

企業が疾患レジストリを利活用する
ために必要な情報とその背景

2026年3月

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会 臨床評価部会

2025年度 継続課題対応チーム9

目次

1 本資料の背景、目的・ねらい.....	4
1.1 背景.....	4
1.2 目的・ねらい.....	5
2 企業が疾患レジストリの利活用を判断するために必要な情報とその背景.....	6
2.1 企業が社内で疾患レジストリの利活用を提案する流れ.....	6
2.2 CIN レジストリ検索で確認可能な項目	6
2.3 各利用目的における確認ポイントと利用する際の企業の期待.....	7
2.4 企業が利活用判断するために公開・提供してほしい情報.....	10
3 公開又は提供される情報と企業ニーズのギャップ	13
4 おわりに.....	15

略語一覧表

略語	略していない表現（英語）	略していない表現（日本語）
AMED	Japan Agency for Medical Research and Development	国立研究開発法人日本医療研究開発機構
CIN	Clinical Innovation Network	クリニカル・イノベーション・ネットワーク
CRF	Case Report Form	症例報告書
EDC	Electronic Data Capture	電子的データ収集
PMDA	Pharmaceuticals and Medical Devices Agency	独立行政法人医薬品医療機器総合機構
RMP	Risk Management Plan	リスク管理計画
PRO	Patient Reported Outcome	患者報告アウトカム
RWD	Real World Data	リアルワールドデータ

1 本資料の背景、目的・ねらい

1.1 背景

近年、実臨床下で得られるリアルワールドデータ（Real World Data：RWD）の活用が、医薬品開発の初期段階での開発戦略の策定、臨床試験での患者選定、承認後の安全性評価、製造販売後調査、エビデンスの創出など幅広い場面で注目を集めている。なかでも、特定の疾患や治療を対象に、診療情報やアウトカムを継続的・体系的に収集する「疾患レジストリ」（特定の治療を対象としたレジストリも本資料では疾患レジストリに含む）は、RWDの中でも充実したデータを保有する情報基盤と位置づけられ、医薬品の開発、承認申請や製造販売後調査などへの活用が期待され、利活用事例も出てきている [1]。

疾患レジストリは、承認申請や製造販売後調査などにおける有効性・安全性の評価への活用に加え、臨床試験実施前の事前調査や患者分布の把握、実臨床下での診療実態や疾患の自然歴の解析など、多様な目的での活用の検討が広がってきている。また、国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（AMED）が中心となって推進する CIN（Clinical Innovation Network）事業では、アカデミア・企業・行政の連携を図りながら、医師主導治験の支援や疾患レジストリの設計・高度化を通じて、革新的医薬品・医療技術の創出を後押ししている [2, 3]。この枠組みの中では、疾患レジストリを活用した開発戦略の策定や、長期フォローアップ体制の構築、患者報告アウトカム（PRO）評価の導入といった先進的な取り組みの支援も行われており、疾患レジストリが従来の研究目的を超えて、対象疾患のエビデンス創出や治療開発の中核基盤として期待が寄せられていることが分かる [2]。

こうした疾患レジストリの利活用を支える制度的な支援も拡充されつつある。医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、令和5年度より、厚生労働省が実施する「リアルワールドデータ活用促進事業」に協力し、疾患レジストリ保有者（以下「保有者」と略す）を対象に、薬事申請への活用を念頭に置いた運用体制や信頼性確保に関する情報提供や教育コンテンツを提供している [4]。また、PMDAでは2021年からRWDワーキンググループが設置され、疾患レジストリを含むRWDの基本的な考え方や薬事活用における信頼性担保の考え方についての整理・検討が進められ、2024年にはその成果として、活用時の具体的な課題と対応方針が取りまとめられた [5]。さらに、企業やアカデミアからの相談に対応する体制も整備され、疾患レジストリを活用した開発戦略の策定がより実務的な選択肢となりつつある [6]。

加えて、日本製薬工業協会 医薬品評価委員会（以下「製薬協」と略す）臨床評価部会が「製薬企業におけるリアルワールドデータの本邦での利活用に関する現状及び課題」に関して2022年に実施したアンケート調査結果からも、将来的に疾患レジストリを利活用したいという延べ回答件数が、現在と比べ増加（3.1倍）しており、疾患レジストリの利活用に対する大きな期待値が示されている [7]。

