



医薬品規制調和国際会議

ICH ガイドライン

患者選好研究に関する一般指針（案）

E22

ICH プロセスのステップ2における意見募集のための公開版

(2025年11月19日版)

患者選好研究に関する一般指針（案）

E22

目次

1. 緒言	1
1.1. 背景	1
1.2. 本指針の目的	2
1.3. 適用範囲と方向性.....	2
2. 一般的原則	3
2.1. 研究参加者の保護.....	3
2.2. PPS の開発における患者からの情報の反映.....	3
2.3. 事前調査.....	4
2.4. 新規の選好研究実施の妥当性.....	4
2.5. 国際的な適用性.....	4
2.6. 早期の検討及び計画の重要性.....	4
2.7. 品質基準.....	5
2.8. PPS チームにおける多分野にわたる専門性の確保	5
3. 医薬品開発及び市販後評価における PPS	5
3.1. PPS の種類.....	6
3.2. PPS を医薬品の開発と評価に活用する方法.....	6
4. PPS に関する推奨事項と実施上の考慮事項	8
4.1. 研究目的とリサーチクエスチョン	8
4.2. 研究デザインと方法の選択.....	8
4.3. 研究の参加者	9
4.4. 参加者数.....	10
4.5. 特性と水準.....	11
4.6. 調査ツールのデザイン	12
4.6.1. 状況.....	12
4.6.2. PPS における情報の表示.....	12
4.6.3. 品質確認の実施.....	14
4.6.4. プレテスト.....	15
4.6.5. パイロットテスト.....	15
4.7. 解析計画書.....	16
4.8. コモン・テクニカル・ドキュメント（CTD）のモジュールへの報告と提出	17

1 緒言

1.1. 背景

患者選好研究（Patient Preference Studies ; PPS）は、既存若しくは可能性のある医療介入、又はその医療介入の特徴や結果に対する相対的な望ましさや受容性を評価することを目的としている。PPSによって、患者が医薬品¹に関して意思決定を行う際に考慮する特徴（特性とも呼ばれる）の相対的な重要性について、構造化された知見をもたらすことができる。これらの特性には、例えば、有効性及び安全性の結果、またはその他の関連する可能性がある特徴が含まれ得る。

これらの定性的及び定量的な知見を理解することは、アンメットニーズの特定、臨床試験の設計、結果の解釈など、医薬品開発のさまざまな側面にとって重要である。

PPSは、患者が想定し得る治療結果やその他の特徴をどのように受け取り、どのように優先順位を付けるか、患者の状態におけるさまざまな側面に対する患者自身の見解を理解しようとする場合に特に有用となるであろう。

疾患を経験した患者や医薬品を使用した患者は、疾患の転帰及び医薬品やその他の医療介入の影響について、適切な視点を提供することができる。診断的若しくは予防的な医療介入、又は将来的に可能性がある治療に対しては、健康な人やリスクのある個人も有益な視点を提供し得る。PPSがもたらす情報は、有効性及び安全性に関する試験が提供する情報に取って代わるものではないものの、PPSの情報は、市販前及び市販後の医薬品開発のさまざまな段階において有用であり、ICH M4E及びE2Cに記載されているとおり、医薬品のベネフィット・リスク評価及び関連する規制上の意思決定において、有効性及び安全性に関する情報とともに考慮し得るものである。

¹「Drug（医薬品）」という用語は、治験薬又は治療、予防若しくは診断用の医薬品（medicinal product）と同義である。「医薬品の承認」という用語は、医薬品の製造販売承認を取得することを意味する。

23 1.2. 本指針の目的

24 本指針は、医薬品開発、規制当局への申請と評価、医薬品の承認、及びその承認の
25 維持に情報を提供するための PPS の使用、デザイン、実施、解析及び提出に関する
26 一般指針を概説する。

27 1.3. 適用範囲と方向性

28 本指針では、表明選好法と呼ばれる方法に焦点を当てている。表明選好法は、調査
29 票又は面接を通じて選好情報を収集し、参加者はある治療結果の間のトレードオフ
30 又はある治療選択肢間のトレードオフについて、選択又は許容可能な閾値を表現す
31 る（述べる）ことが求められる。実際に観察された行動に基づく顕示選好法とは異
32 なり、表明選好法は仮想のシナリオを使用して、患者が異なる条件下でどのように
33 行動を選択するかを理解する。顕示選好法は、本指針の適用範囲外である。²

34 PPS は多くの状況で適用し得るものであり、本指針に記載されているものを含むが
35 これに限定されない。この文書では、治療を目的とした医薬品への PPS の適用に重
36 点が置かれているものの、健康な個人又は将来の患者に対する予防又は診断を目的
37 とした医薬品にも適用される。

