

ICH E23

Considerations for the Use of Real-World Evidence (RWE) to Inform Regulatory Decision Making with a focus on Effectiveness of Medicines

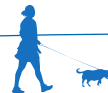
医薬品の有効性に関する規制上の意思決定における リアルワールドエビデンス（RWE）の使用に関する考察

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
新薬審査第一部
木村 亮太



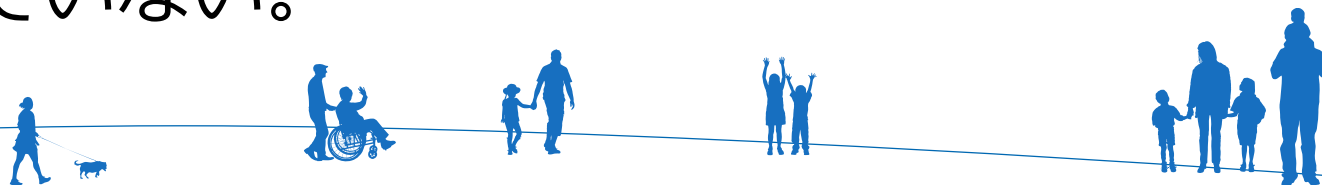
本日の内容

1. 背景
2. ICHリオデジャネイロ会合までの議論
3. ICHリオデジャネイロ会合での主な議論
4. 今後の予定



1. 背景

- 医薬品の安全性評価におけるReal World Data（RWD）の活用やその一般原則については、ICH M14（医薬品の安全性評価においてRWDを活用する薬剤疫学調査の計画、デザイン、解析に関する一般原則）で議論されてきた。
 - M14は2025年9月4日、Step 4に到達。
- 一方、これまで、医薬品の有効性の評価にあたってのRWD及びReal World Evidence（RWE）の活用や、その一般原則に関して国際的な議論はなされていない。



1. 背景

- 各規制当局が、それぞれ、RWD/RWEの活用等に関するガイダンスを発出している。

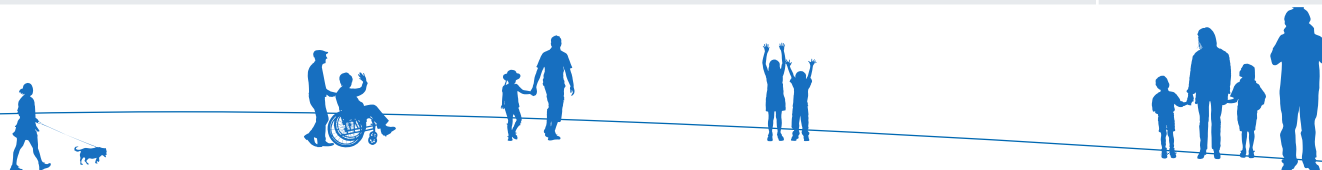
Jurisdictions	ガイダンス名	発出時期
EC (Europe)	Metadata list describing real-world data sources and studies	2022/6
	Good practice guide for the use of the Metadata Catalogue of Real-World Data Sources	2022/9
	Reflection paper on use of real-world data in non interventional studies to generate real-world evidence for regulatory purposes	2025/3
FDA (United States)	Framework for FDA's Real-World Evidence Program	2018/12
	Considerations for the Use of Real-World Data and Real World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Drug and Biological Products	2023/8
	Real-World Evidence: Considerations Regarding Non Interventional Studies for Drug and Biological Products	2024/3
	Assessing Electronic Health Records and Medical Claims Data To Support Regulatory Decision-Making for Drug and Biological Products	2024/7

1. 背景

Jurisdictions	ガイダンス名	発出時期
MHLW/PMDA (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 「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	2021/3
	医療用医薬品の承認事項一部変更承認申請又は電子化された添付文書改訂においてレジストリデータを活用する際の留意点について	2024/10
	外部対照試験に関する留意事項について（Early Consideration）	2025/3
Health Canada (Canada)	Optimizing the Use of Real World Evidence to Inform Regulatory Decision-Making	2019/4
	Elements of real world data/evidence quality throughout the prescription drug product life cycle	2019/3
MHRA (UK)	Guidance on the use of real-world data in clinical studies to support regulatory decisions	2021/12
	Guideline on randomised controlled trials using real-world data to support regulatory decisions	2025/7更新

