



クリニカルイノベーションネットワーク 推進支援事業公開シンポジウム  
平成30年7月12日  
星陵会館ホール

# 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

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 臨床研究支援部 臨床研究支援室  
(併任) 病院 臨床研究推進部 臨床研究・治験推進室  
中村 治雅





# デュシェンヌ型筋ジストロフィーの新薬開発

Compound	Pharmaceutical company	2007	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
<b>exon 51</b>																
Drisapersen(GSK2402968)	GlaxoSmithKline			P1												
	GlaxoSmithKline			P2												
	GlaxoSmithKline			P3												
	GlaxoSmithKline				P2											
	GlaxoSmithKline				P3											
	BioMarin Pharmaceutical		P2													
	BioMarin Pharmaceutical							P3								
	GlaxoSmithKline							P3								
	BioMarin Pharmaceutical								P3							
Eteplirsen(AVI-4658) Exondys51®	Imperial College London	P1/2														
	Sarepta Therapeutics British Medical Research Council		P1/2													
	Sarepta Therapeutics			P2												
	Sarepta Therapeutics				P2											
	Sarepta Therapeutics					P2										
	Sarepta Therapeutics					P3										
	Sarepta Therapeutics						P2									
	Sarepta Therapeutics						P3									
	Sarepta Therapeutics							P2								

この数年間で、  
こんなに試験が！

BMN045 (PRO045)	BioMarin															
DS-5141b																
SRP-4045	Sarepta															

BMN053	BioMarin Pharmaceutical															
SRP-4053	Sarepta Therapeutics et al.															
NS-065/NCNP-01									P1							
	NCNP/NS Pharma									P2						
										P2						

BMN044 (PRO044)			P1/2													
	BioMarin Pharmaceutical								P2							
										P2						
											P2					

Ataluren Translarna®	PTC Therapeutics Genzyme, a Sanofi Company	P2														
	PTC Therapeutics Genzyme, a Sanofi Company		P2/3													
	PTC Therapeutics Genzyme, a Sanofi Company		P2													
	PTC Therapeutics			P3												
	PTC Therapeutics				P3											
	PTC Therapeutics					P3										
	PTC Therapeutics						P3									
	PTC Therapeutics							P3								
	PTC Therapeutics								P2							
	PTC Therapeutics									P2						
	PTC Therapeutics										P3					

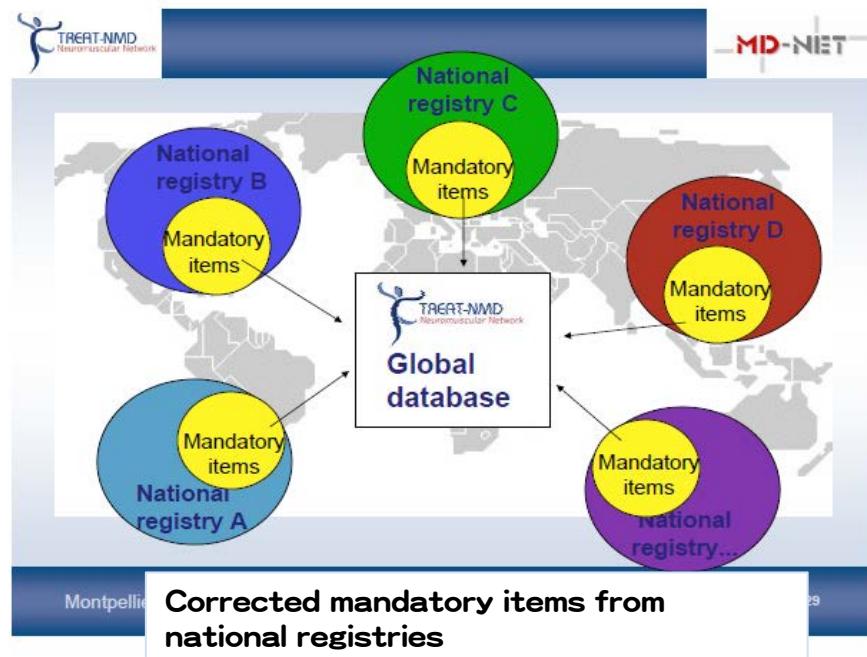
# TREAT-NMD global registry



## What is a patient registry?



A patient registry collects information about patients who are affected by a particular condition.



## Patient registries as a tool for research

- Trial readiness (feasibility and recruitment)
- Standards of care
- Biomarker discovery and validation
- Burden of illness (health economics)
- Natural history

Remudy

患者登録サイト

お知らせ・医療情報

製薬関連企業・研究者の  
皆さま

医療従事者の皆さま

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。



**Remudy**  
WEB 患者情報登録システム

トピック  
Remudyのウェブシステムが  
いよいよ開始します

[ウェブ登録システム](#) □

## お知らせ・最新医療情報

このたび熊本地震で被災された皆さんに、心よりお見舞い申し上げます。

登録に関する最新情報、筋ジストロフィーに関係した治験などの最新医療情報や、Remudyに関する市民公開講座・ワークショップなどのご案内をお届けします。

### お知らせ

### 医療情報

### 医療従事者・研究者

### ご案内

- 2016年05月17日 [【ご案内】 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@宮崎\(6/11\)](#)
- 2016年05月16日 [【ご案内】 青森県筋ジストロフィー市民公開講座in弘前市\(6/11\)](#)
- 2016年05月12日 [【お知らせ】 現在の登録状況を更新しました \(2016年4月末\)](#)
- 2016年04月28日 [【ご案内】 第13回筋ジストロフィー市民公開講座@東京 \(7/2\)](#)
- 2016年04月28日 [【ご案内】 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@大阪 Part2\(5/22\)](#)



神経・筋疾患患者登録

# Remudy

2009.7月～

## 円滑な治験・臨床試験の実施のため

### 1. 効果的な治験の計画を作成

### 2. 短期間で患者組み入れ

ができるように、  
信頼できる臨床情報と遺伝情報を登録する

#### ✓ 患者自身による登録

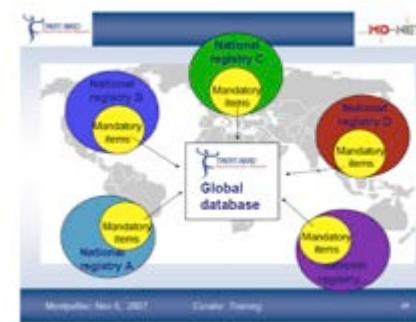
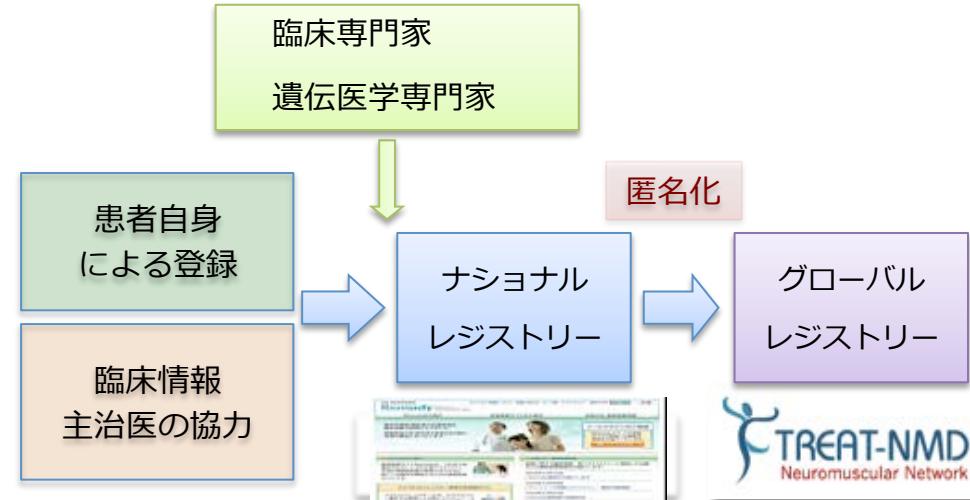
#### ✓ 主治医の協力により情報が保証される

#### ✓ 情報の正確性を臨床・遺伝医学専門家 (キュレーター) が担保する

#### ✓ 国際的レジストリとの協調

#### ✓ 登録情報は毎年更新される

### 登録情報の保証



各国のレジストリーから、  
必須項目が集約

アカデミア/開発企業に情報開示される



RESEARCH

Open Access

## Characteristics of Japanese Duchenne and Becker muscular dystrophy patients in a novel Japanese national registry of muscular dystrophy (Remudy)

Harumasa Nakamura<sup>1,3</sup>, En Kimura<sup>2\*</sup>, Madoka Mori-Yoshimura<sup>3</sup>, Hirofumi Komaki<sup>4</sup>, Yu Matsuda<sup>5</sup>, Kanako Goto<sup>5</sup>,  
Kazushi Maruo<sup>6</sup>, Naohiro Yonemoto<sup>7</sup>, Yukiko K Hayashi<sup>8,9</sup>, Naohiro Yonemoto<sup>9</sup>, Harumasa Nakamura<sup>4</sup>, Miho Murata<sup>1</sup>,  
Shin'ichi Takeda<sup>4,5</sup>, Ichizo Nishino<sup>3,4</sup> and En Kimura<sup>4</sup>