38 介護者の選好は、患者選好とは異なり、患者選好を代替するものではない。介護者
39 の選好は規制上の評価に情報を与える可能性があるものの、以降の本指針では言及
40 していない。

41 患者の代わりに医療従事者などの他のステークホルダーから選好を集めることが目
42 的である場合、その選好は患者選好とは異なる可能性があることを認識することが
43 重要である。医療従事者を対象とする選好研究は、PPS と混同したり、PPS の代替と
44 すべきではなく、本指針の範囲外である。

45 本指針は、PPS 及び医薬品の特徴に関する患者にとっての価値について取り上げて
46 いる。患者報告アウトカム指標には焦点を当てていない。

² 顕示選好法は、実際に観察された患者の行動又は選択（例えば、どの医薬品が実際に使用されたか）から患者選好を得る方法である。

47 PPS データの添付文書への記載は地域毎の案件であり、本指針の範囲外である。

48 PPS の設計にあたっては多くの方法がある。以下に概説する一般指針を超えるよう
49 な方法の選択や方法に対応した PPS の実施に関する推奨事項は、本指針の範囲外で
50 ある。

51 選好研究は、広範な研究分野であり、現在も発展中である³。そのため、本指針で
52 は、詳細な技術的な方法の案内ではなく、一般指針及び科学的な原則を提示する。
53 技術的な内容を例示して説明している場合、現在の慣行に基づき選択可能な方法を
54 反映しているものの、より新しい方法や代替の方法が適切な場合もあり得る。可能
55 な場合には、早い段階の規制当局との対話が、PPS が規制上の期待と科学的基準を
56 満たしていることを確認するために役立つであろう。

57 2. 一般的原則

58 2.1. 研究参加者の保護

59 倫理的行動、研究計画書の遵守、個人情報保護など、人を対象とする他の種類の研
60 究に適用される原則は、PPS にも適用される。PPS の参加者は、適用される規制及び
61 法的要件に従って保護されるべきである。

62 2.2. PPS の開発における患者からの情報の反映

63 患者からの情報の反映は、PPS の開発を含む医薬品開発全体を通じて有意義である。
64 患者からの情報の反映は、以下のような項目を支援し得る。

- 65 • PPS の使用目的の特定
- 66 • PPS の設計

³ 本指針では正式に承認又は認定されていないが、関連する知見や補足情報を提供する可能性のある外部資料として、以下が挙げられる。IMI PREFER Recommendations (IMI PREFER の推奨文書)、Medical Device Innovation Consortium (MDIC) による Patient-Centered Benefit-Risk Framework (患者中心のベネフィット・リスクフレームワーク)、Professional Society for Health Economics and Outcomes Research (ISPOR) の best practice documents on Patient Preference Methods and Quantitative Benefit-Risk Assessment (患者選好方法と定量的ベネフィット・リスク評価に関するベストプラクティス文書)、並びに Council for International Organizations of Medical Sciences (CIOMS) ガイドライン XI 及び XII (「Benefit-Risk Balance for Medicinal Products (医薬品のベネフィット・リスクバランス)」、 「Patient Involvement in the Development, Regulation, and Safe Use of Medicines (医薬品の開発、規制、安全使用への患者の参画) 」)。

- 67 • PPS の実施における実現可能性の課題の特定
- 68 • PPS の研究計画書の作成
- 69 • 特性と水準の選択
- 70 • PPS の結果解釈と、実用的な意味の明確化

71 **2.3. 事前調査**

72 通常、すべての関連情報が特定され PPS のデザインに含まれていることを確認する
73 ために、徹底的な事前調査（例えば、文献レビュー、専門家相談、患者との面接）
74 を実施することが重要であろう。この手順は、定性的研究（例えば、面接ガイドの
75 作成）や定量的研究（例えば、調査票の作成）において特に重要である。

76 **2.4. 新規の選好研究実施の妥当性**

77 ほとんどの研究は、ある特性とある治療状況との組み合わせに対して設計されるも
78 のの、意図する研究目的とリサーチクエスチョンを説明し得る妥当な PPS の既存文
79 献が存在する場合がある。患者コミュニティに不必要な負担がかからないように、
80 現在進行中及び将来の研究においては、十分な品質の既存の関連文献が存在しない
81 か考慮すべきである。

