

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

研究の目標・ねらい

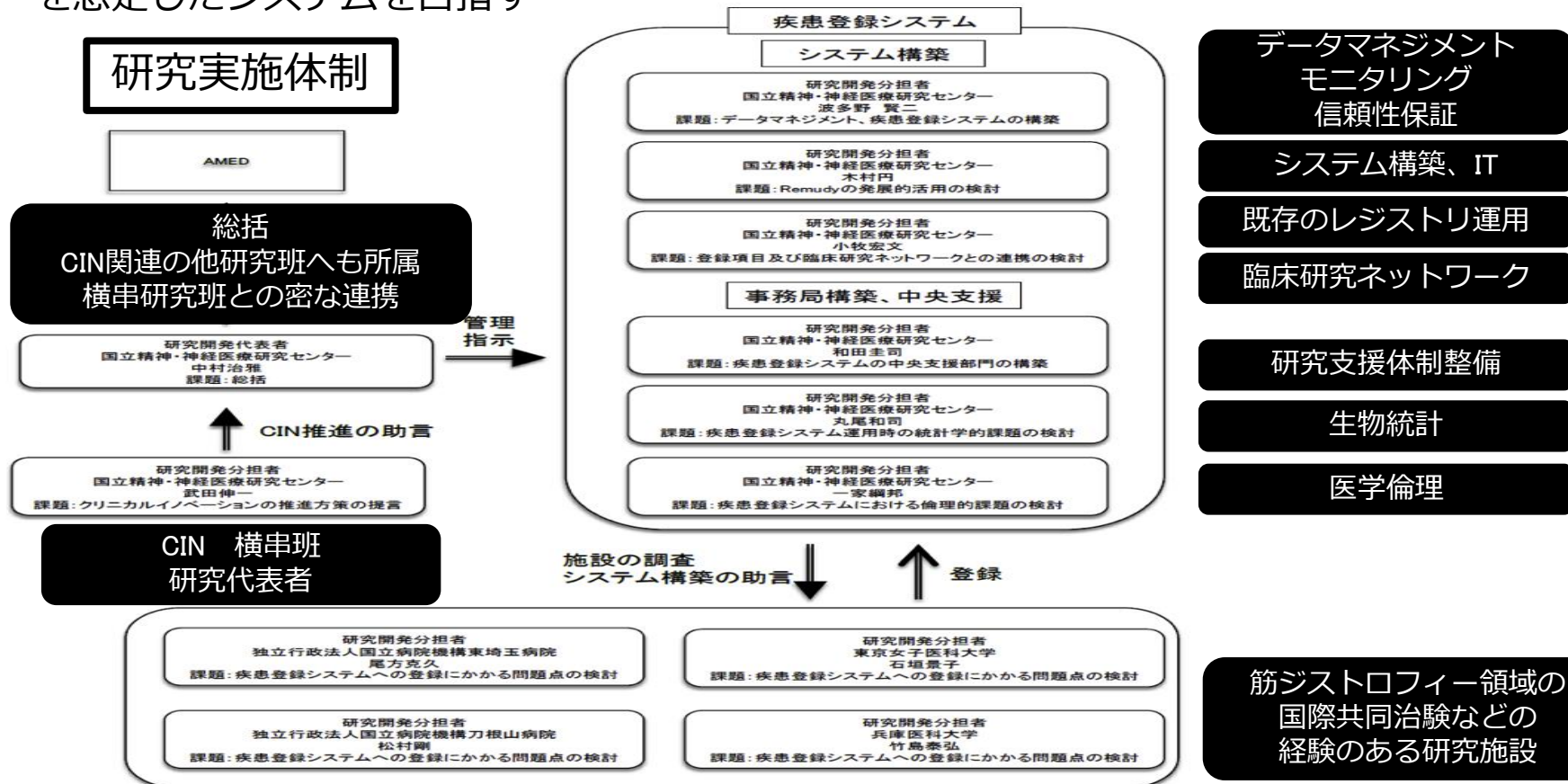
特に医薬品開発が困難と考えられる難病・希少疾患領域においてより効率的な開発促進の基盤整備としての新たな疾患登録システムを構築することを目標とする。

