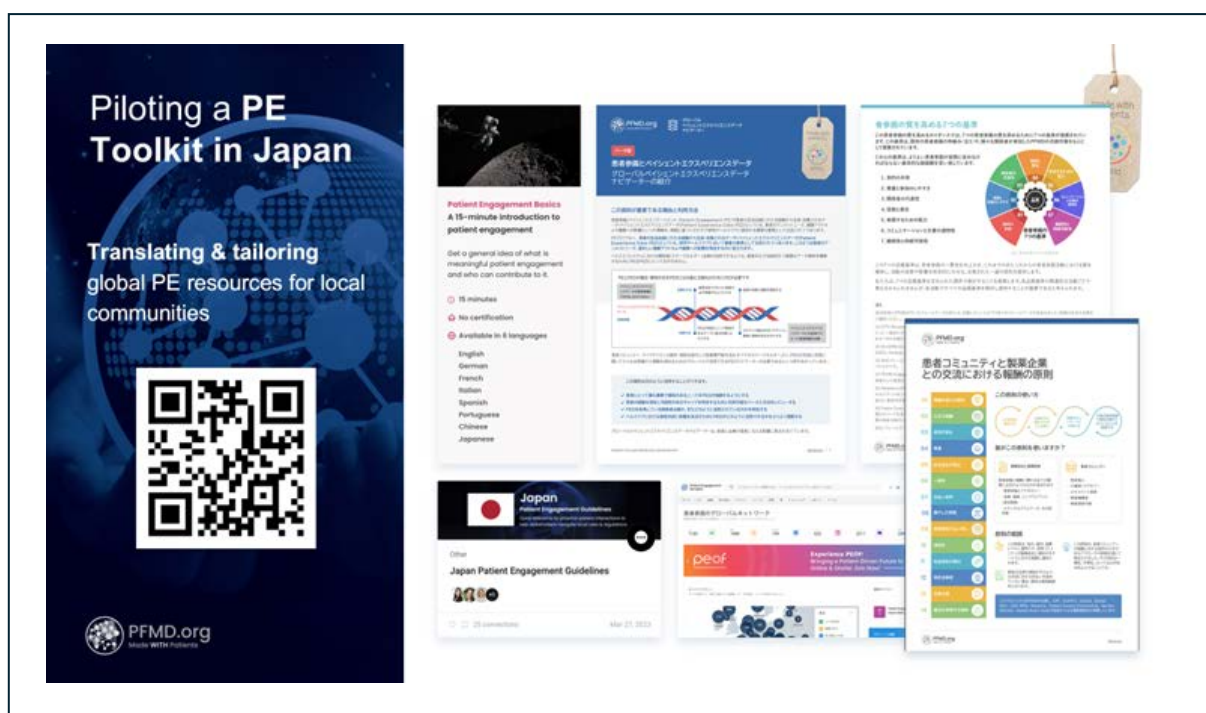


図 7: PFMD の提供する日本語版の患者参画のためのツール

## 基調講演を聞いて—現地での Q&A

臨床試験における PED の活用には質の保証が重要であるが、それはどのようになされるのか？

- これは非常に難しい課題だが、規制当局が今言っているのは「早い段階で相談に来てください」ということ。これは、開発中の特定の臨床試験や製品にとって理にかなっており、製薬産業界の視点からも同様である。また、患者団体による取り組みも素晴らしく、これまでの成果を補完するために活用できる手法やツールの特定が進んでいる。たとえば GlobalSkin では、患者自身が定義できるように、非常に丁寧に包括的なプロセスを経て独自の PRO を開発している。現在では、その PRO は信頼性の高い、妥当なツールとして認識されている。

患者コミュニティとどのように関わり、患者参画や PED を推進していくのか？

- 患者団体やコミュニティによって成熟度が異なるため一概には言えない。組織の能力やリソースを考慮する必要がある。患者参画と PED を統合したナビゲーターは、状況をよりよく理解するための自己評価ツールを含め、さまざまな活動について推奨や提案を行ってくれるものである。これまでに患者参画活動を実施した経験はあるか、小規模組織か大規模組織か、製薬企業か、また実施のためのリソースや能力をどの程度有しているかといった問いへの回答が、各種活動を選別するフィルターとして機能する。重要なのは、小さく始め、徐々に力量を高め経験を積むことで、最初から高すぎる目標を設定しないことである。