環境整備の進展や期待値の高さにも関わらず、実際には疾患レジストリの利活用を検討したも

の、検討段階で断念する事例が複数報告 [8] されており、利活用は進みつつあるが、依然として障壁は存在する。2025 年 1 月に製薬協臨床評価部会が主催した、保有者と企業の意見交換会では、企業が疾患レジストリの利活用を検討・判断する際の具体的な課題として「公開されている情報や提供される情報の充足性」、「利活用目的に応じたデータの品質」、「情報提供のスピードの予見性」などが挙げられており、企業にとって利活用候補として検討しやすくするためには、こうした点についての改善が求められる。これらの課題の背景には、疾患レジストリのデータ品質への懸念やデータ構造の標準化の遅れ、データ提供体制の不透明さ、また費用負担のあり方など、運用面に関する課題が存在していると考えられ、企業のニーズと保有者側の実態に乖離があることを示している。加えて、保有者側においても疾患レジストリの情報公開・情報提供に関する課題認識が共有されており、本課題解決に向けて、企業が求める情報とそのニーズが生じる背景を体系的に整理した資料を提供する必要性が示唆された。

1.2 目的・ねらい

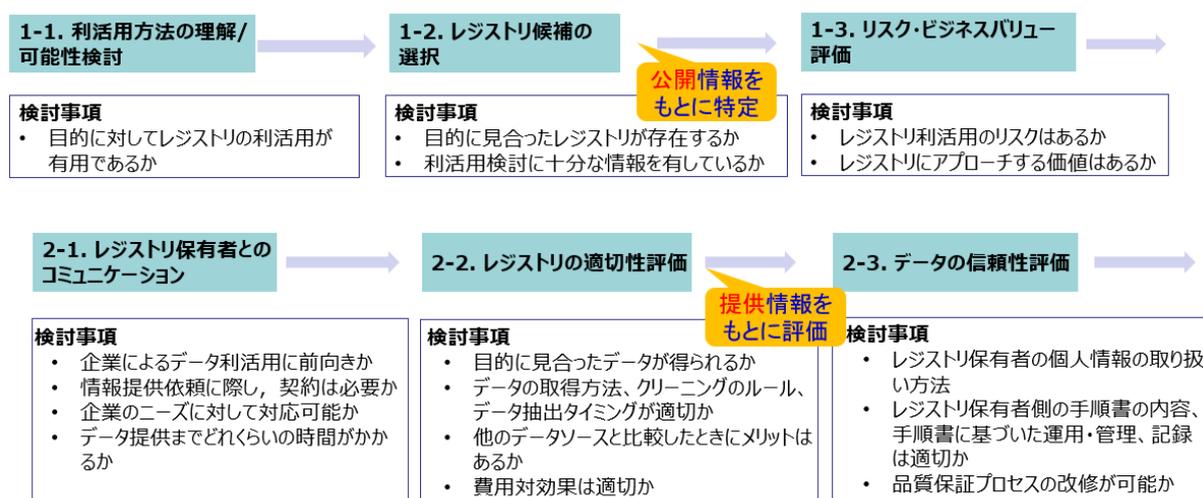
企業が疾患レジストリの利活用を検討又はレジストリデータの適切性を判断するために、保有者に公開及び提供を求める情報を整理し、活用場面ごとに必要とされる情報及びその情報が求められる背景を提示する。これを提示することで、保有者に企業内での意思決定の現状や、企業ニーズとそのニーズが生じる背景に関する理解の促進を目的とする。情報の整理に際し、疾患レジストリの公開情報を基に企業が必要とする情報の充足性を評価した。その際、公開情報の代表として、CIN 中央支援事業・レジストリ調査・検索システム（以下「CIN レジストリ検索システム」と略す）[9] に掲載されている情報を参照した。

本資料は、医薬品の開発、承認申請や製造販売後調査などへの利活用を念頭に置いたものであることから、企業の利活用に積極的又は前向きな保有者に参考にしていただきたい。また、本資料は企業が疾患レジストリの利活用を検討する際にも、参照・提示資料として活用でき、保有者側とのコミュニケーションを図るうえでも有益なツールとなる。保有者と企業の双方による本資料の活用により、疾患レジストリに関する情報公開の促進と、企業の疾患レジストリへのアクセシビリティの向上が図られ、最終的には疾患レジストリの利活用の一層の促進につなげることを期待する。

2 企業が疾患レジストリの利活用を判断するために必要な情報とその背景

2.1 企業が社内で疾患レジストリの利活用を提案する流れ

企業が疾患レジストリの利活用を検討するには、図1に示すプロセスが想定される [10]。まず、公開情報から利活用目的に見合った疾患レジストリが存在するかどうかを調査する。公開情報には、CIN レジストリ検索システムや疾患レジストリのホームページなどが含まれる。利活用可否をさらに検討するために、候補となりうる保有者にヒアリングを行い、保有者から提供された情報をもとにリスク・ビジネスバリュー、レジストリの適切性、データの信頼性などを評価する。このように利活用可否の判断は、公開情報に基づく一次評価（図1の1-1、1-2、1-3の検討事項の確認）により利活用目的に見合った疾患レジストリを調査し、次いで実際に保有者から聴取した提供情報を加えた二次評価（図1の2-1、2-2、2-3の検討事項の確認）により、利活用可能か評価する二段階のプロセスで行われる。