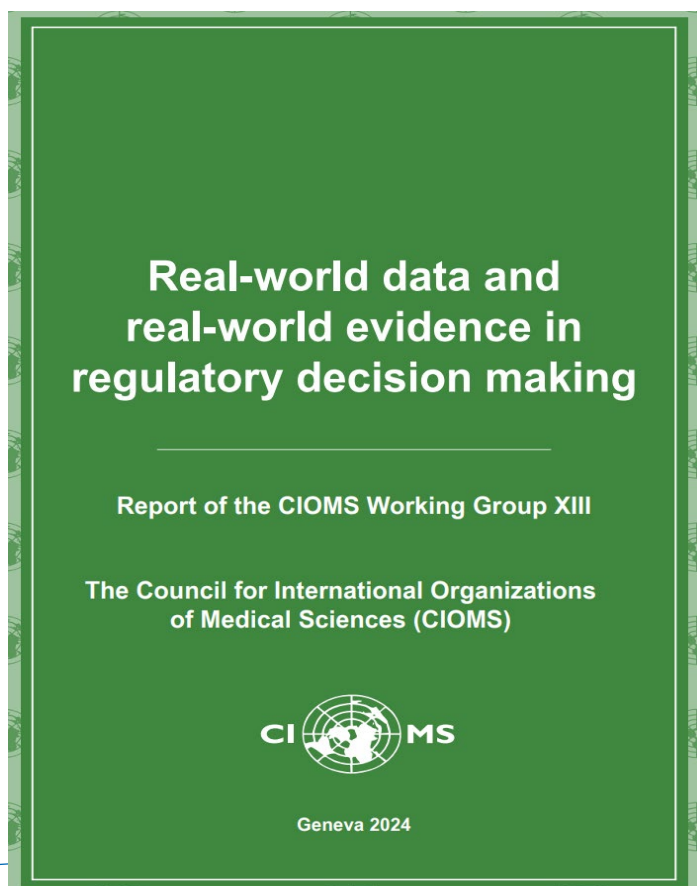
1. 背景

Jurisdictions	ガイダンス名	発出時期
SFDA (Saudi Arabia)	Real-world data in Saudi Arabia: Current situation and challenges for regulatory decision-making	2020/5
	Framework on the Use of Real-World Data (RWD) and Real-World Evidence (RWE) to Support Effectiveness and Safety for Marketing Authorization of Medicinal Products	2025/6
NMPA (China)	Guidance on Using Real-World Evidence to Support Drug Development and Regulatory Decision-making (For Trial Implementation)	2020/2
	Guidance on Using Real-World Data to Generate Real-World Evidence	2021/4
Swissmedic (Switzerland)	Swissmedic, Switzerland position paper on the use of real world evidence	2025/4
ANVISA (Brazil)	Best practices guide for real-world data studies	2023/9

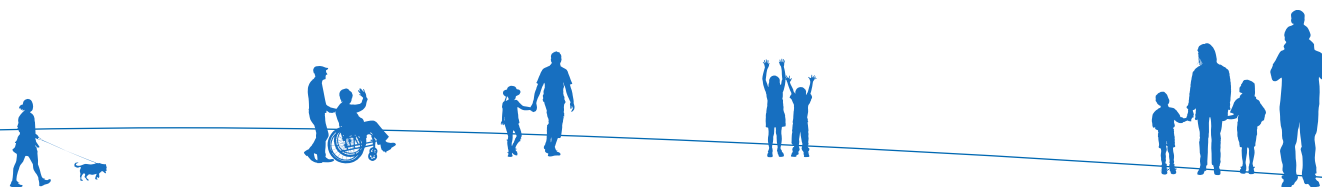


1. 背景

- CIOMS Working Group XIIIでも、Real World Data/Real World Evidenceについて議論が行われた。



- This consensus report aims to describe the potential use of RWE for decision making; RWD and data sources; key scientific considerations in the generation of RWE; and ethical and governance issues in using RWD.



