

医薬品開発でリアルワールドデータの 二次利用を促進する政策等への期待

2024年 5月

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

目次

略語一覧表.....	3
1 はじめに.....	4
2 医薬品開発での RWD 利活用における課題.....	6
2.1 一般化可能性および代表性.....	6
2.2 充足性.....	6
2.3 品質.....	6
2.4 利便性.....	7
3 RWD 利活用に関連する政策・プロジェクト.....	9
3.1 一般化可能性および代表性.....	9
3.2 充足性.....	10
3.3 品質.....	12
3.4 利便性.....	12
4 RWD 利活用における残存する課題の解決に向けた期待.....	16
4.1 一般化可能性および代表性.....	16
4.1.1 データ連携可能な電子カルテの普及.....	16
4.1.2 次世代医療基盤法下で構築される DB に含まれる医療機関数の拡充.....	16
4.1.3 利活用審査への転換を可能にする特別法の制定.....	17
4.2 充足性.....	17
4.2.1 非構造化データを二次利用に利活用できる方法の開発促進および普及.....	17
4.3 品質.....	18
4.3.1 QMS および RBA に基づいた DB の品質計画策定とその情報公開.....	18
4.4 利便性.....	18
4.4.1 公的 DB の利用手続きの一本化.....	18
4.4.2 公的 DB の利用環境改善および利用要件の統一.....	19
5 おわりに.....	22

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
CANNDs	Controlled shAring of geNome and cliNical Datasets	—
DB	Database	データベース
DPC	Diagnosis Procedure Combination	診断群分類別包括評価
DX	Digital Transformation	デジタル・トランスフォーメーション
EHDS	European Health Data Space	—
FHIR	Fast Healthcare Interoperability Resources	—
GCP	Good Clinical Practice	医薬品の臨床試験の実施の基準
HIC	Healthcare Intelligence Cloud	医療・介護データ等解析基盤
ICH	International Council for Harmonization of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use	医薬品規制調和国際会議
JASPEHR	Japan Standard Platform for Electronic Health Records	—
MID-NET	Medical Information Database Network	—
NDB	National Database	レセプト情報・特定健診等情報データベース
PMDA	Pharmaceuticals and Medical Devices Agency	医薬品医療機器総合機構
QMS	Quality Management System	品質マネジメントシステム
RBA	Risk Based Approach	—
RWD	Real World Data	リアルワールドデータ
SS-MIX2	Standardized Structured Medical Information eXchange version 2	—
介護DB	—	介護保険総合データベース
高確法	—	高齢者の医療の確保に関する法律
難病・小慢DB	—	指定難病患者データベース及び小児慢性特定疾病児童等データベース

1 はじめに

近年、リアルワールドデータ（RWD）を個々の患者の診断や治療等のために利用する一次利用に加えて、臨床研究等のデータソースとして利用する二次利用を促進するための政策方針が示されている。例えば、2023年に政府が示した「経済財政運営と改革の基本方針2023」では、医療介護全般にわたる情報を医療機関や介護事業所等の間で共有できるプラットフォームを構築するとともに、創薬のためのRWDの二次利用を進めるために環境整備を実施するとしている¹。また、内閣に設置されている健康・医療戦略推進本部が2020年に取りまとめた「第2期健康・医療戦略」では、医療分野の研究開発および新産業創出等を支えるデータ利活用基盤を整備するために実行することとして、①データ収集段階からアウトカム志向のデータを作ること、②各個人の健康・医療・介護に係る経年的なデータを統合し、産官学の様々な主体がこのようなRWDにアクセスし研究開発に利活用すること等を掲げている²。

上記方針のもと、様々な検討会が設置され具体的な議論が行われている。例えば、RWDの二次利用を促進するための取り組みとして、「第2期健康・医療戦略」に基づき設置された健康・医療データ利活用基盤協議会では、国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（AMED）が支援した研究開発から得られたデータの利活用基盤の整備に向けた議論を行うとともに、次世代医療基盤法検討ワーキンググループを設置し、次世代医療基盤法の施行5年後の見直しに必要な事項を検討してきた³。また、厚生労働省内に設置されたデータヘルス改革推進本部では、医療・介護分野の公的データベース（DB）を連結解析できるようにすることに加えて、民間事業者も含めてデータを利活用できるようにするための検討が行われてきた⁴。

その結果、RWDの利活用に向けた環境整備は着実に進んでいるものの、製薬企業がRWDを医薬品開発に十分に二次利用するには依然として課題が残されている^{5,6}。そこで、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では、RWDの二次利用と関連する各種政策・プロジェクトを調査・整理することで、医薬品開発にRWDを二次利用する立場から残存する課題の解決に向けた期待を示すこととした。なお、医薬品開発へのRWDの利活用場面として、具体的には、開発戦略立案、臨床試験の実施可能性評価・患者リクルートメント、承認申請、医薬品のアンメットニーズの把握・価値創出等が挙げられる^{5,7-9}。

本報告書の2章では、臨床評価部会が過去に公開した論文および報告書^{5,6}を参考に、医薬品開発でのRWD利活用における課題を要約した。3章では、各課題に関連する日本の主要な政策およびプロジェクトを整理し、4章では残存する課題解決に向けて期待することをまとめた。本報告書は、RWDの政策・プロジェクトを推進するステークホルダーや、医薬品開発でRWDを利活用する製薬企業が、医薬品開発におけるRWDの二次利用に係る課題に対する理解を深め、共により良い環境を構築していくことの一助になることを目的に作成した。

