

PMDAにおける リアルワールドデータ（RWD）活用 推進に向けた取組み

PMDA理事長

藤原 康弘

承認審査における自然歴データ活用の事例

医薬品製造販売承認

販売名:一般名	承認年月	効能又は効果	レジストリ(RWD)
マイオザイム点滴静注用: アルグルコシダーゼ アルファ (遺伝子組換え)	2007.4	糖原病Ⅱ型	米国におけるレトロスペクティブなコホート研究の自然歴データ(生存率)を外部比較対象として利用
ノバスタンHI注、スロンノンHI注: アルガトロバン水和物	2011.5	ヘパリン起因性 血小板減少症2型	治験実施施設において、抗トロンビン薬を使用しなかったHIT2型患者のデータをレトロスペクティブに収集し、外部比較対象として利用
プログラフカプセル: タクロリムス水和物	2013.6	多発性筋炎・皮膚 筋炎に合併する間 質性肺炎	本邦におけるレトロスペクティブなコホート研究の自然歴データ(生存率)を外部比較対象として利用
ストレンジック皮下注: アスホターゼ アルファ	2015.8	低ホスファターゼ症	米国におけるレトロスペクティブなコホート研究の自然歴データ(生存率)を外部比較対象として利用

平成27年度厚生労働科学研究費補助金(厚生労働科学特別研究事業)「国立高度専門医療研究センター(ナショナルセンター)等において構築する疾患登録システム(患者レジストリ)を基盤とした、新たな治験・臨床研究の推進方策に関する研究」分担研究報告書「治験対照群としての疾患登録情報の活用について」より引用、一部改変

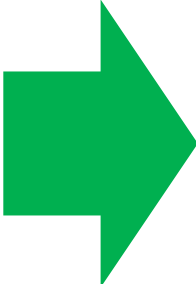
RWD活用に向けたこれまでのPMDAの取り組み

1. レジストリ・データベースに関する相談枠の設置

- レジストリ保有者及びデータベース事業者、開発企業等を主な相談対象者と想定する、複数の相談枠を設置

2. RWDを活用した医薬品・医療機器開発に資する製販後のガイドライン作成

- GPSP省令改正(2018.10.26)
- 製造販売後の医薬品安全性監視における医療情報データベースの利用に関する基本的な考え方について(2017.6.9)
- 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(2018.2.21)
- 医療機器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(2018.12.19)



PMDAにおける対面助言での経験や海外の調和も考慮しながら、レジストリデータを承認申請等に活用するための基本的な考え方、及び信頼性担保に関する留意点に関するガイドラインを作成

レジストリ・データベースに関する相談

相談の種類＜担当部署＞	内容
レジストリ活用相談 ＜信頼性保証部、医療機器・調査基準部＞ 2019年4月～ 【実施件数：8件】	医薬品等の承認申請又は使用成績評価申請への利活用を前提とした計画の考え方及びその際のレジストリの質向上及び信頼性確保のための一般的な考え方の助言を実施 ※主にアカデミアが対象
レジストリ使用計画相談 ＜審査担当部署＞ 2019年4月～ 【実施件数：1件】	医薬品・再生医療等製品の承認申請又は再審査申請において、個別品目の有効性及び安全性の評価にあたり、レジストリを活用したい場合に、当該レジストリの使用計画について、活用目的に即した使用の妥当性及び評価項目の充足性等について指導及び助言を実施 ※主に製造販売業者が対象
レジストリ信頼性調査相談 ＜信頼性保証部、医療機器・調査基準部＞ 2019年4月～ 【実施件数：3件】	レジストリを用いた承認申請又は再審査・使用成績評価申請を予定している医薬品等の個別品目について、申請前又は製造販売後調査等開始前にそのレジストリの信頼性について確認及び助言を実施 ※主に製造販売業者が対象
データベース活用相談 ＜信頼性保証部＞ 2020年4月～ 【実施件数：0件】	医薬品の承認申請又は再審査申請に利活用される可能性のあるデータベースについて、データベース利活用を前提とした計画の考え方、また、その際のデータベースの質の向上及び信頼性確保のための一般的な考え方について助言を行うもの。 ※主にデータベース事業者が対象
データベース信頼性調査相談 ＜信頼性保証部＞ 2020年12月～ 【実施件数：0件】	医療情報データベースを利活用した医薬品の承認申請又は再審査申請を予定している個別品目について、調査等の開始前にデータベースの信頼性担保の考え方に対する助言又は申請前に当該調査の信頼性に関する確認を行うもの。 ※主に製造販売業者が対象

