

# 第27回 抗悪性腫瘍薬開発フォーラム

## 抗がん剤開発における リアルワールドデータ(RWD)の活用

公立大学法人 横浜市立大学  
学長補佐・医学部主任教授

山中 竹春

## RWD を用いる背景（世界全般の事情）

- **1940年代に医薬品研究にRCTが使用されて以降、ランダム化と盲検化が、治験の業界標準**
  - 群間比較可能性を担保されるので因果関係を結論しやすい。規制判断の根拠にしやすい。
  - 科学的厳密性、厳しい症例選択基準と施設選択基準から、費用増と時間増
  - 希少フラクション等では RCT の実施は不可能
- **近年は医療分野の ICT 技術が進展**
  - RCTが難しい領域におけるRWDの薬事承認への活用、ならびに薬事承認後の評価への活用が真剣に議論されるようになっている



## Real World Data & Real World Evidence (defined by FDA)

- **RWD:** 多様なソースから恒常的に収集される, 個々の患者に関する健康状態や医療行為のデータ
  - Electric Health Record
  - 請求／支払データ
  - 製品や疾患のレジストリデータ
  - eモバイルデータ
- **RWE:** RWDの分析から導かれた医療製品のベネフィット／リスクに関連する臨床的エビデンス

# わが国の代表的な RWD

## 病院情報システムデータ

電子カルテ  
データ

DPC  
データ

•MID-NET

•RWD社  
•CCT社

•MDV社

## 診療報酬明細書

レセプト  
データ

•NDB

•JDMC社  
•IQVIA社(調剤)

## 疾患登録データ

レジストリ  
データ

•SCRUM-JAPAN  
•MASTER KEY  
•NCD

# わが国の代表的な RWD

## 病院情報システムデータ

電子カルテ  
データ

DPC  
データ

•MID-NET

•RWD社  
•CCT社

•MDV社

## 診療報酬明細書

レセプト  
データ

•NDB

•JDMC社  
•IQVIA社(調剤)

