

患者レジストリーデータを活用した 臨床開発効率化のための研究デザインの開発

平成28年度 医薬品等規制調和・評価研究事業

(研究者所属機関)

群馬大学、国立精神・神経医療研究センター、
国立国際医療研究センター、国立成育医療研究センター、
国立循環器病研究センター、国立長寿医療研究センター、
国立がん研究センター、医薬品医療機器総合機構、
名古屋大学、国立がん研究センター東病院、日本脳神経外科学会

班の位置づけ

- 平成27年度厚生労働科学特別研究事業 武田班
 - AMED研究班
 - 1) 横串班（武田班および**当研究班**）
 - 2) 利活用班（医薬品3班、医療機器1班）
 - CIN（患者レジストリ）の6つの役割（平成27年度 武田班報告）
 - 市場調査
 - 治験実施可能性の調査
 - 治験への患者リクルート
 - 治験計画の作成
 - **治験対照群としての活用**
 - **製造販売後調査、安全性対策**
- } 継続して検討が必要

⇒**当研究班：患者レジストリを利用した臨床開発の促進と効率化**

課題

- **難病、希少疾患、医療機器、手術などの領域：**

疾患の重篤性や対象患者数の限界のため、

- 通常のランダム化比較試験の実施困難
- 1-arm 試験では結果解釈ができない
- 事後的な外部対照データは収集困難で比較可能性が低い
- 患者登録データを利用した臨床開発の海外事例

⇒**これらの領域**での臨床開発の促進と効率化のため、患者レジストリ利用に関する**ガイダンスが必要**

- 「**臨床研究デザインと解析法**」
- 「**信頼性基準の考え方**」

患者レジストリデータの活用

①大規模なRCTが難しい領域での開発、医療機器の開発と薬事承認への活用

- “代替”の情報源としてのreal world data

②薬事承認後の評価への活用、医療上の価値・経済的価値等の評価への活用、等

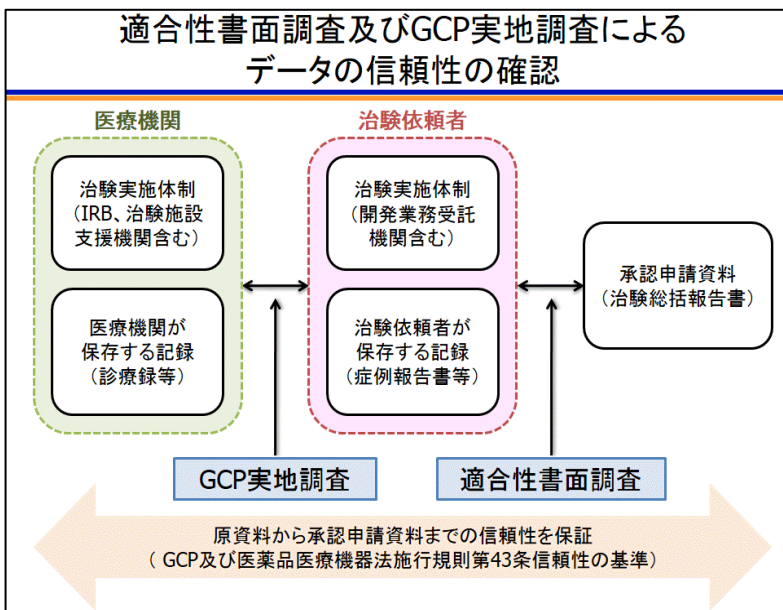
- 薬事承認申請の臨床データパッケージが小規模であることを補うための情報の取得

- “承認データ補完”の情報源としてのreal world data
- これが適切に行われることが担保されるのであれば薬事承認のハードルを下がり得るという意味で、新規治療薬の薬事承認に貢献するもの

- 治験・臨床試験では把握が難しい情報や原理的に把握できない情報の取得

- “True”な情報源としてのreal world data

信頼性基準の考え方（案）



- ① レジストリの設計・運用において必要となる事項（下図(a)）、
- ② 承認申請資料内に提示される情報がその目的に合致するものであることを担保するために必要となる事項（下図記(b)、(c)）

を検討

<https://www.pmda.go.jp/review-services/inspections/gcp/0004.html>

