

研究開発課題名

難病、希少疾患の医薬品開発におけるクリニカル イノベーションネットワーク構想の推進を目指した疾患登録システム(患者レジストリ)の構築

研究開発代表者

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター

トランスレーショナルメディカルセンター

臨床研究支援室長

中村治雅

発表内容

- 本研究の目標、実施体制
- Remudyの実績と課題、目指すもの
- 疾患登録システム
- レジストリの信頼性について
- レジストリの統合、ネットワークとの連携

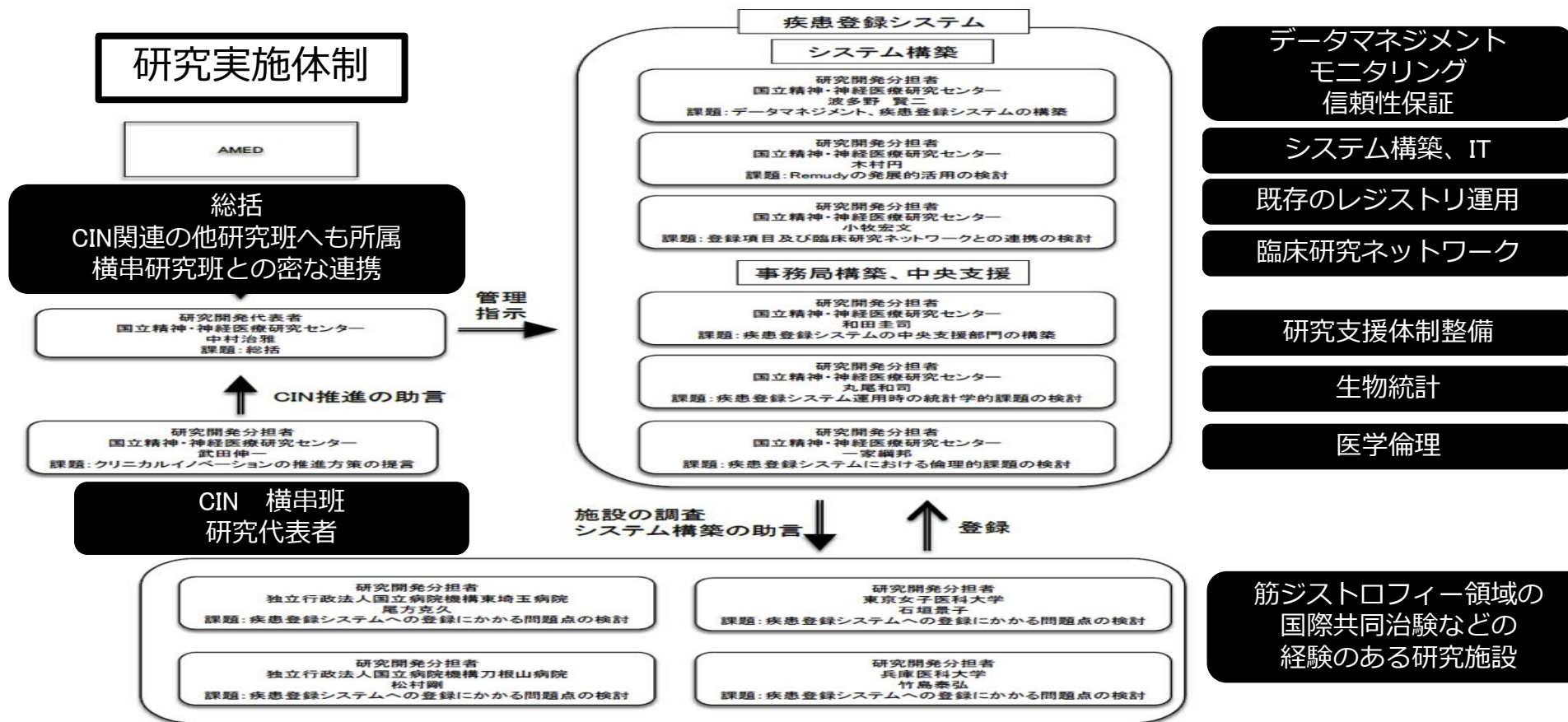
研究の目標・ねらい

特に医薬品開発が困難と考えられる難病・希少疾患領域においてより効率的な開発促進の基盤整備としての新たな疾患登録システムを構築することを目標とする。

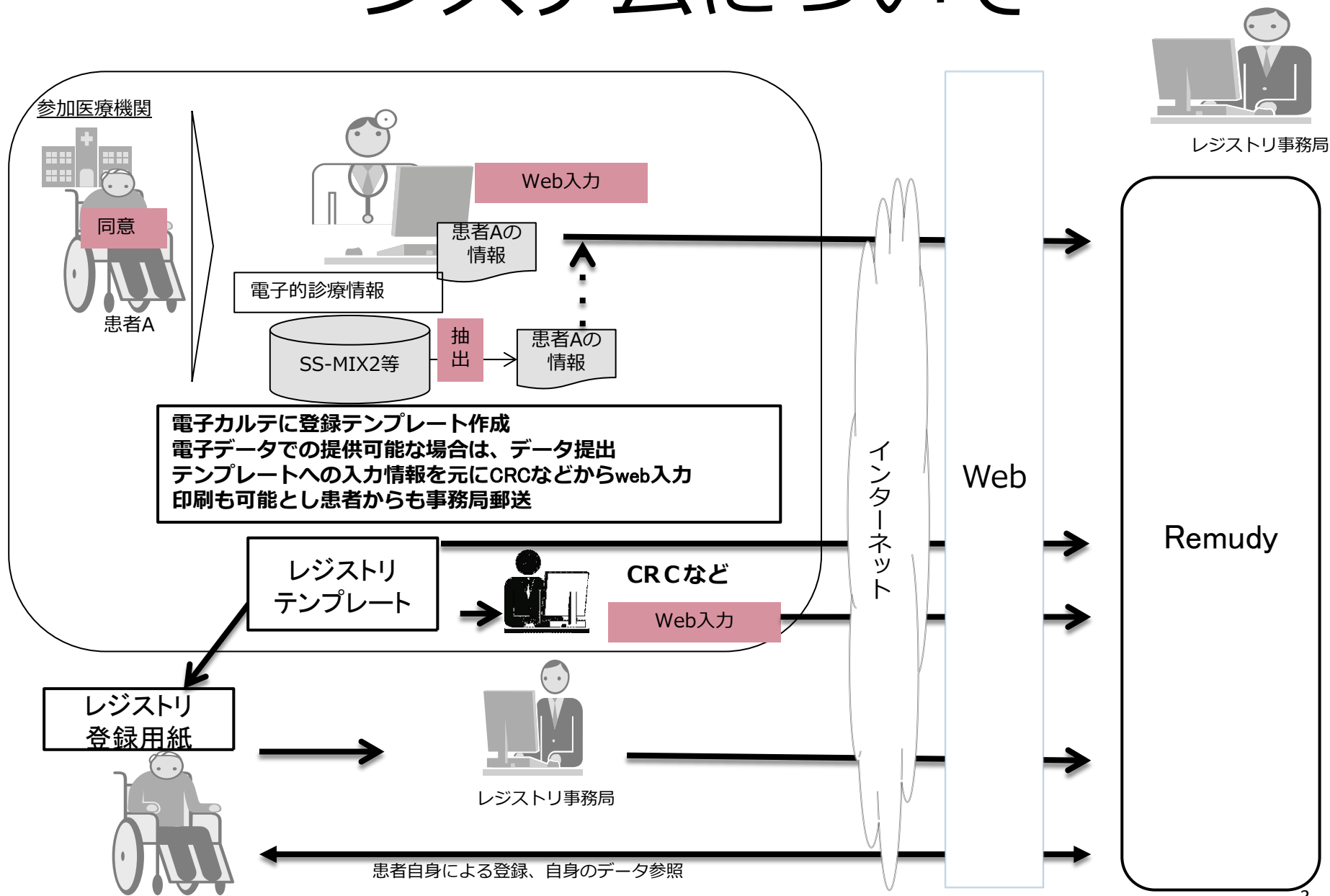
筋ジストロフィー患者登録システム（Remudy）を発展させ、

- 研究者、電子的医療情報、患者自身それぞれからの医療情報を収集
- 規制要件に対して、システムの構造を階層化して対応
- 運営・管理を一元化

以上により、実施可能性調査、リクルートから治験対照群、製造販売後調査までの利用を想定したシステムを目指す



システムについて



レジストリデータの信頼性

1. 階層でのデータ収集

- 第1-1階層：臨床研究（患者入力、医師入力、電子化医療情報）
- 第1-2階層：臨床研究（患者入力、医師入力、電子化医療情報）
⇒「データクリーンアップ」実施、「モニタリング」実施
- 第2階層：新たな疾患レジストリ（医師入力、電子化医療情報）
⇒「データクリーンアップ」実施、「モニタリング」実施
- 第3階層：新たな疾患レジストリ 治験レベルのデータ収集
⇒「データクリーンアップ」 +
「モニタリング（特にSDV）」実施（+「監査」実施？）