1. 背景

- RWD/RWEの定義は各規制当局により異なっている。

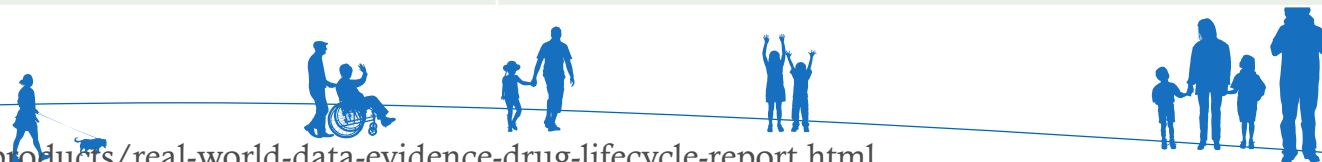
Jurisdictions	RWD	RWE
FDA (United States)	the data relating to patient health status and/or the delivery of health care routinely collected from a variety of sources	clinical evidence about the usage and potential benefits or risks of a medical product derived from analysis of RWD
EC (Europe)	routinely collected data relating to a patient's health status or the delivery of health care from a variety of sources other than traditional clinical trials	the information derived from the analysis of RWD
Health Canada (Canada)	data relating to patient status and/or the delivery of health care routinely collected from a variety of sources.	the evidence regarding the usage, and potential benefits or risks, of a medical product derived from analysis of RWD
Swissmedic (Switzerland)	all data other than those collected through a clinical trial conducted as per ICH GCP. This may include – but is not limited to – registries, observational studies, electronic healthcare records, medical claims, billing data, and patient-generated data (e.g. using mobile devices/wearables).	information derived from analyses of RWD

<https://www.fda.gov/media/154449/download>

Clin Pharmacol Ther. 2019 Jul;106(1):36-39

<https://www.canada.ca/en/services/health/publications/drugs-health-products/real-world-data-evidence-drug-lifecycle-report.html>

<https://www.swissmedic.ch/swissmedic/en/home/news/mitteilungen/positionspapier-verwendung-real-world-evidence.html>

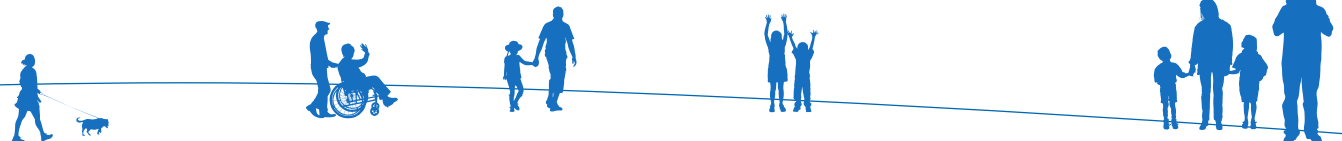
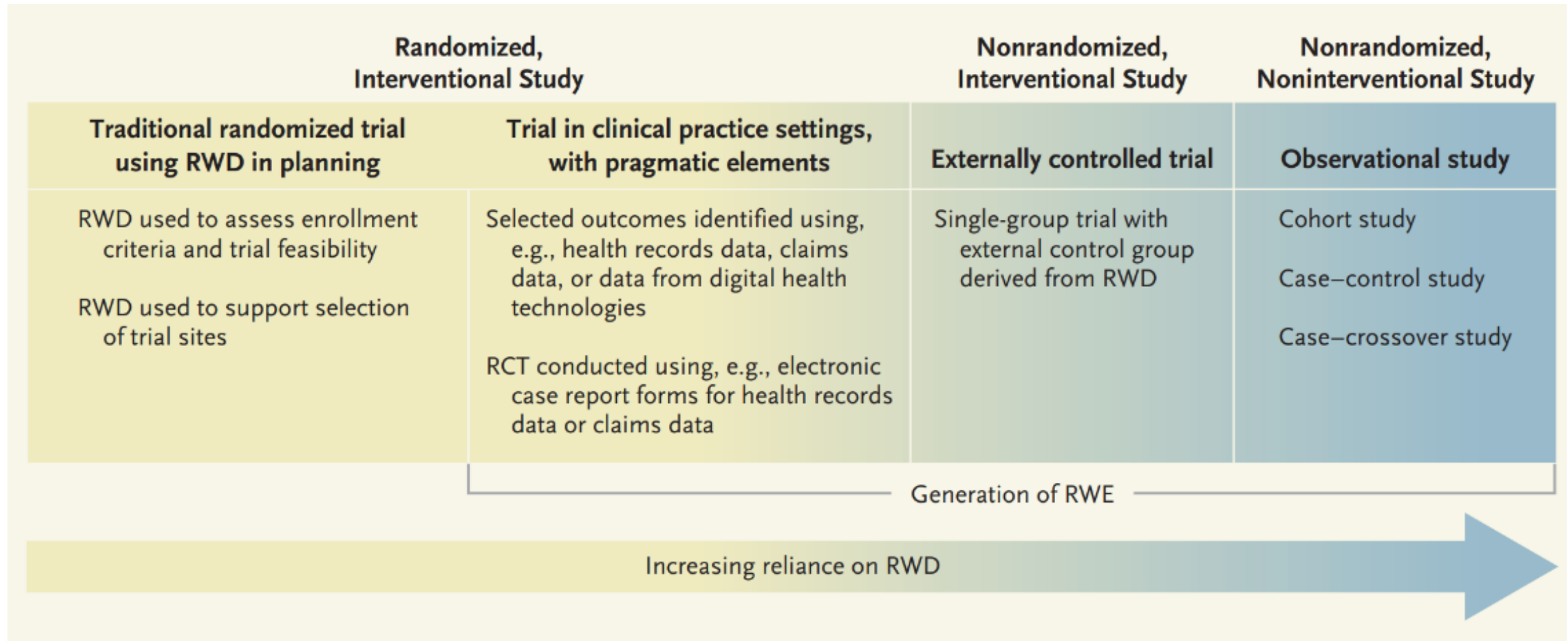


