

# ガイドラインを超えて-医療技術評価への患者参画を支援するツール

著者 : Ann Single and Karen Facey、HTAi 患者・市民参画インターレストグループを代表して

責任著者 : ann.single@patientvoiceinitiative.org.au

日本語訳 : Noriko Kojimahara

## 本章のキーメッセージ

- 医療技術評価(HTA)では、患者参画とは、患者の参加(委員会メンバーや提出物など)と、確かな科学的手法を用いた患者の側面(患者のニーズ、選好、期待、経験など)の調査の両方を指すと考えられている。これは、診療ガイドライン作成における患者参画と同様である。
- 診療ガイドライン作成と同様、HTAにおける患者参画は、患者からの意見や患者の側面に関する調査によって、従来の科学的エビデンスが患者コミュニティにとって何を意味するかを明らかにする上で、不可欠な役割を果たす。また、そのエビデンスにおけるギャップや不確実性に対処することもできる。
- 患者参画へのアプローチや使用するツールの選択は、参加の目的や実施の状況によって異なる。

## トップ・ヒント

- ガイドライン作成者、組織内のスタッフ、患者グループ、地域社会、主要な患者によって合意された明確な目標から始める。
- 患者参画は、早ければ早いほどよいので、患者グループ、コミュニティ、主要な患者との参画プロセスを開発することから始める。
- 患者参画によって何が達成でき、何が達成できないかについての期待を管理するプロセスの目的と決定方法を説明する。

- 患者やその代理人へのリスクや負担など、倫理的な影響を考慮し、患者グループとともに、その影響を管理するための戦略を策定する。
- ガイドラインに患者が参画するための価値観と品質基準を国際的に策定し、GIN会員がそれを採用・制定するよう促す。
- 他の人の経験から学び、自分の経験を記録し、共有する。

## 本章の目的

本章では、医療技術評価（HTA）における患者参画を支援するツールの概要を示す。まず、HTAと診療ガイドライン作成の類似点と相違点を説明する。次に、HTAへの患者参画の障壁について議論し、患者がHTAプロセスにどのように参加し、患者に基づくエビデンスがどのように利用されるかを概説する。また、HTAへの患者参画を支援するために開発されたツールを紹介し、これらは診療ガイドライン作成のニーズに合わせて適応可能である。

## HTA の背景

HTAは次のように定義できる。

「医療技術のライフサイクルのさまざまな時点における価値を、明確な手法を用いて決定する学際的なプロセスである。その目的は、公平で効率的かつ質の高い医療システムを促進するために、意思決定に情報を提供することである。」(O'Rourke et al. 2020)

HTAは30カ国以上で実施されており、医薬品、医療機器、介入、処置、その他の医療技術に関する政策決定を導くために、確かな科学的根拠と審議を用いている。HTAは多くの場合、臨床効果と費用対効果のエビデンスに基づいて、新しい医療技術の価値を決定しようとするものである。

しかし、1976年に米国技術評価局（Office of Technology Assessment）によってHTAが初めて説明されたとき、それは新しい医療技術を導入することのすべての意味を検討する手段として想定されていた。そのため、患者やその家族への影響、法的・倫理的問題、環境など、より広範な社会的側面が、医療技術の使用・不使用が

もたらす結果の評価には不可欠であると考えられていた。HTAの中には、このような広範な社会的影響の考慮が、価値の決定に反映され、考慮されるエビデンスや使用される審議の枠組みに重要な影響を及ぼしているものもある。

O'Rourke らの HTA の定義に付随する脚注の一つである注 3 は、価値には多くの側面があり、医療技術の全体的な価値は、「とらえる視点、関係するステークホルダー、意思決定の文脈によって変化しうる」（2020 年）と認識している。そのため、HTA のエビデンスベースは確固としたものであるが、中立的なものではないという見解が支持されているようである。価値の決定は視点に依存し、HTA におけるクエスチョン、検討するエビデンス、その解釈方法に影響する。このような価値判断の理解は、患者参加の目標や、その後の患者側面の研究の利用（患者ベースのエビデンスとして知られている）、患者参加のアプローチに影響を与える。例えば、従来の科学的エビデンス（ランダム化比較試験など）では、患者にとって最も重要なアウトカムを把握できない可能性があることを認識した上で、患者ベースのエビデンスと参加が用いられることがある。特に地域の医療状況に適用するためには、患者のニーズ、選好、期待、経験に照らして解釈する必要がある。このように、HTA はしばしば、患者に関する仮定に異議を唱え、より関連性の高い問題に調査を向けるための、その疾患の生活経験者にとって重要な機会を提供する。したがって、HTA への患者の関与は、「患者のニーズ、選好、経験に基づいた公平で透明性のある資源配分を確実にする」（Facey et al. 2018）。

科学的な厳密さと、国際的なエビデンスを国や地域レベルで医療の改善に結びつける公正なプロセスという点で、診療ガイドライン作成と HTA の間には多くの類似点がある。しかし、エビデンスを意思決定に反映させる方法には違いがある。診療ガイドラインはケアパス全体の改善に情報を提供し、臨床医にベストプラクティスを伝えること（医療提供者の意思決定）に重点を置いているが、HTA はケアパスにおける特定の項目に関する意思決定に重点を置いており、償還（支払者の意思決定）に直結する場合もある。HTA はしばしば 3 つのステップで説明される：

- 評価：医療介入の臨床的有効性または費用対効果について、公表または提出されたエビデンスを批判的に検討すること。
- 鑑定：価値と適切な使用に関する価値判断を伴う、地域の状況におけるエビデ

ンスの幅広い検討。

- 意思決定：保健医療システムにおいて、保健医療介入を利用可能にするかどうか、また誰に利用させるかについての決定、すなわちアクセスや償還の決定。  
(Garrido et al. 2008)

