

医薬品業界で注目を集める重要なファクト情報。

そのファクト情報に焦点をあて、整理・図解し、わかりやすく解説します。

業界関係者はもちろん、ステークホルダーのみなさんに理解を深めていただくための情報をお届けします。

本記事は、ポジションペーパー「患者と共に創する医療・医薬品の進歩と価値向上に向けて－Patient-Reported Outcome( PRO )評価を恒常に－」(No.10 :2025年12月発行)のポイントをわかりやすく解説したものです。

もとのニュース本文  
はこちからご覧  
いただけます!

# 患者さんの声と医療・創薬の 価値をつなぐPRO

～「高価値」医薬品を産み出すイノベーションの未来を支える～

医療や医薬品の価値は、これまで有効性や安全性といった指標を中心評価されてきました。しかし近年、それだけでは十分ではないという認識が、国内外で共有されつつあります。

治療を受ける患者さんが、実際にどのような症状を感じ、どのような生活を送っているのか。その「実感」をどう捉え、医療や創薬に活かしていくのかが、今改めて問われています。

こうした背景のもと注目されているのが、Patient-Reported Outcome (PRO)です。PROは、患者さん自身が直接報告する症状や生活の質、治療満足度等を評価するツールであり、患者さんを中心とした医療と真の患者ニーズに応える創薬を実現するための重要な要素と位置付けられています。

今回、医薬産業政策研究所(以下、政策研)ではPROをめぐる調査を実施。そこから見えてきた実態を4つのFactに整理しました。

## AS-IS から TO-BE へ

我が国において、臨床試験でのPRO活用等、患者視点の医薬品の価値エビデンス創出は限られている

有効性や安全性に加え、新薬が患者にもたらす多様な価値が医薬品の審査や評価等に幅広く活かされる環境を作る

真の患者ニーズに応える「高価値」医薬品の持続的な創出につなげる

PROは、患者のBenefitを評価するための有用なツールであり、臨床的意義が患者に支持される医薬品等の効率的な開発に資する

## → 国内のPRO活用を取り巻く4つのFact →

- Fact 2 診療・開発・政策における活用の遅れ
- Fact 3 実装・運用に向けた制度の不在
- Fact 4 社会実装に向けた産学官連携が不十分



Fact 1  
PROが医療にもたらす価値

今回の調査から、PROの医療にもたらす価値が示された一方、日本では制度・運用面の仕組みが十分ではないことで活用が進んでおらず、今後は産学官が連携してPROを医療に組み込む体制構築が求められることが明らかになりました。