82 **2.5. 国際的な適用性**

83 状況によってはある地域（すなわち、PPS が実施されていない地域）において、他
84 の地域で実施された PPS が有用であり、規制上の医薬品評価及び関連する意思決定
85 に情報を提供できる場合がある。これによりリソースを節約し、患者コミュニティ
86 の負担を軽減できる可能性がある。他の地域の PPS の結果がある地域に適用できる
87 程度を評価すべきである。申請者は、他の地域で実施された PPS が、ある地域にと
88 って有益である理由の妥当性を示すべきである。申請者が関連する規制当局と事前
89 に議論する際に、この論点が役立つ場合がある。

90 **2.6. 早期の検討及び計画の重要性**

91 可能な限り早く、PPS の有用性を医薬品開発全体において体系的に検討すべきであ
92 る。PPS を実施するタイミングに関する詳細な議論は各開発プログラムに固有であ

93 るものの、通常、研究のタイミングは PPS の目的、その目的を支援する PPS を設計
94 するための十分な情報が得られる時期及び PPS の結果を使用すると予想される時期
95 の影響を受ける。

96 2.7. 品質基準

- 97 ● リサーチクエスションは研究目的と一致させるべきである。一致させること
98 で、選択した方法、研究計画書、解析計画書、データマネジメント及び報告
99 書を、特定の目的に対して有益なものに導く。

- 100 ● PPS は、適切な研究デザイン及び実施についての原則に従うことが期待され
101 ている。これには、同意説明文書、研究計画書、面接ガイド、解析計画書、
102 （最終的な）調査票（該当する場合）、研究報告書等の研究文書の作成が含
103 まれる。また、研究デザイン及び統計解析計画の事前規定及び十分な文書化
104 を確実に行うことも含まれる。

- 105 ● レジストリ、同等のプラットフォーム又はその他の公式な登録システムを通
106 して研究計画を事前登録することは、研究の信頼性と透明性を高めることに
107 役立つだろう。

- 108 ● PPS の実施は臨床研究における「クオリティ・バイ・デザイン」アプローチ
109 の原則に一致すべきであり、信頼性が高く意味のある結果を生成し、質に関
110 する重要な要因のリスク管理を担保するために、重要な品質要因に焦点を当
111 てたリスクに応じた方法を使用すべきである（ICH E8 参照）。

112 2.8. PPS チームにおける多分野にわたる専門性の確保

113 PPS のデザイン、実施、解析及び提出は、関連する PPS 方法論及び臨床的な専門知
114 識を有する部門横断的な研究チームによって行われるべきである。

115 3. 医薬品開発及び市販後評価における PPS

116 様々な種類の PPS が、臨床試験のデザイン、ベネフィット・リスク評価及び市販後
117 評価の複数の側面に情報を与え得る。

118 3.1. PPS の種類

119 PPS は様々な方法を用いて実施することが可能であり、大まかに定量的、定性的又
120 は混合研究法の選好研究に分類することができるが、これらの分類の区別は必ずし
121 も明確ではない。定性的 PPS は、選好を探索するための非数値的アプローチ（例え
122 ば、ナラティブ情報）に焦点を当てており、例えば、面接形式で、患者にとってど
123 の特性が重要であるかを特定するのに役立つ可能性がある。定量的 PPS は、選好の
124 数値的な計測と統計解析に焦点を当てている。定量的 PPS は、例えば、患者にとっ
125 ての特性の重要度や、異なる特性間で患者がトレードオフ可能と考える範囲の数値
126 を推定するために使用できる。このような研究は、集団における選好の分布と推定
127 値の分布（「選好の不均一性」）を説明するためにも使用できる。定量的 PPS は、
128 過去の定性的研究から得られた知見に基づいて設計される。定性的及び定量的アプ
129 ローチは、混合研究法アプローチを用いて組み合わせることができる。

130 3.2. PPS を医薬品の開発と評価に活用する方法

131 開発の様々な段階での PPS の使用例を以下に述べる。これらの例は、PPS の可能性
132 のある活用例を示すことを目的としている。

133 PPS の一般的な使用には、以下が含まれるが、これらに限定されない。

- 134 ● 治療における優先順位の特特定
- 135 ● 将来の臨床試験のアウトカム/エンドポイント選択への情報提供
- 136 ● 複数要素からなるエンドポイントのそれぞれの要素に対する相対的な重要
137 度の解釈
- 138 ● エンドポイントについての意義のある差に関する情報提供
- 139 ● ベネフィットとリスクのトレードオフの受容性に関する情報提供
- 140 ● 投与方法等の患者にとって重要な治療の特徴の特特定
- 141 ● 治験実施計画書で定めた参加者の来院と手順の受容性に関する情報提供

