

# 政策研ニュース No.75

## OPIR Views and Actions

2025年7月

## 目次

### 目で見る製薬産業

小児用医薬品の国内承認及び収載に関する最新動向

|           |       |    |        |
|-----------|-------|----|--------|
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 吉浦 | 知絵     |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 吉野 | 九美     |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 白石 | 隆啓…… 1 |

### Points of View

製造販売後調査等に関する最近の動向と製造販売後データベース調査の経済性評価

|           |       |          |
|-----------|-------|----------|
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 富樫満里子    |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 渡邊奈都子    |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 枝廣 誠…… 9 |

公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告① – 利活用の可能性と課題 –

|           |       |           |
|-----------|-------|-----------|
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 渡邊奈都子     |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 富樫満里子     |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 枝廣 誠…… 22 |

公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告②

– 格納情報の整理とユースケース –

|           |       |            |
|-----------|-------|------------|
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 枝廣 誠       |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 渡邊奈都子      |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 富樫満里子…… 37 |

FDA 公表データからみた Patient-Reported Outcome (PRO) の使用状況

|           |       |            |
|-----------|-------|------------|
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 椿原 慎治      |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 白石 隆啓      |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 吉野 九美…… 60 |

Patient-Reported Outcome (PRO) の最新動向

– 臨床試験登録データベースを用いた調査・分析 –

|           |       |            |
|-----------|-------|------------|
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 吉野 九美      |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 白石 隆啓      |
| 医薬産業政策研究所 | 主任研究員 | 椿原 慎治…… 78 |

### 政策研だより

|                         |    |
|-------------------------|----|
| 主な活動状況（2025年3月～2025年6月） | 87 |
| レポート・論文紹介（2025年3月～）     | 87 |
| 政策研メンバー紹介               | 89 |

## 小児用医薬品の国内承認及び収載に関する最新動向

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉浦知絵  
医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美  
医薬産業政策研究所 主任研究員 白石隆啓

### 要約

- 小児用医薬品に対するニーズは高いものの、開発難易度や採算性などの観点で課題が残っている。
- 2018年1月から2024年12月に日本で承認された新医薬品のうち、小児適応に関連する承認は237件あり、うち72件が新有効成分医薬品であった。小児適応に関連する承認件数は最大でも各年の全承認件数の3割程度であったが、小児適応に関する承認件数及び全承認件数に対する割合は調査期間中で増加傾向を示した。
- 分析対象とした小児適応関連の承認のうち、40%が希少疾病用医薬品であった。申請データの動向として、公知申請によるものが10%、海外臨床試験成績のみでの承認は4%であった。その他は日本国内のデータを取得しており、日本を含む国際共同治験を実施したものが41%、その他は45%であった。
- 同一の疾患において成人での承認取得から小児の承認取得までのラグ期間について調査したと

ころ、小児適応の承認のうち77%が成人からの遅れなく承認されていた。

- 薬価上の評価に関しては、収載時の加算では2024年度では突出して規格間調整のみの算定における特例（小児加算）への該当件数が多かった。薬価改定時の小児加算は件数も増加傾向だが、2024年度以降で高い加算率に該当したものが顕著に増加した。

### 1. はじめに

小児用医薬品は医療ニーズが高いものの、一般に成人と比べて開発が進みにくいことが問題視されている<sup>1、2)</sup>。また、医薬産業政策研究所でも小児用医薬品の欧米に対するドラッグ・ラグの懸念を指摘している<sup>3、4)</sup>。これに対して近年では薬事制度、薬価制度の両面から小児用医薬品の開発促進につながる制度変更が発出されている。例えば薬事制度においては、小児用医薬品の開発計画の策定に関する考え方の整理<sup>5、6、7)</sup>や、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）にお

1) 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会、「日本の小児用医薬品承認品目における開発および承認内容の現状と今後に向けた検討」、レギュラトリーサイエンス学会誌、vol. 15、no.1、7-27、2025

2) 拝郷久満ら、「小児用医薬品の国内開発における課題と今後の展開－小児用の医薬品開発に関する企業へのアンケート調査より－」、レギュラトリーサイエンス学会誌、vol. 14、no.1、5-24、2024

3) 医薬産業政策研究所、「ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴 その1－希少疾患－」、政策研ニュース、No.69（2023年7月）

4) 医薬産業政策研究所、「ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴 その2－抗がん剤－」、政策研ニュース、No.69（2023年7月）

