



知っておきたい「顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー・眼咽頭筋型筋ジストロフィー」
日時：2019年7月28日 13:00-17:00
場所：国立病院機構本部講堂

治療開発と患者登録の重要性

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター

TMC 臨床研究支援部長

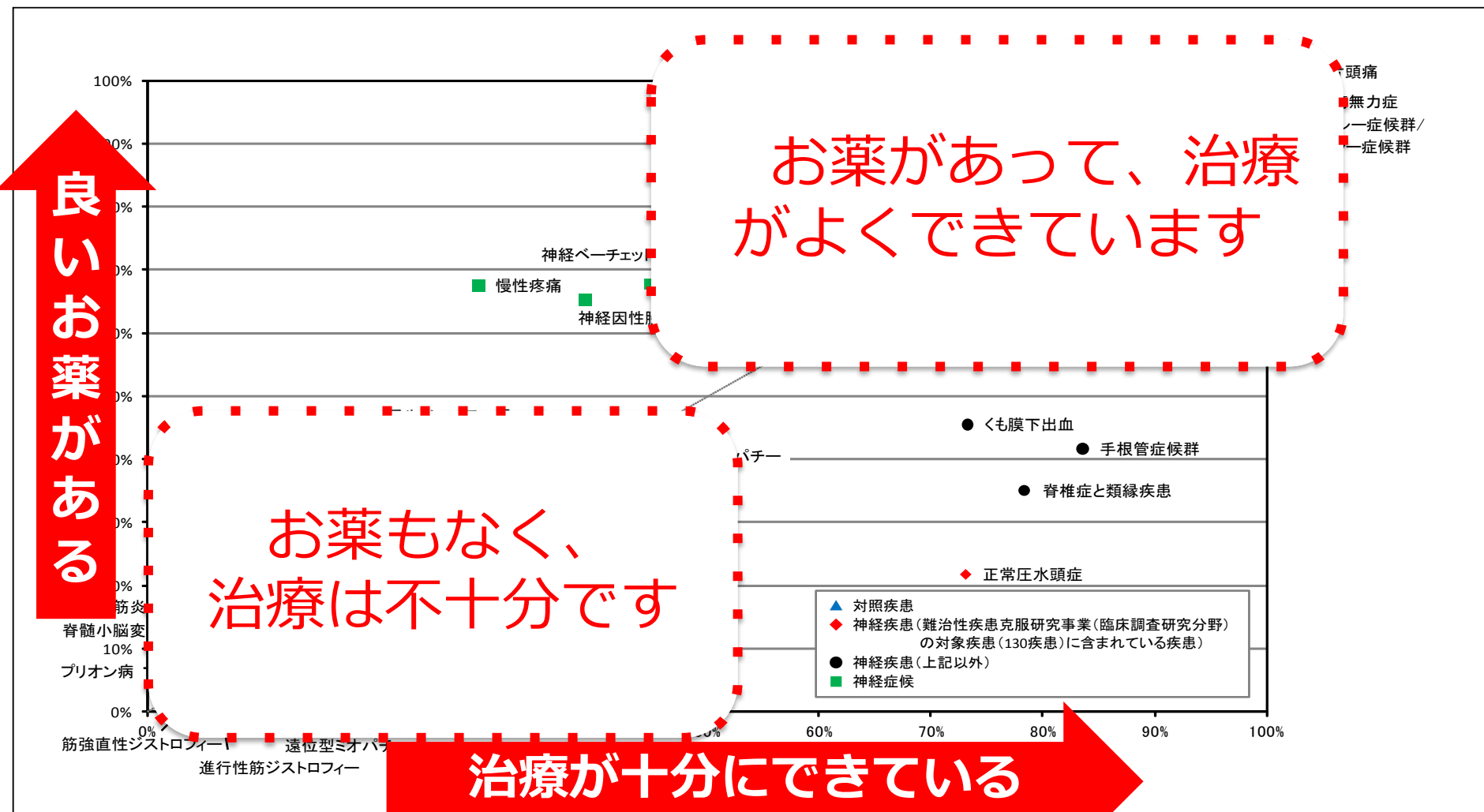
中村治雅

治療開発について

患者レジストリとは？

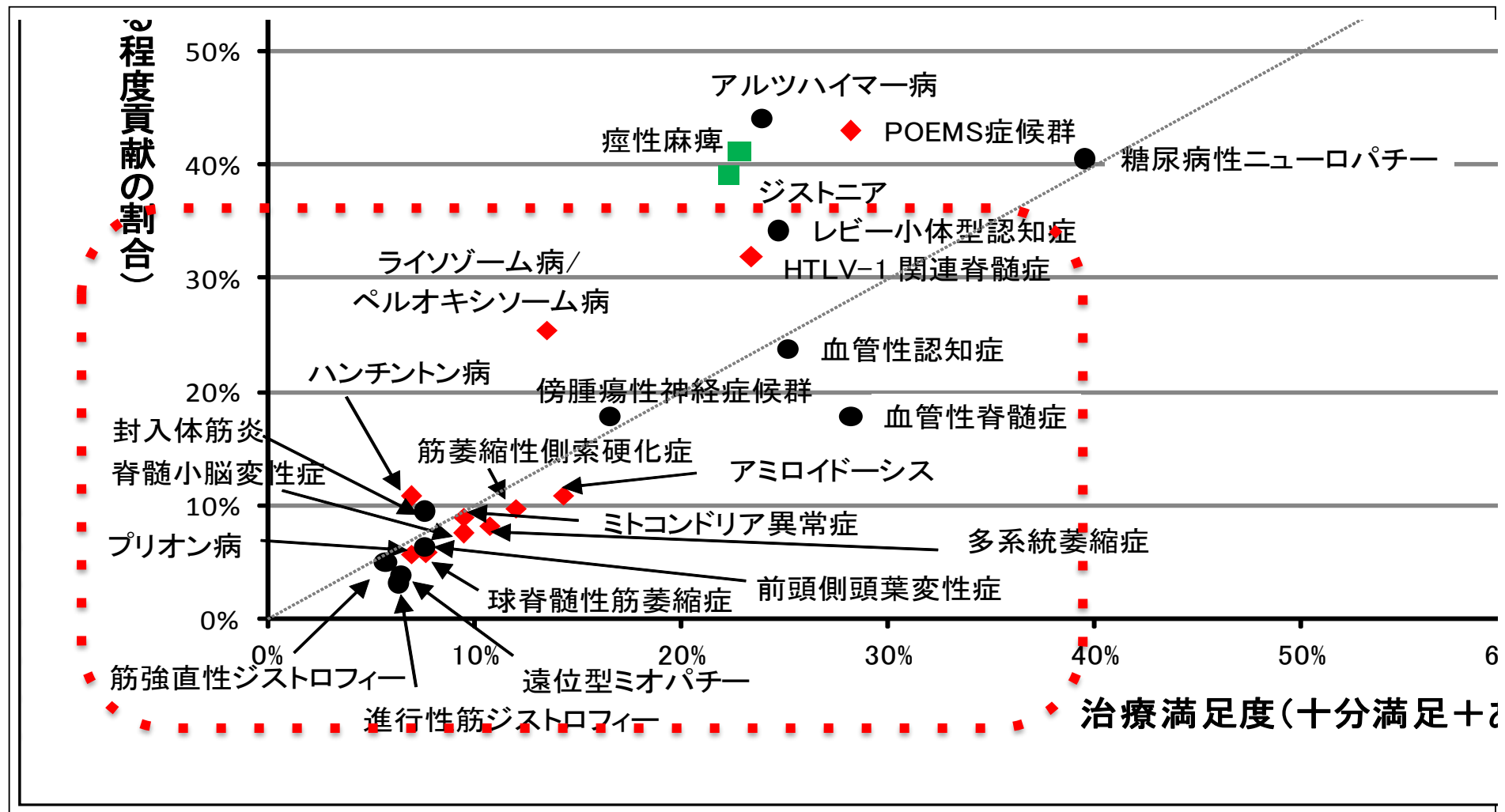