筋ジストロフィー患者登録システム（Remudy）を発展させ、

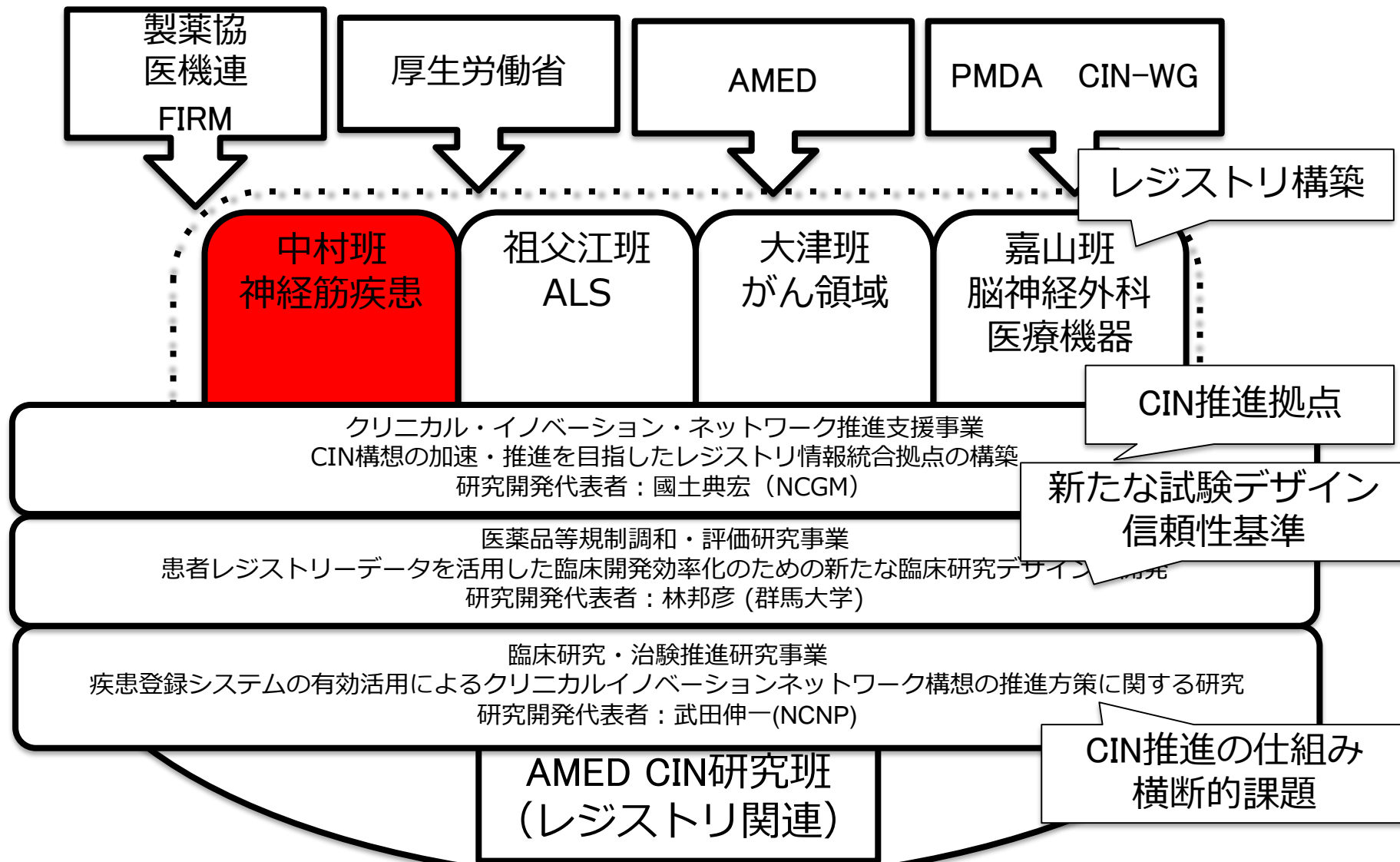
- 研究者、電子的医療情報、患者自身それぞれからの医療情報を収集
- 規制要件に対して、システムの構造を階層化して対応
- 運営・管理を一元化

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

研究実施体制



クリニカルイノベーション事業 (AMED)



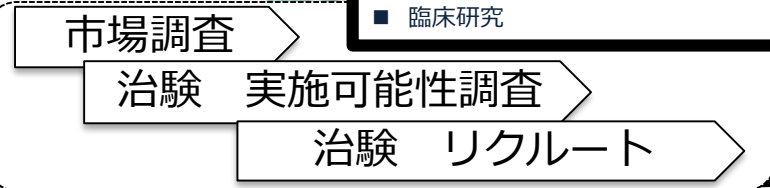
実績と課題、研究班の目指すもの



ネットワークとの連携含め実績

- Remydyの活用により、
- 治験の対象となる患者数・分布の把握
 - 試験の実施可能性調査
 - 臨床研究・治験への参加者募集
 - 臨床研究

- 規制要件
- 登録項目、試験デザイン、統計学的手法の検討
- 医療現場での負担、実施可能性
- 継続性
- 製薬企業との協調、コンソーシアムの検討などを解決する必要