5) 厚生労働省 令和6年3月29日付け医薬薬審発0329第1号医薬品審査管理課長通知

6) 厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会 令和7年1月10日付け「薬機法等制度改正に関するとりまとめ」

7) 厚生労働省 令和7年3月21日付け薬機審長発第1618号／薬機RS長発第15号 独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査センター長／RSセンター長通知

ける開発計画の相談受付<sup>8)</sup>が開始され、また薬価制度としては、小児加算の加算率の柔軟な判断や新薬創出等加算の品目要件への小児用医薬品の追加、成人開発と同時に小児開発計画を策定し承認を得た場合の加算率引き上げ、市場拡大再算定における補正加算への小児用の開発計画に基づき開発が進められている既収載品の追加などの変更があり<sup>9)</sup>、一層の開発促進へ向けて環境の整備が進められている。

本稿では、小児用医薬品の新薬開発の最新動向を可視化することを目的として、PMDAがホームページ等で公表する審査報告書、添付文書、インタビューフォーム等の情報から小児適応に関する情報を抽出し、その経時変化などを分析した。また、中央社会保険医療協議会などの資料をもとに小児用医薬品を開発した企業に対する評価の動向についても分析したため、これらについて報告する。

## 2. 調査方法

本稿における小児用医薬品の承認件数に関する調査対象は、PMDAホームページの「新医薬品の承認品目一覧」<sup>10)</sup>に掲載されている医薬品とし、2018年1月から2024年12月の承認を対象として承認件数は審査報告書1報につき1カウントとした。小児適応に関する承認の抽出は、審査報告書、添付文書、インタビューフォームにおける「効能又は効果」または「用法及び用量」に小児への使用が明記されているものに加え、「用法及び用量」で成人の使用に制限されていない品目でかつ小児への使用が制限されていない品目<sup>11)</sup>を解析対象とした。

新有効成分の承認については、「新医薬品の承認品目一覧」<sup>10)</sup>にて新有効成分含有医薬品の記載が

あるものとした。小児適応を持つ新効能の承認について、「小児に関する新効能」として分類した。なお本稿では、成人の既承認効能に、小児に対する用量の追加をはじめて行った場合（新用量医薬品としての一変承認）も「小児に関する新効能」として分類した。また、小児同一効能における対象年齢の拡大、用法及び用量の追加などの承認は「その他」として分類した。ワクチン類については別にカウントした。「新医薬品の承認品目一覧」<sup>10)</sup>に希少疾病用医薬品と明記されているものを希少疾病用医薬品として集計した。

申請データの動向は、審査報告書にて評価資料として提出された試験の分類をもとに集計した。なお、「新医薬品の承認品目一覧」<sup>10)</sup>における特記事項の内容が「適応外使用通知に基づく申請」、「事前評価通知に基づく申請・事前評価品目の審査通知に基づく迅速審査」、もしくはそれに準ずるものを「公知申請」と分類した。成人と小児のラグに関しては、審査報告書、添付文書、インタビューフォーム中の「効能又は効果」の記載をもとに同一効能と判断したものについて調査した。承認日は「新医薬品の承認品目一覧」<sup>10)</sup>に記載された承認日とした。なお、小児の適応のみ、もしくは小児の適応が成人に先行して承認されたものについては、小児が成人から遅れたわけではないとして今回の調査では「ラグなし」に含めた。

本稿で調査対象とした小児用医薬品に関する新薬収載時の加算などの情報は、中央社会保険医療協議会<sup>12)</sup>の資料である「新医薬品一覧表」から集計した。薬価改定時の加算（以下、改定時加算）に関する情報は診療報酬関連情報<sup>13)</sup>に関する資料から集計した。同一成分、同一投与形態、同一効能効果は1カウントとし、改定時加算の加算率が

8) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、承認審査関連業務 小児用医薬品開発計画確認相談

9) 厚生労働省 厚生労働省保険局医療課、「令和6年度薬価制度改革について」（令和6年3月5日版）（参照：2025/3/31）

10) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、承認情報（参照：2025/03/31）なお本稿では、バイオ後続品は対象外とした。

11) 「[用法及び用量]で成人の使用に制限されていない品目で、かつ小児への使用が制限されていない品目」については、下記の点を確認し該当する承認件数のみ分析対象とした。

