



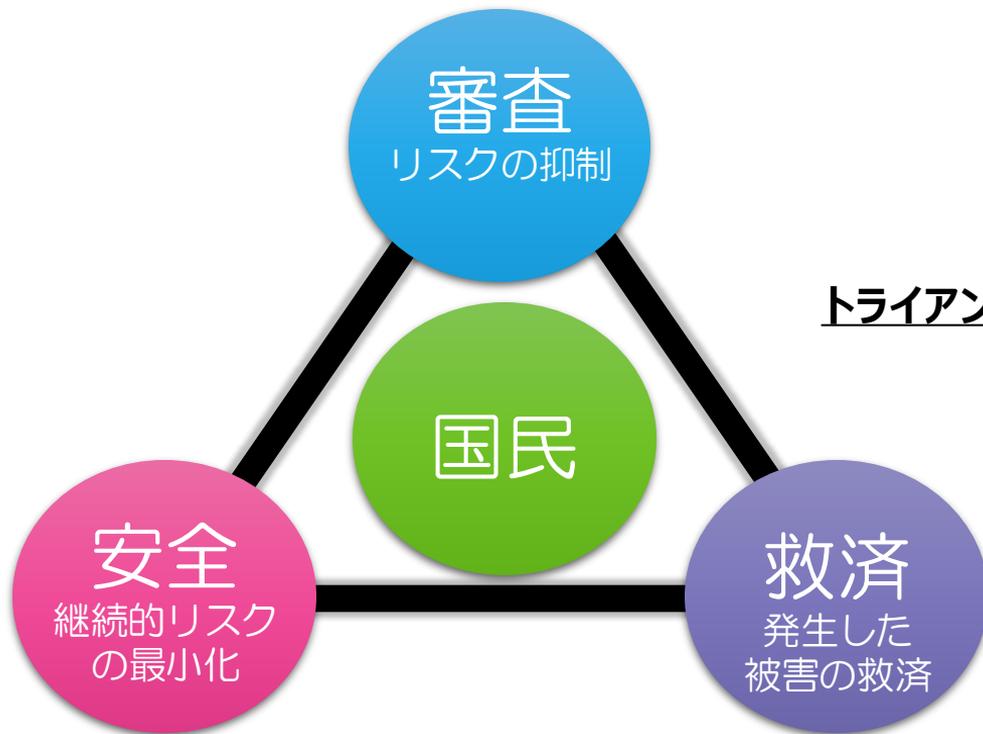
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

PMDAの患者参画活動

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA)

医薬等品行政評価・監視委員会_2024/12/23

PMDAの業務



トライアングルの中心は国民

患者参画に関するPMDAの取組み

■ 患者からの情報収集

患者副作用報告（試行：2012～、制度化：2019～）

- 医薬品による副作用が疑われる症例についての情報を、患者や家族の方から直接収集することにより、医薬品の安全対策に活用

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（2009～）

- 医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討等を行う

その他要望書受付 等

■ 会議体への患者参加

PMDA運営評議会 等


 ピーエムディーイー くすりの副作用が出たら、
Pmdaにお知らせください

患者副作用報告 

患者の皆様からの副作用情報を
受け付けています

- PMDAでは、患者ご本人やご家族からの副作用情報をくすりの安全な使用に役立てています。
- PMDAのウェブサイトからオンラインで報告できます。（郵送での報告も可能です）

