



国立研究開発法人  
医薬基盤・健康・栄養研究所  
National Institutes of  
Biomedical Innovation, Health and Nutrition



資料4-7

# 臨床開発環境整備にむけた 医薬基盤・健康・栄養研究所の取り組み

国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所  
米田悦啓

# 難病研究支援

—これまでの医薬基盤・健康・栄養研究所の取り組み—

## 難病バンク

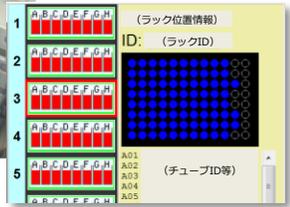
ITを活用した試料保管システムの構築と試料付随情報を活用した高い付加価値化



試料バーコード管理



試料保管ラック



試料保管・情報管理  
試料付随情報 (CRF) 管理

## R-Square (Rare disease patients x Researchers)

ITを活用した患者自発的研究参加支援システムの構築・運営

### R-Square

iPSS (iPS細胞研究 ドナーのリクルート)



■患者の研究参加の希望をかなえ、iPS細胞研究進展を支援。H26.4～登録開始。

### R-Square

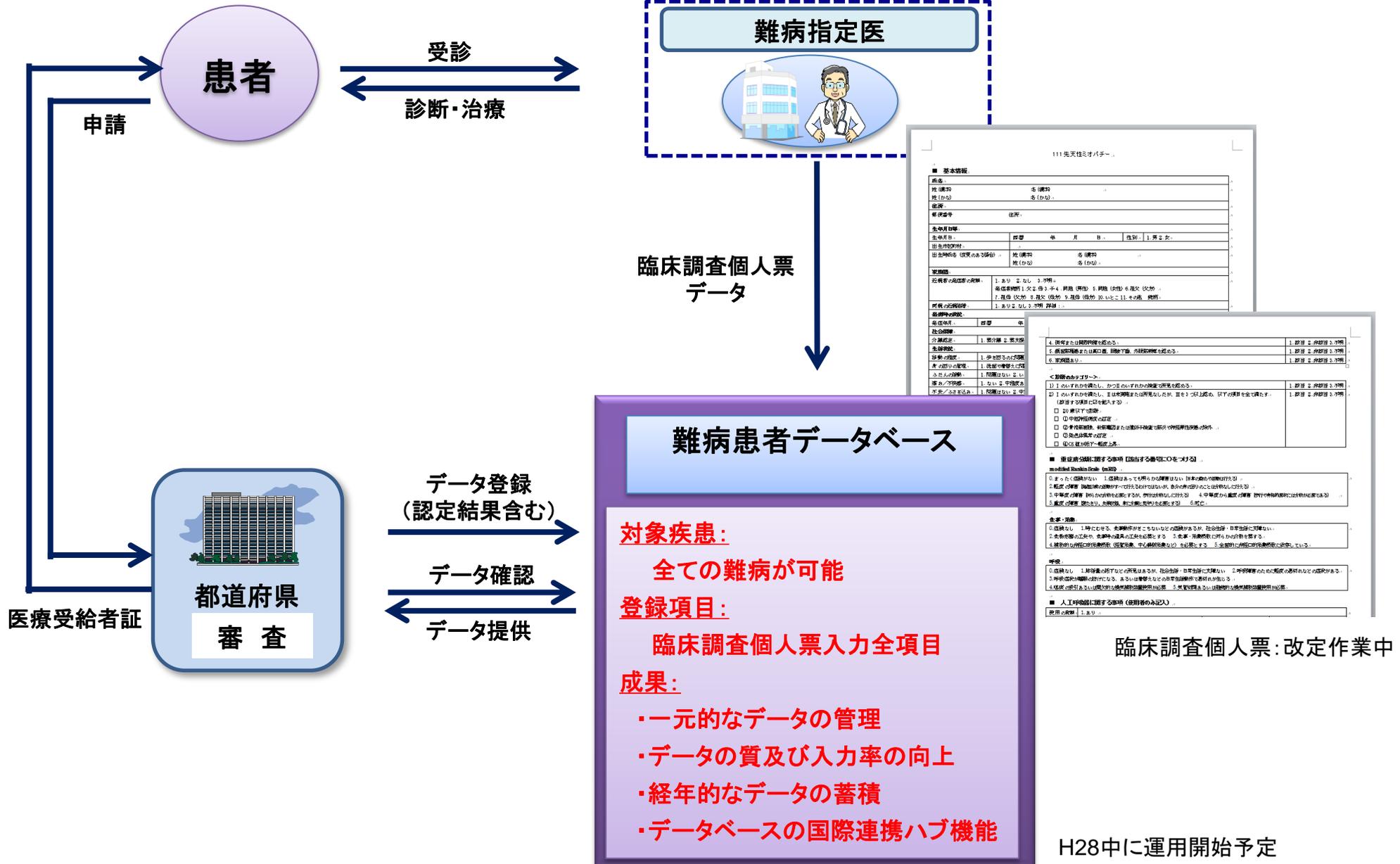
CURE Path (代謝異常研究ドナーのリクルート)



■患者の研究参加の希望をかなえ、創薬研究の進展の寄与を図る。H27.4～登録開始。



# 難病疾患登録システムの概要



# 難病DBの概要とCINへの適用



データ



## 難病患者データベース

### 対象疾患:

全ての難病が可能

### 登録項目:

臨床調査個人票入力全項目

### DB活用

例)

- ・難病患者データの提供 (export)
- ・活用目的に適合した解析データの提供
  - 患者・主治医の所在情報
  - 治験選択基準を満たす症例数の試算情報
  - 治験選択基準を満たす症例の所在情報
  - 治験組み込み症例数設定根拠の提供
  - 自然歴や治療歴のアーカイブ

## 医薬基盤・健康・栄養研究所

データ提供  
審査会

データ提供依頼



疾患登録情報  
提供

## NC(国立高度専門医療センター) 臨床研究中核病院



コンソーシアム  
への参加

疾患登録情報  
提供

## 企業



疾患登録情報を臨床開発に活用

データ提供依頼



疾患登録情報  
提供

# 臨床開発環境整備にむけた基盤研の貢献

難病患者DB



医薬基盤・健康・栄養研究所

## 希少難病版CIN

### ・CIN推進協議会難病WG

WG運営方針(予定):

対象疾患について議論

データ提供審査のあり方について議論

難病DB価値付加と提供について議論

### ・難病治験リエゾン事務局

NCで実施しにくい難病について、  
治験支援実施などでCIN機能を分担

### ・R-Square (Researcher x Rare disease pts.)

患者や研究者、その他NC等をつなぐ場提供  
難病患者・主治医所在情報の提供

## 創薬支援

・Drug repositioning情報等収集提供

・Disease repositioning情報等収集提供

NC  
(国立高度専門  
医療センター)



患者背景  
治療内容  
合併症  
副作用  
予後評価

製薬企業等



難病研究班



治験エントリー加速による難病治療剤開発の促進