・小児を対象とした臨床試験が実施されたもの

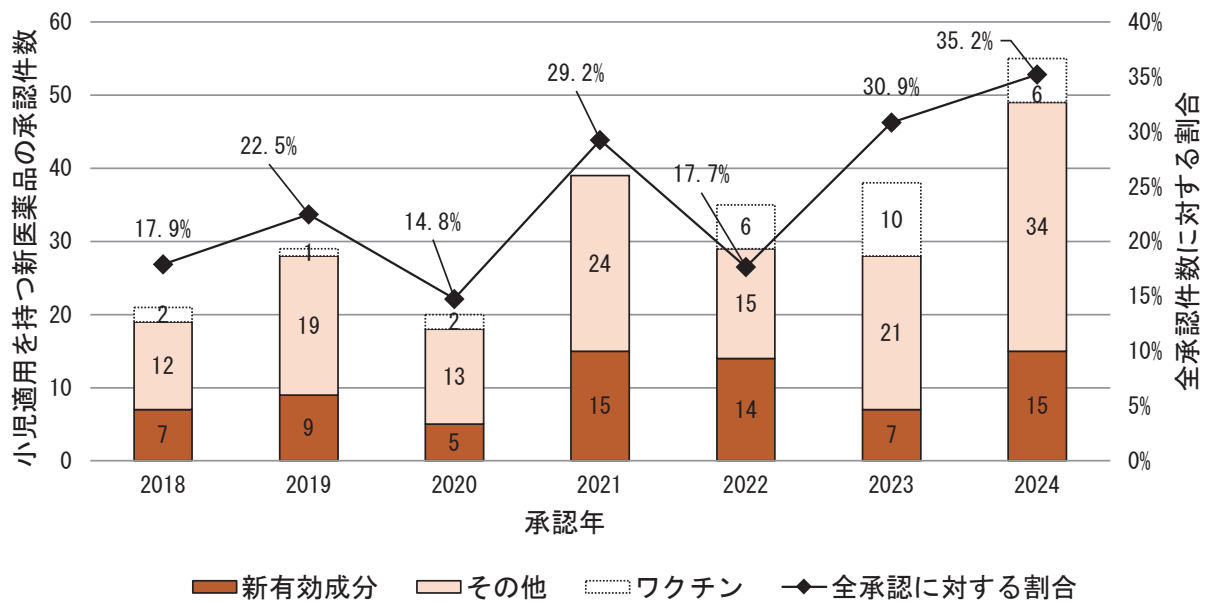
・審査報告書中で機構の見解として小児への使用が可能と記載されたもの

なお本稿では、年齢のみの指定の場合は15歳未満のものを小児として取り扱った。

12) 厚生労働省 中央社会保険医療協議会（中央社会保険医療協議会総会）

13) 厚生労働省 診療報酬関連情報

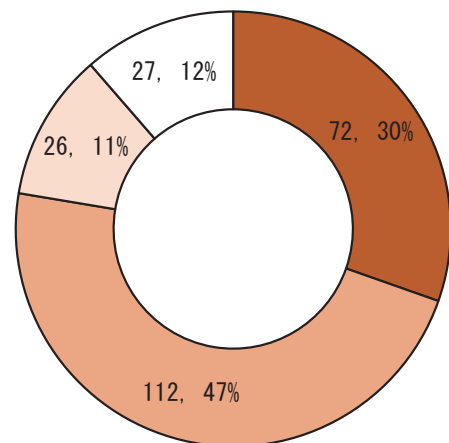
図1 小児適応を持つ新医薬品の国内承認件数、比率



注：折れ線グラフは、ワクチン類を除き、全承認件数に対する小児関連承認件数の割合を示した。  
出所：独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

銘柄で異なる場合は高い方で集計した。なお、2018年1月から2024年12月に承認された医薬品が原則収載もしくは改定時の評価をされる時期として、収載状況は2018年度から2024年度を、改定状況は2020、2022、2024、2025年度<sup>14、15、16</sup>）を調査対象期間とした。これは、多くの場合は承認から原則60日以内、遅くとも90日以内に収載される<sup>17</sup>）こと、そして、改定時加算は2年または1年分の承認をまとめて薬価改定時に評価されることを踏まえて判断した。ただし、承認状況の調査とは情報源が異なるため対象範囲は完全には一致しない場合もある。

図2 小児適応を持つ新医薬品承認件数の内訳（件数、比率）



■新有効成分 ■小児に関する新効能  
□その他 □ワクチン類

注：「その他」は、小児同一効能における対象年齢の拡大、用法及び用量の追加などに関する承認件数

出所：独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

### 3. 結果

#### (1) 小児適応を持つ新医薬品の国内承認件数

2018年から2024年の間に日本で承認された新医薬品のうち、小児適応に関連する承認件数の年次推移を図1に、承認件数の内訳を図2に示した。小児適応に関する承認は7年間で237件あり、ワク