(注) 副作用に関するご相談への対応は行っていません。

詳細は 



⚠️ ご注意 ⚠️

● ご報告いただいた内容に関する助言・調査結果等のご連絡、その他お問合せへの対応は行っていません。何卒ご了承ください。

※「医薬品副作用被害救済制度」による給付金請求は患者副作用報告とは別の手続きが必要で
 ます。詳細は [医薬品副作用被害救済制度](#) からご確認ください。



独立行政法人
PMDA 医薬品医療機器総合機構



厚生労働省

患者参画検討WG

■ 患者参画検討WG（2019年5月発足）

目的

医薬品の開発や安全対策について、患者さんの視点による課題をPMDAで共有し、患者とPMDAとで相互にコミュニケーションを図るためのPMDAの取組みを検討すること

活動内容

- ✓ 患者団体との意見交換のあり方の検討、意見交換会の実施
- ✓ 患者向け広報のあり方や窓口の設置のあり方の検討
- ✓ ガイダンスの作成




レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方

患者参画検討WG

よく見るページに追加 本文のみ印刷する

[Click here for English Pages](#) →

活動内容
患者参画や患者との協同に向けたPMDAの取組みとして、患者向け広報のあり方の検討や、患者活動とPMDAのかかわりのガイダンス作成等を行います。

開始時期
2019年5月

関連部署
経営企画部、新薬審査第一から五部、再生医療製品等審査部、ワクチン等審査部、医療機器審査第一から二部、安全性情報・企画管理部、医薬品安全対策第一から二部、審査マネジメント部、RS統括部等

これまでの活動について

- 『独立行政法人医薬品医療機器総合機構 患者参画ガイダンス』(2021年9月7日) を公表しました。(英語版は[こちら](#))
- [The outlook for Patient involvement in Medical Device Development - Japanese Regulatory View](#) (Japan-US HBD East 2021 Think Tank Meeting, Web講演、2022年1月)

発表実績（過去5年度分）

レギュラトリーサイエンス推進業務
レギュラトリーサイエンスセンターの概要
レギュラトリーサイエンスについて
研究推進業務
包括的連携・連携大学院
横断的基準作成プロジェクト
革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業
科学委員会運営業務
基準作成調査業務
シンポジウム・ワークショップ

<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/cross-sectional-project/0020.html>

患者団体との意見交換の一例
認定NPO法人ささえあい医療人権センター
(COML) における意見交換

PMDAにおける患者参画の基本的方針（ガイダンス）

- PMDAの業務における患者参画の推進に当たり、**PMDA及びその役職員が参照すべき活動指針を取りまとめたガイダンスを作成（2021年9月7日）**
- 患者の声・意見・要望を反映することにより、患者参画により“Patient First”というPMDAの取組みを具現化するとともに、患者の薬事行政や医薬品・医療機器等への理解と満足度の向上を図ることを目指す

PMDA 患者参画ガイダンス（2021年9月7日）

<https://www.pmda.go.jp/files/000242830.pdf>

<https://www.pmda.go.jp/files/000243407.pdf>（英訳版）

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 患者参画ガイダンス

令和3年9月7日
独立行政法人医薬品医療機器総合機構
患者参画検討ワーキンググループ

目次

I. 総論

(1) PMDAにおける患者参画の定義及び理念
(2) 本ガイダンスの目的
(3) PMDAにおける患者参画推進の基本的方針

II. 患者等からの情報の収集・反映

(1) 患者等からの情報の収集・反映について
(2) 患者等の声を収集する仕組み
① 患者団体との意見交換・勉強会の実施
② PMDAが開催する会議等への患者等の参加の検討
③ その他既存制度による情報収集
(3) PMDAの業務において得られる患者からの情報への対応
① 開発段階における患者参画活動への対応
② PMDAに直接寄せられる要望書等への対応

III. 患者等向け情報提供

(1) 患者等向け情報提供のあり方について
(2) 患者参画活動のために提供すべき情報
① 薬事行政に係る基礎的な情報発信
② 安全性情報等の積極的な情報発信
③ その他
(3) 情報提供に用いる媒体等
① PMDA ウェブサイトの充実
② 各種イベントへの参加及び開催
③ 各種資料等の充実
④ その他