Mori-Yoshimura et al. Orphanet Journal of Rare Diseases 2014, 9:150  
http://www.ojrd.com/content/9/1/150

Open Access

RESEARCH

## Nationwide patient registry for GNE myopathy in Japan

Madoka Mori-Yoshimura<sup>1\*</sup>, Yukiko K Hayashi<sup>2,3</sup>, Naohiro Yonemoto<sup>4</sup>, Harumasa Nakamura<sup>4</sup>, Miho Murata<sup>1</sup>,  
Shin'ichi Takeda<sup>4,5</sup>, Ichizo Nishino<sup>3,4</sup> and En Kimura<sup>4</sup>

### DATABASES

## The TREAT-NMD Duchenne Muscular Dystrophy Registries: Conception, Design, and Utilization by Industry and Academia

### DATABASES

## The TREAT-NMD DMD Global Database: Analysis of More than 7,000 Duchenne Muscular Dystrophy Mutations

J Neurol (2013) 260:3023–3029  
DOI 10.1007/s00415-013-7104-y

ORIGINAL COMMUNICATION

## Prednisolone improves walking in Japanese Duchenne muscular dystrophy patients

Fumi Takeuchi · Naohiro Yonemoto · Harumasa Nakamura · Reiko Shimizu ·  
Hirofumi Komaki · Madoka Mori-Yoshimura · Yukiko K. Hayashi ·  
Ichizo Nishino · Mitsuru Kawai · En Kimura · Shin'ichi Takeda

Shimizu et al. BMC Health Services Research (2014) 15:241  
DOI 10.1186/s12913-014-1407-4

### Human Mutation

### Human Mutation



## Neuromuscular Disorders

Available online 6 July 2017

In Press, Accepted Manuscript



## A comparative study of care practices for young boys with duchenne muscular dystrophy between japan and european countries: implications of early diagnosis

Fumi Takeuchi<sup>a</sup>, Hirofumi Komaki<sup>a, b</sup>, Zentaro Yamagata<sup>c</sup>, Kazushi Maruo<sup>d</sup>, Sunil Rodger<sup>e</sup>, Janbernd Kirschner<sup>f</sup>, Takeo Kubota<sup>g</sup>, En Kimura<sup>h</sup>, Shin'ichi Takeda<sup>h</sup>, Kathrin Gramsch<sup>f</sup>, Julia Vry<sup>f</sup>, Kate Bushby<sup>e</sup>

## TRENDS IN STEROID THERAPY FOR DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY IN JAPAN

FUMI TAKEUCHI, MD,<sup>1</sup> HIROFUMI KOMAKI, MD, PhD,<sup>2</sup> HARUMASA NAKAMURA, MD,<sup>1</sup> NAOHIRO YONEMOTO, MPH,<sup>3</sup> KOUSUKE KASHIWABARA, MS,<sup>4,5</sup> EN KIMURA, MD, PhD,<sup>1</sup> and SHIN'ICHI TAKEDA, MD, PhD<sup>6</sup>

<sup>1</sup>Department of Clinical Research Support, Translational Medical Center, National Center of Neurology and Psychiatry, Tokyo, Japan

<sup>2</sup>Department of Child Neurology, National Center of Neurology and Psychiatry 4-1 Ogawa-higashi, Kodaira, Tokyo 187-8551, Japan

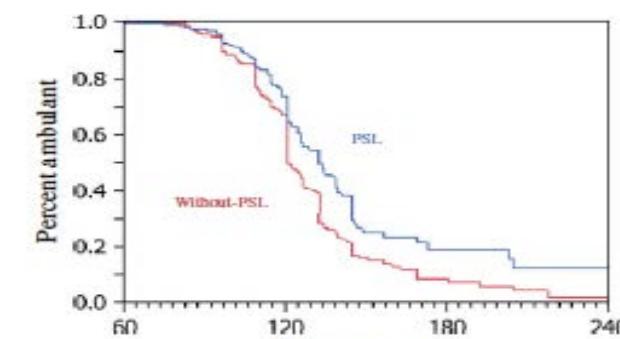
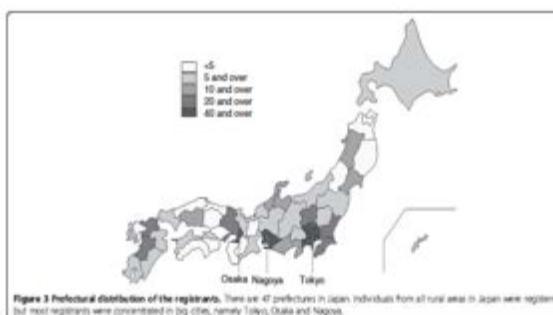
<sup>3</sup>Department of Neuropsychopharmacology, National Institute of Mental Health, National Center of Neurology and Psychiatry, Tokyo, Japan

<sup>4</sup>Department of Clinical Epidemiology, Translational Medical Center, National Center of Neurology and Psychiatry, Tokyo, Japan

<sup>5</sup>Department of Biostatistics, School of Public Health, The University of Tokyo, Tokyo, Japan

<sup>6</sup>Department of Molecular Therapy, National Institute of Neuroscience, National Center of Neurology and Psychiatry, Tokyo, Japan