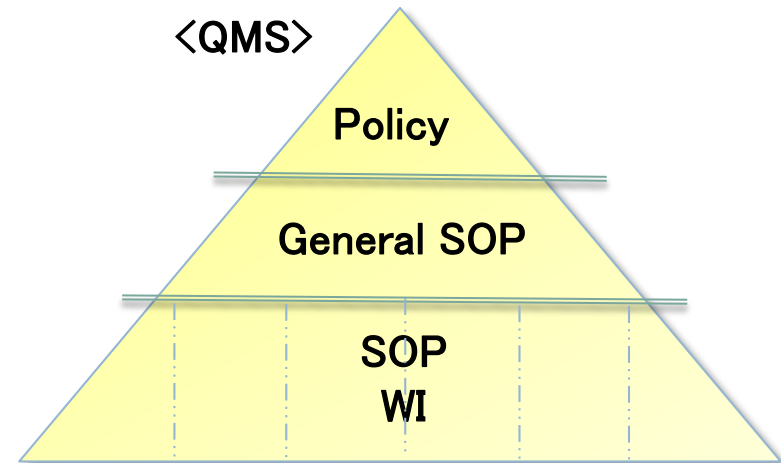
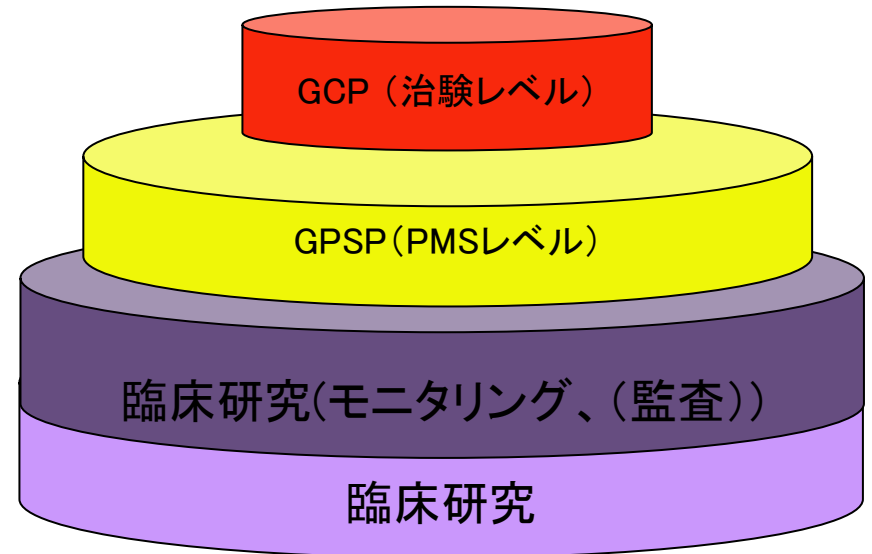
2. 記録及び報告 ALCOA-CCE

3. 運用、プロセス要件

- SOP体系の整備（「QMS」の確立）
- データの提供、利活用の仕組み
⇒対象（研究者、企業）による契約形態、
費用算定要綱、利益相反管理

4. データベースのITシステム要件

- CSV（Computerized System Validation）
- ER/ES指針、FDA 21CFR PART 11への対応

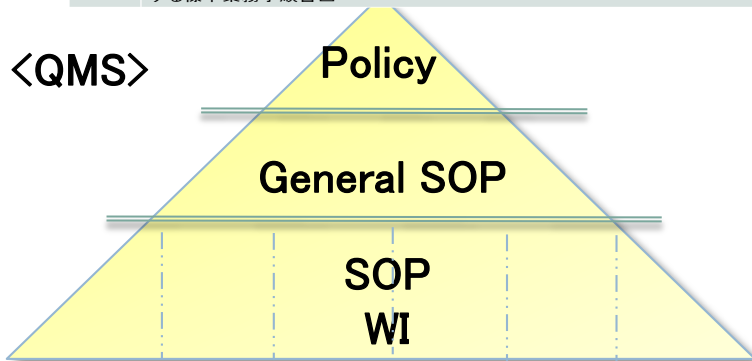


QMS: Quality Management System
SOP: Standard Operating Procedure
WI: Work Instructions