新薬の承認を得るために PED を提出することに利点はあるのか？

- 現状、PED は世界のどの国や地域においても規制や医療技術評価(HTA)のプロセスを通じて義務化されてはいない。PED を提出するかどうかは各組織の判断に委ねられている。英国医薬品・医療機器規制庁(MHRA: Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency)は、かつて PED の義務化を提案したことがあったが、それは約 6 か月で撤回された。義務化すると「実施した」形式的にチェックするだけに陥り、その質や意義が考慮されなくなると判断されたためである。近年では、米国 FDA、EMA、カナダの医療技術評価(HTA)プロセスにおいて、PED の提出が強く推奨されている。興味深いのは、FDA と EMA 双方が「早期の段階から患者の声を組み込むための対話が始められていることに十分な確信が得られれば、申請のため、第 3 相試験の前後で大規模な PED 研究を追加で行う必要はない必ずしもない」と述べている点である。初期段階の対話や臨床試験で十分な患者の参画が実現していれば、患者の声は既に反映され、追加の PED 研究が不要になる可能性がある。
- 規制の観点では、安全性と有効性が最も重視される。製品が安全でなく、または有効でない場合、PED がどれだけ利用できたとしても判断が変わることはない。しかし、製品が安全で有効であれば、PED は意思決定のバランスに影響を与える。医療技術評価(HTA)レベルのエビデンスでは、製品が安全かつ有効である状況において、PED がその製品へのアクセスや利用可能性の判断に大きな影響をもたらすと示唆される。PED が、患者や介護者の生活、労働生産性、その他の面について大きな説得力を持つ場合があるからで、結果として、PED が社会的影響をより明確に示すことができるからである。



承認申請において、どの程度 PED が活用されているかを知るためのデータはあるのか？

- FDA と EMA は両者ともデータに関する報告書を公表している。ただし、FDA にとっての課題は、企業から提供された PED がどこに格納されているのか把握しにくいことである。提出されたファイルが適切にラベリングされていなかったり、データがどこにあるか、どの問いに答えようとしているのか、何を示しているのか明確に示されていないことが多いためである。

## 体系的アプローチと即践の機会、そして今後の展開：日本における患者参画と PED

本ラウンドテーブルでは、続いて、患者参画の現状を検討し、PED への理解を深め、患者参画と PED を体系的に実装する機会について議論が行われた。PED は、患者視点の医薬品開発および医療システムにおいて不可欠な要素になってきている。PED は、疾患、治療、治療アウトカムに関する患者の経験や視点を構造化され、十分に検証された形で示すもので、臨床開発、規制評価、医療技術評価 (HTA)、臨床現場、医療政策の策定に組み込むことが可能である。これにより、より患者視点に立った医療イノベーションの開発が可能となる。北米や欧州ではこの傾向がますます顕著になっている。日本においても、近年 PED への関心は徐々に高まってきているが、患者コミュニティの参画を保証する体系的な実装は十分とは言えない。本ラウンドテーブルでは、日本における PED の体系的アプローチの導入が強調され、概念の理解から実践へ移るための具体的な戦略の必要性が指摘された。

PED の導入や患者参画の深さ・スコープは、ステークホルダーや組織によって異なる。それでも、体系的なアプローチ、明確な目的、測定可能な成果指標、そして PED の生成と活用の各段階における患者参画が実現すれば、PED は医薬品開発や医療の評価における患者視点の意思決定に対して、堅牢で信頼性の高いデータになるという点での共通認識が得られている。参加者はさらに、患者の視点を日常生活への影響、治療の副作用、患者の優先事項など、具体的かつ実行可能な点へ落とし込むことの重要性を強調した。収集すべき患者の意見の種類を明確にすることで、患者参画の効果が高まり、意思決定に確実に反映できるものとなる。

直ちに取り組むことができる機会として、医薬品開発の初期段階における患者参画が挙げられる。これには、ターゲットプロダクトプロファイル (TPP: Target Product Profile) の策定や臨床開発プログラムの計画が含まれる。早期に患者参画を行うことで、患者にとって重要な評価項目の特定、患者負担の評価、そしてその後の臨床試験の最適化のために、患者の経験を活用することが可能となる。プロトコル作成の段階で既に一部実践は行われているが、臨床相に入る前のさらに早い段階で患者の知見を組み込むことで、臨床試験をより患者視点に、効率的に、かつ実臨床のニーズに沿ったものにすることができる。

本ラウンドテーブルの議論では、研究者および医療従事者に対する患者参画の教育・研修の必要性も強調された。非臨床研究者は、しばしば物質レベルの成果に焦点を当て、患者の視点を見落とす傾向がある。PED を早期の戦略立案に組み込むには、開発初期における判断が臨床現場での影響を反映するよう、研究者には患者のニーズや優先事項を理解することが求められる。

参加者はまた、PED の適用を臨床試験デザインの枠にとどめず、その範囲をさらに広げることについても議論した。規制当局の審査、医療技術評価 (HTA)、臨床現場に患者の知見を取り入れることで、実臨床における治療効果、忍容性、患者負担の理解を向上させることが可能である。しかし、日本においては、

