医療機器開発におけるリアルワールドデータ（RWD）の活用事例に関する調査

最終報告書

三菱総合研究所

ヘルスケア事業本部

2024年3月27日（水）

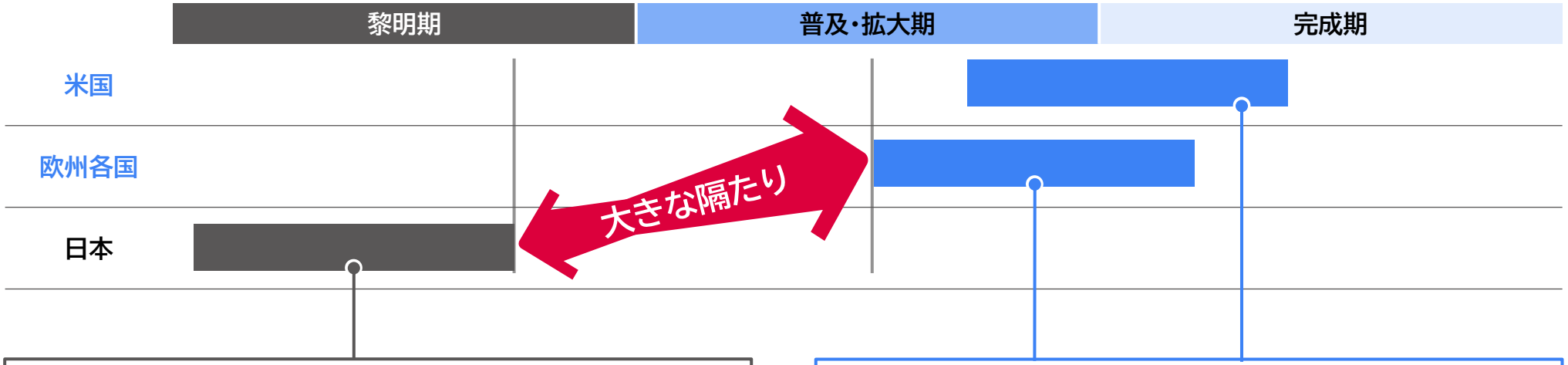
目次

（1）本調査の背景 3
（2）RWDに関する調査 8
（ア）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用推進に向けた制度概要 8
（イ）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例 38
① 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例デスクトップ調査 38
② 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例ヒアリング調査 58
（ウ）比較分析 101
（3）調査結果のとりまとめ 107

（1）本調査の背景、調査概要

1）医療機器開発におけるRWD活用の現在地

米国、欧州各国と比較して、日本におけるRWDの活用は遅れている



RWD活用実績の乏しさ

- 国内に大量にあるRWD（レジストリ、画像診断データ、等）を活かしきれていない
- 医療施設にRWDが保存されており、公共用としての扱いになっていない

RWD活用促進制度の浸透不足

- RWD活用が、制度に準じたスキームではなく、個社独自のスキームになっている

市場への積極的な情報公開

- 〈米国〉FDAからRWE活用90事例(※1)の詳細が公表されており、事例集として活用されている

迅速なRWD活用促進制度の立ち上げ

- 〈米国〉Pre-Cert Programを2017年に立ち上げ、開発企業をルールメイキングに積極的に取り込み
- 〈ドイツ〉DiGA fast trackを2019年に立ち上げ、加速度的な承認実績が市場のRWD活用促進を牽引

(※1)Examples of Real-World Evidence Used in Medical Device Regulatory Decisions, FDA Center for Devices and Radiological Health

Copyright © Mitsubishi Research Institute

2）日本でRWD活用が進まない原因・課題（仮説）

医療機器開発事業者にとって・・・

RWDを活用するメリットがわからない

- 既存の開発スキームのどこにRWDを活用したら、どのような恩恵があるかイメージできない
- RWDの有効性・安全性検証が十分でない中で、検証作業に資金、社内リソースをかけられない
- 費用対効果を考えると、RWDを使うことが利益に貢献するイメージができない

どのように、RWDを入手したらいいか、わからない

- 個人情報保護法／インフォームドコンセントへの対応が求められるが、法令対応が浸透していない
- RWDの保管先、管理元がわからずアクセスできない
- 電カル、レジストリデータの一部は、データの質が均一でなく、研究開発に応用できるレベルにない

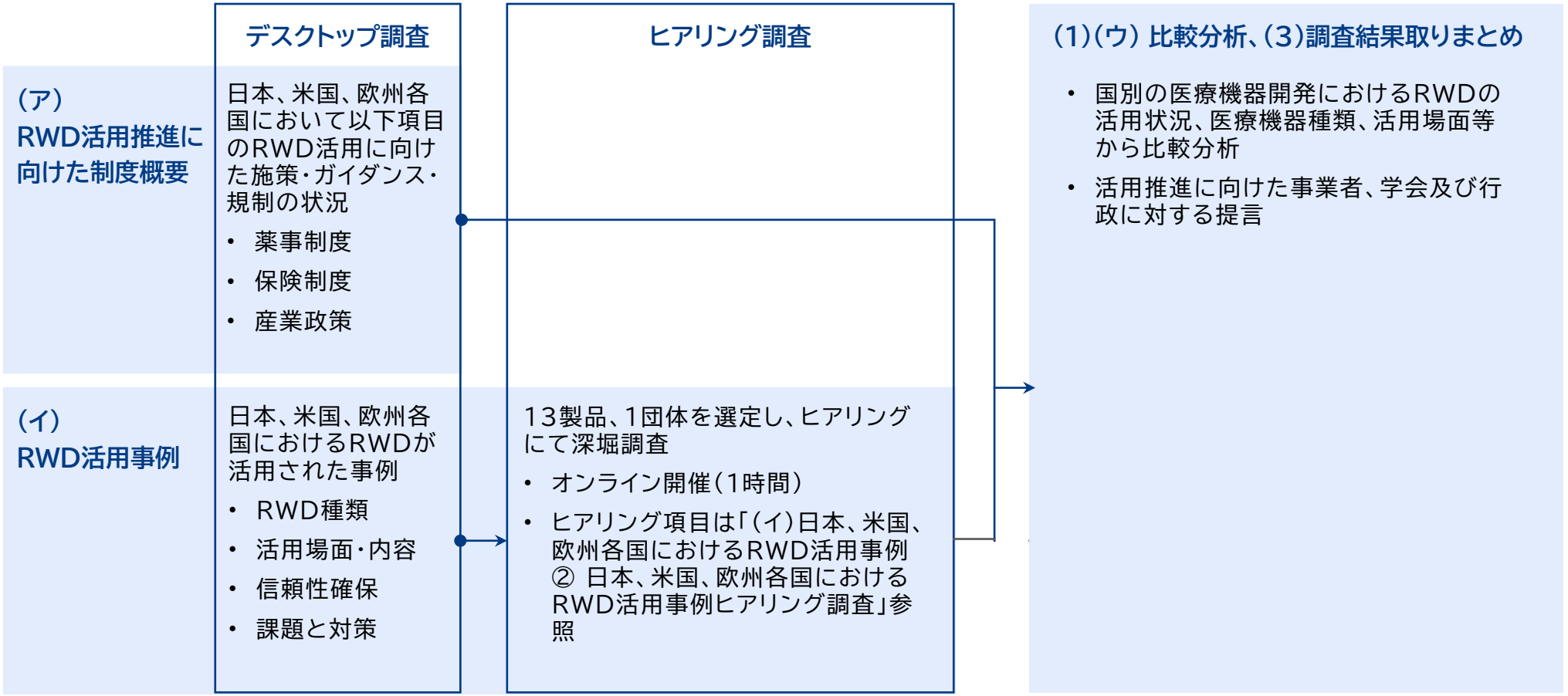
どのように、RWDが薬事申請、保険収載に活用できるか、わからない

- 申請側、規制側とも手探り状態が続いており、共通の理解が取れていない
- 求められるRWDの品質、信頼性、順法性（個人情報保護）、網羅性等のレベルが市場に浸透していない

Copyright © Mitsubishi Research Institute

3）調査概要

RWD活用推進に向けた制度概要と活用事例の2つの軸で調査



4）本書で用いる用語の定義・意味合い

<table>
<tr><th>用語</th><th>定義</th></tr>
<tr><td>RWD（※1）</td><td>日常的に収集される患者の健康状態又は医療提供に関するデータと定義する
治験データ、治験フォローアップデータはRWDの定義外とする
以下、RWDの具体例を参照
<table>
<tr><td>患者レジストリデータ</td><td>疾患／治療内容／治療経過など</td></tr>
<tr><td>保険データベース</td><td>健診データ／各種検診の受診結果／履歴など</td></tr>
<tr><td>電子カルテデータ等を含むデータベース</td><td>電子カルテデータ／病名／処方／検査結果など</td></tr>
<tr><td>レセプトデータ</td><td>診療報酬／診療情報／患者情報／傷病や薬剤の情報など</td></tr>
<tr><td>その他</td><td>ウェアラブルデバイス／医療機器から得られるデータなど</td></tr>
</table></td></tr>
<tr><td>RWE（※1）</td><td>RWDの分析から得られた医療製品の使用方法と潜在的な利益またはリスクに関する臨床的エビデンス</td></tr>
<tr><td>EHR（※2）</td><td>医療機関等の保有する患者・住民の医療・健康等の情報を、異なる医療機関等で共有することを可能とする医療情報連携基盤</td></tr>
<tr><td>NDBデータ（※3）</td><td>レセプト情報・特定健診等情報データベース
厚生労働省が、法律に基づき、レセプト情報（診療報酬明細書）等を収集し、個人の特定ができない形でデータベース化したもの</td></tr>
<tr><td>DPCデータ（※4）</td><td>DPC制度の導入の影響評価及び今後のDPC制度の見直し（診断群分類毎の点数の設定及び診断群分類の見直しを含む）の為に、DPC対象病院等から収集するデータの総称</td></tr>
</table>

※1 FDA Science & Research _ Science and Research Special Topics _ Real-World Evidenceを参照に定義
＜https://www.fda.gov/science-research/science-and-research-special-topics/real-world-evidence＞、[last accessed 2024.02.15]
※2 総務省 医療・介護・健康分野におけるICT利活用の推進 第2部 基本データと政策動向 第5節 ICT利活用の推進 （2）医療・介護・健康分野におけるICT利活用の推進
＜https://www.soumu.go.jp/johotsusintokei/whitepaper/ja/h29/html/nc275120.html＞、[last accessed 2024.02.15]
※3 厚生労働省 NDBデータの利活用の現状 2023/11/13 医療等情報の二次利用に関するワーキンググループ 保険局医療介護連携政策課 保険データ企画室
＜https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001166477.pdf＞、[last accessed 2024.02.15]
※4 内閣府 DPCについて
＜https://www8.cao.go.jp/kisei-kaikaku/kaigi/meeting/2013/wg3/kenko/150217/item2-2-2.pdf＞、[last accessed 2024.02.15]

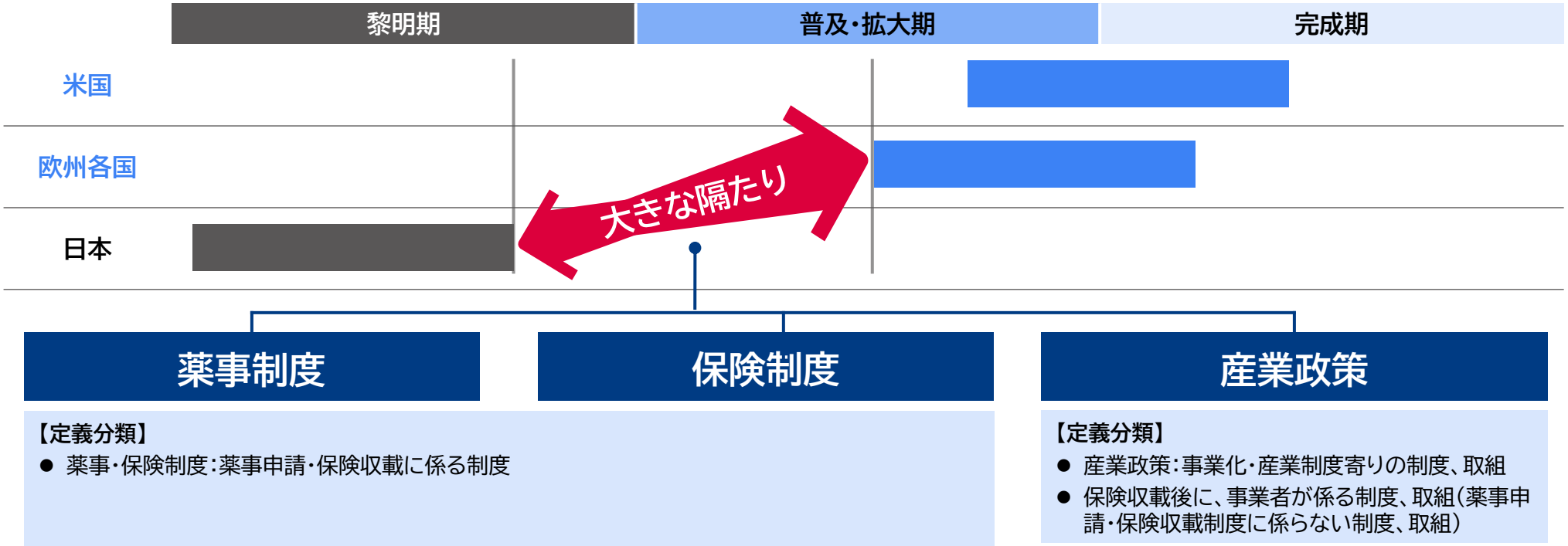
（2）RWDに関する調査

- （ア）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用推進に向けた制度概要
- （イ）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例
  - ① 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例デスクトップ調査
  - ② 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例ヒアリング調査
- （ウ）比較分析

1）調査方針（1/2）

RWD活用を促進する国内外の制度や産業政策・取組を確認

- RWD活用に係る日本と海外（米国、欧州）の薬事制度や保険制度、産業政策に関する内容を整理
- 日本と海外の間にあるRWD活用に関する隔たりを制度面、産業政策より確認し、日本に対し参考となる海外事例を把握
- IMDRF（注1）、UDI（注2）、RWDの定義・個人情報保護、RWDの管理者を整理



（注）IMDRF（International Medical Device Regulators Forum：国際医療機器規制当局フォーラム）
UDI（Unique Device Identification：医療機器の個体管理・個体識別のための国際的な法規則）

1）調査方針（2/2）

医療機器の開発プロセスや保険申請項目に沿い薬事・保険に係る各制度を整理・比較

1 開発プロセス・保険申請項目に沿った制度の整理

- 薬事制度は、現在の日本、米国、欧州各国のRWD活用に向けた施策を整理
- 保険制度は、対象国の対比表を作成し、申請項目に沿ったRWD活用状況を整理

2 日本、米国、欧州（英国、ドイツ）を比較・検討

- 薬事、保険制度において、日本における更なるRWD活用に向けた制度設計上、参考となる情報を比較・検討
- RWD活用に関する産業政策を調査

2）日本・米国・EUにおけるRWDの定義

各国の定義から、RWDとして想定されている対象に大きな差異はない

- 国際的に統一された定義は確認されていないが、EHR（Electronic Health Record：電子健康記録）、医療費データ、レジストリ、モバイルデバイスなどから日常的に収集されたデータを含んでいる点において差はない

項目	日本	米国（FDA）	EU（欧州EMA）
定義	- 多様なデータソースから日常的に収集される患者の健康 - 状態及び／又は医療提供に関するデータ - FDAの定義に従う	- リアルワールドデータは、患者の健康状態や医療提供に関するデータで、様々な情報源から日常的に収集されるもの - （Real-world data are data relating to patient health status and/or the delivery of health care routinely collected from a variety of sources. ）	- リアルワールドデータとは、「従来の臨床試験以外の様々な情報源から日常的に収集される、患者の健康状態や医療提供に関するデータ」と定義される - （It has become mainstay to use routinely collected data about a patient’ s health status or the delivery of healthcare from a variety of sources other than traditional clinical trials to support decision-making.）
具体例	- NDB（National Date Base）、DPCデータなどのレセプトデータ - NCD（National Clinical Database: 手術症例データベース）、学会によるレジストリなど	- 電子カルテ（EHR）、診療報酬の請求・支払に関する情報、医薬品や疾患のレジストリ、家庭環境における患者報告データ、モバイルデバイスで収集されたデータなど	- DaTraVデータ（DaTraV-Daten）、CPRD（Clinical Practice Research Datalink）など

出所）
日本：「承認申請等におけるレジストリの活用に関する基本的考え方」について、令和３年３月22日付通知、p.15＜https://www.pmda.go.jp/files/000239817.pdf＞
FDA:Real-World Evidence、＜https://www.fda.gov/science-research/science-and-research-special-topics/real-world-evidence＞、[last accessed 2024. 02. 15]
EU:Use of real-world evidence in regulatory decision making – EMA publishes review of its studies ＜https://www.ema.europa.eu/en/news/use-real-world-evidence-regulatory-decision-making-ema-publishes-review-its-studies＞ [last accessed 2024. 03.14]

3）IMDRFにおけるRWD適用に対する考え方（1/3）

IMDRFでは、医療機器規制の国際整合化について将来の方向性を議論

- IMDRF（International Medical Device Regulators Forum）＝国際医療機器規制当局フォーラム
  - 医療機器規制国際整合化会議（GHTF：Global Harmonization Task Force）を前身として2011年創設
  - 医療機器規制当局による医療機器規制の国際整合化について将来の方向性を議論するフォーラム
  - 各国から組成され、国際規制調和に受けたガイダンス文書を作成するなどを活動とする
  - 対面会合は年2回開催され、日本からはPMDA・厚生労働省が参加し、日本は2025年に議長国をつとめる



メンバー	日本、米国、EU、カナダ、オーストラリア、ブラジル、中国、ロシア、シンガポール、韓国、英国
オブザーバー	WHO、アルゼンチン、スイス、南アフリカ

出所）独立行政法人医薬品医療機器総合機構ウェブサイト　IMDRF　国際医療機器規制当局フォーラム
＜https://www.imdrf.org/sites/default/files/2023-04/14.%20Real%20World%20Evidence%20-%20Lyu%20Yunfeng%20%28China%29.pdf＞
厚生労働省医薬・生活衛生局 医療機器審査管理、IMDRFの現状と今後の動向について＜https://www.pmda.go.jp/files/000252766.pdf＞、[last accessed 2024.02.15]

3）IMDRFにおけるRWD適用に対する考え方（2/3）

IMDRFでは、データの品質や臨床評価におけるRWDの適用について考え方を提示

- データの品質担保のための「6つの視点」：代表性、完全性、正確性、一貫性、信憑性、信頼性
- 異なる臨床的エビデンスの要求を満たすため、RWDが様々な用途にて用いられる可能性を示唆

#	視点	内容
1	代表性	データソースの母集団が対象母集団を代表する範囲
2	完全性	分析の主要変数が継続的に収集されているレベル
3	正確性	収集されたデータ記録の正確性の程度（例.患者年齢、機器、手術の種類など）
4	一貫性	同一のデータ収集プロセスと手順で収集されたデータソース（統一された症例報告書式やバージョン管理等されたデータ収集様式）に従う
5	信憑性	データソースにおいて医療機器が識別できる程度（UDIによる一貫記録）
6	信頼性	再現可能である度合い

出所）IMDRF Uses of real-world evidence in a regulatory context、27-03-2023、[last accessed 2024.02.15]
<https://www.imdrf.org/sites/default/files/2023-04/14.%20Real%20World%20Evidence%20-%20Lyu%20Yunfeng%20%28China%29.pdf>

3）IMDRFにおけるRWD適用に対する考え方（3/3）

製造販売前後にてRWDの適用を整理

- 製造販売前後各段階におけるRWDの適用場面として主に以下が示唆されている

段階	具体的な適用場面
製造販売 **前**	- 既存のエビデンスを補完するものとして、また市販前臨床評価を支援するエビデンスとしてRWDを使用 - 臨床試験の外部対照としてRWDを使用 - 単一群調査の目標値を設定するためにRWDを使用
製造販売 **後**	- 適応または禁忌の拡大RWDを使用 - IFU（Instructions For Use）の改訂RWDを使用 - ハイリスクの植え込み医療機器等、長期的な安全性及び／又は有効性評価にRWDを使用 - 希少疾病治療用医療機器のライフサイクルの臨床評価にRWDを使用 - 市販後サーベイランス調査にRWDを使用 - 臨床試験の外部対照としてRWDを使用 - 単一群調査の目標値を設定するためにRWDを使用

出所）IMDRF Uses of real-world evidence in a regulatory context、27-03-2023、[last accessed 2024.02.15]
<https://www.imdrf.org/sites/default/files/2023-04/14.%20Real%20World%20Evidence%20-%20Lyu%20Yunfeng%20%28China%29.pdf>

4）日本におけるレジストリ活用の基本的考え方

「承認申請等におけるレジストリの活用に関する基本的考え方」（令和３年３月23日付 通知）における記載

- RWDデータソースとして、診療記録・レセプト・疾患レジストリ・製品レジストリのデータ、その他の健康状態に関連するデータソースからのデータ（家庭内機器やモバイルデバイス等からのデータを含む）を挙げている
- レジストリの利用目的によってデータに求められる信頼性の水準が異なることから、PMDAの対面助言を活用して事前に相談することを強く推奨している
  - 【レジストリ活用に関して記載されている適用】
    - 臨床試験の臨床試験の外部対照としての承認申請等における有効性及び/又は安全性の評価
    - 条件付き承認を受けた医薬品及び医療機器、並びに条件及び期限付き承認 を受けた再生医療等製品における有効性及び／又は安全性の評価
    - 製造販売後における有効性及び／又は安全性の評価

≪ レジストリ活用の考え方における日本の現状 ≫

#	ポイント
1	IMDRFガイダンスからの乖離は認められない
2	新たに構築されるレジストリだけではなく、これまでに構築されデータが集積されたものが適用範囲
3	RWDの一つであるレジストリの活用方法を示しているが、他データソース情報はレジストリに連結した補完データとしての活用に言及を留めている
4	医療機器業界団体からは「臨床試験を代替するものとして、以下情報が含まれることを明確にすること」を求めている - ①製造販売後調査に基づく資料 ②レジストリデータ ③レセプト／カルテ情報 ④製品に蓄積されるデータ

出所）「承認申請等におけるレジストリの活用に関する基本的考え方」について（令和３年３月23日、薬生薬審発0323第1号・薬生機審発0323第1号、厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長・医療機器審査管理課長通知）
独立行政法人医薬品医療機器総合機構ウェブサイト「PMDAにおけるリアルワールドデータ（RWD）活用推進に向けた取組み」、
＜https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/000748587.pdf＞、[last accessed 2024.02.15]

5)米国におけるUDIの活用とRWDの活用状況

米国の冠動脈ステントの例では患者データ等をUDIが紐づき、処理・管理され、調査・研究に活用

- 米国食品医薬品局(FDA)は、医療機器の安全性と性能の追跡を改善する必要性を認識しており、その重要な戦略として電子医療情報への機器識別子(UDI)の実装を提案、整備している
- FDAは、Mercy Health System(保険業務やクリニック運営等を行う団体)と連携し、UDIを含む電子情報システムを構築し、製造～使用～長期フォローアップまで、UDIに関連したデータフローが実現され、臨床データとUDIがリンクしている
- 機器属性を含むデータベースと、臨床および機器情報を含むUDI Research and Surveillance Database (UDIR)が作成され、機器性能の縦断的評価が可能になった(現在はNESTccがデータ管理の役割を担う)
- 実証実験には、Mercy Health 、製造業者、医療システムパートナー、FDA、専門学会、National Cardiovascular Data Registry、情報システムベンダーなど、多くの関係者が参加
- 事例として、冠動脈ステントのUDIのプロトタイプが作成され、一連の情報システムに実装



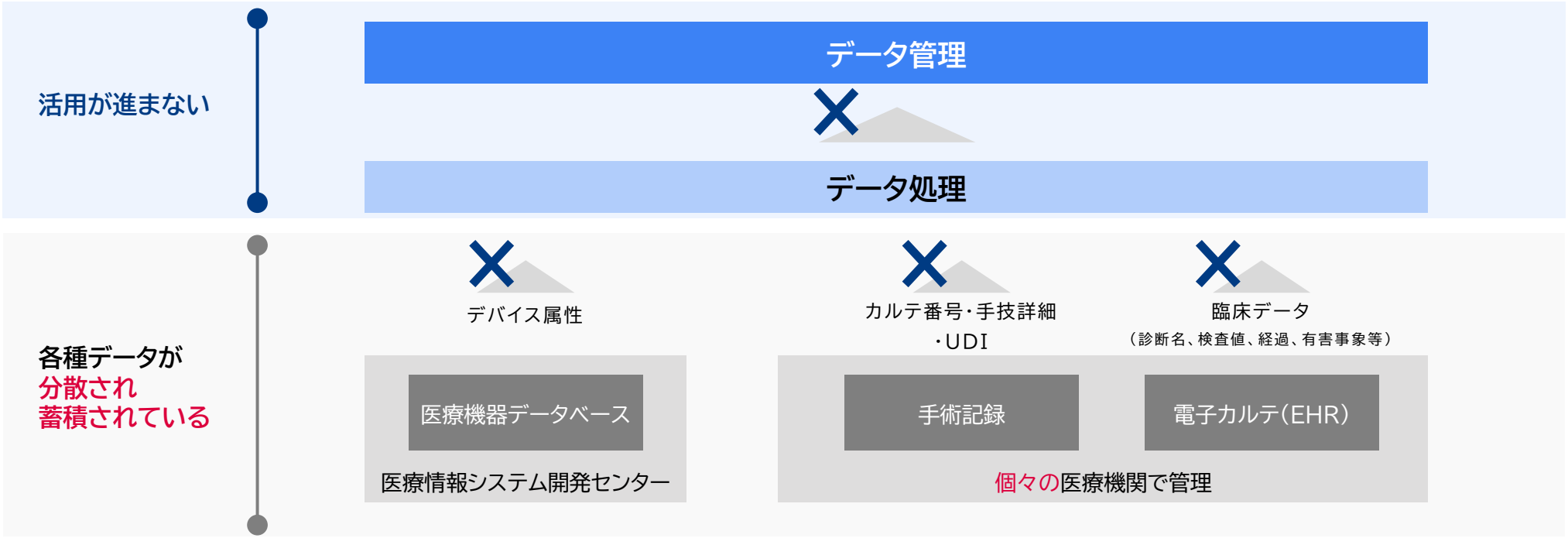
出所)FDA Global Unique Device Identification Database (GUDID)、[last accessed 2024.02.15]
<https://www.fda.gov/medical-devices/unique-device-identification-system-udi-system/global-unique-device-identification-database-gudid>
National Library of Medicine Constructing the informatics and information technology foundations of a medical device evaluation system: a report from the FDA unique device identifier demonstration、<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/28472359/>、[last accessed 2024.02.15]

6）日本におけるUDIの活用とRWDの活用状況

日本では医療機器データベースと手術記録等が分散・蓄積しており、UDIデータを活用しづらい状況

- 米国と比較すると、日本では分散的に各種データ（デバイス属性、カルテ番号・手技詳細、UDI、臨床データ）を管理
- 製造販売業者によるUDIのMEDIS-DCへの登録は任意（※）であり、流通している医療機器の一部に留まっている
- 各種データ群を統合的にデータ処理、データ管理する環境が未整備であり、企業や研究者がUDIデータを活用しづらい状況