治験計画作成

治験の対照群の検討

製造販売後調査、安全性対策

- 自然歴
 - 評価項目の検討
 - 規制要件
- 解決のための新たな手法が必要

治験対照群の検討から、移行可能な疾患情報収集開発段階では限定的な情報の収集（有効性等）

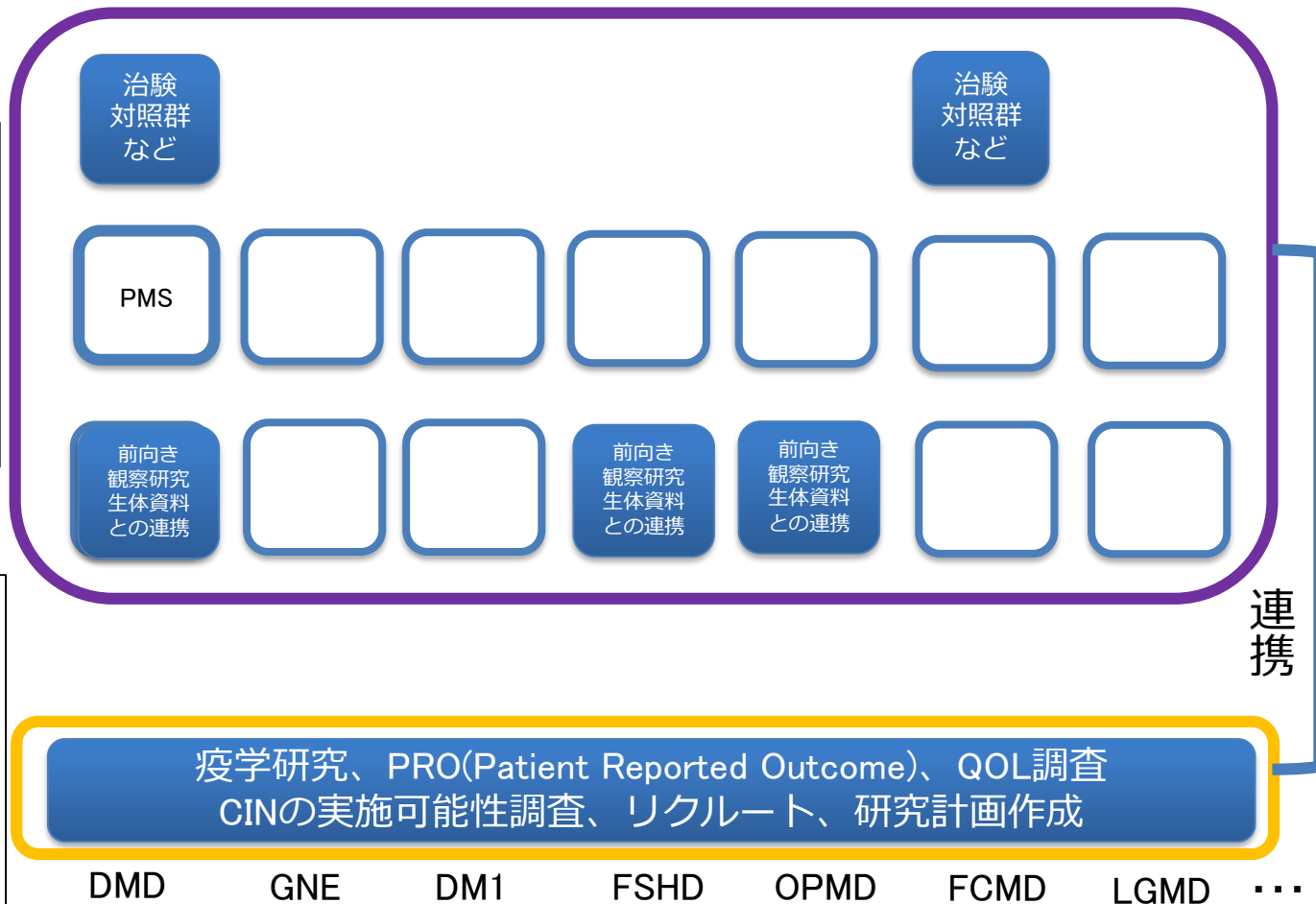
