

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シンガポール会合まで & 会合時の議論
3. 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



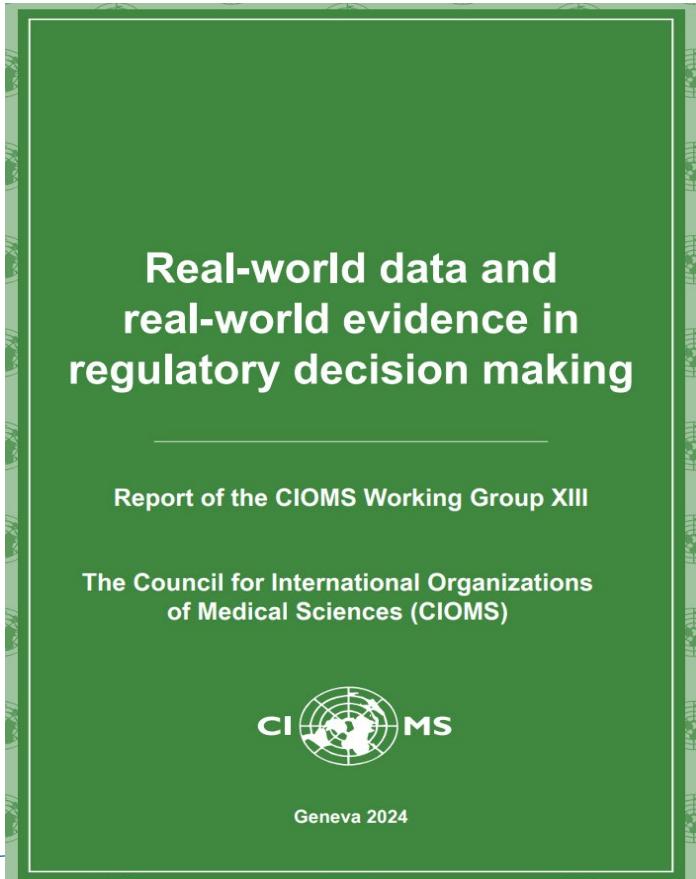
1. 背景

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>

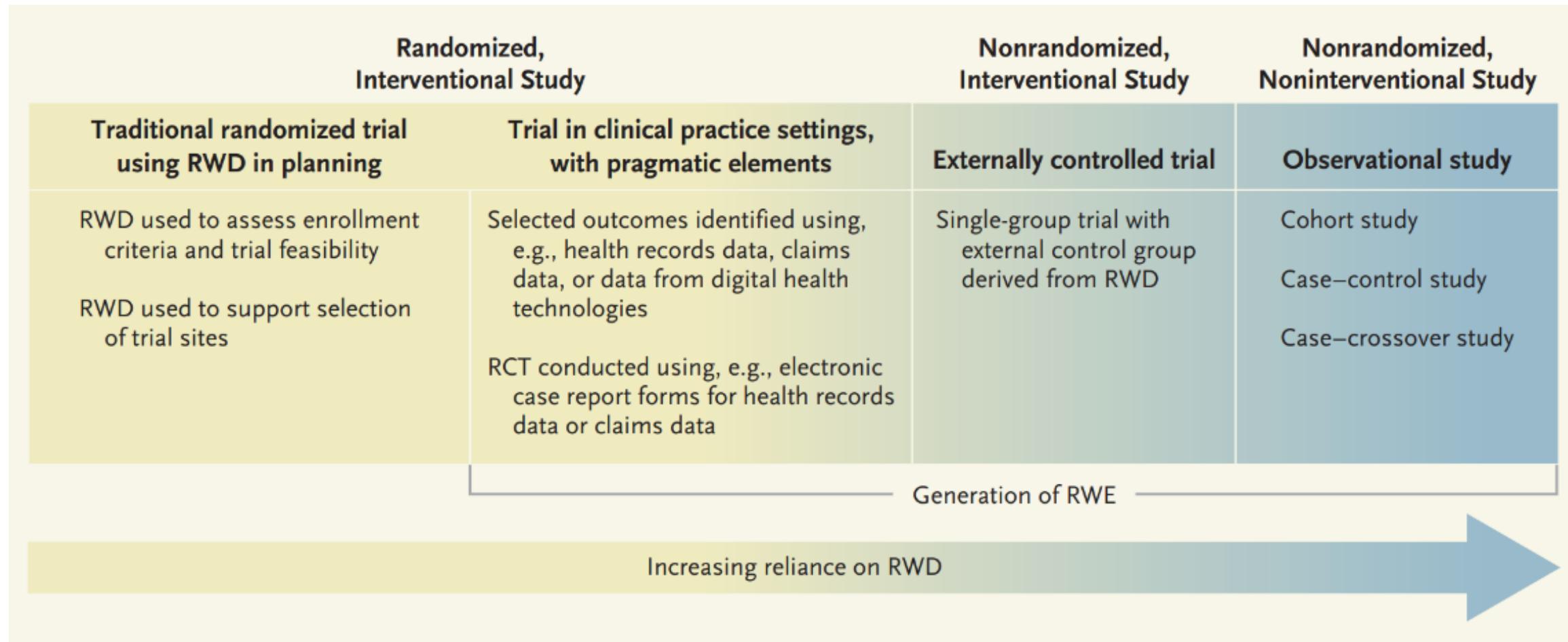


1. 背景

- 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になった。

Topic	Objective	Deliverables
RWD/RWE terminology, metadata, and assessment principles	<ul style="list-style-type: none">Promote a common understanding of the types and scope of RWD/RWEGuide the discoverability, identification, and description of RWDInform the assessment of RWD/RWE for regulatory purposes	<ul style="list-style-type: none">Common operational definitions of RWD and RWE, with clear scope, breadth of potential RWD sources, and level of granularity (e.g., pertaining to RCTs and non- interventional studies)Core list and use of metadataGeneral principles for assessment of RWD/RWE



2. ICH シンガポール会合まで & 会合時の議論

- E23 EWGには30団体から参加。
 - Rapporteur : Dr. Patrice Verpillat (EC, Europe)
 - Regulatory Chair: Mr. Andrew Raven (Health Canada, Canada)

• 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

2. ICH シンガポール会合まで & 会合時の議論

- 2025/9月 E23 EWGが構成される
以降、主にConcept Paperの内容について議論
- 2025/10月 Concept Paper案をICH MCに提出