# 調査から見えた4つのFact

Fact1

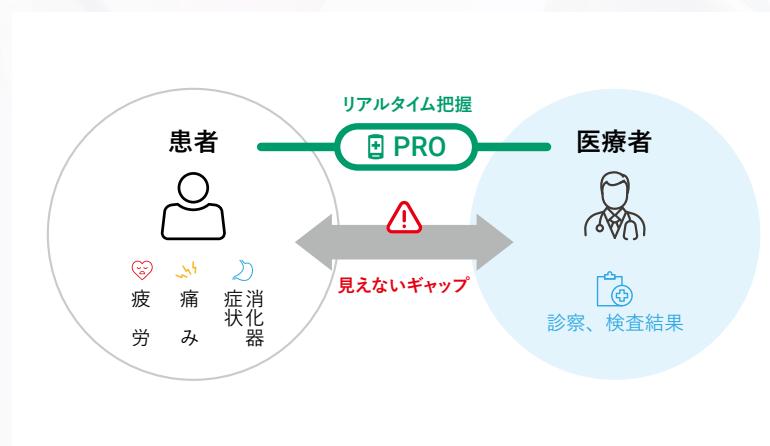
## PROが医療にもたらす価値

PROが注目される理由の一つに、患者さんと医療者の認識の違いがあります。

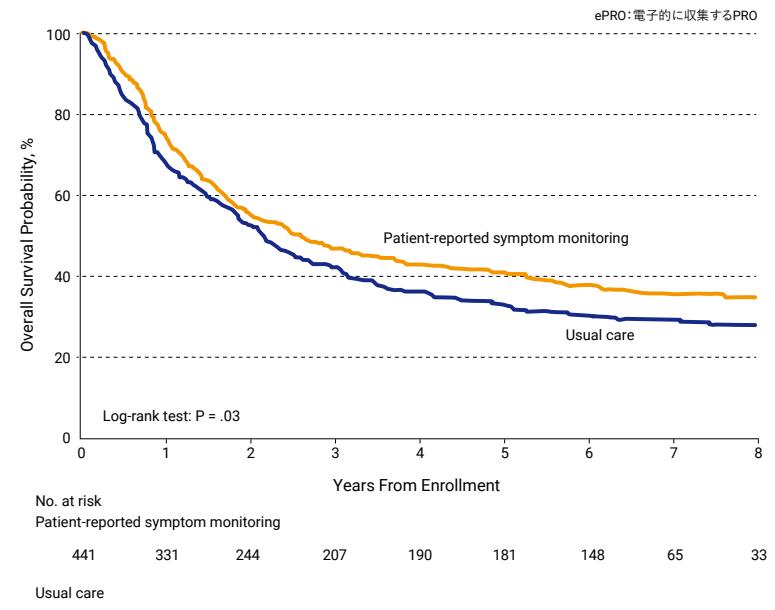
たとえば、がん治療における副作用を考えると、患者さんは日常生活の中で疲労感や痛み、消化器症状等を早い段階から感じています。一方、医師がそれらを把握できるのは、診察時や検査結果を通じてであり、どうしてもタイムラグが生じます。

こうしたギャップは、治療の満足度や生活の質に影響するだけでなく、症状への対応が遅れるリスクにもつながります。

PROは、こうした患者さんの「声」を継続的に捉え、医療者と共有することで、より質の高い医療につなげるための手段の一つとなります。



転移性癌患者を対象とした化学療法中の自身の症状報告(ePRO)によるモニタリング介入群と通常治療群(非介入群)の全生存率



がん患者において、PROを用いた継続的モニタリングを行うことで、通常診療のみの場合と比べて生存率が有意に改善したことを示している。

出所: Basch E. et al. JAMA 318(2):197-198 (2017)

## Fact2

### 診療・開発・政策における活用の遅れ

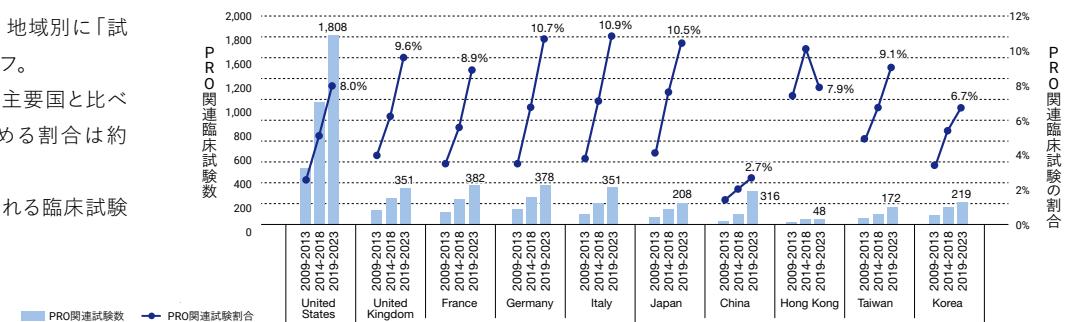
PROは、欧米では積極的に医療・医薬品開発の中に組み込まれています。

米国では、患者さんの報告を医薬品開発に活用する枠組みが制度として整備され、臨床試験から市販後までPRO活用のためのガイダンスが政府機関より公表されています。欧州でも、医療の質評価や医療機関の評価にPROを活用する動きが進んでいます。一方、日本では、PROに関する研究や議論は以前から行われてきたものの、日常診療や臨床試験における活用は限定的です。PROガイドライン作成に向けた研究報告書では、日本のPRO活用は欧米と比べて約20年遅れている点が指摘されています。この遅れは、日本の研究レベルが低いことを意味するものではなく、研究成果や個別の取り組みが、制度や医療現場に十分に結びついてこなかったことが、本質的な課題であるといえます。