参考文献

- 1.内閣府. 経済財政運営と改革の基本方針 2023
[https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2023/2023_basicpolicies_ja.pdf]
(Accessed Apr 2024)
- 2.首相官邸 健康・医療戦略推進本部. 健康・医療戦略
[<https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryousuisin/ketteisiryou/kakugi/r030406senryaku.pdf>]
(Accessed Apr 2024)
- 3.首相官邸 健康・医療戦略推進本部 健康・医療データ利活用基盤協議会. 医療分野の研究開発におけるデータ利活用の推進に向けた取組について
[https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/dai6/sankou3.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 4.厚生労働省. 今後のデータヘルス改革の進め方について
[<https://www.mhlw.go.jp/content/12601000/000545974.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 5.前田 章太郎, 東郷 香苗, 石黒 武蔵, 井上 貴之, 坂本 武彦, 菅野 公寿, 近藤 充弘. 本邦の医薬品開発におけるビッグデータ・リアルワールドデータの利活用に関する実態調査 — 日本製薬工業協会加盟各社に対するアンケート調査—. 臨床薬理. 2019. 50 巻. 4 号. P.167-175.
[https://www.jstage.jst.go.jp/article/jscpt/50/4/50_167/pdf] (Accessed Apr 2024)
- 6.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 Apr 2024)
- 7.日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会 タスクフォース 2. 既存の国内リアルワールドデータを医薬品開発にどこまで活用できるか. (2019.4)
[<https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000005lbf-att/rwd2.pdf>]
(Accessed Apr 2024)
- 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. 製薬企業における疾患レジストリの利活用と患者参画型レジストリの動向. (2021.4)
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000005itt-att/bd_rwd_202105-3.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 9.Hiramatsu K, Barrett A, Miyata Y; PhRMA Japan Medical Affairs Committee Working Group 1. Current Status, Challenges, and Future Perspectives of Real-World Data and Real-World Evidence in Japan. *Drugs Real World Outcomes*. 2021 Dec;8(4):459-480.

2 医薬品開発での RWD 利活用における課題

本章では、過去に実施した製薬企業へのアンケート結果^{1,2}をもとに、医薬品開発での RWD 利活用において重要と考えられる要素として「一般化可能性および代表性」、「充足性」、「品質」および「利便性」の4つを取り上げる。それぞれの課題について概要を以下に示す。

2.1 一般化可能性および代表性

一般化可能性および代表性の高い RWD とは、対象疾患の代表的な患者を含み、十分な患者数を保有しているデータと定義する。

一般化可能性および代表性の高さを求めるならば、全国民や対象疾患の全患者を含む RWD が理想である。しかし、現在、広く利用されている民間のレセプト DB は、DB 事業者とデータ提供元（医療機関、健康保険組合等の各保険者）との契約に基づくものであり、悉皆性に限界があるのが現状である。RWD に含まれる患者集団はデータ提供元の特徴（例：医療機関の種類 [DPC 病院、クリニック等] や所在地、各公的医療保険 [被用者保険、国民健康保険、後期高齢者医療制度] の加入対象や加入者の年齢構成）に依存するため、データ提供元に偏りがあれば RWD に含まれる患者数が多くても一般化可能性および代表性が低くなり、精度は高いがバイアスの大きいエビデンスが得られるリスクが高い。また、RWD の二次利用に対する同意を取得する際に特定の性質をもつ人から同意が得られなければ、利用できるデータに偏りが生じ、一般化可能性および代表性に影響を与えてしまう。

2.2 充足性

充足性が高い RWD とは、データの利用目的に対して必要な情報を正確に把握できるデータであり、必要な情報とは、多くの場合、対象患者、曝露、アウトカム、共変量等の情報が該当する。

現在利用可能な RWD には充足性の観点で多くの課題がある。例えば、レセプト DB では、しばしば真の疾患名を特定することが難しい。また、遺伝子異常の検査結果や疾患の重症度等の臨床情報およびアウトカム等の情報が不足している。電子カルテ DB では、患者や疾患に関する詳細な情報を得られる可能性が高いが、一部の検査データを除き、解析ができる形式に整えられた構造化データになっていないことが多い。そのため、テキスト形式で入力されている所見データ等の非構造化データから情報を抽出する必要があるが、個人情報に留意しつつ必要な情報を抽出する方法には課題が残っている³。さらに、アウトカムによってはカルテに記載されていないことがある。また、複数のデータ提供元からデータを収集して構築された RWD では、個人単位での経時的なデータの追跡が十分にできないという課題もある。

2.3 品質

品質の高い RWD とは、意思決定を行うために解決すべき課題に対して、正確かつ確実に、再現

よく回答できるデータ⁴と定義する。目的に即して一定の品質が担保されていることは、薬事利用目的でもそれ以外の利用目的でも重要である。

薬事上の意思決定には、厚生労働省から発出された通知^{5,6}に則って品質が確保された RWD が必要とされる。しかし、日本で利用可能な RWD の多くは、薬事利用を想定して構築されていない。また、一部の RWD では、薬事利用以外の場面を考えても、品質管理・保証手順が十分に構築されているとは言えないのが現状である²。

2.4 利便性

利便性の高い RWD とは、利用が容易なデータと定義する。ここでは、RWD の利便性における課題として、「RWD の適合性および品質に係る情報の不透明さ」、「利用手続きの煩雑さ」および「利用環境の制限」の3つに焦点をあてる。

RWD の適合性と品質に係る情報は RWD の選定に向けたフィージビリティ評価のために必要だが、十分な情報が RWD の利用締結前に入手できないことがある。

民間 DB 以外の DB は利用手続きが煩雑である。例えば、公的 DB はそれぞれで利用窓口や手続き方法が異なり、申請においてはオンラインではなく書類が必要な場合がある。また、アカデミアが保有するレジストリ等の DB では、利用方法が確立されていない場合もある。

また、民間 DB 以外の DB では利用環境に制限が多い。例えば、レセプト情報・特定健診等情報データベース (NDB) や Medical Information Database Network (MID-NET) が利用できるそれぞれのオンサイトセンターでは、利用可能な日時が限られ^{7,8}、リモートアクセス可能な場合でもセキュアなデータ利用環境の構築要件^{9,10}を満たすことが難しく、利用するためには人・費用・時間といったリソースを要する。