製薬協臨床評価部会、「医薬品の承認申請等にレジストリを利活用する際の社内プロセスフロー（社内提案からレジストリ改修まで）」より改変

図1 疾患レジストリの利活用を社内で提案するプロセス

2.2 CIN レジストリ検索で確認可能な項目

一次評価として企業などの第三者（以下「利用者」と略す）が疾患レジストリの情報を入手する際、疾患レジストリ検索システムが有用な情報基盤となる。代表的な検索システムである CIN レジストリ検索システム (<https://cinc.jihs.go.jp/search/>) [9] は、2025年10月時点で約600の疾患レジストリ情報が登録されており、条件を指定することで該当する疾患レジストリを絞り込むことができる。

CIN レジストリ検索システムは、保有者が提供する登録数、データ収集項目など、利用者が利活用を検討する際に必要となる情報から構成される。また、利用者はマッチング検索機能を活用することで、登録患者の遡及や疾患レジストリデータの提供依頼への対応可否など、利用者の要

望に対する対応状況を知ることができる。そのため、利用者が各疾患レジストリのプロフィールや利活用可能性を効率的に評価できる環境を整備することが、CIN レジストリ検索システムに期待される役割となる。表 1 に CIN レジストリ検索システムで確認可能な主な項目を示す。

表 1 CIN レジストリ検索で確認可能な主な項目

カテゴリー	項目
基本情報	<ul style="list-style-type: none"> 活動状況 対象疾患名 対象者の基準 登録参加施設数 目的 研究の概要 運営主体 情報公開用ウェブサイト 問い合わせ窓口
データ登録・管理体制	<ul style="list-style-type: none"> 登録方法 データ収集方法 データ入力実施者 監査の実施有無 データ Validation の実施有無、実施方法 標準手順書有無（運営規程、収集／入力手順、品質管理） データ管理のトレーニングプログラム有無
登録データ	<ul style="list-style-type: none"> 登録数（実績） 目標登録数 データ収集項目 登録開始時期 登録終了期日 登録後の情報収集有無 臨床効果判定のための評価項目 画像データ有無 ゲノムデータ有無 オミックスデータ有無
データの取扱い	<ul style="list-style-type: none"> 同意（研究利用、企業利用） 他のレジストリとの連携有無 登録患者への遡及可否 製薬企業との協業経験有無 登録施設としての参加を希望する医療施設への対応 データの第三者提供可否、手順書有無、実績、対価、契約書ひな形 第三者からの協働要望への対応（改修、新規構築など） 第三者からの共同研究の要望への対応（基礎研究、臨床研究など）
生体試料	<ul style="list-style-type: none"> 生体試料の有無、種類 生体試料の第三者提供可否

2.3 各利用目的における確認ポイントと利用する際の企業の期待

本資料の作成に際し、疾患レジストリの活用場面を、製薬協臨床評価部会で実施したアンケート調査の利活用目的を参考 [7] に、表 2 のとおり 8 場面を設定した。

各活用場面における活用目的と期待されるメリットを表 2 に、各活用場面における確認ポイントと利用する際の企業の期待を表 3 にまとめた。なお、表 2 及び表 3 は、製薬協臨床評価部会 KT-9 メンバー及び他の製薬協タスクフォースや製薬協の他部会の助言をもとに作成しており、すべての状況に必ずしも当てはまるものではない。

表 2 疾患レジストリの活用目的とメリット

疾患レジストリの活用場面	活用目的	期待されるメリット
診断/治療の把握	<ul style="list-style-type: none"> アンメットメディカルニーズの明確化 適応症の検討 開発戦略・計画の精緻化 	<ul style="list-style-type: none"> 疾患特異的データに基づく <ul style="list-style-type: none"> ✓ 開発ターゲット選定精度の向上 ✓ 開発期間の短縮・成功確率の向上
治験実施可能性調査	<ul style="list-style-type: none"> 治験実施可否の早期判断 	<ul style="list-style-type: none"> 疾患レジストリ登録情報に基づく確度の高い調査
施設選定調査	<ul style="list-style-type: none"> 迅速な治験実施施設の選定 	<ul style="list-style-type: none"> 疾患レジストリ登録情報に基づく確度の高い調査
症例登録	<ul style="list-style-type: none"> 症例集積性の向上 	<ul style="list-style-type: none"> 具体的な症例の迅速な把握 疾患レジストリ参加施設と治験実施施設の症例紹介の連携による症例集積の効率化
治療効果の閾値設定	<ul style="list-style-type: none"> 治験対象の類似集団における実臨床下での標準的治療の効果推定 	<ul style="list-style-type: none"> 適切な評価基準値の設定
外部対照	<ul style="list-style-type: none"> 治験における対照群の補完又は代替 	<ul style="list-style-type: none"> 治験の効率化、エビデンスの補強、希少疾患領域での開発促進
製造販売後調査	<ul style="list-style-type: none"> 使用成績調査の施設選定と症例集積 RMP に基づいた実臨床下での安全性・有効性の評価 疾患特異的なアウトカムや遺伝子検査など特殊検査に基づく診断情報の取得 	<ul style="list-style-type: none"> 疾患レジストリ登録情報に基づく確度の高い施設選定調査 症例集積とデータ収集の効率化
エビデンスの創出	<ul style="list-style-type: none"> アンメットメディカルニーズなどの特定及び実臨床下での自社製品を含む有効性・安全性の評価 研究結果の学会発表・論文化 	<ul style="list-style-type: none"> 製品上市前後での疾患啓発による認知の向上 製品上市前後の自社薬剤の価値の最大化

