

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
(16lk0201058h0001)

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
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）の概念図
- 登録項目、信頼性について
- ロードマップ

研究の目標・ねらい

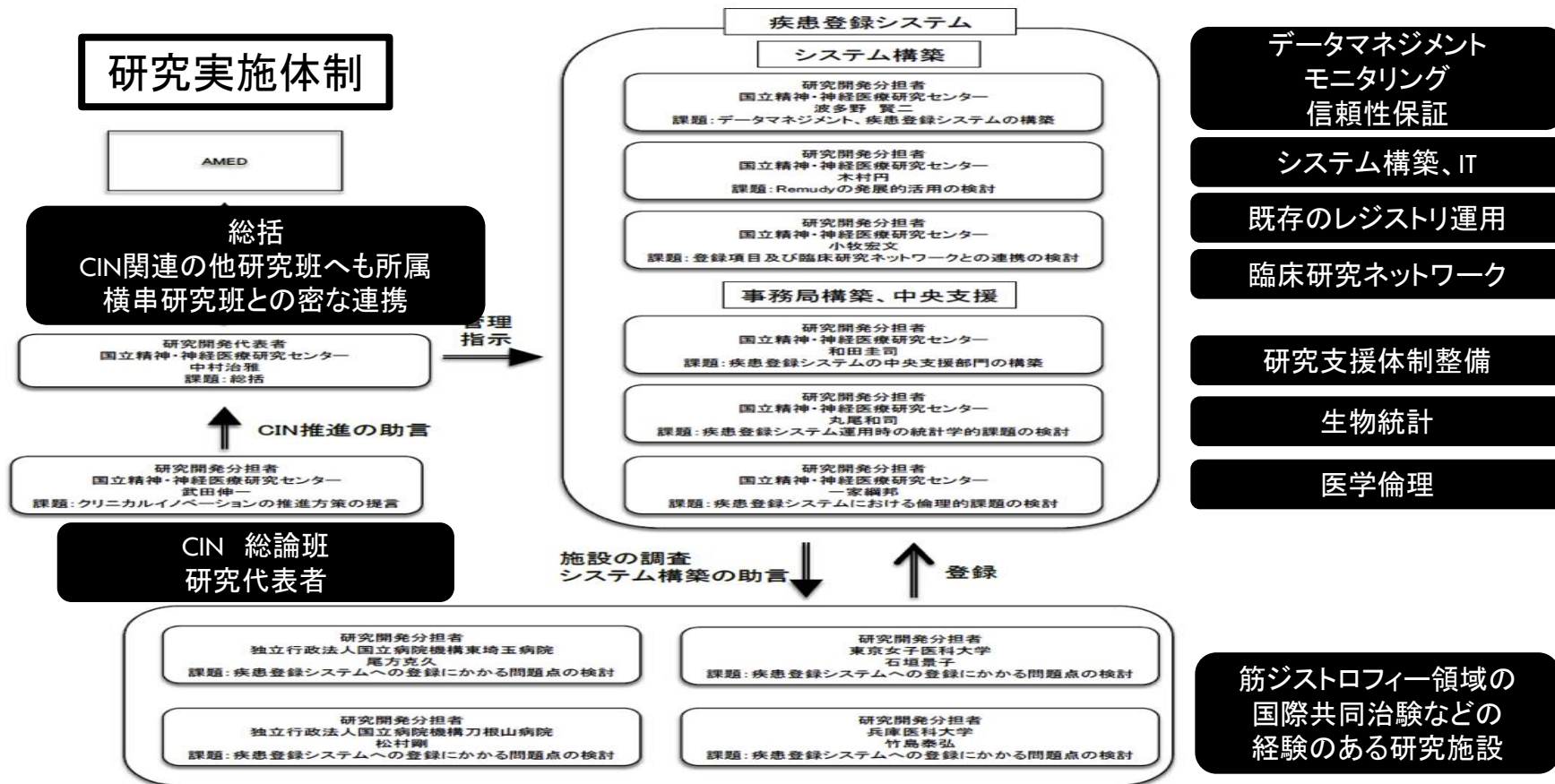
特に医薬品開発が困難と考えられる難病・希少疾患領域においてより効率的な開発促進の基盤整備としての新たな疾患登録システムを構築することを目標とする。