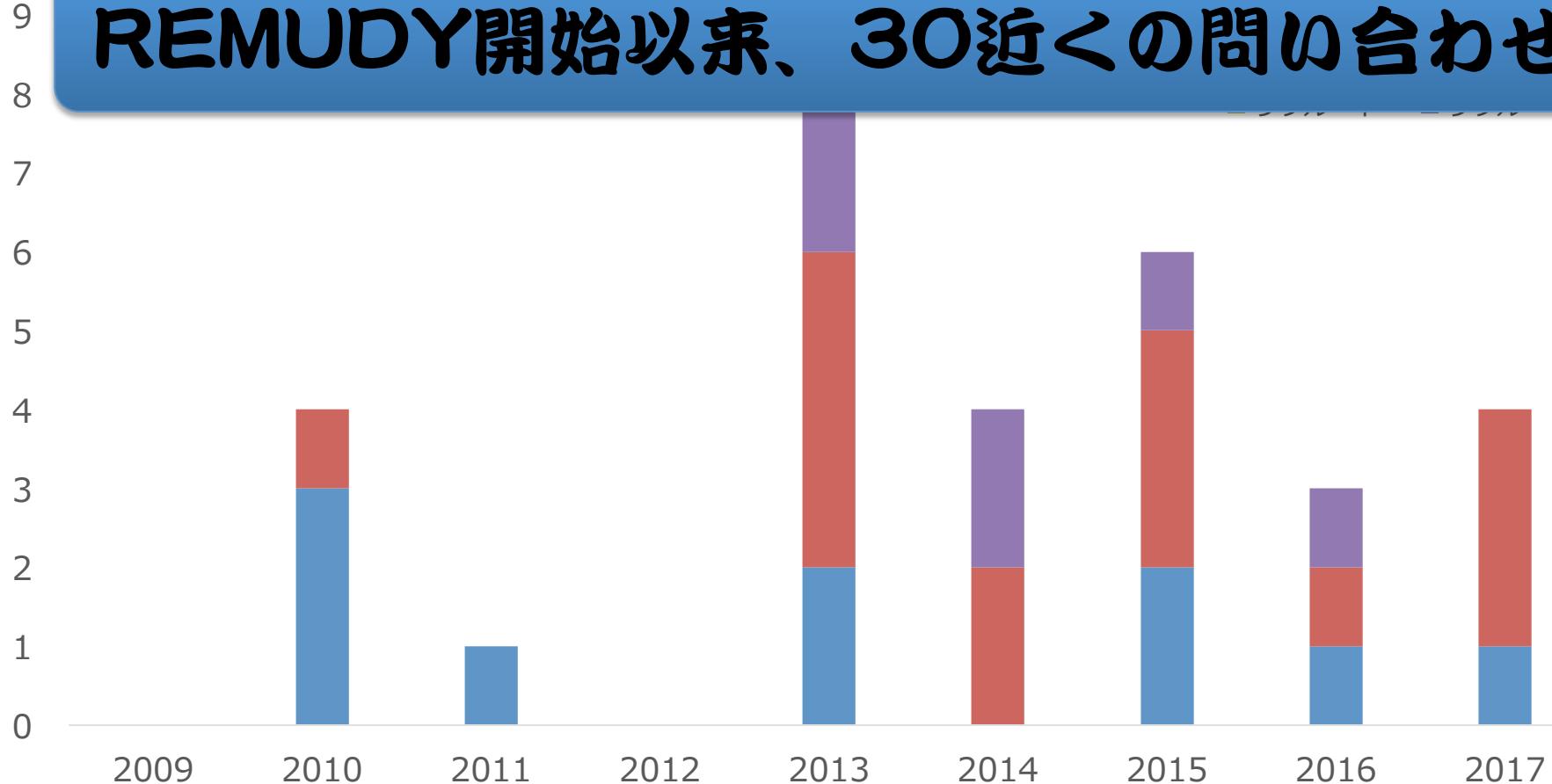
Accepted 16 February 2016



情報開示

情報開示

## REMUDY開始以来、30近くの問い合わせ

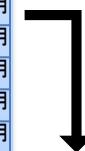


# 企業との連携 (Remudy) 2018.04

管理番号	ステータス	企業/アカデミア	依頼のタイプ (利用/提供)	依頼日
H22-1	完了	アカデミア (via TREAT-NMD)	利用	2010年6月
H22-2	完了	企業 (via TREAT-NMD)	利用	2010年6月
H22-3	完了	企業	利用	2010年11月
H23-1	完了	企業	利用	2010年12月
H23-2	完了	企業 (via TREAT-NMD)	利用	2011年9月
13-R-001	完了	アカデミア	利用	2013年1月
13-R-002	完了	アカデミア	利用	2013年2月
13-R-003	完了	企業	利用	2013年2月
13-R-004	完了	アカデミア	利用	2013年4月
13-R-005	完了	企業 (via TREAT-NMD)	利用	2013年4月
13-R-006	完了	アカデミア	提供	2013年6月
13-R-007	完了	企業	提供	2013年8月
13-R-009	完了	企業 (via TREAT-NMD)	提供	2013年12月
14-R-001	完了	アカデミア	利用	2014年2月
14-R-002	完了	アカデミア	提供	2014年8月
14-R-003	完了	企業	利用	2014年10月
14-R-004	完了	アカデミア	提供	2014年12月
14-R-006	完了	企業	利用	2014年12月
15-R-001	完了	企業 (via TREAT-NMD)	利用	2015年2月
15-R-002	完了	アカデミア	利用	2015年9月
15-R-003	完了	企業	提供	2015年10月
15-R-004	完了	企業 (via TREAT-NMD)	利用	2015年11月
15-R-005	完了	アカデミア	利用	2015年12月
16-R-001	完了	企業	提供	2016年4月
16-R-002	完了	企業 (via TREAT-NMD)	利用	2016年9月
16-R-003	完了	アカデミア	利用	2016年11月
16-R-004	完了	企業	利用	2016年12月
17-R-001	完了	企業 (via TREAT-NMD)	利用	2017年1月
17-R-002	完了	企業	利用	2017年2月
17-R-003	完了	企業 (via TREAT-NMD)	利用	2017年4月
18-R-001	報告待ち	企業	利用	2018年1月
18-R-002	報告待ち	アカデミア	利用	2018年2月

種別	利用	提供
アカデミア (via TREAT-NMD)	1	0
アカデミア	8	3
企業 (via TREAT-NMD)	8	1
企業	8	3

## 費用徴取開始



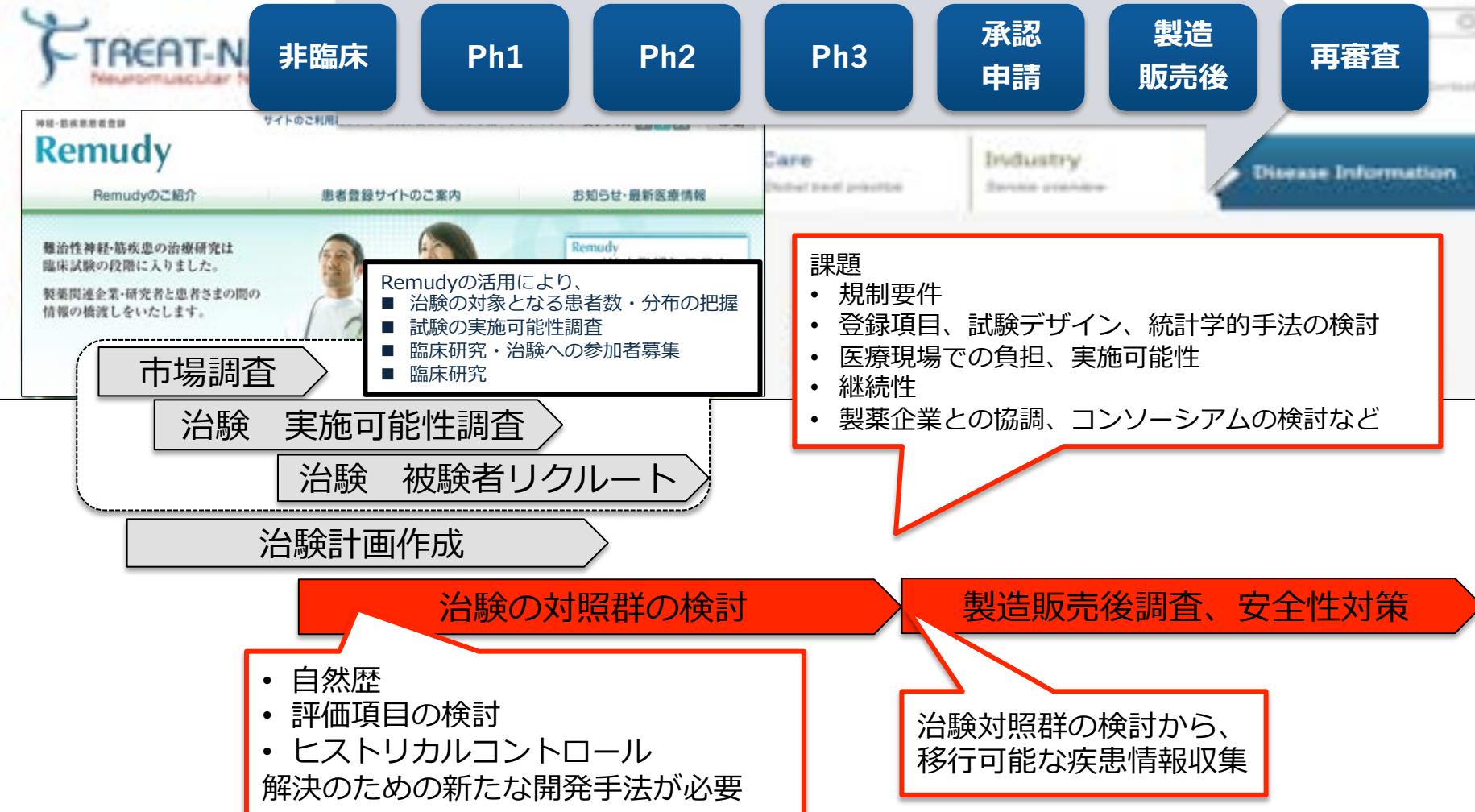
匿名化のうえ研究者・臨床開発企業等に開示され、  
臨床研究推進の役立てられています