※医薬品については他の治験相談の中でも同内容について対応。医療機器については「医療機器臨床試験要否相談」等の中で対応。

※実施件数は、2019年4月以降の集計。

承認申請等におけるレジストリの活用に関する 基本的考え方(案) 概要

R3年1月29日パブコメ終了

- レジストリの活用方法として以下を想定
 1. 臨床試験の外部対照としての承認申請等における有効性及び/又は安全性の評価
 2. レジストリに含まれる製品のデータを臨床試験の補完又は代わりとしての承認申請等における有効性及び/又は安全性の評価
 3. 条件付き承認を受けた医薬品及び医療機器、並びに条件及び期限付承認を受けた再生医療等製品における有効性及び/又は安全性の評価
 4. 製造販売後における有効性及び/又は安全性の評価

主に上記の承認申請等への活用を想定して、以下の観点について、基本的な考えや留意点などを整理したもの

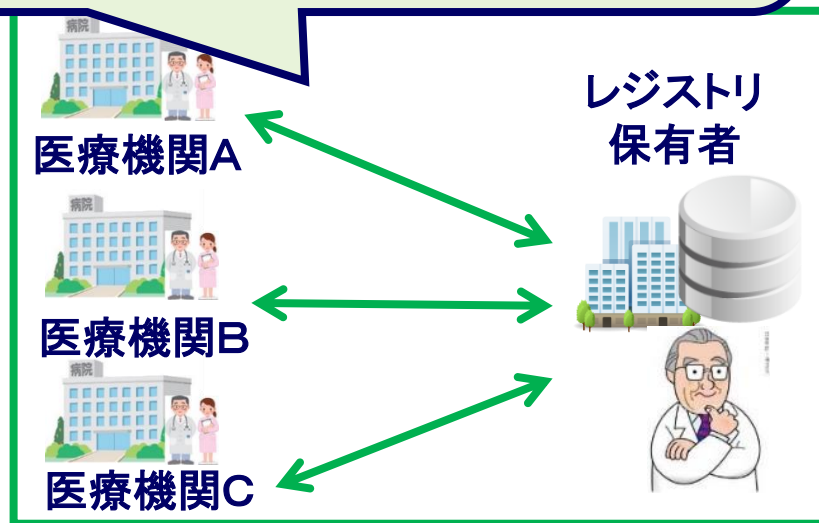
- 患者集団
- 評価項目
- 評価期間
- 統計手法
- 自然歴の観察研究のタイプ(前向き、後向き) など

レジストリデータを承認申請等に利用する場合の 信頼性担保のための留意点(案) 概要

R3年1月29日パブコメ終了

- データ収集にかかる倫理的配慮
- レジストリ運営の組織体制
- システムの構築・管理
- データの品質管理・保証 など

- 契約
- 受領したデータの品質確認
- 承認申請資料の作成
- 記録の保存 など



- 本留意点におけるレジストリは、新たに構築されるものだけでなく、これまでに構築され、データが集積されたものも適用範囲とする
- 承認申請資料等でレジストリを利用する場合、レジストリの利用目的によって、データに求められる信頼性の水準は異なるため、PMDAに相談することを推奨

RWD WGの設置(2021年度)

CIN対応WG

発展的改組

- レジストリに関する相談枠の設置、相談の実施
- レジストリデータを承認申請等に活用するためのガイドライン作成

RWD WG

- レジストリに関するガイドラインに基づく相談の運用と相談実績の共有

- レジストリやデータベース等のRWDに関する課題を包括的に取り扱い、活用に関する基本的な考え方及び信頼性担保に関する基準等の検討

RWDの活用促進に対し一層の取り組みが必要

信頼性SWG

臨床開発等での信頼性基準

活用SWG

有効性/安全性評価への活用