これらの意思決定プロセスに PED による知見を体系的に組み込む仕組みはまだ整っていない。



さらに重要な課題として、PEDの取り組みを文書化・公表することが挙げられた。日本におけるPED活動の多くは組織内部にとどまっており、可視性が低く、広範な活用が妨げられている。公表は、手法の信頼性を検証し、実践的な影響を示し、関係者への普及を促進する上で重要である。報告書には、データだけでなく患者参画の成果、すなわち患者の意見がどのように試験デザイン(例えば、評価項目の選定や実施上の実現可能性)を改善し、参加者の負担を軽減し、研究成果の妥当性や質を向上させたかを示すことが求められる。このような普及活動により、患者参画およびPEDが医療における意思決定に不可欠であることの理解が深まる。

透明性の確保やフィードバックの仕組みについても繰り返し強調された。日本では、患者の意見は収集されても、それをどう活用したかについてはほとんど説明されず、信頼が損なわれさらなる参画が得にくくなることにつながっている。これに対し、国際的な取り組みでは体系的なフィードバックが実践されており、組織は、どの提案を採用したのかを明確に伝えるだけでなく、採用されなかった場合、その提案がなぜ採用されなかったのかも説明している。日本においても、同様の仕組みを導入することが、PEDを持続的に組み込むために不可欠である。

## 次のステップ

これまで議論された機会や具体的事例を踏まえ、参加者は、日本におけるPEDの体系的な実装を推進するため優先的に取り組むべきアクションを特定した。

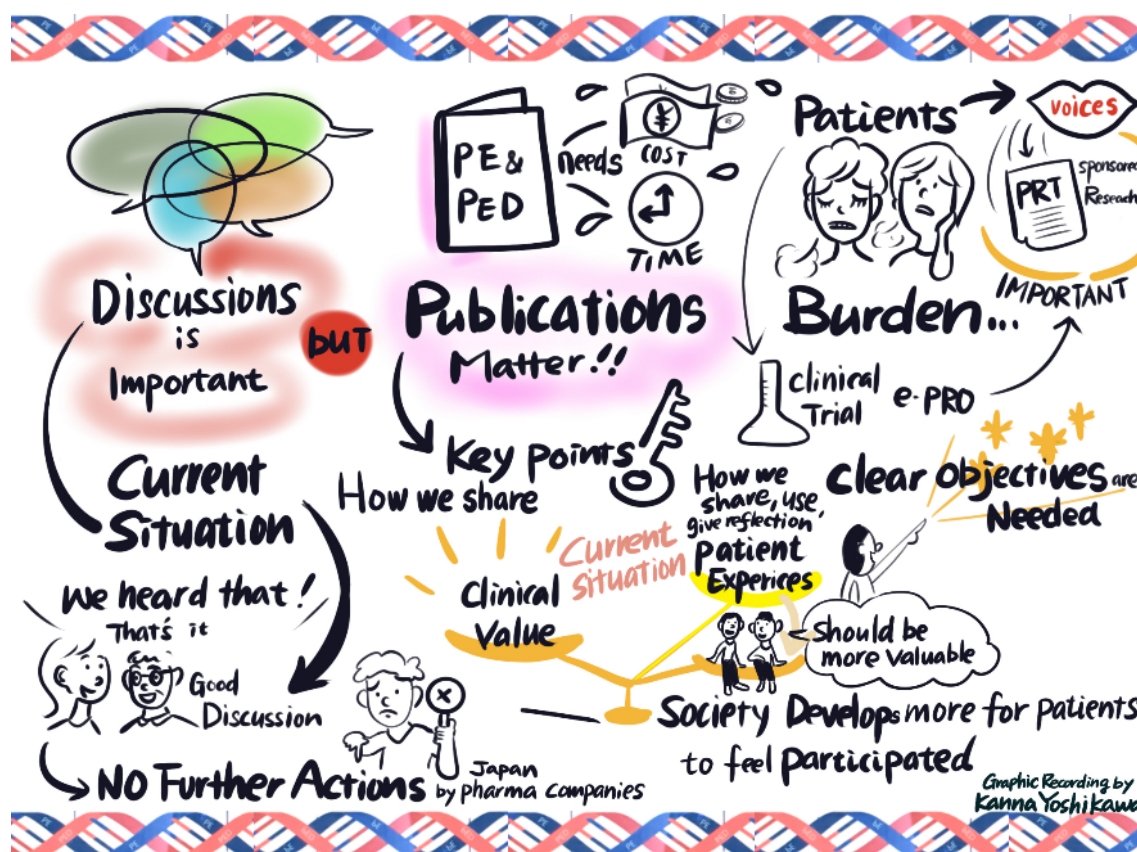
第一に、PEDを収集し、分析し、組み込む体系的なフレームワークを構築する必要がある。これらのフレームワークでは、患者の知見が体系的に収集され、実行可能な成果へと転換されるようにするために、目的、方法、報告基準を明確に定義すべきである。計画、分析、報告、コミュニケーションを重視したPFMDのフレームワークに加え、グローバルPEDナビゲーター、さらに患者参画とPEDを統合した拡張版ナビゲーターは、実務的に活用できる資料として紹介された。患者団体が、治療の