参考文献

1. 前田 章太郎, 東郷 香苗, 石黒 武蔵, 井上 貴之, 坂本 武彦, 菅野 公寿, 近藤 充弘. 本邦の医薬品開発におけるビッグデータ・リアルワールドデータの利活用に関する実態調査—日本製薬工業協会加盟各社に対するアンケート調査—. 臨床薬理. 2019. 50 巻. 4 号. P.167-175.
[https://www.jstage.jst.go.jp/article/jspt/50/4/50_167/pdf] (Accessed Apr 2024)
2. 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/rfcmr00000002aellatt/pediatric_rare_disease_202204.pdf] (Accessed Apr 2024)
3. Shaip. NLP を使用して非構造化医療データの可能性を解き放つ
[<https://ja.shaip.com/blog/unlocking-the-potential-of-unstructured-healthcare-data-using-nlp/>]
(Accessed Apr 2024)
4. Daniel G, Silcox C, Bryan J, McClellan M, Romine M, Frank K. CHARACTERIZING RWD QUALITY AND RELEVANCY FOR REGULATORY PURPOSES. 2018-10-01
[https://healthpolicy.duke.edu/sites/default/files/2020-03/characterizing_rwd.pdf] (Accessed Apr 2024)
5. 厚生労働省. 「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.pmda.go.jp/files/000239818.pdf>] (Accessed Apr 2024)

- 6.厚生労働省. 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/000248365.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 7.厚生労働省 保険局医療介護連携政策課 保険データ企画室. オンサイトリサーチセンターにおける利用者支援について. [<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/000602545.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 8.PMDA. オンサイトセンター利用マニュアル - PMDA MID-NET オンサイトセンター編 -.
[<https://www.pmda.go.jp/files/000224737.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 9.厚生労働省 保険局. 匿名医療保険等関連情報データベース（NDB）の利用に関するガイドライン 第2版. [<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/001158704.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 10.PMDA. MID-NET の利活用に関するガイドライン. [<https://www.pmda.go.jp/files/000238920.pdf>] (Accessed Apr 2024)

3 RWD 利活用に関連する政策・プロジェクト

本章では、2章で取り上げた各課題に関連する日本の主要な政策・プロジェクトを紹介する。

3.1 一般化可能性および代表性

医療保険制度の適正かつ効率的な運営を図るための健康保険法等の一部を改正する法律

2019年5月に公布された「医療保険制度の適正かつ効率的な運営を図るための健康保険法等の一部を改正する法律」¹により、高齢者の医療の確保に関する法律（高確法）および介護保険法が改正され、一般化可能性および代表性の高い公的DBが製薬企業を含む民間事業者で利用可能となった。

NDBは、全国民のレセプト情報・特定健診等情報を網羅しており、日本で最も悉皆性が高く、一般化可能性および代表性の高いDBである。NDBは2008年4月施行の高確法に基づき、2011年度から第三者へのデータ提供が開始されたが、データ提供先は行政や大学等の研究機関に限定されていた。その後、2020年10月施行の改正高確法により、幅広い主体によるデータの利活用を促進する目的で、民間事業者へのデータ提供が開始された。介護保険総合DB（介護DB）は、介護保険法に基づく公的DBであり、2013年度から介護レセプトや要介護認定情報が収集・運用されている。2020年10月施行の改正介護保険法により、NDBと同様、民間事業者へのデータ提供が開始された。また、同改正高確法と同改正介護保険法により、NDBと介護DBの連結解析が可能となった。

さらに2022年4月からNDBとDiagnosis Procedure Combination（DPC）DBの連結解析が可能となり、他の公的DB（図1）や死亡情報との連結に向けた取り組みが進んでいる²。

DB名	主なデータ	NDBとの連結の意義・必要性	連結の検討状況等
介護DB	・介護レセプト ・要介護認定情報	・要介護者の治療前後の医療・介護サービスの利用状況の把握・分析に資する。	・令和2年10月開始
DPCDB	・DPCデータ （診療情報、請求情報）	・急性期病院の入院患者の状態の把握が可能となり、急性期医療の治療実態の分析に資する。	・令和4年4月開始
障害福祉DB	・給付費等明細書情報 ・障害支援区分認定情報	・障害者の治療前後の医療・障害福祉サービスの利用状況の把握・分析に資する。	・連結解析を可能とする法案が成立。施行に向けて検討中。
予防接種DB	・予防接種記録 ・副反応疑い報告	・予防接種の有無を比較した、ワクチンの有効性・安全性に関する調査・分析に資する。	・連結解析を可能とする法案が成立。施行に向けて検討中。
感染症DB	・発生届情報	・感染症の治療実態と予後の把握・分析に資する。	・連結解析を可能とする法案が成立。施行に向けて検討中。
難病DB	・臨床調査個人票	・網羅的・経時的な治療情報を得ることが可能となり、より詳細な治療実態の把握・分析に資する。	・連結解析を可能とする法案が成立。施行に向けて検討中。
小児DB	・医療意見書		
全国がん登録DB	・届出対象情報 ・死亡情報	・各種がんの各ステージ分類毎による治療実態と予後の把握・分析に資する。	・引き続き検討中

図1 2023年時点でNDBと連結解析可能または連結が検討されている公的DB²

次世代医療基盤法の改正 ～一般化可能性および代表性の観点から～

2023年5月に公布された改正次世代医療基盤法³にて、国が認定した匿名加工医療情報作成事

業者が作成する DB と一般化可能性および代表性の高い公的 DB が、連結解析できる状態で研究者等に提供される仕組みが整えられた。公的 DB は全国民や対象疾患の全患者をほぼカバーしている悉皆性が高い DB であり、電子カルテデータを含む DB との連結解析によって、より多くの患者の詳細な分析が可能となることが期待される。

また、これまでの次世代医療基盤法では、匿名加工医療情報作成事業者が医療情報を収集するのは急性期病院が中心であったが⁴、改正次世代医療基盤法では、急性期病院以外の医療機関や介護事業所、自治体、学校設置者等の医療情報取扱事業者に対し、匿名加工医療情報作成事業者へ医療情報を提供すること等によって、国が実施する次世代医療基盤法に関する施策に協力することが努力義務として定められた。これにより、医療情報取扱事業者の規模や事業主体に依存しない、一般化可能性および代表性の高いデータ収集が可能となる仕組みが整えられた。

3.2 充足性

次世代医療基盤法の改正 ～充足性の観点から～

次世代医療基盤法の改正により、一般化可能性および代表性だけでなく、2.2 節に記載した充足性の課題の一部も改善されることが期待される。

従来の匿名加工医療情報を利活用する場合、非常に希少な疾患の患者では、個人が識別されるリスクがあるため、誰が受け取っても識別できない加工が必要となり、具体的な疾患名や検査値、薬剤名の提供はできていなかった。法改正に伴い、匿名加工医療情報作成事業者は認定を受けた利用者に匿名加工医療情報を提供することが可能となった³。これにより、従来は提供できなかった、非常に希少な疾患の患者における特異的な疾患名や検査値等の充足が期待される。

