

佐藤 陽治

国立医薬品食品衛生研究所 再生・細胞医療製品部 部長

「リアルワールドデータ(RWD)」とは、厚生労働省厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会の定義によれば、「実臨床の環境において収集された安全性・有効性の評価に活用できる各種電子的データ」を指す¹⁾。また、米国食品医薬品局(FDA)の定義では、「様々なソースから日常的に収集される患者の健康状態および/またはヘルスケアの提供に関するデータ」を指す²⁾。いずれにせよ、正確には「医療に関するRWD」を意味する。なおFDAは、「RWDの分析から導き出された、医療製品の使用と潜在的なベネフィットまたはリスクに関する臨床上のエビデンス」を「リアルワールドエビデンス(RWE)」と定義している。RWDの具体的ソースには、①電子カルテ・診療報酬明細書(レセプト)、②医薬品・疾病等のレジストリ、③先端的なモバイル機器で収集される健康情報などがある。上記①の代表例としては、医薬品医療機器総合機構(PMDA)が構築したデータベースMID-NETが挙げられる。②については国内外で多くのレジストリが構築されている他、クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)のようなネットワーク化も進んでいる(日本再生医療学会が運用する再生医療等データ登録システムNRMDもCINに参加している)。

従来、医療現場において収集された健康関連データは、単独あるいは少数の医療機関内においてのみ共有されて医学研究に利用されていたが、近年の情報通信技術(ICT)や人工知能(AI)などのインフォマティクスの発達によって、医療現場におけるデータの電子化と大規模集積が可能となった。このようにして集積される膨大なRWDを分析することにより、医薬品等の開発時・臨床使用時の判断や規制当局の意思決定の根拠となるRWEが生み出され、技術革新が加速されると

期待されている。現在、政府も「未来投資戦略2018」および「令和元年度革新的事業活動に関する実行計画」の中で先進的医薬品等の創出およびヘルスケア産業の構造転換のための施策として、大規模なRWDの活用を推進する方針を示している。薬機法には、再生医療等製品に対し安全性が確認され、有効性が推定された段階で条件および期限を付して製造販売承認を与えることができる制度がある。また近年、革新的医療機器や医薬品についても条件付早期承認制度が設けられた³⁾⁴⁾。これらの制度が適用された製品の有効性・安全性評価においては、市販後のRWDの分析が極めて重要となる。

このように臨床試験デザインやデータソースの多様化が進むなか、従来の臨床試験の実施基準(GCP)には多様化に対応するための柔軟性がないと考えられるようになってきている。医薬品等の臨床試験の形式は、エビデンスレベルの高いランダム化比較試験(RCT)が主流である。しかし、RCTが技術的または倫理的に適切ではない場合があることや人為的・限定的な条件下でのRCTの被験者のリスクと実臨床における患者のリスクが異なる場合があることが課題とされてきた。これらの課題を克服しGCPに柔軟性をもたせるための方策として、医薬品規制調和国際会議(ICH)では「GCPリノベーション」、すなわち「医薬品の臨床試験の実施基準」(E6ガイドライン、通称ICH-GCP)の改訂が提案されており、その一環として治験データ収集を補完するまたは置換しうるRWDソースまでもGCPの対象範囲とすることが計画されている⁵⁾。