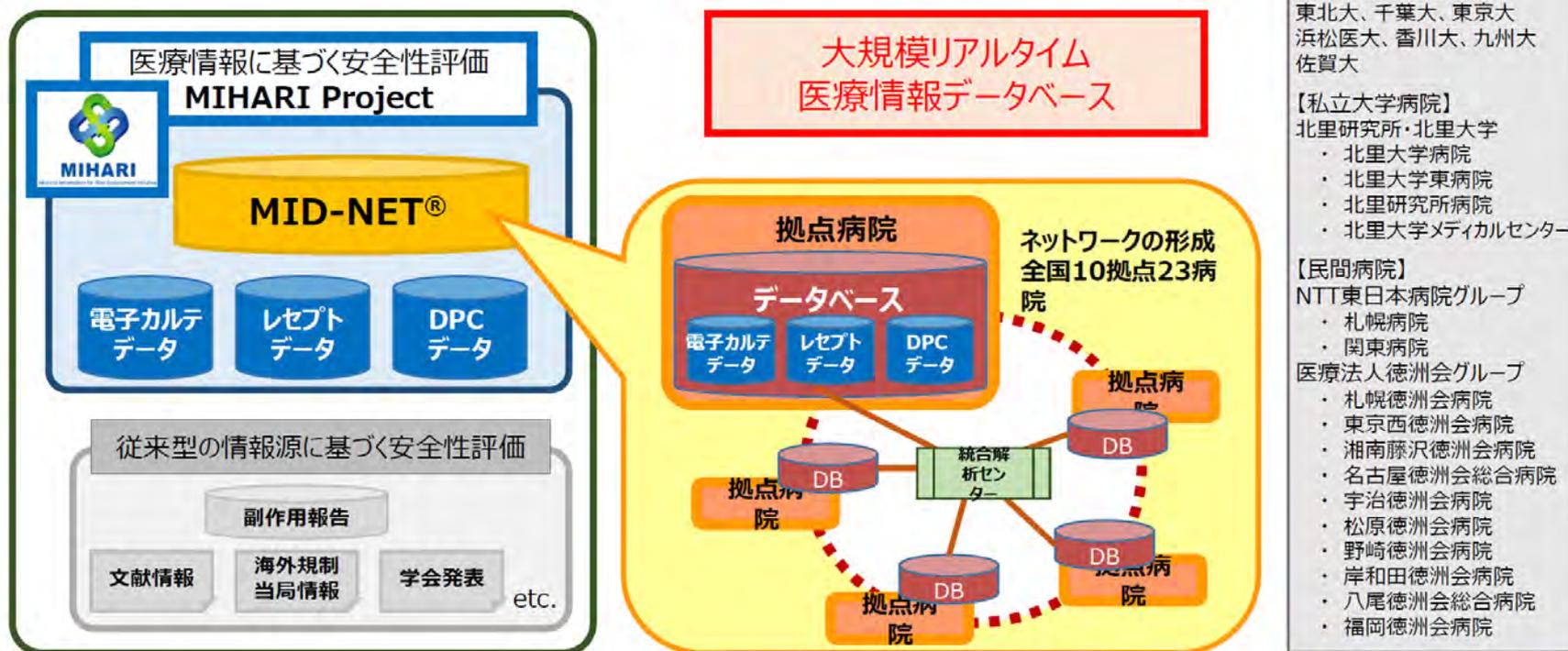
## 疾患登録データ

レジストリ  
データ

•SCRUM-JAPAN  
•MASTER KEY  
•NCD

# わが国の代表的な電子カルテ由来のデータベース（MID-NET）

- 大量の医療情報を活用した薬剤疫学的手法による医薬品等の安全対策を推進するため、平成23年度より医療情報データベース基盤整備事業（MID-NETプロジェクト）を開始。
- 現状400万人規模のデータベースで、レセプト及びDPCのデータに加え、検査結果等も利用可能。
- 平成30年度から行政に加えて、製薬企業が実施する製造販売後調査等の利用を予定。



# わが国の代表的な電子カルテ由来のデータベース (MID-NET)

- 大量の医療情報を活用した薬剤疫学的手法による医薬品等の安全対策を推進するため、平成23年度より医療情報データベース基盤整備事業 (MID-NETプロジェクト) を開始。
- 現状400万人規模のデータベースで、レセプト及びDPCのデータに加え、検査結果等も利用可能。
- 平成30年度から行政に加えて、製薬企業が実施する製造販売後調査等の利用を予定。

The diagram illustrates the MID-NET project components and the organizations that have been approved to participate. On the left, a box labeled '医療情報に基づく安全性評価' (Safety evaluation based on medical information) contains the MIHARI logo and a database icon labeled '電子カルテデータ' (Electronic medical record data). Below this, a '従来型' (Traditional) section lists '文献情報' (Literature information), '海外規制当局情報' (Information from foreign regulatory agencies), '学会発表' (Academic presentations), and 'etc.'. On the right, a box labeled '大規模リアルタイム' (Large-scale real-time) lists participating institutions: '【国立大学病院】 東北大、千葉大、東京大、浜松医大、香川大、九州大' and '【徳洲会グループ】 徳洲会グループ、徳洲会病院、徳洲会総合病院、徳洲会病院、徳洲会病院、徳洲会病院'. At the bottom, a flow diagram shows '拠点病院' (Hub hospital) connected to a 'DB' (Database) and then to '拠点病院' (Hub hospital).

	承認年月	申請機関
1	2018年09月	ファイザー (株)
2	2018年10月	第一三共 (株)
3	2019年01月	横浜市立大学
4	2019年01月	MSD (株)

# わが国の代表的な RWD

## 病院情報システムデータ

電子カルテ  
データ

DPC  
データ

•MID-NET

•RWD社  
•CCT社

•MDV社

## 診療報酬明細書

レセプト  
データ

•NDB

•JDMC社  
•IQVIA社(調剤)