また、3.1 節に記載したように、医療情報取扱事業者に関し、法律として利活用推進への協力を努めることが規定された。これにより、現在の主たる協力医療機関である急性期病院だけでなく^{3,4}、診療所や市町村等、多様な施設でのデータが収集されることで、追跡可能性の向上や、慢性疾患における臨床アウトカムの収集が期待される。

全国医療情報プラットフォーム

2022 年 5 月に自由民主党から「医療 DX 令和ビジョン 2030」が発表され、その中で各種データを連結する全国医療情報プラットフォームが提唱された⁵。連結されたデータは研究開発等にも利用可能とされており、民間事業者がどこまでの範囲のデータを利活用できるか未確定ではあるものの、全国医療情報プラットフォームの実現により、日本の医療情報が網羅的に収集され、充足性や一般化可能性および代表性の高い RWD の構築が期待される。

全国医療情報プラットフォームは、オンライン資格確認システムのネットワークを拡充し、レセプト・特定健診情報に加え、予防接種、電子処方箋情報、自治体検診情報および電子カルテ等の医療機関等が発生源となる医療情報（介護を含む）について、クラウド間連携を実現し、自治

体や介護事業所を含め、必要な時に必要な情報を共有・交換できる全国的なプラットフォームである。これらの収集された情報は医療・介護データ等の解析基盤（HIC）を通して二次利用できるようになる⁶。2023年6月に内閣官房 医療DX推進本部から公開された「医療DXの推進に関する工程表」によると、自治体と医療機関・介護事業所間の連携は、公費負担医療、予防接種、自治体検診、感染症届出等について、2026年度から全国的に運用するとされている。予防接種に関しては、市町村が有している予防接種情報と保険者が有している保険診療に関する情報を連結し、有効性・安全性の評価が可能となる⁷。

電子カルテ情報の標準化

前述の「医療DX令和ビジョン2030」では、電子カルテ情報の標準化も提言されている⁵。提言の中で、一次利用だけでなく、二次利用も見越した電子カルテ情報の標準化を進めるとしており、電子カルテの連携が進み、データの充足性が高まることが期待される。

医療情報の交換規格として国際標準となりつつある HL7 Fast Healthcare Interoperability Resources (FHIR) を活用し、標準化するデータ項目および仕様を厚生労働省が定めることとしている⁵。現時点で、厚生労働省は、標準化の対象について3文書6情報^{*}を優先する方針であり、今後、医療現場等で有用な情報という観点ならびに研究等に利用するためにコンピュータが認識・処理できる情報という観点を考慮して、標準規格化の範囲の拡張を検討している⁵。加えて、厚生労働省は「医療DX令和ビジョン2030 厚生労働省推進チーム」内にタスクフォースを立ち上げ、標準型電子カルテ開発にも取り組んでいる。2024年度中に標準型電子カルテの開発に着手し、遅くとも2030年には、概ね全ての医療機関において電子カルテの導入を目指している⁸。

これまでも電子カルテ情報の標準化に向けた取り組みが行われている。例えば、国立国際医療研究センターをはじめとする国立高度専門医療研究センターでは、「電子カルテ情報を活用したリアルワールドデータ収集・提供基盤の構築事業: JASPEHR Project」として、各施設を受診した患者を対象に、電子カルテに蓄積された電子的診療情報を効率的かつ効果的に集約して、日本における全国規模での診療情報DBを構築し、欧米並みに共用できる研究リソースシステムを構築することを目的として事業を実施している⁹。標準規格には、Standardized Structured Medical Information eXchange version 2 (SS-MIX2) を採用し、SS-MIX2が利用できない場合は、手入力での登録を進めている¹⁰。また、FHIRを用いた検討も進めている¹¹。

※3 文書：診療情報提供書、退院時サマリー、健診結果報告書

6 情報：傷病名、アレルギー情報、感染症情報、薬剤禁忌情報、検査情報（救急時に有用な検査、生活習慣病関連の検査）、処方情報

3.3 品質

薬事利用を目的とした RWD の品質に関する提言・通知

2018年2月に「医薬品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」¹²が厚生労働省から発出された。また、AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業にて、レジストリデータを薬事利用する際のデータの信頼性保証の在り方が議論され、2019年1月に「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関する提言」¹³が公開され、厚生労働省からは2021年3月に「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」¹⁴が発出された。さらに、医薬品医療機器総合機構（PMDA）において RWD の信頼性に関する相談事例が蓄積されたことにより、「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」¹⁵も発出された。

しかし、一部のレジストリ等を除き、事前に薬事利用を想定して RWD が収集され、DB が構築されることは稀である。こうした背景を踏まえ、AMED 柴田班から公表された「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・管理に関する留意点」では、既存のレジストリに対して適用し得る対処方法として適応型モニタリングが提案されている。この方法は、レジストリ立ち上げ時から臨床研究として必要十分な水準でデータの品質を確保し、薬事利用が決まった段階で最終的な品質目標を設定し上乘せのモニタリングを実施するものである¹⁶。

薬事利用を目的とした RWD の品質等に関する相談枠・ツール

PMDA では、薬事利用される RWD の品質等について、2019年より以下の相談枠を新設してきた。さらに、RWD の信頼性担保に関する通知の要求事項をまとめたチェックツールである DB 調査管理ツール¹⁷を作成した。このように、RWD の薬事利用推進に向けた支援体制が整備されてきた。

- レジストリ活用相談（レジストリ保有者対象）
- レジストリ信頼性調査相談（製造販売業者等対象）
- 医薬品データベース活用相談（DB 事業者対象）
- 医薬品データベース信頼性調査相談（製造販売業者等対象）