日本におけるUDIの活用の実態



※　登録の割合は不明

7）主要各国におけるRWD運用事例

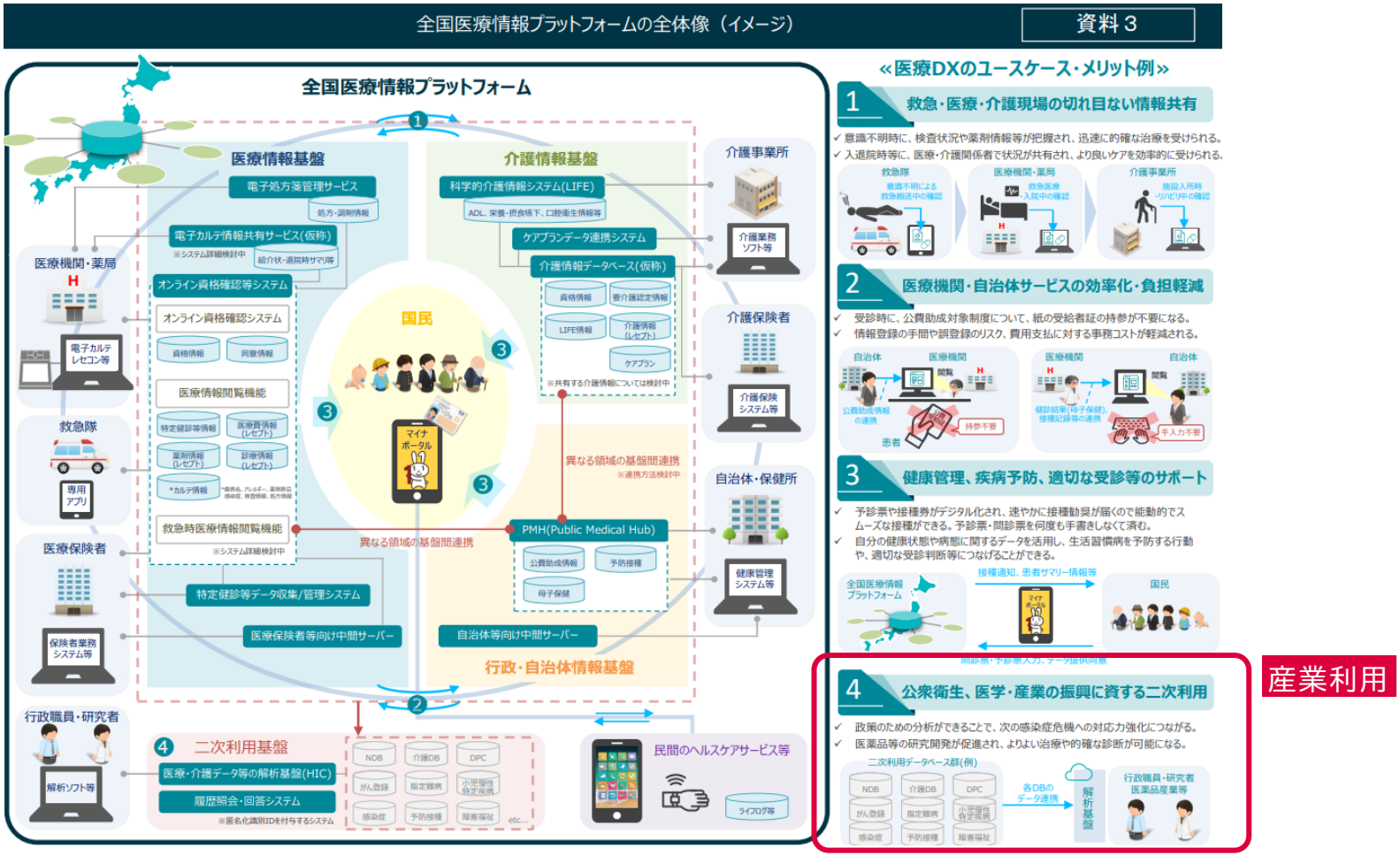
- 日本は皆保険制度であることから医療レセプトはデータとして充実
  ただし、カルテやワクチン接種などのEHR（Electronic Health Record：電子健康記録）や介護等周辺データとの連携が弱い
- 海外ではレセプト、EHR、統計など様々なデータが包含され運用されているが、日本はNDBにおいて医療レセプトと特定健診（実施が義務付けられているもの）が一体として公開・提供されているに留まる
- 日本のRWDは管理運用主体と監督者が実質的に同一だが、海外では別々であり、ガバナンスが働いていると推測される
- 各国いずれも匿名化処理は実施され、個人情報保護の体制は整備されている

≪　主要各国のRWD運用事例　≫

国	データ名称	管理運用主体	DB運用監督	データ内容	匿名化	利用申請資格者	営利目的（薬事・保険を含む）での利用可否
日本	NDB（National Database）	厚生労働省・支払基金	不明	- レセプト情報、特定健診等情報	●	- 公的機関、大学、研究開発行政法人等、民間事業者、補助金等て業務を行う個人 - オープンデータ（集計）は制限なく活用可能	- 相当の公益性を有すると認められる業務 - 特定の商品または役務の広告・宣伝は不可
日本	NCD（National Clinical Data）	（一社）National Clinical Database	NCD運営組織の監査グループ	- 手術症例データ	●	- 症例登録を行った施設診療科（自施設フィードバックデータ）、参加学会	- 不可
米国	CMS Data	CMS（Medicare・Medicaid サービスセンター）	保健福祉省長官	- Medicare、Medicaidのレセプト情報、統計・研究データ等 - 約5,300万人分（Medicare受給者）	●	- CMS受託契約者、CMS職員、研究者、連邦/州政府職員	- 不明
英国	CPRD（Clinical Practice Research Datalink）	MHRA（医薬品医療製品規制庁）	保健大臣、HRA（保険研究機構）	- プライマリケアにおける診療情報、処方薬情報、予防接種記録、検査情報等	●	- 研究者	- 制限なし（商用利用も可能）
ドイツ	DaTraVデータ（DaTraV-Daten）	DIMDI（ドイツ医療文書情報機構）	連邦保健省	- GKV（公的医療保険）のレセプト情報、各種統計情報、海外の情報	●	- 公的機関	- 不明
韓国	NHISデータ（国民健康情報資料）	NHIS（国民健康保険公団）	保健福祉部健康保険政策局保険政策課	- 国民健康保険のレセプト情報、保険料等、健康診断結果 等	●	- 研究者、中央政府機関等	- 制限なし
デンマーク	研究サービス（Forskerservice）	保健情報庁（Sundhedsdatastyrelsen）	保険高齢化省	- 全国患者登録制度の下に電子報告システム（SEI）を通じて収集された患者/疾患登録簿	●	- 研究者	- 不明

8)日本における医療情報プラットフォーム案

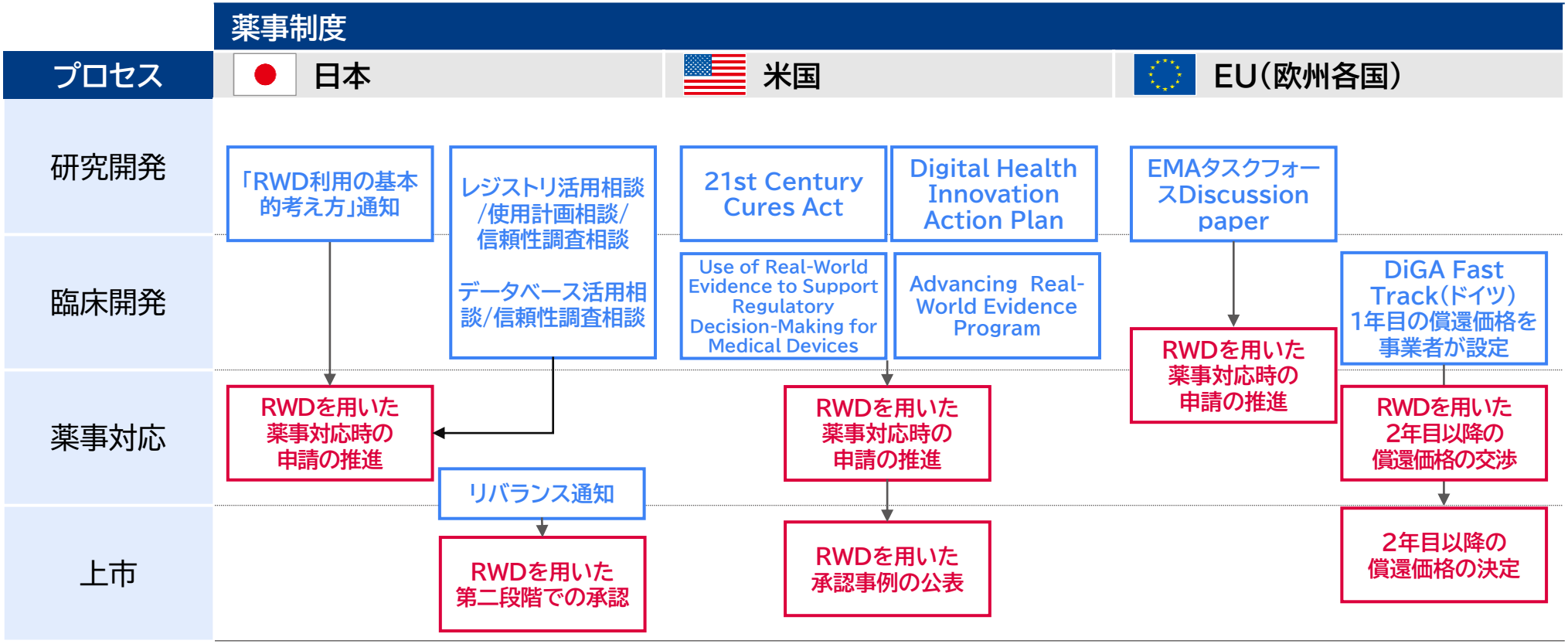
- 現在、「全国医療情報プラットフォーム」が整備中であり、課題とされた各種RWDの連結・統合が推進され、研究開発などへのデータの二次利用につながることが期待される



出所)厚生労働省、医療DX推進に関する意見交換会(2023年9月8日) 資料3、<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001144379.pdf>、[last accessed 2024.02.15]、赤枠は当社追記

9)薬事制度に関する比較

- 日本・米国・欧州各国のいずれも、医療機器の開発プロセスそれぞれに対応する薬事制度は整備されている
  - 日本では、PMDAに「RWD WG」を設置し、課題抽出、RWD利用例の国内外への発信、活用推進の情報発信等を実施
    また、PMDAによるレジストリ活用相談等を通じて、早期段階でのデータ活用の可否について相談できる体制を整備しており、諸外国と同様の環境を整備
  - 米国では各プロセスに沿ってRWDの活用に係る通知等を提示し、RWDの受け入れ基準、承認事例の公表を推進
  - ドイツでは、デジタル医療機器分野でDiGA Fast Track制度を整備し、2年目以降の保険償還価格の交渉にRWDを用いる体制を整備



10）日本における薬事関連の制度等

対象	発出主体	制度名・参考資料（提言を含む）	年	概要	RWD活用に向けたポイント
日本	PMDA＜審査担当部署、信頼性保証担当部署＞	承認申請等活用ガイダンス	2021	- レジストリデータを承認申請等に活用する場合の基本的考え方を示す - レジストリデータを承認申請等に利用する場合には、その信頼性を確保	- 臨床試験の補完または代替として安全性・有効性を評価し、臨床開発における活用を促進
日本	PMDA＜信頼性保証担当部署＞	レジストリ活用相談（医薬品・再生医療等製品・医療機器）	-	- 承認申請又は使用成績評価申請への活用を前提とした計画の考え方及びその際のレジストリの質向上及び信頼性確保のための一般的な考え方の助言を実施	- 早期段階でデータ活用の可否について規制当局と合意
日本	PMDA＜審査担当部署＞	レジストリ使用計画相談（医薬品・再生医療等製品）	-	- 医薬品・再生医療等製品の承認申請又は再審査申請において、個別品目の有効性及び安全性の評価にあたり、レジストリを活用したい場合、当該レジストリの使用計画について、活用目的に即した使用の妥当性及び評価項目の充足性等について指導及び助言を実施	- 早期段階でデータ活用の可否について規制当局と合意
日本	PMDA＜信頼性保証担当部署＞	医療機器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	2018	- 医療機器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を示す	- 医療情報データベースを活用する際の信頼性を担保
日本	PMDA＜信頼性保証担当部署＞	レジストリ信頼性調査相談（医薬品・再生医療等製品・医療機器）	-	- レジストリを用いた承認申請又は再審査・使用成績評価申請を予定している医薬品等の個別品目について、申請前又は製造販売後調査等開始前にそのレジストリの信頼性について確認及び助言を実施	- 早期段階でデータ活用の可否について規制当局と合意
日本	PMDA＜審査担当部署＞	リバランス通知	2017	- ・医療上の必要性が高い機器であるにも関わらず、医療機器の改良/改善の頻度が高いことなどから頻繁に治験を行うことが難しい現状を考慮し、通知で明確化したもの - 医療機器の市販前/市販後を通じた取組を踏まえた医療機器のリバランスに関する考え方を整理 - PMDAの対面助言（開発前相談、臨床要否相談）を活用して指定を受けたのち、二段階承認を得る - 初回承認で「××を測定できる医療機器」とし、市販後に、臨床的有用性を検証するためのデータを備えた上で、「X疾患治療に用いる機器」として第二段階の薬事申請・承認を得る	- 市販後データ、レジストリの利用が想定
日本	PMDA＜審査担当部署＞	追加的な侵襲・介入を伴わない既存の医用画像データ等を用いた診断用医療機器の性能評価試験の取扱い	2021	- 診断用医療機器を対象とし、追加的な侵襲・介入（診断結果の伝達を含む）を伴うことなく、既存の医用画像データ又は生体試料及びこれらに関連する既存の診療情報等（通常の診療で得られたもの又はそれらを収集したバイオバンク、データベース等において提供されているものに限る - 介入を伴う臨床研究等で得られたデータ等を除く）を収集して実施する性能評価試験を対象	- 既存データを用いることでGCP省令は求められず、リソースとコストを削減し、開発速度と効率を上げる

11）米国における薬事関連の制度等（1/2）

対象	発出主体	制度名・参考資料（提言を含む）	年	概要	RWD活用に向けたポイント
米国	FDA	21st Century Cures Act	2016	- 医薬品・医療機器の承認プロセスの迅速化、連邦政府からの研究資金の増額による新たな医療提供に係る導入スピードを向上させることを目的とした法律 - 統計学、データサイエンス、メタアナリシス、臨床アウトカムリサーチなどの専門知識を持つFDAの専門スタッフが RWEの使用を評価するための枠組みと方法論を開発し、ガイダンス草案を作成 - FDAには活用に向けた制度作りを義務付け（予算: 9年間5億ドル）	- 承認プロセスに RWD/RWE の活用が明記されている（臨床試験デザインとアウトカム評価への活用）ことで、承認プロセスの迅速化への寄与が期待される - 規制上の意思決定における RWEの使用に関するワークショップを開催 - ヘルスケア改革推進、Unmet Medical Needsに対する研究促進、臨床試験の標準化などについて言及
米国	FDA	Digital Health Innovation Action Plan	2017	- Digital Health Innovation Action Plan: FDA承認規制の緩和が目的 - Software Pre-certification Program: Real World Evidenceの活用推進についてのプログラム（「Center for Devices and Radiological Health（CDRH）による事前認証制度」を含む）	- CDRHに事前認証された企業は、①追加のFDAレビューの省略、②CDRHスタッフによる迅速なレビュー、③市販後RWDの収集活用、④National Evaluation System for Health Technology（NESTcc）を活用した機器の評価と規制の意思決定　を可能とする
米国	FDA	Use of Electronic Health Record Data in Clinical Investigations	2018	- FDA の規制に基づいて行われる臨床研究で EHR データを利用する際に考慮すべき事項や、規制要件等をまとめたガイダンス（本ガイダンスは日常診療下での臨床研究も含めている） - 医薬品、生物製剤、医療機器、コンビネーション製品の前向き臨床研究を対象としている - また、米国の新薬臨床試験開始届（以下、IND）や医療機器臨床試験開始届を提出していない米国外の臨床試験であっても、試験データを医薬品または医療機器の承認申請資料に用いる場合は本ガイダンスの対象となる - 一方、EHR データを用いた市販後観察研究と試験計画・被験者登録の実施可能性評価、レジストリや疾患の自然歴を評価する研究は対象外である	- RWDとは書かれていないが、日常診療下での臨床研究を含めた前向き臨床試験とされている

11）米国における薬事関連の制度等（2/2）

対象	発出主体	制度名・参考資料（提言を含む）	年	概要	RWD活用に向けたポイント
米国	FDA	Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices	2017	- 規制当局であるFDAの意思決定に利用可能なRWEの構築に十分を判断するために、実臨床データの評価方法に関するガイダンス - ソフトウェアを含む医療機器に適用される	- 規制当局と薬事申請者に対する共通ガイダンスを示すことでスムーズなRWE活用を促進する
米国	FDA	Advancing Real-World Evidence Program	2022	- 採択されたものに対し、プロトコル開発、試験開始前に、医療製品開発におけるRWEの使用について検討するために、当局スタッフと面談する機会を提供 - 目的は主として次の3点: ①新たな適応、集団、用量情報などの有効性や承認後の試験要件を満たすRWEを構築するためアプローチを特定、②RWEに関する一貫した意思決定等について当局にてプロセスを開発、③FDAがAdvancing RWE Programで検討された試験デザインについて公開での議論ができるようにし、規制上の決定をサポートできるRWEの特徴についての認識を促進	- RWEの構築を規制当局が開発段階から支援するプログラムを提供することで、RWDの活用を推進する

12）欧州における薬事関連の制度等

対象	発出主体	制度名・参考資料（提言を含む）	年	概要	RWD活用に向けたポイント
EU	EMA	Discussion paper: Use of patient disease registries for regulatory purpose – methodological and operational considerations	2018	- EMAのレジストリに関するタスクフォースが2018年11月に発行したディスカッションペーパー	- 疾患レジストリまたは疾患レジストリを用いた試験を規制当局の意思決定に利用するための推奨事項が示されている
EU	HMA-EMA	HMA-EMA Joint Big Data Taskforce Summary report	2019	- EMAと欧州医薬品規制首脳会議（以下、HMA）の共同タスクフォース - Regulatoryの観点からビッグデータを利活用するために必要な条件等を検討することを目的として結成 - ゲノム研究、臨床試験、観察研究など、ビッグデータの使用目的に応じた6つのサブグループに分かれ、各分野でのデータセットの特性やビッグデータが利用可能な場面、それに対する各国規制当局の理解度合いなどを調査または評価	- ビッグデータに関する各国規制当局の状況について紹介されており、活用するRWDがEU内のどの国で使用可能かを確認
ドイツ	BfArM	Digitale Gesundheitsanwendungen（DiGA, Digital Helath Applications）	2019	- DiGAディレクトリへ登録されると医療提供者による処方の対象となる - DiGA登録に必要な一般的要件（DiGAV: 安全性と使用適正、データ保護、情報セキュリティ、相互運用性等）を満たしていること、医療目的に関する有効性を有していることの2点が要件 - 有効性を証明するためのエビデンスが無い場合でも暫定的な追加を申請可能で、最長12か月間、実臨床において使用し、RWDを用いて有効性を証明するための試験を実施できる	- 暫定的追加後、最長12ヶ月間、実臨床において使用し、RWDを用いて有効性を証明するための試験を実施できる - 暫定的追加の制度を整備することで、参入ハードルが下がったと考えられる
EU	EMA	Dawin EU	2020	- 欧州医薬品庁（EMA）と欧州医薬品規制ネットワークは、欧州連合（EU）全体で、ワクチンを含むヒト用医薬品の使用、安全性、有効性に関するエビデンスを、実世界のヘルスケアデータベースからタイムリーかつ確実に提供するための調整センターを設立 - この機能はData Analysis and Real World Interrogation Network（DARWIN EU®）と呼ばれている	- （調査時時点では医薬品対象のため参考）
EU	EMA	European Health Data Space（EHDS）	2023	- 欧州委員会の欧州保健データ空間（EHDS） - Dawin EUとのネットワークを構築し、データ保護要件を完全に遵守しながら、欧州全域での医療提供、政策立案、研究に利用するための医療データの交換を可能とする - 欧州レベルでのデータプラットフォームのネットワークを構築し、国境を越えたユースケースを実施することで、将来のEHDSのための提言を行うという欧州委員会のプロジェクトに応えることを目的とし、パイロットが開始	- （調査時時点では医薬品対象のため参考）

13）保険制度におけるRWDの活用分野

各国における保険制度上のRWDの活用状況には大きな差異はない

- 日本では、RWDはC1/C2/B3及びチャレンジ申請において、臨床上の有用性と医療経済性のエビデンスとして活用することが推奨され、保険償還の可否、償還価格に影響を及ぼす
- 一方、海外では公的保険の償還可否（償還範囲）の判断に用いられる

			日本	米国		英国	ドイツ
				公的	民間		
RWD活用領域 保険申請時	申請時のエビデンス	薬事申請	●	●	―	●	●
		保険申請（償還可否、償還価格）	●	●	● 2）	●	●
		患者数・市場予測	●	●	―	―	―
	医療技術評価/費用対効果評価		● 1）	●	● 3）	●	● 4）

1）費用対効果評価制度の対象
2）公的医療保険（CMS）の償還範囲に倣う傾向にある
3）医療経済性に関する研究・論文等を参照する運用実態がみられる
4）DiGA Fast Trackの対象品目

【凡例】 ● 実績を確認
― デスクトップ調査では該当情報が見当たらないもの、また、米国民間保険にて不明なもの

14)保険制度に関する情報の整理｜日本

- 日本では、革新的な医療機器の保険申請(C申請など)において、厚生労働省管轄の各種統計情報(患者調査、社会医療診療行為別統計)、NDBデータ、DPC公開データなどを用いている
- RWDは、申請書類(保険適用希望書)における、市場規模(推定適用患者数、販売予測など)、医療経済性の基礎データとして活用

国	保険制度	制度の概要	RWDの活用領域	製品(例)
日本	- C1/C2/B3区分での保険適用希望	- 臨床における現状の課題に対する解決策としての新製品について、臨床上の有用性を示すエビデンスを用いて、保険上の評価を希望するもの	- 厚生労働省発行「医療機器・体外診断用医薬品の保険適用に関するガイドブック」にて、推定適用患者数(市場規模)の推計根拠としてNDB公開データやDPC公開データの活用を推奨	- 保険適用希望書は非公開のため、NDBデータを基に推定適用患者数を算出した事例は不明
	- チャレンジ申請 「医療機器の保険適用等に関する取扱いについて」(医政発0209第3号、保発0209第4号、令和4年2月9日)	- 特定保険医療材料を対象として始まり(2018年)、2022年より技術料包括の医療機器へも拡大された制度 - 初回の保険収載までの間に真の臨床的有用性の検証が困難な場合に、1度目の保険収載後、有用性に関するエビデンスを収集したのち、その有用性に対する加算等を求めるもの - 二段階保険収載制度: 1段階目はチャレンジ権の申請・取得、2段階目はチャレンジ本申請(C1/C2/B3など) - 令和6年度より、保険適用後1年以内の製品についてもチャレンジ権の申請が可能となった - また、体外診断用医薬品、プログラム医療機器にも適用が拡大	- 自社による市販後調査やレセプトデータを活用した申請を可能とする - あらかじめ保険申請に値する評価方法であることを中医協 保険材料等専門組織の了承を得る必要あり	- ゴア®CTAG 胸部大動脈ステントグラフトシステム(※1) - Expedium Verse Fenestrated Screw システム(※2)
	- 医療技術評価提案書(診療報酬改定時の学会要望)	- 外保連、内保連を通じて、医学会より診療報酬についての改定要望(評価の新設を含む)を求めるもの	- 要望内容の根拠として、National Clinical Dataや学会レジストリの分析研究論文を用いることも可能	- 日本小児循環器学会: 日本先天性心疾患インターベンション学会レジストリー(JCIC-Registry) - 日本胃癌学会(※3): NCD (National Clinical Data) - 日本放射線腫瘍学会(※4): 学会レジストリ

※1 日本ゴア合同会社 ニュース&トピック ゴア® TAG® コンフォーマブル 胸部大動脈ステントグラフト アクティブコントロールシステム 新機能区分獲得<https://www.goremedical.com/jp/news/231116003-JA>、[last accessed 2024.01.26]
※2 厚生労働省医療機器の保険適用について中医協 総－1－1、3.12.8(令和4年4月収載予定)<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000863876.pdf>、[last accessed 2024.01.26]
※3 ロボット支援手術に関わるNCDによるレジストリー研究を用いて、施設基準の緩和を実現、厚生労働省、令和5年度第1回診療報酬調査専門組織・医療技術評価分科会 議事次第 医療技術評価・再評価提案書提案書01<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001168701.pdf>、193-202ページ目、[last accessed 2024.03.13]
※4 全例登録に関わる陽子線治療の適応疾患の拡大を実現、厚生労働省、令和5年度第1回診療報酬調査専門組織・医療技術評価分科会 議事次第 医療技術評価・再評価提案書提案書19、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001168718.pdf>、196-200ページ目、[last accessed 2024.03.13]

15）保険制度に関する情報の整理｜米国、英国、ドイツ

- 海外では、RWDを①保険給付の範囲決定（保険償還可否）、②費用対効果評価のエビデンス（RWE）として活用している
- 保険適用を希望する製品・医療技術の市販後データのみならず、EHR（健康データ）、レセプトデータ（医療費）などが用いられる

国	保険制度	制度の概要	RWDの活用領域	製品（例）
米国	- Medicare、Medicaid	- 公的医療保険制度	- 保険償還範囲の決定に用いる	- （公開情報見当たらず）
	- 患者と保険会社の間のリスクシェア型の支払い制度	- 民間保険会社グループによる取り組み（United health, Kaiser Permamenteなど） - アウトカムに応じた医師/病院の報酬と患者保険料減免制度を構築し患者アウトカムを最大化	- RWDを用いて費用対効果の高い治療プロセスを導出	- （公開情報見当たらず）
英国	- NICE health technology evaluations: the manual	- 公的医療保険NHSの償還可否に用いる - NICEのTA※で推奨されれば一般的に償還対象となる - 医療技術評価（HTA）、医療技術（一部の医療機器を含む）について、NHSでの使用（保険適用）の推奨・非推奨についてガイダンスを発出	- プログラムの方法とプロセスの見直し（2021年協議終了）により、RWEをより重視するようになる見込み	- ENDURALIFEを搭載した心臓再同期療法除細動器（CRT-D）（2017年）
ドイツ	- The Fast-Track Process for Digital Health Applications（DiGA）	- DiGAディレクトリに追加されたすべてのデジタルプロダクトが対象 - ディレクトリへの追加後1年間は、原則、製造者が自身で決めた価格に基づいて保険償還 - 2年目以降の価格は、製造者と法定健康保険基金中央会との間で交渉して決定 - 製品登録後1年以内に償還価格について合意できなかった場合は、3ヶ月以内に仲裁委員会が価格を決定	- 製造者はディレクトリの追加後1年間の市販後データ（RWD）を基に、償還価格について検討・交渉が可能	- elevida（https://elevida.de）多発性硬化症の疲労軽減 - somnio（https://somn.io）睡眠障害改善のためのデジタル睡眠トレーニング - deprexis（https://de.deprexis.com）オンラインうつ病治療プログラム - vorvida（https://de.vorvida.com）アルコール依存症患者の飲酒行動管理

※TA：Technology Appraisal（技術評価）

出所）米国：CMS.gov＜https://www.cms.gov/＞、英国：NICE health technology evaluations: the manual＜https://www.nice.org.uk/process/pmg36/chapter/introduction-to-health-technology-evaluation＞、ドイツ：Federal Institute for Drugs and Medical Devices (BfArM), The Fast-Track Process for Digital Health Applications (DiGA)according to Section 139e SGB V, 2020 ＜https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/EN/MedicalDevices/DiGA_Guide.pdf?__blob=publicationFile＞、[last accessed 2024.02.15].