## 疾患登録データ

レジストリ  
データ

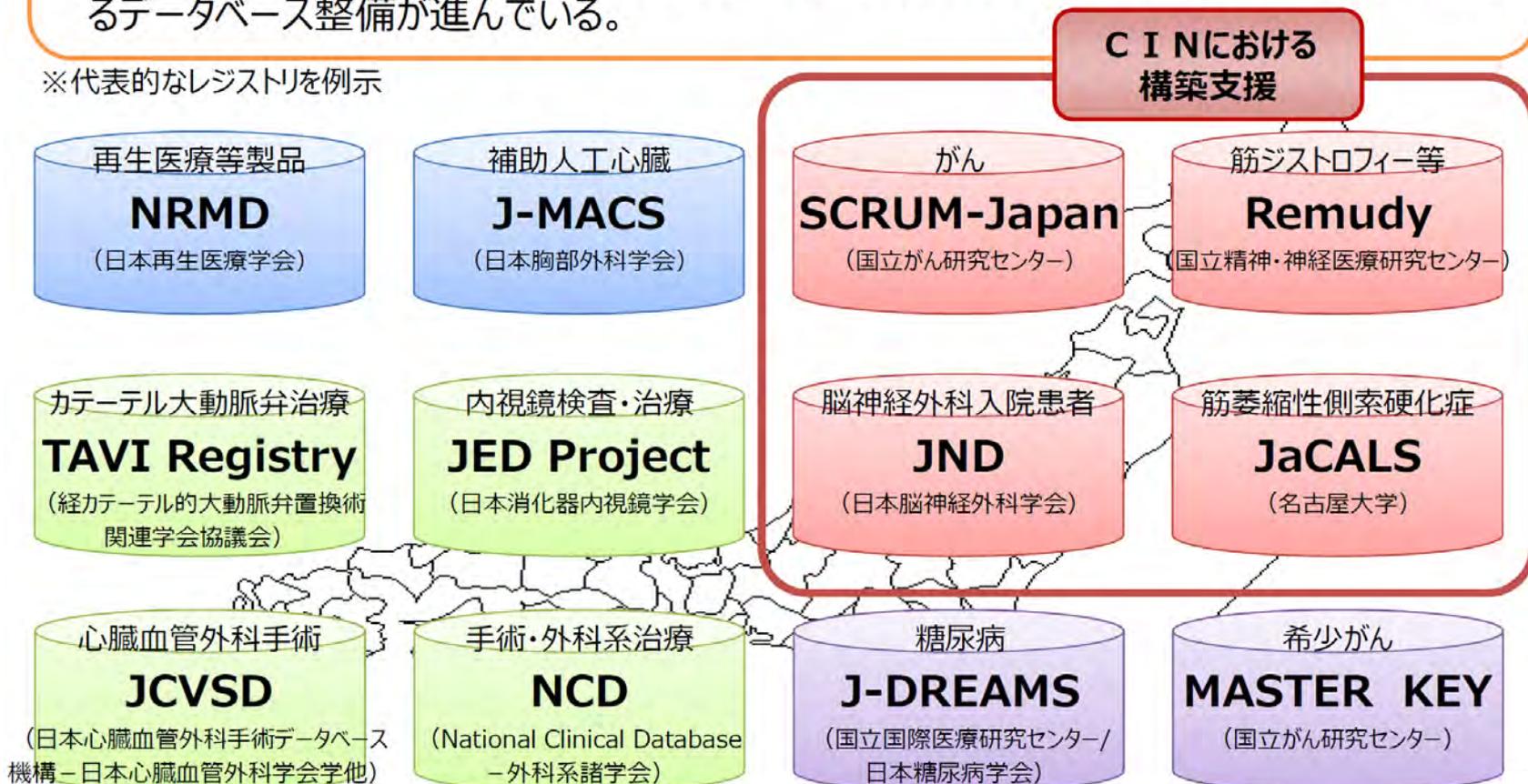
•SCRUM-JAPAN  
•MASTER KEY  
•NCD

# わが国の代表的な患者レジストリデータ

## 現状

- 我が国において、疾患情報や患者情報等の収集を目的として、数多くの疾患登録レジストリが構築されてきているほか、それらのネットワーク（CIN）の整備も進んでいる。
- また諸外国においても疾患情報レジストリを含むリアルワールドデータ（RWD）に関するデータベース整備が進んでいる。