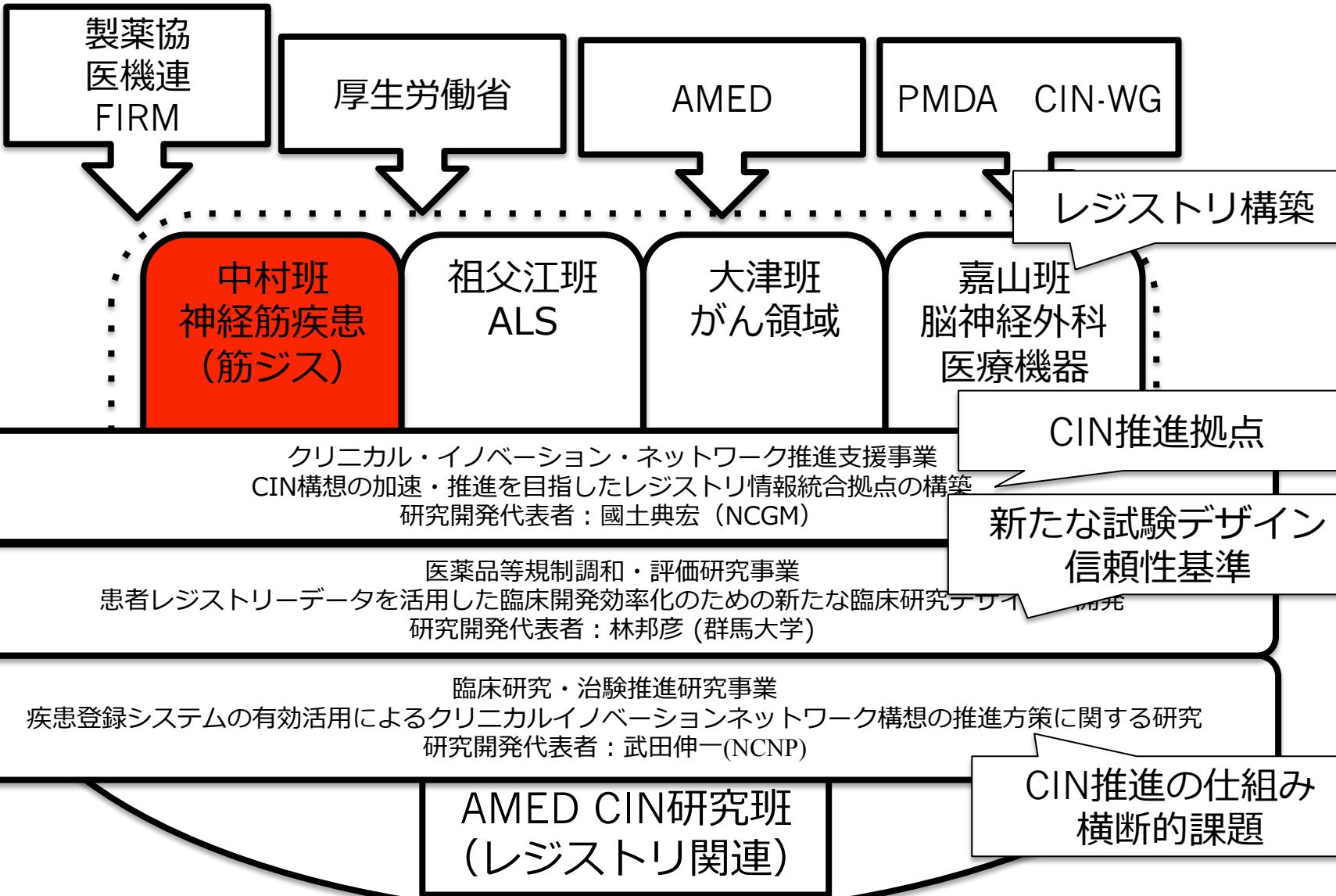




# 神経・筋疾患者登録（Remudy）の実績と課題

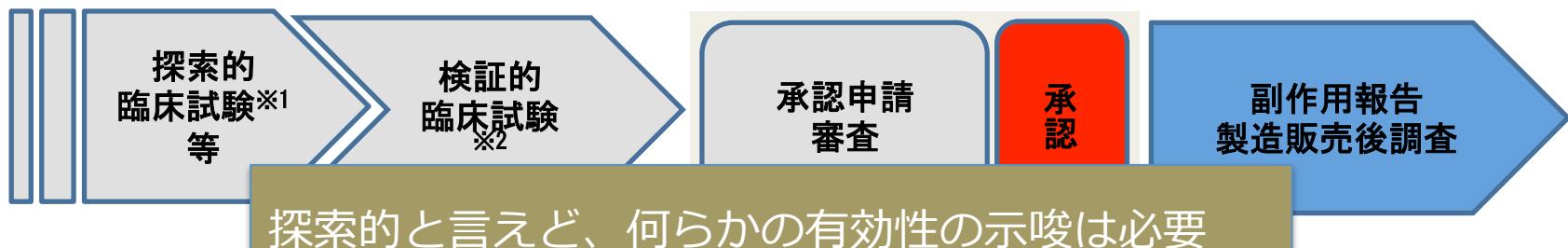
患者レジストリを活用した医学系研究





# 条件付き早期承認制度ができても

通常の承認審査



条件付き早期承認制度

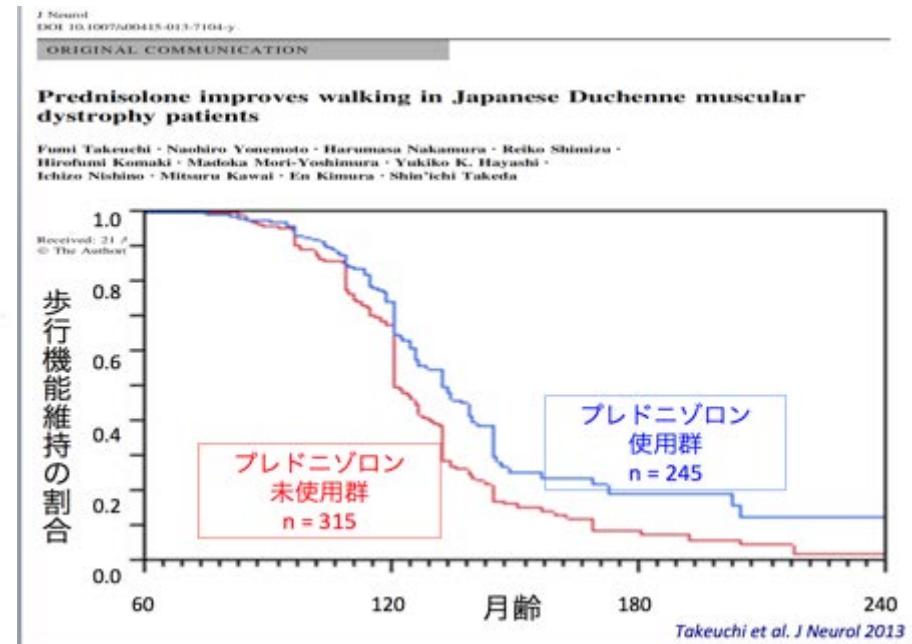
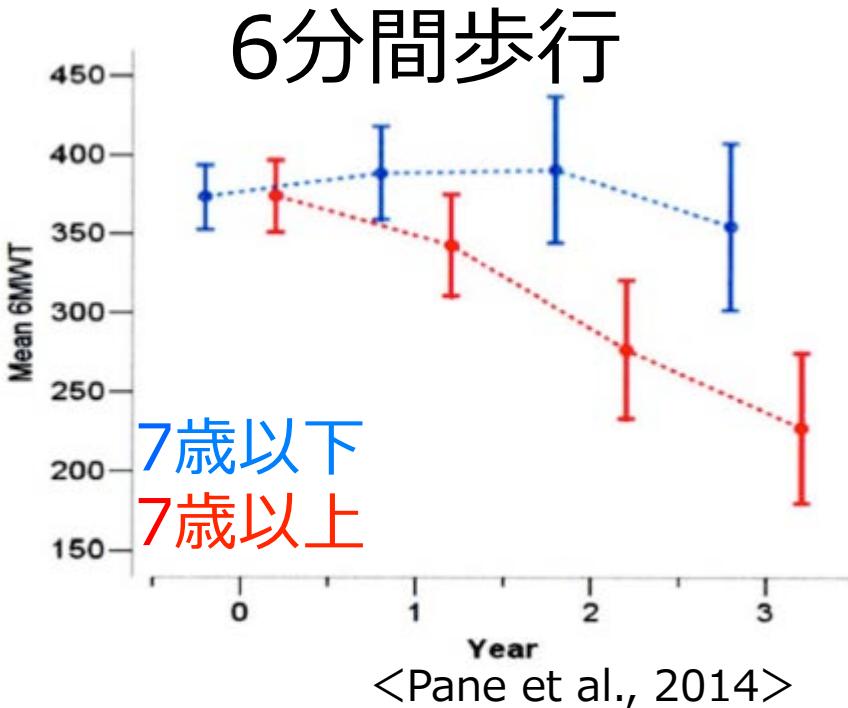


探索的と言えど、研究の実施可能性？  
リクルートも難しい

もちろん、条件付き早期承認の後にどのようにその条件を解決するのか

(厚生労働省資料を改変)

# 自然歴、ナチュラルヒストリー



治療をしていない時のデータ（自然歴）があれば、臨床試験の偽薬を使わなくてもいいかも治験に必要な患者さんの数が半分以下に

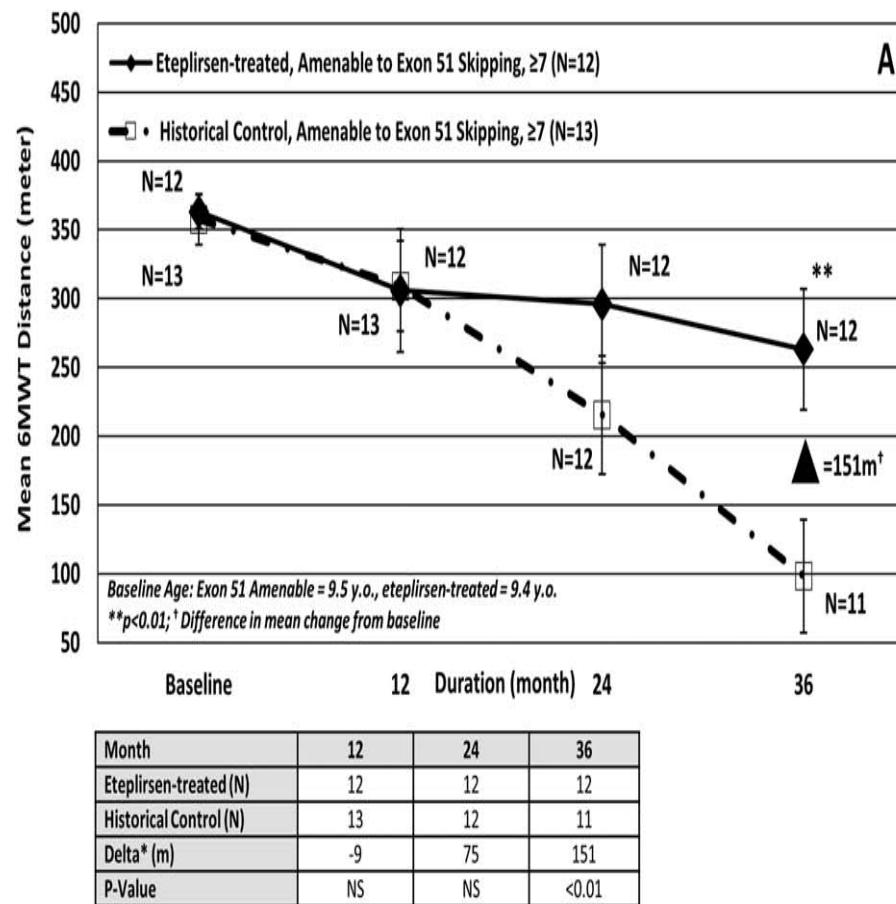
# Mendell, J.R., et al. Longitudinal Effect of Eteplirsen versus Historical Control on Ambulation in Duchenne Muscular Dystrophy. Annals of Neurology 2016; 79(2): 257-271.