14) 2020年度薬価改定では2017年11月～2019年10月、2022年度薬価改定では2019年11月～2021年10月、2024年度薬価改定では2021年11月～2023年10月、2025年度薬価改定では2023年11月～2024年10月の承認状況が評価された。

15) 関西医薬品協会、「医療保険制度の概要と薬価基準」（令和6年度改定版）

16) 厚生労働省 令和7年2月19日付け保発0219第1号保険局長通知「薬価算定の基準について」

17) 医薬産業政策研究所、「新薬の薬価収載状況 - 2018年度薬価制度抜本改革の収載時薬価への影響 -」、政策研ニュース、No.64（2021年11月）



チン類を除くと210件であった。図1で示したとおり、2018年から2024年までの小児適応に関する承認件数は増加傾向を示した。全承認件数に対する小児適応に関する承認件数の割合（ワクチン類除く）を算出したところ、調査期間において2024年が最も高く（35.2%）、過去の調査<sup>18)</sup>で報告したように、不妊治療薬の効能追加が突出して多かったため新医薬品全体の承認件数が多く小児適応の件数が相対的に低くなった2022年を除き、おおむね増加傾向を示した（図1）。

承認件数の内訳は、新有効成分含有医薬品が72件（30%）、小児適応を持つ新効能の承認が112件（47%）、その他（小児同一効能における対象年齢の拡大、用法及び用量の追加など）が26件（11%）であった（図2）。

本稿における3. 結果(2)～(4)では図2で示した新有効成分及び小児適応を持つ新効能に関する承認184件について分析した。

## (2) 小児適応を持つ新医薬品の国内承認件数の内訳（希少疾病用医薬品）

2018年から2024年の間に日本で承認された小児適応を持つ新有効成分含有医薬品（72件）及び小児適応を持つ新効能の承認（112件）について、希

少疾病用医薬品の指定の有無について調査した。その結果、図3のとおり小児適応に関連する承認件数のうち希少疾病用医薬品に該当するものは73件（40%）であった。

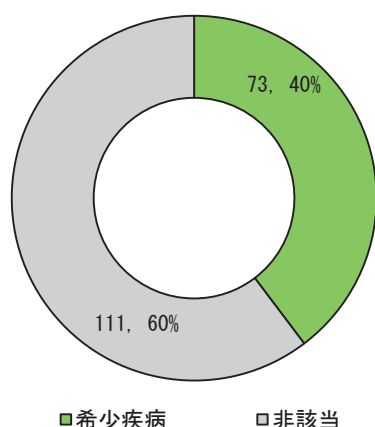
## (3) 小児適応を持つ新医薬品の国内承認件数の内訳（申請データの動向）

2018年から2024年の間に日本で承認された小児適応を持つ新有効成分含有医薬品（72件）及び小児適応を持つ新効能の承認（112件）について、申請データの動向を調査した。その結果、図4のとおり公知申請によるものが19件（10%）であった。評価資料として臨床試験成績が提出されたもののうち、海外臨床試験成績のみでの承認は8件（4%）であった。国内での臨床試験が提出されたものが82件（45%）、日本を含む国際共同治験（以下、国際共同治験）が評価資料に含まれるものが75件（41%）であった。

## (4) 成人から小児までのラグ

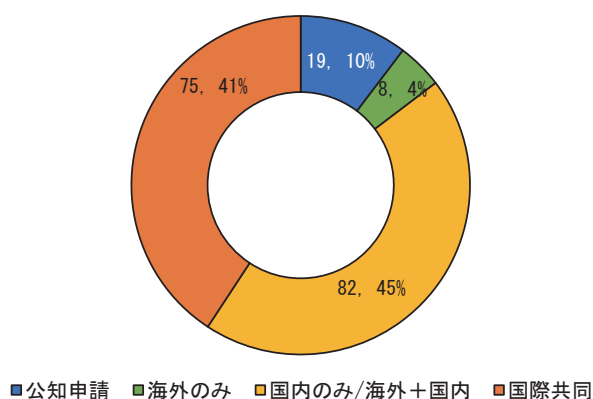
2018年から2024年の間に日本で承認された小児適応を持つ新有効成分含有医薬品（72件）及び小児適応を持つ新効能の承認（112件）について、同一効能の成人の用法及び用量が初めて承認された