レジストリの設計・運用に関するSOP： QMSによる規定・SOP体系

管理番号	規定・SOP体系（規定、手順書の階層）
00X	疾患登録システムの上位規程
1XX	疾患登録システムのシステム構築と運用に係る標準業務手順書
2XX	レジストリーデータ利活用に係る標準業務手順書

管理番号	整備する規定、SOPの名称(案)
001	疾患登録システムの 構築、運営・管理体制 に関する規程
002	疾患登録システムの 事業継続計画 に関する規程
101	疾患登録システムの データベースへの入力 に関する標準業務手順書
102	疾患登録システムの データクレンジング及びコード化 に関する標準業務手順書
103	疾患登録システムの セキュリティ に関する標準業務手順書
104	疾患登録システムの データバックアップ及びリカバリ に関する標準業務手順書
105	疾患登録システムの コンピュータ化システムバリエーション に関する標準業務手順書
106	疾患登録システムの 品質管理 に関する標準業務手順書
107	疾患登録システムの 監査・品質保証 に関する標準業務手順書
108	疾患登録システムの 記録の保存 に関する標準業務手順書
109	疾患登録システムの 従事者への教育訓練 に関する標準業務手順書
201	レジストリーデータ利活用者との契約 に関する標準業務手順書
202	レジストリーデータ利活用に係る業務計画書及び業務報告書の作成と改訂 に関する標準業務手順書