TABLE 4. Baseline Characteristics of the Eteplirsen-Treated and Matched Historical Control Groups

Characteristic	Pivotal Study	6MWT Historical Control Group
Parameter	Eteplirsen-treated, study 201/202, n = 12	Untreated, external, exon 51 skipping, n = 13
Male gender	100%	100%
Age, yr		
Mean (SD)	9.41 (1.183)	9.45 (1.454)
Median	9.7	9.0
Minimum, maximum	7.3, 11	7.3, 11.8
Steroids, % yes	100	100
Standard of care, % yes	100	100
Ambulatory status, % yes	100	100
6MWT distance, m		
Mean (SD)	363.2 (42.19)	357.6 (66.75)
Minimum, maximum	256, 416	200, 458
Genotype, exon skippable	Exon 51	Exon 51
Represented exon 5-skipping amenable deletion mutations, No.		
Exons 45–50	3	3
Exons 48, 50	1	2
Exons 49, 50	5	3
Exon 50	1	2
Exon 52	2	3

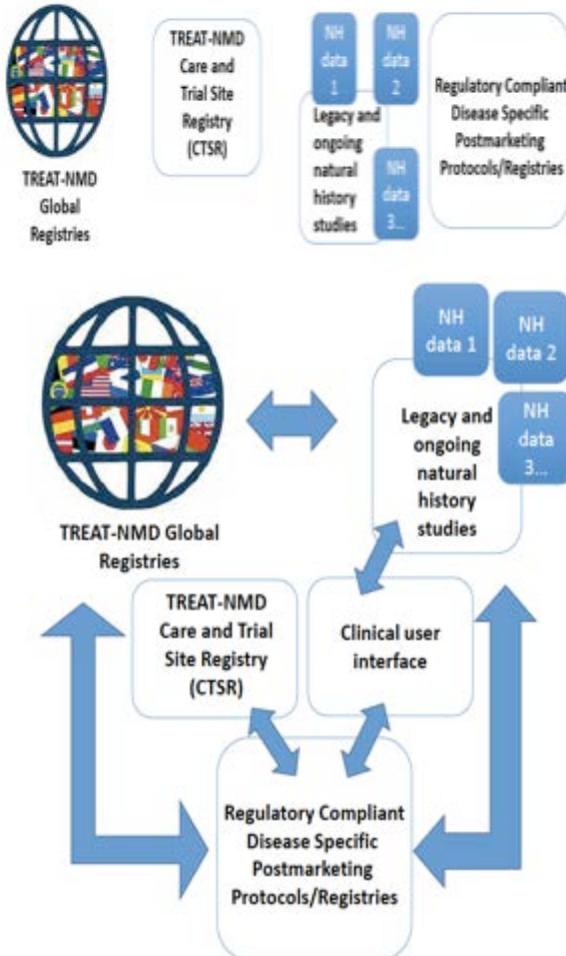
Baseline comparability of the eteplirsen-treated and historical control population  $\geq 7$  years old and amenable to exon 51 skipping is explored here. Populations consist of ambulatory, steroid-treated patients with similar genotypes who had received similar standards of care.

6MWT = 6-Minute Walk Test; SD = standard deviation.



