

AMEDクリニカル・イノベーション・ネットワーク (CIN) 推進支援事業公開シンポジウム

1-4 「医薬品産業界の立場よりCINに期待する事」

－ 疾患・患者レジストリーの利活用を中心に －

日本製薬工業協会
(第一三共株式会社 開発薬事部)
宮本 恵司

はじめに

【産業界の環境】

産業界は新しい医薬品等の創出により医療への貢献の一助となるべく、研究開発活動に勤しんでおります。一方で、特に先駆的・革新的な技術を利用した新薬等創出は、Unmet-Needsの強い希少疾病・難治性疾患や小児疾病に対する画期的な治療となる可能性を保つものの、将来の事業性への不透明感や、承認審査に供する臨床試験（治験）実施に関し、そのFeasibilityですら評価困難なケースが多く投資判断を困難にさせています。

希少疾病、難治性疾患や小児疾病に対する先駆的・革新的な技術を利用した新薬等の治験では、対照群（未治療群）を対照に試験を行う事が、科学面（Ex.外科的手法を伴う医療）や倫理面（小児疾患）からその実施の困難も想定されます。

はじめに

【産業界の認識】

疾患登録情報（レジストリ）の確立は、「専門学会」による確立の他、これまでも、難治性疾病を中心に、いわゆる「患者の会・団体」「有志の専門医・施設」による疾患登録情報が確立されて来ましたが、前者では専門家の関与の深度の問題、後者では継続性の問題もあり、継続的な調査を成功させている疾患登録情報は多くはないと認識しています。

【クリニカル・イノベーション・ネットワーク事業への期待】

疾患レジストリ構築は、学術研究、医学研究の為に行われるものですが、産業界の抱えるジレンマ・環境の打破にも繋がり、クリニカル・イノベーション・ネットワーク事業におかれ、今回検討されている国立高度専門医療研究センター（NC）、臨床中核病院を中心とした本邦の疾患登録情報の確立は、そのデータベースの管理「主体」が明確化され、特に必要な人的リソースの継続性が担保されれば、大きな前進を遂げる事になると大きな期待をしています。



この機会を捉え、日本製薬工業協会（製薬協）にて、疾患レジストリに対する産業界の期待、課題認識について、アンケート調査を行いましたので、これをご紹介します、今後の本事業の一助になれば幸いです。

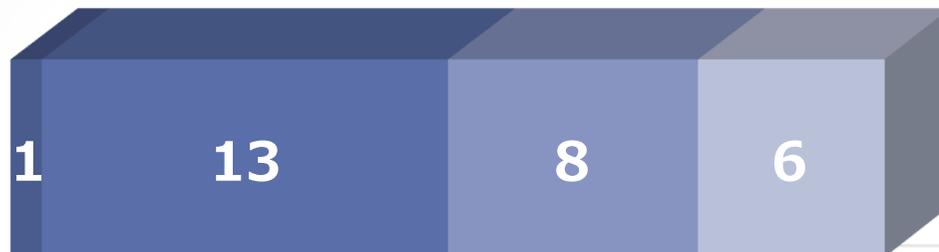
クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）関連 疾患レジストリの利活用に関するアンケート調査 【アンケート概要】

- アンケート対象：医薬品評価委員会登録企業
計76社中 有効回答数 51社（85件）
（研究・開発部門が57件、市販後・MA部門が28件）
- アンケート内容：
疾患レジストリの企業利用に関する現状認識と期待（利用目的、
対象疾患・領域）並びに利用に向けた課題等について聴取

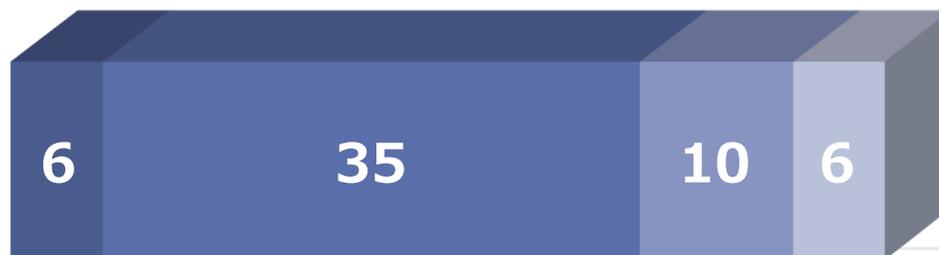
アンケート結果 — 疾患レジストリの利用について —



市販後系
(N=28)



