

# 国立精神・神経医療研究センターでの 患者情報登録の活用



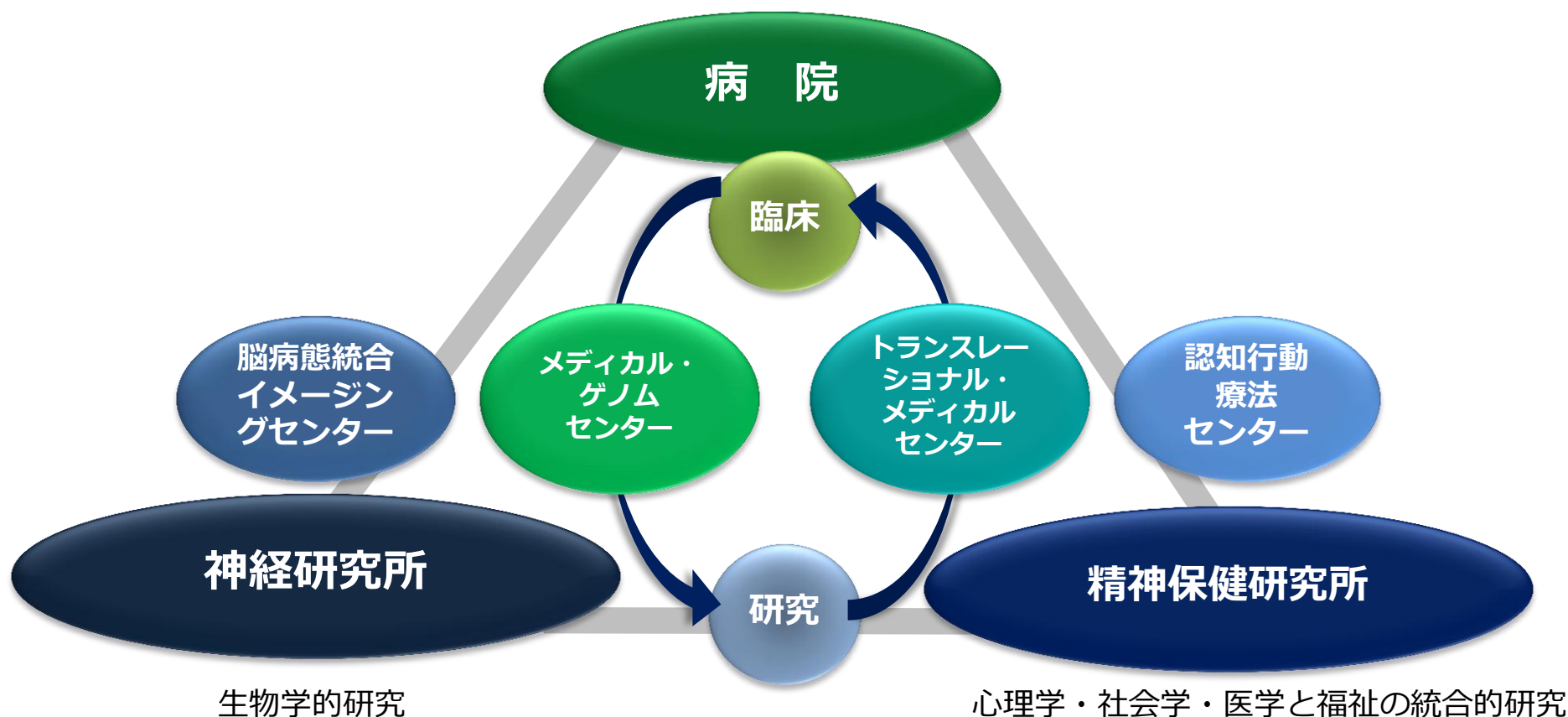
独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター  
National Center of Neurology and Psychiatry (NCNP)

# 国立精神・神経医療研究センター



世界中に精神あるいは神経研究所は数多くあるがNCNPは精神と神経の研究と診療を一体的に行っている「世界にひとつだけのセンター」

精神疾患、神経疾患、筋疾患及び発達障害の克服を目指した研究開発を行い、その成果をもとに高度先駆的医療を提供するとともに、全国への普及を図る



# 1. NCNPが有する患者情報登録システム



担当領域のひとつである難治性・希少性疾患は患者集積性が困難であることから臨床研究・治験の実施が困難である。2009年開始の神経・筋疾患患者登録（Remudy）をはじめとして複数の患者情報登録システムを運用・構築し、患者情報の集積を行い臨床研究・治験の実施を支援している。

	対象疾患	主な登録項目
Remudy 神経・筋疾患患者登録	筋ジストロフィーを含む遺伝性筋疾患	年齢 性別 登録(主)疾患名 ステージ
IBISS Integrative Brain Imaging Support System	健常者 REM睡眠行動障害 筋ジストロフィーを含む筋疾患	検査値 治療歴 家族歴 併発疾患名
精神科レジストリ (構築中)	統合失調症と気分障害	治験情報提供希望の有無 (IBISSでは、脳画像情報等も登録)

