2021/3/11 AMED生物統計家育成支援事業主催シンポジウム リアルワールドデータの最前線 〜国内外の現状と産官学における取り組み〜

AMED「患者レジストリデータを活用した、 臨床開発の効率化に係るレギュラトリーサイエンス 研究」班の取り組み

国立研究開発法人 国立がん研究センター 研究支援センター 生物統計部 柴田大朗

考えたい課題

- 十分な疫学データがないことによる、研究開発機会の逸失
 - 「試験計画の外形的要件の観点でfull specの治験・臨床試験が 実施しやすい疾患領域」から外れた希少疾病等がneglectされる
- 適応外使用・未承認薬の使用結果情報の散逸
- 介入研究で得られる情報だけでは医療現場で必要とされる情報をカ バーできないこと
 - 一般化可能性の評価
 - 臨床的・社会的・経済的価値の評価
- 治験・臨床試験の常識での質の担保方法・事前規定のアプローチは必ずしも全てのレジストリ・RWDに適用しうるものでは無いこと
- →治験・臨床試験の教科書(= method)を起点に見る・申請資料を 起点に物ごと見ると取りこぼされる事柄
- →社会に存在する解決すべき課題 (=needs) を起点にものを見て、 様々なmethodologyを統合して問題解決する必要がある

希少がん・希少フラクションのインパクト

- 希少がんは個々の疾患としてはまれであるが、がん患者の15 ~22%を占める
 - https://doi.org/10.1093/jjco/ hyaa121
- 主要ながんも希少フラクション化 が進んでいる
 - 肺腺がんの場合

EGFR変異 40%ALK遺伝子転座 5%ROS1遺伝子転座 1%

• BRAF変異 1%

ひとつひとつの集団は小さくとも、社会的には大きな割合を占める

 更に、EGFR変異例のうち、チロシンキナーゼ阻害剤の耐性例の 約50%を占めるT790M変異例に対するオシメルチニブの臨床導 入など更に細分化が進んできている

- https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/outline/0003.html
- https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/cas.13568

現状、皆困っているのでは?

- ・ 患者さん・医療現場が困っている
 - 治療開発が進まない・遅滞する・投資されないことによる治療選択 肢の欠如
- **・ 企業・アカデミアも困っている**
 - 医師主導治験・先進医療Bによる産学の分業は一定の成果が出ているが、対応すべきunmet needsは多く構造的にリソース不足
 - 取れるリスクにも限界がある
 - どのようにして臨床試験を組んだら良いか・データパッケージを構成したら良いかが不明瞭
- ・ PMDAも恐らく困っている(or 恐らく今後困る)
 - フルパッケージの開発が出来る新薬だけを議論の対象にするのならば困らないが、「治療開発からneglectされている疾患」を議論の対象にする場合には難儀なことになる

資料の無断使用・無断転載を禁止します。

3



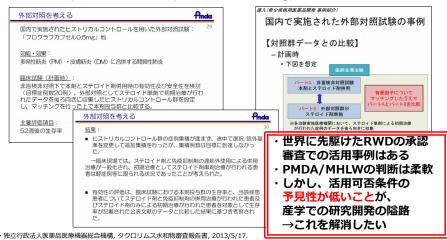
AMED研究班での検討内容

- ・ 生物統計学的検討と他データベース連携の検討
 - **多様なデータソースの利活用方法や適用しうる統計学的方法論**の整理、**複数のデータソース間の連携**について文献・情報の調査・整理を行い、その上で利活用の実務が円滑に進むよう**考え方の提示**を目指す
 - **→考え方を整理した文書のドラフト作成・シンポジウム(2020.12)**
- 品質マネジメントシステムのあり方及び留意事項の検討
 - 患者レジストリデータの<mark>信頼性担保をQMSの観点から実現</mark>するために、必要な文献等を整理すると共に臨床研究の計画・実施・管理の現場の経験を踏まえ、QMS構築に必要な**論点整理を行い、留意事項を提示**することを目指す
 - →SOPや規定類等の構成案を作成

本邦で評価資料として歴史対照を提出した事例

 \rightarrow Takada et al. Rheumatology 59(5):1084-1093, 2020.