142 • 登録及び継続の方策に関する情報提供

143 • リスク管理又は軽減措置の受容性に関する情報提供

144 医薬品開発の早期で実施される PPS は、アンメットニーズ、疾患管理の優先順位、
145 患者の臨床試験への参加意向等に関する情報も提供し得る。この種類の早期の情報
146 は、常にではないものの、多くの場合は定性的であり、その後の PPS の開発におけ
147 る情報として使用される場合がある。

148 臨床試験デザインにおいては、PPS は、エンドポイントの開発、選択及び優先順位
149 付けの参考になり得る。エンドポイントが複数の事象又は項目を組み合わせて 1 つ
150 の指標となる場合、患者は各構成項目を同等に重要とみなさない可能性がある。
151 PPS は、エンドポイントのそれぞれの要素の重み付け又はスコアリングの情報を提
152 供できる可能性がある。PPS は構成要素の相対的な重要性に関する患者の視点を提
153 供することができ、それはエンドポイントの解釈や、構成要素に重みを付けて患者
154 の選好を反映したスコアを生成するアルゴリズムの開発に有用になる可能性がある。
155 PPS は、エンドポイントの値の変化の大きさが患者の視点から意義があると考えら
156 れるかどうかにも有用な情報となり得る。

157 医薬品開発の後期では、PPS を試験結果の解釈に役立てることができる。PPS は、患
158 者が医薬品の特定の特性間でどのようなトレードオフを許容するか、又は患者が医
159 薬品のベネフィットがリスクを上回ると考える可能性についても情報を与えること
160 ができる。治療の選択が高いリスク又は高い不確実性を伴う場合（例えば、稀なが
161 らも生命を脅かす有害な作用、長期的な安全性に不確実性がある治療）、PPS はベ
162 ネフィット・リスク評価に用いるリスク閾値の基準を示すことができる。さらに、
163 PPS はリスク軽減戦略とリスク管理計画の策定に情報を与えるために使用される可
164 能性がある。

165 選好は患者間で多様であると予想されるため、PPS は集団内での好みの分布を選好
166 の不均一性として記述するのに役立つだけでなく、特定の特徴が選好の違いに関連
167 する可能性があるとして事前に指定された属性別集団（すなわち、部分集団）間の分布
168 を比較することにも役立つ場合がある。例えば、より重症度が高い病型の患者は、

169 重症度が低い病型の患者よりも医薬品のリスクをより許容する場合もあれば、より
170 許容しない場合もある。

171 4. PPS に関する推奨事項と実施上の考慮事項

172 他の科学研究と同様に、PPS は国際的に認められた科学的基準と推奨される実施方
173 法に従うべきである。このセクションで概説する推奨事項は、PPS を設計又は評価
174 する際に特に考慮すべきである。PPS の結果が規制当局への申請をどのように補足
175 する意図であるかを説明し、提出されたデータが規制要件を満たしていることを説
176 明することは申請者の責任⁴である。

177 4.1. 研究目的とリサーチクエスチョン

178 すべての研究と同様に、PPS には研究目的とリサーチクエスチョンが区別されてい
179 る。研究目的は、医薬品の開発と評価において PPS が何を提供することを意図して
180 いるかを説明する。リサーチクエスチョンは、その研究目的について具体的な回答
181 を得られる問いになるように精緻化する。

182 一例として、研究目的が、ある疾患を有する PPS 参加者にとって最も重要な有効性
183 エンドポイントの特定することに関連している場合、対応するリサーチクエスチョ
184 ンは次のようになるであろう。(i) 提案された有効性エンドポイントに対応する特
185 性の相対的重要性の評価、(ii) 特性の単位変化あたりの相対的重要性の評価、(iii)
186 相対的重要性が疾患の病期及び主要な部分集団によって異なるかどうかの判断。別
187 の例として、研究目的がベネフィット・リスク評価への情報提供に関連している場
188 合、対応するリサーチクエスチョンは次のようになり得るであろう。(i) PPS 参加
189 者が特定のベネフィットの程度と引換えに受け入れるリスクの水準の評価、(ii)
190 PPS の結果が特定の医薬品又は副作用の過去の経験の有無によって異なるかどうか
191 の判断。

192 4.2. 研究デザインと方法の選択

193 方法の選択は、リサーチクエスチョン、患者集団、評価する特性やシナリオの数を
194 含む、いくつかの要因に依存し得る。PPS は1つの方法に限定されず、定量的及び定