PROを評価項目として含む臨床試験について、国・地域別に「試験数」と「総臨床試験数に占める割合」を比較したグラフ。

日本におけるPRO関連臨床試験数は、米国や欧州主要国と比べると絶対数では少ないものの、総臨床試験数に占める割合は約1割程度と、欧米と同水準にある。

しかしながら、制度や医療現場、国内のみで実施される臨床試験での活用の定着には課題が残っている。



※Patient-Reported Outcome (PRO) の最新動向 -臨床試験登録データベースを用いた調査・分析-を引用 出所: ClinicalTrials.govデータをもとに医薬産業政策研究所にて作成

## Fact3

### 実装・運用に向けた制度の不在

PROを社会に根付かせるためには、いくつもの課題が指摘されています。

- 医療現場の負担
- 収集したデータの評価や意思決定への活用
- 標準化された尺度やツールの整備
- データを安全かつ効率的に管理・活用する基盤

こうした課題に対応するためには、デジタル技術の活用も重要となります。

デジタルで患者さんの報告を収集する仕組みが整えば、医療者の負担を抑えながら、質の高いデータを継続的に得ることが可能になります。

重要なのは、PROが単に患者さんの声を集める仕組みではなく、その情報を活用して初めて意味をもつという点です。収集した情報が診療や評価に活かされ、患者さん・医療者双方にとって意味のある形で還元されてこそ、PROは機能します。

## Fact4

# 社会実装に向けた 産学官連携が不十分

PROは、特定の主体機関だけで推進できる取り組みではありません。

個々の企業や医療機関が単独で取り組んだとしても、評価やインセンティブにつながる仕組みが整っていなければ、持続的な実装は困難です。

患者さん、医療現場、アカデミア、産業界、そして行政が、それぞれの立場で役割を担い、共通の目的に向かって連携していくことが不可欠です。

とりわけ、制度設計や評価の枠組みを担う行政による後押しは重要であり、産学官が一体となった取り組みが求められます。

また、これまで縦割りで進められてきた取り組みに横串を通して、全体を俯瞰して推進していくためのプロジェクトマネジメントも欠かせません。

社会インフラの変化は、PROの社会実装を進めるうえで、一つの重要な契機になります。

PROは、すでに海外では実装が進んでいる現実的な仕組みであり、日本にとつても決して非現実的な話ではありません。

まずは、PROとの親和性が高い領域から着実に取り組みを進め、成功事例を積み重ねていくことが重要です。

その過程を通じて、PROを制度や文化として定着させていくことが求められています。

From 医薬産業政策研究所 Point of View

PROの意義は、患者満足度の把握にとどまるものではありません。

適切に活用されれば、医療の質評価や医薬品開発、さらには医療資源の配分といった政策判断にも資するのです。患者さんの実感に基づくアウトカムが可視化されることで、真に価値の高い医療・医薬品とは何かを、社会全体で考えるための共通言語が生まれます。それは、持続的なイノベーションを支える土台にもなり得ます。

このように、PROは患者さんの声を医療や創薬の価値へつなげていくための、非常に重要な鍵です。日本がこの分野で前に進んでいくためには、仕組みを整えることに加えて、人と人との連携、そして産学官が継続的に共創していくことが欠かせません。患者さんと共に医療を作っていく。その姿勢こそが、これからの医療や製薬産業の価値を形作っていくと考えられます。

今回お話をうかがった、政策研・価値評価チームの皆さん。

価値評価チームはさまざまな観点から、医薬品がもたらす価値について研究をしています。今年度は患者さんの声を起点に、医療・創薬の価値評価のあり方を研究しました。

(写真左から)  
医薬産業政策研究所  
主任研究員

白石 隆啓さん  
吉野 九美さん  
椿原 慎治さん



なお、政策研全体や他チームの活動については、本号の「私の委員会」コーナーで紹介しています。