IV. 用語の定義

1

IV. Definition of terms

PMDAにおける患者参画の基本的方針（ガイダンス）の概要

1. 「PMDA患者参画ガイダンス」の基本コンセプト

患者の声等の積極的な収集を行い、“Patient First”というPMDAの取組みを具現化する

患者等からのより効果的な情報収集が可能となるよう、患者等向け情報提供の充実に努め、PMDAの業務及び薬事行政に対する理解を深める

その双方によって患者参画の推進を図る

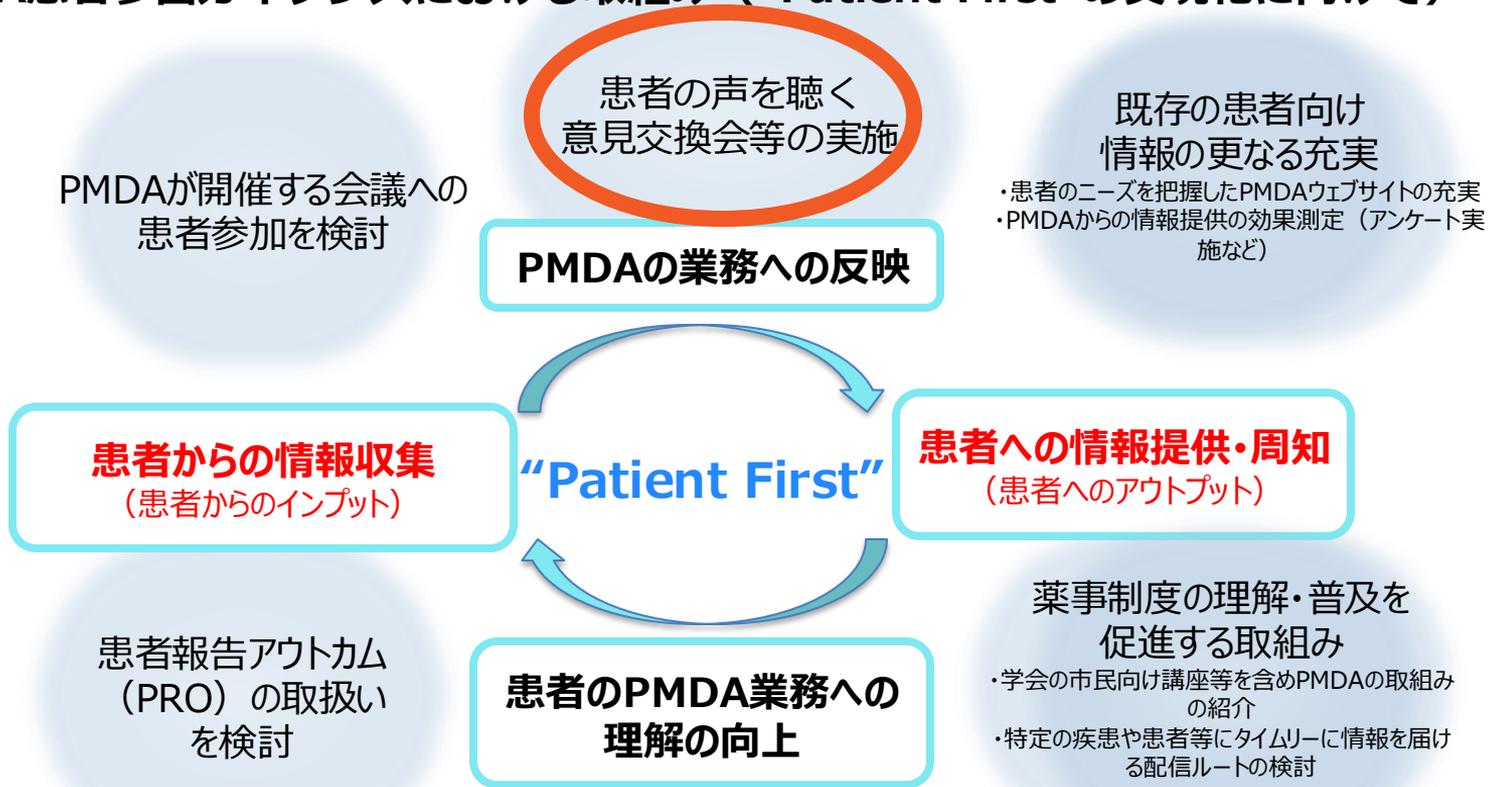
2. 患者等からの情報の収集・反映

患者等の声を収集する枠組み、PMDAの業務に置いて得られる患者からの情報への対応

3. 患者等向け情報提供

患者等向け情報提供のあり方、患者参画活動のために提供すべき情報、情報提供に用いる媒体等

PMDA患者参画ガイダンスにおける取組み（“Patient First”の具現化に向けて）



患者参画に関するPMDAの取組み

■ 患者・その家族の声を聴く場の設定と参画

➤ 患者・その家族による研修の実施

- ✓ PMDAの新任者向け、また全役職員等向け対象に、以下のような研修を毎年実施
 - 医薬品の副作用被害を受けた方やその家族等から健康被害の実態やその時代背景、教訓を通じて改善されたことなどについて講演（2005年度～）
 - 患者・その家族（全国がん患者団体連合会、ムコ多糖症、ALS、マルファン症候群）から闘病経験や新しい治療の開発への期待などについて講演（2019年度～）