- 2025/11月 ICHシンガポール会合
 - Team Introduction
 - Concept Paperが承認される。
 - Work Plan、Technical Documentの内容について議論開始



2. ICH シンガポール会合まで & 会合時の議論

- *Concept Paper*より一部抜粋（担当者和訳）

問題点

- RWD及びRWEの定義にはばらつきがあること、RWEに関する当局の評価にあたつての統一された原則が欠如していることにより、様々な障壁が生じている。
- 1つの主な障壁は、規制上の意思決定にあたってRWD及びRWEが「どのように」「いつ」用いられるのかについて明確な理解が妨げられていることであり、これにより、以下が引き起こされている。
 - RWD及びRWEの使用及び追跡に関する予見に関して、当局、企業、アカデミアや他の団体の間で生じうる不整合
 - RWD及びRWEの評価に一貫したアプローチを適用するための当局間の複雑な努力



2. ICH シンガポール会合まで & 会合時の議論

- *Concept Paper*より一部抜粋（担当者和訳）

解決すべき問題 :

- ① 地域間での、RWD及びRWEの定義の不一致
- ② RWDのより良い特徴づけの必要性
- ③ RWD及びRWEの評価にあたっての一般原則の統一性の欠如、
特に、医薬品の有効性を評価するにあたって、いつRWEを使用すべきか

Timeframe :

- 約2年（～2027年）でStep 2a/2bへの到達
- 約3年半以内（～2029年）の完成を目指す

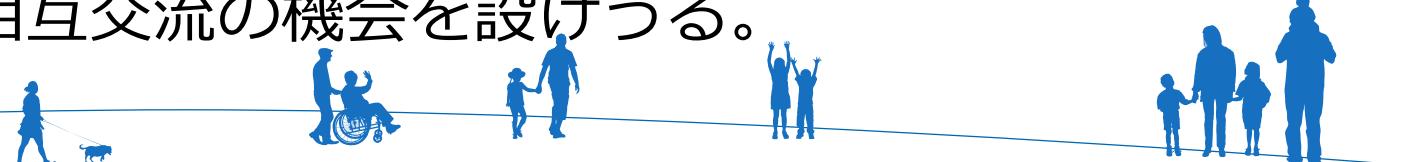


2. ICH シンガポール会合まで & 会合時の議論

- *Concept Paper*より一部抜粋（担当者和訳）

本WGがもたらすべきベネフィット：

- 特定の疾患領域及び患者集団を問わず、承認前の段階から市販後に至るライフサイクル全体を通じた医薬品の開発・評価を支援する。
- 当局、企業、アカデミアやその他関係者との間で予見を統一することにより、RWEを用いた評価における効率性、一貫性、透明性の促進を目指す。
- 意思決定を促進し、アンメットメディカルニーズに対応し、医薬品の安全かつ有効な使用を支援しうる。規制目的のためのRWE使用において共通理解を高め、早期段階での世界的な相互交流の機会を設けうる。



3. 今後の予定

- Work PlanのICH ウェブサイトへの公表
- 引き続きE23 EWGでTechnical Documentの内容についての継続的な議論
 - Introduction
 - RWD及びRWEの定義
 - the types and methods of data collection
 - etc...





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