https://academic.oup.com/rheumatology/article/59/5/1084/5572269



- [http://www.pmda.go.jp/drugs/2013/P201300087/800126000_20500AMZ00157000_A100_2.pdf]
- ・佐久嶋研, 難病・希少疾病治療薬の薬事承認における現状と課題, 文部科学省「未来医療研究人材養成拠点形成事業」 臨床発実用化
- マネジメント人材養成拠点 第4回シンボジウム, 東京, 2015/10/29. [https://www.pmda.go.jp/files/000216772.pdf]

独立行政法人医薬品医療機器総合機構「第5回 データサイエンスラウンドテーブル会議」(2018/2/27)資料 [https://www.pmda.go.jp/files/000223846.pdf]

研究班:統計学的事項の取りまとめ文書 (70p程)

- 1.背景
- 2.目的と適用範囲
- 3.RWDを活用する際の透明性の確保
- 4.Hybrid controlにRWDを用いた ランダム化臨床試験
- 4.1. Hybrid control
- 4.2.Hybrid controlの可能性と統計 的課題
- 4.2.1.利点・欠点
- 4.2.2.今後の課題
- 5.外部対照にRWDを用いた単群臨床 試験
- 5.1.想定する状況
- 5.2.デザインおよび解析を実施するトでの留意点

- 5.3.統計的手法に関する留意事項
- 5.3.1.RWDを利活用して有効性および安全性を評価する統計手法の論点 整理
- 5.3.2.代表的なバイアスとその対処 法
- 5.3.3.ベイズの方法
- 5.3.4.用いた手法の妥当性の検討

<Hybrid control>



- ・ランダム化による比較可能性の担保
- ・治験の例数をへらしつつ、RWD 追加で検出力の維持
- ・RWD追加の妥当性検討が可能
- ・サブグループ解析等が容易 など

資料の無断使用・無断転載を禁止します。

- 5.4.報告に関する留意事項
- 5.4.1.RWDを外部対照として利 活用する場面における統一フォ ーマットの必要性
- 5.4.2.CONSORT/STROBEチェックリストにならった報告時の留意点
- 5.5.事例
- 5.5.1.SCRUM JAPANレジストリ を外部対照とする単群臨床試験
- 5.5.2.承認申請への活用を念頭に 置いた統計解析を進める上での 留意事項
- 6. 補完情報としてのRWDの活用
- 6.1 はじめに
- 6.2. Pivotal trialを中心とする薬事 申請のデータパッケージにRWD から得られた知見を加えること
- 6.3.臨床試験のプラットフォームと してRWDを活用すること
- 6.4. まとめ

7.レジストリーデータと他データベース の連携

- 7.1.各NCにおける他データベース連携 の実例
- 7.1.1.NCCHDでの取り組み
- 7.1.2.NCGGでの取り組み
- 7.1.3.NCNPでの取り組み
- 7.2.世界における取り組み例
- 7.3.他データベースとの連携における 課題

8.実装する上での留意事項

- 8.1.ソフトウェア
- 8.1.1.統計解析ソフトウェアの選定
- ・検証・報告について
- 8.1.2. 紹介した手法の実装手順につ いて
- 8.2.他データベースとの連携

本件について2020年12月にシンポジウムを開催、概要紹介と意見交換

第Ⅰ相~第Ⅲ相でなされていること

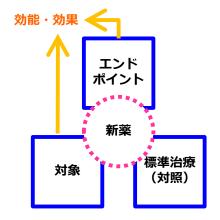
- 新薬のプロファイリング
 - 用法・用量の設定根拠
 - 有効性が存在することの根拠
 - 有効性が十分であることの根拠
- →一部の根拠をRWDで補う (様々なエビデンスレベルの 情報を組み合わせて活用)
- ※データパッケージ構成の多様化
- 安全性のプロファイル
- リスク・ベネフィットバランスの評価の根拠 ・・・等
- 新薬候補の絞り込み(≒複数試験による結果の確実さの 担保)
 - 探索 → 治験をRWDで置き換える、等
 - 検証 →治験の一部をRWDで補う(対照群へのRWD活用)、等

対象患者数が少ないなどの理由で上記の全てのデータを企業の治験で揃えることが困難

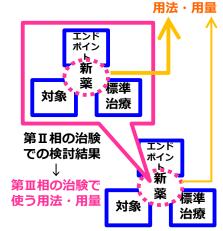
- →医師主導治験、先進医療B等による産学の分業・戦略的連携
- →RWD・患者レジストリ等によるデータパッケージの補完