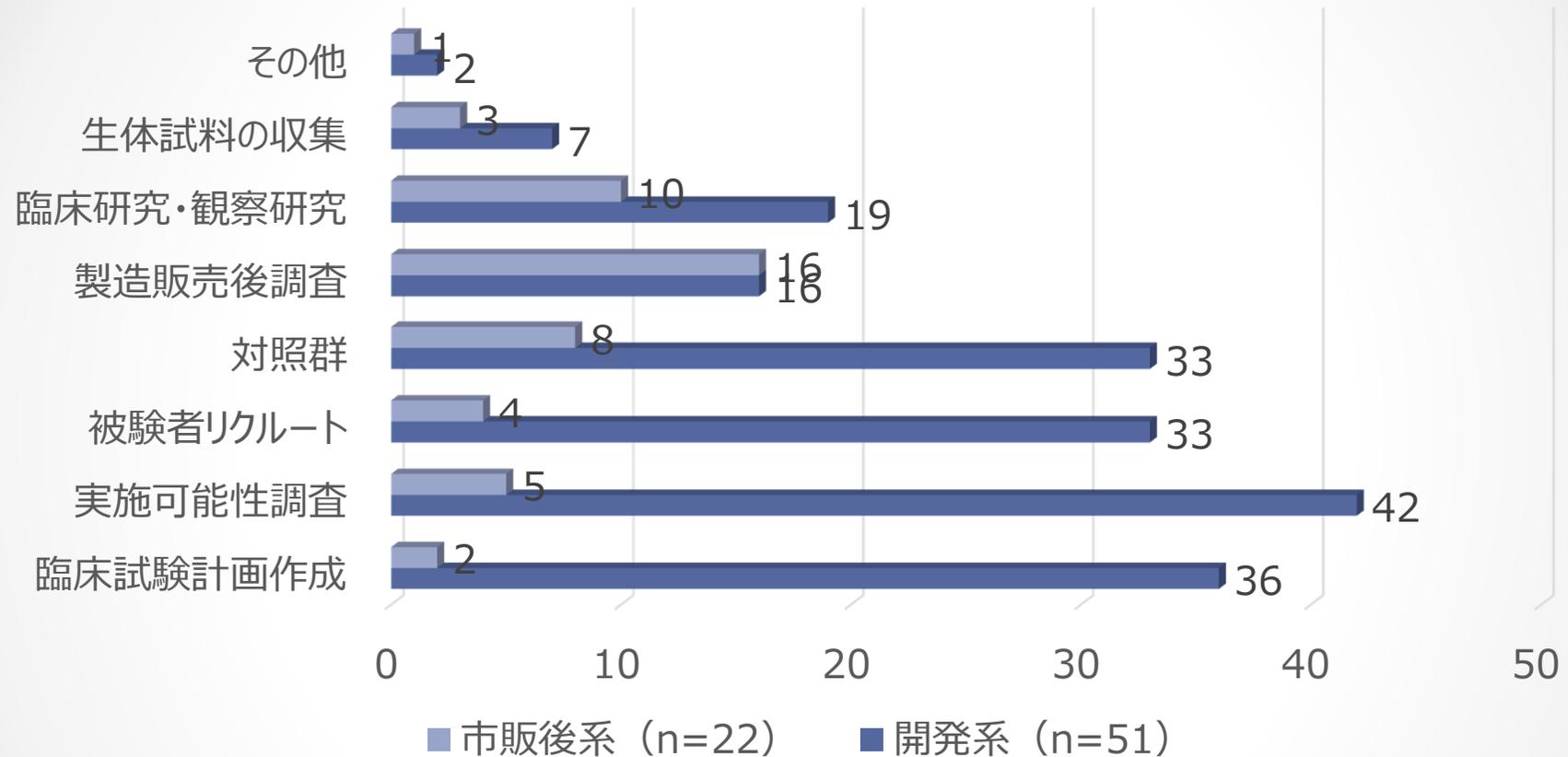
開発系
(N=57)