患者レジストリはどう役立つの？

神経疾患に関する医療ニーズ調査

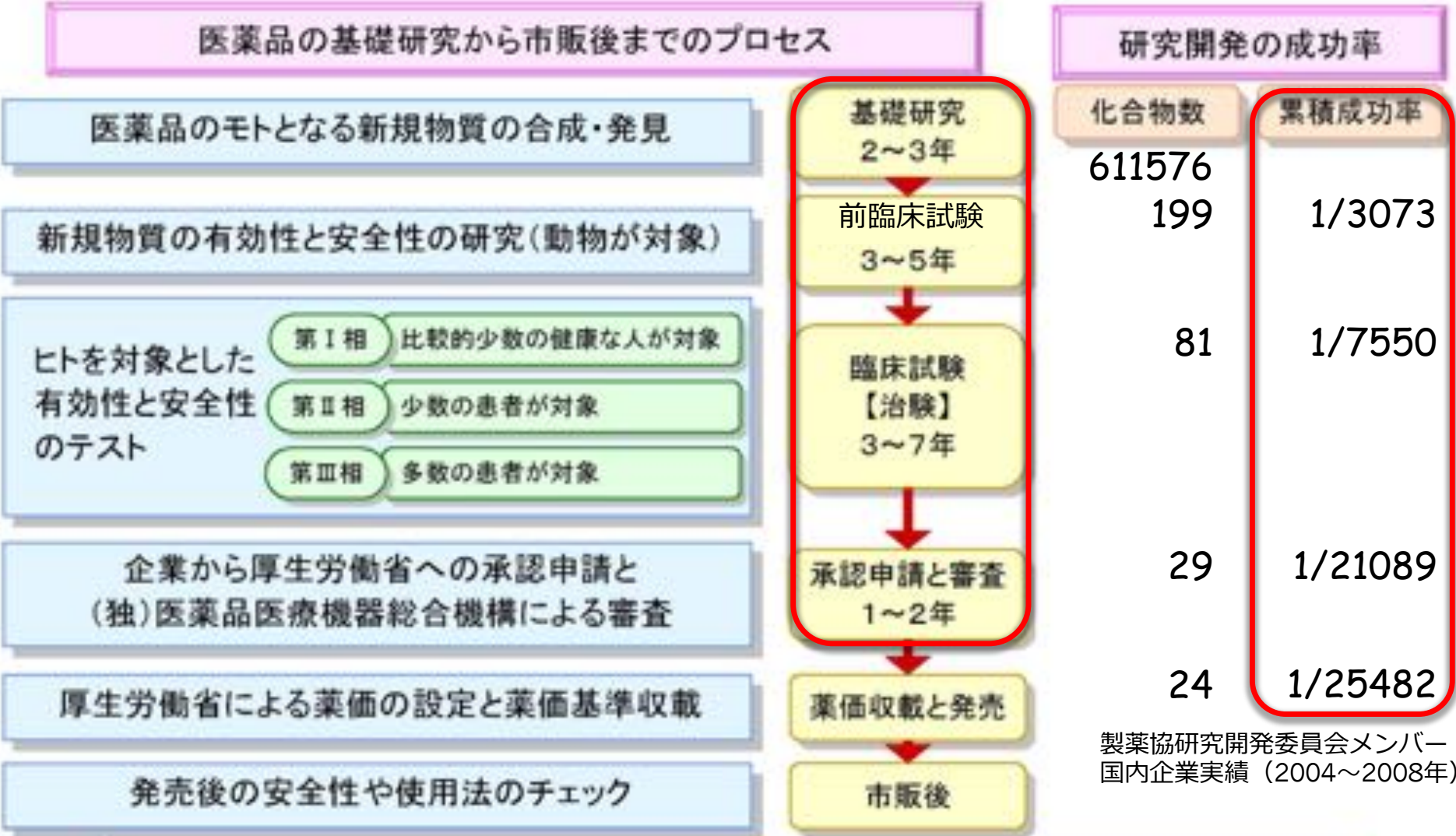


平成 25 年度(2013 年度) 国内基盤技術調査報告書「神経疾患に関する医療ニーズ調査」
公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

神経疾患に関する医療ニーズ調査



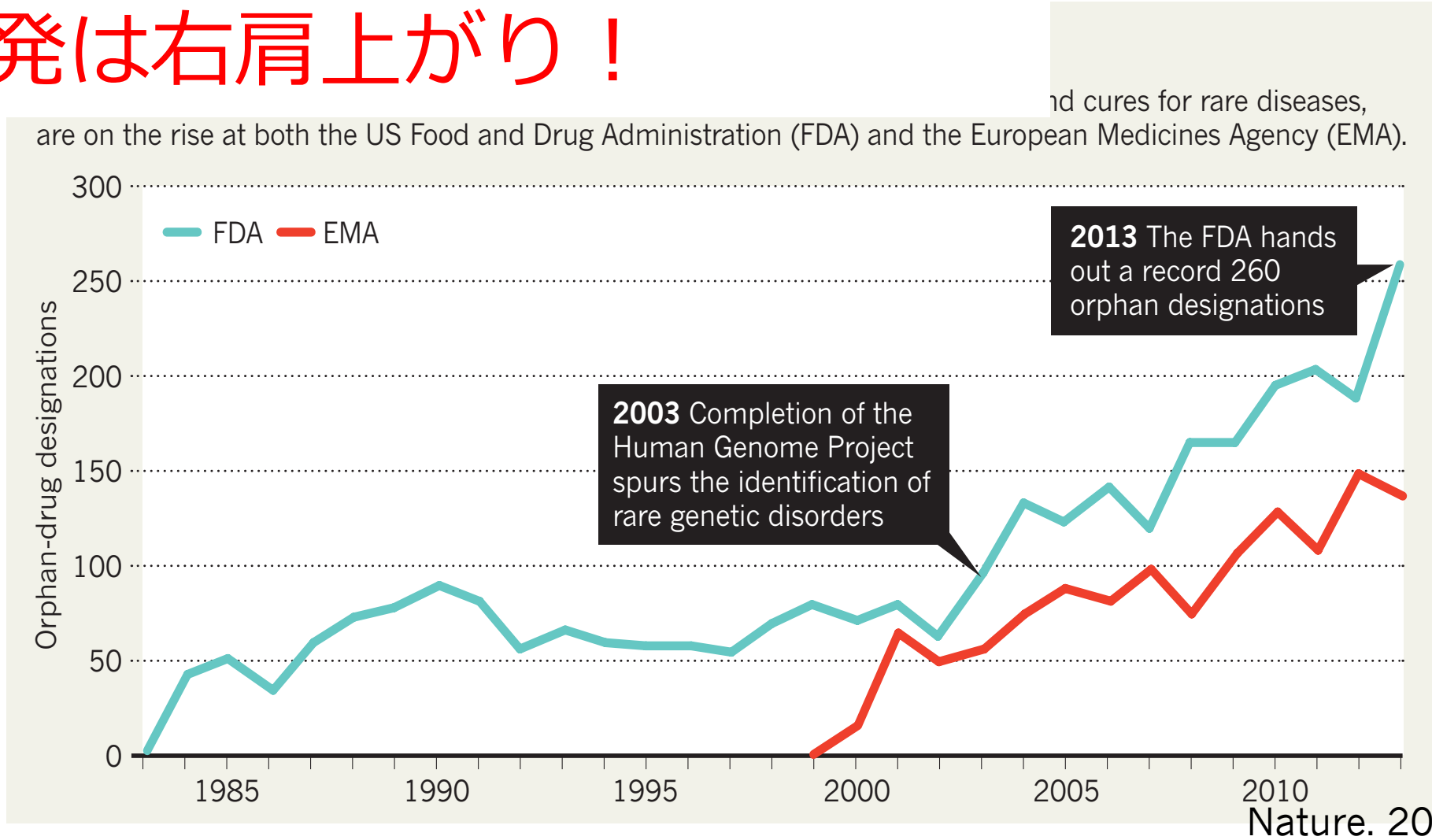
医薬品の開発の基本的な流れ



製薬協研究開発委員会メンバー
国内企業実績(2004~2008年)