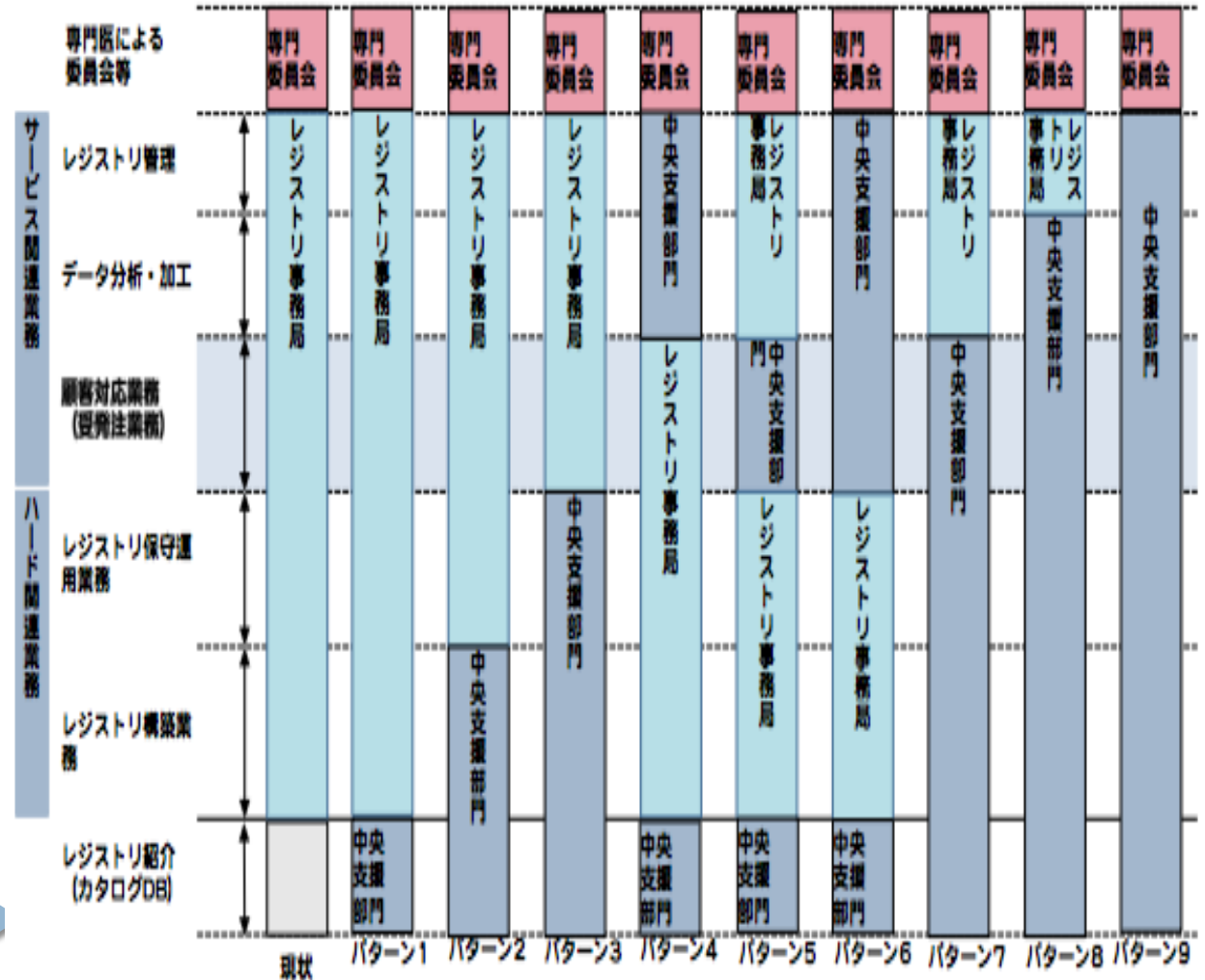
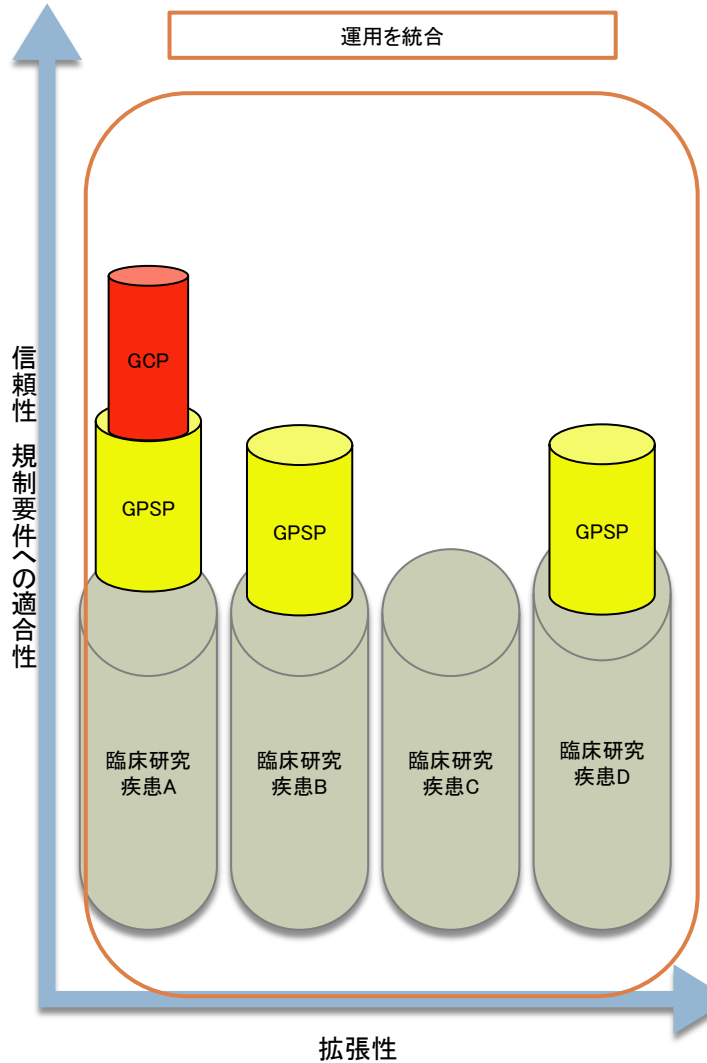
QMS : Quality Management System
 SOP : Standard Operating Procedure
 WI : Work Instructions

「医薬品の製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点について」（薬生薬審発 0221 第1号 平成30年2月21日）には準拠

「AMED患者レジストリ班 信頼性基準分担班」で検討している『患者レジストリーデータを承認申請資料等として活用する場合におけるデータの信頼性担保に関する基本的考え方（案）〔2017年6月版〕』も考慮した規定、SOP体系を整備する