3.4 利便性

厚生労働省では NDB の利便性向上に向けた取り組みを進めてきた。日本製薬工業協会からも NDB の利便性改善に関する要望を示し¹⁸、2023年に閣議決定された規制改革実施計画において、NDB の利便性を一層向上させる方針が示された¹⁹。また、PMDA では MID-NET の運用改善策 3 本柱の 1 つとして利便性の向上を掲げ、MID-NET の利活用に関するガイドラインの改定をはじめ

とした制度面の改善を行っている²⁰。

2.4 節を踏まえ、本節では「RWD の特徴に関する情報の公開」、「利用手続きの迅速化」および「データ利用環境の向上」という観点で、公的 DB のうち NDB と MID-NET の利便性を向上させる取り組みの概要を示す（表 1）。

表 1 NDB と MID-NET における利便性向上の取り組みの概要

	NDB	MID-NET [※]
RWD の特徴に関する情報の公開	データフォーマットやサンプルデータならびに NDB の基礎的な集計情報であるオープンデータを公開し、NDB のデータ項目とデータ特性を理解できるようにしている ^{21,22} 。	利活用者向けの基本情報として、MID-NET に格納されているデータ項目やデータ特性を公開している ²³ 。また、利活用申出前からクロス集計情報を入手可能にするとともに、利用料の一部納付により分析用データセットを用いたフィージビリティの検討が可能となった ²⁰ 。
利用手続きの迅速化	審査を年 4 回から毎月に増やす等し、平均 390 日を要しているデータ提供期間を原則 7 日とする計画である ¹⁹ 。	利活用申出を随時受付可能とすることに加え、書類やデータの授受がオンラインで可能となった ²⁰ 。
データ利用環境の向上	オンサイトセンターの拡充を図り、京都大学に続き東京大学でも運用を開始した ¹⁹ 。また、HIC を通じたリモートアクセスによるデータ解析を可能とする仕組みを構築し、実運用を検討している ¹⁹ 。なお、この HIC は NDB 以外の医療・介護データ等も用いることを想定して整備を進めている解析基盤であり、運用開始にあたり HIC ガイドラインを新たに作成する計画である ² 。	利活用者のオフィス内（MID-NET 接続環境）からデータセンターへ接続し、分析用データセットの解析を可能とする環境整備を行うとともに、統計情報をテレワークでも利用可能とした ²⁰ 。さらに、2024 年 1 月下旬頃からリモート接続方法を簡便なものに変更することが公表された ²⁴ 。

※一部の取り組みは製造販売後調査の利活用区分に限る。

参考文献

- 1.厚生労働省 保険局. 医療保険制度の適正かつ効率的な運営を図るための健康保険法等の一部を改正する法律の成立について. [<https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/000517324.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 2.厚生労働省 保険局医療介護連携政策課. HIC（医療・介護データ等解析基盤）の運用開始について. [<https://www.wic-net.com/material/static/00011087/00011087.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 3.内閣府 健康・医療戦略推進事務局. 次世代医療基盤法の見直しについて. [https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/dai10/siryoul.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 4.首相官邸. 次世代医療基盤法検討ワーキンググループ中間とりまとめ（概要）. [https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/pdf/matome2.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 5.自由民主党. 「医療 DX 令和ビジョン 2030」の提言. [https://storage2.jimin.jp/pdf/news/policy/203565_1.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 6.厚生労働省. 全国医療情報プラットフォームの全体像（イメージ）. [<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001140173.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 7.厚生労働省 医政局. 医療 DX の推進に関する工程表について（報告）. [<https://www.wic-net.com/material/static/00010075/00010075.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 8.厚生労働省 医政局 特定医薬品開発支援・医療情報担当参事官室. 第1回標準型電子カルテ検討ワーキンググループ資料. [<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001178649.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 9.医療情報基盤センター 研究プロジェクト. [https://cmii.ncgm.go.jp/project_jaspehr.html] (Accessed Apr 2024)
- 10.医療情報基盤センター. 電子カルテ情報を活用したリアルワールドデータ収集・提供基盤の構築に関する研究（Japan Standard Platform for Electronic Health Records : JASPEHR）についてのお知らせ. [https://cmii.ncgm.go.jp/assets/materials/publicity_jaspehr_2.2.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 11.国立高度専門医療研究センター 医療研究連携推進本部. 電子カルテ情報を活用したリアルワールドデータ収集・提供基盤の構築事業. (Accessed Apr 2024) [https://www.japanhealth.jp/project/research/2019/5_hatano.html]
- 12.厚生労働省. 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. [<https://www.pmda.go.jp/files/000223003.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 13.日本医療研究開発機構 医薬品等規制調和・評価研究事業. 患者レジストリデータを医薬品等の承認申請資料として活用する場合におけるデータの信頼性担保に関する提言. [https://cinc.ncgm.go.jp/wp/wp-content/uploads/2022/12/hayashi_suggestionjpn.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 14.厚生労働省. 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.pmda.go.jp/files/000239818.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 15.厚生労働省. 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/000248365.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 16.日本医療研究開発機構 医薬品等規制調和・評価研究事業. 事後評価報告書. [<https://www.amed.go.jp/content/000102455.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 17.PMDA. DB 調査管理ツール. [<https://www.pmda.go.jp/files/000242129.zip>] (Accessed Apr 2024)
- 18.内閣府. 第2回 医療・介護・感染症対策ワーキング・グループ 議事概要. [https://www8.cao.go.jp/kisei-kaikaku/kisei/meeting/wg/2210_03medical/221107/medical02_minutes.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 19.厚生労働省 保険局. NDB データの利活用の更なる促進について. [<https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/001114695.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 20.關野 一石. MID-NET®運営状況と今後の取り組み ～MID-NET®の最新動向～. [<https://www.pmda.go.jp/files/000245746.pdf>] (Accessed Apr 2024)

- 21.厚生労働省. 【NDB】匿名医療保険等関連情報データベースの利用に関するホームページ.
[https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuuhoken/reseputo/index.html]
(Accessed Apr 2024)
- 22.厚生労働省. 【NDB】NDB オープンデータ.
[<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000177182.html>] (Accessed Apr 2024)
- 23.PMDA. 調査計画を検討するための参考情報. [<https://www.pmda.go.jp/safety/mid-net/0008.html>]
(Accessed Apr 2024)
- 24.PMDA. MID-NET®の利便性向上に向けた更なる取組について（お知らせ）.
[<https://www.pmda.go.jp/files/000266229.pdf>] (Accessed Apr 2024)