表 3 に示すとおり、各活用場面で疾患レジストリ活用可否の確認ポイントは異なる。治験実施可能性調査及び施設選定調査では、治験で対象とする患者集団がどの程度含まれるか、及びどのような施設が参加しているのかを速やかに知ることが重要視される。一方、外部対照や製造販売後調査では、データ収集項目や信頼性担保、ならびに評価方法といったデータや手順に関連する事項が確認ポイントとして重視される。

表 3 各活用場面における確認ポイントと利用する際の期待

疾患レジストリの活用場面	利用可否の主な確認ポイント	各活用場面での検討に際して企業が期待すること
診断/治療の把握	<ul style="list-style-type: none"> 患者背景及び治療歴などが確認できるか レジストリ参加後の治療の経緯が追えるか 一般化は可能か 疾患の経過（悪化・改善の推移）が追えるか 地域や病院規模の偏りがないか 	<ul style="list-style-type: none"> タイムリーな意思決定が求められる場合は、時間を要する手続きはなく情報を得たい（秘密保持契約のみで短期間（数週間以内）で知りたい）
治験実施可能性調査	<ul style="list-style-type: none"> 対象患者数が十分に見込めるか 最新のデータが反映されているか 	<ul style="list-style-type: none"> タイムリーな意思決定が求められるため、時間を要する手続きはなく情報を得たい（秘密保持契約のみで短期間（数週間以内）で知りたい） 最新のデータに基づいて、治験実施（国際共同治験への参加を含む）の可否を見極めたい
施設選定調査	<ul style="list-style-type: none"> 該当する疾患の患者数が多い施設が含まれているか 各施設で治験の基準に該当する患者が確認可能か 疾患レジストリに含まれる施設が治験実施可能な施設であるか 	<ul style="list-style-type: none"> 従来の調査方法と変わらない早さ（依頼から数週間）で情報が得られる 症例情報に基づく治験実施施設の選定による早期症例登録ができる
症例登録	<ul style="list-style-type: none"> どれくらいの施設数が参加しているか 治験対象と似た患者背景を有する集団が含まれているか 	<ul style="list-style-type: none"> 治験実施施設の関連又は近隣の施設が含まれていて、治験実施施設に紹介できる 治験実施施設への紹介フローが構築されている
治療効果の閾値設定	<ul style="list-style-type: none"> 治験対象と似た患者背景を有する集団が含まれているか 標準治療又は同等の治療を受けている患者は何例か 評価時期／方法又は基準は治験と同様か 	<ul style="list-style-type: none"> 十分な患者数が含まれており、閾値設定として十分なエビデンスとなり得る 疾患レジストリ側で解析する場合は、解析から結果の提供まで時間を要さない
外部対照	<ul style="list-style-type: none"> 治験とほぼ同じ適格基準で患者抽出ができるか 治験の適格基準を考慮した患者登録ができるか 必要なデータ項目が収集でき、評価時期／方法も治験と同様か 信頼性を担保する手順が適切であるか 	<ul style="list-style-type: none"> 十分な症例集積と薬事利用に耐えうる信頼性を担保できる 治験の解析に合わせてデータ提供／解析が可能である 評価資料扱いとする場合は原資料まで遡ることができる
製造販売後調査	<ul style="list-style-type: none"> 調査目的に合致した対象集団を把握できるか 必要な患者数が見込めるか データ信頼性保証手順と体制が整備されているか 必要なデータ項目が収集でき、評価方法も妥当か 適合性調査（照会／実施／情報開示など）に協力いただけるか 	<ul style="list-style-type: none"> 使用成績調査における施設選定が可能である 製品に特有の安全性・有効性情報を収集できる 規制当局にデータ信頼性について説明できる
エビデンス創出	<ul style="list-style-type: none"> 患者背景及び治療歴などが確認できるか 一般化は可能か レジストリ参加後の治療の経緯が追えるか 疾患の経過（悪化・改善の推移）が追えるか 地域や病院規模の偏りがないか 必要な患者数が見込めるか 必要なデータ項目が収集でき、評価方法も妥当か 	<ul style="list-style-type: none"> 製造販売前もしくは後の実臨床での患者特性・診断／治療パターン・有効性・安全性などの情報を収集できる