16）産業政策

産業政策として日本では、RWDを用いた事例紹介・情報共有、RWD活用の支援・指導が海外に対し不十分

- RWD活用推進に向けて、各国の取り組みは主として次の3つに大別され、複合的に取り組まれている
  - （1）情報公開型　　規制当局が認めるRWDの内容、RWD・RWEの活用例などの情報発信
  - （2）環境整備型　　情報基盤システムの整備、データベース構築、RWDに関する教育・啓発などの取り組み
  - （3）育成・支援型　　RWDを用いた研究支援、RWDを扱う人材の育成など
- 日本において、（1）情報公開型の政策が不十分とされる
  - RWD活用推進の方針が示されているものの、例えばPMDAが薬事申請に用いることが可能と判断するレベルについてのガイダンス情報は乏しい
- 日本では人材育成施策が実施されているが、海外（欧州）では見当たらない（民間企業・大学に委ねられている（※））

項目	区分	日本	米国	欧州
（1）情報公開型	規制当局による指針の策定、ガイドライン	▲	●	●
	事例紹介、情報共有	―	●	●
（2）環境整備型	法整備	●	●	●
	データベース構築、デジタルインフラ整備	▲	●	▲
	人的ネットワーク（パートナーシップ）の構築	●	●	▲
（3）育成・支援型	人材育成	●	― ※	― ※
	RWD活用の支援・指導（コンサルティング）	―	― ※	●

【凡例】
● 関連する政策が認められる
▲ 現在進行中、または対応不十分のもの
― デスクトップ調査では政策が見当たらなかったもの

※以下通り、いくつか事例が見られる
事例① University of Glasgow, UK
<https://www.gla.ac.uk/postgraduate/taught/healthtechnologyassessment/#programmestructure> [last accessed 2024.02.15]
事例② University of California, San Diego, US
<https://extendedstudies.ucsd.edu/courses-and-programs/communicating-real-world-evidence-medical-writer-professional-development> [last accessed 2024.02.15]

17）産業政策｜情報公開型の事例

- 海外の規制当局では、RWDやRWEの評価基準などを示すのみならず、ケーススタディやワークショップなどによる理解促進策や情報共有の取り組みを実施

国	取り組み	対象	実施体制	ポイント
米国	FDAによるワークショップ	産業界	FDA専門スタッフ	- RWEの使用を評価するための枠組みと方法論を開発し、ガイダンスの草案を作成したのち、意思決定に用いるRWEとはどのようなものかについて、情報共有する機会とする - 21st Century Cures Actにて規定された活動
米国	Advancing Real-World Evidence（RWE）Program	産業界	FDA、産業界	- 有用性（新しい適応症、集団、用量に関する情報など）に関するラベルのサポート、承認後試験要求（Post-approval study requirements）を満たすRWEを生成するためのアプローチの特定、RWEに関する規制当局内の意思決定プロセスの開発 - 当該プログラムで検討された試験デザインについて公開フォーラムで議論することで、理解の促進を図る - プログラムへの参加募集は半年毎に実施
米国	Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices	産業界、FDA職員	FDA	- FDAが意思決定に利用可能な種類のRWEであるかについて、どのように評価するかを示したガイダンス（SaMDを含む） - RWE利用の例として、適応拡大、市販後調査（薬事承認条件としてのものを含む）、客観的性能基準と性能目標に用いられた事例を紹介 例: 全米循環器データ・レジストリ（National Cardiovascular Data Registry：NCDR）を用いた適応拡大
英国	RWE活用のためのフレームワーク作成	全般	NICE	- 正しいデータの扱い方や注意事項などをわかりやすくまとめ、利活用を促すもの - ケーススタディも併せて記載することで、不確実性を減らし、ガイダンスを改善するためにリアルワールドデータをいつ使用できるかを特定 - エビデンスの質と透明性を向上させるために、リアルワールドエビデンス研究を計画、実施、報告するためのベストプラクティスを明確に記述 - 2021年9月デジタルヘルス製品（Digital Health Technology: DHT、医療機器ではないものを含む）に求められるエビデンス基準のフレームワークを公表（Section Aでは臨床的効果のエビデンス基準について、Section Bでは経済効果評価の基準について記載）
カナダ	有識者アンケート	全般	国	- カナダ保健省が策定したRWD活用戦略に関する有識者95名へのアンケート調査と結果の公開 - 医療機器の安全性、臨床的有用性、費用対効果を評価するためのRWEの使用に関連して、利害関係者と患者の認識のすり合わせ

18)産業政策｜環境整備型の事例(1/2)

- 日本ではデータベースを構築にかかる環境整備を実施
- 海外では、医療機器の開発、政策に用いるための法整備、収集・解析システムの整備が進展
  - EUではEU域内でのデータ共有に向けた基盤を整備することで、薬事申請・保険償還に向けた二次利用活用を後押ししている

国	取り組み	対象	実施体制	DB構築・インフラ整備	ポイント
日本	情報データベースシステムの構築とデータ提供	アカデミア、医療機関	MID-NET	●	- 協力医療機関が保有する電子カルテ(オーダリング、検査結果等を含む)、レセプト及びDPCの各種データの利用が可能な医療情報データベース作り - GPSPに準拠するデータの提供 - PMDAに情報分析システムを、拠点病院に医療情報データベースシステムを設置
日本	クリニカル・イノベーションネットワーク(CIN)	アカデミア、医療機関	AMED、CIN	●	- RWDを収集・解析する体制・システムを整備 - 疾患登録システムを活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究体制の構築を推進し、医薬品・医療機器等の開発を推進するもの
日本	全国医療情報プラットフォームの構築	自治体、医療機関、薬局	行政	ー	- 医療DX、データヘルス改革の一環 - 情報共有基盤の整備(各種データベースの連結・統合)、電子カルテ情報の標準化、自治体が実施する介護・予防接種・母子保健等の事業の手続きに必要な情報の連携など
米国	NESTcc (詳細は次項に記載)	産業界	MDIC(官民パートナーシップ) AETION(民間企業)	●	- 医療機器や診断のエコシステムを前進させるための、5年間の戦略的なパートナーシップ - NESTccの2つの役割:①医療機器および医療技術研究スポンサーのためにリアルワールドエビデンス(RWE)生成を触媒するサービスを提供する調整センター ②医療機器エコシステム全体の代表者で構成される共同コミュニティとして、ソートリーダーシップを開発し、多様な利害関係者を結集して、重要なイニシアチブに関するイノベーションと理解を促進
米国	The Medical Device Epidemiology Network (MDEpiNet)	医療従事者、産業界、患者団体、支払者、アカデミア、政府	Weill Cornell MedicineのMDEpiNet調整センター	●	- 2010年設立の医療機器疫学ネットワーク、世界的な官民パートナーシップ - リーダーシップ、専門知識、リソースを結集し、患者中心の医療機器評価・サーベイランスシステムを全国規模で推進 - 例1: MDEpiNetレジストリデータを用いた、腹部大動脈瘤（rAAA）の治療における血管内動脈瘤修復（EVAR）デバイスの安全性と有効性の評価、FDA申請への活用を予定 - 例2: BUILDイニシアティブ(UDIを医療機器評価のための縦断的データに組み込み)心臓カテーテル検査の植え込み型デバイスの情報を自動的に取得するシステムを通じて、堅牢な市販後調査、研究、およびイノベーションのためのインフラストラクチャと方法論を開発する研究

18）産業政策｜環境整備型の事例（2/2）

国	取り組み	対象	実施体制	DB構築・インフラ整備	ポイント
EU	Proposal for a REGULATION OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL on the European Health Data Space（医療データの単一市場の創出を目指す「欧州医療データ空間」の設置期規則案）	EU加盟各国	A European Health Data Space Board（EHDS Board）を設立 EU加盟国に医療データアクセス管理機関を設置	●	- 医療分野に特化した共通基準、インフラ、管理枠組みを規定することで、EU加盟国間での研究開発や政策立案への活用を目指す - EU加盟国はデジタルインフラ「MyHealth@EU」への参加が必要 - 欧州を単一市場として捉えたデータの共有 - 二次利用の促進が目的の一つ（HealthData@EUを創設） - 医療データの使用は許可制: 各加盟国に設置されるアクセス管理機関（a health data access body）へ申請し、許可取得 - 医療データの利用は、研究・公的機関のみならず民間企業の利用申請も可能（EU域外の研究者も、EU域内で利用する場合は利用申請が可能） - 二次利用の結果の公表を義務付け - 創薬・医療機器開発および薬事申請（承認・市販後調査等の効率化）を支援 - 医療従事者への関連製品の販売といった営業目的の利用は禁止
ドイツ	Digitale-Versorgung-und-Pflege-Modernisierungs-Gesetz（DVPMG）	全般	ー	ー	- 医療におけるデジタルアプリケーションの使用と保険償還のための法的枠組みを示したもの（2021年6月9日施行） - 被保険者はDiGAからのデータを電子患者ファイルへ入力可能 - 自治体に対して遠隔医療の技術仕様を継続的に更新し、被保険者の通信習慣（例えばアプリ経由）や、心臓遠隔モニタリングのような新しい医療形態を考慮するよう指示 - 電子処方箋の導入促進（電子処方箋には処方可能な医療機器の情報を含む）
ドイツ	Digital Supply Act/Digital Healthcare Act（DVG）	全般	ー	ー	- 法整備（デジタルヘルスケア法、2019年12月施行） - 医療制度改革を促進するための資金投入（年間2億ユーロ）や、患者がデジタルヘルスケアアプリ（DiGA）をより迅速に利用できるシステム作り、インターフェースの標準化、医療サービスの向上に関する研究、遠隔診療の利用強化・拡大に向けた整備など - DVGによりDiGAの保険収載が可能 - DVGに基づきDiGAの迅速承認・保険適用制度（DiGA Fast-Track）を整備 - 保険償還価格に対する予見性が高まり、積極的な早期開発、スタートアップ企業の参入促進に寄与

19）産業政策｜育成・支援型の事例

- 日本では、産業政策としてRWD・RWEに係る人材育成を実施
- 海外では、同様の政策は見当たらず、アカデミアや民間に委ねられている可能性がある
  - 英国では、複数の大学で医療技術評価の専門家育成コースがある
  - 米国においてRWD・RWEに係る人材育成としては本調査の中では見当たらなかった

国	取り組み	対象	実施体制	ポイント
日本	リアルワールドデータ活用促進事業	国内のレジストリ保有者	厚生労働省	- 現在は、医薬品と再生医療等製品が対象 - 薬事申請に利用できるリアルワールドデータを国内で整備するため、レジストリデータの薬事申請への利用に積極的なレジストリ保有者を選定し、選定されたレジストリ保有者とPMDA調査担当者との人材交流、意見交換等を通じて双方の理解を深めるもの - 補助金が交付される
日本	医療データ人材育成拠点形成事業	大学	文部科学省	- 医療現場から大規模に収集される多様なデータの利活用を推進し、質の高い医療を実現するために、複数の大学が連携し、それぞれの強みや特色を活かして、医療データの活用基盤を構築・運営する人材や医療データを利活用できる人材を育成する、優れた取組を支援する事業
日本	中央社会保険医療協議会（中医協）費用対効果評価 分析人材の育成	全般	厚生労働省、中医協公的分析班	- 中医協において医薬品・医療機器の費用対効果評価制度を導入しているが、分析を行う人材不足が課題となっている - 大学院プログラム等として人材育成の推進を支援し、公的分析班に携わる人材の確保・組織の充実に取り組む - 公的分析班の2大学（立命館大学、慶應義塾大学）での大学院コースの設置と学生募集
ドイツ	ZEG Berlin	産業界	ZEG Berlin	- ZEG BerlinによるRWE活用支援 - 民間の研究機関ZEG Berlinが、顧客のニーズに適した研究デザインを支援 - 民間企業が主体で、クライアントは研究機関や医療機器・医薬品開発関連会社 - 幅広いネットワークを有し、ヨーロッパ、アジア太平洋、南北アメリカ、中東での研究支援を実施

20）産業政策｜NESTccの取組み（1/5）

NESTccの概要

項目	内容
名称	NESTcc（National Evaluation System for health Technology Coordinating Center ）
所在	1655 N Ft. Myer Dr, 12th Floor, Arlington, VA 22209
代表	President of NESTcc　Simon Mason
URL	https://NESTcc.org/
主な取組み概要	• 医療機器と医療技術の研究のために、RWE創出を促進するサービスを提供するコーディネーションセンター • 医療機器エコシステム全体の代表者で構成される共同体として、多様な関係者を結集して、重要なイニシアチブに関する革新と理解を促進している • 2015年、Duke-Margolis Center for Health Policyにおいて開催された会議の中で、医療機器評価に情報を提供し、トータル・プロダクト・ライフサイクル（TPLC）を通して規制上の意思決定を支援するためにRWEを効率的に統合できるデータパートナーの自発的ネットワークとして構想された • 2016年9月、FDAがMedical Device Innovation ConsortiumにNESTccの運営に関する助成金を支給し、2017年には運営委員会が組織されて、RWEの革新的な活用を推進するため、多くの主導的な役割を果たしてきた • 質の高いデータと信頼のおけるアウトカムをベースとした研究を包括的に支援するためにFDAの助成を受けて、医療機器エコシステム全体の関係者のニーズに応じた設計段階から、質の高いエビデンスの作成やトータルプロダクトライフサイクル（TPLC）にわたった機器評価に関する研究支援を行っている

出所）NESTccウェブサイト “About us”<https://NESTcc.org/about/about-us/> [last accessed 2024.03.05]を参考に当社作成

20)産業政策｜NESTccの取組み(2/5)

NESTccは、医療機器におけるRWE活用促進とそのための支援を行うために設立

使命・ビジョン・役割

Our Mission

- 医療機器技術が試験、承認、監視される一連のプロセスを変革すること

Our Vision

- 人々が医療上の選択が出来、最大限生きられるような世界を描く

Our Role

- RWE生成を促進するサービスを提供するためのコーディネート
- 医療機器エコシステムの多様なステークホルダーが集結したコミュニティとしての機能

組織の成り立ち

2015年

- デューク・マーゴリス保健政策センターによる計画委員会で医療機器の評価に関する情報提供と、製品全体ライフサイクル(TPLC)の規制に関する支援を目指すために、効率的にRWEをまとめる自発的なネットワークとしての機能をNESTccに構想

2016年

- FDAがNESTccのために、助成金を提供
  (提供先はMDIC(Medical Device Innovation Consortium ※))
- NESTccが各パートナーと関係性を築き、中立かつ客観的な方法で合意を確立するために、ステークホルダーからバランスをとって代表者を募集

2017年

- NESTccは医療機器エコシステムのステークホルダーで構成される初のガバナンス委員会を設立
- その後、NESTccはRWEの革新的な利用を推進するための様々なイニシアチブを主導

(※)MDICは革新的な医療技術への患者アクセスを促進する公私協働パートナーシップ
出所)NESTccウェブサイト “About us”<https://NESTcc.org/about/about-us/> [last accessed 2024.03.05]を参考に当社作成

20）産業政策｜NESTccの取組み（3/5）

NESTccは、「RWEコーディネーター」と「共同コミュニティ」の2つの役割を保有

RWEコーディネーター		共同コミュニティ
• RWEを各種医療機関等から収集 • 医療機器事業者向けに、RWEをサービス提供	×	• 医療機器エコシステムの構築、多様なステークホルダーの招集 • RWEを適用して、医療機器と医療技術規制プロセスの合理化を推進

出所）NESTccウェブサイト “Collaborative Community” <https://NESTcc.org/collaborative-community/> [last accessed 2024.03.05]を参考に当社作成

20）産業政策｜NESTccの取組み（4/5）

NESTccは幅広いネットワークや豊富なデータを扱う体制を有しており、RWEの活用を支援

NESTccの支援概要

（1）NESTccが考える課題

- 医療機器開発にて、従来の開発手法だと以下の課題
  1. 費用がかかる
  2. 時間がかかる
  3. 開発リスク（機器の特性が出るかわからない等）がある

（2）NESTccが取り扱うデータ

- 1億6,000万人の生涯データ（データ種類は下記）
  - Electric Health Record（EHR）
  - レジストリ
  - 医療請求
  - 患者生成データ

（3）NESTccの体制

- NESTccでは、RWEを扱うにあたり、（データを扱う）基盤、専門家、調査ネットワークを備えている

（4）NESTccによる支援内容

- 研究の目的に合わせて、安全かつ信頼性のある適切なデータを提供
- 研究手法等も支援することで、効果的な研究となるようサポート

（5）NESTccが支援する領域

- 特定疾患の研究
- 規制関連
- 製品のトータルプロダクツライフサイクルの管理

（6）NESTccのネットワーク

- 医療機器エコシステムのステークホルダー（病院、企業、行政等）とネットワークを有し、医療機器や新技術の安全性や有用性のために活躍

出所）NESTccウェブサイト “About us” <https://NESTcc.org/about/about-us/> [last accessed 2024.03.05]を参考に当社作成

20)産業政策｜NESTccの取組み(5/5)

NESTccでは市販前承認(PMA)や市販前通知(510(k))に関する21のテストケースを実施し、運用を検討

テストケース作成の狙い

- 医療機器関係者によるNESTccを介したRWD活用の実現可能性の検討
- NESTccによりコスト削減が可能な領域(IRB、データ共有契約等)の探索

NESTccテストケースのパートナー企業・メンバー

NESTccテストケースは以下等の複数組織の協力で実施

公的組織
- U.S. Food and Drug Administration (FDA)

医療関連事業者
- Abbott Diagnostics
- Adhesys Medical 等

学会等組織
- American Sleep Apnea Association (ASAA)等

病院
- Yale New Haven Health Center for Outcomes Research and Evaluation (CORE)

レジストリネットワーク
- Women's Health Technology Coordinated Registry Network 等

テストケース例(一部)

医療機器業者、患者団体、政府機関等からテーマ募集

鼓膜切開チューブ挿入後の小児臨床・医療提供
- EHRと保険請求から小児の鼓膜切開チューブ挿入後の臨床ケア分析を実施
- 鼓膜切開チューブメーカー(AventaMed)、病院・医療機関コミュニティ(PEDsNET)等が参画

心臓アブレーションカテーテル評価でのRWD使用を検討
- EHRを用いた心臓アブレーションカテーテルのアウトカムを評価し、適応拡大の安全性や有効性を検討
- 心臓アブレーションカテーテルメーカー(Johnson & Johnson)や学術機関が連携して実施

腹圧性尿失禁のための中部尿道スリング手術分析
- 術後の長期有害事象評価を実施
- 複数医療機関やFDAが連携して実施

出所) NESTccウェブサイト "Test-cases" <https://nestcc.org/test-cases/> [last accessed 2024.03.05]を参考に当社作成

（2）RWDに関する調査

- （ア）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用推進に向けた制度概要
- （イ）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例
  - ① 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例デスクトップ調査
  - ② 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例ヒアリング調査
- （ウ）比較分析

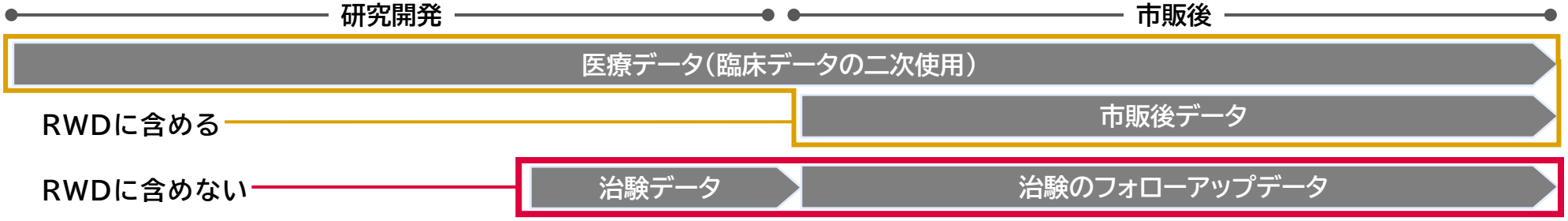
1）デスクトップ調査対象の事例選定方法（1/2）

医療機器研究開発でのRWD活用促進の参考となる事例について詳細調査

- **「RWDの種類」×「RWDで示されたこと（RWE）」×「得られた成果」** 軸（＝ストーリー）でデスクトップ調査
  - 利用されたRWD、RWDで示されたこと（RWE）の多様性を考慮してヒアリング先を選定

RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
臨床データの二次使用 ● 医療画像（MRI、CT等） ● カルテ　　等 **市販後データの活用** ● 市販後の医療機器利用者の患者データ - カルテ情報 - デバイスログ情報　　等	**ソフトウェアの機能向上** ● 検出精度の向上　等 **医療機器の寿命延伸** ● 電池寿命の延伸　等 **再手術率の低下** ● 手技安定に伴う再手術率の低下　等 等	**医療機器の効果・効能の証明** ● 薬事承認 ● 保険収載 **医療機器の効果・効能の向上の証明** ● 一変申請 ● チャレンジ申請 等

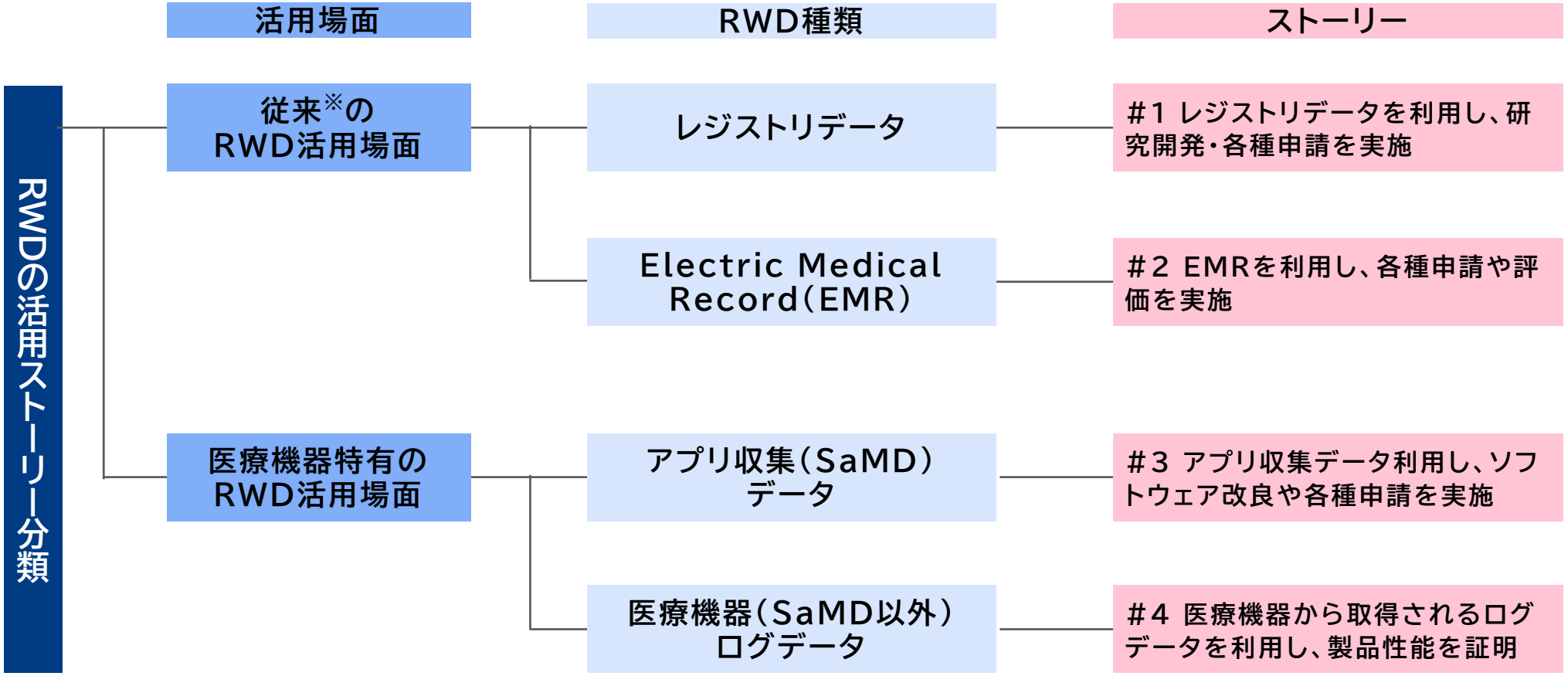
- **本調査におけるRWDの考え方**
  - 臨床データの二次使用、または医療機器市販後に取得されたデータ全般をRWDとして考える



1)デスクトップ調査対象の事例選定方法(2/2)

「活用場面」×「RWD種類」　でストーリーを整理

- RWD種類として、レジストリデータ、EMR、アプリ収集データ、医療機器ログデータの４種類を設定



※ 医薬品分野における研究・開発時を想定
注)規制対応を目的とし、市販後製品利用時の患者データから「市販後調査利用データを利用し、規制対応を実施」した活用事例もあるが、本調査ではヒアリング対象外とする

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（1/17）

ストーリー　#1　レジストリデータを利用し、研究開発・各種申請を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【日本】 株式会社CureApp / CureApp SC ニコチン依存症治療アプリ及び CO チェッカー	ニコチン依存患者を対象とした標準禁煙治療支援アプリ	一般的な禁煙成功率データとして、中央社会保険医療協議会による「ニコチン依存症管理料算定保険医療機関における禁煙成功率の実態調査報告書」を使用	治験実施時の対照群（SHAMアプリ使用群）の妥当性評価のために利用	薬事承認 保険収載
		RWDを使用し、比較対象群の妥当性を証明した。その結果、標準禁煙治療支援アプリを使用した承認申請群の治療効果を明らかにすることにより、製造販売承認及び診療報酬の新設を実現した。		
【日本】 エルピクセル株式会社 / 医用画像解析ソフトウェア EIRL X-Ray Lung nodule	胸部X線画像から「肺結節」の疑いがある候補域を検出し、医師の診断支援を行うソフトウェア	販売後に取得された画像データ	性能改善のための追加データ	IDATEN制度利用による変更計画確認完了
		深層学習を活用したプログラム医療機器として、医療機器製造販売承認を取得し製造販売を開始した（2020年8月）。その後、得られた実臨床結果を二次使用することにより、「胸部X線画像から肺結節候補域を検出する」効果を証明した（IDATEN制度利用、2023年4月変更計画承認完了）。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（2/17）