4 RWD 利活用における残存する課題の解決に向けた期待

3章で述べた政策・プロジェクトにより、RWDを二次利用する環境は改善しつつある。しかし、解決すべき課題は残っており、本章では、そのような残存する課題解決に向けて期待することをまとめた。

4.1 一般化可能性および代表性

4.1.1 データ連携可能な電子カルテの普及

医療機関に対して、標準化された電子カルテ導入のメリットについての啓発活動およびインセンティブ設計を国が行うことにより、データ連携可能な電子カルテが2030年までにすべての医療機関に普及することを期待する。

背景・課題：

- 「医療DX令和ビジョン2030」の提言の中で、電子カルテ普及率を2030年までに100%とする目標値が示されているが¹、具体的な電子カルテの要件については明記されていない。
- 日本の電子カルテ普及率は海外と比べて低く²、特に病床規模の小さな病院および診療所での電子カルテ普及率が低い³。電子カルテの普及が進まないことは、電子カルテDBの一般化可能性および代表性に影響する。
- 米国では電子カルテの推進に関する金銭的なインセンティブプログラムにより、電子カルテが急激に普及した（2013年時点で約80%）。このインセンティブプログラムでは、医療情報を電子的に交換できる等のMeaningful Use要件が設定された⁴。
- 電子カルテの導入メリットは一次利用だけでなく、RWDの二次利用にも及ぶ。

4.1.2 次世代医療基盤法下で構築されるDBに含まれる医療機関数の拡充

国からの協力要請や金銭面のサポートにより、次世代医療基盤法に基づいて構築されるDBに含まれる医療機関数がまず第1に拡充されることを期待する。

背景・課題：

- 現在、次世代医療基盤法下で構築されるDBに含まれる医療機関は急性期病院が中心であり⁵、一般化可能性および代表性が低い。
- 次世代医療基盤法下で構築されるDBは、匿名加工情報をもとに構築された民間のDB⁶⁻⁸と比べて医療機関数が少なく、研究に必要な患者数が集まらない。例えば、次世代医療基盤法下で構築されたDBの1つである千年カルテは、2024年2月末時点での協力医療機関119施設中、データの二次利用が可能な医療機関は55施設のみである⁹。
- 次世代医療基盤法が改正され、医療機関に対し、国が実施する次世代医療基盤法に関する施

策に協力することが努力義務として課されたものの、協力医療機関が増えるかは不透明であり、実効性を確保する必要がある。

- 医療機関数が増えなければ、次世代医療基盤法の長所である名寄せ¹⁰が活かせず、患者の追跡性や多様なデータの活用ができないことで充足性も低くなる。

4.1.3 利活用審査への転換を可能にする特別法の制定

日本製薬工業協会の政策提言 2023¹¹にもあるとおり、患者の個人の権利利益を保護しつつ、同意原則から利活用審査等を可能とする特別法が制定されることを期待する。

背景・課題：

- 医療情報の提供に関して、次世代医療基盤法では患者本人からの同意は不要であるものの、本人への通知が必要であるとのルールは2023年の改正でも変更はなく、協力医療機関の負担となることが想定される¹²。その結果、協力医療機関数は増加せず、4.1.2項で述べたように一般化可能性および代表性が低いままとなる。
- 本人への通知が必要であるというルールにより、本人通知前に来院しなくなった患者や死亡した患者のデータは認定事業者には提供できないため、データの二次利用が可能な患者集団に選択バイアスが生じ、一般化可能性および代表性を低下させる。
- 個人情報保護法下での要配慮個人情報の第三者提供には本人からの同意取得が必要なため、同意が得られた患者データのみを利用することで患者集団の偏りが生じ、一般化可能性および代表性を低下させる。

4.2 充足性

4.2.1 非構造化データを二次利用に利活用できる方法の開発促進および普及

フリーテキストデータや医用画像データ等の非構造化データの収集および保管・管理のための環境整備、利活用方法の開発促進、普及を期待する。

背景・課題：

- 医用画像やフリーテキストで記載されることの多い診療記録、各種検査レポートは、非構造化データである。
- 医療情報の80%以上は非構造化データと言われており^{13,14}、非構造化データの収集を促進することでアウトカムデータも収集されるが、非構造化データのままで解析に利用できない。
- 非構造化データを二次利用に利活用できるようにするための研究が日本でも進んでおり、フリーテキストデータに対して自然言語処理を活用し構造化データ化することで、DBの充足性の向上が期待される。例えば、電子カルテのフリーテキストデータから薬物の治療抵抗性等の臨床アウトカムを抽出する方法論の検討を行った研究が報告されている¹⁵。他にも、文

章の文脈理解が可能な大規模言語モデルを用いて、電子カルテのフリーテキストデータから薬物の治療効果を抽出する方法論の実証研究も報告されている¹⁶。

- 医療用画像管理システムが普及し、非構造化データである医用画像をデジタル化し、保管・管理できることが期待されるものの、規模が増えることに伴う具体的な管理方法が明確になっていない¹⁷。

4.3 品質

4.3.1 QMS および RBA に基づいた DB の品質計画策定とその情報公開

DB を薬事目的で利用するか否かに関わらず、Quality Management System (QMS) および Risk Based Approach (RBA) に基づいて DB の品質を担保するための計画を DB 事業者が策定し、その情報を公開することを期待する。特にメタデータの公開が望まれる。

背景・課題：

- 薬事利用目的に限らず、DB の品質管理計画が作成されていない等、DB の品質が不透明であることが RWD の二次利用を妨げる一因となっている^{18,19}。
- ICH E8 および E6 の改訂を含む GCP Renovation では、目的に応じて RWD の品質を担保する (Fitness for Purpose) ことが重要とされ、重要な質の要因に焦点を当てる (Critical to Quality)、計画で質を管理する (Quality by Design) ことが提唱されている^{20,21}。
- RWD の一次利用と二次利用を推進するための欧州での取り組みである European Health Data Space (EHDS) 構想において、データ保有者は RWD を二次利用可能な状態に整備することが求められている。例えば、EHDS 構想の実現に向けたプロジェクト Towards the European Health Data Space は、データ保有者がデータの品質管理および保証手順を構築することを提案している²²。
- さらに、EHDS 構想では、RWD の二次利用者がデータの品質を評価できる情報を含むメタデータ・カタログの整備についても規定している²²。なお、メタデータ・カタログはデータの定性的な特性を評価するのにも役立つ。
- 日本においてもメタデータが公開されることで、RWD の効率的で適切な選択が可能になる。

