

患者参画 (Patient Engagement) の 経済的価値の評価：CTTIの患者グループと 臨床試験プロジェクトからの定量的アプローチ*

Assessing the financial value of patient engagement: A quantitative approach from CTTI's Patient Groups and Clinical Trials Project

Bennett Levitan, MD, PhD¹⁾, Kenneth Getz, MBA²⁾,
Eric L. Eisenstein, DBA³⁾, Michelle Goldberg, MBA⁴⁾,
Matthew Harker, MPH, MBA⁵⁾, Sharon Hesterlee, PhD⁶⁾,
Bray Patrick-Lake, MFS⁷⁾, Jamie N. Roberts, MPH, MA⁷⁾,
and Joseph DiMasi, PhD²⁾

1 Janssen R&D, Titusville, NJ, USA

2 Tufts Center for the Study of Drug Development, Boston, MA, USA

3 Duke University, Durham, NC, USA

4 Johnson and Johnson, Titusville, NJ, USA

5 Duke-Margolis Center for Health Policy, Durham, NC, USA

6 Bamboo Therapeutics, Durham, NC, USA

7 Clinical Trials Transformation Initiative, Durham, NC, USA

訳 角内 章人¹⁾ 木下 雄登^{1,2)} 堀江 奈穂^{1,3)} 松山 琴音^{1,4)}

Translated by Akito Kakuuchi¹⁾ Yuto Kinoshita^{1,2)} Nao Horie^{1,3)} Kotone Matsuyama^{1,4)}

- 1) 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 Japan Partners for Patient-Centric Care)
- 2) 株式会社ピアハーモニー (PeerHarmony Inc.)
- 3) 北海道大学病院 医療・ヘルスサイエンス研究開発機構 (Hokkaido University Hospital Institute of Health Science Innovation for Medical Care (HELIOS))
- 4) 国立成育医療研究センター 臨床研究センター (Center for Clinical Research and Development, National Center for Child Health and Development)

投稿日：2017年2月28日 受理日：2017年5月23日

責任著者：Jamie N. Roberts, MPH, MA, Duke Clinical and Translational Science
Institute, Durham, NC, USA.

Email: jamie.roberts@dm.duke.edu

* 訳注：本記事は右記のCreative Commonsライセンスに基づく和訳である。原本：
Levitan B, Getz K, Eisenstein EL, Goldberg M, Harker M, Hesterlee S, Patrick-Lake
B, Roberts JN, DiMasi J. Assessing the Financial Value of Patient Engagement: A
Quantitative Approach from CTTI's Patient Groups and Clinical Trials Project.
Ther Innov Regul Sci. 2018 Mar;52(2):220-229. doi: 10.1177/2168479017716715.
Epub 2017 Jul 17.

Chat GPTのversion GPT-4o / GPT-4o miniを下訳に使用、訳者にて全文を確認。
本稿発表にあたり、文部科学省科学技術人材育成費補助事業「ダイバーシティ研究
環境実現イニシアティブ」令和6年度選定機関である国立成育医療研究センターの
成育女性リーダー育増プロジェクトの支援を受けた。

Therapeutic Innovation
& Regulatory Science
2018, Vol. 52(2) 220-229
© The Author(s) 2017

Reprints and permission:
sagepub.com/journalsPermissions.nav
DOI: 10.1177/2168479017716715
tirs.sagepub.com



抄録

背景：患者団体、規制当局、スポンサーは、臨床開発プログラムの設計と実施への患者参画を検討するようになってきているが、スポンサーは、投資収益が不確実であるため、パイロットプログラム以上の実施には消極的であることが多い。我々は、患者参画による経済的価値を推定するアプローチを開発した。

方法：期待正味現在価値 (ENPV) は、コスト、時間、収益、リスクといった主要なビジネス推進要因を統合し、プロジェクト戦略やポートフォリオ決定のための要約指標とする一般的な手法である。我々は、フェーズ2またはフェーズ3に移行する典型的ながん開発プログラムについて、患者参画がENPVに与える影響を評価した。

結果：フェーズ2前のプロジェクトにおいて、患者参画活動によって、試験実施計画の修正を1回回避し、登録、試験手順の遵守や試験継続を改善する全体的な影響は、正味現在価値 (NPV) で6,200万ドル (フェーズ3前では6,500万ドル) の増加、ENPVで3,500万ドル (フェーズ3前では7,500万ドル) 増加であった。患者参画への10万ドルの投資と比較すると、NPVとENPVの増加は投資の500倍を超える。このENPVの増加は、フェーズ2前の製品上市を2年半早めることに相当する (フェーズ3前の場合1年半)。

結論：リスク調整された財務モデルは、患者参画の影響を評価することができる。経験的データと主観的パラメータ推定値の組み合わせにより、試験実施計画の修正を回避し、かつ/または登録、試験手続きの遵守や試験継続を改善する可能性のある参画活動が、相当な経済的価値を付加する可能性があることが示された。このアプローチは、スポンサーが患者参画への投資決定を評価するのに役立つ。

キーワード

患者参画、治療法の開発、期待正味現在価値、リスク調整済み財務モデル