HTAを実施する機関は多岐にわたり、評価、鑑定、またはその両方を担当する場合もあるが、すべて何らかの形で意思決定に情報を提供しようとするものである。さらに、HTA実施機関の多くは、医療制度における様々なエビデンスに基づく業務を行う大きな組織の一部であり、これには診療ガイドラインの作成も含まれることが多い。したがって、違いを認識しつつも、アプローチを共有することは適切であると思われる。

HTAは、治療の償還やアクセス問題と結びつくにつれ、その議論はより対立的になってきた。その結果、患者をHTAプロセスに参加させようとする政治的な働きかけや、患者アドボカシーが強く求められるようになった国もある。一部のHTA機関は、HTAプロセスへの患者参加のための透明性の高いプロセスを構築し、患者のニーズ、選好、期待、経験を把握するためのアプローチを開発することで対応している(Facey et al. 2010)

しかし、このような関与は広く行われているわけでも、一貫性があるわけでもない。特に、医療技術の価値が科学的に決定され、患者参画がエビデンスや視点ではなく、バイアスの源になると考えられている場合、HTA機関によっては、患者の参加や患者の視点を含めることに消極的である。このような懸念がHTA機関（およびそのステークホルダー）内で十分に検討され、解決されない場合、患者参画は期待できないか、HTAの信頼性と正当性を脅かすと認識されるため、HTAの確実性を向上させるどころか、せいぜい形だけのものになる可能性がある。患者参画の共有目標をコミットする前に、HTA機関の信念と規範を注意深く考慮しなければ、HTA機関は患者コミュニティに対して非現実的な期待を抱かせる危険性がある。その結果、患者からの意見や患者ベースのエビデンスは、暗黙的または明示的な障壁のために、ほとんど、あるいは全く意味がないと認識されることになる。

したがって、患者が信頼性と正当性をもってHTAと意思決定に貢献できる実践的な方法を示すガイダンスが必要であった(Boivin et al. 2014)。また、堅牢な科学

的方針を用いて患者のニーズ、選好、経験に関する研究から得られるエビデンスと、HTA プロセスへの患者参加から得られる知見との、補完的でありながら異なる役割についても明確化が必要であった。このような参加には、書面による意見提出や委員会メンバーとしての活動を通じた患者の意見反映が含まれる。

## HTA プロセスへの患者参画の障壁

HTA や患者参画に関する組織的な信念だけでなく、それを運用し、意思決定における透明性の欠如、影響力の欠如、参加性の欠如といった形骸化の特徴を回避するためには、参画に対する様々な障壁を考慮する必要がある。2005 年、Hailey は、HTA に関する健康研究への消費者（患者や市民）の関与について報告された共通のテーマを特定した。Facey は 2017 年にこの表を更新した（第 5 章）。表 1 は、Hailey と Facey の研究を要約したものである。

表1 HTAへの患者参画の障壁（Hailey[2005]およびFacey[2017]からの引用）

チャレンジ	課題
患者と研究者の交流	<ul style="list-style-type: none"> <li>信頼関係、生産的な関係を築くのに必要な時間</li> </ul>
リソース	<ul style="list-style-type: none"> <li>事務、財務、スタッフサポート</li> </ul>
参加のメカニズム	<ul style="list-style-type: none"> <li>HTAの各段階における参加目標を設定する包括的アプローチの欠如 (Gauvin et al. 2015)</li> <li>多くの場合、意思決定者が選択し、意思決定者はそれを特定の方法で形成するため、参加をコントロールできる (Boivin et al. 2014)</li> </ul>
「患者の立場」を見極める	<ul style="list-style-type: none"> <li>価値観、期待、環境、文化、遺伝、医療制度に関する経験などが異なるため、すべてを聞き出すことは不可能であることを認識する。</li> </ul>
患者代表の性質と程度	<ul style="list-style-type: none"> <li>どの患者が関与すべきかを定義するのが難しい</li> <li>代表性に関する疑問</li> <li>医療技術開発者の利益相反と影響力に関する懸念</li> <li>社会から疎外された人々への支援が困難</li> </ul>
技術的要求	<ul style="list-style-type: none"> <li>科学的プロセスと医療政策の選択肢に関する知識、権力、資格、スキルの欠如</li> </ul>
トレーニングと教育	<ul style="list-style-type: none"> <li>消費者向けに開発された教育やトレーニングの欠如</li> </ul>
時間的要求と報酬	<ul style="list-style-type: none"> <li>時間的な拘束、厳しいスケジュールでの作業、患者に支払うべきもの</li> </ul>
研究者、文献、患者からの情報のバランス	<ul style="list-style-type: none"> <li>患者が重要視している問題と研究が実施されている問題との間に一致がない。</li> <li>質的エビデンスと量的エビデンスのバランスをとるための方法論や、患者ベースのエビデンスの信頼性についての疑問など、費用の役割についての懸念</li> <li>エビデンス階層における患者ベースのエビデンスの軽視 (Gauvin et al. 2015)</li> </ul>