※代表的なレジストリを例示



# 医薬品・機器開発におけるRWD活用の可能性

1

治験デザインへの活用

2

治験へのリクルート

3

ヒストリカル対照データ

4

Conditional Approval から  
Full Approval への根拠資料

5

Off Label Use例データに基づく  
適応拡大

6

HTA(費用対効果評価)

7

製販後の医薬品安全性監視

8

再審査申請の資料

# 今日おもに議論するところ

1

治験デザインへの活用

2

治験へのリクルート

3

ヒストリカル対照データ

4

Conditional Approval から  
Full Approval への根拠資料

5

Off Label Use例データに基づく  
適応拡大

6

HTA(費用対効果評価)

7

製販後の医薬品安全性監視

8

再審査申請の資料

# 本日のアジェンダ

## プログラム

1. 開会 (挨拶)	5
13:00-13:05 門田 守人 (がん研究会)	
2. イントロダクション	5
13:05-13:10 イントロダクション	5
山中 竹春 (横浜市立大学)	
3. 第一部 薬事承認におけるリアルワールドデータの活用	125
13:10-13:30 FDAガイダンスに見るリアルワールドデータ	
山中 竹春 (横浜市立大学)	
13:30-13:50 リアルワールドデータは「synthetic control」として活用できるのか	
野村 尚吾 (国立がん研究支援センター)	
13:50-14:10 SCRUM-Japanを活用したがん新薬開発に資するレジストリの構築	
大津 敦 (国立がんセンター東病院)	
14:10-14:50 Flatiron EHR-enabled Evidence Generation; A new evidence generation paradigm in oncology	
Ken Carson (Flatiron Health)	
4. 第二部 安全管理・調査におけるリアルワールドデータの活用	
15:15-15:35 MID-NETにおけるデータ品質管理	
中島 直樹 (九州大学)	
15:35-15:55 製薬企業における抗がん剤領域のMID-NET活用事例	
藤井 陽介 (ファイザーR&D)	
15:55-16:15 医薬品レジストリ相談の新設における背景と今後の展望	
大澤 智子 (PMDA)	
16:15-16:25 休憩	
5. 総合討論	
16:25-17:25	

## 本フォーラムの登録内訳

産：176名

官：13名

学：26名

## 第27回フォーラム実行委員会

委員長	山中 竹春 (横浜市立大学)
副委員長	北川 洋 (EFPIA-J/ノバルティスファーマ株式会社) 日野 敬晴 (EFPIA-J/アストラゼネカ株式会社)
委員	稲垣 治 (製薬協/アステラス製薬株式会社) 岩田 広治 (愛知県がんセンター中央病院) 江夏 総太郎 (PhRMA/日本イーライリリー株式会社) 大窪 明代 (EFPIA-J/中外製薬株式会社) 大津 敦 (国立がん研究センター) 河野 典厚 (日本医療研究開発機構) 齋藤 宏暢 (製薬協/第一三共株式会社) 柴田 大朗 (国立がん研究センター) 嶋本 隆司 (PhRMA/MSD株式会社) 土井 俊彦 (国立がん研究センター) 橋本 順一 (製薬協/大塚製薬株式会社) 山口 智宏 (PhRMA/MSD株式会社) 山田 雅信 (筑波大学) 吉野 孝之 (国立がん研究センター東病院) 清宮 啓之 ( (公財) がん研究会) 富田 章弘 ( (公財) がん研究会) 藤田 直也 ( (公財) がん研究会)



## Flatiron Health Inc. (本社ニューヨーク) の概要

- **がん診療向けの電子カルテを全米の医療機関に提供するサービスを展開**
- **電子カルテで得た臨床情報を構造化して、研究開発向けに提供するサービスを展開**
- **現在, 220万人のがん患者データを保持**
  - 地域のがん治療専門病院280ヶ所, 数ヶ所の大規模がんセンター
- **FDA と同社は, 2016年より RWE の利活用に向けた, 多角的な共同研究を実施中**
- **Regulatory Authority や HTA Authority が申請データの一部又は参考データとして活用を開始。現在, FDAへの複数の承認申請において関与**
- **今年の ASCO2019 では 16個の研究発表**