■ 積極的に利用したい/既に利用している ■ 利用可能なものが存在すれば利用したい ■ 利用の可否について検討中である ■ 利用予定はない

- 開発系、市販後系のいずれもレジストリの利用について前向きであった（検討中を含めると80~90%）

アンケート結果 －疾患レジストリの利用範囲－



- 開発系では、プロトコル作成、フィージビリティ調査、被験者リクルートへの利用に加え、対照群データとしての利用を考えている比率が高かった
- 市販後系では、製販後調査や臨床研究への利用を考えている比率が高かった

アンケート結果

－疾患レジストリを利用したい疾患・疾患群－



◆ 開発系

悪性腫瘍（固形/血液がん、希少がん等）、希少疾患・難病（デュシェンヌ型筋ジストロフィー、SMA：脊髄性筋萎縮症、先天性心疾患など）、自己免疫疾患、皮膚疾患、消化器系疾患（炎症性腸症候群等を含む）、中枢神経系疾患、心・循環器系疾患、糖尿病、泌尿器系疾患、認知症、感染症、婦人科疾患等

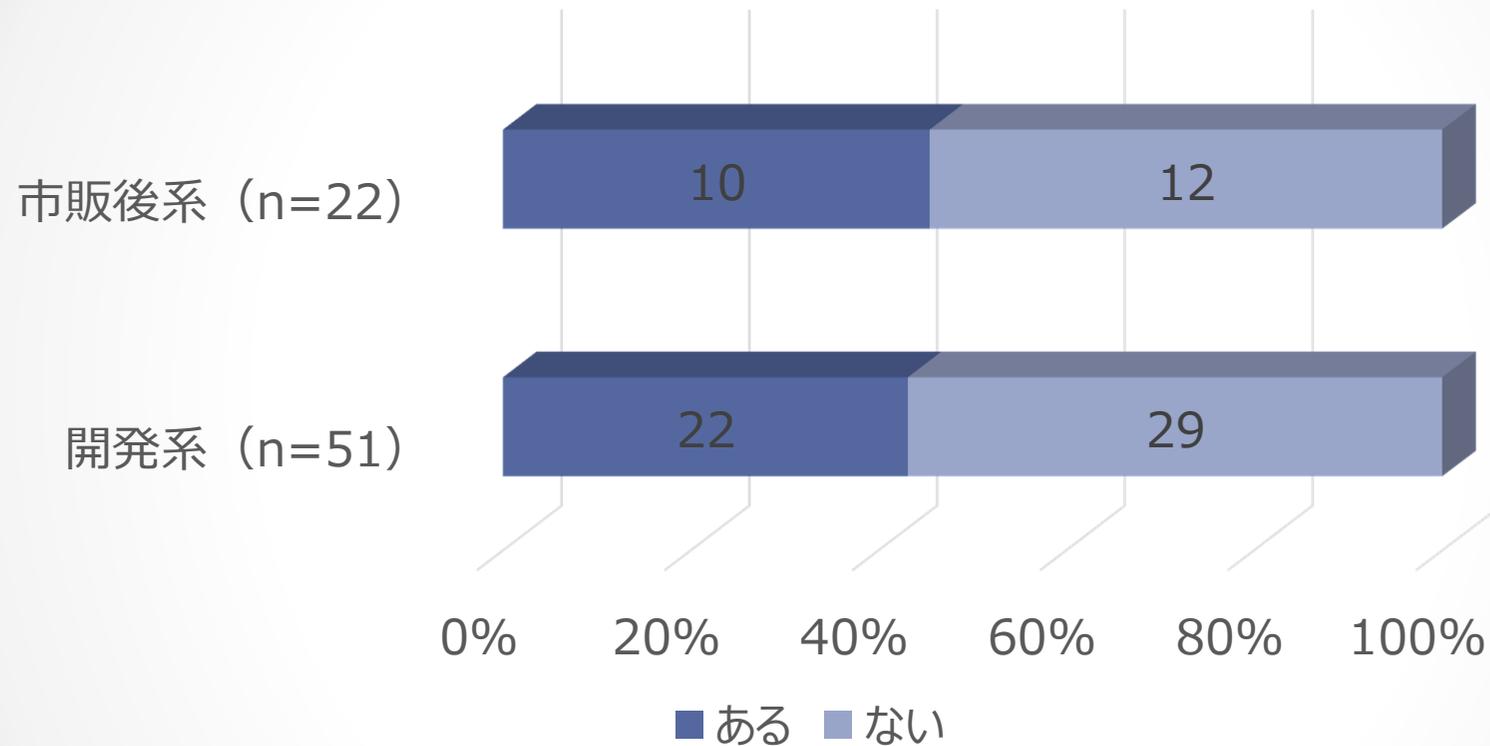
◆ 市販後系

悪性腫瘍、希少疾患・難病、自己免疫疾患、中枢神経系疾患、消化器系疾患、眼科領域疾患、小児、妊婦等

- 開発系、市販後系のいずれも悪性腫瘍、希少疾患・難病についてレジストリ利用を望む意見が多かった
- 開発系では、自社パイプラインに対応して幅広い疾患領域でのレジストリ利用の希望があり、市販後系では製品ラインナップに加え、小児、妊婦といった特殊背景患者でのレジストリ利用の希望があった