患者からの意見の活用	<ul style="list-style-type: none"> <li>患者に対して何をすべきか、どのように関与させるべきかがわからない</li> <li>形式手技への懸念</li> <li>スケジュールへの影響</li> <li>ディスカッションの司会が不十分で、患者の貢献が妨げられている (Facey et al. 2010)</li> <li>研究者や臨床医が、患者の視点を取り入れることで科学的な議論が軟化することを懸念している。</li> <li>患者の偏見によって資金調達の決定が歪められる可能性</li> <li>選択バイアス - 患者参加者個人のユニークな視点を重視し、よりアクセスしやすく魅力的なプロセスを開発するよりも、多くの患者にとってプロセスがアクセスしにくく、バイアスを無視したり、バイアスを排除することを目指したりする可能性がある (Vanstone et al. 2014)</li> <li>患者グループはさまざまな情報源からのエビデンスがどのように扱われ、評価され、重視されるか、他者がより大きな影響力を持つかについての懸念を抱いている (Vanstone et al. 2019)</li> <li>患者と専門家の間の力の差 (Boivin et al. 2014) - プロセスでは生活経験や患者ベースのエビデンスよりも臨床的・経済的エビデンスを重視する (Vanstone et al. 2019)</li> </ul>
HTA プロセスに対する認識不足	<ul style="list-style-type: none"> <li>HTA のプロセスが医療制度に与える影響 (資金提供の可否決定以外も含む) が理解されていない。</li> <li>患者は、HTA がどのように利用されているのか、どのように参加すればよいのかを知らない。</li> </ul>
患者の意見に対する評価が少ない	<ul style="list-style-type: none"> <li>患者参画が違いを生むことを示す質の高い研究がない</li> <li>患者参画が評価の質を向上させるという実証はない</li> </ul>

	い
負担、利益、リスク	<ul style="list-style-type: none"> <li>参画が患者または患者集団に与える影響についての配慮が不十分である。</li> <li>利益（例えば、能力構築、学習、システムの変化）はリスク（例えば、身体的、感情的、精神的、経済的被害；Vanstone et al. 2019）を上回る必要がある</li> </ul>

表1に反映された研究は、このミレニアムの最初の10年間に行われたものであるが、これらの障壁の多くはまだ存在している。これらはおそらく HTA だけではなく、診療ガイドラインの作成にも当てはまるものであろう。

同様に、2011年の欧州患者フォーラム (EPF) の調査で明らかになった、HTAにおける患者の参画の種類とレベルのばらつきは、この分野の特徴として残っている。これは各国で適用される異なる理論的根拠、動機付け、アプローチを反映している。EPFは、ほとんどの HTA 機関や意思決定機関が、報告書に患者の視点を関与させ、統合していないこと、また HTA における患者参画の影響について正式な評価を行っていないことを確認した。さらに、何らかの形で患者が関与している場合でも、体系的、包括的かつ有意義な方法で行われていないことが多い。財源的な制約を除けば、主な課題は、患者を参加させる能力、時間、優れた方法論の欠如であると認識されている (EPF 2013.(EPF 2013.) )。

この分野の最初の本である *Patient involvement in health technology assessment* (Facey et al. 2017)は、HTAにおける患者参画の優れた方法論とアプローチに関する情報の必要性に応えようとしたものである。本書は、世界各国から集まった80名の著者の専門知識と経験に基づくものである。事例研究の提供に加え、本書はこの分野のまとめたガイドとなることを目指した。本書は、参画と評価に対する根拠と認知されたアプローチの詳細、および患者のニーズ、選好と経験に関する研究のための適切な科学的方法論を示している。後者には、質的エビデンス統合、離散選択実験 (DCE) 、階層分析法 (AHP) 、患者報告アウトカム指標 (PRO) および関連アウトカム指標 (ROME) 、民族誌的フィールドワーク、審議的手法、ソーシャルメディア分析の活用が含まれる。

重要なことは、本書が、この分野における用語の不統一と、その結果生じた HTA における患者参画の不適切な使用と扱いのために生じていた問題を明らかにしようとしたことである。2010 年、医療技術評価国際委員会 (HTAi) の HTA 患者・市民参画部会 (PCIG) が行った作業では、患者参画の 2 つの異なるが補完的なアプローチ、すなわち患者参加と患者の視点に関する確かなエビデンスについて説明しており (Facey et al. 2010) 、本書はそれぞれの役割と考慮すべき点をさらに展開した。参加は、HTA プロセス全体を通して価値判断を助けることができる、共有学習と問題解決のための対話の一形態と定義された。目的に応じて選択されるアプローチのモザイクと表現される参加は、多くの場合、エビデンスにおけるギャップや不確実性に対処するために求められ、実世界での実施に向けたエビデンスの解釈においてその役割が認識されている。患者ベースのエビデンスは、通常、患者からの意見（書面提出や委員会への参加など）という形で現れ、その特徴は情報源（意思決定を支援するために情報を収集・提示する患者および患者団体）にある。一方、患者の視点に関するエビデンス（患者ベースのエビデンスとして知られる）は、他の科学的エビデンスと同様に批判的に評価可能な形で、患者のニーズ、選好、経験に関するエビデンスを提供することを目的としている。表 2 (Staniszewska and Werkö, 2017) は、この 2 つのアプローチの主な相違点をまとめている。

**表 2 HTA プロセスにおける患者ベースのエビデンスと患者参加による意見提出の違いのまとめ (Staniszewska and Werklö 2017)**

患者ベースのエビデンス	HTA プロセスへの患者参加
研究を通じて作成され、一般に査読付き学術誌に掲載される。	個人、患者グループ、組織の視点に由来する。
様々な方法論を駆使する。	必ずしも特定の方法論を用いる必要はない。
強固な科学的アプローチに基づき、その強みと限界が明確に把握されており、明確に解釈可能な確固たる結論を得ている。	意見を収集するために使用された方法の質が不明確であったり、重要視されていない可能性がある。
正式な批判的評価やピアレビューを含む質の評価によって決まる。	品質という概念は、真正性や視点の多様性といった要素に左右される場合がある。
研究は、研究ジャンルや具体的なリサーチエクエスチョンに基づき、一次研究または二次研究から時間をかけて行われる。	患者の参加は、HTA プロセスのどの時点でも可能であり、新たな問題に即座に対応するための対話という形でもよい。
HTA の文脈を考慮する上で、研究が文脈を考慮したかどうかによって、より限定的なものになる可能性がある。	HTA の質問の文脈を考慮できる。
研究の統合に基づくことができるため、患者の問題についての包括的で公平な見解を非常に効果的に要約することができる。	包括的ではないが、有益な視点の選択肢を提供する。
バイアスやバランスの問題に直接取り組むことで、研究の質がある程度保証される。	患者からの意見に関連するバイアスは、複雑な概念であり、今後探求が必要である。

