

医療機器産業研究所 スナップショット No.14
「患者視点の医療機器開発及び臨床評価への活用可能性」

公益財団法人医療機器センター
医療機器産業研究所 主任研究員 橋本 季子

米国において、医療機器の臨床試験に際し、患者視点での評価データを受け入れる可能性のあるガイダンス案「[Patient Preference Information Submission, Review in PMAs, HDE Applications, and De Novo Requests, and Inclusion in Device Labeling](#)」が2015年3月に公表された。

ガイダンス案はまだドラフトであるため、今後変更される可能性があるが、本ガイダンス案では、FDAにおける新しい医療機器の許認可(PMA, HDE 及び *De novo*申請)のための臨床試験に際し、患者視点での評価データ(患者がどの医療機器を選択し、ベネフィット-リスクを受容するか等のデータ。以下、「患者選好に関する情報」)を考慮することが述べられている。患者選好に関する情報の FDA への提出は、申請企業の任意であり、審査におけるベネフィット-リスク評価資料の一部として提出することが可能となる。このことは、医療機器の様々なリスクや予測されるベネフィットの評価に対し、患者の治療を行う医療従事者と規制当局、患者とでは同じ評価をするとは限らないことを踏まえ、患者選好に関する情報が医療機器のベネフィット-リスク評価の一助となることの理解によるものである。患者選好に関する情報の提出は、どのような医療機器で有益だろうか。それは全ての医療機器にとって適切とは限らない。患者選好の影響を受けやすい医療機器とは、他の多数の治療選択肢が存在し、かつ全ての選択肢において明らかに優れているものがない場合や、他の選択肢に比べエビデンスが不明確な場合、当該技術のベネフィット及び許容可能なリスクに対して患者と医療従事者の見解が大幅に異なる場合において生じることがある。このような医療機器の例としては、健康及び外見的なベネフィットを向上させることを意図した機器や QOL(Quality of Life)に直接影響することを意図した機器等があげられる。また、患者選好に関する情報は医療機器の臨床評価のみならず、製品開発のライフサイクルにおける有益な情報を提供する。例えば、どのような有効性(結果)が患者にとって重要であるかを特定することや、治療で生じるリスクを受け入れるために患者が必要とするベネフィットのレベルの情報を得ることで、臨床試験デザインを作成する際に有益になる可能性がある。

これらの患者視点による評価に関する議論は、FDA の医薬品分野において、新薬開発の効率化、患者の新薬への迅速アクセス等、新薬開発促進の一つの方向性として、Patient Reported Outcome(以下、「PRO」)といった患者

視点による評価の議論が抗がん剤分野等を皮切りに活発化してきたことによる。2009年には FDA からガイダンス「[Patient-Reported Outcome Measures; Use in Medical Product Development to Support Labeling Claims](#)」が出され、医薬品分野では日本においても、企業による臨床試験やアカデミアにより議論が進められつつある。

一方、日本の医療機器分野においては、患者視点による評価について、まだ議論が活発に行われているとは言えず、明確に PRO による評価を用いて承認された医療機器はないと認識しているが、一部の医療機器においては、医学的評価に加え、PRO の評価資料を提出することが迅速な審査に有益となる可能性があると考えられる。

例えば、臨床試験のベネフィット-リスク評価で、明確な有効性の結果が出なかった場合に審査に難渋するケースが見受けられる。そのようなケースでは、審査の過程で、臨床データの層別解析など再解析を申請企業に依頼したり、対象患者を再検討したり、専門の医師の意見を聞くなどして、複合知からの包括的なベネフィット-リスク評価を行い承認しているものと推察される。特に疼痛緩和や QOL 向上等を意図する医療機器においてよく見られるが、新医療機器の審査報告書において、「〇〇治療以外に効果的な治療選択肢がない現状においては、治療選択肢を増やす意味において臨床的意義があると考えられる。」などの記載があるものがその例と考えられる。

このようなケースにおいて、従来の臨床試験による評価に加え、患者視点でのベネフィット-リスクを受容するか等のデータが合わせて提出されていれば、承認審査に新たな評価視点が加わり、多様性のある医療機器が上市される機会となると考えられる。

インフォームドコンセントが定着し、また様々な医学的情報を患者自ら得られるようになった現状においては、治療選択の上で、患者の望むベネフィット-リスクバランスと医療従事者や規制当局が評価するベネフィット-リスクバランスとが異なる可能性がある。このことから、ある領域の医療機器においては、医学的視点の評価に加え、患者視点での評価を活用することが、医療機器開発及び審査の迅速化に有益なものと考えられる。今後、本ガイダンス案を期に日本においても、従来の臨床評価に加え、患者視点による医療機器開発や臨床評価手法の検討が、企業側、アカデミア及び行政においてより活発に議論されることを望む。