⁴ 規制当局への申請者は、規制当局に提出した研究のすべての側面について最終的に責任を負う。

195 性的アプローチの両方を含めることができる。定性的な PPS を実施するには、面接、
196 フォーカスグループ、デルファイパネルなど、様々な方法がある。同様に、患者選
197 好を引き出すために様々な定量的方法があり、離散選択実験法、best-worst scaling
198 (BWS)、threshold technique (TT)、swing weighting (SW) などがある。

199 研究者⁵は、利用可能な方法、方法選択の注意点、及び様々な方法のそれぞれの長
200 所と限界について、より情報を得るために公表文献を参照することが奨励される。
201 PPS で使用される方法の選択には明確な根拠が存在すべきである。これには、特定
202 の選好を引き出す手法が選択された理由と、それがリサーチクエスチョンへの回答
203 をどのように支援するかを説明することが含まれる。非常に稀な疾患のような小さ
204 な集団では、一部の方法論は実施できない場合がある。

205 4.3. 研究の参加者

206 PPS の参加者は、研究目的とリサーチクエスチョンによって導かれるべきであり、
207 一連の登録基準と除外基準を通じて定義される。通常、PPS には規制当局への申請
208 の対象集団を代表する参加者が含まれるであろう。PPS の参加者と対象患者集団と
209 の不一致は、PPS から得られた知見の一般化の可能性と適用性を制限する可能性が
210 ある。PPS に規制当局への申請の対象集団とは異なる集団を含めることを計画して
211 いる場合、研究報告書には PPS との関連性を支持する考察を含めるべきである（セ
212 クション 4.8 参照）。

213 参加者の選択を計画する際に考慮すべき主な特徴には、選好の違いに関連する可能
214 性のある以下のような特徴が含まれる。

- 215 ● 参加者の人口統計学的多様性を含む、参加者の特徴
- 216 ● 疾患の病期を含む、疾患の特徴
- 217 ● 治療の経験や治療効果の経験を含む、治療の特徴

⁵本指針の目的に対応するため、研究の設計と実施の責任者を「研究者」と呼ぶ。

218 • 参加者の説明や部分集団の定義に必要な他の関連する特徴（例えば、リスク
219 態度、ヘルスリテラシー）

220 PPS に参加する可能性が低いであろう、異なる選好を有する可能性がある部分集団
221 には特に注意を払うべきである。

222 地域を超えてデータを使用する場合、ある地域と他の地域の文化や医療の類似性が、
223 選好に影響を与えるかどうかを慎重に検討する必要がある（セクション 2.5 も参照）。
224 他の地域で研究された定量的結果の使用を支援するためには、そのある地域からも
225 何らかの情報（例えば、定性的選好情報）を得ることは有用である。

226 参加者の募集方法にはさまざまな種類があり、方法の選択は研究の目的に依存し得
227 る。募集方法が対象集団の代表性にどのように影響するかを考慮することが重要で
228 ある。例えば、パネルの会員、患者支援団体の会員、臨床試験参加者、オンライン
229 で応募した人、専門の医療機関で治療を受けている人では、対象集団とは異なる特
230 徴を持っている可能性がある。

231 これらの課題を念頭に置いて、研究者は参加者をどこから募集しどのように適格性
232 を決定するか、といった募集方法を正当化すべきである。選択した方法の限界と潜
233 在的なバイアスを説明すべきである。研究者はまた、参加者の疾患の診断について
234 どのように評価するかを検討し、方法を正当化すべきである。

235 4.4. 参加者数

236 定性的及び定量的 PPS の参加者数の決定は、リサーチクエスチョンと方法によって
237 異なる。定性的 PPS の参加者数は定量的 PPS と比較して少ない傾向があるものの、
238 対象集団内の選好のばらつきを捉えるためには、多様な視点を含めるべきである。
239 定量的研究では、参加者数は、研究目的次第であるものの、期待する精度水準を確
240 保するために十分な大きさにすべきである。関心のある部分集団間の選好の違いの
241 評価をリサーチクエスチョンに含めている場合、関心のある各部分集団に十分な数
242 の参加者を含めるべきである。参加者数は、検定する特性や水準の数など、PPS の
243 複雑さにも依存する。バイアスの原因が適切に最小限に抑えられている場合、一般

244 に参加者数が大きいほど選好の推定がより正確になり、対象集団に対する一般化可
245 能性は高まる。

246 4.5. 特性と水準

247 PPS が医薬品又は治療の特性と水準に基づいている場合、特性と水準の開発に特に
248 注意を払う必要がある。特性とは、患者が治療を決定する際に考慮する医薬品又は
249 治療の特定の特徴（例えば、有効性の結果、副作用、投与頻度、投与経路）である。
250 原則として：