4.4 利便性

4.4.1 公的 DB の利用手続きの一本化

公的 DB の種類によらず、利用手続きの一本化が行われることを期待する。

背景・課題：

- 現状、公的 DB において、申請方法・審査機関・申請窓口・申請書類等が異なるため利用手続

きが煩雑である²³⁻²⁵（表2）。

- 特に、NDB と他の公的 DB との連結に向けた動きが加速する中、連結した公的 DB を利用するには、公的 DB それぞれに対して利用手続きを行う必要があり、利用手続きが非効率となる。
- 利用手続きの一本化により、利用手続き・審査の効率化につながり、利活用者の利便性のみならず、副次的に管理者側の効率化にも繋がることが期待される。

表2 各公的 DB の審査機関²³⁻²⁵

公的に管理されている DB	審査機関
NDB	厚生労働省 社会保障審議会医療保険部会、匿名医療情報等の提供に関する専門委員会
DPCDB	同上
介護 DB	同上
難病・小慢 DB	厚生労働省 指定難病患者データ及び小児慢性特定疾病児童等データの提供に関する審査会
全国がん登録 DB	厚生労働省 厚生科学審議会がん登録部会
MID-NET	PMDA
CANNDs	AMED

4.4.2 公的 DB の利用環境改善および利用要件の統一

公的 DB の種類によらず、オンサイトセンターおよびリモートアクセスでの利用を可能とすることに加え、オンサイトセンターの利用要件の緩和やリモートアクセス要件が統一されることを期待する。具体的には、オンサイトセンターの利用可能時間を延長し（例：9 時～22 時）、利用者の責任において外部委託者の利用を可能とする方向への緩和を期待する。

背景・課題：

- NDB および MID-NET のオンサイトセンターは平日の限られた時間内のみ利用可能であり、利活用者の就業時間の多様化に対応していない。
- データ解析業務は外部委託されることが多いが^{18,26}、NDB の場合、オンサイトセンター内の作業は外部委託が禁止されている²⁷。
- 公的 DB のリモートアクセスは、利用者側にもセキュアな環境構築が求められるため、そのような環境を準備するのが難しい利用者もいる。また、同じ公的 DB であっても NDB と MID-NET ではリモートアクセスの要件が異なるため、DB 毎の対応が必要になり煩雑となる。

参考文献

- 1.自由民主党.「医療 DX 令和ビジョン 2030」の提言.
[https://storage2.jimin.jp/pdf/news/policy/203565_1.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 2.OECD Health Working Papers No. 160. Progress on implementing and using electronic health record systems: Developments in OECD countries as of 2021. [<https://www.oecd-ilibrary.org/docserver/4f4ce846-en.pdf?expires=1706507436&id=id&accname=guest&checksum=B543AC583F70B94BC86409A1AF1D99E3>] (Accessed Apr 2024)
- 3.厚生労働省. 電子カルテシステム等の普及状況の推移.
[<https://www.mhlw.go.jp/content/10800000/000938782.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 4.松尾未亜, Keigo Yoshida, Sonia Susanto. 米国ヘルスケア産業の構造変化と医療機器業界への影響. [<https://www.nri.com/-/media/Corporate/jp/Files/PDF/knowledge/publication/chitekishisan/2015/12/cs20151207.pdf?la=ja-JP&hash=1C594D59B3694C05B9E69E6E62053BC8FC422204>] (Accessed Apr 2024)
- 5.首相官邸. 次世代医療基盤法検討ワーキンググループ中間とりまとめ(概要).
[https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/pdf/matome2.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 6.日本薬剤疫学会 薬剤疫学とデータベース TF. 日本における臨床疫学・薬剤疫学に応用可能なデータベース調査 VER.1.0_2022. JMDC (医療機関) [<https://sites.google.com/view/jspe-database-ja2022/jmdc%E5%8C%BB%E7%99%82%E6%A9%9F%E9%96%A2>] (Accessed Apr 2024)
- 7.日本薬剤疫学会 薬剤疫学とデータベース TF. 日本における臨床疫学・薬剤疫学に応用可能なデータベース調査 VER.1.0_2022. MDV (医療機関) [<https://sites.google.com/view/jspe-database-ja2022/mdv%E5%8C%BB%E7%99%82%E6%A9%9F%E9%96%A2>] (Accessed Apr 2024)
- 8.日本薬剤疫学会 薬剤疫学とデータベース TF. 日本における臨床疫学・薬剤疫学に応用可能なデータベース調査 VER.1.0_2022. HCEI/RWD [<https://sites.google.com/view/jspe-database-ja2022/hceirwd>] (Accessed Apr 2024)
- 9.一般社団法人ライフデータイニシアティブ. [千年カルテ]によるリアルワールドデータベース研究. [<https://www.ldi.or.jp>] (Accessed Apr 2024)
- 10.内閣府健康・医療戦略推進事務局. 「次世代医療基盤法」とは.
[<https://www8.cao.go.jp/iryuu/gaiyou/pdf/seidonogaiyou.pdf>] (Accessed Apr 2024)
- 11.日本製薬工業協会. 製薬協 政策提言 2023.
[https://www.jpma.or.jp/vision/industry_vision2023/jtrngf0000001dg5-att/01.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 12.首相官邸. 次世代医療基盤法検討ワーキンググループ 中間とりまとめ.
[https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/pdf/matome1.pdf] (Accessed Apr 2024)
- 13.Michael Ortega, Michael Sanky, Amir Kermany. 最新の Data Lakehouse で健康データの力を解き放つ. [<https://www.databricks.com/jp/blog/2021/07/19/unlocking-the-power-of-health-data-with-a-modern-data-lakehouse.html>] (Accessed Apr 2024)
- 14.Takaaki Yayoi. Delta Lake によるヘルスケアデータレイクの構築.
[https://qiita.com/taka_yayoi/items/9cfbe8ebb2c661f06868] (Accessed Apr 2024)
- 15.株式会社 NTT データ. 電子カルテの非構造化データから、炎症性腸疾患患者への投薬治療効果の判別を支援. [<https://www.nttdata.com/global/ja/news/topics/2023/112401/>] (Accessed Apr 2024)
- 16.ファイザー株式会社. 日本初、複数医療機関の電子カルテデータに適用可能な薬物治療効果判定 AI モデルを構築. [<https://www.pfizer.co.jp/pfizer/company/press/2023/2023-12-05>] (Accessed Apr 2024)
- 17.厚生労働省. 2023 年 11 月 27 日 第 1 回 標準型電子カルテ技術作業班 議事録.
[https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_37081.html] (Accessed Apr 2024)
- 18.前田 章太郎, 東郷 香苗, 石黒 武蔵, 井上 貴之, 坂本 武彦, 菅野 公寿, 近藤 充弘. 本邦の医薬品開発におけるビッグデータ・リアルワールドデータの利活用に関する実態調査 ー日本