2.4 企業が利活用判断するために公開・提供してほしい情報

企業が疾患レジストリの利活用可否を判断するために必要とする情報を、表 3 の確認ポイントをベースに決定し（全 24 項目）、一次評価のために保有者に「公開」して欲しいと考える情報を表 4 に、二次評価のために問い合わせ後に「提供」して欲しいと考える情報を表 5 にそれぞれ示した。情報の必要度は利活用目的によって異なることから、各疾患レジストリ活用場面における必要度を色の濃さにより示した。色が無い項目は、必要性が特にない情報、色が濃くなるにつれて疾患レジストリの利活用判断に必要な情報となり、色が一番濃い項目は、疾患レジストリの利活用判断に必須と考える情報とした。なお、今回の情報・評価は製薬協臨床評価部会 KT-9 メンバー及び他の製薬協タスクフォースや製薬協の他部会の助言をもとに作成しており、すべての状況に必ずしも当てはまるものではない。

公開情報として各活用場面共通で必要度の高いもの（表 4）は、「対象患者集団（診断方法）」、「患者数」、「施設数」、及び「第三者利用（企業利用）の可否」であり、これらは CIN レジストリ検索システムの項目にすでに含まれているものであった。続いて、多くの活用場面で必要度が高かったのは「施設名」、「データ収集項目」、「登録期間」及び「研究のステータス（実施中／終了）」であり、このうち「施設名」は CIN レジストリ検索システムの項目に含まれていなかった。

疾患レジストリに問い合わせ提供してもらいたい情報（表 5）として、各活用場面共通で必要度の高いものは、「特定の条件で絞った患者数」、「施設名」、「追加データの収集可否」、「観察／追跡期間」、「データ更新頻度」、「企業への RAW データ提供の可否」、「データのアクセス／提供方法（クラウドなど）」及び「データ利用の手続き方法」であり、これらはいずれも CIN レジストリ検索システムには含まれない項目であった。今回設定した 8 つの活用場面のすべてに必要な情報ではないが、一部の項目で必要度が最も高い項目（色が一番濃い項目）であり、かつ CIN レジストリ検索に含まれない項目は、「特定の条件で絞った患者数」、「施設名」、「追加データの収集の可否」、「観察／追跡期間」、「データ更新頻度」、「PMDA へのレジストリ活用相談の経験有無」、「企業への RAW データ提供の可否」、「データへのアクセス／提供方法（クラウドなど）」、「データ利用の手続き方法」及び「研究計画書／同意説明文書」の 10 項目であった。

なお、疾患レジストリの特定や保有者との交渉には、場合によっては半年から年単位の期間を要することがあり、企業の開発や調査のタイムラインに合わないケースも少なくない。したがって、データ提供時期や手続き方法などの情報が事前に明示されている場合、企業側で早期に利活用可否の判断が可能となり、タイムラインへの影響を最小限に抑えることができる。

表 4 利活用判断のため疾患レジストリに公開してほしい情報

		疾患レジストリの活用場面						
		診断/治療の把握	治験実施可能性調査	施設選定調査	症例登録	治療効果の閾値設定	外部対照*	製造販売後調査
患者・施設情報	対象患者集団（診断方法）							
	患者数							
	特定の条件で絞った患者数							
	施設数							
	施設名							
データ収集	データ収集項目							
	データ収集方法（EDC or 紙 CRF）							
	追加データの収集可否							
	登録期間							
	観察/追跡期間							
	データ更新頻度							
企業利用	第三者利用（企業利用）の可否							
	患者の同意方法（オプトイン or オプトアウト）							
	企業利用の経験（利用目的）							
	PMDA へのレジストリ活用相談の経験有無							
データ解析・提供	企業への RAW データ提供の可否							
	データのアクセス/提供方法（クラウドなど）							
	データ利用の手続き方法							
	データ提供時期（依頼から提供までの期間）							
手順書	データの信頼性担保方法（GxP 水準への適合）							
	研究計画書/同意説明文書							
	データ取り扱い手順書の有無							
その他	費用算定方法							
	研究のステータス（実施中/終了）							

青字：CIN レジストリ検索で確認可能な項目 *：外部対照の必要度は、申請時の評価資料としての利用を想定
 必要度：濃い色ほど必要度が高い 低い 高い

表 5 利活用判断のため問い合わせ後に疾患レジストリから提供してほしい情報

		疾患レジストリの活用場面						
		診断/治療の把握	治験実施可能性調査	施設選定調査	症例登録	治療効果の閾値設定	外部対照*	製造販売後調査
患者・施設情報	対象患者集団 (診断方法)							
	患者数							
	特定の条件で絞った患者数							
	施設数							
	施設名							
データ収集	データ収集項目							
	データ収集方法 (EDC or 紙 CRF)							
	追加データの収集可否							
	登録期間							
	観察/追跡期間							
	データ更新頻度							
企業利用	データの第三者利用 (企業利用) の可否							
	患者の同意方法 (オプトイン or オプトアウト)							
	企業利用の経験 (利用目的)							
	PMDA へのレジストリ活用相談の経験有無							
データ解析・提供	企業への RAW データ提供の可否							
	データのアクセス/提供方法 (クラウドなど)							
	データ利用の手続き方法							
	データ提供時期 (依頼から提供までの期間)							
手順書	データの信頼性担保方法 (GxP 水準への適合)							
	研究計画書/同意説明文書							
	データ取り扱い手順書の有無							
その他	費用算定方法							
	研究のステータス (実施中/終了)							