- 251 ● 含まれる特性は、患者、研究目的、及びリサーチクエスチョンに関連すべき
252 である
- 253 ● 無関係であることがわかっていて、負担を増大させる可能性がある特性は避
254 けることが重要である
- 255 ● 関連する特性を PPS で省略すると、研究の目的によっては、結果の有用性が
256 制限される場合がある

257 方法論は特性を選択する際に考慮すべき仮定（例えば、特性が参加者とは独立とみ
258 なせるといふ仮定）に依存している。もし、これらの仮定が満たされない場合には
259 PPS の結果の解釈が制限される可能性がある。

260 定量的 PPS に含める特性を選択する際に、研究者は選択手順に患者を関与させるこ
261 とが奨励される。患者を対象に半構造化面接又はフォーカスグループを実施し、参
262 加者に特性の一覧とそれぞれの説明を提示することで、フィードバックを求めるこ
263 とができる。

264 一般に、特性とエンドポイントの間の一致を考慮することが重要である。PPS の目
265 的がベネフィット・リスク評価に情報提供することである場合、これは特に重要と
266 なる（ICH M4E 参照）。臨床試験の主要なエンドポイントが PPS に含まれていない
267 場合、臨床データへの PPS の適用可能性は制限される可能性がある。時には完全な
268 一致が不可能な場合もあることが認識されている。場合によっては制限に対応でき

269 るであろう（例えば、PPS の設計時に臨床試験のエンドポイントが不明であるため
270 に一般的な特性を使用するなど）。

271 特性の水準とは、参加者に提示される各特性の異なる値のことを指す。

272 ● 特性の水準は、状況に応じて各特性の妥当な値の範囲をとらえることに役立
273 つ。PPS に含まれる特性の水準の範囲は、少なくとも臨床試験（治療群及び
274 対照群）で予想されるその特性の関連する値を含むべきである。そうでない
275 場合、臨床結果の解釈能力が制限され、PPS の目的を支援するための全体的
276 な有用性が低下する可能性がある。PPS に含まれる水準を超えて PPS のデー
277 タを外挿することは、一般的に推奨されない。

278 ● PPS の目的がベネフィット・リスク評価に情報提供することである場合、臨
279 床試験（例えば、早期臨床試験）から予想される有効性及び安全性情報が、
280 特性の水準の範囲に情報を与えるために利用できる場合がある。

281 4.6. 調査ツールのデザイン

282 調査ツール（例えば、面接ガイド、調査票）は、明確で理解しやすく、参加者に関
283 連性のあるものとなるべきである。選好を引き出すための調査ツールを設計する際
284 には、研究者は潜在的なバイアスを最小限に抑えるための措置を講じる必要がある。

285 4.6.1. 状況

286 調査ツールは、参加者が自分の好みを示す際に考慮するよう期待されるシナリオを
287 明確に説明することによって、PPS の状況を定義すべきである。選好が状況によっ
288 て異なる可能性があるため、定義は重要である。情報は現実的かつ回答にバイアス
289 を与えないように、十分に提示及び説明すべきである。

290 4.6.2. PPS における情報の表示

291 特性及びその他の関連情報は、すべての参加者に意図通りに一貫して曖昧さがなく
292 解釈されるように記述すべきである。

293 こういった情報を提示する際、研究者は以下の点を考慮すべきである。

- 294 • 数的思考力（つまり、健康関連の意思決定を行う際に数字を理解し使用する能力）
295
- 296 ○ 適切な数値、言語、及び図表表現は、参加者が確率を概念化するのに
297 有用であろう
- 298 • 複雑さ
- 299 ○ 読みやすさや同様の評価は、さまざまな識字能力水準の患者が調査ツ
300 ールを理解可能かどうかの確認に有用であろう
- 301 ○ 理解度問題を実施することで、研究参加者が意図通りに情報を解釈し
302 ているかどうかを特定できる
- 303 ○ 認知負荷
- 304 • 多言語研究
- 305 ○ 調査ツールの翻訳は、言語や文化間の概念的な同等性を強調すべきで
306 ある
- 307 • 特性と水準の説明
- 308 ○ 特性と水準の定義は、事実に基づきバイアスを回避するように慎重に
309 設計すべきである（例えば、水準を「良い」又は「悪い」と表現する
310 ことは避ける）。
- 311 • 認知バイアスの最小化
- 312 ○ 調査ツールのデザインは、フレーミング（例えば、変化を損失又は利
313 益として提示すること）、アンカリング（例えば、参照値を提示する
314 こと）、単純化するためのヒューリスティック（例えば、数値又はパー
315 センテージを低、中、高と表示すること）、又は順序効果（例えば、
316 問の相対的な位置によって回答に影響を与えること）などの潜在的な
317 認知バイアスを最小限に抑えるべきである。