患者さんからPMDA業務の社会的意義を学ぶ研修

2024/11/28開催

患者参画に関するPMDAの取組み

■ 患者・その家族の声を聴く場の設定と参画

➤ 患者セミナー・シンポジウムへのPMDA患者参画WGから参画

- ✓ 様々な学会等における患者セミナー・シンポジウムにPMDAから参加し、PMDAを知ってもらうこと、そして患者・その家族の声を直接聴き、業務に活かすことを目的に実施
 - 2024年は、JCOG患者・市民セミナーにPMDA患者参画WGを中心に10名の職員が参加
 - 今後も継続的に、同様の活動を実施予定

PMDA患者参画ガイダンスにおける取組み (“Patient First”の具現化に向けて)

PMDAが開催する会議への
患者参加を検討

患者の声を聴く
意見交換会等の実施

既存の患者向け
情報の更なる充実

- ・患者のニーズを把握したPMDAウェブサイトの充実
- ・PMDAからの情報提供の効果測定（アンケート実施など）

PMDAの業務への反映

治験相談（対面助言）において患者自身の治療の満足度をPROとして副次評価項目に追加することを提案したりもしている

患者報告アウトカム
（PRO）の取扱い
を検討

“Patient First”

患者への情報提供
（患者へのアウトカム）

さらに“患者の声”を活かした活動、情報発信へ

患者のPMDA業務への理解の向上

薬事制度の理解・普及を
促進する取組み

- ・学会の市民向け講座等を含めPMDAの取組みの紹介
- ・特定の疾患や患者等にタイムリーに情報を届ける配信ルートの検討

患者参画に関するPMDAの取組み

■ 薬事制度の理解・普及を促進する取組み

➤ 患者セミナー・シンポジウムへのPMDAの参画

患者セミナーやシンポジウムにPMDAから参加し、医薬品等の開発、審査、安全対策等の内容を説明

➤ 一般の方向けの発信情報の更なる充実

薬事制度の理解・普及促進に資する情報提供方法・媒体を検討中

患者参画に関するPMDAの取組み

■ 患者会との連携による資材作成等

- 情報提供では、PMDAウェブサイト、メディアナビ、患者向け情報提供資材などの媒体を用いているが、ターゲットとなる使用者に確実に情報を伝達できるか
- 情報収集では、患者からの情報収集は報告の質・量ともに課題
- “患者”の属性は極めて多岐にわたり、多様な“患者”全体を対象にしたアプローチは困難であるが、希少疾患、難病等、小規模ながらネットワーク化が進んでいる患者会と連携することで、迅速・確実な情報提供、効率的な情報収集が行える可能性

患者会との連携を試行的に実施

- 日本ライソゾーム病患者家族会協議会と共同で、以下を試行的に実施
 - ・ 今後発売される新薬の有効性・安全性に関するわかりやすい情報の提供
 - ・ 治療薬使用に関連する安全性情報の患者会ネットワークを活用した収集
- 試行結果を踏まえ、協力対象を拡大していくか検討

患者参画に関するPMDAの取組み

- 日本ライソゾーム病患者家族会協議会と共同で、新たに承認された「ゼンフォザイム点滴静注用20mg」に関し、資料を作成し、2022年5月31日に同協議会会員向けに情報提供
- 「ファブラザイム点滴静注用5mg」（ファブリー病）の添付文書改訂（用法及び用量に関連する注意）を速やかに情報提供
- 日本ムコ多糖症患者家族の会の交流会・合同シンポジウム（講演等）に参加（2022年～）
- 新たに小児用法・用量の承認がされた「ガラフォルドカプセル123mg」（ファブリー病）に関し、資料を作成し、2023年2月16日に会員向けに情報提供
- 今後も情報提供・情報収集等、患者会・PMDA双方向の取組みを実施予定