青字 : CIN レジストリ検索で確認可能な項目 * : 外部対照の必要度は、申請時の評価資料としての利用を想定
 必要度 : 濃い色ほど必要度が高い 低い 高い

3 公開又は提供される情報と企業ニーズのギャップ

疾患レジストリの利活用判断に必要な基本的な情報は、CIN レジストリ検索システムから入手可能であり、表 4 及び表 5 で公開又は提供してほしい情報として取り上げた 24 項目のうち 12 項目は CIN レジストリ検索システムに含まれている。ただし、CIN レジストリ検索システムに項目が存在しても空欄であることや、項目が埋まっても情報が不足していることがあるため、最新情報への更新や情報の充足、利用者からの問い合わせに対する速やかな回答などが求められる。さらに、企業が利活用可否を判断するにあたり CIN レジストリ検索システムの項目にない情報を必要とすることを 2.4 に示した。本章では、各活用場面で必要度が高いにも関わらず、現時点で CIN レジストリ検索システムから入手できない情報に焦点を当て、その情報が必要な理由を考察し、表 6 にまとめた。

CIN レジストリ検索システムに含まれないものの、企業ニーズが高い情報のうち、「施設名」、「観察／追跡期間」及び「PMDA へのレジストリ相談の経験有無」は公開情報として、その他の情報は、利活用判断のため保有者に問い合わせた際に提供してもらいたいと考える。

表 6 CIN レジストリ検索システムで公開されている情報と企業ニーズのギャップ

疾患レジストリの活用場面	企業ニーズが高いが CIN レジストリ検索システムに含まれない情報	企業が左記の情報を有用と考える理由
施設選定調査	<ul style="list-style-type: none"> 施設名 	<ul style="list-style-type: none"> 治験で対象とする患者集団がどの施設にどの程度含まれているかを確認したい 治験実施施設を選定するため、施設名がわからないと目的を達成できない
症例登録	<ul style="list-style-type: none"> 施設名 	<ul style="list-style-type: none"> 治験実施施設の近隣又は関連施設であるか確認したい
治療効果の閾値設定	<ul style="list-style-type: none"> 特定の条件で絞った患者数 施設名 企業への RAW データ提供の可否 データのアクセス/提供方法 (クラウドなど) 	<ul style="list-style-type: none"> 治験の対象患者と類似の患者が十分に含まれているか確認したい 治験実施施設と同等の医療環境であるか確認したい RAW データの提供が不可の場合、疾患レジストリ側で解析ができ集計結果は提供可能かを確認したい データアクセス・提供方法の違いによるセキュリティや信頼性確保の状況を知る必要がある
外部対照	<ul style="list-style-type: none"> 特定の条件で絞った患者数 施設名 追加データの収集可否 観察/追跡期間 データ更新頻度 PMDA へのレジストリ活用相談の経験有無 企業への RAW データ提供の可否 データのアクセス/提供方法 (クラウドなど) データ利用の手続き方法 研究計画書/同意説明文書 	<ul style="list-style-type: none"> 治験の対象患者と類似の患者が十分に含まれているか確認したい 治験実施施設と同等の医療環境であるか確認したい 疾患レジストリの標準データだけでは比較可能性が確保できない場合がある 追跡調査期間に応じて目的とするエンドポイントの取得可否が分かる できる限り最新のデータを使用する必要がある レジストリ相談を受けていると一定の品質の担保が期待され、使用にあたっての検討がしやすくなる RAW データの提供が不可の場合、共同研究などの可能性などを確認する必要がある データアクセス・提供方法の違いによるセキュリティや信頼性確保の状況を知る必要がある 利用手続き方法によってタイムラインが変わる 同意説明文書の利用目的の内容次第で利用できる内容が変わることがあるため確認したい
製造販売後調査	<ul style="list-style-type: none"> 特定の条件で絞った患者数 追加データの収集可否 観察/追跡期間 データ更新頻度 PMDA へのレジストリ活用相談の経験有無 企業への RAW データ提供の可否 データのアクセス/提供方法 (クラウドなど) データ利用の手続き方法 研究計画書/同意説明文書 	<ul style="list-style-type: none"> 対象患者と類似の患者が十分に含まれているか確認したい 追加データを必要とする場合に対応可能か確認したい 追跡調査期間に応じて目的とするエンドポイントの取得可否が分かる できる限り最新のデータを使用する必要がある レジストリ相談を受けていると一定の品質の担保が期待され、使用にあたっての検討がしやすくなる 解析計画書に基づいて企業自身で解析を行うことがある (再審査申請時に規制当局の求めに対応できる) データアクセス・提供方法が特殊であった場合は使用可否に関わる 利用手続き方法によってタイムラインが変わる 同意説明文書の利用目的の内容次第で利用できる内容が変わることがあるため確認したい
エビデンス創出	<ul style="list-style-type: none"> 追加データの収集可否 観察/追跡期間 データ更新頻度 企業への RAW データ提供の可否 データのアクセス/提供方法 (クラウドなど) データ利用の手続き方法 	<ul style="list-style-type: none"> 追加データを必要とする場合に対応可能か確認したい 追跡調査期間に応じて目的とするエンドポイントの取得可否が分かる できる限り最新のデータを使用する必要がある 解析計画書に基づいて企業自身で解析を行うことがある データアクセス・提供方法が特殊であった場合は使用可否に関わる 利用手続き方法によってタイムラインが変わる