ストーリー　#1　レジストリデータを利用し、研究開発・各種申請を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【日本】 DeepEyeVison株式会社 / DeepEyeVision for RetinaStation	健常眼との差異を色表示するAIを用いた眼底カメラ用プログラム	大学病院、眼科クリニックで、得られた医療記録を匿名化したデータや臨床研究論文等	AI学習用の健常眼データベース作成に活用	薬事認証
		多施設共同研究により得られた臨床画像による健常眼データベース作成、AI医療機器プログラム開発に活用した。大手医療機器メーカー（ニコン社）と協業し、ニコン社の眼底カメラ用のプログラム医療機器として製造販売認証を取得した。		
【米国】 外科手術システムメーカー/外科手術システム	外科手術システム	Americas Hernia Society Quality Collaborative（AHSQC）のレジストリ（疾患登録システム）	認可された「一般腹腔鏡手術」の下に「腹部ヘルニア修復」を追加するなど、適応拡大の可能性を証明	適応拡大
		AHSQCの医療情報（疾患登録システム）を主要な有効性安全性を証明するエビデンスとして活用することにより、認可された「一般腹腔鏡手術」の下に「腹部ヘルニア修復」を追加するなど、適応拡大した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（3/17）

ストーリー　#1　レジストリデータを利用し、研究開発・各種申請を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【日本】 ボストン・サイエンティフィックジャパン株式会社 / Agentパクリタキセルコーティッド バルーンカテーテル	バルーンカテーテル	市販後臨床データ	対照血管径が3.0mm 以上の新規病変に対する有効性と安全性	適用拡大に向けて臨床研究を実施中
		市販後臨床データを活用し冠動脈ステント内再狭窄及び新規冠動脈病変の血行再建術時に再狭窄を抑制するために使用する本品の対照血管径が3.0mm 以上の新規病変に対する有効性と安全性を証明した。		
【米国】 Prytime Medical Devices, Inc. / ER-REBOA™ Catheter	大血管閉塞用カテーテル	米国外傷外科協会（AAST）による、外傷および救急手術における蘇生のための大動脈閉塞（AORTA）レジストリ（疾患登録システム）データ	一般的な使用適応症に「出血の緊急制御を必要とする患者」という特定の適応症を追加するための臨床的根拠の提示	米国510k（市販前通知）
		米国外傷外科協会（AAST）による大動脈閉塞（AORTA）レジストリ（疾患登録システム）データを使用して「出血の緊急制御を必要とする患者」という特定の適応症を追加するための臨床的根拠とし、米国510k（市販前通知）により製造販売認可を取得した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（4/17）

ストーリー　#1　レジストリデータを利用し、研究開発・各種申請を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【米国】 Wallac Oy or PerkinElmer, Inc. / EnLite Neonatal TREC Kit	血液検体中のTREG（T細胞受容体切除サークル）DNAを半定量的に測定することを目的とした体外診断用医薬品	デンマークの新生児スクリーニングバイオバンク、デンマークの医療記録（International Biobank and Medical Records）	**予後評価** 新生児が1年以内にSCID関連合併症で死亡していない（またはSCIDと関連していない）ことを確認 **性能** 無効なテストレート、推定陽性レート、正常レート	PMA申請データ
		米国外（デンマーク）の新生児スクリーニングバイオバンクによる医療記録を使用して、新生児の合併症による死亡リスクが許容範囲であることを証明し、PMA（市販前承認）申請データの一部として活用した。		
【日本】 日本メドトロニック株式会社 / Cool-tip RFA システム Eシリーズ	ラジオ波焼灼療法治療による医療機器	国立がん研究センター中央病院含む国内9施設による多施設共同研究による臨床試験データ	患者国立がん研究センター中央病院含む国内9施設による多施設共同研究による臨床試験データにより、早期乳癌患者へのラジオ波熱焼灼療法の有効性を証明し、薬事承認、保険申請を行った。	薬事承認、保険申請
		国立がん研究センター中央病院含む国内9施設による多施設共同研究による臨床試験データにより、早期乳癌患者へのラジオ波熱焼灼療法の有効性を証明し、薬事承認、保険申請を行った。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（5/17）

ストーリー　#1　レジストリデータを利用し、研究開発・各種申請を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【米国】 Abbott / Mechanical Heart Valves	人工心臓弁	MHVを埋め込まれた患者のInternational Normalized Ratio（INR）を含むEHR	INRの低下と抗凝固効果・出血リスク低下の関係性	MHVを埋め込まれた患者の臨床ケア方法
		MHVを埋め込まれた患者のINRを含むEHRを活用し、INRの低下と抗凝固効果・出欠リスク低下の関係性を示すことで、MHVを埋め込まれた患者の臨床ケア方法に関する新たな知見を得た。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（6/17）

ストーリー ＃2　EMRを利用し、各種申請や評価を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【米国】 Johnson & Johnson MedTech/ ThermoCool SmartTouch Catheter	心臓カテーテル	市販後臨床データ	市販後臨床データによる本品の安全性	適応拡大
		米国NESTccのデータを用いてFDAにて適応拡大を行った。		
【日本】 ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社 / Expedium Verse Fenestrated Screw システム	脊椎内固定器具	実臨床での患者データ（再手術率の低下）	骨セメントを椎体内に注入するための横穴があり、スクリューヘッドから骨セメントを注入することで固定性が向上できることを証明	チャレンジ申請で増分獲得
		本製品の特徴であるスクリューヘッドから骨セメント注入により固定性が向上し、実臨床での患者データにより、再手術率の低下を証明し、改良加算5%の保険償還価格を取得した。（文献によるメタ解析を実施）		
【米国】 Wilson-Cook Medical / Hemospray Endoscopic Hemostat	ヘモスプレー内視鏡止血剤	・米国外での実臨床での患者データ ・文献（市販後より蓄積された実臨床データ）	該当製品の止血剤としての安全性および有効性	De Novo申請
		米国外での実臨床での患者データを使用して、止血剤としての安全性および有効性を証明し、De Novo-513（f）プロセスによるクラス分類の再審査請求を実施した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（7/17）

ストーリー　＃2　EMRを利用し、各種申請や評価を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【米国】 Edwards Lifescience,LLC / SAPIEN 3 Transcatheter Heart Valve	経力テーテル心臓弁	死亡、脳卒中、大出血、心筋梗塞等の術後データ	長期耐久性、安全性、有効性	PMA承認
			機器のアルゴリズムと専門家による注釈との性能を比較し、市販後の継続的な調査を確立	適応拡大
【米国】 Edwards Lifescience,LLC / SAPIEN XT Transcatheter Heart Valve	経力テーテル心臓弁	死亡、脳卒中、大出血、心筋梗塞等の術後データ	長期耐久性、安全性、有効性	PMA承認
		CMS（Centers for Medicare and Medicaid Services）との連携※、The Society of Thoracic Surgeons（STS）と American College of Cardiology（ACC）によって作成された大動脈弁狭窄症に関するTVT Registryを活用し、市販後調査を行うことを前提にPMA承認を取得した。		
【米国】 Medtronic CoreValve LLC or Medtronics / CoreValve System	経力テーテル心臓弁	死亡、脳卒中、大出血、心筋梗塞等の術後データ	長期耐久性、安全性、有効性	PMA承認（事後承認試験）
		当該製品使用患者の死亡、脳卒中、大出血、心筋梗塞等の術後データを使用して、長期耐久性、安全性、有効性を証明することにより、PMA承認の事後承認試験（市販後調査報告）とした。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す　※利用データに一部レセプトデータを含む

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（8/17）

ストーリー ＃2　EMRを利用し、各種申請や評価を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【米国】 Vapotherm, Inc. / プレシジョンフロー HVNI	高流量加湿酸素供給装置 ※呼吸困難や低酸素血症の患者に加湿しながら高流量酸素を供給する処方装置	医療記録の遡及的レビュー	新生児集団への適応を裏付ける臨床エビデンスのソースとして使用	De Novo （市販前申請）
		実診療での医療記録を遡及的にレビュー結果を、新生児集団への適応を裏付ける臨床エビデンスとして活用し、De Novo-513（f）プロセスによるクラス分類の再審査請求を実施した。		
【米国】 Philips / CavaClear Laser Sheath for Inferior Vena Cava（IVC）Filter Removal	下大動脈フィルター除去用レーザーシース	実臨床での患者データ（電子カルテ）と単一施設での公表データ	デバイス利用時の安全性（手技成功率）	De Novo申請
		実臨床での患者データを活用し、De Novo申請を達成した。		
【フィンランド】 Planmed Oy / Planmed Clarity™ 3D	デジタルマンモグラフィーおよび乳房トモシンセシスシステム	実臨床での患者データ	早期乳癌診断へ寄与する画像情報	米国510k （市販前通知） 欧州CEマーク 薬事
		フィンランドを代表する医療機器メーカー。デジタルマンモグラフィーおよび乳房トモシンセシスシステムでは、実臨床での患者データにより、当該製品の早期乳癌診断へ画像情報の有効性を証明し、PMA（市販前承認）、欧州CEマーク、日本薬事認可を取得。日本を含む多くの医療機器メーカーにOEMで供給している。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（9/17）

ストーリー　＃2　EMRを利用し、各種申請や評価を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【米国】 Silk load medical / ENROUTE Transcarotid Stent System Expanded Indication	経頸動脈ステントシステム	血管外科学会（Society of Vascular Surgeons）の登録データ	安全性	適応拡大
		頸動脈内膜剥離術による有害事象のリスクが高い患者への適応から、頸動脈内膜剥離術による標準的リスクの患者も含めるように適応拡大を達成した。		
【米国】 Johnson and Johnson / Intervertebral body implants	脊椎インプラント	NESTccを通じて取得された製品を埋め込まれた患者のEHR	安全性・有効性	市販後安全性評価
		脊椎インプラントを埋め込まれた患者の予後を確認するため、EHRを活用し、安全性・有効性を確認した。		
【米国】 医療機器メーカー/医療機器	医療機器	NESTccを通じて取得された製品を埋め込まれた患者のEHR	安全性・有効性	市販後有効性評価
		小児向け鼓膜切開チューブ留置後の患者の予後を確認するため、デバイス利用実績データを活用し、安全性・有効性を確認した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（10/17）

ストーリー　＃３　アプリ収集データ利用し、ソフトウェア改良や各種申請を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【日本】 株式会社CureApp / CureApp HT高血圧治療補助アプリ	高血圧治療支援アプリ	アプリ利用者のログ情報	アプリ利用者のログ情報による有効性の証跡	薬事承認
		本製品の継続的な有効性を証明するために、アプリ利用者のログ情報を追跡調査し、承認後1年毎にPMDAに報告することを前提に製造販売承認を取得。		
【米国】 Natural Cycles Nordic AB / Natural Cycles	18歳以上の女性を対象とした、妊娠の予防（避妊）または妊娠の計画（受胎）ソフトウェアアプリケーション	2017年9～10月までにソフトウェアアプリケーションに登録した15,570人の18歳から45歳の女性（平均29人）の市販後入力（前向き）データ	妊娠予防の有効性: メソッド失敗率 パール指数（完全使用） パール指数（通常使用）	De Novo申請 臨床エビデンスの補足
		ソフトウェアアプリケーションに登録した女性の市販後入力（前向き）データを使用し、妊娠予防の有効性のエビデンスとして、De Novo-513（f）プロセスによるクラス分類の再審査請求の臨床エビデンスを補足した。		
【ドイツ】 治療アプリメーカー/治療アプリ	治療アプリ	本品の実臨床データ	以前に心理療法を受けた経験のある患者に肯定的なケア効果	適応拡大
		本製品は、パニック障害と広場恐怖症の症状の重症度を治療し、軽減するために設計されたインタラクティブな心理療法プログラムである。実臨床データを活用し、ランダム化比較試験に基づいて、以前に心理療法を受けた経験のある患者に肯定的なケア効果を証明した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（11/17）

ストーリー　#３　アプリ収集データ利用し、ソフトウェア改良や各種申請を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【ドイツ】 治療アプリメーカー/治療アプリ	治療アプリ	本品の実臨床データ	本品による認知行動療法の有用性	保険収載
		本製品は、1型または2型糖尿病患者の抑うつ症状重症度を軽減するためのインタラクティブな心理療法プログラムであり、実臨床データを活用することにより、本品が提供する認知行動療法の有効性を証明した。		
【ドイツ】 Selfapy GmbH / Selfapys Online-Kurs bei Depression	抑うつ症状の変化によって測定される健康の改善	本品の実臨床データ	本品による認知行動療法の有用性	保険収載
		本製品の実臨床データにより、うつ病の患者を対象とした、個別治療を目的とした、オンラインコース認知行動療法の有効性を証明した。		
【ドイツ】 Selfapy GmbH / Selfapys Online-Kurs bei Generalisierter Angststörung	全般性不安症状の変化によって測定される健康の改善	本品の実臨床データ	本品による認知行動療法の有用性	保険収載
		本製品は、全般性不安障害の患者を対象に、本品が提供する患者個々へ適正化された認知行動療法の有効性を証明した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（12/17）

ストーリー　＃３　アプリ収集データ利用し、ソフトウェア改良や各種申請を実施

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【ドイツ】 Gaia / deprexis	うつ病治療支援アプリ	本品の実臨床データ	本品による認知行動療法の有用性	保険収載
		本製品は、抑うつ症状の重症度を軽減するための治療支援プログラムであり、実臨床データを活用することにより、本品が提供するポジティブケア効果の有効性を証明した。		
【ドイツ】 SideKick Health/zanadio	治療アプリ	本品の実臨床データ	本品による認知行動療法の有用性	保険収載
		本製品は、食事・運動の行動変容を促すモチベーション・自動コーチング支援プログラムであり、仮承認期間での追加データに基づきその有効性を証明した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（13/17）

ストーリー　＃4　医療機器から取得されるログデータを利用し、製品性能を証明

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【日本】 日本ゴア合同会社（W.L. Gore & Associates G.K.）/ゴア®CTAG 胸部大動脈ステントグラフトシステム （ゴア®TAG®コンフォーマブル胸部大動脈ステントグラフト アクティブコントロールシステム）	大動脈用ステントグラフト	ヨーロッパ7か国20施設の市販後データ	2段階展開方式（ステント展開過程において血流の影響を最小限にし、安定した留置に寄与し、中間径時にデバイスのリポジショニングが可能）、中枢端の角度調整機能（中間径、および完全展開径時の2回、アンギュレーションコントロールを使用することで、小弯側のバードビークを軽減し血管壁への密着の向上をサポート）を評価	チャレンジ申請で増分獲得
		本製品の特徴である2段階展開方式や中枢端の角度調整機構の有用性を、ヨーロッパ7か国20施設の実臨床での患者データにより証明し、改良加算5%の保険償還価格を取得した。		
【日本】 ボストン・サイエンティフィックジャパン株式会社 / RESONATE	除細動機能付植込み型両心室ペーシングパルスジェネレータ	発売後から蓄積された実臨床データ	電池寿命の延伸の有用性に関するチャレンジ申請に活用	チャレンジ申請で増分獲得
		製造販売承認後に得られた実臨床データを活用することにより、従来機に比較し電池寿命の延伸を証明し、改良加算5%の保険償還価格を取得した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（14/17）

ストーリー　＃4　医療機器から取得されるログデータを利用し、製品性能を証明

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【日本】 日本メドトロニック株式会社 / ミニメド780Gシステム	基礎インスリンと補正インスリンの適切な自動投与が可能なインスリンポンプ	実臨床での患者データ（ベルギー、フィンランド、イタリア、オランダ、カタール、南アフリカ、スウェーデン、スイス、英国に居住する個人によってアップロードされたインスリン消費量のデータ）	アップロードされたデータから決定された基礎インスリンと補正インスリンの適切な投与量	製品の性能向上
		当該製品を使用しているユーザーが、アップロードしたインスリン消費量のデータを活用し、基礎インスリンと補正インスリンの双方の適切な投与を行うロジックを策定した。このロジックを製品に搭載し、糖尿病患者のQOL改善を目的とした性能向上を実現した。		
【米国】 Berlin Heart Inc. / EXCOR 小児用心室補助装置	EXCOR 小児用心室補助装置 ※米国HDE（Humanitarian Device Exemption、人道機器適用免除）、対象患者が年間 4 千人以下の診断又は治療機器	• 体外生命維持機構（ELSO）レジストリ（HDE IDE トライアル用の履歴 ECMO コントロール） • 承認後のすべての非研究患者から5年間の追跡データ（FDA 要求）	非治験患者からの臨床データにより比較対象群の妥当性を訴求し、安全性、有効性を証明	PMA （市販前承認）
		ELSOレジストリにより、比較対象群の妥当性を訴求、本製品の安全性と有効性を証明し、PMA承認を取得した。また市販後は対象患者の臨床データにより5年間の追跡調査を実施した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（15/17）

ストーリー　＃4　医療機器から取得されるログデータを利用し、製品性能を証明

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【米国】 Boston Scientific Corporation / EMBLEM S-ICD Subcutaneous Electrode,Model 3501	皮下植込み型除細動器	リモートモニタリングによる周期性合併症発生率、電極整合アラート発生率	長期耐久性、安全性、有効性	PMA承認
		当該製品を使用した患者のリモートモニタリングにより、周期性合併症発生率、電極整合アラート発生率等の情報を入手し、製品の長期耐久性、安全性、有効性を検証し、PMA承認を取得した。		
【米国】 自動体外式除細動器（AED）メーカー/AED	自動体外式除細動器（AED）	市販後より蓄積された実臨床データ	機器のアルゴリズムと専門家による注釈との性能を比較し、市販後の継続的な調査を確立	FDA承認、保険償還、市販後調査にも継続利用
		当該製品の実使用臨床データにより、機器のアルゴリズムの有効性、安全性を確認しPMA承認後の継続的調査とした。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（16/17）

ストーリー　＃4　医療機器から取得されるログデータを利用し、製品性能を証明

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【米国】 Defibtech, LLC / Lifeline（ReviveR DDU-100, ReviveR AUTO DDU-120, ReviveR VIEW DDU2300, ReviveR VIEW AUTO DDU-2200, ReviveR ECG DDU-2450, and ReviveR ECG+ DDU-2475 Automated External Defibrillators）	生体情報、検査データ、看護評価等によって患者状態を示すシステム	現場で市販されているAEDデバイスから抽出されたデバイス生成データ	• 安全性、有効性 • 初回処置（3回以下）で心室細動の徐細動を行えた患者割合 • 入院および退院までの生存率 • 自然循環の回復（ROSC）	PMA臨床エビデンス
		当該製品（AED）から抽出されたデータにより、初回処置（3回以下）で心室細動の徐細動を行えた患者割合、入院および退院までの生存率、自然循環の回復率（ROSC）等の有効性、安全性を確認し、PMA承認のための臨床エビデンスとした。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

2）デスクトップ調査によるリストアップ結果（17/17）

ストーリー　＃4　医療機器から取得されるログデータを利用し、製品性能を証明

企業名/製品名	医療機器概要	RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
【欧州】 MicroPort CRM / 植込み型除細動器（ICD）	不整脈（VT/VF）患者の生命の維持を目的とした植込み型除細動器（ICD）	ICD患者に対するデバイスの機能的評価	長期的な安全性と有効性	市販後追跡調査
		植込み型除細動器（ICD）移植後の予後調査を長期かつ広域で実施。英国、ドイツ、フランス、イタリア等の欧州を中心とした多国籍2000人を超えるデータを取得し本製品の長期的な安全性と有効性を証明した。		
【欧州】 Abbott Medical Devices / Abbott TriClip™ Device	TriClipデバイス三尖弁の経皮修復に使用されクリップ	本品で治療された重度の三尖弁逆流患者の市販後調査	長期的な安全性と有効性	市販後追跡調査
		重度の三尖弁逆流患者に対する本品挿入後の長期にわたる事後追跡を、ドイツ、イタリア、オランダ、スペイン、ポルトガル等、欧州を中心に広域に渡り実施、長期的な安全性と有効性を証明した。		

【・】表記はRWEに基づき申請等を実施した国を表す

（2）RWDに関する調査

- （ア）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用推進に向けた制度概要
- （イ）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例
  - ① 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例デスクトップ調査
  - ② 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例ヒアリング調査
- （ウ）比較分析

1）ヒアリング項目（1/3）

医療機器開発フェーズ別にRWDの活用状況を整理し、ヒアリングを実施（ヒアリング項目案は以下の通り）

フェーズ	大項目	ヒアリング項目
① 前提	RWDを活用した製品概要	- RWDを活用した貴社製品に関する基本情報
	RWDの活用までの経緯	- RWDの活用を検討した背景はどのようなものか - RWDを活用した目的は何か - RWD以外の、他データを活用する選択肢はあったか
② RWD自体／内容・入手	RWD入手経路・方法	- どこから、どのような経路でRWDを入手したか 　- （回答例1）大学・病院等の機関経由で入手 　- （回答例2）学会や公的データベース等から入手 - RWDを入手するにあたりどのような課題があったか - 上記の課題をどのように解決したか
	RWDの内容	- 使用したRWDの種類は何か 　- （回答例1）レジストリ 　- （回答例2）カルテ情報 　- （回答例3）EHR/PHR 　- （回答例4）医療機器による実臨床データ - データの普遍性（地域差、性別・年齢等の偏り等）はどのように確保したか - 入手したRWDのデータ量・サイズはどれくらいか
	RWDの信頼性	- データの信頼性はどのように確保したか
	RWDの安全性	- 患者の匿名化はどのような方法で対応しているか - 患者同意はどのように取得したか
	RWDに係る費用	- RWD入手、RWD管理にかかった社内リソース（人員、時間）は想定より多いか - RWD入手に関して、外部への費用は発生したか

1)ヒアリング項目（2/3）

フェーズ	大項目	ヒアリング項目
③ RWD活用	RWD活用方法	- RWDをどのように活用したか 　- （回答例1）開発時における読み込ませ用データ（トレーニングデータ） 　- （回答例2）国内の薬事申請（一変・軽微変更）のエビデンス 　- （回答例3）国内の保険申請のエビデンス 　- （回答例4）海外の薬事申請、保険申請のエビデンス 　- （回答例5）国内外における販売促進活動 - RWDを選択した理由は何か（RWD以外の、他データを活用する選択肢はあったか）
	RWD課題・解決策	- RWDの活用にあたりどのような課題があったか 　- （回答例1）社内体制（RWDを担当する部署の有無）、専門人員の不足 　- （回答例2）学会を通じたデータ収集の煩雑さ 　- （回答例3）限られた薬事・保険申請に関する予算 　- （回答例4）RWDを活用した内容の有効性が（各種申請等で）評価されづらい - RWD活用にあたる課題を、どのように解決したか - RWDを活用するにあたり制約条件・限界はあったか
	参考情報	- RWDを活用するにあたり、参考にしたガイダンスや、利用した支援機関はあるか

1)ヒアリング項目（3/3）

フェーズ	大項目	ヒアリング項目

④ RWDを活用した各種申請	薬事・保険申請に使用したRWDの内容（※）	- どのようなRWD（製品使用時の患者データ等）を申請に使用したか
		  - （回答例1）上市後製品使用時の患者バイタルデータ
		  - （回答例2）NCD（National Clinical Database）やDPC（Diagnosis Procedure Combination）
		- 申請時・書類作成時に注意したことは何か

⑤ 製品化（上市）後の対応	製品化（上市）後のRWD活用状況・予定（※）	- チャレンジ申請の活用をしたか、もしくは今後想定しているか - 製品アップデートについて、RWDを活用したか、もしくはするか - 今後、各種申請（リバランス通知、IDATEN制度等）にRWD活用を考えているか
⑥ 今後RWD活用が進むために	RWD活用の所感と活用の促進	- RWD活用のメリット・デメリットは何か - 今後、医療機器開発事業者が、RWD活用をしやすくするために、どのような環境整備・法整備が求められると思うか

※ヒアリング対象製品が、各種質問に該当する場合に限りヒアリング予定

2）ヒアリング企業一覧

ヒアリング調査を実施した製品の「RWDを利用して得られた成果※1」と医療機器種別一覧

企業名/製品名

	研究/開発	薬事/保険	市販後調査	適応拡大	機能向上
プログラム医療機器	#03 DeepEyeVision株式会社/ DeepEyeVision for RetinaStation		#10 株式会社CureApp/ CureAppHT		#02 エルピクセル株式会社/ EIRL Chest Nodule
	#11 治療アプリメーカー/治療アプリ				
		#01 株式会社CureApp/ CureAppSC			
植込み型医療機器		#08 ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社メディカルカンパニー/Expedium	#09 医療機器メーカー/ 医療機器	#05 ALLIANCE Registry/ Agent パクリタキセルコーティッド バルーンカテーテル	
		#12 日本ゴア合同会社/ ゴア®CTAG 胸部大動脈ステントグラフトシステム		#04 外科手術システムメーカー/ 外科手術システム	
その他医療機器		#06 日本メドトロニック株式会社/ CoolTip			
		#13 自動体外式除細動器（AED）メーカー/AED		#07 Johnson & Johnson MedTech/ThermoCool	

※1）RWDを利用して得られた成果は、本調査においてヒアリングを実施した事項に基づき記載

3)事例#01｜株式会社CureApp (1/3)

1 企業プロフィール

CureApp

- 社名:株式会社CureApp
- 代表者:佐竹 晃太(医師)
- 設立年月日:2014年7月31日
- 従業員数:205名
- 資格:第二種医療機器製造販売業、医療機器製造業
- プロダクト:ニコチン依存症治療アプリ及びCOチェッカー、CureApp HT 高血圧治療補助アプリ、ascure 他

※ 2024年2月現在

2 製品概要



CureApp SC

製品名	CureApp SC ニコチン依存症治療アプリ及び CO チェッカー
一般的名称	禁煙治療補助システム
薬事承認番号	30200BZX00271000
保険適用	在宅振戦当刺激装置治療指導等管理料　140点 疼痛等管理用送信器加算600点×4回
備考	ー

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと(RWE)	RWEによる成果
一般的な禁煙成功率データとして、中央社会保険医療協議会による「ニコチン依存症管理料算定保険医療機関における禁煙成功率の実態調査報告書」を使用	治験実施時の対照群(SHAMアプリ使用群)の妥当性評価のために利用 エンドポイント ニコチン依存症の喫煙者の禁煙継続率 (RWDにより比較対象群の妥当性を証明)	薬事承認 保険収載

RWDを使用し、比較対象群の妥当性を証明した。その結果、標準禁煙治療支援アプリを使用した承認申請群の治療効果を明らかにすることにより、製造販売承認及び新薬価を取得した。

出所)株式会社CureApp CureAppSC製品サイト_<https://sc.cureapp.com/d/>_[last accessed:2024.01.26]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#01｜株式会社CureApp（2/3）

RWD活用までの経緯	RWD入手経路・方法	RWDの内容	RWDの信頼性等
● CureApp SCの製品コンセプトとして、「既存治療にCureApp SCを加えることで、禁煙治療の成功を高める」狙いだった。そのため既存治療の禁煙成功率より上回ることを証明する必要があった。 ● 既存治療の禁煙成功率を、中央社会保険医療協議会による「ニコチン依存症管理料算定保険医療機関における禁煙成功率の実態調査報告書」から引用した。比較対象群の妥当性を示すには十分なデータと認識して計画した。	● 公的な公開資料から引用したデータで、webから取得した。 ● 中央社会保険医療協議会の実態調査報告書は、2年に1回更新されており、最新データを使用した。	● 中央社会保険医療協議会が公表している「診療報酬改定結果検証に係る特別調査　診療報酬改定結果検証に係る特別調査」中の記載データをRWDとして活用した。	● 中央社会保険医療協議会の公的な公開資料から引用したデータであり、信頼性があるデータと認識している。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用（申請等）当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#01｜株式会社CureApp（3/3）