- 製薬工業協会加盟各社に対するアンケート調査一. 臨床薬理. 2019. 50 巻. 4 号. P.167-175
[https://www.jstage.jst.go.jp/article/jscpt/50/4/50_167/_pdf] (Accessed Apr 2024)
19. 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 Apr 2024)
20. ICH Reflection on “GCP Renovation”: Modernization of ICH E8 and Subsequent Renovation of ICH E6. [https://admin.ich.org/sites/default/files/2021-05/ICH_ReflectionPaper_GCPRenovation_2021_0519.pdf] (Accessed Apr 2024)
21. ICH HARMONISED GUIDELINE GOOD CLINICAL PRACTICE (GCP) E6(R3) Draft version. [https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_E6%28R3%29_DraftGuideline_2023_0519.pdf] (Accessed Apr 2024)
22. Recommendations on a Data Quality Framework for the European Health Data Space for secondary use. [<https://tehdas.eu/app/uploads/2023/09/tehdas-recommendations-on-a-data-quality-framework.pdf>] (Accessed Apr 2024)
23. 厚生労働省. 【NDB】匿名医療保険等関連情報データベースの利用に関するホームページ. [https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuhoken/reseputo/index.html] (Accessed Apr 2024)
24. 厚生労働省. 要介護認定情報・介護レセプト等情報の提供について. [https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000198094_00033.html] (Accessed Apr 2024)
25. PMDA. MID-NET の利活用契約前の手続き及び研修. [<https://www.pmda.go.jp/safety/mid-net/0013.html>] (Accessed Apr 2024)
26. 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 メディカルアフェアーズ部会. メディカルアフェアーズにおけるデータベース研究の実態と在り方に関する報告書. (2023.1) .
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/jtrngf00000000sgl-att/MA_KT4_202302_DBstudy.pdf] (Accessed Apr 2024)
27. 厚生労働省 保険局医療介護連携政策課 保険データ企画室. NDB の利用を検討している方へのマニュアル. [<https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/000557476.pdf>] (Accessed Apr 2024)

5 おわりに

本報告書では、RWD の二次利用を促進するために講じられてきた政策・プロジェクトを整理するとともに、残存する課題を解決するために政策等へ期待することを製薬企業での医薬品開発の視点から提示した。

目的に合った RWD を利活用し、品質の高いエビデンスを生成する過程において、様々なステークホルダーがそれぞれに課題を抱え、時には相反する課題の解決が求められている。このような状況下で政策を議論していくためには、RWD の利活用を最終的には患者・国民の利益につなげるという共通目標をステークホルダー間で持つべきであり、目標達成のためには RWD の一次利用だけでなく二次利用も踏まえた議論が必須となる。また、本報告書では RWD を二次利用する際の主たる課題を 4 つ取り上げたが、これらの課題のどれかを解決すれば RWD の利活用が促進するわけではなく、全てを改善していく必要がある。木を見て森を見ずにはならない。

2023 年 11 月に「医療等情報の二次利用に関するワーキンググループ」が健康・医療・介護情報利活用検討会の下に設置され、諸外国の状況や日本の学术界および産業界の意見等を踏まえ、RWD の二次利用の更なる促進のための論点について議論が開始された¹。これにより、点在していた二次利用に関する議論が集約されることを期待したい。

本報告書が医薬品開発において RWD を二次利用する製薬企業の視点を理解することに寄与し、ステークホルダー間での森を見た議論・対話の一助となれば幸いである。

参考文献

1.健康・医療・介護情報利活用検討会. 医療等情報の二次利用に関するワーキンググループ 開催要項.

[<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001166485.pdf>] (Accessed Apr 2024)

臨床評価部会 継続課題対応チーム 10

○：資料作成者

杏林製薬株式会社	前田 章太郎	(リーダー)
○ 日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社	阪本 亘	(サブリーダー)
アステラス製薬株式会社	高橋 秀之	
○ アストラゼネカ株式会社	古藤 諒	
○ アッヴィ合同会社	浅部 伸一	(～2023年11月)
○ エーザイ株式会社	大道寺 香澄	
○ MSD 株式会社	原田 奈生子	
住友ファーマ株式会社	濱谷 辰斗	(～2023年3月)
○ ゼリア新薬株式会社	竹澤 亮	
○ 第一三共株式会社	伊藤 晃	
武田薬品工業株式会社	鄭 雲龍	(～2023年10月)
中外製薬株式会社	杉山 あゆみ	
日本イーライリリー株式会社	波多 昌子	
ノバルティスファーマ株式会社	藤田 泰三	(～2023年2月)
ノバルティスファーマ株式会社	伊藤 知恵	(2023年3月～)
ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社	杉谷 利文	(～2022年7月)
ヤンセンファーマ株式会社	大手 辰哉	

監修

部会長	松澤 寛	アステラス製薬株式会社
担当		
推進委員	東郷 香苗	ファイザー株式会社
推進委員	石井 学	田辺三菱製薬株式会社

以上の資料作成に当たり、医薬品評価委員会 佐野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。