## 2. 患者登録システムと疾患ネットワークを活用した

## 臨床研究・治験の実績



神経・筋疾患患者登録

# Remudy

希少疾病の臨床研究・治験を進める上で、対象となる患者情報の集積、実施可能性の検討が必要

筋ジストロフィーの臨床研究・治験の促進を目的に2009年から登録開始

### <対象疾患>

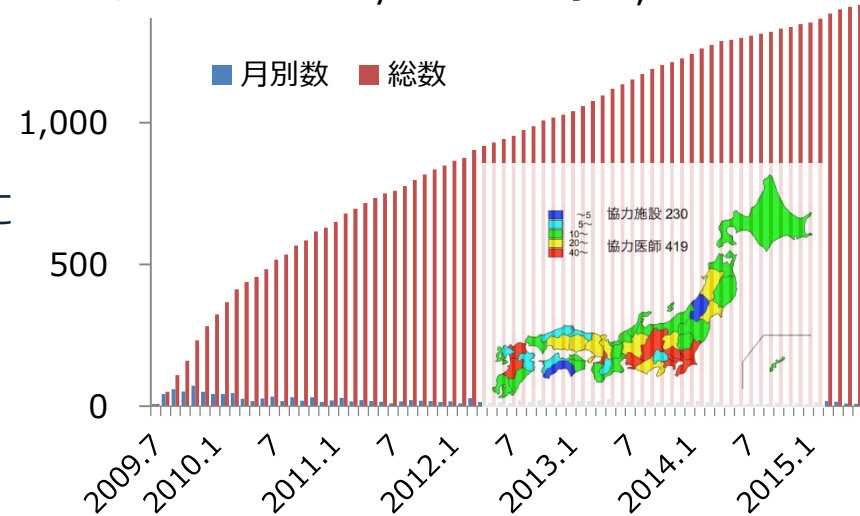
ジストロフィン異常症  
縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー  
筋強直性ジストロフィー

### <登録者数> (H27.7末時点)

ジストロフィン異常症	1,428名
縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー	165名
筋強直性ジストロフィー	235名

ジストロフィン異常症  
患者登録数 (人)

DMD/BMD 登録 1,428

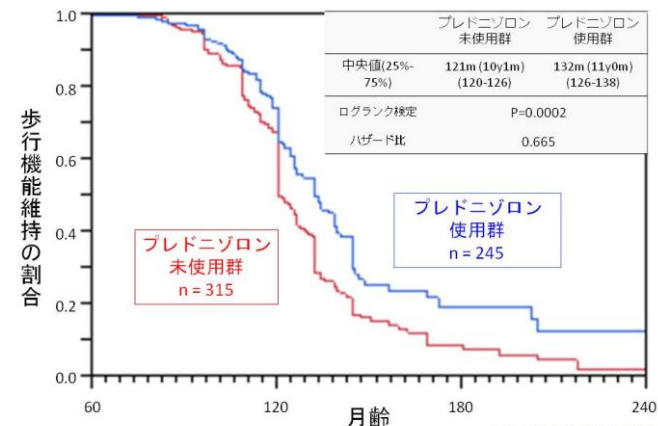


Remudyの活用により、

- 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
- 自然歴研究

が可能となった。

ステロイドによる歩行機能の延長効果



Takeuchi et al. J Neurol 2013

●レジストリーを用いた横断的観察研究を行い、我が国では初めてデュシェンヌ型筋ジストロフィーの自然歴（歩行機能）とステロイド薬の効果を提示した。

# 患者情報の更なる活用には治験実施病院のネットワークが重要



2012年に全国の病院と連携した筋ジストロフィーの治験推進を目的にMDCTNを立ち上げ。

国立病院機構を中心に34施設が加盟。

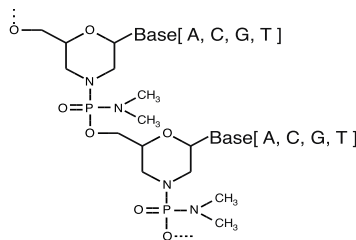


## 筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク

Muscular Dystrophy Clinical Trial Network

### 患者登録システムと疾患ネットワークを活用した First in Human 試験

日本新薬と共同開発した国産初のアンチセンス核酸医薬品であるデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬NS-065/NCNP-01の早期探索的臨床試験をRemudyとMDCTNの連携を活用した患者リクルートにより実施。