10

<一般的な開発>試験デザイン・データパッケージ構成

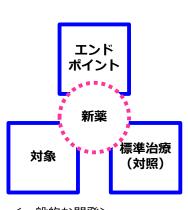


- <一般的な開発>
- ・外部要因(対象、標準治療、 エンドポイント)はほぼ確定
- ・不確実なのは新薬の効果のみ
- →試験デザインは組みやすい

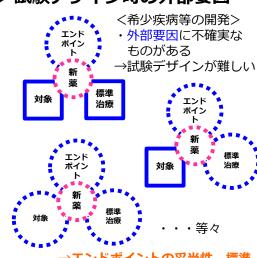


- <一般的な開発>
- ・用法・用量等は先行治験で検討
- →申請データパッケージは組みやすい

<希少疾病等の開発>試験デザイン時の外部要因



- <一般的な開発>
- ・外部要因(対象、標準治療、 エンドポイント)はほぼ確定
- ・不確実なのは新薬の効果のみ
- →試験デザインは組みやすい



→エンドポイントの妥当性、標準 治療の成績の見立て、対象絞り 込みの妥当性等を立論するため RWD活用の余地あり

資料の無断使用·無断転載を禁止します。

ブロスマブ X 染色体連鎖性低リン血症性くる病・骨軟化症(XLH)

- EMA審査時:主要評価項目のRSS総スコアの妥当性を 小児の後ろ向き観察研究(UX023-CL002, n=52)で検討
- XLH評価のgold standardはない。RSS総スコアは 元々XLHの評価用でない。
 →RSS総スコアの妥当性をRWDで確認
- 疾患によっては第II相の治験下でエンドポイントの 検討をすることもあるが、"For this orphan disease, finding another XLH population in order to further validate the scale seems difficult." (FPAR)

	承認	UX023- CL002 への言及	RWDによる 主要評価項目の validationへの 言及
EMA	2018.2	0	0
FDA	2018.4	0	×
PMDA	2019.9	×	×

「PMDAはエンドポイントの妥当性など興味がない」? 「世界で一番初めに承認するのであれば論点になる」? 「治験での検証を求める」?

→レギュラトリーサイエンス の課題(予見性・feasibility の向上が必要)

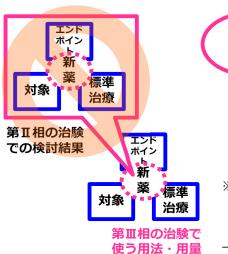
ペムブロリズマブ MSI-Hへの適応拡大

- FDAでの議論:高頻度マイクロサテライト不安定性 (MSI-H)の固形癌に対する適応拡大(2017)
- 治験に登録される・登録された臓器のがん以外の に結果が一般化できるか?という課題が生じる
- Review reportの企業とのmeeting記録中で、FDAは以下のような見解を述べている
 - "FDA also stated that the Agency would be amenable to Merck providing additional data from a registry study in patients with MSI-H tumors"



- ※「診断が確立した疾患領域の医薬品開発」 「類薬が存在する下での医薬品開発」では 対象の絞り込みで難渋することは少ない
- ※対象患者数が多ければいくつかの治験を 組んでみるという試行錯誤も可能
- →希少疾患領域での新規性の高い医薬品開発 では重要かつcriticalな課題

< 希少疾病等の開発>データパッケージの構成シクロスポリン 川崎病への適応拡大時の用法・用量設定の例





※PMDAからの**投与期間を5日間と設定 した根拠**、実臨床において本剤が5日間を超えて投与される可能性について照会

→治験ではなく、**国内臨床研究が根拠**として活用される

本邦における過去の事例(審査時の検討・承認後の対策①)

- 造血幹細胞移植における健常人ドナー造血幹細胞の末梢血中への動員に関するG-CSF製剤の適応拡大(2000) 治験以外のデータの活用
 - 治験では長期安全性の情報が不十分
 - →(a)治験を要求?

(b)治験以外のデータの活用?