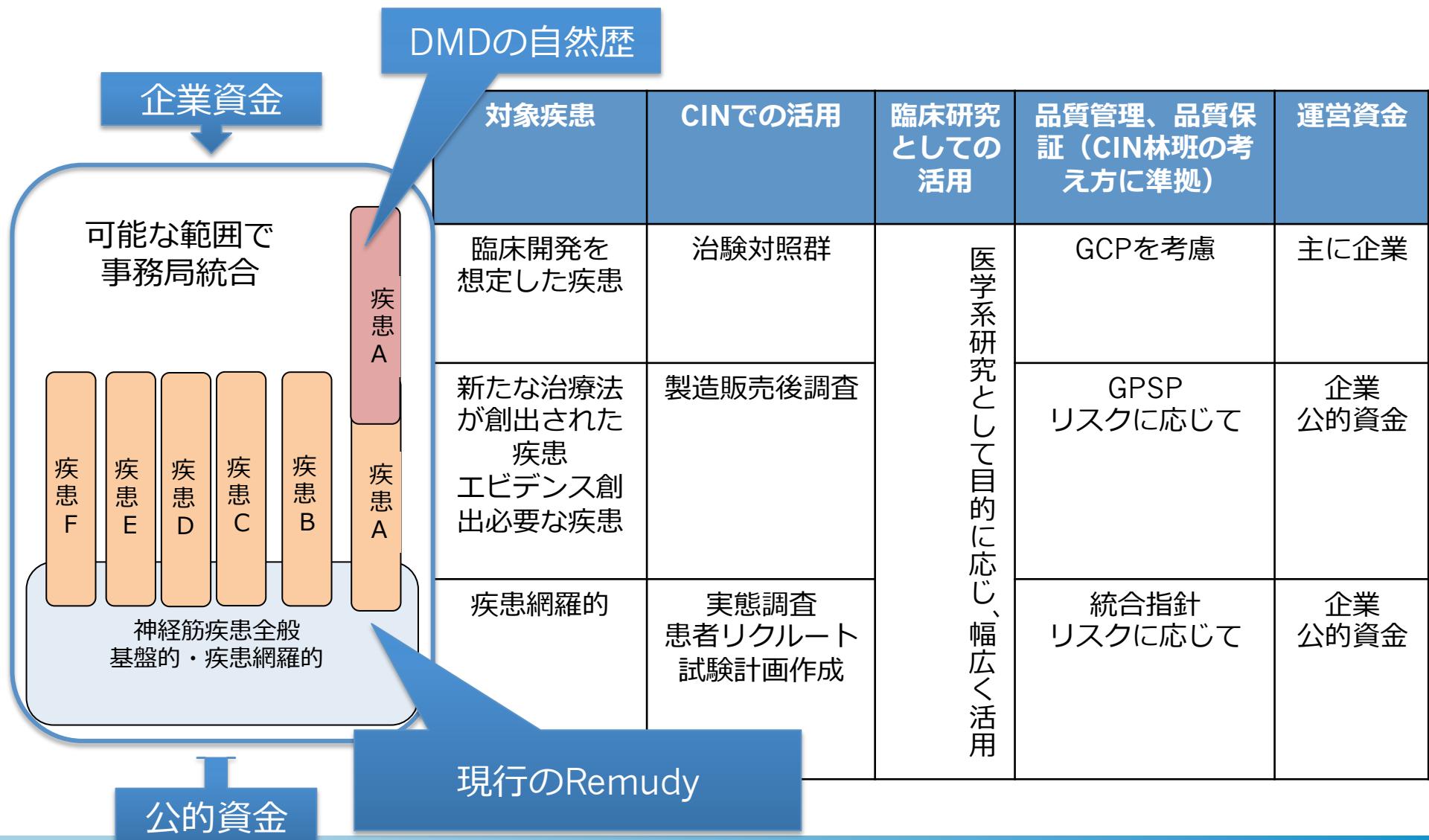
# 製造販売後調査のためのレジストリ

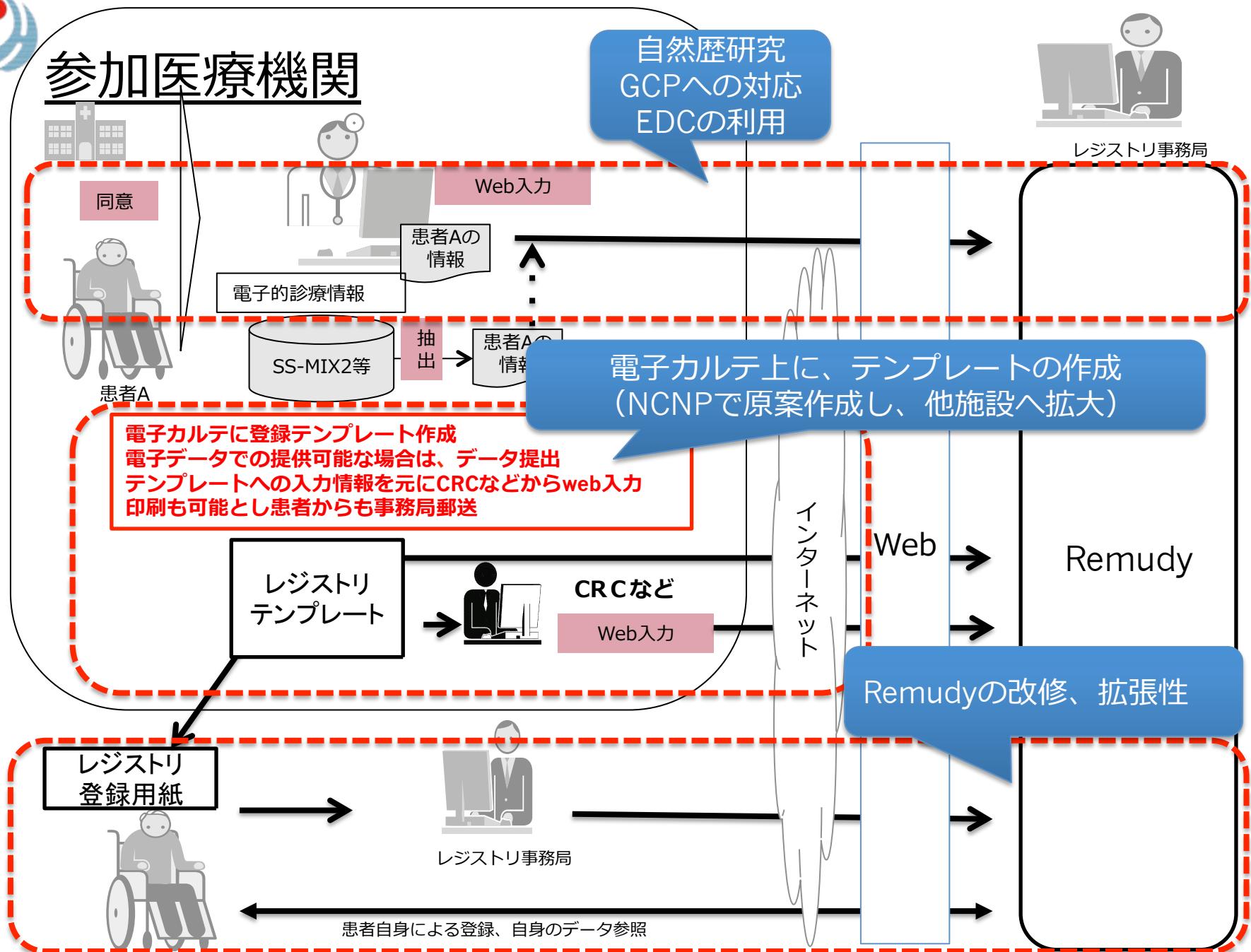
Proposal: STRIDE-NMD (Strategic Targeting of Registries and International Datasets of Excellence in Neuromuscular Disorders)



お薬は、世に出てからが大切  
本当に多くの患者さんに効果  
があるの？副作用はないの？  
レジストリの出番！

# CINに対応し、継続・実施可能性を考慮した 患者登録のイメージ =「階層型」レジストリ 神経・筋疾患をもとに



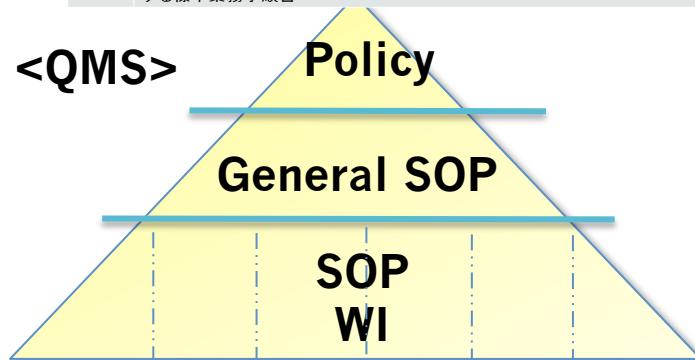


# レジストリの設計・運用に関する 手順書・規定

管理番号	規定・SOP体系（規定、手順書の階層）
00X	疾患登録システムの上位規程
1XX	疾患登録システムのシステム構築と運用に係る標準業務手順書
2XX	レジストリデータ利活用に係る標準業務手順書

管理番号	整備する規定、SOPの名称(案)
001	疾患登録システムの構築、運営・管理体制に関する規程
002	疾患登録システムの事業継続計画に関する規程
101	疾患登録システムのデータベースへの入力に関する標準業務手順書
102	疾患登録システムのデータクリーニング及びコード化に関する標準業務手順書
103	疾患登録システムのセキュリティに関する標準業務手順書
104	疾患登録システムのデータバックアップ及びリカバリに関する標準業務手順書
105	疾患登録システムのコンピュータ化システムバリデーションに関する標準業務手順書
106	疾患登録システムの品質管理に関する標準業務手順書
107	疾患登録システムの監査・品質保証に関する標準業務手順書
108	疾患登録システムの記録の保存に関する標準業務手順書
109	疾患登録システムの従事者への教育訓練に関する標準業務手順書
201	レジストリデータ利活用者との契約に関する標準業務手順書
202	レジストリデータ利活用に関する業務計画書及び業務報告書の作成と改訂に関する標準業務手順書

<QMS>



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

「医薬品の製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点について」  
 （薬生薬審発 0221 第1号 平成30年2月21日）には準拠

「AMED患者レジストリ班 信頼性基準分担班」で検討している『患者レジストリデータを承認申請資料等として活用する場合におけるデータの信頼性担保に関する基本的考え方（案）〔2017年6月版〕』も考慮した規定、SOP体系を整備する

MANDATORY ITEMS	MOLECULAR DATA	DMD registry Mutation name in DMD gene following HGVS rules (based on cDNA Ref Seq) Deletion: all exons tested (Yes / No / Unknown)
		<input type="checkbox"/> No / Unknown
		Known (Yes / No / Unknown)
		Point mutation: all exons sequenced (Yes / No / Unknown)
		Targeted mutation testing in the patient but testing of all exons in a relative male patient (Yes / No / Unknown)
		Diagnosis (Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) / Becker Muscular Dystrophy (BMD) / Intermediate Muscular Dystrophy (IMD) / Female carrier / Unknown)
		Currently able to walk (Yes / No)
		Wheelchair use (if over 3 years of age) (Yes (permanent) / Yes (intermittent) / Never / Unknown; if Yes, specify age of beginning)
		Current steroid therapy (Yes, currently / No, but previously / Never / Unknown)
		Scoliosis Surgery (Yes / No / Unknown)
Current cardiac medication (Yes / No / Unknown; if Yes, please list medication)		
Currently included in a clinical trial (Yes, currently / No, but previously / Never / Unknown; if Yes, currently, please specify the name of the drug)		
Age Last follow-up Date (day/month/year) or Age ([in years])		
Regional localising information DMD registry		
HIGHLY ENCOURAGED ITEMS	MOTOR FUNCTION	Currently able to sit without support (Yes / No)
RESPIRATORY FUNCTION	Non-invasive ventilation (Yes (all day) / Yes (part-time) / No / Unknown) Invasive ventilation (Yes (all day) / Yes (part-time) / No / Unknown) Last FVC (%), specify date or [age] of examination	
MUSCLE BIOPSY OTHER REGISTRIES	Previous muscle biopsy (Yes / No / Unknown) Signed up for other registries (Yes / No / Unknown; if Yes, please specify which registry)	
FAMILY HISTORY	Other affected family members (Yes / No / Unknown; if Yes, please specify)	
SMA classification		
MOLECULAR DATA		