1. 背景

- 日本でのRWDの定義は…

Source	Definition
「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	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
外部対照試験に関する留意事項について（Early Consideration）	同一疾患に関する他の臨床試験のプラセボ群や実薬群、レジストリデータ等の実際の医療環境下で取得されたデータ（Real World Data、以下「RWD」）といった様々なデータソースが考えられ、本留意事項ではいずれも対象とする
（参考）ICH M14 パブコメ版和訳	様々な情報源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。 RWD の例としては、電子健康記録（EHR）から得られたデータ、医療請求及び請求データ、製品及び疾患登録から得られたデータ、患者が作成したデータ（モバイル機器、ウェアラブル等）、及び健康状態について情報を提供できる他の情報源から収集したデータ（例：特定の保健システムで収集された遺伝子およびその他の生体分子表現型データ）が挙げられる。

1. 背景



1. 背景

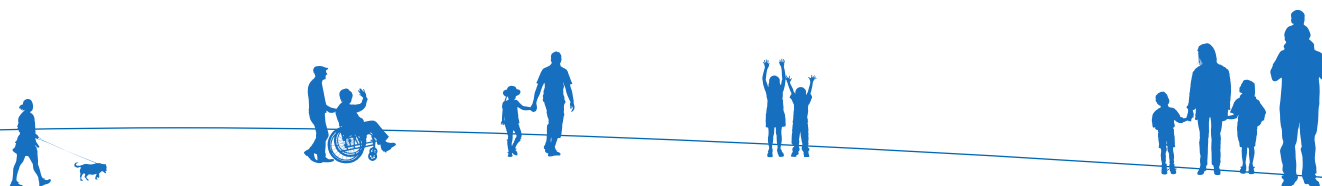
- 2022年7月：ICMRAが規制当局におけるRWE使用にあたってのDecision-makingに関する活動を行うことを支持を表明した。

(https://icmra.info/drupal/sites/default/files/2022-07/icmra_statement_on_rwe.pdf)

- 2024年6月：[ICH Reflection paper](#) が承認される。

以下の2つのトピックについて、今後ICHで議論することが提案された。

- Guideline 1 RWD/RWE terminology, metadata, and assessment principles
- Guideline 2 RWD/RWE protocol & report format, and study transparency
※Guideline 2はGuideline 1がStep 4に到達した後に開始するとされた。
- 2025年3月：ICH MCによりGuideline 1をトピックとして採用することが提案される。
- 2025年5月：ICHマドリード会合において、Guideline 1が新たなICHトピックとして採択される。



1. 背景

- 本トピックでは以下の点について議論することとなった。

Topic	Objective	Deliverables
RWD/RWE terminology, metadata, and assessment principles	• Promote a common understanding of the types and scope of RWD/RWE • Guide the discoverability, identification, and description of RWD • Inform the assessment of RWD/RWE for regulatory purposes	• <u>Common operational definitions of RWD and RWE</u>, with clear scope, breadth of potential RWD sources, and level of granularity (e.g., pertaining to RCTs and non- interventional studies) • <u>Core list and use of metadata</u> • <u>General principles for assessment of RWD/RWE</u>