製薬協によれば、上市した1医薬品あたり、
研究開発費は500億円、販売促進費等を含めた総費用は1,200~1,900億円

世界中で、オーファンドラッグの開発は右肩上がり！



- 患者さんが少ない！
- 専門家も少ない！
- 医療機関も少ない！
- 患者さんの状態がわからない！
- 研究、治験に参加してくれる患者さんも少ない！
- 治験ができない！

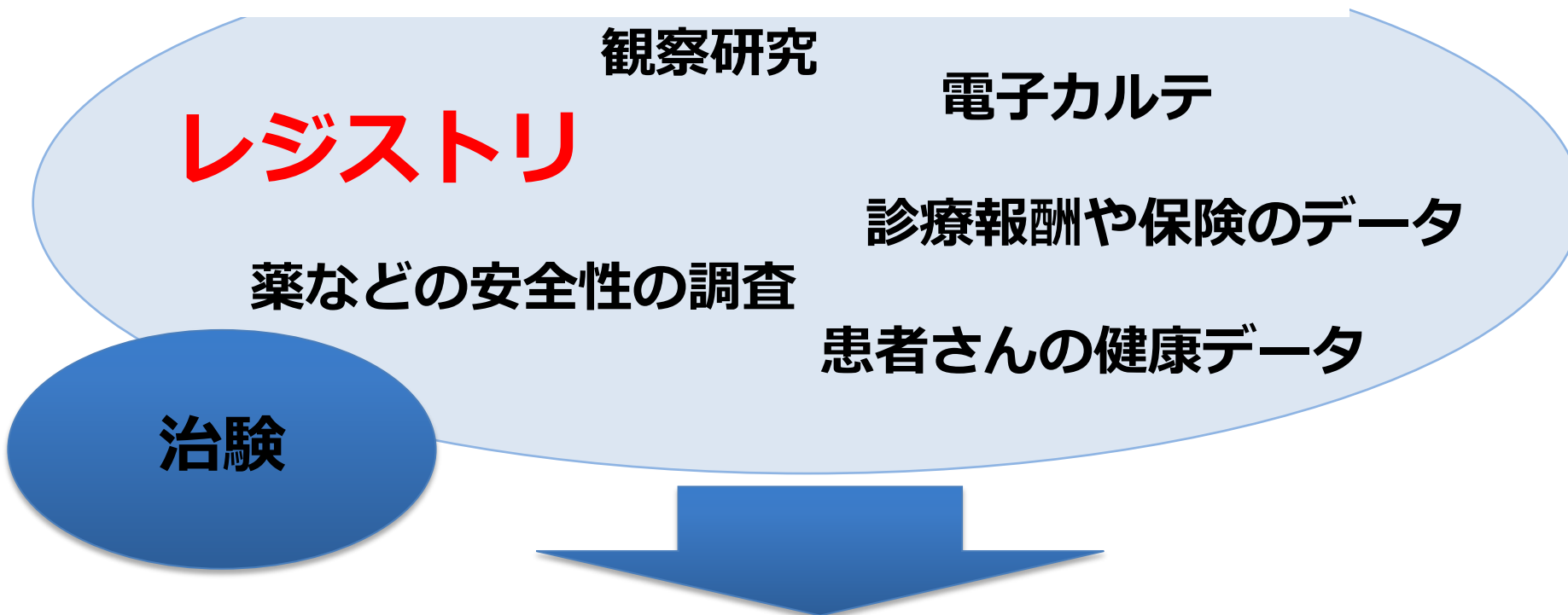
治療開発について

患者レジストリとは？

患者レジストリはどう役立つの？

<http://dx.doi.org/10.14236/jhi.v22i3.177>

リアルワールドデータ (患者さんの様々な情報)

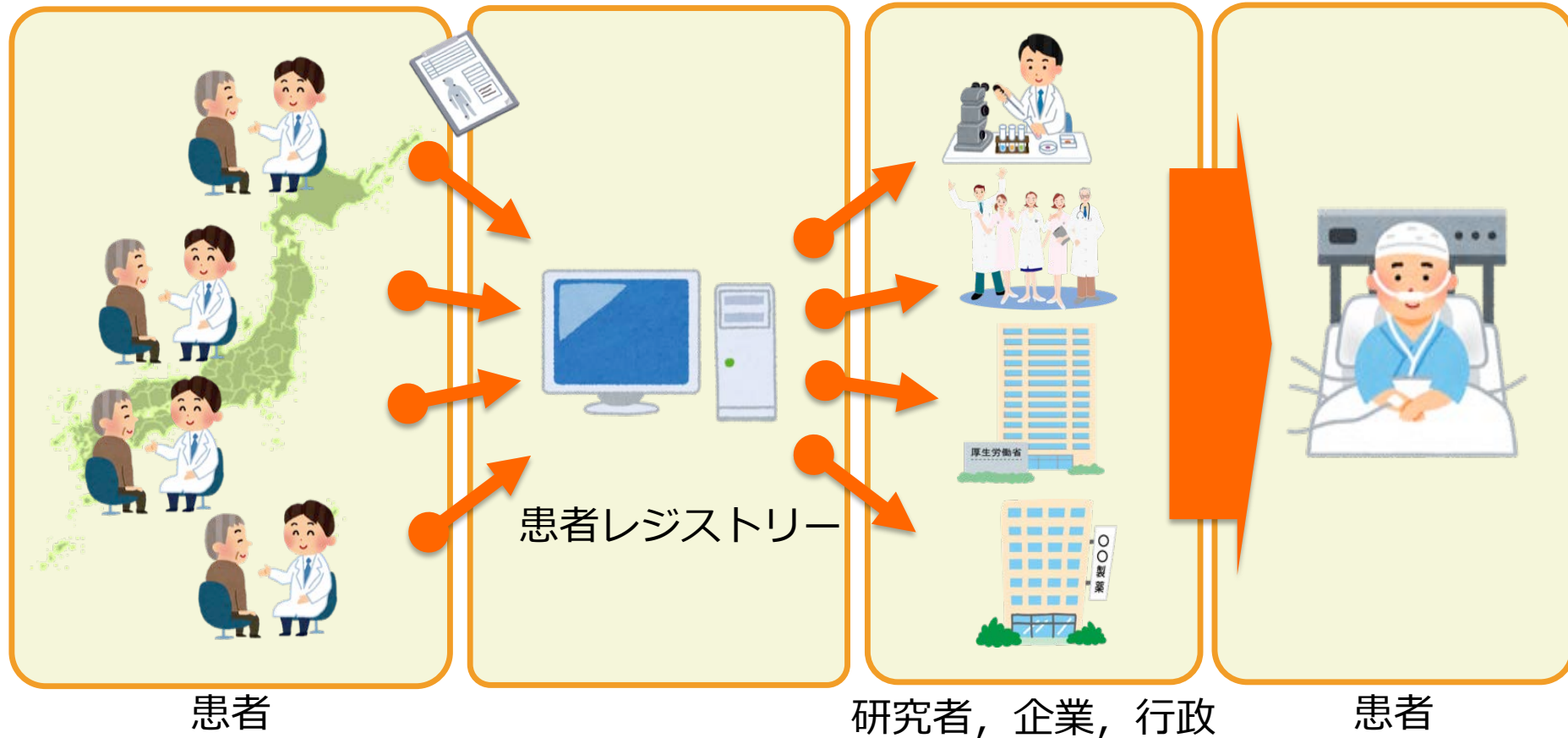


リアルワールドエビデンス (リアルワールドデータからわかること)

- レジストリ (Registry) とは
 - 登録、登録すること、記録簿など
 - Registries for Evaluating Patient Outcomes: A user's guide. Second Edition, AHRQ, 2010
- 患者/疾患レジストリーとは、
 - 何らかの目的を持って患者さんや疾患の情報を収集する事、その記録簿