筋ジストロフィー領域のレジストリ

詳細情報

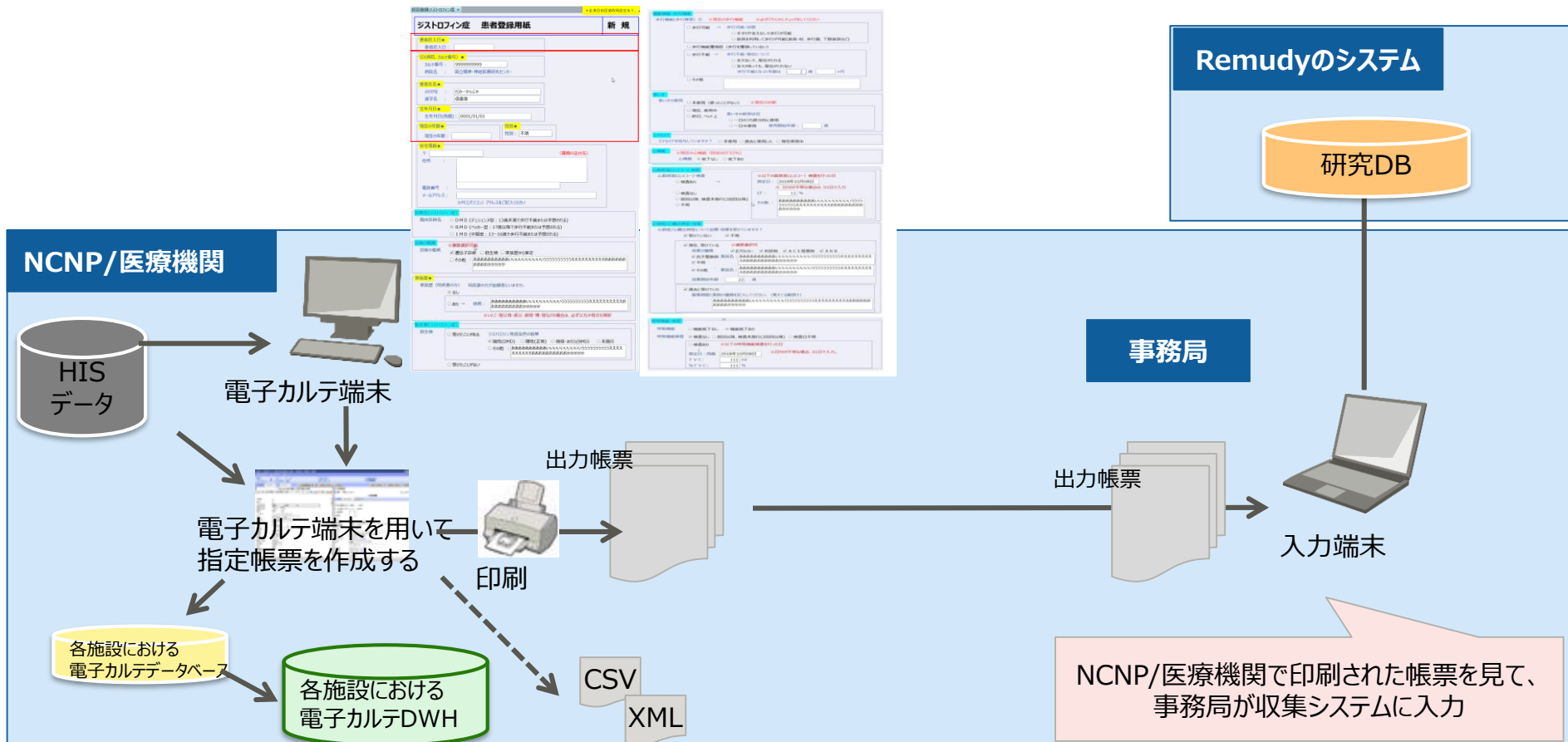
- **研究者主体**
- **多施設共同研究**
- 治験対照群、PMS等 **規制要件への適合**
- プロジェクト