- →申請データパッケージの構成 方法が変わる→レギュラトリーサイエンスの 新たな課題
- ①薬事承認審査の段階で厚生省がん研究助成金の研究班のドナ -予後調査の結果を参照
- ②承認後のドナーに対する長期安全性情報収集のため、日本造 血幹細胞移植学会のドナー登録を活用
 - 非血縁ドナーが同種骨髄移植の場合と同様に骨髄移植推進財団によって管理される予定であるか否かを臓器移植対策室に確認している
 - ・健常ドナー(血縁・非血縁)に対する長期フォローアップ体制が取られること、学会によりデータが公表されることを臓器移植対策室・日本造血細胞移植学会に確認している
 - →審査報告書 p17-18, 29.

フィルグラスチム(遺伝子組み換え)審査報告書,衛研発第2083号、2000/1/27. [http://www.pmda.go.jp/drugs/2000/g000308/20repo01.pdf]

なぜ今更古い話を持ち出すのか?

- RWDは、当時はRWDとは呼ばれていなかっただけで既に薬事目的で 様々・ad hocに活用されてきた
 - 薬事目的を前提に集められたデータの活用も、別の目的で集められ たデータの活用も
 - もちろん過去と現在で、個人情報保護法や人を対象とする医学系研 究に関する倫理指針等の薬事制度以外の外部要件の変化があり、当 時と同じことが出来なくなってはいないか、精査は必要
 - しかし、この間、RWD (と当時は呼ばれていなかったもの) を使 用禁止とする薬事制度の変更はなされていない(はず)
- つまり「今まで認められていなかったものを新たに認めるにあたって 条件を定める」という議論ではなく、「今まで使うことが認められて いたものについて、開発者側の予見可能性を高める等のために使える 条件を明確化していく」という議論をしている・する必要がある段階
 - CIN事業で構築したレジストリ:使える可能性が高い
 - その他の薬事目的利用を事前規定したもの:使えるとしても基準が明確でない
 - その他の薬事目的を事前設定していないもの:これまで使えてきたものを使えないと する理由がない+使える基準が明確ではない

17

本邦における過去の事例 (審査時の検討・承認後の対策②)

がんゲノムプロファイリング検査 (2017)

何故使えると判断されたのか? **→レギュラトリーサイエンスの**

- ①探索的要素が強いエビデンスレベルが低い遺伝子を検査の解 析対象に含めることを正当化するにあたり、国立がん研究セン ターに設置されたがんゲノム情報管理センター(C-CAT)に患 者の臨床情報と遺伝子情報が登録がなされ今後活用されること が想定されていることを根拠として提示
- ②「C-CATを中心に遺伝子パネル検査に基づく臨床・ゲノム情 **報の集積、評価が予定されており**、がんゲノム医療における本 システムの使用情報を踏まえつつ申請者とC-CATが適切に連携 、協力する必要はあるものの、これとは別に使用成績調査を実 施する意義は低いと考えられること」と、患者情報が登録され る什組みの存在を根拠に使用成績調査不要との見解提示

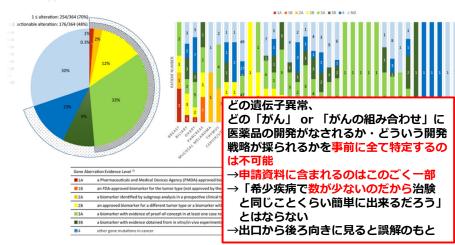
→つまり、こういったRWDが、承認範囲を決めるため and/or 製販後の使用成績調査の代替物として、使える可能性がある。

[https://www.pmda.go.jp/medical_devices/2019/M20190123001/450045000_23000BZX00403_A100_1.pdf] ・遺伝子変異解析セット(がんゲノムプロファイリング検査用)審査報告書、2018/11/19.