ゼンフォザイム[®]点滴静注用20mg

製造販売業者：サノフィ株式会社

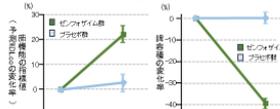
品目概要

- ◆ ニーマンピック病A型およびB型の治療薬です。添付文書の効能・効果は「ゼンフォザイムB型リナーゼ欠損症」とされています。
- ◆ 2週間1回、点滴静脈注射されます。
- ◆ 投与時間はおおよそ18分～220分です。

有効性について

◆ 成人の患者さんを対象とした臨床試験では、肺機能および肺容量が、いずれも改善効果が認められました。

(注) ニーマンピック病A型およびB型は、肝臓（肝臓や腎臓が次々なること）、肺の機能低下など一部の症状があります。



◆ 小児の患者さんを対象とした臨床試験では、投与前と比較して、肺機能や肺容量の改善などが認められました。

◆ なお、中脳神経系症状に対する有効性は認められていません。

安全性について

- ◆ 重篤のインフュージョンリアクションや、アナフラキシーという症状が本剤の投与前中にみられることがあり、代表的な症状は、以下のとおりです。このような場合には、速やかに医師や看護師に連絡してください。



- ◆ また、本剤の臨床試験では、頭痛、吐き気、腰痛なども認められています。在宅中에도、現れる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。
- ◆ 投与量を抑えたり投与回数などを減らす必要は、肝臓検査が認められることがあるため、肝臓検査が行われます。
- ◆ 本剤は国内の治験症例がほとんど非業に少ないため、一定のデータ集積まで、この薬を使用した患者さん全員を対象とした調査が行われる予定です。
- ◆ 長期投与前における安全性は、まだ十分明らかになっておりませんが、上記の調査において、併せて確認することになっています。

この資料は、医薬品の有効性・安全性情報提供を目的とします。医薬品の適正な使用や、患者さんやご家族の不安を軽減するために、本資料の内容を医療従事者や患者さん、患者さんご家族の皆さまに提供させていただきます。PMDAと日本ライソゾーム病患者家族会協議会が共同で開発し、共同で使用させていただきます。

医薬品の副作用などは、添付文書も参照してください。
PMDA 医薬品情報センター 資料提供部 <https://www.pmda.go.jp/kyouhou/kyouhou/kyouhou/kyouhou/kyouhou/>

資料に対するご質問等は、患者さんとしてPMDAにしてください。
医薬品相談センター 医薬品相談部 <https://www.pmda.go.jp/kyouhou/kyouhou/kyouhou/kyouhou/kyouhou/>

◆ 日本ライソゾーム病患者家族会協議会

ガラフォルドカプセル[®]123mg

製造販売業者：アムカ・セラピューティクス株式会社

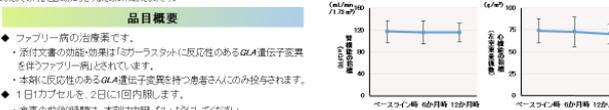
品目概要

- ◆ ファブリー病の治療薬です。
- ◆ 添付文書の効能・効果は「ガララスタットに反応性のあるGLA遺伝子変異を伴うファブリー病」とされています。
- ◆ 本剤に反応性のあるGLA遺伝子変異を持つ患者さんのみ対象とされます。
- ◆ 1日1カプセル、2日に1回内服します。
- ◆ 食事の前後時間は、本剤に内服しないようしてください。