レジストリってなんでしょう

疾患・患者さんの「情報」を「集めて、貯めて、活用する」



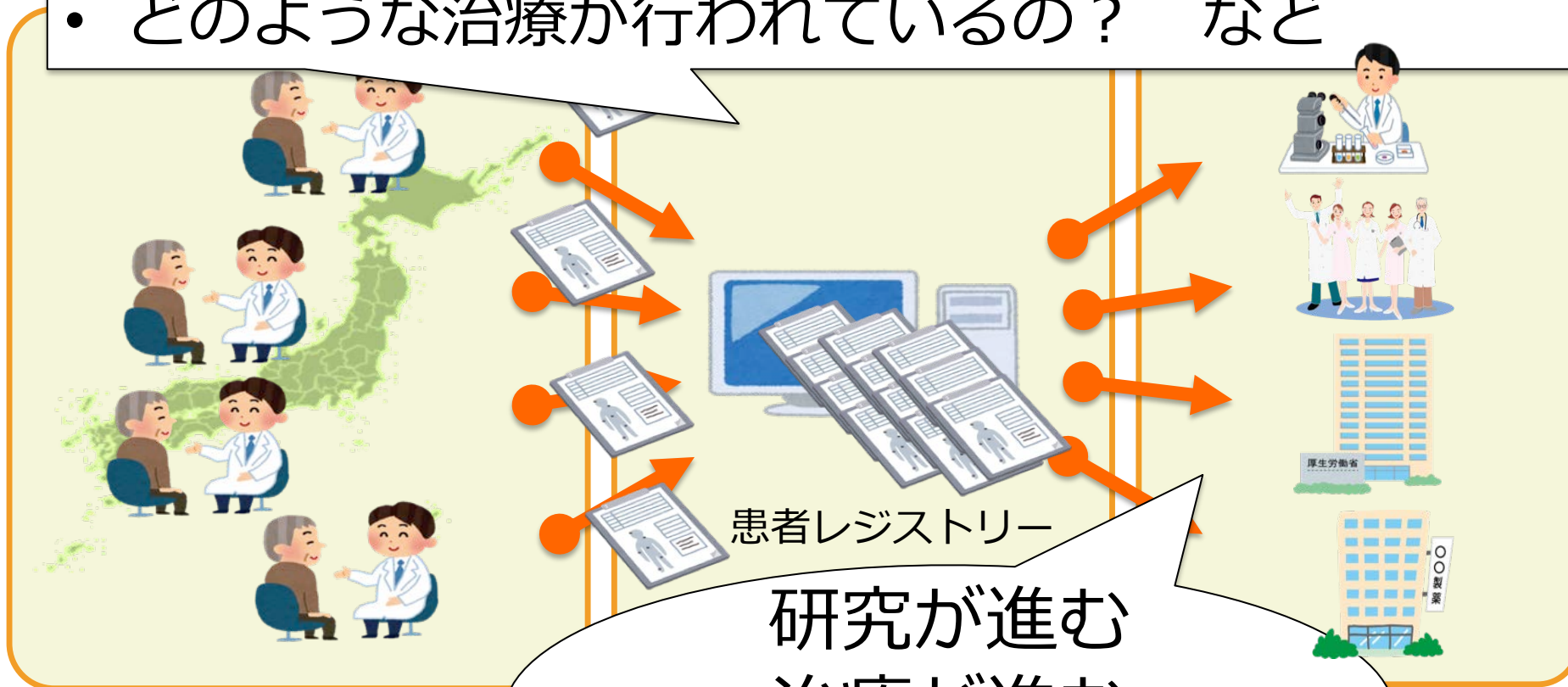
治療開発について

患者レジストリとは？

患者レジストリはどう役立つの？

集まった情報を分析することで、

- 患者さんの数は？
- どのような症状があるの？
- どうやって進行するの？
- どのような治療が行われているの？ など

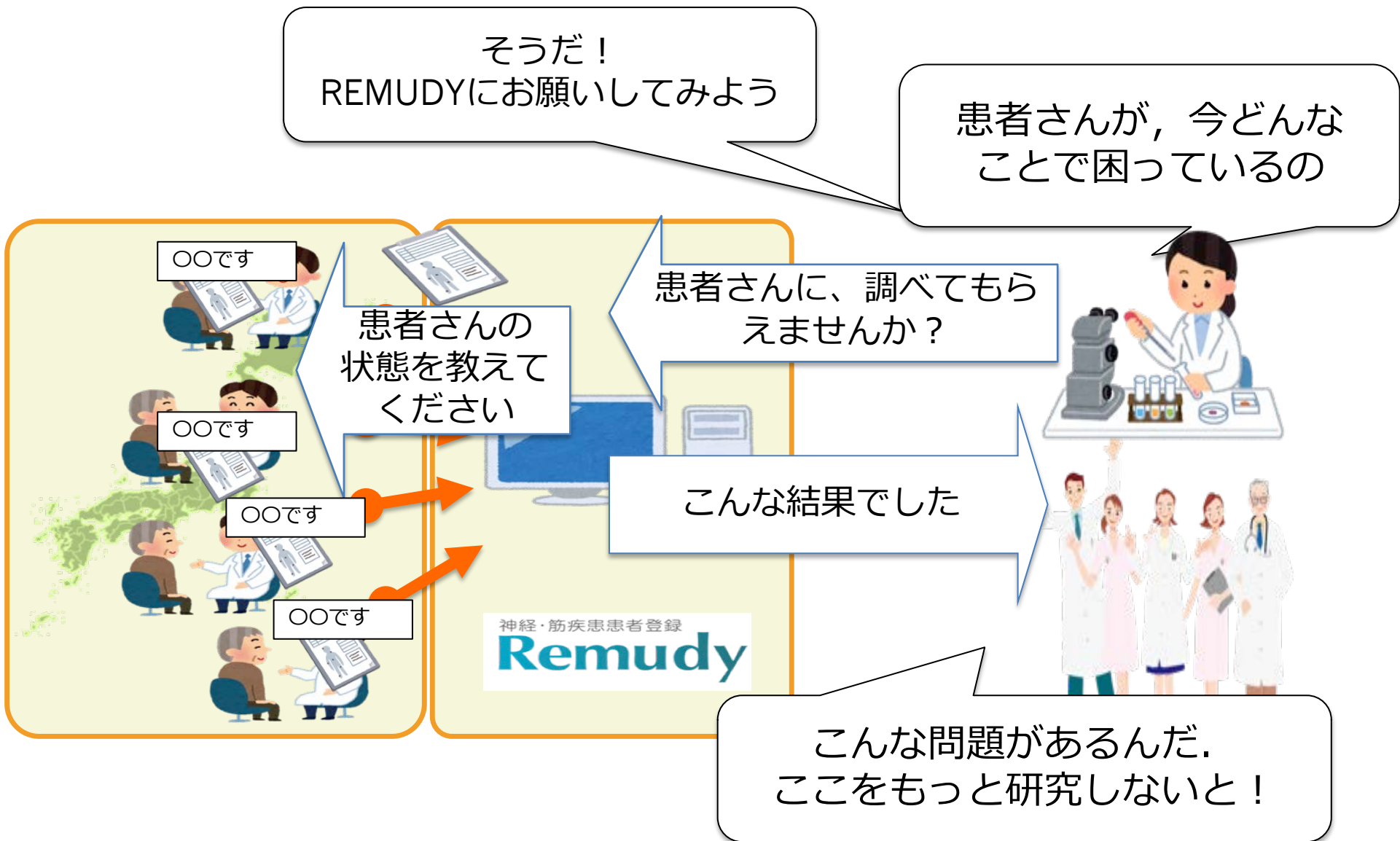


患者

患者レジストリー

研究が進む
治療が進む
医療が進む

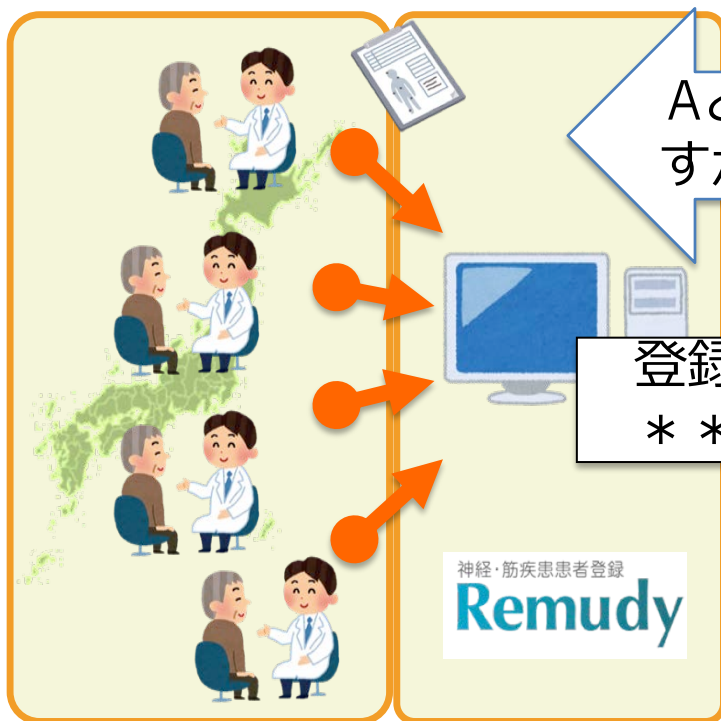
患者さんの困ってること、現状を調べたいんだけど...