318 **4.6.3. 品質確認の実施**

319 データ品質確認は PPS の重要な側面であり、潜在的なデータや研究の限界を明らか
320 にする可能性がある。これは、調査ツールの設計の早い段階で考慮すべきである。
321 適切な品質確認を構成する要素は、研究集団、PPS の方法によって異なり、不必要
322 に調査票の全体的な負担を上げないようにすべきである。品質確認の方法の選択は
323 正当化されるべきである。可能な品質確認には、例えば次のようなものがある。

- 324 ● データ品質の評価分析を可能とする質問の調査票への追加
 - 325 ○ 非論理的な回答を確認するための、明らかに優れた選択肢がある選択
 - 326 質問の追加
 - 327 ○ 同じ情報を問う異なる質問の使用（例えば、生まれた年と年齢）
- 328 ● 回答速度違反（調査の質問を急いで終わらせること）の評価のため、参加
- 329 者が調査を完了するのにかかる時間を取得する調査の実行

330 さらに、解析方法（セクション 4.7 も参照）を使用して、次のような問題を確認する
331 ことができる。

- 332 ● 特性の不在（選択する際に特定の特性を参加者が常に無視する場合）
- 333 ● 非論理的な回答（例えば、明らかに劣った選択肢を好むこと）
- 334 ● 不正な回答（例えば、調査の複数回完了や、人工知能によって生成された
- 335 人工的な参加者）
- 336 ● 同じ参加者からの回答の一貫性のなさ

337 品質確認で明らかになった重要な問題に対処すべきである。ほとんどのデータ品質
338 確認は、それ自体では、解析対象から削除すべき回答を明確に特定することはでき
339 ないことに留意すべきである。

340 4.6.4. プレテスト

341 PPS では、調査ツールのプレテストとパイロットテストは異なる目的を果たし、ど
342 ちらも調査ツールの開発に不可欠な手順である。プレテストは初期評価の段階であ
343 り、患者集団の調査ツールのレビューによって、内容、言葉遣い、形式の理解又は
344 解釈に関する問題を特定する作業である。プレテストの目的は、より大きな研究を
345 開始する前に、質問が明確で関連性があり理解しやすいように、調査ツールを洗練
346 することである。

347 ● 定性的 PPS の場合、プレテストは一般的に面接ガイドを評価するためにいく
348 つかの初期面接を実施することを含む。質問が明確で関連性があり、詳細で
349 意味のある回答を引き出すことができることを確認することに重点が置かれ
350 る。プレテストは、面接の流れ、質問の理解のしやすさ、及び全体の構造に
351 関する問題を特定するのに役立つ。これらの初期面接からのフィードバック
352 はガイドを改良するために使用し、豊富な定性的データを取得する際により
353 効果的になる。研究者は、対象集団（例えば、疲労がよく起こる等）や面接
354 の最大時間を考慮することが奨励される。

355 ● 調査票を使用する定量的 PPS の場合、手順には通常、認知面接を通じて対象
356 集団の少数の代表的な参加者に調査を実施することが含まれる。これらは通
357 常、段階的に行われ、研究参加者が調査票への回答を完了しながら思考の過
358 程を声に出す、思考発話法を用いる。プレテストの目的は、質問が意図した
359 通りに理解されているかを評価し、対処すべき曖昧さやバイアスを特定する
360 ことである。得られたフィードバックは、調査が大規模に展開される前に必
361 要な修正を行うために使用される。

362 4.6.5. パイロットテスト

363 パイロットテストは通常、実際の研究条件下での調査ツールのより包括的なテスト
364 を伴う。この段階では、プレテスト段階よりも多数の参加者が必要になる。パイロ
365 ットテストは、実施可能性、データ品質、及び運営に関する問題を特定するのに役
366 立つ。

- 367 • 定性的 PPS では、パイロットテストは、質問の言葉遣い、面接の長さ、及び
368 面接官のアプローチに関する問題を特定するのに役立つであろう。
- 369 • 電子的な調査票を使用する定量的 PPS では、パイロットテストは、電子的な
370 管理における技術的又は表示上の問題、高い脱落率の発生を検出するのに役
371 立つ場合がある⁶。パイロットテスト段階での品質確認の結果は、潜在的なバ
372 イアスの早期特定を促進するのに役立ち、調査ツールが本番で使われる前に
373 対処できるだろう。パイロットテストの情報は、統計学的留意事項の修正に
374 も役立つ場合がある。

