

# PMDAにおける クリニカル・イノベーション・ ネットワーク（CIN）の取組み

PMDA理事長

近藤 達也

# 疾患登録システム（レジストリ）の医薬品等の開発への利用

H27年度厚生労働科学特別研究事業（武田班）報告書より一部改変

- ✓ 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

従来の多くの  
レジストリ

## ✓ 治験等の対照群としての活用

➤ 承認申請時の評価資料

## ✓ 製造販売後調査・安全対策への活用

➤ 再審査（製造販売後情報の評価）申請時の評価資料

通常の治験実施が困難な領域 等

- CINで新たに目指すレジストリ
- H28年秋にAMED新規事業採択

医薬品・医療機器等の開発費高騰  
アンメットニーズへの対応

医薬品・医療機器等の開発や製造販売後の  
情報収集へのさらなる活用が期待されている

# リアルワールドデータ (RWD) 活用に向けて

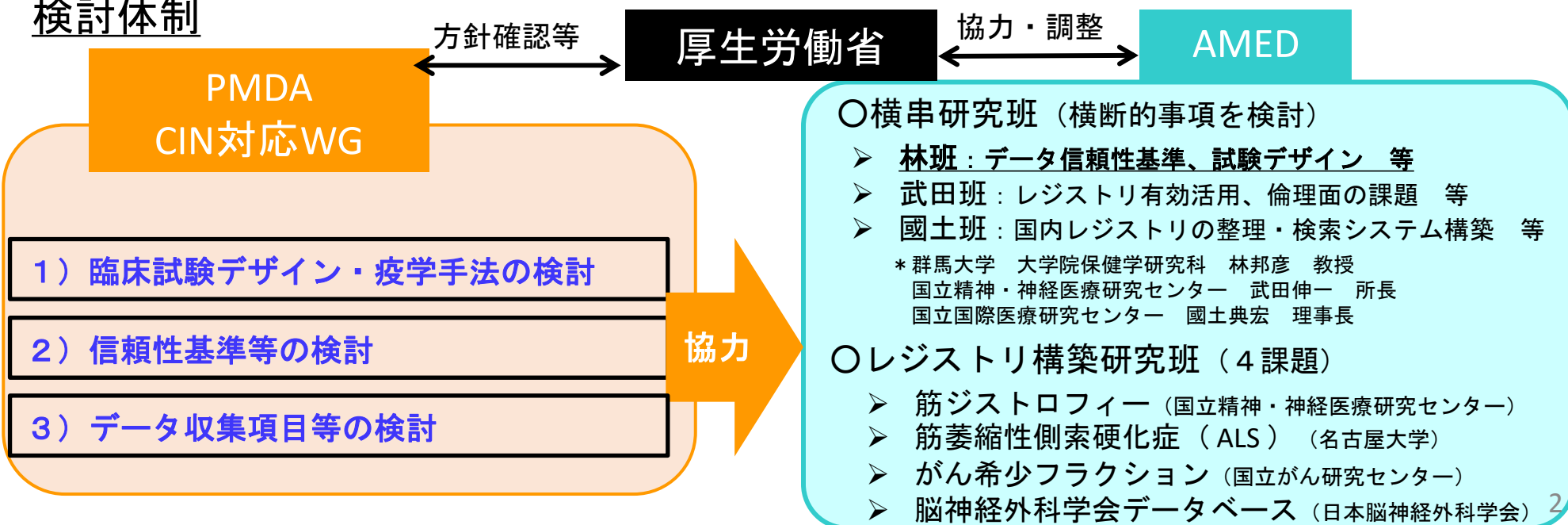
## 国際的な動向 ～規制判断へのRWD活用の方向性～

- 21 st Century Cures Act (米国)
- ICH GCP Renovation
  - E8「臨床試験の一般指針」の近代化
  - E6「医薬品の臨床試験の実施の基準 (GCP)」の包括的見直し