このお薬を待ってる患者さんはいらんだらうか？

そうだ！
REMUDYに聞いてみよう！

このお薬が必要な
患者さんいるのかなあ？



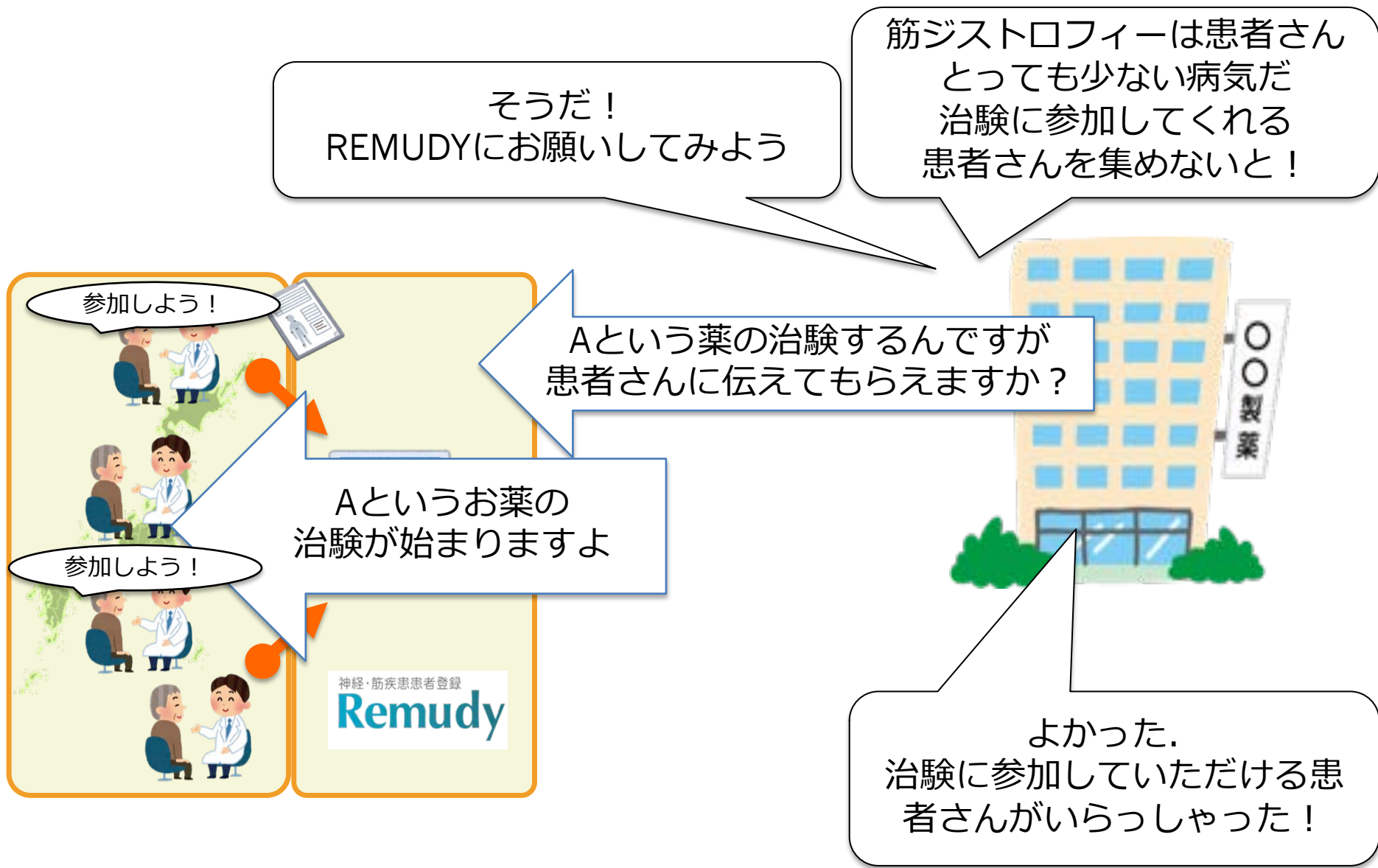
Aという薬のタネがあるんで
すが、患者さんはいますか？

登録している患者さんは、
**人いらっっしゃいますよ



よし！Aという薬を
開発しよう

治験に参加してくれる患者さんっているんだろうか？



患者さんが少なくて、治験ができないんだけど...