図3 小児適応を持つ新医薬品承認の内訳（希少疾病用医薬品）（件数、比率）



出所：独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図4 小児適応を持つ新医薬品承認の内訳（申請データの動向）（件数、比率）

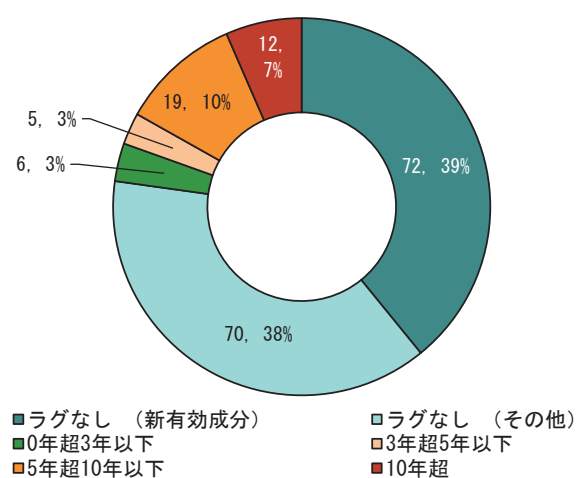


出所：独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

18) 医薬産業政策研究所、「日本で承認された新医薬品とその審査期間－2022年承認実績と経年動向調査－」、政策研ニュース、No.68（2023年3月）

時点からのラグ（経過期間）とその年次推移について調査した。その結果、図5のとおり、分析対象とした184件のうち成人小児ラグなしが142件（77%）であった。そのうち新有効成分含有医薬品は72件（39%）であった。ラグが3年以下のものは6件（3%）であり、これらを合わせると80%が成人での承認後3年以内に小児に関する適応も承認されていた。また、これらの内訳の年次推移を図6に示した。

図5 小児適応を持つ新医薬品承認の内訳（成人小児ラグ）（件数、比率）



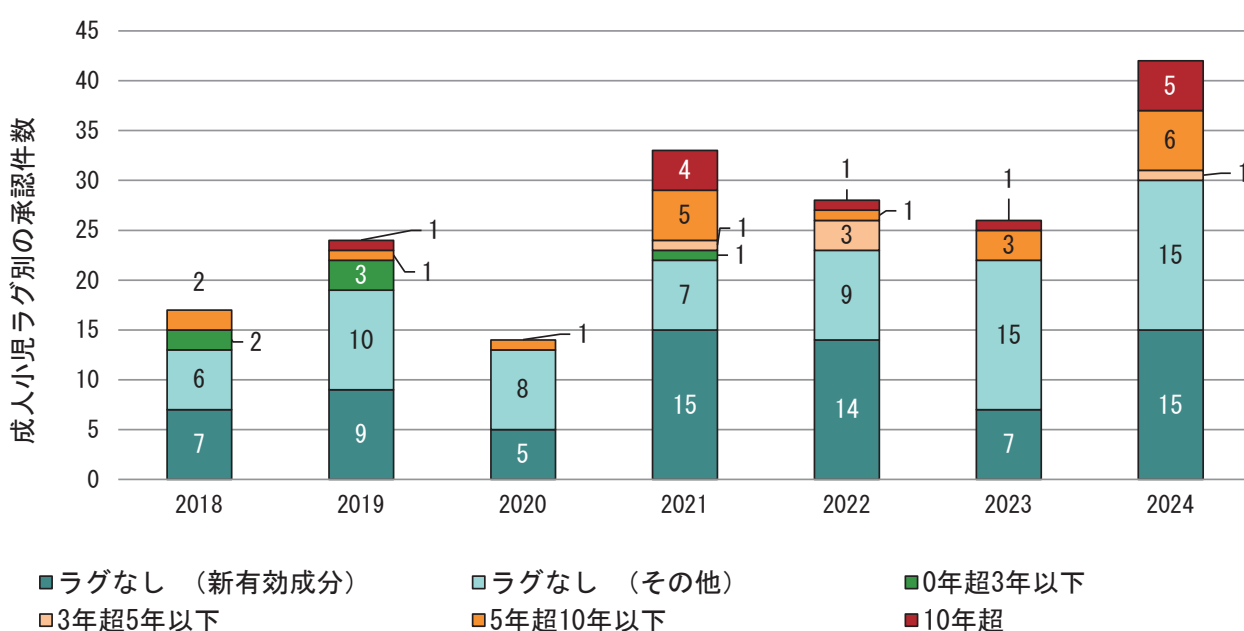
出所：独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

