

公募シンポジウム | 第40回医療情報学連合大会（第21回日本医療情報学会学術大会） | 公募シンポジウム

公募シンポジウム5

リアルワールドエビデンスを創出するための臨床中核指定病院ネットワークの取り組み

2020年11月20日(金) 09:00 ～ 11:00 F会場 (イベントホール・特設会場1)

[3-F-1-01] 臨床研究中核病院で試みる Real World Evidence創出のための取り組み

*松木 絵里^{1,2} (1. 慶應義塾大学病院 臨床研究推進センター, 2. 慶應義塾大学医学部 血液内科)

*Eri Matsuki^{1,2} (1. 慶應義塾大学病院 臨床研究推進センター, 2. 慶應義塾大学医学部 血液内科)

キーワード: Real World Data, Real World Evidence, Core Hospitals for Clinical Research

近年医療ビッグデータやリアルワールドデータ(RWD)と呼ばれる、典型的な臨床試験から得られるデータ以外のデータを用いて得られた医療やヘルスケアに関する情報である、リアルワールドエビデンス(RWE)の利活用に注目が集まっている。米国においては2016年に21st Century Cures Actが調印されたことを受け、Food and Drug Administrationより RWE Programという形でその利活用の方向性についての考え方が整理され、提示されている。

本邦においても厚生労働省、日本医療研究開発機構(Japan Agency for Medical Research and Development; AMED)が主導し、臨床開発の効率化、医薬品・医療機器等の開発競争力の強化、創薬や医療現場での活用を目的として、レジストリーを中心とした診療で得られる RWDを収集・解析する体制・システムをクリニカル・イノベーション・ネットワーク構想として実施してきたほか、医薬品の安全対策の高度化を目的として、電子カルテやレセプト等の情報を収集した医療情報データベースである MID-NETが構築され、本格運用が開始されている。

このような状況を背景とし、2018年に AMEDが支援する医療技術実用化総合促進事業の中で、臨床研究中核病院における電子カルテを中心とした病院情報システムより得られる患者データを RWDとして集積し、RWEを創出するための取り組みが開始された。本取り組みにおいては、病院情報システムより RWDを抽出するにあたっての課題の整理とそれを解決するための方策の検討と実装、ならびにユースケースを中心とした個別研究の試みとそれを通じた課題解決のために、サブワーキンググループ(SWG)を中心とした議論と臨床研究中核病院間で協調した RWE創出のための体制構築、実装を推進している。

臨床研究中核病院で試みる Real World Evidence 創出のための取り組み

松木 絵里^{*1,2}、中山 雅晴^{*3}、中島 直樹^{*4}、松村 泰志^{*5}、大江 和彦^{*6}、白鳥 義宗^{*7}

*1 慶應義塾大学病院 臨床研究推進センター *2 慶應義塾大学医学部 血液内科 *3 東北大学大学院医学系研究科医学情報学 *4 九州大学病院 メディカル・インフォメーションセンター *5 大阪大学大学院医学系研究科 医療情報学 *6 東京大学 医学系研究科社会医学専攻医療情報学分野 *7 名古屋大学医学部附属病院 メディカル IT センター

Collaborative Effort Among Core Hospitals for Clinical Research to Generate Real World Evidence

Eri Matsuki^{*1,2}, Masaharu Nakayama^{*3}, Naoki Nakashima^{*4}, Yasushi Matsumura^{*5}, Kazuhiko Ohe^{*6}, Yoshimune Shiratori^{*7}

*1 Keio University Hospital, Clinical and Translational Research Center *2 Keio University School of Medicine, Division of Hematology *3 Tohoku University Graduate School of Medicine, Department of Medical Informatics *4 Kyushu University Hospital, Medical Information Center *5 Osaka University Graduate School of Medicine, Department of Medical Informatics *6 The University of Tokyo, Graduate School of Medicine, Department of Biomedical Informatics, Division of Social Medicine *7 Nagoya University Hospital, Medical IT Center

Real World Evidence (RWE) has attracted much attention under the hope that it would supplement clinical information obtained through traditional clinical trials and add evidence to inform daily clinical care. The US FDA recommends in their RWE program to distinguish between the sources of RWD and the evidence derived from that data, and suggests the variations on the reliability and relevance of the different types of RWD that are available to generate RWE. The Japan Agency for Medical Research and Development started in 2018, an initiative to support core hospitals for clinical research to initiate their attempt to create a platform to generate RWD collected through electronic health records. Such an attempt is an innovative approach that could potentially benefit not only the researchers affiliated with the involved hospitals, but could serve as a platform for generating RWE answering different clinical questions that would benefit the Japanese population as a whole. In this presentation, I will give an overview of the environment surrounding RWD and RWE generation globally and in Japan, and discuss on the efforts of core hospitals for clinical research thus far in their collaborative effort in the generation of RWE through electronic health records.