Facey ら (2017) は、これらの違いを明確にし、適切な方法論とアプローチを説明しただけでなく、Abelson ら (2016) および OHTAC Public Engagement Subcommittee (2015) の研究成果を引用し、患者参加はまず参加目標を定義することから始まり、その目標に基づいて HTAi における患者参加の価値観と品質基準の枠組みの中で、アプローチ、方法、評価に関する意思決定を行うべきであると提言した（詳細については、「HTAi における患者参画の価値観と品質基準」のセクションを参照のこと）。これらの目標は、手段的、民主的、科学的、または発展的なものになる可能性がある（OHTAC Public Engagement Subcommittee 2015）。

本書の編者および著者の多くは、HTAi PCIG のアクティブメンバーである。2005 年に結成されたこの学際的なグループは、患者・市民参画の認識を促進し、方法論の開発を奨励し、ベストプラクティスを共有し、参画を導入または発展させようとしている管轄区域を支援している。PCIG は、HTA 機関や患者団体が地域参画活動に適応できるツールの開発に積極的に取り組んできた。これらのツールの一部は、診療ガイドライン作成への適応に適しているかもしれない。主要なツールは次のセクションで説明し、その他のツールは PCIG のウェブページで見つけることができる。

## HTA における患者参画のための HTAi の価値観と品質基準

HTA における患者参画に対する認識と関心の高まりは、患者や家族を含む多くのステークホルダーから、「ベストプラクティス」に関するガイダンスを求める声につながった。これを受け、PCIG は、HTA における患者参画のための HTAi 価値観と品質基準を作成した。表 3 に示すこれらの価値観と基準は、国際的な 3 ラウンドのデルファイ・プロセスを通じて策定された。これらは、診療ガイドラインの設定に合わせて適用したり、発展させたりすることができる。

表3 HTAにおける患者参画のための HTAi の価値観と品質基準（2014年）

価値観	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 関連性：関連性(<b>Relevance</b>)とは、患者や家族が重要な知識を持ち、特定の疾患や状態に関する「生きた」経験を通じてのみ得られる独自の視点を持つという事実を指す。両者とも、包括的で、その使用によって直接影響を受ける人々にとっての技術の価値を捉える HTA エビデンスの生成に不可欠である。</li> <li>• 公平性：公平性(<b>Fairness</b>)とは、医療提供者や産業界などの他のステークホルダーコミュニティが既に享受している機会と同等のものを、患者が HTA プロセスに参加する機会として創出する必要性に関わる。したがって、患者参画は、HTA に基づく決定の影響を受ける患者及び家族の基本的な「権利」と見なされる。</li> <li>• 平等性：平等性(<b>Equity</b>)とは、集団内のグループ間に回避可能な差がないことと定義されることが多い。HTA への患者の参加は、HTA のエビデンスが様々な患者集団の多様なニーズを深く理解したものであることを保証するのに役立つ。この情報は、医療制度がすべての利用者に公平に医療資源を配分することを要求される場合に、健康状態に不公平を生じさせるリスクを低減することができる。</li> <li>• 正当性：正当性 (<b>Legitimacy</b>) とは、患者が適切に関与することで、HTA に基づく推奨や決定が、影響を受ける人々によって受け入れられることを指す。HTA への患者や家族の参加は、HTA に基づく意思決定プロセスの透明性、説明責任、信頼性に寄与し、ひいてはその正当性を高める。</li> <li>• 能力構築：一般的に、患者を HTA に参加させるための正式なメカニズムの採用は、患者の参加に対する既存の障壁に対処するだけでなく、患者、家族、HTA 組織が生産的な方法で協力するための能力を構築する機会を提供する。</li> </ul>
-----	--

<b>品質基準：</b> <b>一般的な</b> <b>HTA</b> <b>プロセス</b>	<p>1. HTA 組織には、HTA に従事し、HTA 委員会の委員を務める者が、患者を効果的に関与させるためのプロセスと責任を概説した戦略がある。</p> <p>2. HTA 組織は、HTA への効果的な患者参加を確保・支援するために、適切なリソースを割り当てる。</p> <p>3. HTA 参加者（研究者、スタッフ、HTA 審査員、委員を含む）は、HTA プロセスを通じて、患者の適切な関与と患者の視点への配慮に関する研修を受ける。</p> <p>4. 患者や患者団体には、HTA に最も貢献できるようにするための研修に参加する機会が与えられている。</p> <p>5. HTA における患者参加プロセスは、継続的な改善を意図して、関係者全員の経験を考慮しながら、定期的に振り返られ、見直される。</p>
<b>品質基準：</b> <b>個別 HTA</b>	<p>残りの 5 つの基準は、特定の医療技術に関する推奨事項または決定の評価および作成過程で従うべき具体的な手順に適用される。</p> <p>6. 積極的なコミュニケーション戦略を用いて、幅広い患者層に効果的に情報を届け、周知し、各 HTA への完全な参加を可能とする。</p> <p>7. 幅広い患者層からの適切な意見収集を確保するため、各 HTA には明確なタイムラインを設定し、締切を事前に通知する。</p> <p>8. 各 HTA において、HTA 実施機関は患者が効果的に貢献できるよう支援する担当職員を特定する。</p> <p>9. 各 HTA において、患者の視点と経験は文書化され、患者の貢献が結論や決定に与えた影響は報告される。</p> <p>10. HTA に貢献した患者団体には、特に有益だった貢献内容の共有と今後の関与を支援する提案を行うため、フィードバックが提供される。</p>