4 おわりに

本資料では、企業が疾患レジストリを利活用する際に想定される 8 つの活用場面における情報の必要度を整理し、企業がどのような観点から疾患レジストリ情報を評価しているかを提示した。さらに、CIN レジストリ検索システムの情報提供の実態と、企業が求める情報との間に存在するギャップについても検討した。

まず、企業が疾患レジストリを利活用する際には、活用場面に応じて必要とする情報が異なる。たとえば、「治験実施可能性調査」や「施設選定調査」では、患者数や施設ごとの症例分布、治験実施可能性に関する情報が重視され、短期間で判断が必要なことから、迅速かつ確度の高い情報提供が期待されている。一方、「治療効果の閾値設定」、「外部対照」、「製造販売後調査」や「エビデンス創出」では、データの信頼性、評価項目の収集、解析可能性といった、より高度なデータ品質や解析の実施可能性に関する情報が重視される。

また、企業が利活用判断を行う際には、まず CIN レジストリ検索システム又は疾患レジストリのホームページなどを参照して一次評価を行い、その後、保有者への問い合わせを通じて二次評価を行うという段階的なプロセスが一般的である。しかし、検索システム上に掲載されている情報には限りがあり、患者・施設の詳細、データの収集、利用、解析の範囲、データ提供の手続きなど、企業が意思決定するために重要性の高い情報が不足しているケースが認められる。一方で、これらの情報には、保有者側で公開又は提供が困難な背景要因が存在する可能性も考えられるため、今後は両者間の相互理解と連携が求められる。

なお、本資料は製薬協臨床評価部会 KT-9 メンバーの知見を基に作成しており、すべての疾患領域や企業ニーズに完全に適合するものではない。また、CIN レジストリ検索システムの仕様や各疾患レジストリの情報更新状況により、実際の情報提供状況は変動する可能性がある点にも留意が必要である。

今回明らかになった情報のギャップは、企業の利活用判断を遅延させるのみならず、疾患レジストリが有するデータの社会的活用機会を損失させ、患者・臨床現場・社会にとっての価値創出を阻害し得る。RWD を活用した新規医療のエビデンス創出のために、企業と疾患レジストリが相補的な役割を担い、共通の課題認識を起点とした連携が不可欠である。

企業が求める情報は、単に「データが存在するか」だけでなく、「そのデータがどのように収集・管理され、どのような手続きで提供されるか」といった実務面・運用面の状況を含んでいる。さらに、企業は疾患レジストリの利活用、特に薬事利用する場合には、信頼性の高いデータ提供体制や、倫理的・法的な整備状況も重視している。たとえば、データの信頼性担保方法（GxP 水準の適合）や、PMDA とのレジストリ相談実績、企業利用の過去事例などは、疾患レジストリの信頼性や実行可能性を判断する上での重要な指標となる。また、企業が第三者提供を受けて疾患レジストリデータを利活用する場合には、倫理指針に基づき、適切なインフォームドコンセントが実施されているかを確認することが重要になる。

このような状況から、疾患レジストリが公開・提供する情報には、項目の拡充のみならず、記載内容の具体性や確度の向上、ならびにタイムリーな情報が求められている。これらの情報が適切に整備・充実されることで、企業は利活用の可能性をより具体的かつ迅速に判断できるようになり、保有者への問い合わせの効率化や、利活用判断の円滑化につながることを期待される。