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、電子化医療情報、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



実績と課題、研究班の目指すもの



Remudyのご紹介

患者登録サイトのご案内

お知らせ・お問い合わせ

難治性神経・筋疾患の治療研究は臨床試験の段階に入りました。

製薬関連企業・研究者と患者さまの間の情報の橋渡しをいたします。

ネットワークとの連携含め実績がある



Remudyのご紹介

患者登録サイトRemudyは、これまで治療法が少ないとされた筋ジストロフィーを含む神経筋疾患の患者さまのために、新しい登録サイト

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
- 臨床研究

市場調査

治験 実施可能性調査

治験 リクルート

- 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

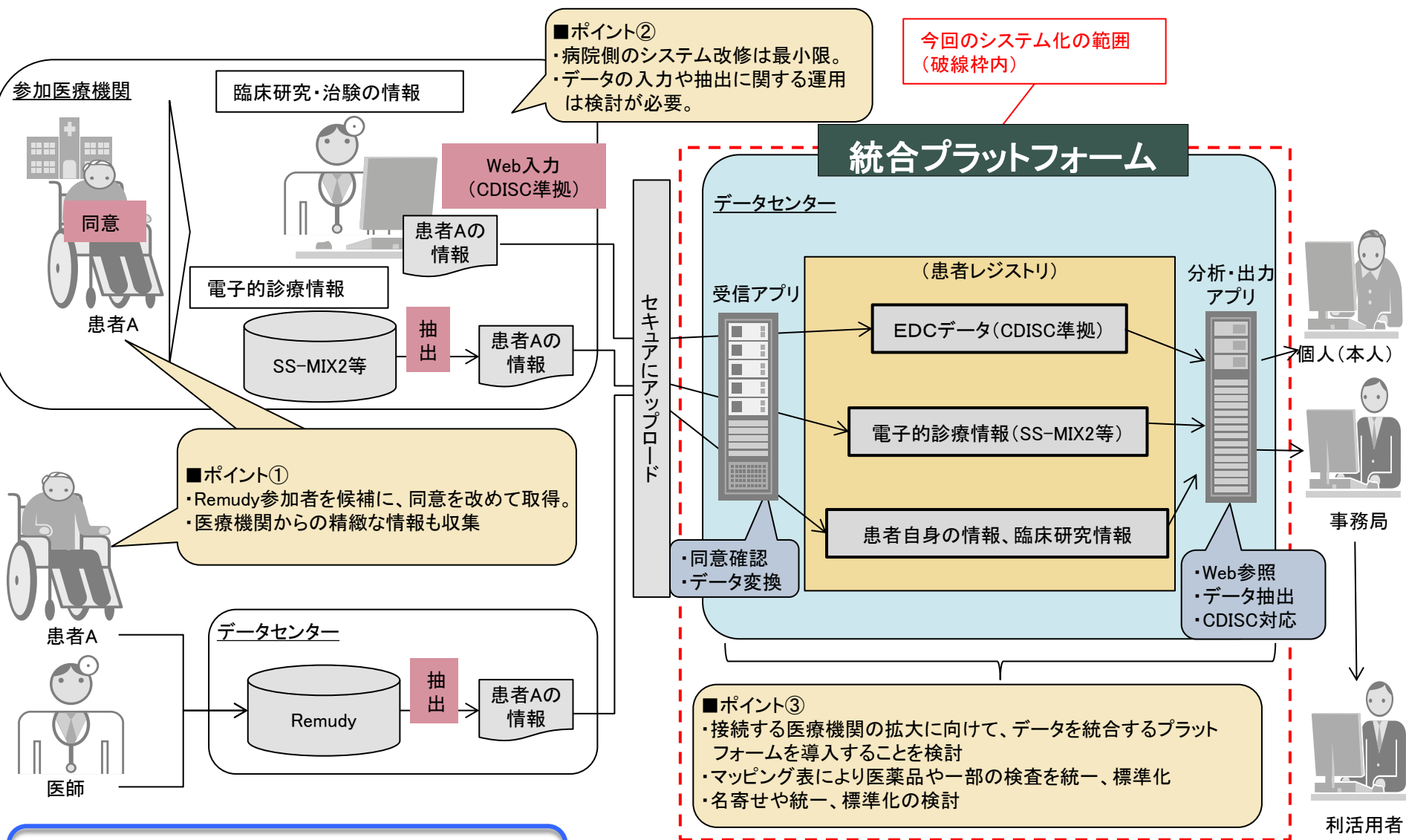


- 自然歴
 - 評価項目の検討
 - 規制要件
- 解決のための新たな手法が必要



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)

構築するレジストリシステム概念図



神経・筋疾患患者登録

Remudy Registry of Muscular Dystrophy

筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク

Muscular Dystrophy Clinical Trial Network

統合プラットフォームの運用

臨床研究ネットワークとの緊密な連携と将来的な統合

レジストリ登録項目、信頼性の検討

自然歴研究踏まえた：登録項目（データ収集項目）、CRFの設計

自然歴研究でのデータ収集項目、電子化診療情報からの抽出データと、を統合し、『治験対照群』として活用できるデータベースの構築を目指す。

(AMED申請書より、基本情報)

- 患者台帳情報(性別、生年月日、追跡開始日、追跡終了日など。)
- 薬剤基本情報
- 診療行為基本情報
- 傷病名基本情報
- 臨床検査結果情報
- 有効性評価項目(特にDMDでは、現在CFASTなどでの検討が進められており、それらの動向を注視する。本項目に関してはPMDAとの議論も踏まえる必要がある)