これらの価値観と品質基準を策定するにあたり、PCIG は、患者参画を旅と見なすべきであると強調した。HTA の各団体は、それぞれ異なる場所から出発しており、価値観と品質基準の高い要件は、患者をプロセスに参画させる旅の一歩を踏み出すよう促すことを意図している。すでに実施している団体は、その内容を評価し、改善を図るべきである。

2014 年に発表されて以来、いくつかの HTA 団体が「価値観と品質基準」を支持し、自らのプロセスの見直しに活用している。例えば、CADTH は、医療技術評価における

る患者参画のためのフレームワーク（2019年版）に使用している。

## HTA プロセス全体への参加

### 技術またはトピックの選択

保険償還や保険適用に関する勧告を行うために設立された HTA 機関のほとんどは、すべての新薬を審査しているため、評価対象の技術を特定・選択するプロセスは必要ない。しかし、一部の管轄区域では、評価のきっかけとなる提出をスポンサーに求めている。通常、製造業者がスポンサーとなる。しかし、製造者が医薬品を審査に提出しない場合、患者団体など他のステークホルダーが、患者が医薬品にアクセスできるよう、提出を求めることがある。オーストラリアの PBAC (Pharmaceutical Benefits Advisory Committee : 医薬品給付諮問委員会) など、一般市民や患者団体からの申請を受け付けている。技術的なプロセスが複雑であるため実際にはこのようなことは稀であるが、PBAC は患者団体である Rare Cancers Australia からの 1 件の提出を支持し、検討した。

しかし、非医薬品技術の評価を任務とする HTA 機関は、評価対象技術を特定・選定するプロセスを必要としている。例えば、スウェーデンの HTA・社会サービス評価庁 (SBU) やスコットランドの医療技術グループ (SHTG) は、患者団体やその他のステークホルダーからのトピック提案を受け入れている。患者団体は、ドイツの連邦合同委員会 (G-BA) に対し、非医療技術に関する決定を求める権利を持っている。つまり、トピックを提案できるだけでなく、その要求について議論し、HTA の条件を満たせば、G-BA は HTA を実施しなければならない。書式を使用する代わりに、資金、スキル、規模に関係なく患者団体が利用できる専門チームが、要望書の起草を支援する (Haefner and Danner 2017)。

さらに、IQWiG (ドイツ医療効率化研究所) の ThemenCheck Medizin (トピックスチェック医学) では、誰でも HTA のトピックを提案することができる。IQWiG は、2 段階の選考プロセスを用いて、毎年 5 件までの市民提案テーマを決定する。通常、提案書に記入することは、HTA 機関のサポートがあったとしても、どの関係者にとっても困難なことである。しかし IQWiG は、医療や研究の知識がない人でも質問を

提出できるよう、シンプルなオンラインプロセスを開発した。

作業の優先順位付けに関して、SBUは優先順位付けの方法に患者や介護者を参加させている。そのプロセスは、ジェームス・リンド・アライアンス (James Lind Alliance) の研究に基づくもので、不確定要素の多い疾患領域について、最も重要な10の不確定要素を特定するために用いられている (Werkö and Andersson 2017)。

しかし、ほとんどのHTA機関は、どの技術を評価するかを決定する際に、患者の意見を反映させる機会を設ける必要がある。これには、HTAの対象技術を選択するための基準策定に、患者やその家族が参加することも含まれる。

## スコーピング

患者や患者団体は、一般的にPICO（集団、介入、比較対象、結果）の枠組みを用いるスコーピングに関与することができる。例えば、National Institute for Health and Care Excellence (NICE)は、スコーピング文書の草案を公開してコメントを求め、その後、すべてのコメントと新しいスコープを公表することで、患者の意見を引き出している。NICEのパブリック・インボルブメント・ウェブページを調べると、患者グループが、特に重要な患者サブグループ、比較対象、アウトカムについて重要な意見を提供していることがわかる。

オーストラリアの医療サービス諮問委員会 (Medical Services Advisory Committee : MSAC) のPICO諮問小委員会 (PICO Advisory Sub-Committee) もその一例である。このグループは、対象となる患者グループにスコープとコンサルテーション調査を配布している。

EUnetHTAは、HTA報告書の共同作成において協力する欧州機関のネットワークである。同ネットワークでは、HTAiテンプレート（患者入力のためのHTAツールの項目に記載）を使用して、EUnetHTAの相対的有効性評価（臨床的有効性を評価する報告書）における患者入力に患者を参加させている。これは、PICO表の作成に役立てたり、患者の経験に関する洞察を評価チームに提供したりするために、患者からの意見を得ることを意図している。

スコーピングにおける患者からの入力は、患者にとって重要なアウトカムを強調し、HTA申請における適切な比較対象を特定する上で価値があることが示されている。

## 患者入力のための HTA ツール

より迅速な HTA、特に医薬品に関する HTA の導入に伴い、多くの HTA 機関は、文書によるテンプレートの形式で提出を受け付けるようになった。例えば、医薬品評価センター（台湾）、医療技術組み入れ国家委員会（CONITEC、ブラジル）、PBAC と MSAC（オーストラリア）などは、患者団体を含む一般市民からの提出を受け付けている。一方、NICE（イングランドとウェールズ）、SMC（Scottish Medicines Consortium）、CADTH（カナダ）などは、通常、提出者を患者団体に限定し、資金提供の根拠を宣言する基準を適用している。提出された資料には、患者やその家族の生活体験からの洞察が含まれており、前提を覆したり、ギャップや不確実性に対処したりすることができる。提出用テンプレートでは、特定の疾患や病状に直面する患者と家族の日常生活、現行治療法の選択肢とその影響、評価対象技術の使用経験について質問することが一般的である。

