



FDAのStructured Benefit-Risk Frameworkと患者選好情報（PPI）

新薬・医療機器の評価における意思決定支援ツールとして、FDAのStructured Benefit-Risk Frameworkが注目されています。このフレームワークは科学的根拠と患者視点を統合した評価を目指しています。

患者選好情報（PPI）は、「何が」「どの程度」重要かを患者から直接把握する情報であり、医薬品・医療機器の開発と評価プロセスにおいて重要な役割を果たしています。

Benefit-Risk Frameworkの構成要素

1

疾患の分析

対象疾患の重篤性と未充足の医療ニーズを包括的に評価します

2

現在の治療選択肢

既存治療の限界と新薬・医療機器との比較分析を行います

3

ベネフィット

臨床試験から得られた有効性データを厳密に評価します

4

リスク

安全性プロファイルと有害事象の詳細な分析を実施します

5

リスク管理

添付文書やREMSなどのリスク最小化戦略を策定します

◆ PPIは、ベネフィット・リスクの評価に補足的視点を提供します ◆

PPIとは何か？

Patient Preference Informationの定義と特徴

患者選好情報（PPI）とは、患者が治療の特性（副作用、投与方法、効果など）に対してどのような価値を置くかを定量的・定性的に把握したデータです。

i PPI ≠ PRO (Patient-Reported Outcomes)

- PRO：治療後の患者の感覚や機能に関する報告
- PPI：治療前の選好や価値判断に関する情報

PPIの最も重要な側面は、トレードオフ（例：副作用 vs 効果）に関する患者の許容度を明らかにすることです。



患者は治療の各側面に異なる価値を置きます

PPIの活用場面

FDAは医薬品・医療機器の開発と評価の様々な段階でPPIを活用しています。

治験設計

1

エンドポイント選定や臨床的意義の定義において、患者にとって真に重要な結果を反映させることができます。これにより、より患者中心の治験デザインが可能になります。

2

承認審査

特定サブグループの選好に基づいて評価を行うことで、リスク・ベネフィットのバランスをより精緻に分析できます。少数の患者群にとっての価値も反映されます。

添付文書

3

患者にとって重要な情報を反映させ、より有用な情報提供を実現します。治療選択における意思決定支援にもつながります。

4

市販後調査

実際の使用状況に基づく再評価を行い、長期的な安全性と有効性の検証に患者視点を取り入れます。

■ FDAは2024年に「製品ライフサイクル全体でのPPI活用ガイダンス案」を発表しました

PPIの収集と提出方法

PPI研究の設計

- 質的手法：インタビュー、フォーカスグループ
- 量的手法：選好調査、コンジョイント分析*
- スポンサー、患者団体、研究者の共同設計



FDAへの提出プロセス

FDAは「自主的提出」を推奨し、規制意思決定に積極的に活用しています。

PPIの品質基準や提出方法も詳細にガイダンスで提示されており、高品質な患者選好情報の収集が求められています。

- ❑ 提出されたPPIは、科学的厳密性、再現性、患者サンプルの代表性などの観点から評価されます。

*Discrete Choice Experiment (DCE), Conjoint analysis.

まとめと展望

PPIを含むBenefit-Risk評価の進化



科学的根拠と患者視点の融合

規制評価の新潮流として、客観的なデータと主観的な患者経験の両方を取り入れた総合的評価が進んでいます。



意思決定の質向上

PPIは治験設計から承認後まで、規制当局の意思決定の質を向上させ、より患者中心の医療製品開発を促進します。



国際的な調和

今後はICH E22など国際的な調和ガイドラインも整備中であり、グローバルな規制環境でのPPI活用が期待されています。