基本情報（個人情報）

- **患者主体**
- **個人情報あり**
- 可能な限り **共通項目化**
- **可能な限り多疾患**
- **PRO、QOLを視野に**



Remudyの登録情報と電子カルテとの連携 CINとMID-NETとの連携を視野に



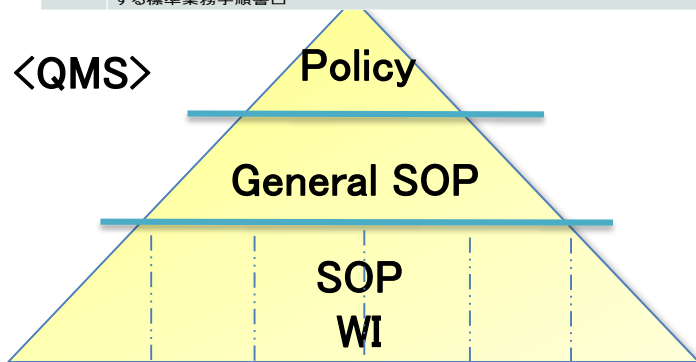
レジストリ (CIN) とMID-NETの連携を視野に
MID-NETでは収集できない情報を補完 (希少疾患等)



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 データクリーニング及びコード化 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ー 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デーション 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



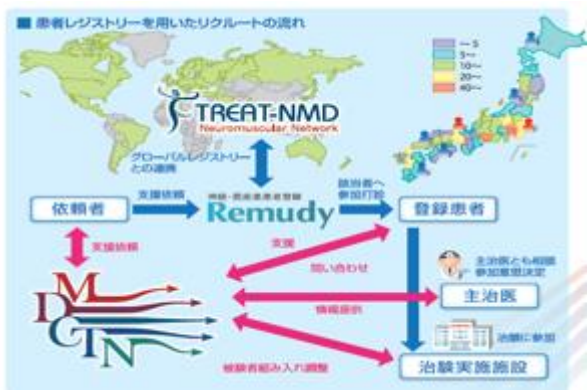
QMS : Quality Management System
 SOP : Standard Operating Procedure
 WI : Work Instructions

「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

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



筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク
Muscular Dystrophy Clinical Trial Network

「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）
- 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

Remudy

「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の効率的運用

2019年度より運用開催

NO	イベント	2019年 10-12月	2019年 1-3月	4-6月	7-9月	10-12月	2020年 1-3月
1	拡張版REMUDYの整備						
	①要件定義・システム開発・改修	←→					
	②協力医療機関との連携強化構築・活用稼働			←→			
2	事務局統合に向けたマイルストーン						
	①NCNP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