Keywords: Real World Data, Real World Evidence, Core Hospitals for Clinical Research

1. 緒論

近年医療ビッグデータやリアルワールドデータ(RWD)と呼ばれる、典型的な臨床試験から得られるデータ以外のデータを用いて得られた医療やヘルスケアに関する情報である、リアルワールドエビデンス(RWE)の利活用に注目が集まっている。米国においては2016年に21st Century Cures Actが調印されたことを受け、Food and Drug Administration(FDA)よりRWE Programという形でその利活用の方向性についての考え方が整理され、提示されている。

本邦においても厚生労働省、日本医療研究開発機構(Japan Agency for Medical Research and Development; AMED)が主導し、臨床開発の効率化、医薬品・医療機器等の開発競争力の強化、創薬や医療現場での活用を目的として、レジストリーを中心とした診療で得られるRWDを収集・解析する体制・システムを臨床・イノベーション・ネットワーク(CIN)構想として実施してきたほか、医薬品の安全対策の高度化を目的として、電子カルテやレセプト等の情報を収集した医療情報データベースであるMID-NET[®]が構築され、本格運用が開始されている。

2. 目的

本邦における医療ビッグデータとなるRWDを収集し、RWEを創出するための体制を整備し、質の担保されたRWDを収集する仕組みを構築し、RWEを創出していくための取り組みを、臨床研究中核病院が他の施設に先駆けて実装していく。

3. 方法

2018年度より、AMEDが支援する医療技術実用化総合促進事業の一環として、以下の取り組みを開始した。

3.1 臨床研究中核病院について

臨床研究中核病院は日本発の革新的医薬品・医療機器の開発などに必要となる質の高い臨床研究を推進するため、国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う病院として、一定の基準を満たした病院について、医療法に基づき、厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聞いて承認するものである。

2015年4月より医療法が改正され、同年8月以降、本年4月1日までに13病院がその承認を受けている。

3.2 本取り組みについて

本取り組みは、AMEDが実施する医療技術実用化総合促進事業(医療法に基づいて指定された臨床研究中核病院を対象とし、日本発の革新的医薬品・医療機器の開発などに必要となる質の高い臨床研究・治験を推進できるような臨床研究基盤の向上を目指し、各臨床研究中核病院が有するAcademic Research Organization (ARO)が有する機能の活用、被験者の安全性を確保した臨床研究・治験の実施、診療情報を用いた研究の質の担保、ベンチャー支援部門を活用した産学連携を推進するための仕組みの構築や国際展開のための支援などを実施する事業)の一環として、2018年度に当該事業に参加していた臨床研究中核病院12病院で現在

実施している。

本取組みは同事業内で「リアルワールドエビデンス創出のための取組み（通称：臨中ネット）」と称され、電子カルテを中心とした病院情報システムより得られる患者データを RWD として集積し、RWE を創出するための取組みとして、病院情報システムより RWD を抽出するにあたっての課題の整理とそれを解決するための方策の検討と実装、ならびにユースケースを中心とした個別研究の試みとそれを通じた課題解決のために、サブワーキンググループ(SWG)を中心とした議論と臨床研究中核病院間で協調した RWE 創出のための体制構築、実装を推進している。

3.3 ユースケースの設定

本取組みにおいては、収集されたデータを活用した臨床研究を実装するとともに、提案された臨床研究を実施するために必要なデータを適切に収集する方法を整備していくことを両輪に進めており、整備された基盤の拡張とユースケースと称する臨床研究の実施を進めている。

4. 結果

2018 年 10 月より本取組みを本格稼働し、現在までに以下を達成した。

4.1 本取組みの目標の設定

本取組みは前述のように病院情報システムより RWD を収集し、RWE を創出するための試みである。RWE を創出するにあたっては、解析する元となるデータの信頼性を担保する必要がある。病院情報システムから RWD を抽出するにあたっては、その品質や施設間での比較可能性などを参加施設間で協議し、決定した上で取り組む必要がある。

そこで本取組みの開始にあたり、この取組みを通じて実施する内容についての目標を Mission と Vision という形で定義した。

Vision: クリニカルクエスチョンをはじめとする広範な課題に Real World Evidence として回答できる持続可能な臨床研究基盤の構築を通じ、最適な医療の実現に貢献する。