375 **4.7. 解析計画書**

376 記述的であろうと推論的であろうと、解析は研究目的とリサーチクエスチョンに対
377 処し、推奨される手法に従うべきである。解析の方法に対しては正当性を示すべき
378 である。状況によっては、患者選好のデータが臨床試験データと組み合わせられるこ
379 とがあるだろう。⁷

380 解析対象集団の定義、欠測データの処理、部分集団の定義、及び適切な場合の仮説
381 検定など、リサーチクエスチョンと使用する統計的方法を定義する解析計画書を、
382 研究者は事前規定して作成すべきである。

383 解析計画書では、すべての主要解析と探索的解析、解析モデル又はモデリング計画
384 （該当する場合）、及び解析の実行に使用するソフトウェアパッケージを指定すべ
385 きである。複数の解析モデルが計画される場合には、研究者は、最終モデルの選択
386 に至る手順や判断を概説することも許容される。

387 定量的 PPS の場合、解析計画書には品質確認の結果を扱うための計画も含めるべき
388 である。具体的には、主要解析と感度分析の解析対象集団を定義する際のデータ品
389 質確認の適用、及びどのようにこれらのデータ品質確認が研究結果の解釈に使用さ
390 れるか、を解析計画書で説明し正当化すべきである（セクション 4.6 参照）。データ

⁶ ICH E6 (R3) と CDISC [ODM v2.0](#) の両方に、PPS の設計時に考慮するのに役立つデータの獲得に関
連する推奨事項が含まれている。

⁷ 定量的ベネフィット・リスク分析 (qBRA) は、定量的 PPS のデータと臨床試験データを組み合わ
せることができる。qBRA の詳細な説明は、本指針の範囲外である。

391 品質確認の結果、主要解析対象集団を作成するために回答を削除することになった
392 場合は、最大の解析対象集団（Full Analysis Set、削除された回答結果を含む）の結
393 果を表示して、これらの回答結果の削除が研究結果に与える影響を示すべきである。

394 E17 に沿って、事前に規定された地域や属性別集団の併合は柔軟性をもたらし、地
395 域間の選好の一貫性の評価の促進に役立ち、規制上の評価と意思決定を支援する可
396 能性がある（セクション 2.5 も参照）。併合戦略は正当化されるべきである。併合戦
397 略を計画する場合、研究計画書及び解析計画書に明記すべきである。

398 感度分析は主要解析結果の頑健性を評価し、データの仮定と限界からの逸脱によっ
399 て結論が変化するかどうかを確認するために用いられる。事前に規定された解析計
400 画書からの逸脱については、正当化されるべきである。

401 **4.8. コモン・テクニカル・ドキュメント（CTD）のモジュールへの報告と提出**

402 PPS は CTD のモジュール 2 とモジュール 5 に含めるべきである。

403 CTD 5.3.5.4 の「その他の臨床試験報告書」に PPS の報告書を含めるべきである。PPS
404 の報告書の構造は、（必要な場合適応しながら）総括報告書（CSR）（ICH E3R1）
405 の構造を参照できる。PPS の報告書には通常、E22 で取り上げた話題（研究目的と
406 リサーチクエスチョン、研究デザイン、方法の選択、研究参加者、参加者数）を扱
407 う内容が含まれる。定量的ベネフィット・リスク分析を PPS を使用して行う場合
408 （例えば、患者の選好と臨床試験結果を組み合わせる場合）、その内容は、独立し
409 た報告書に記載するか関連する PPS の報告書に含めることができる。

410 PPS は複数の場所から参照され、モジュール 2 に最も多く参照されるだろう。例え
411 ば、製品開発の根拠（CTD 2.5.1）に PPS を列挙し記載することができ、通常は臨床
412 試験と同じ詳細な記載で PPS の目的とデザインの説明を含める。PPS が臨床試験の
413 デザインに情報を与えた場合、PPS の結果をどのように使用したか CTD 2.5.1 に説明
414 を含めるべきである。

415 PPS の結果をメディカルニーズの根拠に使用する、又はベネフィット・リスク評価
416 に含む場合、PPS の批判的評価とともにベネフィットとリスクに関する結論（CTD

417 2.5.6) に含めることができる。必要に応じて、ICH M4E (R2) に記載されているよ
418 うに、PPS 及び/又は定量的ベネフィット・リスク分析の結果の主要素の要約を、
419 臨床に関する概括評価の補遺 (CTD 2.5.6.5) に含めることができる。(定量的ベネ
420 フィット・リスク評価の結果を含める方法の詳細については、ICH M4E 参照)。