## 患者レジストリ・データの活用 (目指す将来像)

- ランダム化比較試験が困難な場合の対照群データ等 → 承認申請評価資料
- 製造販売後調査 → 再審査申請の評価資料

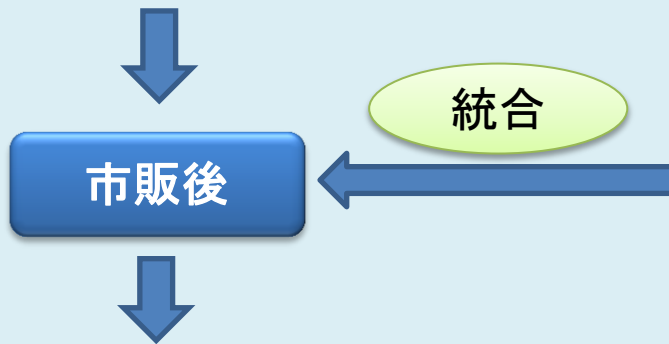
## 検討体制



# 「医療情報の活用における信頼性の考え方」 に関する検討

## 市販後の電子診療情報活用 (MID-NET、レセプト、DPC、電子カルテ等)

<業界・PMDAのプロジェクトチーム>



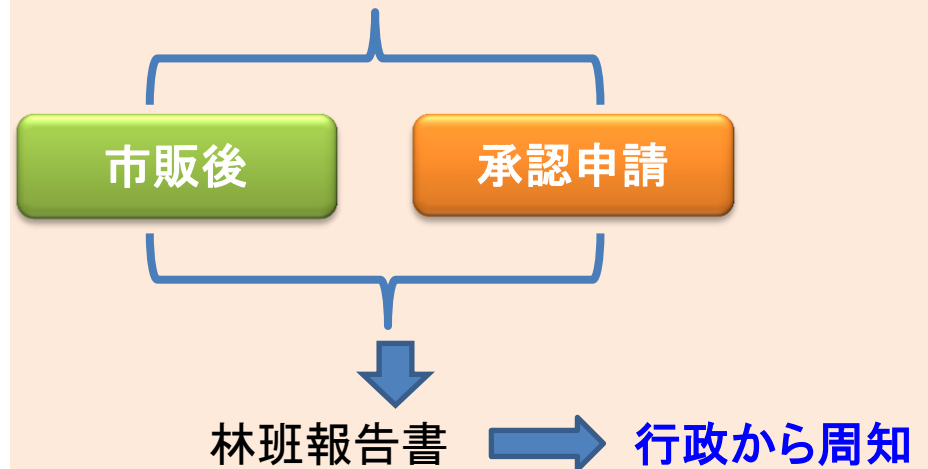
○ 医薬品の製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点について(通知) → H30.2.21発出