Mission: 高い品質を確保するデータ管理、将来的な拡大を見据えたシステム設計、基盤を維持する自立的なエコシステムの検討・整備、これらを支える人材育成の実施

この Vision と Mission に基づき、以下の活動を実施している。

4.2 各種会議体の設立

本取組みを推進するにあたり、病院内で本取組みに関与する様々な立場の方が協力して本取組みの推進にあたれるよう、また、施設間での意思統一を進めるために、本取組みを推進するための会議体を複数設立した。

4.2.1 協議体

主に中核病院の病院長あるいは ARO センター長が集う会議体として設立した。本取組みにおける決定事項について、最終的な決定権を持つ会議体である。年 1~2 回程度開催している。

4.2.2 ワーキンググループ

各施設の医療情報部長あるいはそれに相当する立場のメンバーで構成され、実務上の意思決定ならびに課題の整理とその解決を行うための会議体である。年 3~4 回程度開催している。

4.2.3 サブワーキンググループ

WG で整理された課題を個別に解決するための会議体である。それぞれの SWG に取りまとめ機関をおき、その取りまとめの元、各課題を解決するための方策を議論し、その解決策を実装する。本取組み開始後まずはユースケースの策定と研究に必要なデータ内容を検討する SWG1 および人材育成を議論する SWG2 を設置することから開始し、2020 年度にはさらに課題を整理し、6 つの SWG を設置することとした。

各 SWG の取組み内容については、それぞれの SWG より後述する。

4.3 ユースケースの選定と実装

本取組みにおいては臨床研究・治験の実施を支援してきた ARO との共同作業で行われる中で、ARO の特性を活かした臨床研究の実施が期待されるところである。

このような状況の中、ユースケースを募り、その実装について議論を進めることで、RWE 創出のための臨床研究に固有の課題を抽出することができる一方で、臨床研究の実施に必要なデータをどのように病院情報システムから収集できるかを、医療情報の専門家を交えて議論することで、整備が必要な基盤についてのフィードバックが得られるようになるという利点がある。

この体制を活用し、現在 4 つのユースケースについて議論が進んでおり、一部の課題においてその実装のためのシステム整備が行われているほか、他施設での情報収集が進んでいる状況である。

5. 考察

米国 FDA が発表した RWE Program では、RWD は様々な方法で収集可能な患者の健康状態あるいは行われた医療行為に関連する情報であり、RWE はこの RWD を解析することにより得られる医療に関する製品の利用状況や潜在的な利益、リスクに関する臨床的なエビデンスと定義されている。特に、RWE の創出に用いられた解析方法だけでなく、RWD の信頼性や適切性を判断する必要があり、RWD が得られた背景によって、考え方を整理する必要があるとされている。RWD の例として、本取組みで実施しているような電子カルテから情報を収集する方法のほか、レセプトデータ、レジストリーデータ、患者自身が記録している医療情報などがあげられている。

これら RWD の利活用の方法としては、医薬品・医療機器の安全性と有効性を証明すること、承認申請時の有効性を示す方法として使用すること、治験のデータの一部として用いることなどが期待されている。中でも承認申請への利活用は規制当局のみならず、製薬企業からも注目されている。

本邦における RWD の承認申請への利活用については独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency; PMDA) や厚生労働省、AMED のクリニカルイノベーションネットワーク (CIN) などで様々な側面から議論がされているが、中でも特筆すべきは 2018 年 4 月 1 日に施行された改正 GPSP 省令において、製造販売後データベース調査が新設され、MID-NET[®]がこの条件を満たすデータベースとして本格運用を開始されたことがあげられる。

このように RWD を用いた RWE 創出については非常に大きな注目が集まっている一方で、本取組みで実施しているような、病院情報システムから RWD を抽出するにあたっては様々な課題が存在することが本取組みでも明らかになっている。引き続きこれらの課題を整理し、基盤の整備、ユースケースの実装につなげていく試みを継続する必要があると考える。

6. 結論

臨床研究中核病院において、病院情報システムより RWD を収集し、RWE を創出するための試みを開始した。取組み開始後 2 年が経過し、ユースケースと称される、実際の臨床研究の取組みも開始され、その実装を可能とする基盤の整備が進んでいる。広範な研究に対応できるようになることを目指し、引き続き取組みを継続していく必要がある。

参考文献

- 1) Framework for FDA's Real World Evidence Program
[<https://www.fda.gov/media/120060/download> (cited 2020-July-1)]
- 2) リアルワールドデータを承認申請へ～活用促進のための提言～
日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会 タスクフォース 2, 2020.
[http://www.jpma.or.jp/medicine/shinyaku/tiken/allotment/pdf/bd_rwd_sg2.pdf (cited 2020-July-1)].