- 安全性評価項目
- その他

国内で実施されたアウトカムメジャー研究、企業治験における収集項目より検討
海外でのAccelerated approval(Eteplirsen)のFDAによる指摘にも対応

自然歴研究

臨床評価項目(案)

下肢機能

- NSAA (床からの立ち上がり) (10m走行/歩行)
- Timed Up and Goテスト
- 2分間歩行
- 定量的筋力評価
- 膝関節伸展/屈曲

上肢機能

- PUL
- 9-hole peg test
- 握力
- ピンチ力
- 定量的筋力評価
- 肘関節屈曲/伸展

● 加速度・活動量計

● バイオインピーダンス

DMDにおけるアウトカムメジャー研究 NCP 小児神経科 医師 竹下輪里氏より 一部改変

なお、患者主体の登録であるRemudyのシステムを活用し、Patient Reported Outcome(PRO)の開発も視野に入れる。

レジストリデータの信頼性：ITシステム、運用・プロセス要件

1. 3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)
⇒「データクレンジング」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)
⇒「データクレンジング」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
⇒「データクレンジング」+
「モニタリング(特にSDV)」実施(「監査」実施?)

データを階層的に収集する仕組みの確立

2. 記録及び報告 ALCOA-CCE

原資料の基本要素、品質維持

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

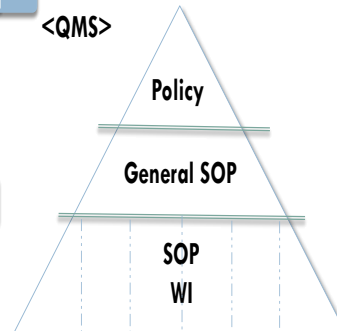
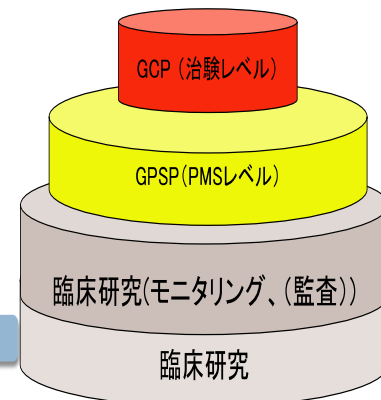
体系化されたSOPの作成

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

規制要件に適合したデータベースの構築

CIN林班、PMDA信頼性保証部との緊密な連携



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

ロードマップ(中村班)