[https://www.pmda.go.jp/medical_devices/2019/M20190122001/480585000_23000BZX00398000_A100.pdf]

MASTERKEY Projectのレジストリ登録状況

固形がん 364例 (2019年4月時点での登録数560例中)



薬事目的活用のジレンマ

- ・ レジストリ立ち上げ時には具体的な利活用目的・方法は定 まらないために事前規定型の実装が困難
 - 具体的な利活用目的・方法(利活用する集団、変数、 活用時の研究デザイン、解析方法等)抜きには、設定 する品質目標 (例えば品質許容限界) の承認審査時へ の影響が議論出来ない
 - 利活用方法・目的が事前に決まる**介入研究の常識を適** 用出来ない
 - 加えて、現時点で**治験でも品質許容限界に対する規制** 当局の見解が明確になっていないため、RWDでは尚更 の品質に関わる事前規定は困難
 - そもそも規制当局にとっての"Regulatory grade"の 意味が不明瞭

[・]遺伝子変異解析プログラム(がんゲノムプロファイリング検査用)体細胞遺伝子変異解析プログラム(抗悪性腫瘍薬適応判定用) 審査報告書、2018/11/19.

Pre-determined monitoring (事前規定型モニタリング)

第6回臨床開発環境 整備推進会議 資料 2020/3

活用目的・方法をレジストリ活用時に決定し、DBをregulatory grade と非regulatory gradeに分けてモニタリング方法を定める





<ルーティンモニタリング>

研究として必要十分なレベルだが非regulatory gradeのモニタリング及びその 結果のフィードバックによるデータの質の作り込みの枠組みをレジストリ立ち



<レギュラトリーグレードモニタリング>

薬事目的の利活用を想定している集団・変数に対し、想定される利活用方法(解析方 法等を含む) を前提としたintensiveなモニタリングをレジストリ立ち上げ時から実施

研究班:「患者レジストリデータを医薬品等の承認申請資料等として活用 する場合におけるデータの信頼性担保に資する運営・管理について」(仮)

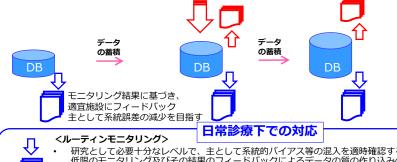
- 1.はじめに
- 2.本提案の目的、背景
- 3. 滴用対象
- 4.患者レジストリ構築・運営の目的、背景(アカデミアの視点)
- 5.患者レジストリデータの医薬品等承認申請 資料等としての利活用を取り巻く環境
- 5.1国内の状況
- 5.1.1クリニカル・イノベーション・ネッ トワーク(Clinical Innovation Network; CIN)
- 5.1.2医薬品医療機器総合機構 (PMDA) からのガイダンス
- 5.2海外の状況
- 5.2.1海外規制当局(FDAガイダンス案、 EMA)
- 5.2.2医療機器分野: IMDRF Registry Working Group (Registry Guidance 7 つの基準)

- 5.2.3医薬品分野: GCP renovation
- 5.2.4再生医療等製品分野
- 6.患者レジストリデータを医薬品等の承認申請 資料等として活用する場合におけるデータ の信頼性担保に資する運営・管理について
- 6.1患者レジストリの設計・運用に関する事 項(医療機関と患者レジストリ保有者との 関係)
- 6.1.1レジストリ構築研究の目的
- 6.1.2データの品質管理
- 6.1.3レジストリの品質保証
- 6.1.4レジストリ構築研究に係る各種規定・ 各種業務手順
- 6.1.5レジストリ構築研究に係る個人情報保 護に関する配慮
- 6.1.6レジストリ構築研究に係るコスト、費 用負担のあり方
- **+レジストリの設計、運用に関する事項(レジストリ保有者が備える手順書等** の例)と代替SOP等規定類の例

Adaptable monitoring (適応型モニタリング)

第6回臨床開発環境 整備推進会議 資料 2020/3 (一部修正)

活用目的・方法の決定(利活用プロジェクト毎)



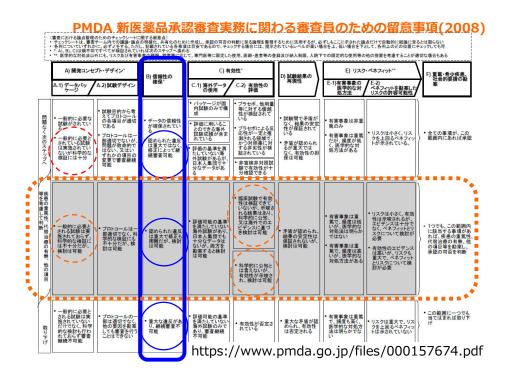
- 研究として必要十分なレベルで、主として系統的バイアス等の混入を適時確認する最 低限のモニタリング及びその結果のフィードバックによるデータの質の作り込みの枠 組みを立ち上げ時に設ける
- 「プロセス管理のための品質目標」を設定してデータを監視しつつ、適時フィードバ