そうだ！
REMUDYにお願いしてみよう

もしお薬飲んでなかったら、患者さんはどのくらい歩けるんだろう

お薬を飲んでいない患者さんの
歩行の機能はどうですか？

何m歩けます

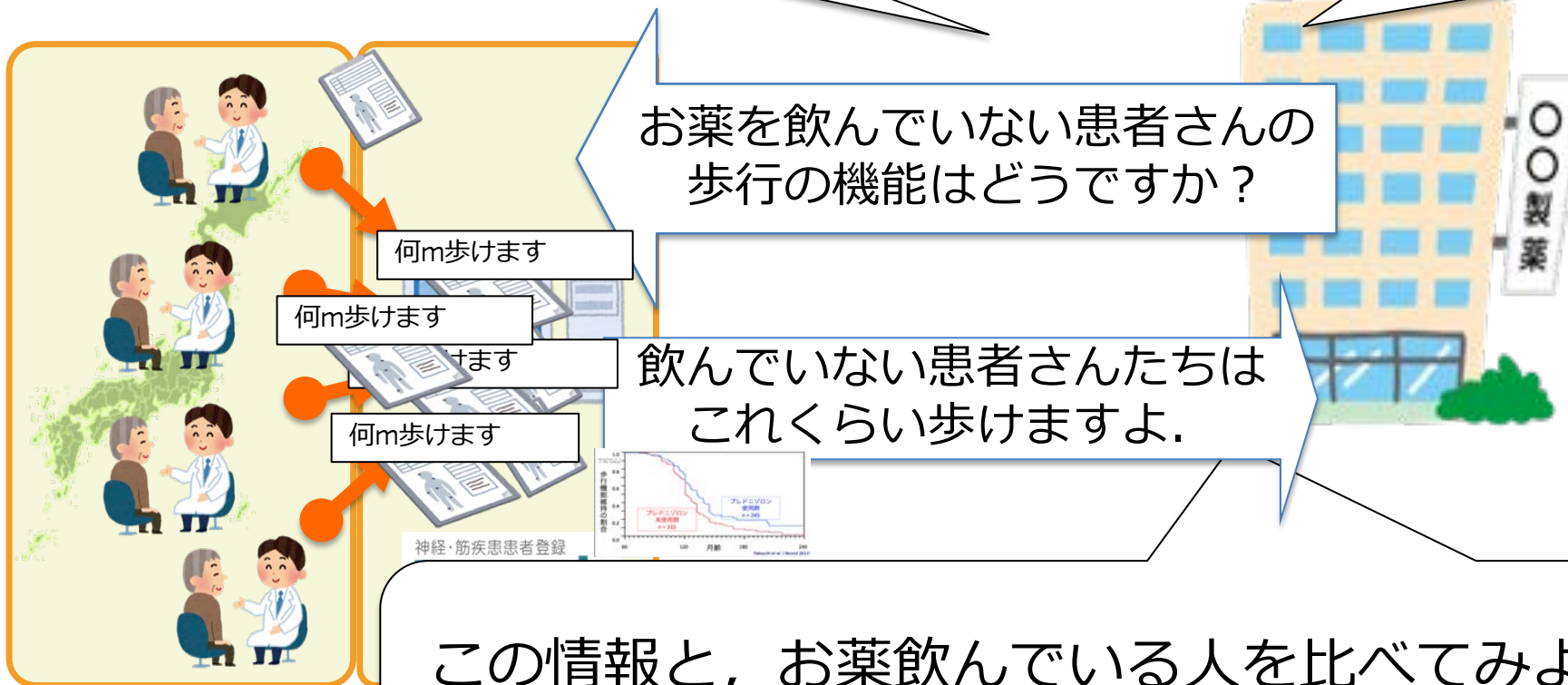
何m歩けます

ます

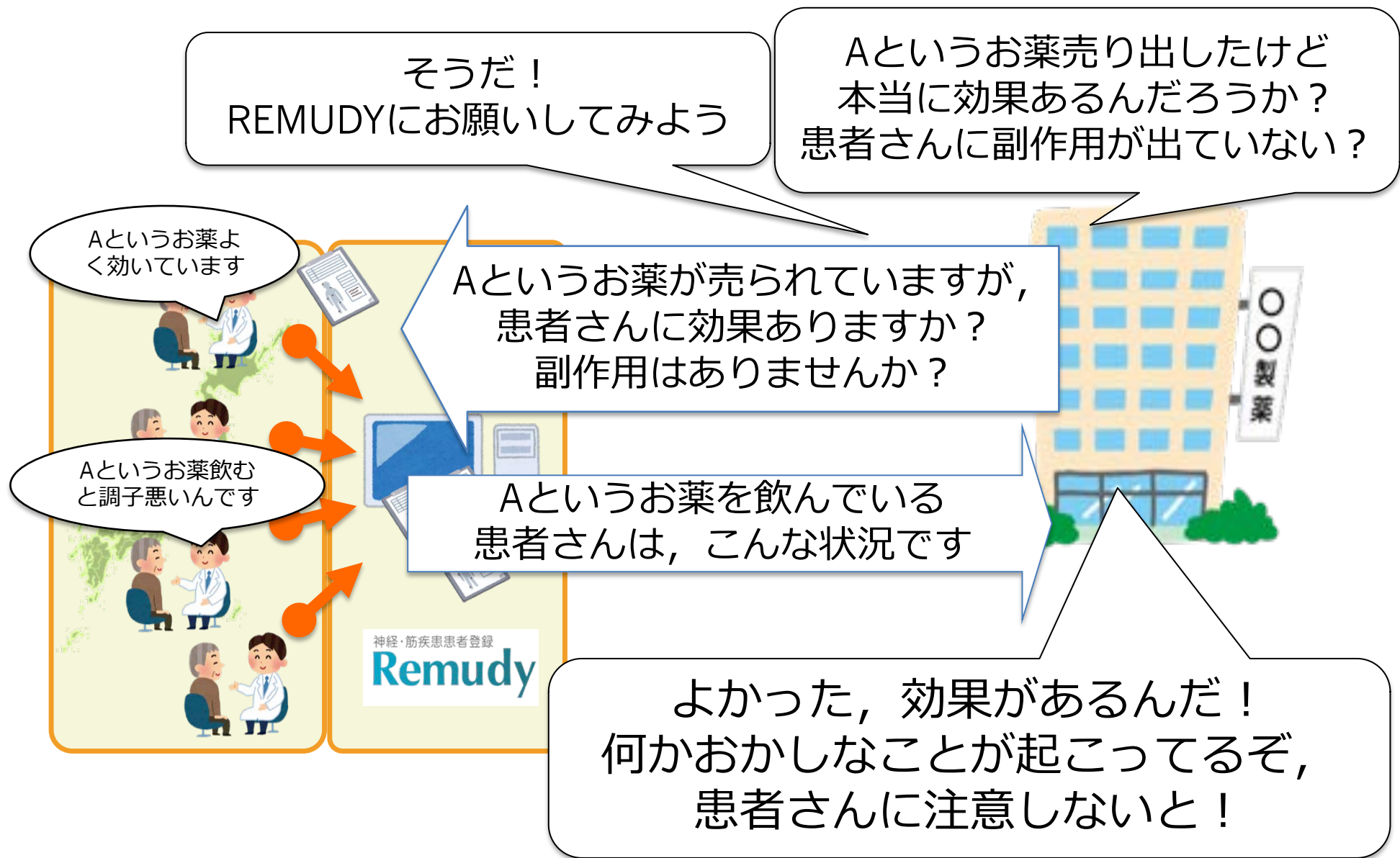
何m歩けます

飲んでいない患者さんたちは
これくらい歩けますよ.