RWDの活用方法

- 対象群(SHAMアプリ使用群)の患者は、SHAMアプリと気が付くので、盲検化が難しい。SHAMアプリ利用患者の治療意欲が損なわれて、正しい比較ができないことを懸念した。
- 中央社会保険医療協議会の実態調査報告書を用いて、対象群(SHAMアプリ使用群)の患者の禁煙成功率が、既存治療と比較して妥当であることを証明した。(SHAMアプリを用いたことによる、対象群治療に不利益なデータがないことを証明するためにRWDを用いている。)

RWD課題・解決策

- RWD活用について、2020年頃以降、官公庁から審査基準や、開発ガイドラインが公表されてきているが、本製品開発時において各種指針がなく、関係者とのコミュニケーションに苦労した。開発計画が固定するのに、複数年を要した。
- 治験デザインの際は、学会・アカデミアから統計学等の専門知識を得た。また規制当局と「早めの相談」が重要であり、相談窓口をよく利用した。

各種申請

- 薬事申請にあたり、エビデンスの一つとしてRWDを用いた。

上市後対応

- 市場には、アプリで治療することに一定の抵抗感があり、今後多くのエビデンスを積み上げ、公表していきたい。

今後RWD活用が進むために

- 米国では、民間保険制度により事業者に利益が還元されるまで、様々なプレーヤーが存在するが、日本は国民皆保険制度にて、一律で保険点数が付くので、事業者としては利益が計算しやすく、RWD活用に良い土壌がある。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#02｜エルピクセル株式会社(1/2)

1 企業プロフィール

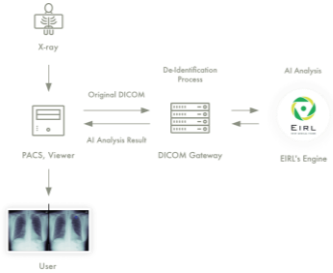
LPIXEL

- 社名:エルピクセル株式会社
- 代表取締役CEO:鎌田　富久
- 設立年月日:2014年3月4日
- 従業員数:60名
- 資格:医療機器製造業、第二種医療機器製造販売業、ISO 13485:2016、ISMS(ISO27001) 認証取得
- プロダクト:EIRL Chest Screening、EIRL Brain Aneurysm、EIRL Colon Polyp、他

※ 2024年3月現在

2 製品概要





EIRL X-Ray Lung nodule

製品名	医用画像解析ソフトウェア EIRL X-Ray Lung nodule
一般的名称	X線画像診断装置ワークステーション用プログラム
薬事承認番号	30200BZX00269000
保険適用	2022年度の診療報酬改定で、画像診断管理加算3施設にAI導入の施設基準が追加された。こちらに本AIを利用可能。
備考	ー

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと(RWE)	RWEによる成果
販売後に取得された画像データ	性能改善のための追加データ (本品の肺結節候補域の検出精度の向上、有効性(本品の使用により、医師の読影精度が向上し、医師の見落とし防止の支援ができていること)が維持されていることを確認)	IDATEN制度利用による変更計画に従った届出完了

深層学習を活用したプログラム医療機器として、医療機器製造販売承認を取得し製造販売を開始した(2020年8月)。その後、得られた実臨床結果データの二次使用を含め、データを追加することにより、「胸部X線画像から肺結節候補域を検出する」効果の性能改善を行った(IDATEN制度利用、2023年8月変更計画に従った届出完了)。

出所)エルピクセル株式会社サイト、<https://lpixel.net/?top>、[last accessed 2024.01.26]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#02｜エルピクセル株式会社(2/2)

RWD活用までの経緯

- 製品販売後、実臨床結果データの二次使用により、「胸部X線画像から肺結節候補域を検出する」効果の精度改善を行いたかったが、商用利用可能な学会データが少ない。

RWD入手経路・方法

- 医療機関(当社製品の導入先のクリニック)と共同研究の実施や別途契約締結により、データを入手した。
- 場合によっては、共同研究や倫理審査の書類作成支援も実施した。

RWDの内容

- 匿名加工した患者画像データとDICOM基本情報を利用した。可能な範囲で疾患のレポート情報も収集した。
- これまでにトータルで約30万件(胸部X線)の症例を収集した。

RWD信頼性等

- データ収集の際には属性や性別等は細かく指定していない。
- 各種申請の際はデータの属性を考慮して活用している。

RWD活用方法

- 研究開発、各種薬事申請(IDATEN含め)で使用した。
- 基本的には画像データは匿名加工して使用した。

RWD課題・解決策

- 施設側からすると、データ共有は利益が少ない上に、データ共有によるリスクが懸念され、協力が得づらい。
- AI活用に前向きな医師は論文執筆等がインセンティブになることもある。

各種申請

- 性能改善のための追加データとして利用した。
- IDATEN申請の際には、新たなデータセットでの評価も行った。

上市後対応

- IDATEN制度を活用し、性能向上を実現した。

今後RWD活用が進むために

- AI導入が診療報酬の画像管理加算施設の施設基準に一部なっているが、施設基準に(臨床情報等)RWDへのデータ共有も含められると施設へのモチベーションとなる。
- 上市後は倫理審査を経ずに画像が入手できるようになると、データ収集がしやすくなる。匿名加工等の仕組みが明確になると、研究開発が進めやすい。病院のシステムの都合上、データの抽出に手作業が含まれることがある。データ抽出の仕組みが自動化・簡略化されると良い。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#03｜DeepEyeVision株式会社(1/2)

1 企業プロフィール

DeepEyeVision

- 社名:DeepEyeVision株式会社
- 代表者:髙橋秀徳(医学博士・自治医科大学 准教授)
- 設立年月日:2016年5月10日(合同会社として設立)
- 従業員数:8名(役員3名、社員5名(有期雇用含む))
- 資格:第二種医療機器製造販売業、医療機器製造業
- プロダクト:Deep Eye Vision for Retina station(眼底カメラ用プログラム(撮影画角45度用)、DeepEyeVision for California(撮影画角200度用)、遠隔読影サービス 他

※ 2024年1月末日時点

2 製品概要

- 健常眼との差異を色表示するAIを用いた眼底カメラ用プログラム



RetinaStation



製品画像イメージ

製品名	DeepEyeVision for RetinaStation
一般的名称	眼底カメラ用プログラム(撮影画角45度用)
薬事承認番号	303ADBZX00110000
保険適用	ー
備考	(株)ニコンソリューションズ製 眼底カメラ『スマートイメージャ RetinaStation』に搭載

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと(RWE)	RWEによる成果
大学病院、眼科クリニックで、得られた医療記録を匿名化したデータや臨床研究論文等	AI学習用の健常眼データベース作成に活用 エンドポイント 正常眼(健常眼データベース)からの逸脱領域のヒートマップ表示による医師の読影能力の向上	薬事認証

多施設共同研究により得られた臨床画像による健常眼データベース作成、AI医療機器プログラム開発に活用した。大手医療機器メーカー(ニコン社)と協業し、ニコン社の眼底カメラ用のプログラム医療機器として製造販売認証を取得した。

出所)DeepEyeVision株式会社サイト、<https://deepeyevision.com/company/>、[last accessed 2024.01.29]
Nikon Solutions株式会社サイト<https://www.nsl.nikon.com/jpn/products/ophthalmic/retina_station/option.html>[last accessed 2024.02.01]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#03｜DeepEyeVision株式会社(2/2)

RWD活用までの経緯	RWD入手経路・方法	RWDの内容	RWD信頼性等
● 開発時の読み込ませデータ、テスト用データ、薬事申請のエビデンスとして使用。	● 附属病院の健診センターや連携医療施設から入手。 ● JOI Registry*からもデータを入手。 ● 個人情報を削除し匿名化データとして利用。 ＊JOI：Japan Ocular Imaging Registry	● 医師が診断情報を付与し臨床画像データ。	● 学内倫理審査委員会を通したうえでデータを利用。 ● データのカバレージを把握した上で運用。

RWD活用方法	RWD課題・解決策	各種申請	上市後対応
● 開発時のAIのディープラーニング目的のデータ、テスト用データ、薬事申請のエビデンスとして使用。	● 学内データを利用できないと仮定した場合、連携医療施設等からデータを入手することになると思われる。その場合は地域差などデータの汎用性を確保することが困難になると推定。	● 薬事申請時にRWDの一部を利用。	● 本製品では上市後のデータ活用は想定していないが、今後新たな製品を申請する際には上市後データの活用も検討中。

今後RWD活用が進むために

- RWDのもととなるレジストリの作成や維持コストが高い。複数あるレジストリが統合され、整備されることでRWDの活用が進むのではないか。その場合には使用目的を定義して、その目的に合致した全体を俯瞰したレジストリの設計が重要である。
- 米国では眼科のレジストリに画像や臨床データをアップロードすると保険料が増える仕組みがある。そのため、大量のデータが集められている。日本にもそのような制度があれば、医療機関のレジストリに参加するモチベーションになる。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#04｜Surgical Technology Manufacturer (1/2)(英文)

Background on RWD use	Acquiring RWD	Type of RWD	Reliability & Quality of RWD
• Companies need to understand what the technology can mean as far as value and that value comes in three forms. It's clinical value, economic value, and humanistic value. • Those three forms of value need to translate through the usage of your technology. • That value is meaningful value transfer, meaning that stakeholders receives some sort of value through the usage of the technology or the implementation of the technology. • That all has to start with evidence-based practice and evidence-based medicine and evidence-based data.	• The data that the manufacturer typically utilizes for RWD and RWE is an off-the-shelf kind of data acquisition or data asset, for example, Premier Database, Market Scan, SEER Medicare database. • These data assets are well-known and well-researched. ※Americas Hernia Society Quality Collaborative (AHSQC) Registry	• EHR and other data from data venders • AHSQC Registry data.	• The data that the manufacturer typically utilizes for RWD and RWE is an off-the-shelf kind of data acquisition or data asset, for example, Premier Database, Market Scan, SEER Medicare database. These data assets are well-known and well-researched. • Additionally, they use data exploration and data asset exploration to really understand the limitations and strength of a database. • The database needs to be "Fit-for-purpose" for the end goal in mind • They do this to understand the different data fields within that data asset that would help them do the research that they want to do, as well as analyze whether the data asset actually answer the hypothesis test questions that they want to ask it. • Before beginning formal data analysis, the manufacturer develops a protocol and statistical analysis plan against which all analyses are conducted.

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#04｜Surgical Technology Manufacturer (2/2)(英文)

Utilizing RWD

- The manufacturer will have a team of researchers that are working on exploration at first.
- They'll model the data and look at different aspects of the data. They'll also run diagnostic testing on the data to see how much the data changes as you include or exclude different variables to see how solid the data is or how much biasness that might be intrinsic within the data itself.
- This analysis is a part of the process to generating RWE for a scientific manuscript, which helps understand where the data might have some bias or limitations.

RWD challenges & solutions

- The accessibility of health informatic data across health systems or provider bases change within country. Some countries, the provider base is more uniform, such as countries with universal Healthcare like Japan and the UK.
- In the US, it's completely decentralized and fragmented. These data exchanges that have to occur in order for you to harness the data to do analysis is quite important.
- In that case, they do a workaround by having these large administrative databases that you can tap into, such as , Premier Database.

Approval process

- There is a growing appetite right now for RWD generation and RWE analysis to support whether it be a health technology assessment or a payer medical coverage policy, or regulatory aspects, or product surveillance and looking at product surveillance over time
- RWD helps provide greater decision support across the healthcare industry, whether it's at the point of care all the way up to the policymakers and even in between with the payers and the hospitals on how to best direct patients and offer the best care.
- Premarket: RWE was the primary source of clinical data supporting modifications to the indications for use statement to include adding "Ventral Hernia Repair" under the cleared "general laparoscopic surgical procedures."

Post-market action

- -

What needs to be done to promote utilization of RWD

- You have to have a solid foundation on the vision of how the data and the evidence can be utilized within the system.
- The second is then once you believe that, how do you start to enable organizations, people, task, technology, and so on, to come together to solve some of these kinds of complex problems that exist within the usage of real-world data for real-world evidence generation, but also how it helps solve issues within a complex healthcare system.
- This has to be a shared belief amongst stakeholders that they have to believe that this is going to help unlock that value.

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#04｜外科手術システムメーカー(1/2)(和文:参考)

RWD活用までの経緯	RWD入手経路・方法	RWDの内容	RWDの信頼性等
● 企業は、テクノロジーがどのような価値を意味するのかを理解する必要があり、その価値には3つの形態があり得える。それは、臨床的価値、経済的価値、そして人道的価値である。 ● これら3つの価値の形態は、技術の利活用を通じて変換される必要がある。 ● その価値は意味のある価値移転であり、利害関係者がテクノロジーの使用または実装を通じて何らかの価値を受け取ることを意味する。 ● そのためには、証拠に基づいた実践、証拠に基づいた医療、そして証拠に基づいたデータから始まらなければならない。	● メーカーがRWDのために通常利用するデータは、Premier Database、MarketScan、SEER Medicareデータベースなど、既製のデータ取得またはデータアセットからもたらされる。 ● これらのデータアセットは知られており、かつ近年よく研究されている。 ※Americas Hernia Society Quality Collaborative (AHSQC Registryデータ)	● EHR及びベンダーから入手したデータ ● AHSQCレジストリデータ	● 通常 RWDおよびRWEに使用するデータは、Premier Database、Market Scan、SEER Medicare データベースなどの既製のデータ取得またはデータ資産である。これらのデータ資産はよく知られており、よく研究されている。 ● さらに、データ探索とデータ資産探索を使用して、データベースの制限と強みを実際に理解する必要がある。 ● 最終目標を念頭に置き、データベースは目的に適合する必要がある。 ● これは、そのデータアセット内のさまざまなデータフィールドを理解して、必要な調査を行うのに役立つだけでなく、データアセットが仮説検定の質問に実際に答えているかどうかを分析するために行う。 ● 正式なデータ分析を開始する前に、全ての分析に関するプロトコルと統計分析計画を作成する必要がある。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#04｜外科手術システムメーカー（2/2)(和文:参考)

RWDの活用方法

- まず探査に取り組む研究チームを擁することになる。
- 研究チームは、データをモデル化し、データのさまざまな側面を調べる。また、データに対して診断テストを実行して、さまざまな変数を含めたり、除外したりしたときに、データがどの程度変化するかを確認し、データがどの程度確実であるか、またはデータ自体に固有のバイアスがどの程度あるかを確認する。
- この分析は、科学論文のRWEを生成するプロセスの一部であり、データのどこにバイアスや限界があるかを理解するのに役立つ。

RWD課題・解決策

- 医療システムや医療提供者基盤における医療情報データのアクセシビリティは環境により変化する。一部の国では、例えば、日本や英国のように国民皆保険制度のある国などでは、データ提供の基盤がより均一である。
- 米国では、データが完全に分散化、断片化されている。これらのデータを利用して分析するためは、適切なデータ変換が非常に重要である。
- その場合は、Premier Database などの大規模な管理データベースを利用できることで回避策を講じる。

各種申請

- 現在、医療技術の評価や保険支払者の医療保険政策、規制の側面、製品の監視、長期的な製品監視の検討などをサポートするためのRWD生成とRWE 分析に対する需要が高まっている。
- 医療現場から政策立案者に至るまで、さらには保険支払者と病院の間で、患者に最適な指示を出し、最良のケアを提供する方法について、医療業界全体でより優れた意思決定サポートを提供することにRWDは役立つ。
- 市販前:RWEは、既承認の「一般腹腔鏡手術」に加えて「腹部ヘルニア修復」を追加するなど、使用適応に関する記述の修正を裏付ける臨床データの主要な情報源だった。

上市後対応

- ー

今後RWD活用が進むために

- 「データ」と「エビデンス」をシステム内でどのように活用できるかというビジョンについて、しっかりとした基盤を持つ必要がある。
- 組織、人、タスク、テクノロジーなどが一体となり、RWDを使用してRWEを生成する際の、複雑な問題のいくつかが解決可能となるだけでなく、複雑な医療システム内における問題の解決に、現実的に寄与するようにRWDを活用すべきである。
- これらの活動が、すべてのステークホルダーの間で共有され、かつ価値をもたらすことを共有認識として持つ必要がある。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#05｜ALLIANCE registry(1/3)

1 プロフィール

東邦大学

- 機関名:学校法人東邦大学
- 所属・役職:医学部　教授
- 氏名:中村 正人

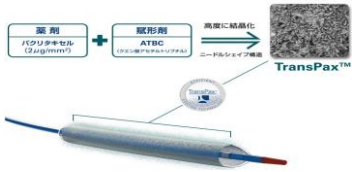
Boston Scientific
Advancing science for life™

- 社名:ボストンサイエンティフィックジャパン株式会社
- 代表者:森川 智之
- 設立年月日:1987年
- プロダクト: ペースメーカー RESONATE X4 CRT-D他

※ 2024年2月末日時点

2 主たる製品の概要

- Agent パクリタキセルコーティッド バルーンカテーテル
- (低い薬剤用量、高い薬剤効果の実現を目指した薬剤溶出型バルーンを使用)



製品名	Agent パクリタキセルコーティッド バルーンカテーテル
一般的名称	冠血管向けバルーン拡張式血管形成術用カテーテル
薬事承認番号	30400BZX00272000
保険適用	冠動脈ステント内再狭窄及び新規冠動脈病変の血行再建術時に再狭窄を抑制するために使用する。 ただし、対照血管径が3.0mm 以上の新規病変に対しては、ステント治療と比べて本品による治療が適していると判断された患者に限る。
備考	機械器具51 医療用嘴管及び体液誘導管

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと(RWE)	RWEによる成果
市販後臨床データ	対象血管径が3.0mm 以上の新規病変に対する有効性と安全性	適用拡大に向けて臨床研究を実施中
市販後臨床データを活用し冠動脈ステント内再狭窄及び新規冠動脈病変の血行再建術時に再狭窄を抑制するために使用する本品の対照血管径が3.0mm 以上の新規病変に対する有効性と安全性を証明するためのデータを収集している。		

出所)ボストンサイエンティフィックジャパン株式会社製品サイト、<https://www.bostonscientific.com/jp-JP/products/balloons--drug-coated/agent.html>、[last accessed 2024.01.30]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#05｜ALLIANCE registry(2/3)

RWD活用までの経緯	RWD入手経路・方法	RWDの内容	RWD信頼性等
● DCB(Drug Coated Balloon)の使用実態を把握するようなデータベースがなかったため、東邦大学の中村先生を中心に新たなレジストリ(ALLIANCE registry)を構築した。 ● DCBの3.0㎜径以上の血管への適用は、欧州ではオンラベルであり、日本でもオフラベルで使用されている実態があり、有効性の見込みがあった。 ● 中村先生のRWD(registry)を収集した上で申請する方針に基づき、治験ではなくRWDを活用することについて、企業とともに行政に相談した。 ● レジストリ作成にあたっては、本データを用いて当該製品を3.0mm径以上の新規病変に対する一変申請計画について、事前にPMDA対面助言を実施。関連学会と連携し、企業ではデバイスのB2申請を実施。	● 臨床研究経験があり標準的な施設を、60施設選定した。 ● 広くDCB使用実態のデータを収集するとともに、当該製品の3.0mm径以上の新規病変に対してのデータも合わせて収集する。 ● RWDを収集するデータベース(ALLIANCE registry)の所有者は、アカデミアである。	● ALLIANCE registryに登録された、既存製品ならびに本製品の全使用成績。血管3.0mm径以上の新規病変に使用したデータが一定数含まれる。	● 承認申請に使用するデータの提供に際しては、治験と同様の匿名化を行う予定。 ● バイアスがないように(良いデータだけを抜粋するということがないように)全例登録とした。 ● 日本全国のデータを登録するという議論もあったが、その場合は施設数が膨大になり、その信頼性を担保することも難しいことから不可能と判断した。 ● データの二次利用や海外でのデータ利用を見据え、患者同意を得た。 ● 試験のプロトコルおよびクオリティがどの程度であれば承認申請に足るかは不明であったため、PMDAに相談した。

東邦大学医学部倫理委員会承認済み研究一覧(2023年度)【2024年2月1日現在】<https://www.toho-u.ac.jp/med/gakunai/ethical_committee1/syonin_ichiran/index.html> [last accessed 2024.01.30]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#05｜ALLIANCE registry(3/3)

RWD活用方法

- 当該製品を3.0mm径以上の新規病変についても使用できるようにするための適用拡大を申請予定。

RWD課題･解決策

- 必要なRWDがどのようなものがどのくらい必要か不明であったため、承認申請の前に、規制当局とよく相談したうえで、必要なRWDをレジストリの構築により収集することを可能にした。
- オフラベルの場合は、特定臨床研究での実施が必要であること、保険適用が得られないため、RWDとしての利活用が懸念されたため、ALLIANCE registryの登録者のみ3.0mm径以上の新規病変で当該製品をオンラベルとし保険適用できるように、行政と相談、承認を得た。

各種申請

- 本レジストリで得られたデータにより、企業より「冠動脈ステント内再狭窄及び新規冠動脈病変の血行再建術時に再狭窄を抑制するために使用する。」と修正する一変申請を実施する予定である。
- 学会が定める適正使用指針が実臨床に即した指針に改定される予定。

上市後対応

- 当該レジストリを活用し、他社製品の申請なども想定している。
- 手順書など試験の実施内容の公表を実施。
- 海外における申請に本レジストリの活用を想定。

今後RWD活用が進むために

- レジストリの基盤を統一するなど、短期でレジストリが途絶えないような方法を検討すべきである。
- 医療に関するデータについて、個人情報の規定外/適用外の範囲の設定を行うことで、企業やアカデミアでのRWD活用が進むのではないか。
- 当該製品のように、RWDの活用事例が積み重なることで、RWDの活用が進むのではないか。
- 実施後にデータが使えないとの判断がされると費用が無駄になるため、PMDAに事前に使用するプロトコル、レジストリを相談しておくと良い。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令･規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3）事例#06｜日本メドトロニック株式会社（1/2）

1 企業プロフィール

Medtronic

- 社名：メドトロニック
- CEO ：Geoff Martha
- 設立年月日：1949年
- プロダクト：Micra™ AV 経カテーテルペーシングシステム、Arctic Front Advance™ 冷凍アブレーションカテーテル、LINQ II　他

※ 2024年3月1日現在

2 製品概要

- Cool-tip™ RFAシステム Eシリーズ（肝腫瘍や乳腺腫瘍等の経皮的、腹腔鏡的、または外科的手技において、シングルニードルの電極からラジオ波帯の高周波電流を患部組織（腫瘍）へ流し、組織を焼灼するアブレーションシステム）



製品名	Cool-tip™ RFAシステム Eシリーズ
一般的名称	ラジオ波焼灼システム
薬事承認番号	22300BZX00335000
保険適用	ー
製造販売元	コヴィディエンジャパン株式会社
備考	ー

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと（RWE）	RWEによる成果
国立がん研究センター中央病院含む国内9施設による多施設共同研究による臨床研究データ	国立がん研究センター中央病院含む国内9施設での多施設共同研究による臨床研究データの短期成績により、早期乳癌患者へのラジオ波熱焼灼療法の有効性を証明し、薬事承認、保険収載を行った。 研究のエンドポイント 5年温存乳房内無再発生存割合、治療後病変残存割合、全生存期間、遠隔無再発生存期間	薬事承認、保険収載

国立がん研究センター中央病院含む国内9施設による多施設共同研究による臨床研究データの短期成績により、早期乳癌患者へのラジオ波熱焼灼療法の有効性を証明し、薬事承認、保険収載を行った。

出所）日本メドトロニック株式会社製品サイト、<https://www.medtronic.com/covidien/ja-jp/products/ablation-systems/cool-tip-rf-ablation-system-e-series.html>、[last accessed:2024.02.15]
厚生労働省_保険適用について（令和04年08年31日保医発第0831第3号、<https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc6967&dataType=1>、[last accessed:2024.02.15]
審査結果報告書<https://www.pmda.go.jp/medical_devices/2023/M20230727001/610015000_22300BZX00335_A100_1.pdf>、[last accessed:2024.02.22]

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用（申請等）当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#06｜日本メドトロニック株式会社(2/2)

RWD活用までの経緯

- 早期乳癌を対象とした医師主導の臨床研究※1(RAFAELO研究※2)が行われた。
- 日本乳癌学会より医療ニーズの高い機器としてニーズ検討会※3に提出された。
- RAFAELO研究結果を薬事・保険申請に活用した。

RWD入手経路・方法

- RAFAELO研究の短期成績を纏めた総括報告書を薬事申請に使用する目的で提供を受けた。(Raw Dataは受け取っていない。)

RWDの内容

- 372名の患者が参加したRAFAELO研究の短期成績を纏めた総括報告書

RWD信頼性等

- PMDAによるGCP実地調査および適合性書面調査をもって信頼性が確認された。

RWD活用方法

- 標準的な治療と比較し非劣勢であることがRAFAELO研究により示されたため、この研究結果を用いて本製品の有効性・安全性を薬事申請にて訴求した。

RWD課題・解決策

- GCP準拠を前提とせず、開始されたRAFAELO研究を、薬事申請に活用することについて、PMDAと密な面談を重ね、受け入れの条件を丁寧に確認した。

各種申請

- 薬事・保険申請にRAFAELO研究の短期成績を纏めた総括報告書を利用した。(RAFAELO研究は終了していない。)

上市後対応

- 未定

今後RWD活用が進むために

- RWD活用の過去事例が周知・公開されると、事業者として開発計画が立てやすく、また早期にRWD活用に投資する判断ができる。
- NCD(National Clinical Database)等既存の大規模データベースの利用が容易に行えるようになると良い。
- 分散されているRWDが一元化されると、企業・アカデミアにとっても有用である。

※1　先進医療制度下の特定臨床研究
※2　国立がん研究センタープレスリリース<https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2023/1215/index.html>
臨床研究等提出・公開システム<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCTs032180229>
※3　厚生労働省　医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会 第32回 医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会を開催します<https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_21713.html>、[last accessed:2024.02.19]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#07｜ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社 メディカル カンパニー

1 企業プロフィール

Johnson&Johnson MedTech

- 社名: Johnson & Johnson MedTech
- 代表者: Tim Schmid
- 設立年月日: 1886年
- プロダクト: 医療機器・医療関連製品

2 製品概要

- ThermoCool SmartTouch Catheter®
- 不整脈患者の治療として、薬剤抵抗性心房細動患者を対象に、高周波アブレーション治療を目的に使用



製品名	ThermoCool SmartTouch Catheter®
一般的名称	アブレーション向け循環器用カテーテル
薬事承認番号	PMA P030031 S126　07/18/2023 510(k)　K950395
保険適用	デスクトップ調査では不明
備考	-

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと(RWE)	RWEによる成果
電子医療記録などの通常診療記録 (Electronic health records and retrospective data from routine clinical practice)	本品の安全性と有効性 (Device safety and efficacy)	適用拡大 (Labeling change-Indications)
米国NESTccのデータを用いてFDAにて適用拡大を行った。		

出所)ジョンソンエンドジョンソン株式会社サイト_<https://www.jnj.co.jp/jjmkk><https://www.jnjmedtech.com/en-US/product/thermocool-smarttouch-catheter>_[last accessed 2024.01.31]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#07｜ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社 メディカル カンパニー(英文)

Background on RWD use

- The RWE Study started because the FDA announced the National Evaluation System for health Technology(NEST) program, and NEST called for proposals on real-world evidence (RWE) test cases. Four J&J submitted NEST test cases were funded through the peer review process and were partnered with some top-level academic institutions that had good EHR data.