負担、疾患の影響、医療上の優先事項について、具体的かつ実行可能なフィードバックを提供できるよう支援することも重要である。これらの取り組みにより、一部の患者から断片的に意見を収集する従来の方法に依存するのではなく、医療開発および意思決定のあらゆる段階において、PED が体系的に活用され、価値あるものとして活用される文化を醸成することが期待される。また、日本の医療環境および社会文化的背景を反映した包括的な学習プログラムや実践型トレーニングの整備も望まれる。

第二に、事例研究や出版物の普及が不可欠である。報告内容には、収集された患者のデータそのものに加え、患者参画によって得られた成果—例えば、研究参加者の募集改善や満足度向上—を含めるべきである。こうした出版物は、PED 活動の有効性を示すだけでなく、他の組織が再現可能なモデルを提供することにもつながる。

第三に、透明性の高いフィードバックおよびコミュニケーションの仕組みを常に実装する必要がある。患者に対しては、自身の意見がどのように検討され、どの提案が採用され、どの提案が採用されなかったのか、また採用されなかった場合はその理由について説明されるべきである。これにより信頼が醸成され、さらなる参画が促進されるとともに、患者の知見が医療上の意思決定において有効かつ意味のあるものとなる。フィードバックの仕組みは、PED の生成と活用を最適化するよう、異なる関係者や組織間に広げられるべきである。

第四に、PED は開発ライフサイクルの早期から継続的に適用されるべきである。戦略立案やターゲットプロダクトプロファイル (TPP) の策定から、プロトコルデザイン、試験の実施、規制当局による審査、医療技術評価 (HTA) に至るまで、早期の患者参画により患者の優先事項が意思決定に反映



され、臨床試験の妥当性、効率性、質の向上が期待される。このアプローチは、後期段階において大量の PED を生成する必要性を低減する。また、あらゆる関係者に対する能力開発・体制強化および意識改革が重要である。

最後に、継続的なマルチステークホルダー対話が不可欠である。製薬産業界、アカデミア、規制当局、患者コミュニティ間の継続的な協働は、PED の方法論の洗練、ベストプラクティスの共有、影響評価のために必要である。定期的な議論、知識共有、フィードバックのための場を確立することで、PED が日本における臨床開発および医療プログラムを改善するための、堅牢で持続可能なツールとして発展していくことが期待される。

## おわりに

参加者は、本ラウンドテーブルが将来を見据えた建設的な議論の場となったことを高く評価するとともに、信頼性の高い PED を生成、活用する上での患者参画の重要性を再確認した。議論の結果、PED を推進するには、体系的なアプローチ、早期かつ意義のある患者参画、透明性の高いフィードバック、成果の公表と普及、組織力強化と能力開発、そして関係者全体における行動や考え方の変容が必要であることが明らかになった。参加者は本イニシアチブの継続的推進に賛同するとともに、日本における PED の実践をさらに進めるために、持続的な対話と十分なリソースの確保が必要であることを強調した。

## 謝辞

本ラウンドテーブルの主催者は、基調講演を務めてくださった Haley Chapman 氏に心より感謝申し上げます。また、著者としての名前の掲載はないものの、議論や質問、ネットワークづくりなどを通して会議に貢献してくださった多くの参加者のみなさまにも、深く感謝いたします。特に、広田沙織氏、磯田茉鈴氏、甲斐寛人氏、鍛美智子氏、鍛菜優氏、大西順子氏、柴山春奈氏、田丸一磨氏、内田和希氏、内田浩一郎氏には、さまざまな場面でご協力をいただきました。ここにあらためて感謝を申し上げます。また、運営チームのみなさんの支援にも心から感謝いたします。杉原真司氏には臨場感ある映像を、吉川観奈氏には分かりやすく示唆に富むグラフィックレコーディングを制作していただきました。この場を借りて御礼申し上げます。



ラウンドテーブル参加者と運営チームのみなさん(2025年10月18日、AP東京八重洲にて)



会議のハイライト動画