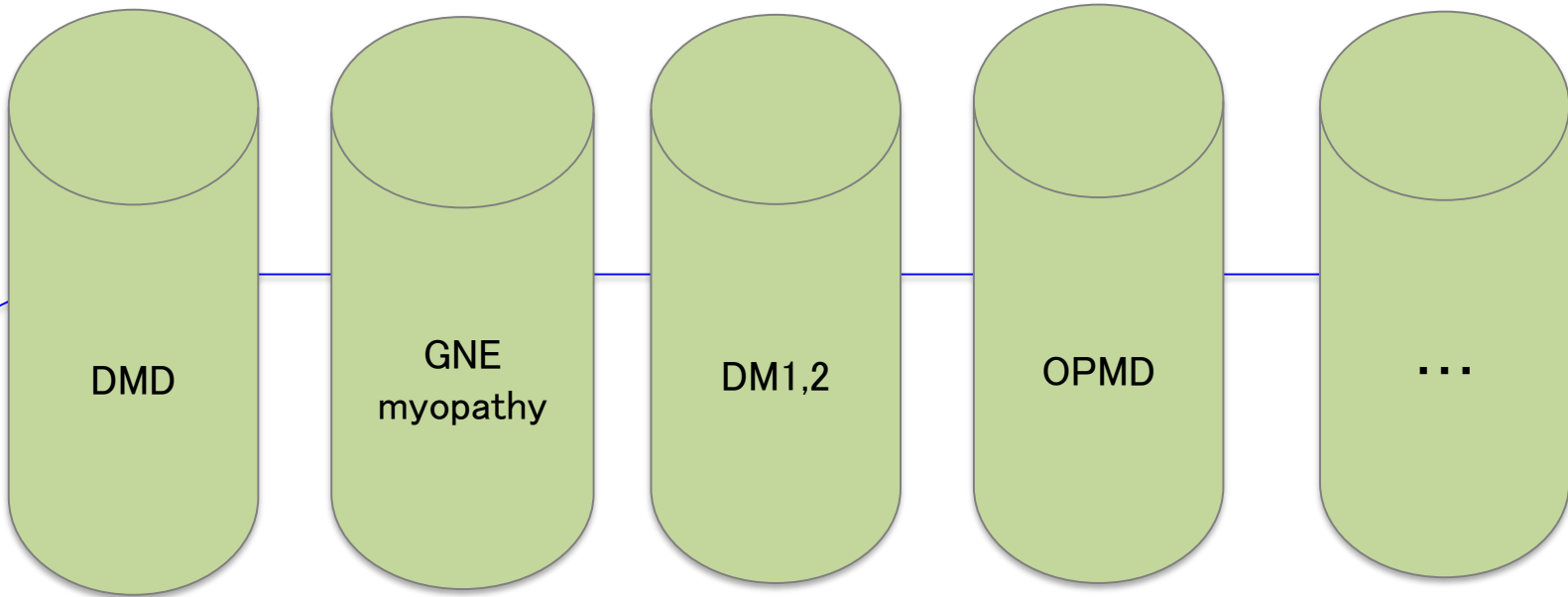
「実施」

- 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

レジストリの効率的運用

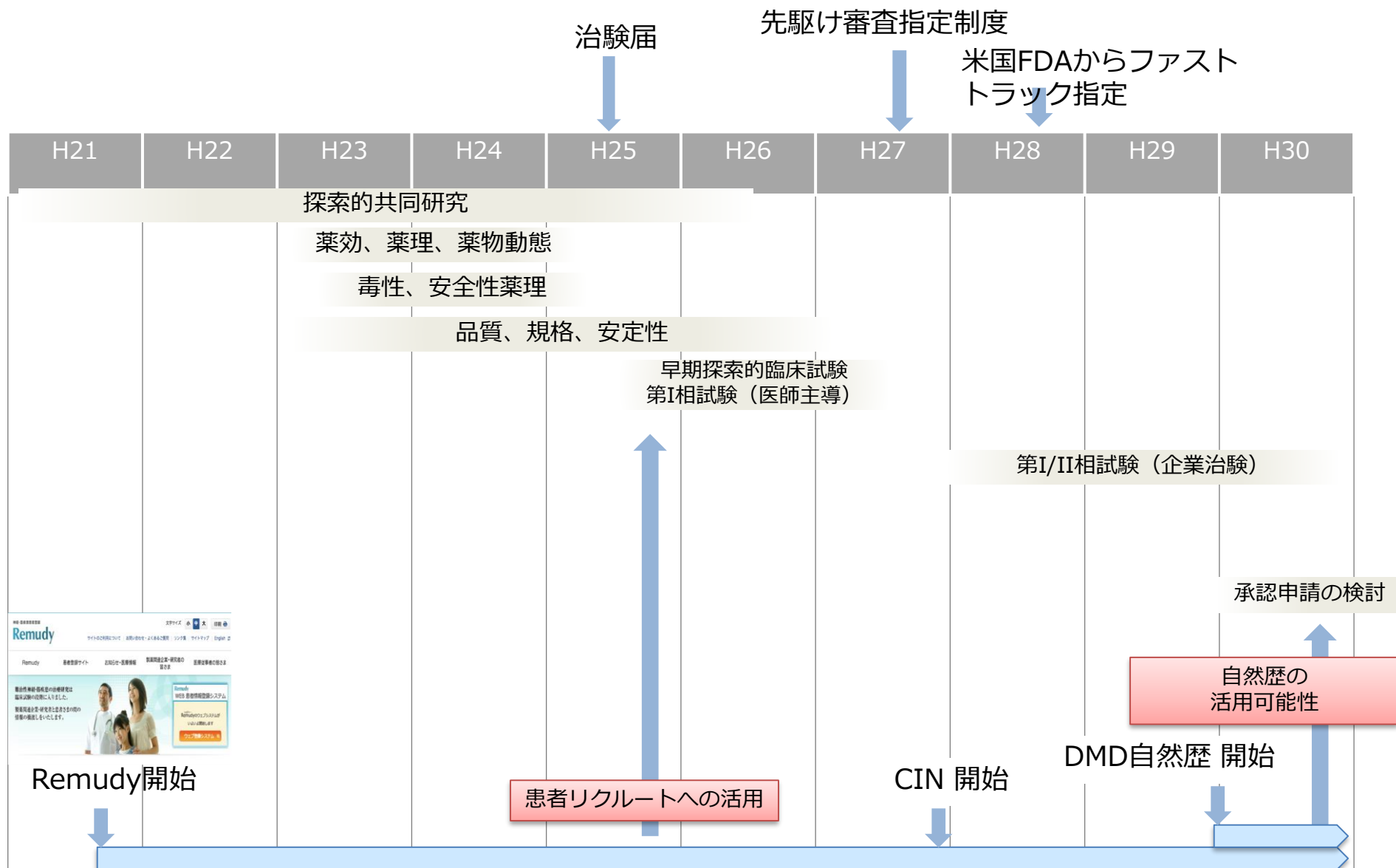


2019-2021 - 2022-2023-2024-2025-2026-2027-2028-2029-2030-2031-2032-2033-2034-2035-2036-2037-2038-2039-2040-2041-2042-2043-2044-2045-2046-2047-2048-2049-2050-2051-2052-2053-2054-2055-2056-2057-2058-2059-2060-2061-2062-2063-2064-2065-2066-2067-2068-2069-2070-2071-2072-2073-2074-2075-2076-2077-2078-2079-2080-2081-2082-2083-2084-2085-2086-2087-2088-2089-2090-2091-2092-2093-2094-2095-2096-2097-2098-2099-2100