NS-065/NCNP-01

### Remudyへの情報提供依頼実績

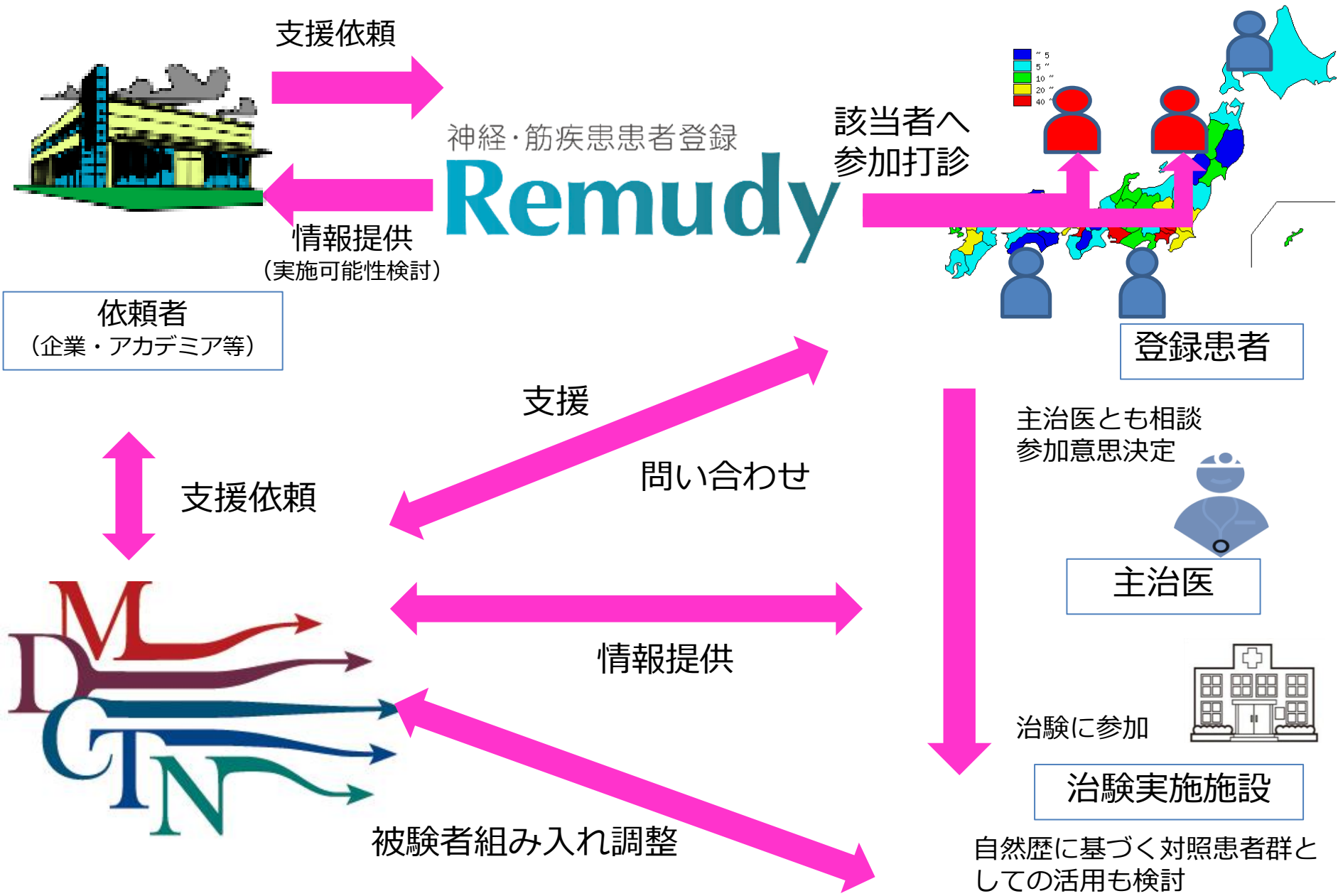
	企業	アカデミア
フィージビリティ調査に関する情報提供 (カッコ内：TREAT-NMD経由)	11 (6)	5 (1)
被験者組み入れに関する情報提供	0	4

企業、アカデミア、海外の疾患ネットワークへ情報開示を行い、国内治験のみならず海外治験への参加の窓口としても機能。  
患者への治験情報の提供により、希少疾患患者への情報ツールとしても役立っている。

### 筋疾患以外の難治性・希少疾患への応用

難治性・希少性疾患以外についても、患者登録システムのありかたを検討することにより、患者情報を活用した臨床研究・治験の推進が可能に

# RemudyとMDCTNの連携による患者リクルートの流れ



### 3. クリニカルイノベーションネットワークNCNP-WGの運営方針



#### <WG長>

トランスレーショナル・メディカルセンター長

#### <WG構成員>

患者情報収集システム事務局、疾患ネットワーク事務局

(Remudy,IBISS,ゲノム情報DB,精神科レジストリ,MDCTN等)

病院、研究所、トランスレーショナル・メディカルセンター、IRB事務局、治験事務局、知財担当部門、事務部門の代表者、生物統計家、薬事審査経験者等。

- センターで収集した患者情報をより幅広く効率的に活用できるよう、一元管理方法を検討中
- 担当領域における治験・臨床研究の促進に資する患者登録システムの検討
  - 希少疾病等の患者症例集積性向上による治験・臨床研究の促進を目的とする患者登録システムの標準的仕様
  - 治験・臨床研究に活用するための標準的登録内容
  - 治験対照群としての活用を視野に入れた登録情報の項目と内容の整理
- 企業からのヒアリングをしつつ情報提供に向けた具体的な問題点について検討
  - 情報の利活用の審査
  - 情報提供システム
  - 情報提供の対価
  - 知的財産の取扱