Acquiring RWD

- The J&J ThermoCool NEST test case used electronic health record (EHR) data from Mayo Clinic and Mercy Health.

Type of RWD

- EHR that contains retrospective data from routine clinical practice. Medical device identification was obtained from supply chain databases.

Reliability & Quality of RWD

- The J&J ThermoCool NEST test case did a lot of data quality checking in close communication with FDA to address FDA's and the study team's checks on data fit-for-purpose, longitudinal follow-up. The study took 5 years: 2 years for proposal selection and contracting and 3 years for data checking and conducting the study

Utilizing RWD

- The J&J ThermoCool NEST test case was utilized as evidence for a supplemental PMA label expansion. It started with the J&J ThermoCool NEST test case team conducting the feasibility study and then presenting it to the FDA at a real-world evidence forum and submitting to FDA for regulatory review.

RWD challenges & solutions

- There were challenges with funding and FDA's concerns about potential biases such as a surgeon doing the chart reviews that may potentially include their own cases. As a result, J&J also provided funding for the study, and the study had two physicians to do the chart reviews.

Approval process

- Use the NEST case data for FDA submission. FDA required additional analyses to check the data. When the analyses were completed, JNJ submitted the study results to FDA as a part of a supplemental PMA. Then FDA approved the label extension for ThermoCool ST to include a persistent atrial fibrillation indication.

Post-market action

- J&J has completed 120 RWE studies submitted to Notified Bodies in the EU to meet the EU-MDR (European Union Medical Device Regulations) post-marketing requirements and fulfilled 1 FDA post-marketing study requirement for the FDA to date with RWD.

What needs to be done to promote utilization of RWD

- The question for wider uptake by different companies is it would have to get simpler for companies to conduct RWE studies by having more established frameworks for standardized real-world data analysis methods and quality assurance that the regulators, sponsors and academics can agree with. One of the things Dr. Zhang and Dr. Coplan are working on in NEST is creating frameworks for methodology and data quality that build on the FDA RWE guidance. The FDA guidance is quite high level, so more detailed frameworks are needed.

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#07｜ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社 メディカル カンパニー(和文:参考)

RWD活用までの経緯

- このRWE Studyは、FDAが発表したNational Evaluation System for Health Technology(NEST)プログラム(RWEテストケースを含む)に基づいて始められた。J&Jは、提出した4つのNESTテストケースに対し、ピアレビュー後に資金を受け、質の高い電子カルテデータを持つトップレベルの学術機関と提携した。

RWD入手経路・方法

- J&J ThermoCool NESTテストケースでは、Mayo ClinicとMercy Healthの電子カルテ(EHR)データが用いられた。

RWDの内容

- 電子カルテデータは日常診療から得られる患者診療情報であり、後ろ向きな解析が可能である。医療機器の識別情報は、サプライチェーンのデータベースから入手した。

RWD信頼性等

- J&J ThermoCool NESTテストケースにおいて、FDAと緊密なコミュニケーションを行い、FDAと研究担当チームのデータ適切性に関する検証を含む、データ品質チェックを頻回に行った。
- 研究提案と契約に2年、データチェックと研究実施に3年がかかり、計5年を要した。

RWD活用方法

- ThermoCool NESTテストケースは、適応拡大を目的としたPMA supplementのエビデンスの一つとして活用された。
- 本研究チームは、フィジビリティスタディを実施し、それをリアルワールドエビデンスフォーラムでFDAに提示し、最終的にFDAに規制当局審査のためのデータ提出をおこなった。

RWD課題・解決策

- FDAから、外科医が自身の症例を含むカルテレビューを行う可能性など、潜在的なバイアスに対する懸念を指摘された。その対応のため、J&Jが資金提供を行い、2人の医師によるカルテレビューを行うこととした。

各種申請

- J&JはThermoCool NESTテストケースを用いたFDA申請を行い、FDAは追加解析を要求した。全ての解析終了後、PMA Supplementの一部として研究結果を提出した。結果として、ThermoCool STの持続性心房細動への適応拡大が承認された。

上市後対応

- J&Jは、さらにRWDを活用してEU-MDRにおける市販後要求事項への対応として、120に及ぶRWEをNotified Bodyへ提出した。また、FDAが要求する1つの市販後研究に対して、RWDを活用した。

今後RWD活用が進むために

- 様々な企業が広くRWDを活用するためには、RWE研究への取り組みをよりわかりやすく、シンプルにする必要がある。そのために、規制当局、企業、アカデミアで合意可能な標準化されたリアルワールドデータの解析方法及びデータ品質保証のより一層確立されたフレームワークが必要である。
- J&JがNESTで取り組んでいることの一つに、FDAのRWEガイダンスを基にした解析方法論とデータ品質に関するフレームワークの作成がある。なぜならFDAのガイダンスはかなりハイレベルで語られており、より詳細に踏み込んだフレームワークが必要であるからである。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#08｜ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社 メディカル カンパニー(1/2)

1 企業プロフィール

Johnson&Johnson MedTech

- 社名:ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社 メディカル カンパニー
- 代表取締役プレジデント: 玉井 孝直
- 設立年月: 1978年8月(ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社設立年月)
- 事業内容: 総合医療・健康関連用品の輸入・製造販売

※ 2024年3月1日現在

2 製品概要

- Expedium Verse Fenestrated Screwシステム
- (脊椎の一時的な固定、支持またはアライメント補正を目的に使用)



製品名	Expedium Verse Fenestrated Screwシステム
一般的名称	脊椎内固定器具
薬事承認番号	30200BZX00193000
保険適用	10万1000円
備考	JMDN ｺｰﾄﾞ:37272003

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと(RWE)	RWEによる成果
実臨床での患者データ	骨セメントを椎体内に注入するための横穴があり、スクリューヘッドから骨セメントを注入することで固定性が向上できることを証明 エンドポイント ●**スクリューの緩み** 提案製品群はその他群と比較して有意に低い ●**再処置率**※ 全患者群:提案製品群とその他群に有意差は認められない 骨粗鬆症患者群:提案製品群はその他群と比較して有意に低い ※インプラントに関連する再手術	チャレンジ申請で増分獲得

RWDの活用により、提案製品の使用による再手術率の低下を証明し、改良加算5%の保険償還価格を取得した。

出所)ジョンソンエンドジョンソン株式会社 メディカル カンパニー サイト_<https://www.jnj.co.jp/jjmkk>_[last accessed 2024.01.31]
医療機器の保険適用について(令和4年4月収載予定)<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/000863876.pdf>_[last accessed 2024.02.22]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#08｜ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社 メディカル カンパニー(2/2)

※①日本の骨粗鬆症の実態を示す、②本製品の有効性を示すためにそれぞれRWDを活用しており、①、②に分けて記載

RWD活用までの経緯

- ①骨粗鬆症の実態は、欧米と日本で大きく異なり、且つ本邦における報告がなかったため、実態を示すためにRWDを活用
- ②本製品の有効性を示すために、国内RWD、海外RWD、学会レジストリ、論文の活用を検討

RWD入手経路・方法

- ①日本の実態を示すためのRWDは商用データベース(DPCデータ)より入手
- ②本製品の有用性を示すために公開論文を活用

RWDの内容

- ①DPCデータであり、患者の背景情報、手術に使われた製品、併用した薬剤等、レセプトデータと同様の内容
- ②公開論文（再手術率の低下）

RWD信頼性等

- ①脊椎領域の疾患は、バリデーション研究が少ないため、スクリューの使用有無、手術の有無等をプロトコルにて工夫し、信頼性を確保
- ②複数の公開論文をメタ解析

RWD活用方法

- ①、②：チャレンジ申請のエビデンス、費用対効果評価、販売促進に活用

RWD課題・解決策

- ①、②：社内の臨床研究担当者、データ解析専門家、医師の3者の連携に時間を要した
- 国内RWDでは、医療機器の識別が出来ないケースが多い
- 該当分野の学会レジストリでは企業が利用する体制が整っていない

各種申請

- ①、②：チャレンジ申請のエビデンスとして活用
- ①：費用対効果評価時にパラメータとして一部使用

上市後対応

- 本製品に関する長期安全性のデータ収集、既存製品との比較等が検討されている

今後RWD活用が進むために

- RWDデータ上の医療機器が個別に識別可能となること
- チャレンジ申請が承認された製品が、レセプト上で通常製品と識別ができるようになること。チャレンジ申請後に対象品目を用いた通常診療によるデータが蓄積され、それをDPCデータやレセプトデータから抽出することで、RWDを用いた解析がより確実に、かつ詳細に可能となる。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#09｜Medical Technology Manufacturer(1/2)(英文)

Background on RWD use

- Millions of surgical tympanostomy occur every year. They've been done for decades, but there wasn't good data on a really large experience.
- There were many papers, but with small population sizes. The manufacturer wanted to get their arms around what the outcomes were because they want to make sure that they are measuring the right things.
- If there is a standard that says, in the 50,000 cases that were done in this data set, how does their product stand versus it?
- The data was there, it just had never been mined before. The data was there, but types of devices was not identifiable with any specificity.
- The manufacturer thought it would be a great opportunity.

Acquiring RWD

- The manufacturer worked with PEDSnet, a clinical data research network, to collect the RWD for their study.
- PEDSnet has the largest data set for this type of procedure. It was a mutual discussion and decision to work together and find out where to get the data.
- They amassed tons of data from CMS, if they're Medicare or Medicaid patients, or from private payers.
- Larger universities and university networks also have accessible data, you just need to know how to mine it.
- Broad claims data was also used on a regional basis, but nothing where a hospital could be identified.

Type of RWD

- Electronic health records (EHR) was used for the data mining with PEDSnet. Claims data was used as well, but it was somewhat limited on providing specific claims info. It provided broad info.

Reliability & Quality of RWD

- PEDSnet is a reliable network with a lot of backing to their name, which is why the manufacturer trusted in their capabilities to provide quality and secure data.
- In terms of confidentiality, no one other than the relevant people, such as PEDSnet and clinical research personnel, even saw anything that was patient specific.
- There were no issues regarding confidentiality breaches or anything like that.

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#09｜Medical Technology Manufacturer(2/2)(英文)

Utilizing RWD

- RWD was utilized for claims data to understand what makes sense and how you can save the system money.
- The data was there, but types of devices was not identifiable with any specificity.
- There was a need to understand outcomes because when the manufacturer wanted to go to FDA and propose a clinical study, they wanted to have data to compare themselves to.
- It was also a great opportunity to develop relationships where the industry and the researchers were working together, and it wasn't a commercially driven piece. The end goal was just understanding how to to treat surgical tympanostomy,

RWD challenges & solutions

- During the data mining with PEDSnet, there were some limitations. Not everybody has the exact same data. Making sure the data perfectly matches up was difficult.
- A prospective clinical study is different. The data didn't automatically line up when it came down to specific devices.
- There was no data field when the data was being collected retrospectively.
- It's important to make sure people are identifying exactly what they want to know and then working with the data network to discover what data they do or don't have.

Approval process

- In Italy, the manufacturer performed an economic analyze for hospitals where they have found that they are losing money performing the standard procedure for otitis media.
- It was costing hospitals more to do the procedure than the government was paying them due to costs associated with operating rooms, anesthesia, etc.
- They used RWD to show that while their device is costly, it saved money on the backend because it's done in an office setting.
- Hospitals get reimbursed at that same level, so in the end, they're actually making money.
- Private insurers benefit from this as well.

Post-market action

- In Europe, CE marks go from MDD to MDR, and MDR guidelines require post-market surveillance on an ongoing basis.
- It is known as a post-market clinical follow-up study (PMCF) in Europe.
- A manufacturer is using RWE to look into what people are doing with the device, how are they using it, what are the outcomes, are they using it off label, and if there's any potential issues or complications.

What needs to be done to promote utilization of RWD

- Clinicians love to understand the outcomes and publish.
- Companies are interested in getting something on the market as fast as possible, making sure it's safe and reliable, getting it to be used as much as possible and getting the most money they can for the product.
- Patients just want good and safe outcomes.
- All these stakeholders and perspectives have to come together and collaborate for a good promotion RWD.

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#09｜医療機器メーカー(1/2)(和文:参考)

RWD活用までの経緯	RWD入手経路・方法	RWDの内容	RWDの信頼性等
● 毎年、何百万件もの外科的鼓膜切開が行われている。何十年も前から行われているが、大規模で良質なデータはなかった。 ● 論文は多くあるが、母集団の規模は小さく、データの網羅性は限定的であった。網羅性、信頼性が共に担保された臨床データが必要であった。 ● このデータセットで行われた50,000 件の症例に対して使用された製品とその結果に関するデータ、それにより導かれる基準があれば好ましいと我々は考えた。 ● 以前から、データは存在していたが、使用はされていなかった。また、使用されたデバイスの種類は特定されていなかった。 ● アクションを起こす必要性があり、RWDの活用は、そのための絶好の機会だと考えた。	● 臨床データ研究ネットワークであるPEDSnetと協力して、研究用のRWDを収集した。 ● PEDSnetは、このタイプのデータセットでは最大であった。お互いに話し合って、協力してデータ取得場所を決定した。 ● 彼らは、MedicareやMedicaidの患者であればCMSから、またその他民間の支払者から大量のデータを蓄積していた。 ● 大規模な大学や大学のネットワークはアクセス可能なデータを保有しており、それをマイニングする方法さえ分かれば使用可能である。 ● 広範な請求データも地域ベースで使用されていたが、病院が特定できるものは存在しなかった。	● PEDSnet によるデータ マイニングには電子医療記録（EHR）が使用された。また、保険金請求データも使用された。特定の保険金請求情報の提供にはある程度制限があったが、幅広い情報を提供してくれた。	● PEDSnetは、信頼性の高いネットワークであり、高品質で安全なデータを提供するであろうと、メーカーも信頼している。 ● 秘密保持の観点から、PEDSnetや臨床研究担当者などの関係者以外は、患者固有のデータを確認することさえなかった。 ● 守秘義務違反などに関する問題はなかった。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#09｜医療機器メーカー(2/2)(和文:参考)

RWDの活用方法

- RWDは、何が理に適っているか、どのようにシステム費用を節約できるかを理解するために、請求データに利用された。
- しかし、デバイスの種類を具体的に特定できなかった。
- メーカーがFDAに臨床試験を提案する場合に、申請製品と比較する対象群のデータが必要である。そのために活用はできた。
- ビジネス的な目的ではなく、産業界と研究者が協力し合う関係を築く絶好の機会でもあった。また外科的鼓膜切開術の治療方法を理解するためにも有用であった。

RWD課題・解決策

- PEDSnetによるデータマイニングには、いくつかの制限があった。誰もがまったく同じデータを有しているわけではなかった。データが完全に一致することを確認するのは困難であった。
- 前向き臨床試験とは異なり、特定のデバイスに至るまで、データが自動的に一致することはなかった。
- データが遡及的に収集されていた場合は、データ領域が満足であるとは限らなかった。
- ユーザーが知りたいことを正確に特定し、データネットワークと連携して、持っているデータは何か、持っていないデータは何かを発見することが重要であった。

各種申請

- イタリアでは、メーカーが病院の経済分析を行い、中耳炎の標準的な治療手順をすることで、病院が無駄なコストを費やしていることを発見した。
- 手術室や麻酔などの費用のために、政府が支払うよりも多くの費用がかかっていた。
- デバイス自体は高価であるが、オフィス環境で可能なため、RWDを使用して、病院のバックエンドのコストを節約できることを示した。
- 病院は同じレベルで償還を受けるので、最終的には利益につながることになる。
- 民間保険会社もこの恩恵を受ける。

上市後対応

- ヨーロッパでは、医療機器に対するCEマーキングの規制はMDDからMDRに移行し、MDRガイドラインでは市販後調査を継続的に行うことが義務付けられている。
- これは、ヨーロッパでは、市販後臨床追跡調査(PMCF)として知られている。
- RWEを使用して、ユーザーがその機器で何をし、どのように機器を使用し、どのような結果がもたらされるのか、適応外で使用しているのか、潜在的な問題や合併症有無等を調査している。

今後RWD活用が進むために

- 臨床医は、臨床研究結果の論文発表を好む。
- 企業は、できるだけ早く市場に投入し、安全性と信頼性を確認し、できるだけ多くの患者使用してもらい、多くの売り上げを得ることに関心を持っている。
- 患者は、良好で安全な結果を求めている。
- RWDを実現するためには、これらすべての利害関係者の興味を理解し、団結し、協力しあう必要がある。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#10｜株式会社CureApp (1/3)

1 企業プロフィール

CureApp

- 社名:株式会社CureApp
- 代表者:佐竹 晃太(医師)
- 設立年月日:2014年7月31日
- 従業員数:205名
- 資格:第二種医療機器製造販売業、医療機器製造業
- プロダクト:ニコチン依存症治療アプリ及びCOチェッカー、CureApp HT 高血圧治療補助アプリ、ascure 他

※ 2023年10月現在

2 製品概要



CureApp HT

製品名	CureApp HT高血圧治療補助アプリ
一般的名称	高血圧症治療補助プログラム
薬事承認番号	30400BZX00100000
保険適用	高血圧治療補助プログラム加算(治療開始時):140点 高血圧治療補助プログラム加算(初回月から6か月): 830点
備考	ー

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと(RWE)	RWEによる成果
アプリ利用者のログ情報	アプリ利用者のログ情報による有効性の証跡 エンドポイント 本品有効性が維持していること 患者データを確認し結果を一年ごとにPMDAに報告	薬事承認

本製品の継続的な有効性を証明するために、アプリ利用者のログ情報を追跡調査し、承認後1年毎にPMDAに報告することを前提に製造販売承認を取得。

出所)株式会社CureApp CureAppHT製品サイト_<https://cureapp.co.jp/productsite/ht/>_[last accessed:2024.01.26]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#10｜株式会社CureApp（2/3）

RWD活用までの経緯	RWD入手経路・方法	RWDの内容	RWDの信頼性等
● 開発当初、「治療アプリ」は新しい考え方の医療機器だった。どのように患者に有効に寄与するのか、RWD（アプリ利用者のログ情報）から各評価項目を証明することにした。	● 患者が利用したデータであり、自社サーバに収納している。 ● データの維持・管理には、データの取扱いに専門知識を持つ者が担当している。	● 患者（アプリ利用者）の利用データをRWDとして取り扱っている。	● 患者同意について、処方時に患者にプライバシーポリシーを確認頂き同意を得た上で取得している。 ● 匿名化について、サーバから必要情報のみを吸い出すことで対応している。 ● データの偏り（地域差、性差、年齢差等）について、処方データ全てをエビデンスとして使用しており、データ偏りの修正等は考慮していない。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用（申請等）当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#10｜株式会社CureApp（3/3）

RWDの活用方法

- ソフトウェアは一般的に軽微変更を繰り返すが、当初に承認された治療アプリとしての機能から逸れていないことを証明する必要がある。
- 承認後1年を経過するごとに、市販後の本品の有効性に関する情報を収集するとともに、有効性が維持されていることを医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）に報告している。

RWD課題・解決策

- 患者（アプリ利用者）のデータを集めているので、「〇年〇月までに、〇〇のデータを〇〇のボリュームで集めたい」という希望が通用せず、コントロールが難しい。データ内容・量は管理不可能な外的要因に依存する。
- 本品は高血圧治療補助システムである。エンドポイントの指標が高血圧であり、アウトカムがデータを通して得られるので、承認後1年を経過するごとに、PMDAに該当データを報告するスキームができている。

各種申請

- （2022年4月26日に、製造販売承認（薬事承認）を取得した。2022年9月1日に保険適用された。）

上市後対応

- 市販後の患者データにより、有効性の維持を確認

今後RWD活用が進むために

- SaMDの製品特性上、自社でデータを集められる。自社では、次の3つの観点でデータを有効活用している。
  ① 学術的なエビデンス構築｜データを元に英語論文で発表し、構築したエビデンスを積極的に外部に発信している。
  ② 製品開発への応用｜各種申請（一部変更、軽微変更等）のエビデンスデータとして使用している。
  ③ マーケティングへの応用｜新製品開発時のマーケティング、製品カタログ等の拡販資料に使用している。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用（申請等）当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#11｜Digital Therapeutic Company (1/2)(英文)

Background on RWD use	Acquiring RWD	Type of RWD	Reliability & Quality of RWD
• While RCTs were the basis of their DiGA approval, the digital therapeutic company used RWD to back up some parts of their argumentation. • When in the RCT there was not enough people with a certain age group or a certain characteristic, they looked into RWD to show that even though they don't have a controlled design in this case, they can see that for the population, there is an effect in real world data. • In one example, the company had to show that people above a certain age that were not represented in the study, but were in their real-life data, still received the same benefits. They used RWD and RWE to show that the effect was transferable.	• The digital therapeutic company acquired their RWD from their programs where participants filled out validated questionnaires during the use of the program regularly. • The company uses this data and analyzes it. • During the process of completing the units, participants are asked several times regarding their process of using the program and then they fill out questionnaires.	• The type of RWD used was validated questionnaires, such as Patient Health Questionnaire (PHQ-9), and Patient Reported Outcomes (PROs) collected from patients using the company's digital therapeutic programs. • In the future, they may look at other different indicators of usage. Such as, how many units a participant has completed, the amount of time spent on the program, the number of logins, the number of completed courses, and user satisfaction.	• The company has an in-house legal team, and they ensure that all the requirements regarding data security are met. This is also something that is deeply checked during the BfArM approval process. • To ensure the quality of the data, they have an in-house data team that is in charge of processing the data. They have a data pipeline, so the data is tidy and prepared for analysis.

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#11｜Digital Therapeutic Company (2/2)(英文)

Utilizing RWD

- The company wanted to show that the effects of their program are transferable to real life conditions and that it's not only shown in clinical studies, but also in the actual program use.
- They acquired their RWD from their programs where participants filled out validated questionnaires during the use of the program regularly.
- The participants fill out questionaries during the use of the program, and then the company uses this data and analyzes it.
- The data was used to show efficacy of the programs and that they had similar results to the RCTs.

RWD challenges & solutions

- A major challenge was at the start, the company did not have data from all their participants. The validated questionnaires were optional, so they only had data on patients that were more motivated to do the check, which might have led to a selection bias.
- To combat this, the company made the questionnaires mandatory. This allows them to have data on more patients or at least of the ones who continue with the program.
- There is also the challenge with a lack of framework and guidelines on what is required for RWD and whether the company can meet these requirements when using it, especially for regulatory approvals.

Approval process

- The digital therapeutic company provided study reports based on existing RCTs for their indications. These RCTs were performed during university studies, and they used the data to show the efficacy of the programs.
- There are certain steps during application and the first submissions stage was where they presented their evidence. After that, there are questions and a reviewing process about some things that might not be clear regarding the evidence, which leads to revisions.

Post-market action

- The digital therapeutic company has been using RWE for post-market action by looking at how effectiveness is developing.
- They use RWD to see if there are any changes during a certain time period that might be worrying or where they might need to look into further. They are also looking at adherence or potential adverse events.
- They are currently working on this, and it might be extended if they have more data available.

What needs to be done to promote utilization of RWD

- There needs to be more frameworks for the use of RWD. These frameworks need to address how RWD can be integrated and also clarify the role of it and how is it used in the market and market access approval.
- RWD and RWE will play a bigger role in reimbursement as of 2026 in Germany. There needs to be a clear framework for this for the industry to understand what role it plays, especially in sales or marketing, and how potential prescribers perceive it.