アンケート結果

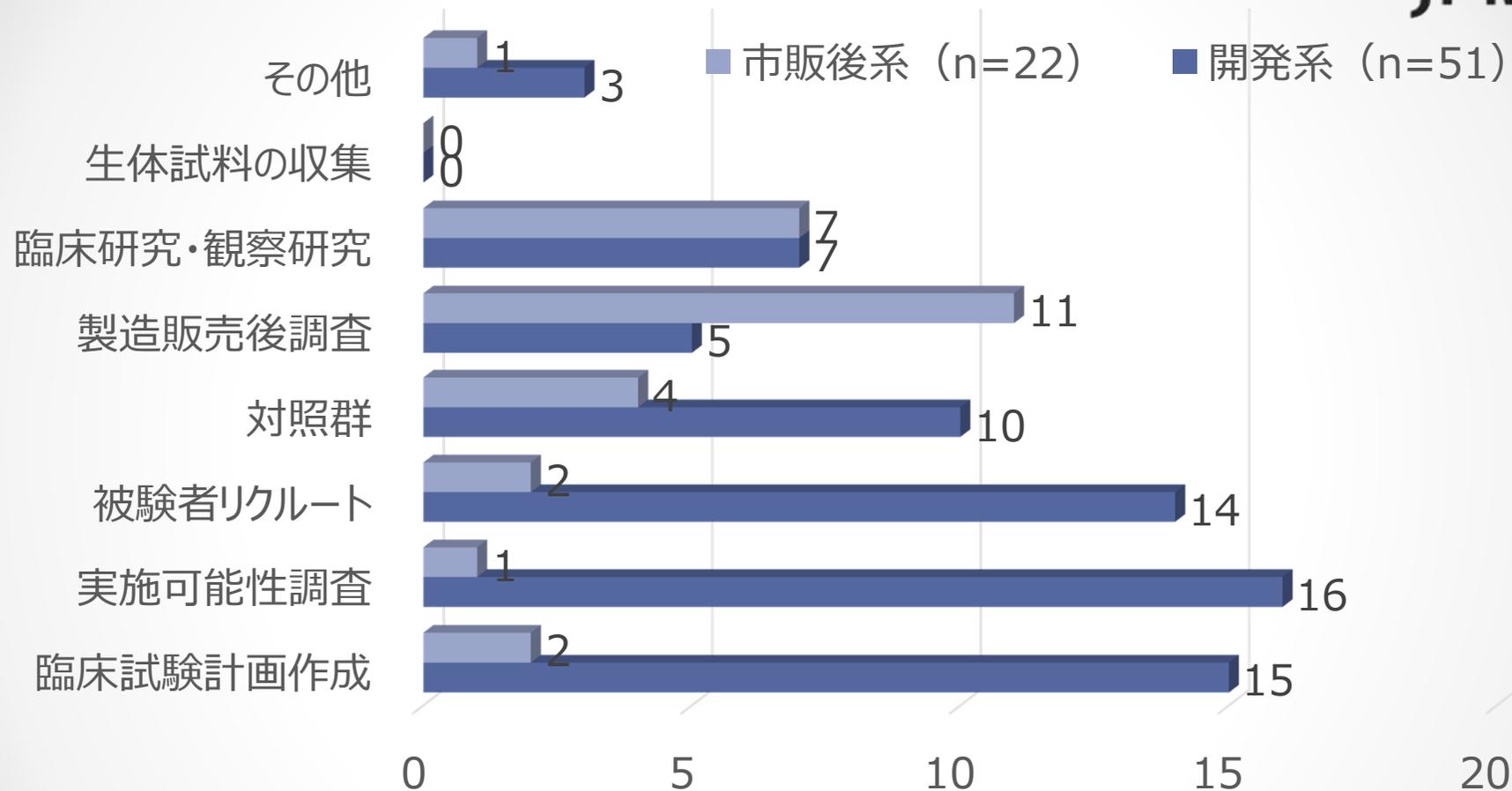
－現在利用可能な疾患レジストリの有無－



- 開発系、市販後系のいずれも45%程度が現時点でも利用可能な疾患レジストリが存在すると考えていた

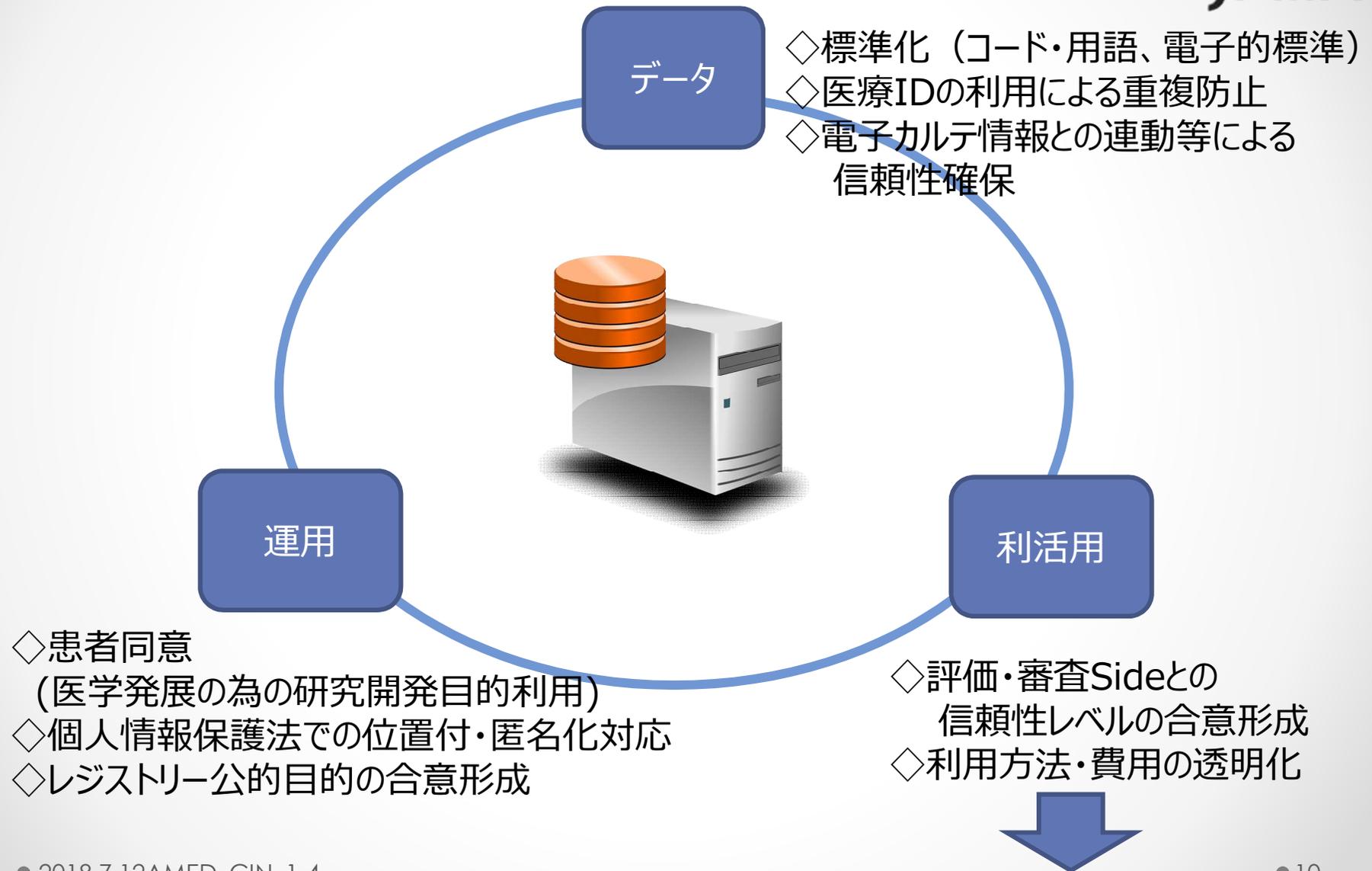
アンケート結果

－現在利用可能な疾患レジストリの利用範囲－



- 利用範囲について、今後利用したいと考えている利用範囲と同じ傾向であった。
- 対照群として利用されているレジストリがあるとされた回答が意外と多かった

レジストリの課題、要望事項、提言等



レジストリデータの信頼性

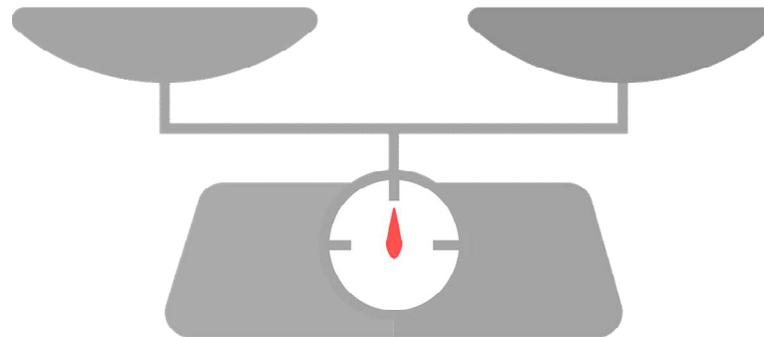
レジストリーデータ

≠

治験・PMSデータ
(GXP準拠)

- ◇情報の網羅性
- ◇UMNsへの挑戦への可能性

- ◇信頼性担保の限界
- ◇データ更新の限界
(コスト、リソースの負担の限界)



レジストリーデータの「有用性」を鑑み、産官学で合意が必要。