この情報と、お薬飲んでいる人を比べてみよう
この情報を持って規制当局と相談しよう



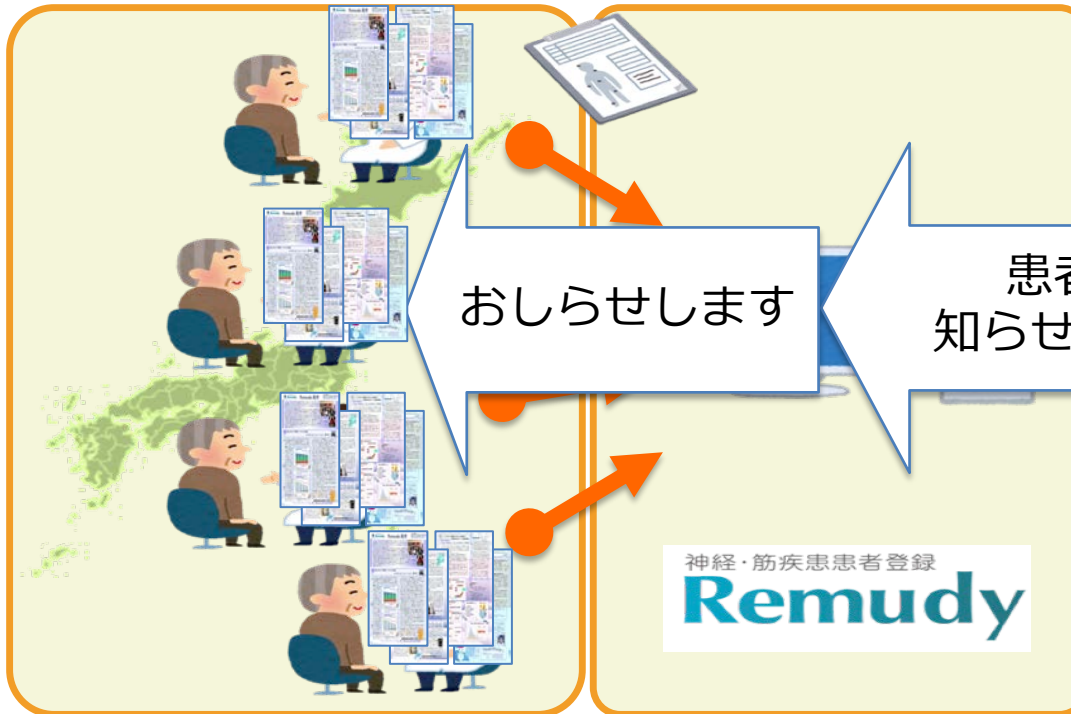
お薬が売り出されたけど、本当に安全？ ほんとうに効いてるの？



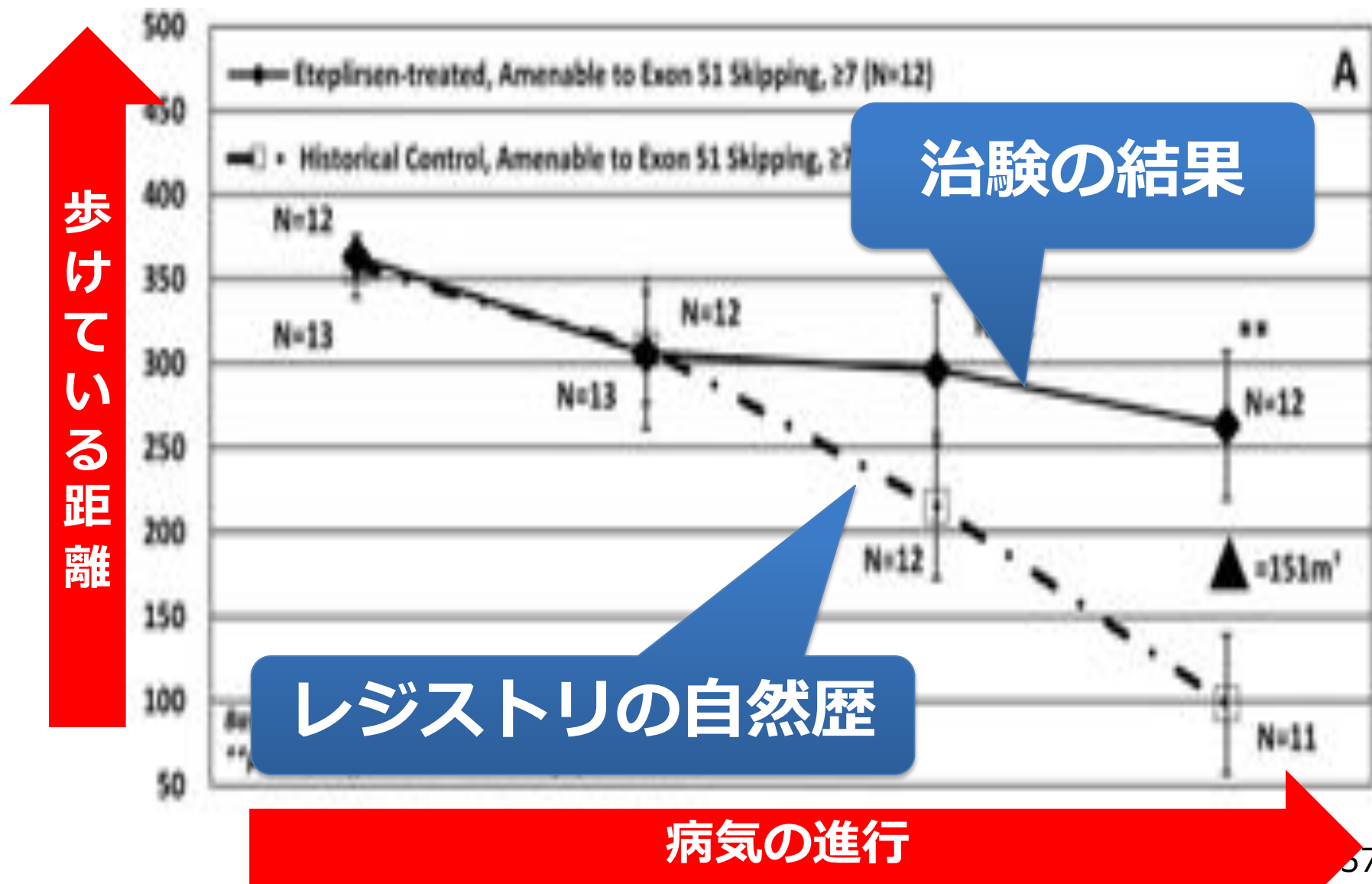
患者さんに、新しい治療の情報や、 最近のリハビリのことなど伝えたいんだけど

そうだ！
REMUDYにお願いしてみよう

最近、新しいガイドラインができた
こんなリハビリが必要だ
患者さんに知らせたい！



あるお薬での海外のお話



重篤で有効な治療方法が乏しい疾患の医薬品で、患者数が少ない等の理由で検証的臨床試験の実施が困難なものや、長期間を要するものについて、承認申請時に検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認した上で、製販後に有効性・安全性の再確認等のために必要な調査等を実施すること等を承認条件により付与する取扱いを整理・明確化し、重篤な疾患に対して医療上の有用性が高い医薬品を早期に実用化する。 **平成29年10月20日付け通知発出**

通常の承認審査



※1 少数の患者に医薬品を投与し、医薬品の有効性、安全性を検討し、用法・用量等を設定するための試験

※2 多数の患者に医薬品を投与し、設定した用法・用量等での医薬品の有効性・安全性を検証する試験

条件付き早期承認制度

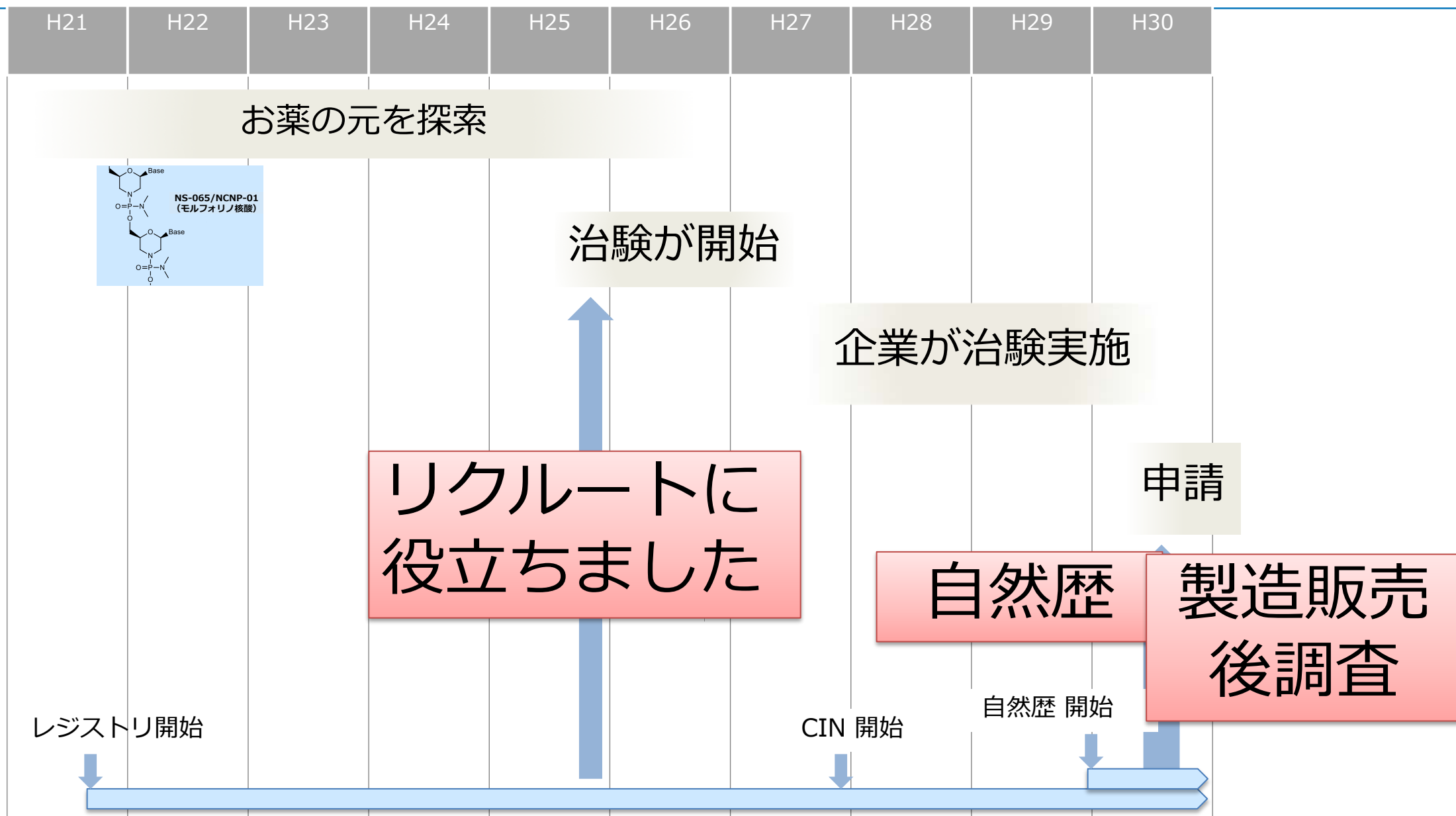


- ・ 検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性及び安全性を確認し、早期申請
- ・ 優先審査品目として総審査期間を短縮