### ○ GPSP省令改正

(パブコメ:H29.8.11~9.11、9.21~10.4)  
→ H29.10.26公布、H30.4.1施行予定

## 承認申請資料等への レジストリの活用(CIN)

<林班 ↔ PMDA/MHLW>



ICH E8/E6見直し

適宜  
改訂

# 実臨床における各種データの承認申請への活用

平成30年度厚生労働省予算事業

## 現状と課題

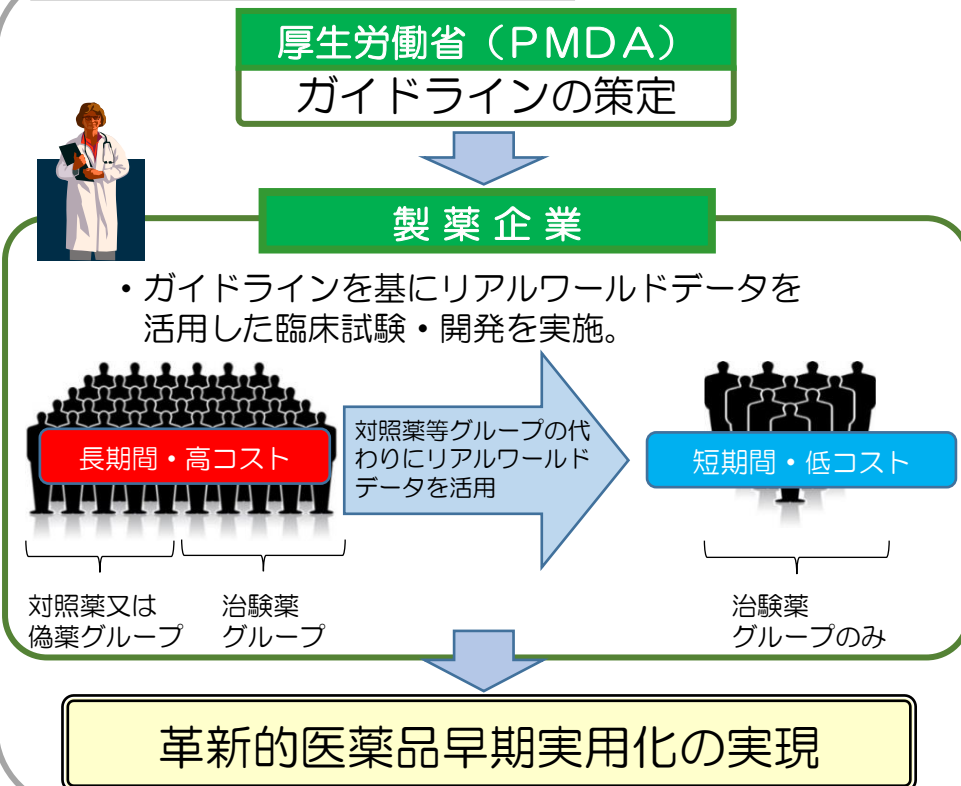
- 難病や希少疾病の医薬品開発は、被験者の数が限られているため、比較対照試験などの多くの患者の参加が必要となる臨床試験を実施することが難しく、それが開発を妨げる一因となっている。
- 欧米では、難病等患者のこれまでの臨床成績など、実臨床における各種データ（リアルワールドデータ）を活用した効率的な臨床試験を行い、医薬品の実用化の促進を図っているが、我が国では活用方法が未整備。

## 対 策

- 国内にもNC（国立高度専門医療研究センター）の疾患登録システムやPMDA（医薬品医療機器総合機構）の医療情報データベース（MID-NET<sup>®</sup>）等のリアルワールドデータのDBを構築中である。
- これらのデータを製薬企業等が適切に活用できれば、長期間・高コストの比較対照試験に代えて、短期間・低コストの臨床試験で、必要な評価が可能となる。

⇒30年度：実臨床における各種データ（リアルワールドデータ）を活用した、効率的な医薬品開発に資する考え方をPMDAで整理

## 期待される効果



# 治験データや医療情報の積極的活用

平成30年度設置

レギュラトリーサイエンスセンター

専門家育成、知識の醸成

- ・国内アカデミアとの共同研究
- ・海外規制当局・海外アカデミアとの連携

研究支援・推進部

最新科学技術を踏まえたGL等作成、PMDA内外のRS連携

- ・横断的基準作成等PTの事務局としてCIN対応WGの活動支援

次世代評価手法推進部

新医薬品の治験データを  
集積したデータベース



- ・最も詳細かつ精度が高い臨床データ
- ・全ての新薬の治験データを集積

医療情報活用部

NDB、MID-NET®等の  
医療情報データベース

- ・高品質で多様なデータを用いた医薬品安全性評価

電子カルテ

レセプト

DPC



連携



CIN

治験データでの検討

- ・投薬後の症状を表現する数理モデル\*を作成し、多様な背景因子の患者の症状推移をシミュレーション（モデリング&シミュレーション）

※ある現象の時間変化等を数式を用いて模倣する

- ・複数の類薬のデータを品目横断的に解析して、患者背景因子と有効性や有害事象との関連性を検討



有効性・安全性に影響する候補因子を抽出



製販後の医療情報での検討

- ・薬剤疫学的手法により、候補因子を中心に有効性・安全性との関連性を検討



継続的なベネフィット／リスク評価  
(適切な投与患者、用法・用量、注意喚起等の検討)

- ・グローバルな基準の導入・運用
- ・先進的なデータ解析手法・薬剤疫学的手法の導入と開発

貴重なデータを最大限有効活用

平成30年度から  
本格運用。