データの活用目的・活用方法が決まった段階で「最終成果物の品質目標」を設定し上 乗せのモニタリングを実施(複数のアドオンモニタリングが実施されうる)

- ・ 必ずしも各項目毎にSOP・文書を作るべきという訳では無い
 - アカデミアのレジストリは、データ収集に関する研究、データ 解析等の活用に関する研究(複数存在しうる)などの研究計画 を研究倫理審査委員会に諮り、かつ、研究組織等のポリシーや 規定に従い、運営されていることが少なからずあり、それら文 書が必要な項目をカバーしていることが少なからずある
 - 治験におけるGCP必須文書等に関する問題と同様の問題が生じ ないよう、硬直的な運営がなされないようにすることが重要
- 要求すべき質・品質の水準をどのように定めるべきかは、実は誰も 答えを持っていない
 - 治験と同じことをすべき、治験と同じ水準を要求すべき、とい う議論は問題
 - そもそもICH E6(R2)の議論他で、治験における運用も多様であ ることが広く認知されてきた



現時点での議論のframework

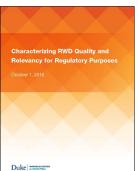
• Duke-Margolis Center for Health Policy "Characterizing RWD Quality and Relevancy for Regulatory Purposes" (2018)ではRelevancyとQualityに分け以下のように整理されている

Data Relevancy

- Availability of key data elements (exposure, outcome, covariate, patient-level linking)
- Representativeness
- · Sufficient subjects
- Longitudinality

- Data Quality

- Accuracy(Validity, Conformance, Plausibility, consistency)
- Completeness
- Provenance
- · Transparency of data processing



26

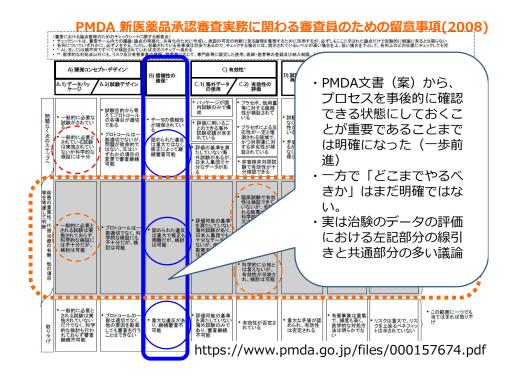
- ・ また、以下のような点を明らかにするべきとしている
 - Historical use and prior data management documentation of RWD sources;
 - Assessments of selection bias from data sources;
 - Assessments of information bias from data sources;
 - Impact of assumptions and procedures from data cleaning, transformation, de-identification, and linkages;
 - Assessment of changes in key data element capture and coding over time;
 - Measurements of accuracy for critical data fields, such as consistency with source, sensitivity, and specificity of calculation and/or abstraction:
 - Historical or verified validity measures of critical data fields; and
 - Assessments of data completeness by field and over time.
- まず、こういった点を明らかにする努力が必要
- では、どのくらいのselection biasが許容できるのか?等という疑問に答えるための論点整理が必要。
 - 画一的な定量的ハードルを設けることはおそらく不可能・不適切
 - 一方で、"regulatory grade"で何を担保したいのかという評価軸は明らかにする必要がある

PMDAにとっての"Regulatory grade"の定義は?

- 試みにいくつかのレベルで考えてみると・・・
 - データの観点 : "Regulatory grade"のRWD (?)
 - 意思決定のレベルで問題を起こさない範囲のノイズ・バイアスは許容可能のはず(ただしバイアスは相対的に影響大)
 - プロセスの観点: "Regulatory grade"のRWD提供体制 (?)
 - 意思決定のレベルで問題を起こさない範囲の治験との違いは許容可能のはず (?)