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#11｜治療アプリメーカー（1/2)(和文:参考)

RWD活用までの経緯	RWD入手経路・方法	RWDの内容	RWDの信頼性等
● DiGA承認はRCTによって行われたが、RWDを一部の訴求データとして使用した。 ● RCTでは、特定の年齢層や特定の特性を持つ患者データが充分に存在しなかった。一方、RWDは管理されたデータデザインではなかったが、そのデータの特性は有効であることが判明した。 ● 一例を挙げると、本ケースでは、RCTには含まれていないが、RWDには含まれている特定の年齢以上の人々が、同じ効能を享受していることを示す必要があった。この課題に対して、RWDを用いて、その効果を証明した。	● 患者がプログラムを定期的に使用する中で、アンケートに記入する方式でRWDを取得する。 ● これらのデータを使用して分析する。 ● プログラムによって定義された各コンテンツを遂行する過程で、患者は数回アンケートに回答、記入する。	● 使用された RWD の種類は、患者健康アンケート（PHQ-9）などの検証済みのアンケートと、同社のデジタル治療プログラムを使用して患者から収集された患者報告結果（PRO）だった。 ● 将来的には、他のさまざまな使用状況の指標を検討する可能性がある。例えば、参加者が完了したユニット数、プログラムに費やした時間、ログイン数、完了したコースの数、ユーザーの満足度などである。	● 社内に法務チームがあり、データセキュリティに関する全ての要件が満たされていることを確認している。これはドイツ連邦医薬品医療機器庁（BfArM）の承認プロセス中に精査される項目でもある。 ● データの品質を確保するために、データの処理を担当する社内データチームが組成されており、分析の体制は整っている。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用（申請等）当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#11｜治療アプリメーカー(2/2)(和文:参考)

RWDの活用方法

- プログラムの効果が臨床試験だけでなく、実際のプログラムの使用によっても確認できることを示したいと考えていた。
- 参加者がプログラムを定期的に使用する中で、アンケートに記入する方式でRWDを取得した。
- 参加者がプログラム利用中に記入した質問事項から得られたデータを活用し分析した。
- これらのデータは、プログラムの有効性と、RCTと同様の結果が得られたことを示すために使用した。

RWD課題・解決策

- 大きな課題は、全ての患者からデータを取得できなかったことである。検証されたアンケートはオプションであったため、意欲の高い患者のデータしかなく、選択バイアスに繋がった可能性があった。
- この課題に対処するために、アンケートを必須にした。結果、より多くの患者、または少なくともプログラムを継続する患者に関するデータを得られるようになった。
- また、RWDに何が必要か、特に規制当局の承認のためにRWDを使用する際にこれらの要件を満たせるかについてのフレームワークとガイドラインが不足しているという課題もあった。

各種申請

- 適応症に関して、既存のRCTに基づく研究報告書を提供した。これらのRCTは大学の研究にて実施され、プログラムの有効性を示すためにデータが使用された。
- 申請には特定の手順があり、最初の提出段階では証拠を提示していた。その後、証拠に関して不明な点について質問や検討、修正が行われる。

上市後対応

- 有効性がどのように発展しているかを調べることで、市販後のアクションにRWEを使用している。
- RWDを使用して、特定の期間に考慮すべき変化がないか、またはさらに調査が必要な箇所があるかを確認している。また、アドヒアランス(患者の治療方針への納得性)や潜在的な有害事象についても注目している。
- 現在これに取り組んでおり、利用可能なデータがさらにあれば延長される可能性がある。

今後RWD活用が進むために

- RWD を使用するための枠組みが必要である。 これらの枠組みでは、RWDをどのように統合できるかに対処し、RWDの役割と市場および市場アクセス承認におけるRWDの使用方法を明確にする必要がある。
- ドイツでは 2026年以降、RWDとRWEが保険償還においてより大きな役割を果たすことになる。特に販売やマーケティングにおいて、それがどのような役割を果たしているか、そして潜在的な処方者がそれをどのように認識しているかを業界が理解できるように、明確な枠組みが必要である。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#12｜日本ゴア合同会社(W.L. Gore & Associates G.K.)(1/2)

1 企業プロフィール

- 社名:日本ゴア合同会社(W.L. Gore & Associates G.K.)
- 代表者:濱西宏修
- 設立年月日:1974年
- 従業員数:750名(2019年時点)
- プロダクト:ゴア® エクスクルーダー® ステントグラフト、ゴア® バイアバーン® ステントグラフト、ゴア® プロパテン®バスキュラーグラフト、ゴア® カーディオフォーム ASDオクルーダー、他

※ 2024年3月1日現在

2 製品概要

- 2段階展開方式及び中枢端の角度調整機構を有し、安定した留置を実現した大動脈用ステントグラフトシステム



ゴア®CTAG 胸部大動脈ステントグラフトシステム

製品名	ゴア®CTAG 胸部大動脈ステントグラフトシステム (ゴア®TAG®コンフォーマブル胸部大動脈ステントグラフト アクティブコントロールシステム)
一般的名称	大動脈用ステントグラフト
薬事承認番号	22500BZX00427000
保険適用	149万円(改良加算5%)
備考	ー

3 RWD活用状況

RWD	RWDで示されたこと(RWE)	RWEによる成果
ヨーロッパ7か国20施設の市販後データ	2段階展開方式(ステント展開過程において血流の影響を最小限にし、安定した留置に寄与し、中間径時にデバイスリポジショニングが可能)、中枢端の角度調整機能(中間径、完全展開径時の2回、アンギュレーションコントロールを使用し、小弯側のバードビークを軽減し血管壁への密着向上をサポート)評価 評価項目 **2段階展開方式** ラピッドペーシング不使用率:92.9%、中間径でのデバイスリポジショニングの実施率:62.2% **中枢端の角度調整機能の有用性** バードビーク発生率:0%、アンギュレーションコントロール使用による中枢側血管壁への密着性改善:93.8% **臨床上の有用性** 術後1年後タイプ1エンドリーク発生率:1.6%(従来品　大動脈瘤群4.1% 大動脈解離群5.8%)	チャレンジ申請で増分獲得

本製品の特徴である2段階展開方式や中枢端の角度調整機構の有用性を、ヨーロッパ7か国20施設の実臨床での患者データにより証明し、改良加算5%の保険償還価格を取得した。

出所)日本ゴア合同会社サイト、< https://www.gore.co.jp/ >、[last accessed 2024.01.31]
本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#12｜日本ゴア合同会社(W.L. Gore & Associates G.K.)(2/2)

RWD活用までの経緯

- 日本・米国よりも先行して欧州で当該製品の販売を開始しており、自社管理のレジストリに製品利用者データを収集していた。

RWD入手経路・方法

- 自社製品データは、臨床結果を集約し、自社管理のレジストリを構築。
- 比較対照群は文献データを利用。

RWDの内容

- 当該製品を先行して販売していた欧州7か国20施設で収集した自社管理のレジストリデータ。
- 比較対照群は、日本ステントグラフト実施基準管理委員会のデータを基にした文献データ及び補足文献。

RWD信頼性等

- 自社管理のレジストリはリスクベースモニタリング及び医師による前向き研究による論文データを利用することにより信頼性を確保。
- 比較対照群は文献データを使用することにより信頼性を確保。

RWD活用方法

- 2段階展開方式や中枢端の角度調整機構の有用性を、自社が有するレジストリに基づき執筆された論文で証明。

RWD課題・解決策

- 学会レジストリデータを企業が直接使うことは、患者同意の取得状況やデータのフォーマットの構成(項目の定義、自由記述欄が多い等)により現状では難しい。

各種申請

- 当該製品は先行品の改良品のため、治験は実施せず承認を取得。
- チャレンジ申請にて類似機能区分比較方式(改良加算5%)の算定方式にて償還価格1,490,000 円を評価。

上市後対応

- 費用対効果評価対象品目に選定され、自社が有するレジストリデータ等を活用予定。

今後RWD活用が進むために

- RWD活用の先行事例が示されることで、RWDの具体的な活用方法が明らかとなり、活用が進むのではないか。
- 学会で収集しているレジストリデータが、企業が活用できるようになれば有用である。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#13｜AED Manufacturer (1/2)(英文)

Background on RWD use	Acquiring RWD	Type of RWD	Reliability & Quality of RWD
• For defibrillators, there's two areas of usage: public access AEDs and professional AEDs • The average citizen walking down the street and seeing someone laying on the sidewalk needs to be able to access an AED and use it efficiently • RWD was helpful to measure the effectiveness of a device when you're not sure who the user will be • The public needs to know how to use it, just as well as a professional • They need to have real time feedback and the ability to see the features and benefits to feel confident in what they were doing • RWD utilization is where this comes in	• Proprietary information	• Clinical data recorded from AED device • Medical records	• Medical device manufacturers comply with all the required standards, such as IRB • Any EMS system has full disclosure agreements and an understanding that this is for the betterment of public health • Regardless of the division of the product, there is a clinical affairs team that works with the regulatory agency and with research and development to ensure reliability • Manufacturer standards start with research and development and then goes to regulatory clinical affairs and then it goes into a trial situation • When looking at future studies in RWE, it's very important to think about these things at the point of research and development

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#13｜AED Manufacturer (2/2)(英文)

Utilizing RWD

- RWD was utilized to find value of the AED device
- Manufacturers need to be able to prove to regulatory agencies and to payer agencies that the device is effective therapy
- It can be used in real world settings and the effectiveness is the same as a clinical trial
- RWD is used to prove economic aspects and if the device can promote longer life of the patient or a higher quality of life

RWD challenges & solutions

- It's important to stay in open communication with the FDA and have a communication plan be built into your process, for example, billing in a communication plan is really important
- The FDA is just starting to interact with some of the other federal organizations, such as CMS, who would use the data that is collected by the FDA
- It's important to think about the other departments that might be in communication with the FDA and build networks into the communication plan

Approval process

- It doesn't matter if it's a single-payer system or a multi-payer system, the presence of RWE is becoming more prominent in insurance applications
- Clinical trials don't often have the information that payer sources are looking for, such as cost and clinical effectiveness and return on investment from device manufacturers
- RWD and RWE need to be considered at the point of research and development when looking at reimbursement

Post-market action

- For post-market studies, the AED Pro device is able to provide feedback.
- From an RWE standpoint, being able to trace items like the compression depth, the timing of the compression that's performed, the location of the pads in the right point for defibrillation, ease of use of the device, how many buttons there are, etc., allows for continual feedback to help improve the next generation of devices and meet the needs of the patient and medical provider

What needs to be done to promote utilization of RWD

- At a congressional level, legislators have gotten involved to include the FDA and CMS to think about alternative means of utilizing data to be able to go through each approval processes
- Bringing the industry manufacturer into the conversation early is also really important because they created this device and they may have ways to make suggestions to meet the needs of the regulatory organizations, the payer organizations, and the individual legislators
- Open communication between the industry and other stakeholders is key

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#13｜自動体外式除細動器(AED)メーカー(1/2)(和文:参考)

RWD活用までの経緯	RWD入手経路・方法	RWDの内容	RWDの信頼性等
● AED(除細動器)には、パブリックアクセス型AEDと業務用AEDの2つの用途がある。 ● 一般市民が歩道に倒れている人を見かけたら、AEDを効率的に使う必要がある。 ● RWD は、使用者が誰になるかわからない場合であっても、デバイスの有効性を測定するのに役立った。 ● 一般人も、専門家と同じように、その使用方法を知る必要がある。 ● リアルタイムのフィードバックに合わせて、機能や利点を確認することにより、使用者がなすべきことに自信を持てるようにする必要がある。 ● RWDの活用はこの点で非常に重要である。	● 自社製品から得た情報	● AEDから記録された臨床データ ● 医療記録	● IRB等、全ての必要基準に準拠した。 ● どの EMS システムにも完全な開示契約があり、これが公衆衛生の向上のためであるという理解が形成されている。 ● 自社内に臨床業務チームがあり、製品の部門に関わらず、監督官庁や研究開発と連携し、信頼性を確保している。 ● 自社内の製品化のプロセスは、研究開発から始まり、次に規制臨床業務に進み、その後治験段階に至る。 ● RWEを用いた将来の研究を考える際、研究開発の時点でこれらのことを考慮することが非常に重要である。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

3)事例#13｜自動体外式除細動器(AED)メーカー(2/2)(和文:参考)

RWDの活用方法

- AEDの価値を見出すためにRWDを活用した。
- 規制当局や保険機関に対して、その機器が有効な治療法であることを証明する必要がある。
- RWDは現実の環境でも使用でき、有効性は臨床試験と同じである。
- RWDは、経済的側面で有効であり、また、デバイスが患者の寿命を延ばし、生活の質を高められるかどうかを証明するためにも有効である。

RWD課題・解決策

- FDAとのオープンなコミュニケーションを維持し、コミュニケーション計画をプロセスに組み込むことが重要である。例えば、能動的なコミュニケーション計画を要求することは非常に重要である。
- FDAは、FDAが収集したデータを使用するCMSなど、他の連邦機関と連携を開始している。
- FDAと連絡を取る可能性のある他の部門について考慮し、コミュニケーション計画を構築することが重要である。

各種申請

- 単一支払者システムあるいは複数支払者システムに関わらず、保険適用において RWEの存在感が高まっている。
- 臨床試験には、費用や臨床効果、機器メーカーからの投資収益率など、支払者ソースが求めている情報が見当たらないことが頻発する。
- RWDとRWEは、保険償還を検討する際に、研究開発の時点で考慮する必要がある。

上市後対応

- 市販後調査のために、AED Proはフィードバックを提供可能である。
- RWEの観点からは、圧迫の深さ、圧迫のタイミング、除細動に適した位置にあるパッドの位置、デバイスの使いやすさ、ボタンの数などの項が追跡可能となる。そして継続的なフィードバックを可能にして、次世代のデバイスを改善し、患者と医療提供者のニーズを満たせると考える。

今後RWD活用が進むために

- 議会レベルでは、議員が、FDAとCMSを巻き込み、各承認プロセスを通過できるようにデータを活用する代替手段を検討している。
- また、業界メーカーが、規制機関、支払者組織、および個々の立法者のニーズを満たすための提案を行える可能性があるため、業界メーカーを早期に検討に参加させることも非常に重要である。
- 業界と関連するすべての利害関係者の間のオープンなコミュニケーションが重要なポイントとなる。

本調査における企業へのヒアリングは、2024年1～3月末日の間に実施しております。また、当該企業の対象製品について、RWD活用(申請等)当時の法令・規制の内容及び市場の状況に基づき掲載しております。

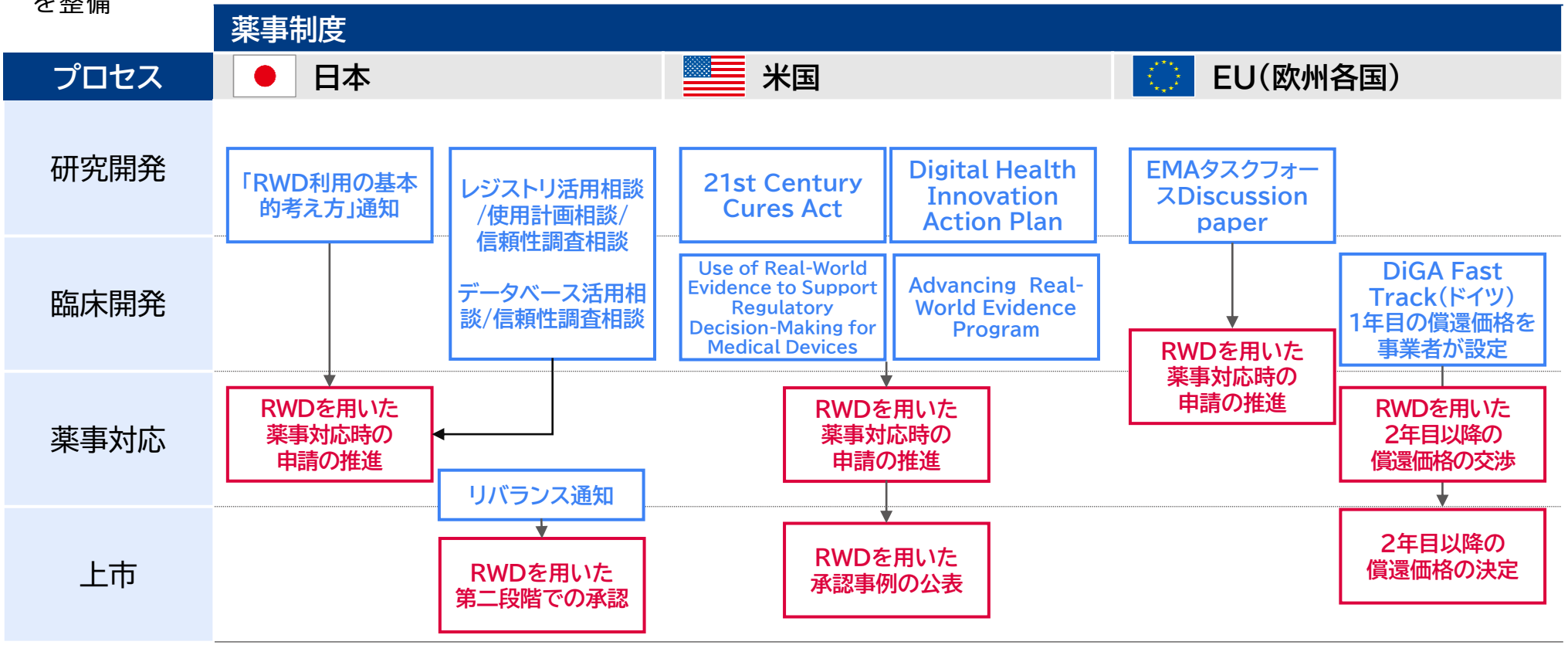
（ウ）比較分析

- （ア）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用推進に向けた制度概要
- （イ）日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例
  - ① 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例デスクトップ調査
  - ② 日本、米国、欧州各国におけるRWD活用事例ヒアリング調査
- （ウ）比較分析

1）薬事制度に関する比較（再掲）

日本・米国・欧州各国のいずれも、医療機器の開発プロセスそれぞれに対応する薬事制度は整備されている

- 日本では、PMDAにRWD WGを設置し、課題抽出、RWD利用例の国内外への発信、活用推進の情報発信等を実施
- また、PMDAによるレジストリ活用相談等を通じて、早期段階でのデータ活用の可否について相談できる体制を整備しており、諸外国と同様の環境を整備
- 米国では各プロセスに沿ってRWDの活用に係る通知等を提示し、RWDの受け入れ基準、承認事例の公表を推進
- ドイツでは、デジタル医療機器分野でDiGA Fast Track制度を整備し、2年目以降の保険償還価格の交渉にRWDを用いる体制を整備



2）保険制度におけるRWDの活用分野（再掲）

各国における保険制度上のRWDの活用状況には大きな差異はない

- 日本・米国・英国・ドイツにおいて、RWDを活用できる領域に違いがあることを確認
- 日本では、RWDはC1/C2/B3及びチャレンジ申請において、臨床上の有用性と医療経済性のエビデンスとして活用することが推奨され、保険償還の可否、償還価格に影響を及ぼす
- 一方、海外では公的保険の償還可否（償還範囲）の判断に用いられる

			日本	米国		英国	ドイツ
				公的	民間		
RWD活用領域	保険申請時	申請時のエビデンス	薬事申請	●	●	―	●	●
			保険申請（償還可否、償還価格）	●	●	● 2）	●	●
			患者数・市場予測	●	●	―	―	―
		医療技術評価/費用対効果評価		● 1）	●	● 3）	●	● 4）

1）費用対効果評価制度の対象
2）公的医療保険（CMS）の償還範囲に倣う傾向にある
3）医療経済性に関する研究・論文等を参照する運用実態がみられる
4）DiGA Fast Trackの対象品目

【凡例】 ● 実績を確認
― デスクトップ調査では該当情報が見当たらないもの、また、米国民間保険にて不明なもの

3）産業政策（再掲）

産業政策として日本では、RWDを用いた事例紹介・情報共有、RWD活用の支援・指導が海外に対し不十分

- RWD活用推進に向けて、各国の取り組みは主として次の3つに大別され、複合的に取り組まれている
  - （1）情報公開型　　規制当局が認めるRWDの内容、RWD・RWEの活用例などの情報発信
  - （2）環境整備型　　情報基盤システムの整備、データベース構築、RWDに関する教育・啓発などの取り組み
  - （3）育成・支援型　　RWDを用いた研究支援、RWDを扱う人材の育成など
- 日本において、（1）情報公開型の政策が不十分とされる
  - RWD活用推進の方針が示されているものの、例えばPMDAが薬事申請に用いることが可能と判断するレベルについてのガイダンス情報は乏しい
- 日本では人材育成施策が実施されているが、海外（欧州）では見当たらない（民間企業・大学に委ねられている（※））

項目	区分	日本	米国	欧州
（1）情報公開型	規制当局による指針の策定、ガイドライン	▲	●	●
	事例紹介、情報共有	―	●	●
（2）環境整備型	法整備	●	●	●
	データベース構築、デジタルインフラ整備	▲	●	▲
	人的ネットワーク（パートナーシップ）の構築	●	●	▲
（3）育成・支援型	人材育成	●	― ※	― ※
	RWD活用の支援・指導（コンサルティング）	―	― ※	●

【凡例】
● 関連する政策が認められる
▲ 現在進行中、または対応不十分のもの
― デスクトップ調査では政策が見当たらなかったもの

※以下通り、いくつか事例が見られる
事例① University of Glasgow, UK
<https://www.gla.ac.uk/postgraduate/taught/healthtechnologyassessment/#programmestructure> [last accessed 2024.02.15]
事例② University of California, San Diego, US
<https://extendedstudies.ucsd.edu/courses-and-programs/communicating-real-world-evidence-medical-writer-professional-development> [last accessed 2024.02.15]

4）RWD活用時期のタイムライン整理

ヒアリング調査を実施した製品の「RWDを利用して得られた成果※1」と医療機器種別一覧

企業名/製品名

	研究/開発	薬事/保険	市販後調査	適応拡大	機能向上
プログラム医療機器	#03 DeepEyeVision株式会社/ DeepEyeVision for RetinaStation		#10 株式会社CureApp/ CureAppHT		#02 エルピクセル株式会社/ EIRL Chest Nodule
	#11 治療アプリメーカー/治療アプリ				
		#01 株式会社CureApp/ CureAppSC			
植込み型医療機器		#08 ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社メディカルカンパニー/Expedium	#09 医療機器メーカー/ 医療機器	#05 ALLIANCE Registry/ Agent パクリタキセルコーティッド バルーンカテーテル	
		#12 日本ゴア合同会社/ ゴア®CTAG 胸部大動脈ステントグラフトシステム		#04 外科手術システムメーカー/ 外科手術システム	
その他医療機器		#06 日本メドトロニック株式会社/ CoolTip			
		#13 自動体外式除細動器（AED）メーカー/AED		#07 Johnson & Johnson MedTech/ThermoCool	

※1）RWDを利用して得られた成果は、本調査においてヒアリングを実施した事項に基づき記載

5）RWD活用時期と製品への影響の関係

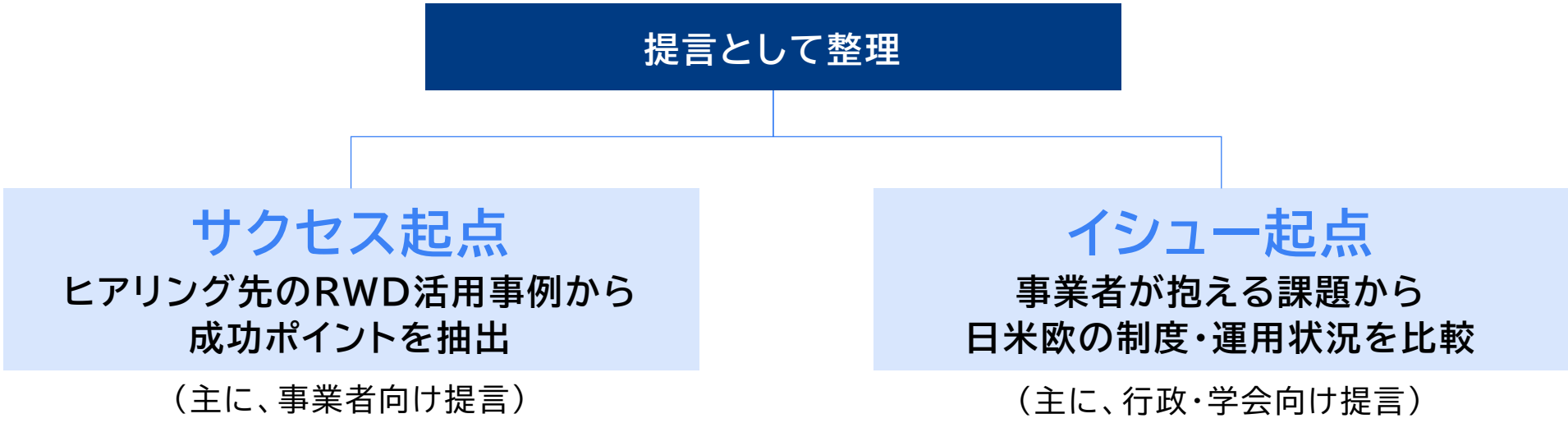
「製品自体が変化するか」と「どのタイミングで活用するか」でRWDの活用も目的が異なる

製品影響 ＼ 活用時期	＜ 上市前 ＞に活用	＜ 上市後 ＞に活用
性能向上（製品が”変化”）	- 開発コスト低減（例：教師データ）	- 早期の一変申請（例：IDATEN） - 性能エビデンス取得（例：適応拡大）
性能証明＆検証（製品は”不変”）	- 治験コスト低減（例：比較対象群）	- 性能エビデンス取得（例：チャレンジ申請、適応拡大） - 早期上市（例：リバランス申請）

（3）調査結果の取りまとめ

1)「提言」整理の基本方針

「サクセス起点」と「イシュー起点」で提言を作成



2）サクセス起点から導かれる提言（1/5）

ヒアリング者のRWD活用事例から、事業者向けの提言内容を整理

凡例
- 🟢「何のために」集めるのか
  - 薬事申請、適応拡大
  - 保険収載
  - 市販後調査　等
- 🟡「何の」RWDを集めるのか
  - 医用画像データ
  - 患者レジストリデータ
  - 医療機器（SaMD）から取れるデータ　等
- 🔵「どこから」RWDを集めるのか
  - 医療機関、学会、論文
  - 自社製品のログ
  - EMR、レジストリ　等

#	成果へのストーリー	
01	**【株式会社CureApp】 CureApp SC ニコチン依存症治療アプリ及び CO チェッカー**	
	対象群（SHAMアプリ使用群）の妥当性に懸念があったが、中医協の診療報酬改定結果検証に係る実態調査（RWD）により対象群の妥当性を証明、結果、薬事申請、保険収載を実現した。	
	🟢 何のために	薬事申請、保険収載
	🟡 何の	診療報酬改定結果検証に係る特別調査
	🔵 どこから	中医協
02	**【エルピクセル株式会社】 医用画像解析ソフトウェア EIRL X-Ray Lung nodule**	
	自社が収集した製品上市後に得られた臨床データを活用し、本品の肺結節候補域の診断支援により、医師の診断結果が向上することを証明、IDATEN申請により性能改善が認められた。	
	🟢 何のために	IDATEN申請
	🟡 何の	製品上市後に得られた臨床データ
	🔵 どこから	自社が収集
03	**【DeepEyeVison株式会社】DeepEyeVision for RetinaStation**	
	医系大学の関連医療施設、学会データベースから入手した匿名加工データ（RWD）を活用し、AI SaMDを開発、薬事申請を実施した。	
	🟢 何のために	薬事申請
	🟡 何の	匿名加工データ
	🔵 どこから	医系大学の関連医療施設、学会データベース

2)サクセス起点から導かれる提言(2/5)

ヒアリング者のRWD活用事例から、事業者向けの提言内容を整理

凡例
- 🟢「何のために」集めるのか
  - 薬事申請、適応拡大
  - 保険収載
  - 市販後調査　等
- 🟡「何の」RWDを集めるのか
  - 医用画像データ
  - 患者レジストリデータ
  - 医療機器(SaMD)から取れるデータ　等
- 🔵「どこから」RWDを集めるのか
  - 医療機関、学会、論文
  - 自社製品のログ
  - EMR、レジストリ　等

#	成果へのストーリー	
04	**【外科手術システムメーカー】外科手術システム**	
	AHSQCのレジストリ(疾患登録システム)に登録された術後の患者情報(RWD)を活用し、「一般腹腔鏡手術」に「腹部ヘルニア修復」を追加するなど、適応拡大した。	
	🟢 何のために	適応拡大
	🟡 何の	術後の患者情報
	🔵 どこから	AHSQCのレジストリ(疾患登録システム)
05	**【ALLIANCE registry】Agentパクリタキセルコーティッド バルーンカテーテル**	
	臨床研究により新たに構築したDCB用レジストリに登録されたデータ(血管3.0㎜径以上の新規病変に使用したデータ)を活用し、適応拡大を予定。(現在はレジストリ登録を条件に暫定的に保険適用が認められている。)	
	🟢 何のために	適応拡大(予定)
	🟡 何の	血管3.0㎜径以上の新規病変に使用したデータ
	🔵 どこから	DCB用レジストリ
06	**【日本メドトロニック株式会社】Cool-tip™ RFAシステムEシリーズ**	
	国立がん研究センター中央病院含む国内9施設による多施設共同研究による臨床研究データの短期成績により、早期乳癌患者へのラジオ波熱焼灼療法の有効性を証明し、薬事承認、保険収載を行った。	
	🟢 何のために	薬事申請、保険収載
	🟡 何の	多施設共同研究による臨床研究データ
	🔵 どこから	国内医療機関(9施設)

2）サクセス起点から導かれる提言（3/5）

ヒアリング者のRWD活用事例から、事業者向けの提言内容を整理

凡例
- 🟢「何のために」集めるのか
  - 薬事申請、適応拡大
  - 保険収載
  - 市販後調査　等
- 🟡「何の」RWDを集めるのか
  - 医用画像データ
  - 患者レジストリデータ
  - 医療機器（SaMD）から取れるデータ　等
- 🔵「どこから」RWDを集めるのか
  - 医療機関、学会、論文
  - 自社製品のログ
  - EMR、レジストリ　等

#	成果へのストーリー	
07	【Johnson & Johnson MedTech】ThermoCool SmartTouch Catheter	
	RWD利活用を支援する、官民連携機関であるNESTcc※1のレジストリ構築プロジェクトに参画し、本製品（無線周波によるアブレーションカテーテル）の臨床結果を用いて有効性と安全性を証明、製造販売承認を得た。その後の市販後安全性調査にもNESTccのレジストリを活用。	
	🟢 何のために	適応拡大
	🟡 何の	レジストリ
	🔵 どこから	RWD利活用を支援する官民連携機関
08	【ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社 メディカル カンパニー】Expedium Verse Fenestrated Screwシステム	
	先行販売した海外市場での自社製品レジストリやDPCを活用し、スクリューヘッドから骨セメントを注入することで固定性が向上できる等の有用性を証明、効率的にチャレンジ申請で増分を獲得した。	
	🟢 何のために	チャレンジ申請で増分獲得
	🟡 何の	海外の自社製品レジストリやDPC
	🔵 どこから	先行販売した海外市場
09	【医療機器メーカー】医療機器	
	比較対象データとしてPEDSnet※2のデータ（RWD）を利用。市販後の有効性を評価した。	
	🟢 何のために	市販後有効性評価
	🟡 何の	PEDSnetのデータ
	🔵 どこから	PEDSnet