効率的な運用に向けて

レジストリ事務局の業務分担について

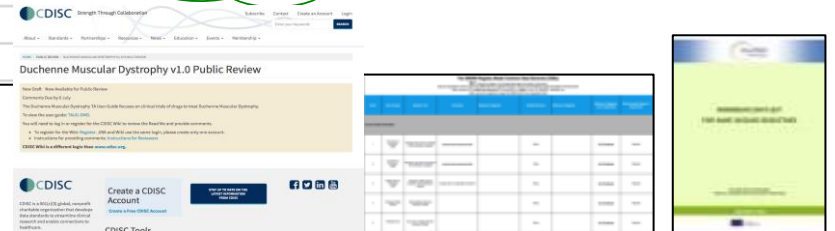
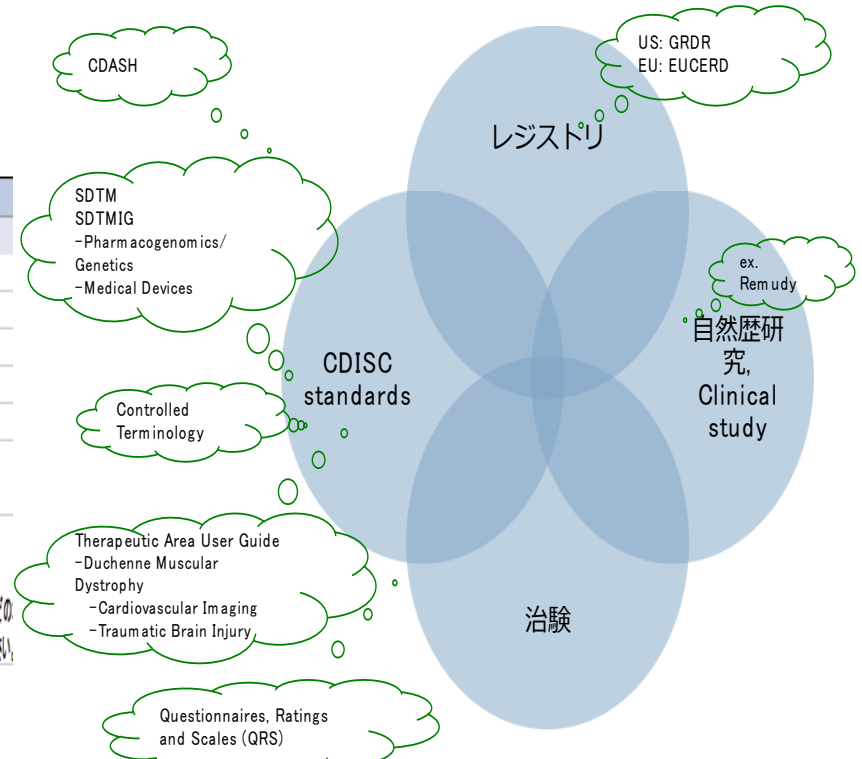


共通項目の設定 (患者情報)