VS

- ・ 承認申請に使うのなら治験と同様のことをするべき (?)
- 意思決定の観点: "Regulatory grade"のRWE (?)
 - 承認審査で何らか*の意志決定や判断に活用しうるエビデンス (?)
 - *承認可否判断、効能・効果、用法・用量の記載、注意喚起等 適正使用に必要な情報提示等
- "Regulatory grade"で達成したいことが明確にならなければ、ある 品質マネジメントシステム、品質目標、品質許容限界が妥当なもの であるのか否かの判断はつかない



思考実験:審査における判定の質の担保の事例

- 抗がん剤の薬事承認は、少なくはないケースで単群で奏効割合を Primary endpointにした治験成績に基づき行われてきた
- そのような治験に対して、PR例とCR例(奏効と扱われる症例)のCT を取り寄せ再読影することが行われてきた(ケースがある)
- この方法では、申請資料中に誤判定によるSD、PD例が含まれてもそれを特定できない
- この方法は「ずさんな方法」か?
 - ①ずさんな方法である:SD、PD判定の正しさが担保されない。
 - ②ずさんな方法ではない:承認の可否判断において「効かない薬を間違えて効くと判定してしまう間違いを増大させない」ことを達成目標にするのであれば、PR、CR例の確認だけで十分。
- ずさんな方法であるか否かの判断は、達成目標("Regulatory grade"で達成したいことは何か)に依存する
 - レジストリの品質マネジメントシステムの評価も"Regulatory grade"で達成したいことは何かに左右される

品質目標に関する課題:治験の世界での議論

- コメント16: 品質許容限界を設定してリスクを管理することは理解できるが、品質許容限界の設定に関する経験が少なく、設定するパラメータや基準値の是非の判断に苦慮することが想定される。 <u>品質許容限</u>界の設定に際し、設定時に考慮するべき事項をQ&A等で示していただけないか。
 - A16: 今後の検討の参考とさせていただきます
- コメント20:「**品質許容限界**」については、当局は規定した内容を許容してくれるのか。最終的にモニタリングの精度・粒度を決めるのは当局の指摘に沿わざるを得ないので、当局の見解を伺いたい。
 - A20: 品質マネジメントは、品質管理及び品質保証をより効率的に活用して治験の品質を担保することを目的とするものであり、これを前提として、治験依頼者及び自ら治験を実施する者の責任において、個々の治験の内容や実施体制に即して、品質許容限界の規定を含めたリスクに基づく取組を検討し、実施されるものと考えます。

2019/7/5 厚労省 医薬品審査管理課「品質マネジメントに関する基本的な考え方(案)」に関する御意見の募集の結果について https://search.e-gov.go.jp/servlet/PcmFileDownload?seqNo=0000189715

30

まとめ

- ・ RWDの薬事目的利用が必要とされる背景を共有することが重要
 - Methodありきの議論ではなく、needsを理解するところから話を始めたい
 - 治療開発からneglectされがちな疾患にどのように対応するか?など
- RWDの薬事目的利用は古くて新しい問題である
 - 「これまで不可能だったRWD活用を可能にする議論」ではなく「これまで行われてきたことを前提に、利用可否判断の予見性を高める議論」をすべき段階
- ・ RWDを薬事目的活用する際の利用可否判断の明確化と、それに適したQMSの考え方の整理が喫緊の課題
 - レジストリでも適切なfit-for-purposeの品質管理システムの導入は重要であるが、全てを事前規定型にすることは不可能・不適切
 - 研究班で統計・OMSの実務的な課題を解消するための取り組み中
- 今後は、単に「治験データをRWDで置き換える」ではなく「様々 なエビデンスレベルのデータを組み合わせてデータパッケージを構 成する」という観点からの議論も必要
 - RWDの時代にも治験・臨床試験といった介入研究は重要
 - 「治験・臨床試験とレジストリ・その他のRWDの長所・短所を考えたエビデンスの統合」を考えていくことが必要

Acknowledge

AMED「患者レジストリデータを活用した、臨床開発の効率化に係るレギュラトリーサイエンス研究(JP20mk0101154)」

- QMS小班: **小居秀紀先生**(国立精神・神経医療研究センタートランスレーショナル・メディカルセンター 情報管理・解析部長)
- STAT小班: **上村夕香理先生**(国立国際医療研究センター 臨床研究センター データサイエンス部 生物統計研究室長)

をはじめ、6NC・日本製薬工業協会・医薬品医療機器総合機構からご参画頂いている研究開発分担者・研究参加者の方々との議論をふまえ、内容を構成しました。ただし本講演内容に関する責任は演者にあります。

33