特に利活用場で、評価（審査）にあたる「官」において
受け入れ可能な「Minimum Requirement」の合意形成が必要。

ガイドライン化 (J-GRP)

産業目線からの補足

患者登録情報（Registry）に、自然歴情報（History）まで含むのか？
各疾患毎、登録情報の歴史・深度が異なる。自然歴情報（History）まで網羅するDBの構築には、困難も多い、段階的手法も検討。

患者登録情報

- ◇患者、何処の施設に何例いらっしゃるのか？
- ◇定点調査→継続調査
- ◇レジストリー管理主体の特定と継続（←CIN）

治験実施のFeasibilityが検討可能
重要な情報となる。

自然歴情報

- ◇承認審査に供する事が可能なEnd-Pointの自然歴(経過)情報の蓄積
- ◇End-Pointの自然歴調査に必要な評価者訓練
- ◇審査Body(PMDA)とAcademiaの人材交流、RS研究、臨床評価GL策定による蓄積情報の摺り合わせが必要

前向き自然歴調査データと比較した
治験実施の検討（産官学）

疾患レジストリーを利用した臨床開発

国内開発の活性化、国内開発の呼び込み、臨床開発の加速、本邦データの国際展開

まとめに代えて

◇疾患レジストリは、学術研究・医学研究目的で構築されるものではあるもの、産業界での利活用の価値は高く、そのNeedsは強い。

◇利活用可能なレジストリを利活用について、具体的なNeedsも明確

➤ 新たな研究開発への取り組み加速

- ・臨床試験等の実施のFeasibility判断（市場性調査評価を含む）
- ・患者リクルート（効率的組入れによる、開発加速）
- ・治験対照群としての利活用（従来治験実施困難な領域への挑戦）

➤ 適正使用情報の創出・緻密化

- ・製造販売後調査、臨床研究、観察研究への利活用

◇利活用を可能とする、下記の諸課題の解決には、産官学の協業が必要。

特に産業利用の観点では、評価（審査）サイド「官」の合意形成が重要。

データの信頼性確保のMinimum Requirementの合意形成

レジストリデータの公共性（個人情報保護法対応、患者同意）

レジストリデータの標準化 etc

→何れも、CINの各研究班で、ご検討を頂いており、大きな期待を持っている。