## (5) 薬価上の評価（加算の動向）

2018年から2024年の間に日本で承認された小児適応に関連する新医薬品の薬価上の評価を確認する目的で、収載時と改定時の加算の状況を調査した。収載状況に関しては、図7に小児加算の該当件数の推移を示した。小児加算は市場性加算(I)と併算定不可のため、小児加算の件数のみを考察することは一概には困難であるものの、市場性加算(I)の件数は減少していない状況（2022年度：13件、2023年度：9件、2024年度17件）において、2024年度は小児加算の合計件数が増加していた。また、小児加算の中でも「規格間調整のみの算定における特例（小児加算）」の件数が突出して多かった（2018～2023年度：0～1件／年度、2024年度：7件／年度）。小児加算は併算定不可のルールに加えて比較薬が小児加算に該当していた場合にも加算対象外となるため、類似薬効比較方式(I)で算定された品目についても件数の考察が困難な一面があるが、規格間調整のみの算定における特例（小児加算）については、先行して成人適応を有する医薬品への小児適応の追加への評価と考えられる。

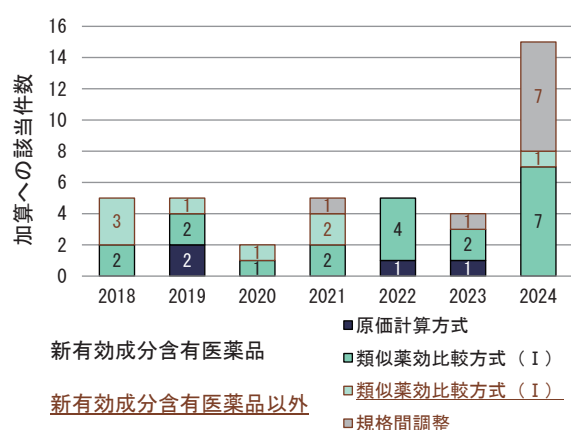
改定状況に関しては、図8に小児適応の効能追加等に係る加算と特定用途の効能追加等に係る加

図6 小児適応を持つ新医薬品承認件数の内訳（成人小児ラグ）の年次推移



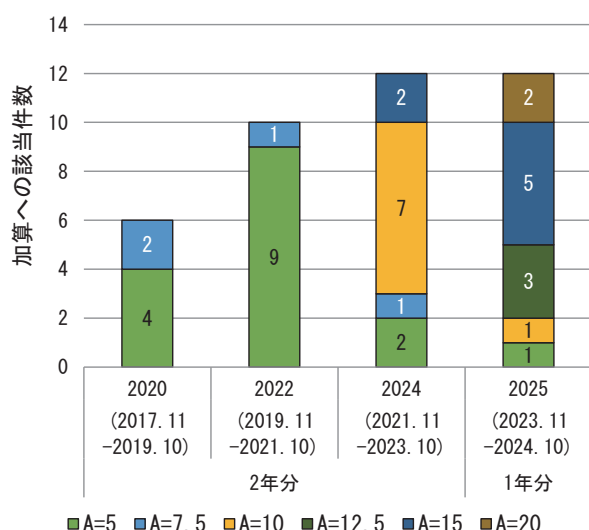
出所：独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図7 収載時の小児加算の該当件数の推移



出所：中央社会保険医療協議会「新医薬品一覧表」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

図8 改定時における小児適応または特定用途の効能追加等に係る加算の該当件数と加算率の推移



注1：A＝加算率（％）（実際に適用される率はA及び年間販売額の合計額を基に算出される補正加算率 $\alpha$ ）  
 注2：2024年度改定時の加算率との差分を反映された2025年度の1件についても、反映された加算率ではなく評価された加算率でカウントした  
 出所：診療報酬関連情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

算（小児関連）<sup>19)</sup>の該当件数の推移を示した。図8のとおり件数としては増加傾向を示していた。2025年度は2024年度と同じ件数となっているが、2024年度までは過去2年分の承認が改定時にまとめて評価されたのに対し、2025年度は過去1年分の承認が評価されたことをふまえると2025年度も含めて該当件数の増加傾向が続いていると言える。一方で、加算率については、2024年度を境に加算率10％以上（A＝10以上<sup>20)</sup>）が顕著に増加していた。

#### 4. まとめ・考察

小児用医薬品は医療ニーズが高い一方で新薬開発のハードルの高さがあり、その開発促進に向けては各種議論がなされているところである。本稿では、小児用医薬品開発の最新動向を可視化することを目的として、PMDAの公開データから小児適応に関する情報を抽出しその経時変化などを分析した。また、新薬の薬価収載時、改定時加算の動向についても厚生労働省の公開データから分析した。結果について以下で考察する。