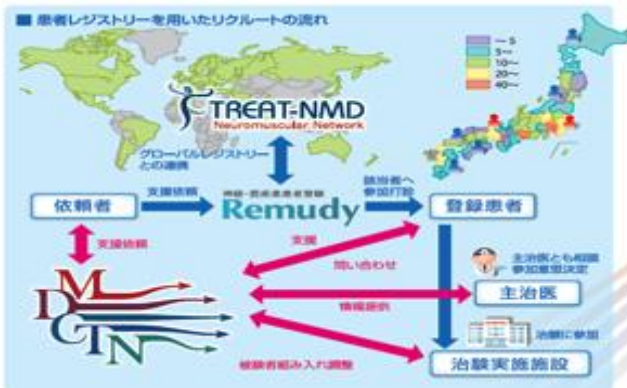
ex. Remudyとレジストリ標準

Remudy登録項目の整理

福山型筋ジストロフィー	筋強直性ジストロフィー	脊髄性筋萎縮症	線取り空胞を伴う変位型ミオチー	ジストロフィン症	ジストロフィン症
記入日	西暦()年()月()日	記入日	西暦()年()月()日	記入日	西暦()年()月()日
ID(病院、カルテ番号)	病院名 カルテ番号	病院名 カルテ番号	ID(病院、カルテ番号) 病院名 カルテ番号	ID(病院、カルテ番号) 病院名 カルテ番号	ID(病院、カルテ番号) 病院名 カルテ番号
患者氏名	漢字名 ふりがな	患者様のお名前 漢字名() ふりがな()	患者さんの氏名 漢字() ふりがな()	患者氏名 漢字() ふりがな()	患者氏名 漢字() ふりがな()
性別	<input type="checkbox"/> 男 <input type="checkbox"/> 女	性別 <input type="checkbox"/> 男性 <input type="checkbox"/> 女性	性別 <input type="checkbox"/> 男性 <input type="checkbox"/> 女性	性別 <input type="checkbox"/> 男性 <input type="checkbox"/> 女性	性別 <input type="checkbox"/> 男性 <input type="checkbox"/> 女性
家族歴	<input type="checkbox"/> なし <input type="checkbox"/> ありの場合だけか?	家族歴(血縁者に同じような症状の方がおられますか) <input type="checkbox"/> なし <input type="checkbox"/> あり(病歴)	SMA罹患の家族歴 <input type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有の場合だけか?	家族歴 <input type="checkbox"/> なし <input type="checkbox"/> あり(病歴、氏名) (家系図記載をお願いします; 退院要約等コピーを同封していただいても結構です)	家族歴 <input type="checkbox"/> なし <input type="checkbox"/> あり ※いとこ(祖父母・叔父・叔母・甥・姪などの場合は、必ず父方か母方も明記して下さい)
近親婚※	<input type="checkbox"/> あり(いとこ婚、その他) <input type="checkbox"/> なし <input type="checkbox"/> 不明	患者さんの両親の近親婚の有無 <input type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有: <input type="checkbox"/> いとこ婚 <input type="checkbox"/> その他()	近親婚 <input type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有: <input type="checkbox"/> いとこ婚 <input type="checkbox"/> その他()	近親婚 <input type="checkbox"/> なし <input type="checkbox"/> 不明 <input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> 親がいとこ同士 <input type="checkbox"/> それ以外	
生年月日	西暦()年()月()日	生年月日	西暦()年()月()日 年齢 ()歳()月	生年月日	西暦()年()月()日



臨床試験ネットワークとレジストリの連携・機能統合 MDCTN事務局 と Remudy事務局について



《強み》

- 研究者/医師間の連携（研究班、WS等）
- ネットワーク事務局の活動実績（参加施設・医師との連携基盤は構築済み）
- 臨床研究実施実績（PHiRS-J、OM研究）
- 治験の支援実績（被験者リクルート）

神経・筋疾患患者登録



《強み》

- 患者・家族との近い距離（患者自身によるデータ登録）
- 患者会（日本筋ジス協会）との連携
- ナショナルレジストリーとの連携
- 悉皆性（全国レベルの患者、医師の参加）

MDCTN と Remudy の連携・機能統合

臨床試験ネットワークとレジストリーの効率的運用

作業計画策定
年度内に委員会開催

NO	イベント	2017年 10-12月	2018年 1-3月	4-6月	7-9月	10-12月	2019年 1-3月
1	拡張版REMUDYの整備						
	1) 要件定義・システム開発・1次構築	←→					
	2) 協力医療機関との連携機能構築・最終稼働			←→			
2	事務局統合に向けたマイルストーン						
	1) NCMF内予算への対応		←→				
	2) 運営体制整備		←→				
	3) 新事務局での稼働開始(2019年4月～)						

《計画》

- 自然歴等レジストリデータの分析結果に基づく研究デザインの策定・提案
- 新たな評価指標（Outcome Measure）の作成・提案、バリデーション研究の実施

《実施》

- 疾患、臨床評価に精通した医師、PT、CRC等による治験・臨床研究の実施
- Remudyを活用した被験者リクルート、症例集積性の向上

《成績まとめ》

- 疾患、臨床評価に精通した医師等による解釈、次の治験・臨床研究への応用
- 自然歴等レジストリデータ用いた開発

内容のまとめ

- 本研究の目標、実施体制
- Remudyの実績と課題、目指すもの
- 疾患登録システム（レジストリ）
- レジストリの信頼性について
- レジストリの統合、ネットワークとの連携