承認条件を付与

- (例) ・ 製販後の有効性・安全性の再確認 (リアルワールドデータ活用を含む)
- ・ 適正使用に必要な場合は施設等要件の設定 等

ある病気でのレジストリ活用した臨床開発



- 研究が進みます
 - お薬の開発が進みやすくなります
 - 患者さんへの情報提供が可能になります
 - 患者さん、研究者、医療従事者、企業などの橋渡しができます
- など、いろいろ

経済好循環の実現に向けて ～「横串と団子」～

平成27年6月16日

自由民主党

「2020 ジャパンチャレンジ」プロジェクト“10”

番号	プロジェクト名	部会等名
1	G空間2.0 (多様な位置データを集約したG空間情報センターと高精度衛星測位等宇宙インフラを組み合わせ、防災・農業・交通等の多分野で新たな産業やサービスを実現)	内閣部会 総務部会 農林部会
2	マイナンバー利活用推進プロジェクト (マイナンバー制度の利活用範囲の拡大、制度基盤の徹底活用とセキュリティ人材の育成)	内閣部会 IT戦略特命委員会 文科部会
3	スマート・エネルギー・システムの構築	
	3-1 環境負荷の低い新たな地域エネルギーシステムの構築	経産部会 環境部会
	3-2 分散型エネルギーインフラプロジェクトによる広域的な地域経済循環の創造	総務部会 農林部会 環境部会
	3-3 低炭素・水素社会の構築等環境・エネルギー制約から脱却した社会の実現に向けた技術革新プロジェクト	内閣部会 科技イノベ調査会
4	スマートモビリティの実現 (自動走行制御や高度公共車両優先システムによる次世代交通システムの実現)	内閣部会 科技イノベ調査会
5	地域経済好循環推進プロジェクト (地域の自主性・個性を活かした、地域の資源・資金等の新たな結合 (地域経済イノベーションサイクル)による、所得・雇用の創出、地方からのGDPの押し上げ)	総務部会 農林部会 経産部会
6	クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築 (疾患登録情報を活用した臨床開発インフラの整備)	厚労部会 内閣部会
7	卸売市場の輸出拠点化プロジェクト (国際空港近辺の卸売市場の輸出拠点化を通じて日本の農林水産物の魅力を発信し、海外で日常的に日本の農林水産物が購入できる環境を実現)	農林部会 水産部会 総務部会
8	イノベーション・サイクル・システムの実現 (大学の研究力と産総研等の橋渡し機能との連携を活用した技術開発、事業化及び市場獲得の好循環)	経産部会 文科部会
9	ロボティクス・チャレンジ (世界最先端のロボット利活用社会の実現と国際標準の獲得に向けた取組)	経産部会 厚労部会 農林部会
10	世界を惹きつける観光立国推進プロジェクト (訪日外国人向けの交通利便性の磨き上げと広域観光周遊ルートの形成等による経済成長と地域活性化の実現)	国交部会 総務部会 文科部会 情報通信戦略調査会 整備新幹線等調査会

※上記の番号は、プロジェクトの優劣、順位を表したものではなく、ベースとなるプロジェクトを提案した部会・調査会の建制順により振った、便宜上のものである。

日本再興戦略改訂2015 抜粋

(3) 新たに講ずべき具体的な施策

⑧ **クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築（疾患登録情報を活用した臨床開発インフラの整備）**

国立高度専門医療研究センター（NC）が構築する疾患登録システムなど各種疾患登録情報を活用して、NC、臨床研究中核病院、独立行政法人医薬品医療機器総合機(PMDA)、国立研究開発法人日本医療研究開発機構などを中核とするネットワークを構築し、産学連携による治験コンソーシアムを形成

日本再興戦略2016 抜粋

第2 具体的施策

2.世界最先端の健康立国へ

IV) 日本発の優れた医薬品・医療機器等の開発・事業化、グローバル市場獲得・国際貢献

② **クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築等によるイノベーション推進**

未来投資戦略 2017 抜粋

1 .健康・医療・介護

(2)新たに講ずべき具体的な施策

iii)日本発の優れた医薬品・医療機器等の開発・事業化

・ 国立高度専門医療研究センター(NC)や学会等が構築する疾患登録システム等のネットワーク化を行う

「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」の構築による効率的な臨床開発のための環境整備や、PMDA の医療情報データベースシステム(MID-NET)の構築による医薬品等の評価と安全対策を高度化するための環境整備を進める。

経済財政運営と改革の基本方針2018（平成30年6月閣議決定） 抜粋

第3章 4.主要分野ごとの計画の基本方針と重要課題

（1）社会保障

○医療・介護サービスの生産性向上

クリニカル・イノベーション・ネットワークとPMDAの医療情報データベース（MID-NET）を連携させ、治験・臨床研究や医薬品の開発、安全対策等に活用する。

未来投資戦略2018（平成30年6月閣議決定） 抜粋

2. 次世代ヘルスケア・システム（健康・医療・介護）

（3）新たに講ずべき具体的な施策

iv) 先進的医薬品・医療機器等の創出、ヘルスケア産業の構造転換

疾患登録システム等のネットワーク化による効率的な臨床開発のための環境整備を進める「クリニカル・イノベーション・ネットワーク」と医薬品等の評価と安全対策を高度化するための医療情報データベース（MID-NET）を連携させ、開発から安全対策までの一連の過程で、より大規模なリアルワールドデータの活用を推進する。

筋ジストロフィー協会、神経センター、
筋ジス研究班のこれまでのとりくみが、
クリニカルイノベーションのさきがけ

- 患者さんのリアルワールドの情報を集めましょう
- 集めた情報を、産・官・学・患（者）の皆で協力して、新しい治療法の開発に役立てましょう
- そのための仕組みやルールづくりを進めましょう

FRAMEWORK FOR FDA'S REAL-WORLD EVIDENCE PROGRAM

Table of Contents

Introduction	3
Definitions of Real-World Data and Real-World Evidence	4
Scope of RWE Program Under 21st Century Cures Act	7
Current Use of RWD for Evidence Generation	8
Generating Evidence Regarding Safety and Effectiveness	8
Supporting FDA's Regulatory Decisions of Effectiveness	9
Trial Designs Using RWD to Generate Evidence	11
Framework for Evaluating RWD/RWE for Use in Regulatory Decisions	13
Using Trials or Studies with RWD/RWE for Effectiveness Decisions	13
Assessing Fitness of RWD for Use in Regulatory Decisions	14
Potential for Study Designs Using RWD to Support Effectiveness	19
Regulatory Considerations for Study Designs Using RWD	22
Data Standards — Appropriate Data Standards for Integration and Submission to FDA	24
Stakeholder Engagement	26
Conclusion	27
Glossary	28
References	30
Appendix	34





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臨床・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）

臨床・イノベーション・ネットワークと患者レジストリの将来について考える会 ～患者の関わりについて考える～

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 の皆様にご協力を賜りまして、240 件を超える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だきます。

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います。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 3-1 1 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）

臨床・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）





- **日本筋ジストロフィー協会はAMED中村班の分担 研究担当**
- 患者情報の利用をめぐる希少疾患の患者家族の意識を調査した報告は少ない。
- **福山型**は希少疾患であることに加えて、現在、将来的な治験実施に向けた**患者レジストリ**が構築されていること、さらに登録患者家族は患者レジストリの枠組みにおいて患者情報の研究利用に同意していることから、患者情報の利用に関する意識は一般人集団とは異なる可能性がある。
- そこで、患者レジストリに登録している福山型の患者家族を対象に、**患者情報の利用に関わる意識を把握**することを目的として、アンケート調査を実施した。

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臨床・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)

日本筋ジストロフィー協会 井原様よりご提供

治療開発について

患者レジストリとは？

患者レジストリはどう役立つの？

みんなで“レジストリを作る” “レジストリ”は大切な財産