有効性について

◆ 今回の小児の用法・用量の追加の根拠となった、12歳～18歳の患者さんを対象とした臨床試験で、腎臓病・心臓病の維持効果が認められました。

(注) 腎臓病の指標であるeGFR、心臓病の指標である左室容積が維持されました。



安全性について

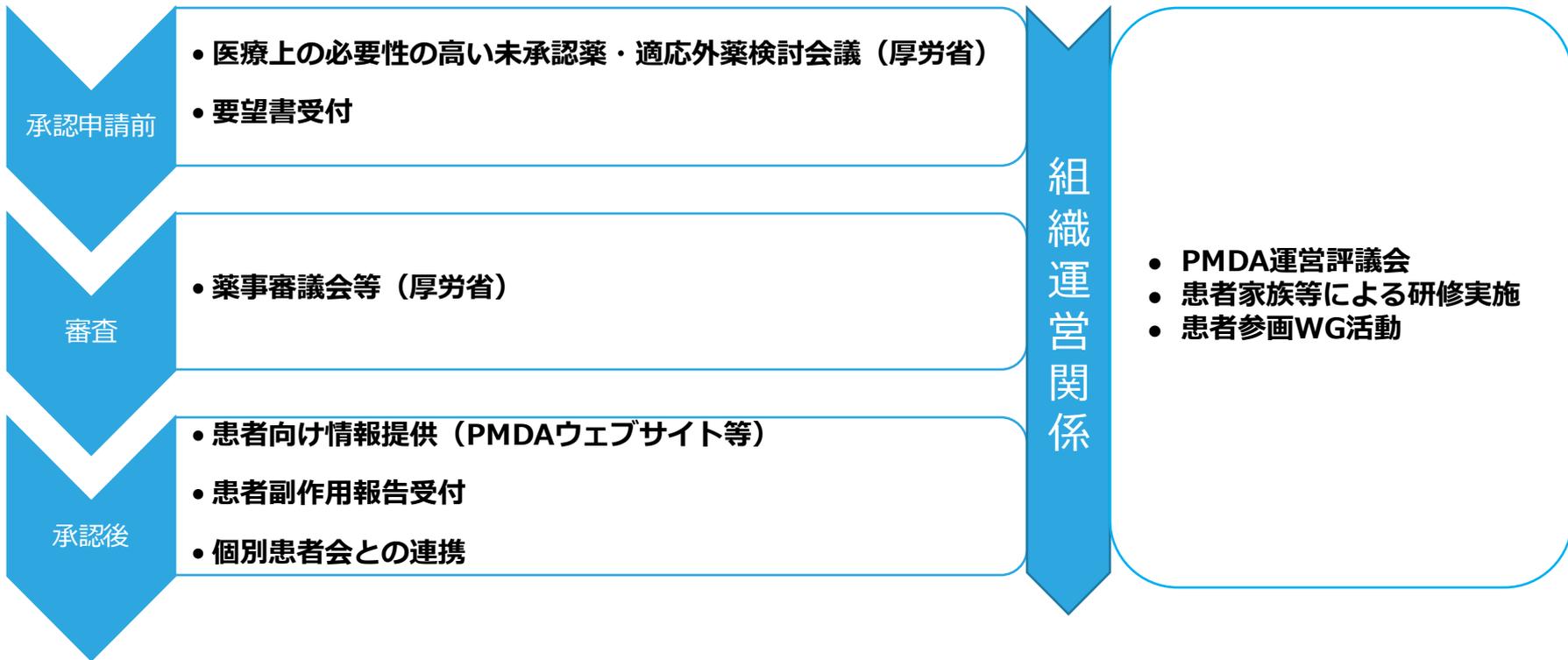
◆ 今回の実施された小児を対象とした臨床試験では、これまでと同様、頭痛、吐き気・嘔吐、めまい、倦怠感、発熱などの副作用が認められています。現れる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。



(注) 嘔吐が頻りに繰り返す場合は、脱水症状がみられる可能性があります。

- ◆ 本剤は対象の患者さんが非常に少ないため、一定のデータ集積まで、この薬を使用した患者さん全員を対象とした調査が行われます。
- ◆ 長期投与前における安全性と腎臓病の維持効果のある患者さんにおける安全性は、まだ十分明らかになっておりませんが、上記調査において、併せて確認することになっています。

医薬品のライフサイクルと患者参画活動（PMDAの現状）



患者参画の更なる発展に向けて

- 産官学の様々な関係者が連携して、患者とともに連携することが必要不可欠
- PMDAとしては、患者・その家族の方とのコミュニケーションの場を積極的に活用等し、まずはPMDAを知ってもらい、そして患者・その家族の方の声を聴き取り、更に患者参画を発展させていきたい