PCIG は、HTA 機関や患者団体と協力し、患者団体提出用書式の見直しを行ってきた。医薬品、非医薬品、診断薬の 3 つの標準化された HTAi 患者グループ提出用テンプレートを開発した。これらのツールは国際的に協議され、英語からフランス語、スペイン語、北京語に翻訳された。非医薬品の HTA への患者グループ提出用テンプレートは、臨床ガイドラインにも適応可能である。これには HTA 機関向けのカバーノートが添えられており、それぞれの状況、プロセス、評価対象技術に合わせてテンプレートを適応させる必要性を強調している。2021 年、EC が資金提供する IMPACT HTA プロジェクトは、HTAi の作業を利用して、データ収集後の再評価のための新しい患者グループ提出テンプレートを開発した。これは、データ収集期間中の患者の経験を文書化し、臨床エビデンスでは捉えられなかつた予期せぬ効果を特定することを目的としている。

HTAi のテンプレートは、意思決定者によって評価される情報を強調しているが、患者がその価値を理解するためには、研修、ガイダンス、フィードバックによる十

分な支援が必要である。というのも、患者は、自分たちの生活経験知識のどの領域が、エビデンスの中で想定されているか、誤解されているか、欠落しているかを知らない可能性があるからである。HTAの中には、提出書類の作成中に患者団体をサポートする専任のスタッフがいる団体もある。例えば、SMCは提出書類の草案についてフィードバックを提供し、CADTHは評価後に書簡でフィードバックを提供している。

PCIGは、CADTHの汎カナダがん治療薬レビュー（pan-Canadian Oncology Drug Review）により開発された、患者が患者グループからの意見提出テンプレートを記入するのに役立つガイドとして採用した。HTAiのテンプレートを用いた患者意見提供のためのガイダンスは、患者グループがどのような情報が最も影響力を持つかを理解するのに役立ち、調査や患者との面談を実施し、調査結果を報告する方法についてのガイダンスを示している。患者団体は通常、倫理委員会の審査を受けることなくこの作業を行うことを認識し、PCIGは、HTA提出のための情報収集と報告を行う際に患者団体が考慮すべき倫理的問題に関するHTAiショートガイドとロングガイドも作成した。

さらに2020年、PCIGは、研究プロジェクトとSMCの経験に基づき、評価対象の医薬品に関する情報をスポンサーから患者グループに提供するための患者向け情報要約テンプレートとガイダンスを発表した。このテンプレートの根拠は、患者、特に小規模でHTAの経験が浅い患者グループの人々は、意見を述べるために、評価対象製品に関する情報を必要としているということである。PCIGは、HTA機関がこのテンプレートを適応することを意図している。

患者からの意見提出は、HTA機関の理解に役立っている：

- 患者のトレードオフ
- サービス提供のばらつきがもたらすもの
- 患者への小さな臨床的利益の潜在的実世界価値
- 治療経路の結果
- 臨床試験で特定されなかった患者サブグループに対する治療法の実施方法

Berglas ら (2016) は、CADTH の Common Drug Review による 30 件の評価において、患者の意見がどのように統合されているかを調査した。彼らは、CADTH のレビューが、達成された健康状態、回復の進捗状況、病気や治療がもたらす長期的な影響に関する患者の洞察を用いて、評価を組み立てていることを発見した。CADTH カナダ医薬品専門家委員会は、エビデンスの解釈を助けるためにこれらの洞察を利用している。また、患者からの情報により、患者にとって重要でありながら臨床試験では測定されない可能性のあるアウトカムを特定する役割も果たしていることが明らかになった。

## 委員会メンバー

患者やその代表者は、諮問委員会や評価委員会に参加することができる。Street ら (2020) は、患者メンバーと市民メンバーの役割に関する継続的な混乱を克服するために、代表することを任務とする利害や価値観によって委員を識別することで、明確になることを見出した。彼らは、患者メンバーを「HTA のプロセスに患者の利益を取り入れることを委員会で支援するために選ばれた人」と定義し、一方、市民メンバーを「社会全体の利益を取り入れることを支援する人」と定義した。患者メンバーは、生活経験に基づく特定の専門知識を提供するために、委員会に推薦されることがある。また、委員会メンバーとして、特定の疾患や問題に関する患者コミュニティのより広範な経験や視点を提示することもできる。さらに、患者・市民メンバーは、患者参加プロセスが適切に実施され、改善点を反省し、患者からの意見を提供する人々に研修を提供できるようにする上で重要な役割を果たす。G-BA の評価委員会は、このようなアプローチを採用している HTA 機関の一例である。G-BA の評価委員会では、評価プロセス全体を通じて、また委員会のすべてのセッションに患者代表が参加している。

## ヒアリング

オーストラリアの PBAC は、一部の希少疾患治療薬など、益と害のエビデンスの解釈に不確実性が高い場合に消費者公聴会を実施している。ブラジルでは、公聴会が

法的に規定されており、2021年3月に最初の公聴会が開催された。脊髄性筋萎縮症が対象だった。この公聴会は、保健省の科学技術・戦略投入事務局長官が、問題の関連性から公聴会を開催することが妥当であると判断したケースについて、最終決定が下される前に開催されることを意図している。公聴会は、誰でも参加できる対面式の協議メカニズムとして想定されており、参加者には発言の機会が与えられる。(Silva et al. 2019.)