図1で示したとおり、小児適応に関連する承認は最大でも全体の3割程度ではあるものの、2018年から2024年までの小児適応に関する承認件数及び全承認件数に対する割合は増加傾向を示した。小児用医薬品については、冒頭で触れた直近の施策の以前から開発促進に向けた整備は行われており<sup>21)</sup>、再審査期間の延長<sup>22)</sup>や特定用途医薬品指定制度の創設<sup>23)</sup>など小児用医薬品等の研究開発を促す通知が2020年にも出されている。医薬品の開発着手から承認取得までに要する期間を考えると、最近の増加傾向はこれら数年前の施策の効果が反映された可能性もある。今後は、直近の施策の効果が加わり承認件数の増加として見られる可能性が期待される。

19) 特定用途の効能追加等に係る加算は2024年度の1件のみ。

20) A：加算率（％）（実際に適用される率はA及び年間販売額の合計額を基に算出される補正加算率 $\alpha$ ）

21) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構、小児・希少疾病用医薬品

22) 厚生労働省 令和2年8月31日付け薬生薬審発0831第16号医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知「再審査期間の取扱いについて」

23) 厚生労働省 特定用途医薬品

図3で示したとおり、小児適応を持つ新有効成分及び新効能の承認件数のうち、40%が希少疾病用医薬品であった。小児用医薬品と希少疾病用医薬品はともに患者数が少ないため、それらが重複した場合には開発がより難しく承認件数は少ないと考えたが、全承認件数における希少疾病用医薬品の割合は2018年から2023年の期間で25%程度であったことと比較すると（医薬産業政策研究所での調査結果）、小児適応に関する医薬品の承認では希少疾病用医薬品の割合は高かった。本稿で調査した小児かつ希少疾病用医薬品の承認では、公知申請が0件、海外臨床試験成績のみでの承認は6件であり、その他の67件では国際共同治験または国内での臨床試験結果により承認を取得していた。小児用医薬品及び希少疾病用医薬品開発についてはその難易度や課題対応など議論されているが、難しい課題であるにも関わらず企業として着実に小児用医薬品の開発を進めている状況であると考えられる。

図5及び図6では、本稿で調査した小児適応に関連する新医薬品の承認について、同一効能の成人の用法及び用量が初めて承認された時点からのラグ（経過期間）を分析した。このうち新有効成分含有医薬品が39%、新効能が38%と、77%がラグなし、つまり、成人から遅れることなく小児で承認を取得していた。また、新有効成分含有医薬品全体において小児適応を持つ品目の割合も増加傾向にあり2021年以降は25%以上の水準であった（医薬産業政策研究所での調査結果）。このことから、当該品目の成人での開発段階から小児適応も視野に入れて開発を進めていたものと考えられる。また本稿で調査した小児適応に関連する医薬品の多くが海外での承認実績を持つものであった。欧米では新薬開発時の小児開発計画検討が義務化されていること<sup>24)</sup>、<sup>25)</sup>や、米国では小児の希少疾病に関連した優先審査のバウチャー・プログラムが導入されていること<sup>26)</sup>など、海外でも小児用

医薬品の開発促進のための施策がある。グローバル製品の割合が多いことによりこれらの海外状況が日本にも影響し、成人小児ラグなしが多いという結果になった可能性が考えられる。実際に、成人効能での承認から10年経過後に小児適応が追加されたラグの長い12件については、ラグが10年以下のものに比べて国際共同治験の割合が顕著に少なかった（表1、ラグ10年超:17%）。一方で、ラグが10年超では国内での臨床試験結果により承認を取得していたものが12件中8件（国際共同治験2件含む）あり、公知申請4件より多かった。これは、既存の医薬品に対する小児への適応拡大が企業主体で積極的に取り組まれた結果と考えられた。また、希少疾病用医薬品該否別でラグ期間の割合を見ると、ラグの長い承認件数では希少疾病用医薬品の割合が小さかった（表1、ラグ10年超:12%）。すなわち、希少疾病用医薬品に比べて希少疾病用医薬品以外の方が小児適応の開発に時間がかかる場合が多い傾向が見られた。要因については調査できていないが、同種同効薬がある領域では小児を対象とした被験者募集の難易度が希少疾病の場合より高い可能性が考えられる。