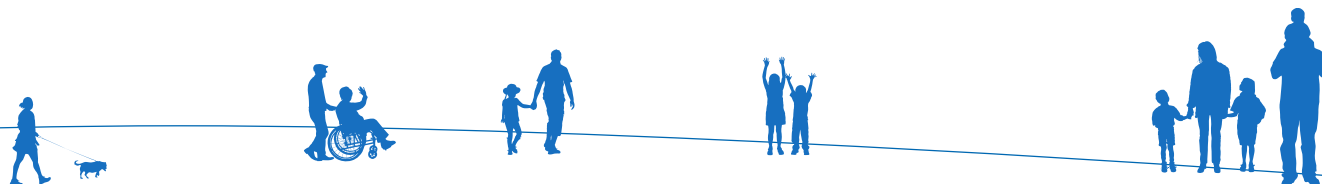
1. 背景

- E23 EWGには30団体から参加。

• ANMAT, Argentina	• Global Self-Care Federation	• NMPA, China
• ANVISA, Brazil	• Health Canada, Canada **	• PhRMA
• BIO	• IFPMA	• PPBHK, Hong Kong, China
• CECMED, Cuba	• IGBA	• Roszdravnadozor, Russia
• CIOMS	• JFDA, Jordan	• SAHPRA, South Africa
• DINAVISA, Paraguay	• JPMA	• SFDA, Saudi Arabia
• EC, Europe *	• MFDS, Republic of Korea	• Swissmedic, Switzerland
• EDA, Egypt	• MHLW/PMDA, Japan	• TFDA, Chinese Taipei
• EFPIA	• MHRA, UK	• TGA, Australia
• FDA, United States	• MOH, Kuwait	• TITCK, Türkiye

* Rapporteur

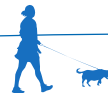
** Regulatory Chair



2. ICH リオデジャネイロ会合までの議論

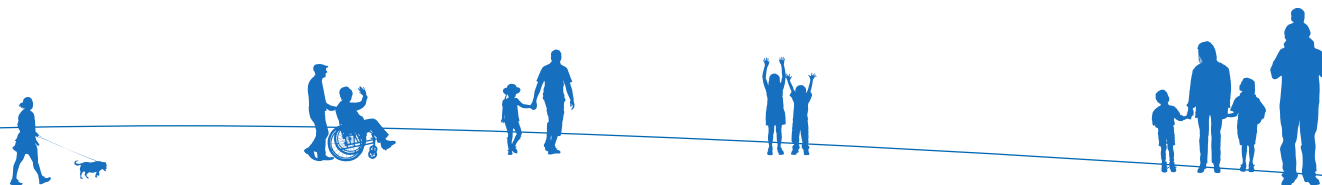
- 2025/12月以降 Technical Documentの内容について議論開始
 - 2026/1月 Document案作成にあたり、“*Drafting Group*”を構成することとした
 - 2026/2～3月 *Drafting Group*が、Technical Documentの“***RWD/RWE definitions***”の項の素案を作成
 - 2026/3～4月 作成した“***RWD/RWE definitions***”の案を、EWG内で議論
 - 2026/4～5月 EWG内で“***RWD/RWE definitions***”の案を合意し、各組織内でのレビューを行った
 - 2026/5～6月 リオデジャネイロ会合

https://database.ich.org/sites/default/files/ICH52_E23_EWG_WorkPlan_2026_0318.pdf



3. ICH リオデジャネイロ会合での主な議論

- 各組織内でのコメントを受け、 ***“RWD/RWE definitions”***の項の記載内容について再度議論
- ***“General principles for assessment of RWD/RWE”***の項のTables of Contentについて議論
- 今後のスケジュールについて再度議論（次スライド）

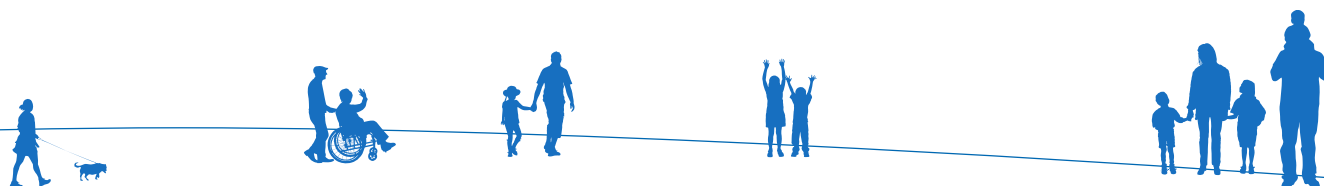


4. 今後の予定

- Work Planに沿って、Technical Documentについて継続的に議論

<今後のマイルストーン>

- 2027/3月 Technical Document案の各組織内レビューへ移行
- 2027/9月 Step 2a/2b到達
- 2027/9月～2028/2月 Step 3 (Public consultation)
- 2028/3月～2029/2月 Public consultationを受けたDraft Guidelineの修正
- **2029/3月 Step 4到達**





独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