## コンサルテーション

イタリアの国立地域医療サービス機関（AGENAS）、ブラジルの CONITEC、イングランドとウェールズの NICE など、いくつかの HTA 機関は、患者や患者団体を含む幅広いステークホルダーからの意見を求めるために、コンサルテーションレポートを発行している。これらの報告書はかなり専門的な内容であることもあるため、患者参加型の報告書を作成し、関連する患者コミュニティと問題を議論するためのワークショップや会議を開催した方が、患者の参加をより支援することができる。

## 普及

HTA 機関は、HTA 報告書や推奨の患者版を用いて、推奨がどのように作成され、患者にとってどのような意味があるのかを伝えている。例えば、SHTG は Health Improvement Scotland の公的パートナーと協力し、DECIDE プロジェクトのガイダンスを活用して、創傷被覆材に関する HTA の患者ガイドを作成した。

## 個々の HTA を超えて

個々の HTA 以外での患者参加の活用については、あまり文献に記載されていない。その例として、SMC、NICE、Health Technology Wales では、患者参加プロセスの策定と見直しに患者を参加させるアドバイザリーグループを形成している。ま

た、CADTH の主要な能力開発活動である年次シンポジウムの議題形成と貢献において、患者が関与している例もある。PCIG は現在、組織レベルでの患者参加について調査を行っており、必要性が確認されれば、この分野を支援するツールを開発する可能性がある。

患者団体や個々の患者を HTA に参加させるための PCIG のリソースとして、HTAi オンライン・リソース・ディレクトリがある。このディレクトリは、HTA 団体、非営利団体、その他の関連団体が共有する有用なリソースを簡単に検索できるようすることを目的としている。

## 患者ベースのエビデンスの活用

SBU、DEFACTUM（中央デンマーク地域の Corporate Quality の一部）、AGENAS、CADTH、RedETS（スペインの医療技術評価機関ネットワークと国民医療制度の利益）、SHTG など、独自の文献レビューを行う HTA 機関は、患者の問題を特定するために特定の文献検索を行うことがある。これらの機関は、反復的なプロセスを用いて患者にとって重要な問題を特定し、次にそれらの問題についての患者の視点や経験を記述した文献（多くの場合、質的調査研究）を検索する。このような研究は、患者、介護者、家族を含む人々が、病状とその治療をどのように受け止め、経験しているかを示すエビデンスとなる。これらの研究は、批評的なレビューが可能であり、その方法の長所、限界、偏りについて明確になっている。このような質的研究を批判的に評価し、社会的・人文学的研究の方法論を用いて統合するために、質的エビデンス統合のような体系的プロセスを用いることができる（Swedish Council on HTA 2013）。エビデンスが不足している場合は、一次研究を委託し、HTA の一部として報告することができる（Danish National Board of Health 2007）。

EUnetHTA の HTA コアモデルオンライン（2017 年）には、患者および社会的側面の領域が含まれており、技術導入前・導入中・導入後の患者とその重要な他者（家族等）の考慮事項、懸念、経験に焦点を当てている。EUnetHTA HTA コアモデルハンドブックは、様々なニーズに利用可能な患者の視点に立った調査の実施に関するガイダンスを提供している。このようなプロセスでは、患者団体や患者専門家も利用

できる：

- リサーチクエスチョンを定義するプロトコルに有益な意見を提供する。
- 患者にとって最も重要なアウトカムを特定する。
- ガイドライン草案と推奨事項に関する重要なコンサルテーションコメントを提供する。

迅速評価の利用が増加していることを受け、Health Improvement Scotland は 3 つのリソースを作成し、試行している。HTA のための迅速質的エビデンス総合の実施ガイド、方法論、コーディングテンプレートについては、HTAi のウェブサイトを参照のこと。

質的研究に加え、DCE や AHP のような患者選好の方法論は、HTA の推奨に有益な追加的なエビデンスとなる可能性がある。HTA の中には、このような方法論を模索している機関もある。患者の選好調査は、ある技術が、投与方法、投与のしやすさ、副作用、重篤な副作用のリスクなど、異なる特徴を持つ標準治療と比較される場合に、特に有用であろう (Bouvy et al.)。しかし、HTA や医療技術開発のライフサイクルにおける最適な利用法を確認するためには、さらなる研究が必要である (Danner and Gerber-Grote 2017)。参加者の無数性、仮説バイアス、サブグループ間のばらつき、不活性または柔軟な選好など、表明選好法に関連する限界を考慮する必要がある。PCIG プロジェクトの小委員会が、これらの問題を調査している。

IQWiG は、患者が異なる適応症における治療結果の重要性を評価する、DCE と AHP を用いた 2 つの選好抽出研究を実施した。IQWiG は、これらの研究が、アウトカムに特化した HTA 結果の重み付けや優先順位付けを行う可能性があることを明らかにした。AHP 研究では、患者が臨床医とは異なるアウトカムを評価していることが示され、肺がんにおける DCE 研究では、重要な代替エンドポイントが特定された (Egbrink and IJzerman 2014)。

## インパクト

用語の不統一、限定された目標の記述、患者参画の活用状況と影響に関する不十分な文書化により、その効果を評価することが困難になっている。にもかかわらず、患者参画による影響を評価する必要性は、特に実践を改善するために、ますます認識されるようになってきている。評価は、患者の洞察が評価報告書に組み込まれたかどうか、どのように組み込まれたか、また、書面による患者の陳述書が償還決定に肯定的な影響を与えるかどうかを判断するために用いられてきた。また、陳述書の影響を評価するためにも用いられてきた (Mason et al. 2020)。HTAでは、エビデンスの情報源や変数の数が多いため、このような評価には問題がある。HTAにおける患者参画の影響を理解するための代替的なアプローチは、ストーリー形式のケーススタディである (例えば、Single et al. 2019 が説明したように)。PCIGは、さらなる事例研究や HTAへの患者参画に関するステークホルダーの経験を収集するために、患者参画の影響の視点テンプレート (HTAへの患者参画の影響に関するステークホルダーの視点 (影響プロジェクト) を参照) を用いて、この作業を発展させてきた。このような情報は、患者、HTA や産業界で働く人々など、HTAに関わる全ての人の視点から、患者参画の影響についての考察を提供することができる。