一方で、企業もこれらの情報開示を受動的に待つだけでなく、自らも疾患レジストリの目的、データの特性、運用上の制約や背景を十分に理解、把握する姿勢を持ち、積極的に保有者と対話を重ねていくことが重要である。具体的には、企業の意味決定における当該情報の位置づけを整理し、それらの背景情報も含めてその必要性を丁寧に分かりやすく共有、説明することが必要である。こうした対話を通じて、保有者側は自らが保有するデータの特徴や制約を踏まえた現実的な対応策を検討することが可能になると考えられる。相互理解を深めるコミュニケーションを継続しながら、疾患レジストリの特徴を生かした利活用事例を一つずつ積み重ねていくことが求められる。

本資料が、疾患レジストリの利活用を通じ、医薬品開発の促進、さらには医療の質向上の一助となることを期待する。

謝辞

本資料の作成にあたり、製薬協 PV 部会からは主に製造販売後調査に関する内容について、同 MA 部会からは主にエビデンス創出に関する内容について、貴重なご助言をいただきました。また、医療情報 DB 活用促進タスクフォースからは、資料全般にわたり多大なるご助言をいただきました。ご協力いただいた関係者の皆様に深く感謝申し上げます。

参考文献

1. 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会. 「リアルワールドデータ・疾患レジストリを活用した医薬品開発」 (2021.5).
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/bd_rwd_202105.html] (Accessed Jan 2026)
2. Clinical Innovation Network (CIN) ホームページ [<https://cinc.jihs.go.jp/>] (Accessed Jan 2026)
3. 国立研究開発法人日本医療研究開発機構ホームページ [<https://www.amed.go.jp/index.html>] (Accessed Jan 2026)
4. 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) . 「リアルワールドデータ活用促進事業 (厚労科研)」 .
[<https://www.pmda.go.jp/relief-services/0011.html>] (Accessed Jan 2026)
5. 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) . 「RWD WG で実施した活動について」 .
[<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/cross-sectional-project/0021.html>] (Accessed Jan 2026)
6. 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) . 「医薬品／再生医療等製品レジストリ活用相談」 . [<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/consultations/0101.html>] (Accessed Jan 2026)
7. 古藤 諒, 浅部 伸一, 伊藤 晃, 大道寺 香澄, 石井 学, 東郷 香苗, 松澤 寛. 製薬企業におけるリアルワールドデータの本邦での利活用に関する現状及び課題 —日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会 加盟各社に対するアンケート調査—, 薬剤疫学. 2024, 29(1), p.15-28.
[https://www.jstage.jst.go.jp/article/jjpe/29/1/29_29.e2/_article/-char/ja/] (Accessed Jan 2026)
8. 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会 タスクフォース 1. 小児・希少疾患・難病レジストリの利活用促進に向けた検討. (2022.4).
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/rfcmr00000002ael-att/pediatric_rare_disease_202204.pdf] (Accessed Jan 2026)
9. CIN 中央支援事業・レジストリ調査・検索システム [<https://cinc.jihs.go.jp/search/>] (Accessed Jan 2026)
10. 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会 継続課題対応チーム 10. 医薬品の承認申請等にレジストリを利活用する際の社内プロセスフロー (社内提案からレジストリ改修まで) . (2022.12). [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/jtrngf00000000btg-att/CL_202212_KT10-1_registry.pdf] (Accessed Jan 2026)

臨床評価部会 2025 年度 継続課題対応チーム 9

〔医薬品開発におけるリアルワールドデータ・レジストリ利活用〕

資料作成者

- | | | |
|--------------------------------------|--------|----------|
| ○ 日本イーライリリー株式会社 | 波多 昌子 | (リーダー) |
| ○ アステラス製薬株式会社 | 高橋 秀之 | (サブリーダー) |
| エーザイ株式会社 | 大道寺 香澄 | (サブリーダー) |
| アストラゼネカ株式会社 | 古藤 諒 | (サブリーダー) |
| ○ 中外製薬株式会社 | 杉山 あゆみ | |
| ゼリア新薬工業株式会社 | 竹澤 亮 | |
| 日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社
(~2025 年 8 月) | 阪本 亘 | |
| ○ ヤンセンファーマ株式会社 | 大手 辰哉 | |
| バイエル薬品株式会社 | 長野 敦 | |
| ○ グラクソ・スミスクライン株式会社
(~2026 年 1 月) | 安富 優介 | |
| 持田製薬株式会社 (~2025 年 9 月) | 舩田 優 | |
| アッヴィ合同会社 (2025 年 11 月~) | | |
| ○ アッヴィ合同会社 | 楠 真依 | |
| ○ 医薬産業政策研究所 | 富樫 満里子 | |
| ○ : 本資料の作成メンバー | | |

監修

部会長	實 雅昭	バイエル薬品株式会社
担当		
副部会長	石井 学	田辺ファーマ株式会社
推進委員	東郷 香苗	ファイザー株式会社

以上の資料作成に当たり、医薬品評価委員会 藤森副委員長ならびに本資料の査読を実施頂いた諸氏に感謝いたします。