※1 NESTcc About us <https://nestcc.org/about/about-us/>[last accessed 2024.03.08]
※2 米国における臨床研究のデータを扱うネットワーク

2）サクセス起点から導かれる提言（4/5）

ヒアリング者のRWD活用事例から、事業者向けの提言内容を整理

凡例
- 「何のために」集めるのか
  - 薬事申請、適応拡大
  - 保険収載
  - 市販後調査　等
- 「何の」RWDを集めるのか
  - 医用画像データ
  - 患者レジストリデータ
  - 医療機器（SaMD）から取れるデータ　等
- 「どこから」RWDを集めるのか
  - 医療機関、学会、論文
  - 自社製品のログ
  - EMR、レジストリ　等

#	成果へのストーリー	
10	【株式会社CureApp】CureApp HT高血圧治療補助アプリ	
	本製品の処方時に患者同意を取得した臨床データ（RWD）を活用し、継続的有効性を証明することを前提に、薬事承認、保険収載を実現した。	
	何のために	薬事申請
	何の	臨床データ
	どこから	自社製品を使用している患者
11	【治療アプリメーカー】治療アプリ	
	自社アプリを使用する患者からアンケート法方式により得た臨床情報（RWD）を活用することで、RCT（ランダム化比較試験）の不足を補填し、BfArM（連邦医薬品医療機器庁）の薬事承認を取得した。	
	何のために	薬事申請
	何の	自社アプリ使用者の臨床情報
	どこから	自社アプリを通じたアンケート
12	【W.L. Gore & Associates, Inc.（日本ゴア合同会社）】ゴア TAG コンフォーマブル 胸部大動脈ステントグラフト アクティブコントロールシステム	
	先行販売した欧州7か国20施設で収集した自社管理のレジストリや文献データを活用し、本製品の特長である2段階展開方式や中枢端の角度調整機構の有用性の証明、効率的にチャレンジ申請で増分獲得した。	
	何のために	チャレンジ申請で増分獲得
	何の	自社管理のレジストリや文献データ
	どこから	先行販売した欧州7か国20施設

2）サクセス起点から導かれる提言（5/5）

ヒアリング者のRWD活用事例から、事業者向けの提言内容を整理

凡例
- 「何のために」集めるのか
  - 薬事申請、適応拡大
  - 保険収載
  - 市販後調査　等
- 「何の」RWDを集めるのか
  - 医用画像データ
  - 患者レジストリデータ
  - 医療機器（SaMD）から取れるデータ　等
- 「どこから」RWDを集めるのか
  - 医療機関、学会、論文
  - 自社製品のログ
  - EMR、レジストリ　等

#	成果へのストーリー	
13	【自動体外式除細動器（AED）メーカー】自動体外式除細動器（AED）	
	自社AEDから入手した自社管理のレジストリを利用し安全性、有効性を証明し、FDA承認、保険償還を実現した。市販後調査にも継続利用している。	
	何のために	FDA承認、保険償還、市販後調査にも継続利用
	何の	自社管理のレジストリ
	どこから	自社AEDから入手

3)イシュー起点から導かれる提言一覧

事業者が抱える課題から提言を整理

分類	#	課題内容	ボトルネック(原因)	#	提言
RWD基盤	01	医療機関・学会・アカデミアが何のデータを保有しているかわからない	医療機関・学会・アカデミアが、医療データを医療機器開発に活用するマインド・体制になっていない	❶	医療機器開発に活用できるRWDの構築をサポートするコーディネーター等の仕組みづくり
	02	医療機関・学会・アカデミアが保有するデータの営利目的使用が難しい			
	03	各種データ基盤が統一されていないので、データを統合しづらい			
	04	RWDを管理、登録する体制、人員が整備されていない	医療機関・学会・アカデミアへのインセンティブがない	❷	データ活用基盤に対する医療機関・学会・アカデミアへのインセンティブの新設
	05	医療機関・学会・アカデミアにとって、RWDを企業に提供するメリットが不十分である			
	06	医療機関・学会・アカデミアによる持続的なレジストリの管理、運営が難しい			
	07	UDIを医療機器開発に応用できていない	UDIがレジストリデータに連携されていない	❸	医療機器事業者がUDIを開発に利活用できるスキームの構築
RWD授受	08	医療情報の取扱い方がわかりづらい	匿名加工、仮名加工等に関する制度は整備されているが、浸透していない	❹	制度を有効に利用するためのガイダンスの策定
	09	どのような社内リソースが必要か、またどのくらいの資金が必要かわからない	RWD利活用が促進される仕組み・ビジネスモデルが確立していない(※1)	❺	RWD利活用ビジネスの成立事例の創出(事例形成の支援)
RWD活用時	10	RWDを、どこから収集して、どのように利用していいかわからない(※2)	国内企業のRWD利活用実績が少ない、且つ成功事例が周知されていない	❻	国内外のRWD利活用事例の収集・公開
	11	活用したいRWDが統計学的観点で正確性、完全性/網羅性、保存性、等を満足しているかわからない			
	12	どのような場合に、どのようなレベルの信頼性が求められるかわからない			
	13	戦略的にRWDの利活用に挑む体制・意志が不十分である			

※1 医療機関等がRWDを企業に提供し、企業が有効活用するシステムが確立していない
※2 レジストリ、EMR等の社外に存在するデータだけではなく、自社SaMD製品等から社内に存在するデータ収集も含む

4)イシュー起点から導かれる提言❶(1/2)

医療機器開発に活用できるRWDの構築をサポートするコーディネーター等の仕組みづくり

課題			- 医療機関・学会・アカデミアが保有するデータの営利目的使用が難しい、等
ボトルネック(原因)			- 医療機関・学会・アカデミアが、医療データを医療機器開発に活用するマインド・体制になっていない
現状の取組	日本		- 医師がNCDや学会レジストリデータを用いて研究を行い、その成果物を企業が用いることは可能(元々、所属学会員等の研究促進のために作られたデータベースであり、企業の営利目的での利用を想定していない) - RWDの情報集約先、また一元的な受付窓口がない
	米国		- NESTcc (RWE創出のコーディネーターのような役割)
	欧州		- DiGAによる事例紹介※1 - 「欧州データ空間」(EHDS)構想により、EU加盟各国に設置されたアクセス管理機関(a health data access body)にてデータを管理
提言	A	提言先	行政(厚生労働省、経済産業省)、PMDA、業界団体
		提言内容	**医療機関が保有するRWDの利活用推進体制の構築** - PMDA・厚生労働省と産業界のRWD活用組織/団体が協力し、医療機関向けにデータ基盤の構築をサポートするコーディネーター(人材育成)の仕組みづくりを推進する - また、定期的な意見交換会(イメージ: 革新的医療機器創出のための官民対話)を設置・維持し、官民が協力して課題解決を図る体制を作る
	B	提言先	行政(厚生労働省、経済産業省)、学会
		提言内容	**学会・アカデミアが保有するRWDの利活用推進体制の構築** - レジストリを有する学会において、企業による営利目的でのデータ利用を可能とする仕組み作りについて検討する(企業が薬事・保険申請に利用活用な状況を整備する) - 学会レジストリの作成、維持費用負担を明確にし、事業者が利用する際の学会への適切な支払い方法、妥当な金額のガイドラインを作成、提示する

※1 Finden Sie die passende digitale Gesundheitsanwendung <https://diga.bfarm.de/de> [last accessed 2024.03.08]

4)イシュー起点から導かれる提言❶(2/2)

医療機器開発に活用できるRWDの構築をサポートするコーディネーター等の仕組みづくり

提言	C	提言先	行政(厚生労働省、経済産業省、文部科学省)、学会、業界団体
		提言内容	RWDに関わる窓口の一元化 - 産官学の協力により、国内に存在する主なRWDの情報集約ウェブサイトを開設・運営する組織を設立する(医療(薬事・保険)、介護、公衆衛生へ生かす観点から、厚生労働省による統括が望ましい) - ウェブサイトにはデータ内容、管理者、利用申請方法、使用料などの情報を掲載し、RWDの質問に対応する窓口を設置する - 産業界・アカデミアへ周知することでRWDの活用を促す

4)イシュー起点から導かれる提言❶(補足資料)

複合的な要因により医療機関が医療情報を事業者等に提供しづらい

医療機関が医療情報を事業者等に提供しづらい理由

個人情報保護法(患者同意)への対応が必要	医療機関側のインセンティブがない	医療情報を提供した場合医療機関が負うリスクが特定できない	患者個人の意識として、個人情報の提供に忌避感がある
現状国内制度の実態 - 法令を遵守しながらの医療情報提供は可能 - 次世代医療基盤法により医療情報の取り扱いがしやすくなった	現状国内制度の実態 - 医療機関は非営利組織のため、医療情報を提供する業務を行った場合は発生した工数部分のみ提供先(医療機器事業者等)に請求できる(業務による利益は得られない) - 認定医療情報等取扱受託社等は工数とは別に利益分を提供先(医療機器事業者等)に請求可能		

4)イシュー起点から導かれる提言❷(1/2)

データ活用基盤に対する医療機関・学会・アカデミアへのインセンティブの新設

課題			- RWDを管理、登録する体制、人員が整備されていない - 医療機関・学会・アカデミアにとって、RWDを提供するメリットが不十分 - 医療機関・学会・アカデミアによる持続的なレジストリの管理、運営が難しい
ボトルネック(原因)			- 医療機関・学会・アカデミアへのインセンティブがない
現状の取組	日本		- 医療機関・学会・アカデミアがRWDを提供してインセンティブ(実利益)を得るビジネススキームは浸透していない - 学会レジストリにおいて、事業者が国内でPMDAに申請をした場合、PMDAの書面調査を受けなければならず、企業、学会側にも費用、労力が発生する - データ購入費用とは別に、書面調査対応への協力の費用が発生しており、今後国内のRWDを活用する際に、労力を考えると、企業から学会へ書面調査の協力を「お願い」ベースでは難しく、企業として学会へ協力を依頼しづらい - 医療情報を提供する業務に対し医療情報の提供に必要な費用を超える医療情報の提供の対価を支払わないことが基本とされている※1
	米国		- 現状、米国の学会(一部)は、保有するレジストリデータは有償で事業者に提供している - 事業者がデータを有償で購入できるスキームは、レジストリ自体の持続性を向上している
	欧州		- 欧州委員会(EC)によるRWDの活用に関する研究報告書の中で、EUの協調的な活動のための7つの提言を記載され、その提言4に「個別給付(individual benefits)による拡大・正確なデータ入力を支援するインセンティブモデルを模索すること」との記載※2
提言	A	提言先	行政(経済産業省、厚生労働省)、業界団体
		提言内容	医療機関が保有するRWDに関わるビジネスモデルの構築 - 医療機関(特に大規模医療法人)が保有している医療データを医療機器開発事業者へ提供するビジネスモデルの実証を行う - データ登録協力者に対するインセンティブの付与の可能性について検討する(診療報酬での評価、研究資金の補助など)
	B	提言先	行政(厚生労働省)、PMDA
		提言内容	医療情報を提供する医療機関へのインセンティブ付与 - 医療情報を提供している医療機関に対して、認定要件とするなど保険上の優遇措置を設ける - 医療情報を提供する業務に対して工数以上の利益を提供先(医療機器事業者等)に請求できるようにする

※1 医療分野の研究開発に資するための匿名加工医療情報及び仮名加工医療情報に関する法律についてのガイドラインhttps://www8.cao.go.jp/iryou/hourei/pdf/guideline.pdf[last accessed 2024.03. 20]
※2 REGULATION (EU) 2016/679 OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL of 27 April 2016
<https://www.ppc.go.jp/files/pdf/gdpr-provisions-ja.pdf> [last accessed 2024.03.08]

4)イシュー起点から導かれる提言❷(2/2)

データ活用基盤に対する医療機関・学会・アカデミアへのインセンティブの新設

提言	C	提言先	行政(厚生労働省、経済産業省)、学会
		提言内容	学会・アカデミアが保有するRWDに関わるビジネスモデルの構築 - 学会レジストリの作成、維持費用負担を明確にし、事業者が利用する際の学会への適切な支払い方法、妥当な金額のガイドラインを作成、提示する

4）イシュー起点から導かれる提言❸

医療機器事業者がUDIを開発に利活用できるスキームの構築

課題			- UDIが医療機器開発に応用できるデータではない
ボトルネック（原因）			- UDIがレジストリデータに連携されていない
現状の取組	日本		- 特定医療機器等であればトラッキング可能※1 - 製造販売業者によりMEDIS-DCへUDIの登録が可能（任意）だが、トラッキング機能が無い
	米国		- GUDID（Global Unique Device Identification Database）：グローバル医療機器固有識別データベース（日本のMEDIS-DCに相当）で、製造販売業者による登録を義務化 - NESTccにてGUDIDのデータとの連結が可能※2 （NESTccは医療機器メーカーとパートナーシップを結び、RWDを活用した研究を実施し、YouTubeにて公開※3）
	欧州		- EUDAMED （European Database on Medical Devices、欧州医療機器データベース） にてUDIを登録（2021年5月26日施行）、検索可能※4
提言	A	提言先	行政（厚生労働省）、PMDA、業界団体
		提言内容	**医療機器事業者がUDIを開発に利活用できるスキームの構築** - （今後）日本で流通する医療機器のUDIについて、製造販売業者によるMEDIS-DC、もしくは国で管理される登録データベースへの登録を推奨（但し、Class1等のトレースが強く求められない医療機器は除く）する - 登録されたUDIをトラッキングできるシステムを管理・運営する組織を設ける - 医療データにUDIが含まれているようにする（例、診療情報やレセプトデータなどに使用した医療機器情報） ただし、医療機関・院内スタッフへのインセンティブ等が必要である - 米国におけるNESTccでの取り組みを参考に、医療機器メーカーと共にUDIによる医療機器のトラッキング情報の活用を推進する（既にPMDAによるMID-NET活用の取り組みがあるが、医薬品が中心で医療機器では活用されていない）

※1 特定医療機器販売業者・貸与業者の遵守事項について<https://www.city.toyonaka.osaka.jp/kenko/kenko_hokeneisei/kusuriyakubuturanyou/iryokiki/tokutei-jyunsyu.html> [last accessed 2024.03.08]
※2 NEST UDI Center <https://nestcc.org/udi-center/> [last accessed 2024.03.08]
※3 NEST CC Test cases<https://nestcc.org/test-cases/> [last accessed 2024.03.08]
※4 EUDAMED- European Database one Medical Devices <https://ec.europa.eu/tools/eudamed/#/screen/home> [last accessed 2024.03.08]

4)イシュー起点から導かれる提言❹(1/2)

制度を有効に利用するためのガイダンスの策定

課題		- 医療情報の取扱い方がわかりづらい
ボトルネック(原因)		- 匿名加工、仮名加工等に関する制度は整備されているが、浸透していない
現状の取組	**日本**	- 企業が医療機関からデータを取得する際に、個人情報保護法上、患者同意または匿名加工(または仮名加工+共同利用)が必要 次世代医療基盤法(2018年施行、改正法は2024年4月施行予定)にて、仮名加工医療情報の創設やNDB等の公的データベースとの連結等が予定されているが、制度が浸透していない※1 - 薬事承認等の申請者は、レジストリデータを承認申請等に利用する場合、レジストリ保有者により、①個人情報の保護に関する法律その他適用される規制に従って、レジストリにデータを提供している患者の同意に関する要件及び手順が規定されていることを確認すること、②同意が取得される場合は、必要な情報を記載した説明文書が作成されていることを確認すること、③第三者(モニタリングを実施するモニター、監査を実施する監査担当者、規制当局等)が情報源に保管されている原資料等の閲覧をする可能性がある場合は、必要に応じて当該説明文書にその旨が記載されていることを確認すること、が求められる※2 - 認定仮名加工医療情報利用事業者は認定仮名加工医療情報作成事業者から提供された仮名加工医療情報(企業による患者への許諾不要)の薬事申請活用が可能※3
	米国	- 企業が医療機関からデータを取得する際に、患者同意及び匿名加工が必要 - Limited Dataset: 研究・公衆衛生等の目的の場合において、個人の許諾を得ずに情報を使用又は開示することが許可される※4 - 研究公衆衛生目的であれば、「Limited Dataset」により活用ができる(ただし、広告宣伝等の営利目的では使えない) - 個人の許諾を得ずに保護対象の情報を使用又は開示することが許可される「Limited Dataset」という概念があり、研究目的ならば本人の同意なしで使用又は開示が可能※5、IRBで承認されれば、IC登録は不問
	欧州	- GDPR (General Data Protection Regulation、EU一般データ保護規則) 第9条にて、特別な種類の個人データ (special categories of personal data)として取り扱いを禁止※6

※1 改正次世代医療基盤法について <https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001166476.pdf > [last accessed 2024.03.08]
※2 「「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点」について」の訂正について<https://www.pmda.go.jp/files/000240142.pdf> [last accessed 2024.03.08]
※3 改正次世代医療基盤法について<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001166476.pdf> [last accessed 2024.03.08]
※4 医療データに関する海外事例調査<https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/jisedai_iryokiban_wg/dai3/siryou4.pdf > [last accessed 2024.03.08]
※5 医療データに関する海外事例調査 <https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/jisedai_iryokiban_wg/dai3/siryou4.pdf> [last accessed 2024.03.08]
※6 REGULATION (EU) 2016/679 OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL of 27 April 2016
<https://www.ppc.go.jp/files/pdf/gdpr-provisions-ja.pdf> [last accessed 2024.03.08]

4)イシュー起点から導かれる提言❹(2/2)

制度を有効に利用するためのガイダンスの策定

提言	A	提言先	行政(内閣府/厚生労働省)
		提言内容	**仮名加工情報の利用方法の整理と利用促進** - 次世代医療基盤法上の仮名加工医療情報の利用促進する(仮名加工医療情報利用事業者の認定が今後行われていくという段階) - 個人情報保護法に従った上で、医療情報利用を促進する(医療機関向けのガイダンス作成、同意取得する際の定型文作成、患者向けの啓発、等) - 次世代医療基盤法を活用したデータの蓄積支援を行う
	B	提言先	行政(厚生労働省、経済産業省)、業界団体
		提言内容	**官民共同で医療情報提供事例を作成・公開** - 行政が法対応に従って、医療機関からデータの提供を受けた事例形成の支援をする - 官民コンソーシアムの組織化等、行政と業界団体が共同で事例の作成・公表する
	C	提言先	行政(内閣府)
		提言内容	**患者の医療情報提供への理解促進** - 医療機器事業者等に医療機関から医療情報が提供され、新たな医療機器等が開発される等、患者団体、患者に利益が生じた事例を公開する

4）イシュー起点から導かれる提言❺

RWD利活用ビジネスの成立事例の創出（事例形成の支援）

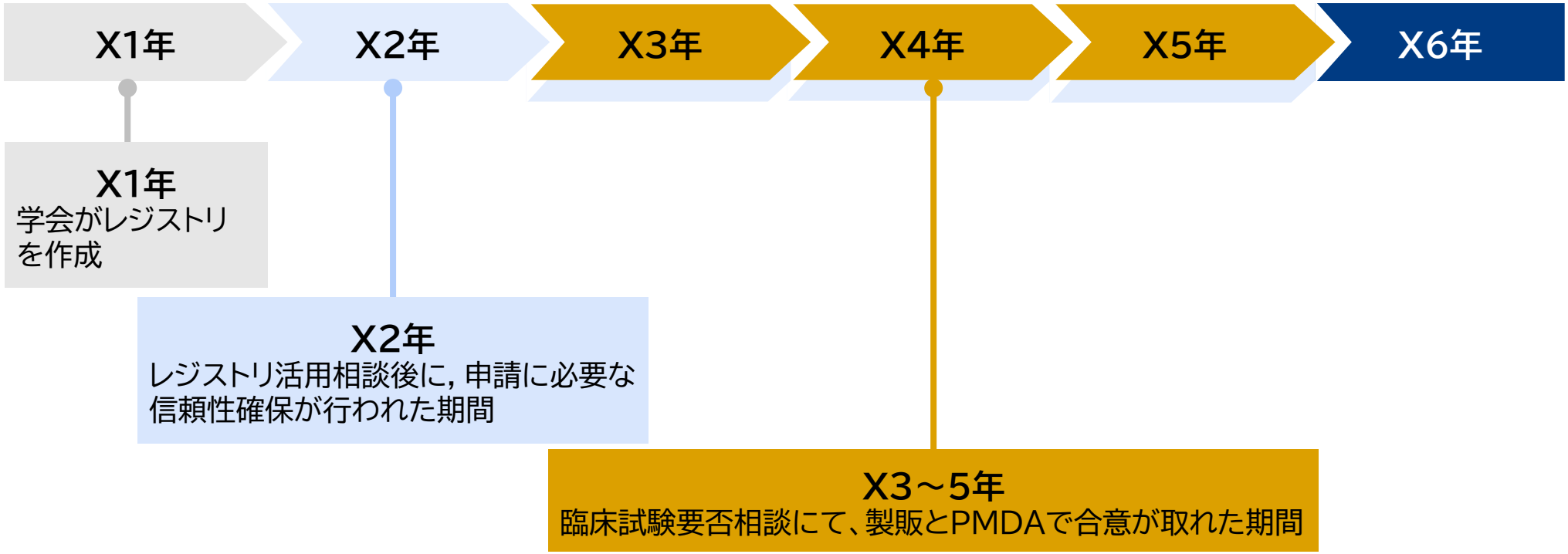
課題			- どのような社内リソースが必要か、またどのくらいの資金が必要かわからない
ボトルネック（原因）			- RWD利活用が促進される仕組み/ビジネスモデルが確立していない
現状の取組	日本		- PMDAにRWD WGを設置※1、PMDA臨床試験要否相談（レジストリ中の評価項目、評価期間等の確認）、レジストリ信頼性調査相談（信頼性対応について確認）にて受け入れ基準等についての相談は可能（次頁参照）※2 - 「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点」とQ&Aが発出済み※3,4
	米国		- Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devicesの公開※5 - 規制上の意思決定におけるRWEの使用に関するワークショップを開催（21st Century Cures Actにて規定） - Advancing Real-World Evidence （RWE） Program - NESTcc （RWE創出のコーディネーターの役割）がある※6
	欧州		- 【英国】NICEによる情報公開（医薬品・医療技術についてデータの信頼性基準が明記） - 「欧州データ空間」（EHDS）構想より、EU加盟各国に設置されたアクセス管理機関（a health data access body）にデータを管理
提言	A	提言先	行政（厚生労働省）、PMDA
		提言内容	**RWDの受け入れ基準の周知** - 薬事申請（（PMDA審査部、信頼性保証部））、保険申請（厚生労働省、中医協）で受け入れ可能なRWD基準（「正確性」、「完全性/網羅性」、「保存性」、「信頼性」）について、わかりやすいガイダンス、ガイドブックを発行し、厚生労働省/PMDAウェブサイト等上で公開する※7 - RWDを用いた薬事承認（適応拡大を含む）、保険適用（チャレンジ申請成功例等）を紹介し、活用したRWDのどこが申請基準を満たしていたのかを分かりやすく示す、また理解促進のためにワークショップ、セミナー等を開催し理解を促進する
	B	提言先	行政（経済産業省）、業界団体
		提言内容	**ビジネスモデル事例形成の支援** - RWDを利活用して、事業化を成功させる事例形成の支援をする

※1 PMDA RWD WG<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/cross-sectional-project/0021.html > [last accessed 2024.03.08]
※2 PMDA におけるリアルワールドデータの活用にかかわる取り組み ―新規相談枠の紹介― <https://www.jstage.jst.go.jp/article/rsmp/9/3/9_197/_pdf/-char/ja> [last accessed 2024.03.08]
※3 「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点」について
<https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc5764&dataType=1&pageNo=1 > [last accessed 2024.03.08]
※4 レジストリ又は医療情報データベースのデータを医薬品の承認申請、再審査等申請に利用 する場合の信頼性担保に係る留意点に関する質疑応答集（Q&A）につい<https://www.pmda.go.jp/files/000248148.pdf> [last accessed 2024.03.08]
※5 Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/use-real-world-evidence-support-regulatory-decision-making-medical-devices > [last accessed 2024.03.08]
※6 NESTcc About us <https://nestcc.org/about/about-us/>[last accessed 2024.03.08]
※7 保険申請について、既にガイドブックが発行・公開されている

4）イシュー起点から導かれる提言❺（補足資料）

X1年より学会がレジストリを作成した場合、X3～5期間が承認申請に資するレジストリとなる（前向きレジストリの一例）（参考フロー）

承認申請に資するレジストリ
「レジストリ活用相談」にて指摘された信頼性確保を行い、「臨床試験要否相談」にて，承認申請に使用できる評価期間・評価項目と認められたレジストリ



※1　独立行政法人医薬品医療機器総合機構PMDA　審査関連業務相談区分一覧表、医療機器・体外診断用医薬品についての対面助言（治験相談・簡易相談）、全般相談等、<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/consultations/0019.html>[last accessed 2024.03.26]
※2　国立研究開発法人日本医療研究開発機構AMED　令和6年度「医療機器開発推進研究事業」に係る公募について、<https://www.amed.go.jp/koubo/12/01/1201B_00076.html>[last accessed 2024.03.26]

4）イシュー起点から導かれる提言❻

国内外のRWD利活用事例の収集・公開

課題			- RWDを、どこから収集して、どのように利用していいかわからない - 戦略的にRWDの利活用に挑む体制・意志が不十分である - 活用したいRWDが統計学的観点で正確性、完全性/網羅性、保存性、等を満足しているかわからない - どのような場合に、どのようなレベルの信頼性が求められるか不明確
ボトルネック（原因）			- 国内企業のRWD利活用実績が少ない、且つ成功事例が周知されていない
現状の取組	日本		- 「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点」とQ&Aが発出済み※1,2 - 医療機器に関するRWD活用事例の公開は進んでいない
	米国		- 規制上の意思決定におけるRWEの使用に関するワークショップを開催（21st Century Cures Actにて規定） - Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devicesにて、FDA承認済のRWE活用90事例を公開
	欧州		- 英国・NICEによる情報公開 - DiGAによる事例紹介※3
提言	A	提言先	業界団体、PMDA、行政（厚生労働省）
		提言内容	**RWD活用事例集の作成、公開** - RWDを利活用し、医療機器開発に成功した事例（RWDを用いた承認取得事例、チャレンジ申請成功例事例）を公開する - 活用したRWDを、どこから収集したのか、どのように申請基準を満たしていたのか、どのように信頼性を確保したのかを分かりやすく示す - 事業者、学会、アカデミア向けに、RWDの活用推進セミナー・ワークショップを開催し、PMDA相談制度、RWD関連通知の内容、活用事例の周知を図る

※1 「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点」について
<https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc5764&dataType=1&pageNo=1 > [last accessed 2024.03.08]
※2 レジストリ又は医療情報データベースのデータを医薬品の承認申請、再審査等申請に利用 する場合の信頼性担保に係る留意点に関する質疑応答集（Q&A）について
<https://www.pmda.go.jp/files/000248148.pdf> [last accessed 2024.03.08]
※3 Finden Sie die passende digitale Gesundheitsanwendung <https://diga.bfarm.de/de> [last accessed 2024.03.08]

未来を問い続け、変革を先駆ける

MRI 三菱総合研究所