## 謝辞

本 2020 年版のベースとなった 2015 年版の共著者である Dr Tania Stafinski (カナダ、エドモントン、アルバータ大学公衆衛生学部 HTPU、医療政策・管理学) に謝意を表したい。

査読者 : Lucía Prieto Remón, María Jose Vicente Edo

## 参考文献

Abelson J, Wagner F, DeJean D et al. (2016) Public and patient involvement in Health Technology Assessment: A framework for action. International Journal of Technology Assessment in Health Care 32(4): 256–64

Berglas S, Jutai L, MacKean G et al. (2016) Patients' perspectives can be integrated in health technology assessment: an exploratory analysis of CADTH Common Drug Review. Research Involvement and Engagement 2:21

Boivin A, Lehoux P, Burgers J et al. (2014) What are the key ingredients for effective public involvement in health care improvement and policy decisions? A randomized trial process evaluation. The Milbank Quarterly 92(2): 319–50

Bouvy JC, Cowie L, Lovett R et al. (2020) Use of patient preference studies in HTA decision making: a NICE Perspective. Patient 13(2):145–9

CADTH (2019) CADTH Framework for Patient Engagement in Health Technology Assessment

Danner M and Gerber-Grote A (2017) Analytic hierarchy process. Chapter 11. In: Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors. Patient involvement in health technology assessment. Singapore: Springer Nature, p135–147

Egbrink MO, IJzerman M (2014) The value of quantitative patient preferences in regulatory benefit-risk assessment. Journal of Market Access & Health Policy 2

EUnetHTA (2016) HTA Core Model Online

EUnetHTA (2019) Patient input in relative effectiveness assessments

European Patients' Forum (2013) Patient involvement in health technology assessment in Europe – results of the EPF survey. Brussels: EPF

Facey KM (2017) Developing the mosaic of patient participation in HTA. Chapter 5. In: Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors. Patient involvement in health technology assessment. Singapore: Springer Nature, p51–66

Facey KM, Bedlington N, Berglas S et al. (2018) Putting patients at the centre of healthcare: progress and challenges for health technology assessments. *The Patient - Patient-Centered Outcomes Research* 11(6): 581–9

Facey K, Boivin A, Gracia J et al. (2010) Patients' perspectives in health technology assessment: a route to robust evidence and fair deliberation. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 26(3): 334–40

Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors (2017) Patient involvement in health technology assessment. Singapore: Springer Nature

Garrido MV, Zentner A, Busse R (2008) Health systems, health policy and health technology assessment. Chapter 4. In: Garrido MV, Kristensen FB, Nielsen CP et al., editors. *Health technology assessment and health policy-making in Europe. Observatory Study Series No. 14.* Copenhagen: World Health Organization on behalf of European Observatory on Health Systems and Policies, p53–78

Gauvin F-P, Abelson J, Lavis JN (2015) Evidence brief: strengthening public and patient engagement in health technology assessment in Ontario. Hamilton, Canada: McMaster Health Forum

Haefner S and Danner M. (2017) Germany. Chapter 25. In: Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors. Patient involvement in health technology assessment. Singapore: Springer Nature, p299–312

Hailey D (2005) Consumer involvement in health technology assessment. Alberta: Alberta Heritage Foundation for Medical Research HTA Unit

HTAi (2014) Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA (poster).

Kristensen FB and Sigmund H, editors (2007) Health technology assessment handbook. Copenhagen, Denmark: Danish National Board of Health

Mason RJ, Searle KM, Bombard Y et al. (2020) Evaluation of the impact of patient involvement in health technology assessments: a scoping review. International Journal of Technology Assessment in Health Care 36(3): 217–23

Office of Technology Assessment (OTA) (1976) Development of medical technology – opportunities for assessment. Washington DC: United States Congress

OHTAC Public Engagement Subcommittee (2015) Public engagement for health technology assessment at Health Quality Ontario – final report from the Ontario Health Technology Advisory Committee Public Engagement Subcommittee.

O'Rourke B, Oortwijn W, Schuller T, and the International Joint Task Group (2020) The new definition of health technology assessment: a milestone in international collaboration. Journal of Technology Assessment in Health Care 1–4

Silva AS, de Sousa MSA, da Silva EV et al. (2019) Social participation in the health technology incorporation process into Unified Health System. Revista de Saude Publica 53: 109

Single ANV, Facey KM, Livingstone H et al. (2019) Stories of patient involvement impact in health technology assessments: a discussion paper. International Journal of Technology Assessment in Health Care 35(4): 266–72

Street J, Stafinski T, Lopes E et al. (2020). Defining the role of the public in Health Technology Assessment (HTA) and HTA-informed decision-making processes. International Journal of Technology Assessment in Health Care 36(2): 1–9

Staniszewska S and Werkö S (2017) Patient-based evidence in HTA. Chapter 4. In: Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors. Patient involvement in health technology assessment. Singapore: Springer Nature, p43–50

Swedish Council on HTA (2013) Evaluation and synthesis of studies using qualitative methods of analysis. Stockholm Sweden: Swedish Agency for Health Technology Assessment and Assessment of Social Services (SBU)

Vanstone M, Abelson J, Bidonde J et al. (2019) Ethical challenges related to patient involvement in health technology assessment. International Journal of Technology Assessment in Health Care 35(4): 1–4

Werkö S and Andersson C (2017) Sweden. Chapter 28. In: Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors. Patient involvement in health technology assessment. Singapore: Springer Nature, p333–46