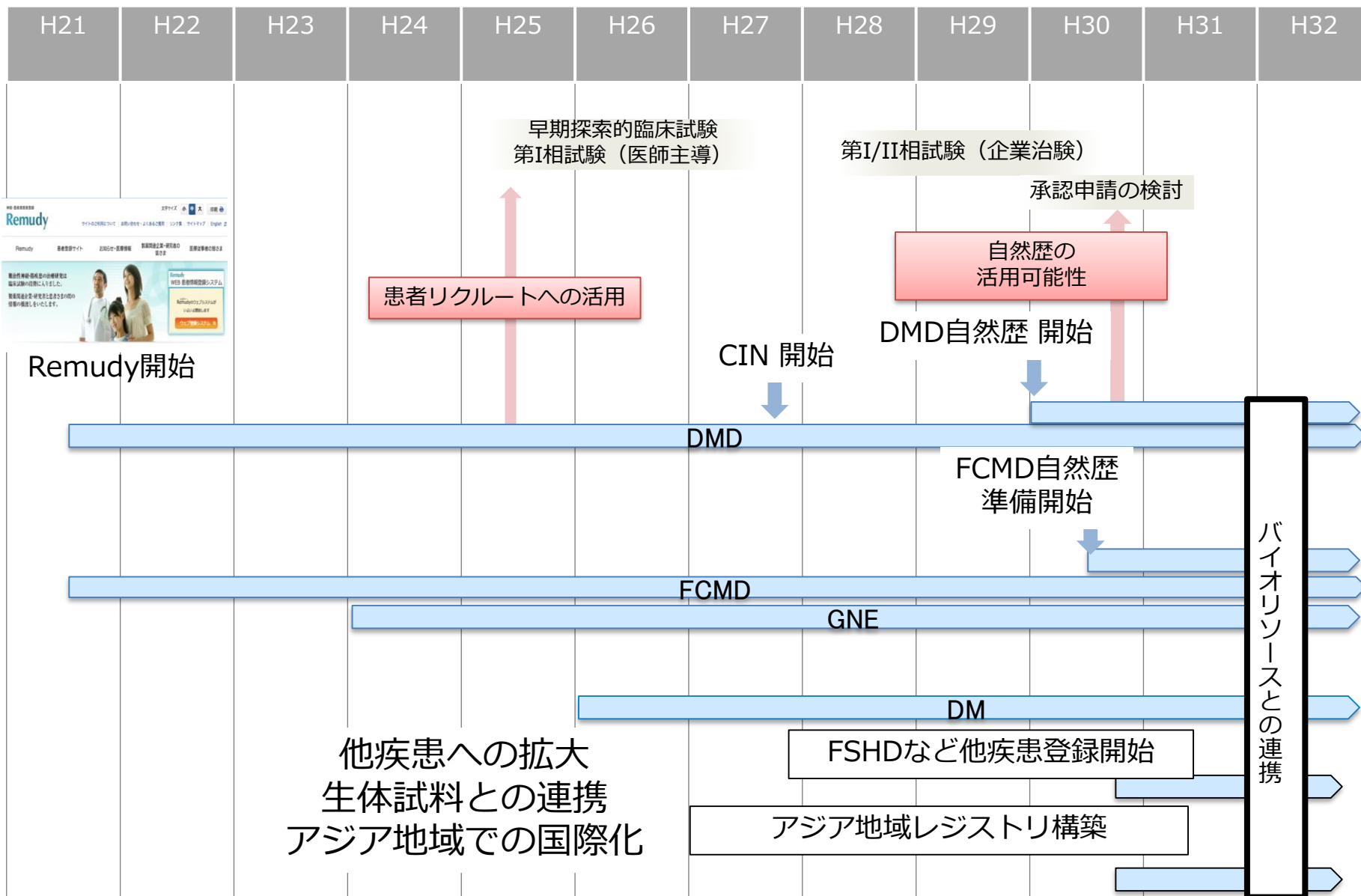
Remudy

システム構築、運用、管理
レジストリ事務局業務
データマネジメント、モニタリング
外部研究者、企業等との渉外

DMDをモデルとしたレジストリ活用した臨床開発




今後の進展



日本筋ジストロフィー協会から研究班へ参画 CIN推進に向けて患者の立場からの連携

CIN、レジストリについて 患者交流会開催

患者情報の利用に関わる 意識調査実施



2018年度AMED臨床研究・治験推進研究事業
「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」研究班（中村班）

**クリニカルイノベーションネットワーク構築に向けた研究会
～患者の立場から～**

日本筋ジストロフィー協会では平成23年から福山型の患者レジストリを運営しています。福山型の患者さんやご家族、主治医の先生方や神経・筋疾患患者登録部門 Remudy の皆様にご協力をお願いして、240件を超えるご登録をいただいております。平成30年度、その成果の一つとして東京女子医科大学の石垣景子先生との共同研究により、登録情報を使った研究が報告されました。これまでの登録情報からどのようなことが分かったのか、石垣先生から分かりやすくお話をいたします。

また、現在の患者レジストリは患者さんをリクルートする際に役立つことが期待されていますが、将来的に治験にも使える自然歴研究につなげていくためには、より精緻なデータを収集する必要があると言われております。一日も早く薬を届けるために、どのように医療情報を収集し創薬につなげていくのか、患者レジストリの構築を主導されてきた国立精神・神経医療研究センターの中村治雅先生に教えていただきながら、家族の立場から患者レジストリの将来について考えていくための勉強会です。ぜひご参加ください。

日時 2019年1月20日（日）14:00～15:30（13:30開場）
場所 〒170-0005 東京都豊島区南大塚3丁目4-3-11 全国心身障害児福祉財団ビル内7F 大会議室（交通のご案内）
JR山手線大塚駅南口徒歩5分、メトロ丸の内線新大塚駅徒歩5分
都電荒川線向原駅から徒歩6分


対象者 福山型ご家族及び本研修会に関心がある皆様・
定員 先着60名・（要予約 保育あり）

プログラム

開会あいさつ
貝谷 久宣（日本筋ジストロフィー協会 代表理事）

福山型の患者登録データからわかったこと
石垣 景子先生（東京女子医科大学 小児科）

クリニカルイノベーションネットワーク について～レジストリによる新たな治療の開発～
中村 治雅先生（国立精神・神経医療研究センターTMC 臨床研究支援部 臨床研究支援室長）



- 福山型患者レジストリの登録患者・家族対象にアンケート調査
- 「新しい薬の開発に関するアンケート調査」調査用紙を郵送。（日本筋ジストロフィー協会倫理委員会承認：受付番号20150702）
- CIN武田班にて実施された国民意識調査を実施

回答の選択	回答数	
非常に世の中の役に立つと思う	59.6%	34
世の中の役に立つと思う	38.6%	22
あまり世の中の役に立つと思わない	0.0%	0
まったく世の中の役に立つと思わない	1.7%	1
わからない	0.0%	0
合計		57

- クリニカルイノベーションネットワーク推進のためのレジストリ構築、その体制整備を行った
 - 筋疾患領域での事務局等の統合推進
 - 臨床研究ネットワークとの連携強化
 - 電子カルテの活用、MID-NETとの連携を視野
- 薬事制度下でのレジストリ活用に向けたレジストリの考え方を整理した
 - 使用目的、規制要件に合わせた情報収集方策
 - SOP等のテンプレート作成
- 本研究の成果を踏まえ、筋疾患領域のレジストリの他疾患への効率的拡張、生体試料情報との連携、アジア地域含めた国際連携を推進する
 - マッチング事業への参画