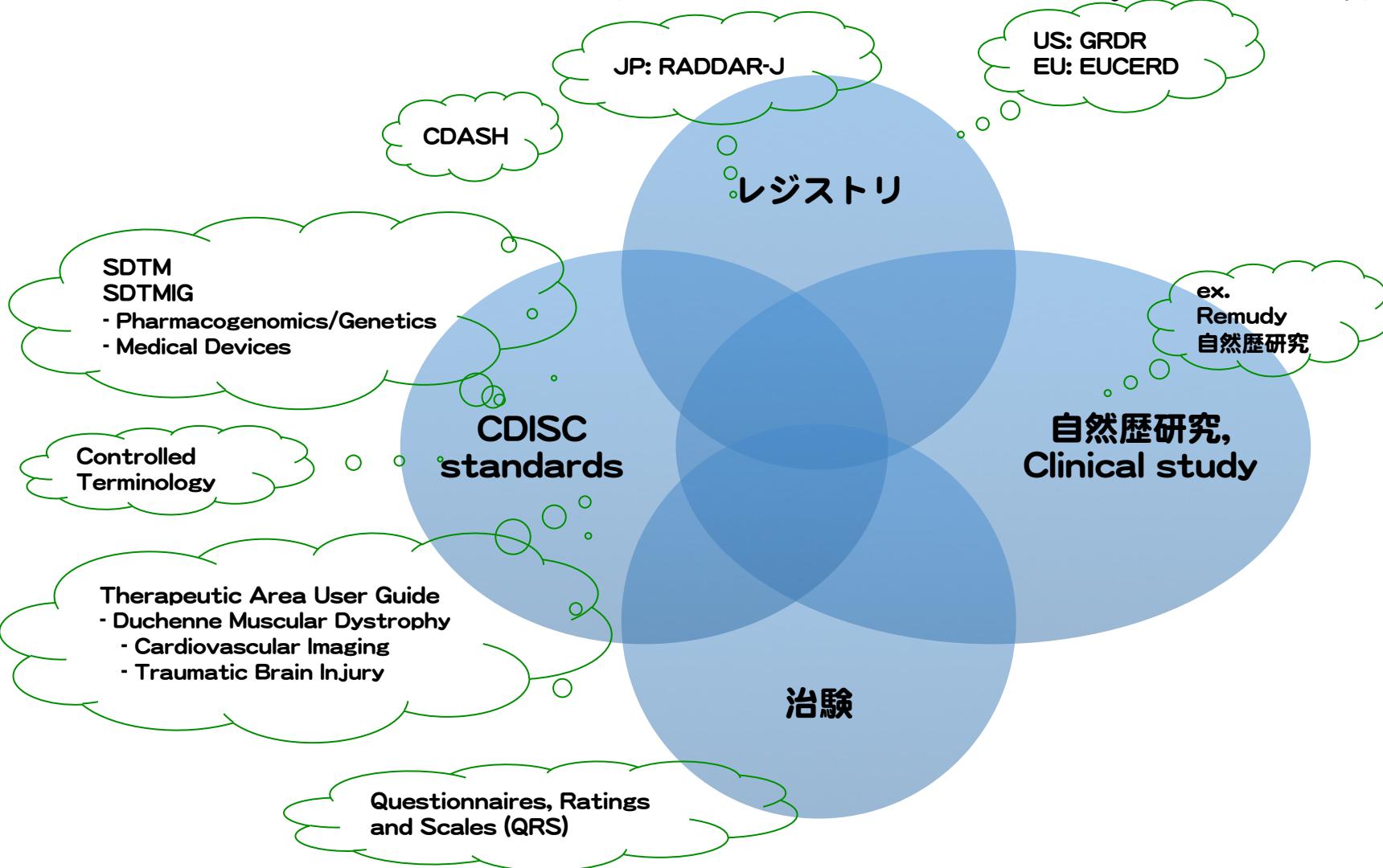
## Mandatory Data

新規 Remudy

ジストロフィン異常症 患者登録用紙	
呼吸機能	
<input type="checkbox"/> 呼吸低下なし	<input type="checkbox"/> 呼吸低下あり → FVC( )ml, %FVC( )%
<input type="checkbox"/> 呼吸機能検査未施行	測定日: 西暦( )年( )月
呼吸機能検査未施行	
人工呼吸器を使用している	
<input type="checkbox"/> はい → <input type="checkbox"/> 面マスク <input type="checkbox"/> 气管切開	<input type="checkbox"/> 一日中使用 <input type="checkbox"/> 一日のうち部分的に使用
<input type="checkbox"/> いいえ	※はいと答えた方は、必ずどちらかにチェックしてください
側弯手術	
<input type="checkbox"/> 受けた → 手術年齢( )歳	<input type="checkbox"/> 受けていない
最近の血清CK (クレアチキンキナーゼ) 値	
( ) IU/L	測定日: 西暦( )年( )月
体重	
( ) kg	測定子診断の方法 (複数選択可能)
<input type="checkbox"/> MLPA法	<input type="checkbox"/> Multiplex PCR法
<input type="checkbox"/> サザンブロット法	<input type="checkbox"/> RT-PCR法
<input type="checkbox"/> 帯域シーケンス法	<input type="checkbox"/> その他 ( )
遺伝子診断実施施設名	
( )	委託検査会社名
( )	測定子診断 (必ず報告書のコピーを同封してください)
<input type="checkbox"/> 缺失	以下の該当する番号にチェックを入れてください
<input type="checkbox"/> 重複	→ その領域 <input type="checkbox"/> D427c
<input type="checkbox"/> 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10	
<input type="checkbox"/> 11 12 13 14 15 16 17 18 19 20	
<input type="checkbox"/> 21 22 23 24 25 26 27 28 29 30	
<input type="checkbox"/> 31 32 33 34 35 36 37 38 39 40	
<input type="checkbox"/> 41 42 43 44 45 46 47 48 49 50	
<input type="checkbox"/> 51 52 53 54 55 56 57 58 59 60	
<input type="checkbox"/> 61 62 63 64 65 66 67 68 69 70	
<input type="checkbox"/> 71 72 73 74 75 76 77 78 79	
現症の運動機能	
<input type="checkbox"/> 支え無しで歩行が可能	<input type="checkbox"/> 障性(DMD) <input type="checkbox"/> 障性(正常)
<input type="checkbox"/> 歩行機能獲得前	<input type="checkbox"/> 若者(まだ80) <input type="checkbox"/> 未歩行 <input type="checkbox"/> その他( )
<input type="checkbox"/> 歩行不能、支えなしで座位がとれる	
<input type="checkbox"/> 支えなしで座位がとれない	※コチラも必ずご記入ください
歩行不能となった年齢は、( )歳( )ヶ月	
車いす使用	
<input type="checkbox"/> 未使用	<input type="checkbox"/> 車いす使用開始年齢は、( )歳
<input type="checkbox"/> 一日のうち部分的に使用	
<input type="checkbox"/> 一日中使用	
<input type="checkbox"/> 総日、ベッド上	
ステロイド投与	
<input type="checkbox"/> 未使用	
<input type="checkbox"/> 過去に使用した	
<input type="checkbox"/> 現在使用中	
心機能	
<input type="checkbox"/> 低下あり → <input type="checkbox"/> 左室駆出率: EF( )%	
<input type="checkbox"/> 低下なし	<input type="checkbox"/> 心超音波検査未施行
心筋膜の治療を受けている	
<input type="checkbox"/> はい <input type="checkbox"/> いいえ	
(現在内服している薬剤の種類)	
<input type="checkbox"/> ベブロッカー <input type="checkbox"/> ACE阻害剤 <input type="checkbox"/> 利尿剤	
<input type="checkbox"/> ARB <input type="checkbox"/> その他( )	
レリーフーはお情報に非常に記入されており、迷津の複雑のもとに工作效率化(?)してあります。	
あなた(患者)に該当する治療の提案があれば、	
<input type="checkbox"/> 詳しい情報を提供して欲しい	
<input type="checkbox"/> 情報は必要ない	
<input type="checkbox"/> 今はわからぬ	
あなた(患者)は現在、治療に参加していますか？	
<input type="checkbox"/> はい	
<input type="checkbox"/> いいえ	
あなた(患者)はこれまで他のデータベースに登録を、	
<input type="checkbox"/> 登録をしたことがある	
<input type="checkbox"/> 登録をしたことがない	

海外レジストリと登録項目は一  
致

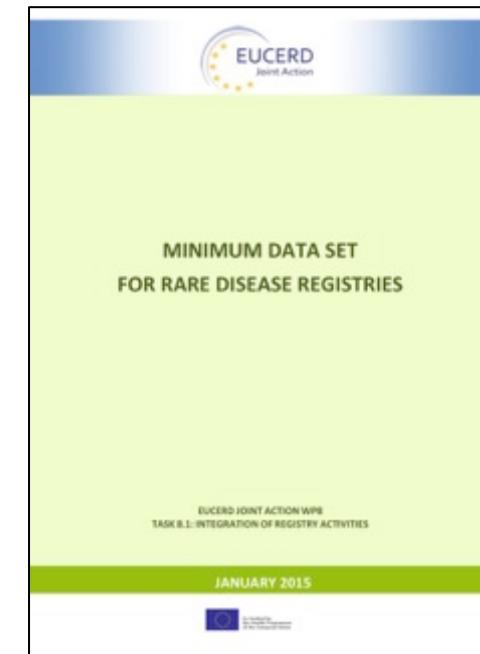
# レジストリの収集項目 デュシェンヌ型筋ジストロフィーの場合



# Registry Standards

- National Institutes of Health (NIH), US
  - Global Rare Diseases Registry Data Repository (GRDR)
- Consist of 51 members, EMA & EFTA states party
  - European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD)

The GRDR® Registry Model Common Data Elements (CDEs)								
V2.1 (check for changes in the Change Notes page at the bottom of document)								
Users are requested to cite the usage of the GRDR CDEs (in suggested language, check the administration page at the bottom of the document). CDEs contained for the GRDR Data Repository are designated by a GRDR number (e.g. GRDR001, GRDR002, etc.). CDEs used by the registries to assign the GRDR-GUD ID are designated GUD.								
Item #	New Concept	Question Text	Comments	Response Categories	Variable Definitions	Reference Categories	Reference Categories Link (if applicable)	Recommended Degree of Requirement
Current Contact Information								
1.	First Name of Participant GUD	Participant first name as recorded in birth certificate or passport	Must be distinguishable across the study		String		GRDR001.xlsx	Required
2.	Last Name of Participant GUD	Participant last name as recorded in birth certificate or passport	Must be distinguishable across the study		String		GRDR001.xlsx	Required
3.	Middle Name of Participant GUD	Participant middle name as recorded in birth certificate or passport.	In cases when not applicable indicate NA.		String		GRDR001.xlsx	Required
4.	Participant Street Address	Simple address where the participant resides			String		GRDR001.xlsx	Required
5.	Participant City	City, town or village where the participant resides			String		GRDR001.xlsx	Required



# Duchenne Muscular Dystrophy v1.0 Public Review

New Draft Now Available for Public Review

Comments Due by 6 July

The Duchenne Muscular Dystrophy TA User Guide focuses on clinical trials of drugs to treat Duchenne Muscular Dystrophy.

To view the user guide: [TAUG-DMD](#).

You will need to log in or register for the CDISC Wiki to review the Read Me and provide comments.

- To register for the Wiki: [Register](#). JIRA and Wiki use the same login, please create only one account.
- Instructions for providing comments: [Instructions for Reviewers](#)

**CDISC Wiki is a different login than [www.cdisc.org](http://www.cdisc.org).**

## ニューカッスル大学



Remudyから派遣・駐在

調査

グローバルレジストリ  
連携

Global Registryへの  
日本の参加へ

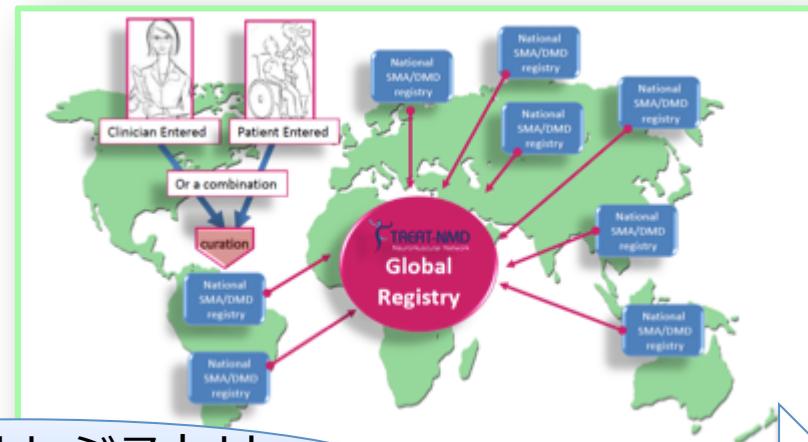
- ・疾患レジストリ相互運用性の取り組み
- ・製造販売後調査に資する国際神経筋疾患レジストリの取り組み (DMD, SMA) レジストリシステムの状況
- ・レジストリ事務局の運用体制

国立精神・神経  
医療研究センター

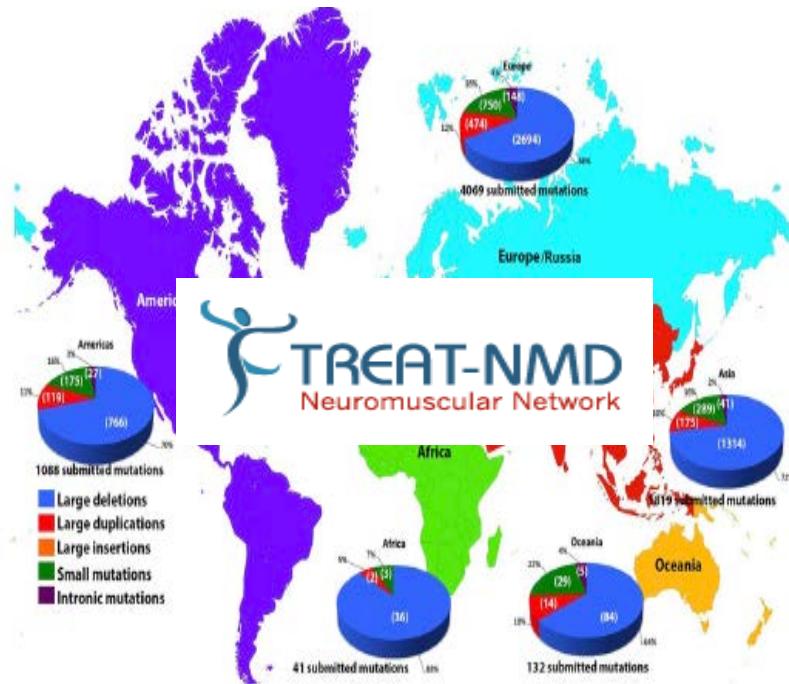
還元

Remudy事務局

派遣 (医師、CRC)  
CIN、レジストリの情報共有

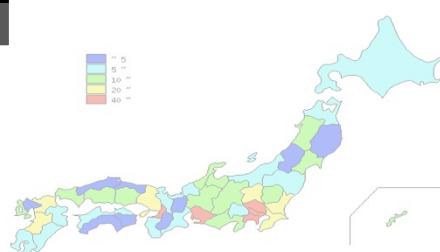


# 海外ネットワークとの連携



神経・筋疾患患者登録 Registry

Remudy Registry of Muscular Dystrophy



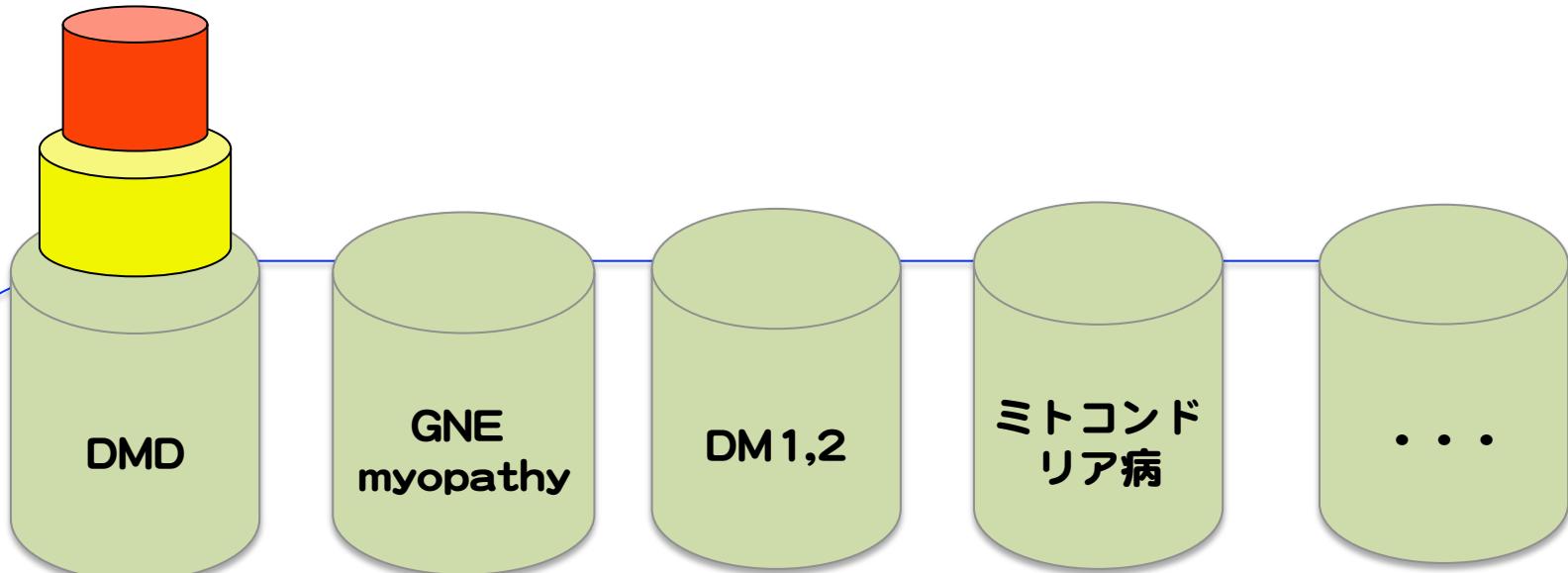
M  
D  
CTN

Trial network

## 海外との連携

- TREAT-NMDとのDMD Global registry
  - TGDOCへ参加
- PMSレジストリ
  - STRIDE-NMD
    - DMDのAtalurenに対するPMSレジストリ
  - SMA PMS registry
    - SMAのNusinersenに対するPMSレジストリ

# レジストリの効率的運用



神経・筋疾患連携登録システム

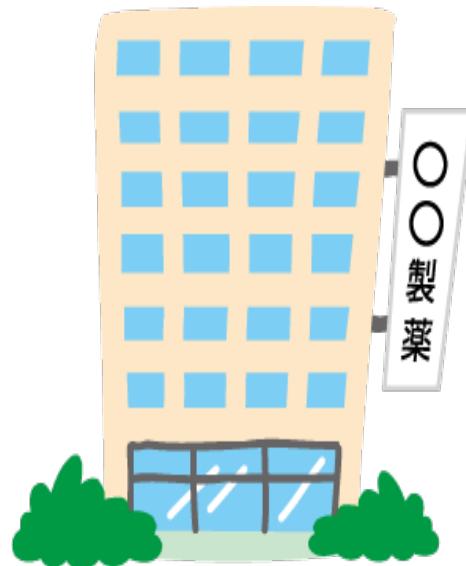
Remuddy

システム構築、運用、管理  
レジストリ事務局業務  
データマネジメント、モニタリング  
外部研究者、企業との連携

# みんなで“レジストリを作る” “レジストリ”は大切な財産



神経・筋疾患者登録  
**Remudy**



[Remudyの紹介](#)[患者登録サイトの登録](#)[お問い合わせ・最新医療情報](#)

難病性神経・筋疾患の治療研究は  
臨床試験の段階に入りました。

医療関連企業・研究者と患者さまとの間の  
情報の橋渡しをいたしました。

# 謝 辞

**登録いただいている患者さん**

**ご協力くださっている全国の先生方**

**筋ジストロフィー協会はじめ患者支援団体の皆さん**

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  
を中心とした筋疾患の患者さまのために、  
新しい治療を開拓するための患者登録  
サイトです。

情報に関する最新情報、筋ジストロフィーに関する治療  
などの最新医療情報を届けします。

**に、深謝申し上げます**

2010年12月21日

筋ジストロフィー協会・筋ジストロフィー

2010年12月6日

Remudy 制作機関 放送ナビ