ここまでは小児適応に関連する新医薬品の承認に関する動向について考察したが、薬価上の評価についても考察したい。図7に示したとおり、

表1 ラグ期間別 小児用医薬品承認の特徴

|                    | 全体          | 5年以下の<br>ラグあり | 5年超10<br>年以下の<br>ラグあり | 10年超の<br>ラグあり |
|--------------------|-------------|---------------|-----------------------|---------------|
| 調査対象とした承認件数        | 184         | 11            | 19                    | 12            |
| 上記のうち、<br>国際共同治験   | 75<br>(41%) | 5<br>(45%)    | 9<br>(47%)            | 2<br>(17%)    |
| 上記のうち、<br>希少疾病用医薬品 | 73<br>(40%) | 4<br>(36%)    | 7<br>(19%)            | 1<br>(12%)    |

出所：独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の公開情報をもとに医薬産業政策研究所にて作成

24) Food and Drug Administration (FDA)、Statutes and Regulations

25) European Medicines Agency、Paediatric Regulation

26) 令和4年度厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）（分担）研究報告書「欧米における小児用医薬品開発促進のための法制度の調査」



2024年度は規格間調整のみの算定における特例（小児加算）については件数が増加した。また、図8に示したとおり薬価改定時に小児加算を得た件数の加算率の分布が2024年度の前後では異なっていた。加算率という観点では、小児加算は5～20%の範囲で規定されているが、2023年度までは大半の品目で5%が適用され、それを超える加算率が適用されることは稀であった<sup>9)</sup>。しかし、2024年度の薬価制度改革により柔軟な判断がなされることとなり、より高い加算率で評価されることが増えた。すなわち小児用医薬品開発に対するインセンティブが向上したと考えられ、小児用医薬品開発の課題の一つである採算性に対しての後押しとなり小児開発が漸進することも期待される。今後もその効果の検証と合わせて、小児医薬品に関

する開発環境の整備は継続して行われるべきものとする。

## 5. おわりに

本稿の調査では、最新年で全体の3割程度であるが小児用医薬品の承認件数の占める割合は増加傾向であることを示した。近年の小児用医薬品の承認において、国際共同治験への参画や成人小児同時の効能追加の占める割合から示されるように、小児用医薬品開発に対する企業の前向きな取り組みの結果であると考えられる。2024年度は小児用医薬品の開発促進に向けた新たな枠組みや薬価制度改革があった。これらの効果による承認数の増加が期待されるとともに、効果の検証に基づいた継続的な環境整備が望まれる。

## 製造販売後調査等に関する最近の動向と 製造販売後データベース調査の経済性評価

医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子  
医薬産業政策研究所 主任研究員 渡邊奈都子  
医薬産業政策研究所 主任研究員 枝廣 誠

### 要約

- 製造販売後調査における使用成績調査等の最新動向を整理し、さらに製造販売後データベース調査（以下、DB 調査）活用による経済性評価を行うことを目的として、2020～2024年度の新医薬品承認品目の医薬品リスク管理計画（以下、RMP）を対象に調査を行った。
- 新医薬品承認において策定される初回 RMP は 37.0% で新有効成分含有医薬品が多くを占めた。その数には大きな変化は無いが、承認により新たに計画された調査総数は2024年度に減少傾向が認められた。
- DB 調査については、製造販売後調査総数が減少する中で件数は横ばいで割合が増加していた。また、DB 調査では大規模かつ対照群を設定した調査が可能であり、対照群を設定しない小規模な旧来の使用成績調査との違いが鮮明となった。一方で、使用されるデータベースは限定的であり、利活用可能なデータベースやレジストリに限界があるといえる。DB 調査の活用は特に外資系企業で多く、また、1 企業が複数計画している割合が大きい。
- 従来の使用成績調査から DB 調査への選択の移行がもたらす業務プロセスの変化と各プロセスで発生するコストを整理し、DB 調査への移行可能率から調査期間 5 年のコスト削減効果は約

92億円となると試算した。

- 製造販売後調査における DB 調査の活用実態を検討した結果、全例調査や対応可能なデータベースの不足、企業の利活用経験の偏りなどが活用の障壁となっていることが示唆された。一方で、DB 調査の適切な活用により、調査負担の軽減と経済的効果が確認され、今後の選択肢としての意義が示された。

### 1. はじめに

近年、わが国では医療の質の向上や効率化、さらには新たな医療技術の創出を目的として、保健・医療・介護に関わる情報の利活用に向けた制度整備が急速に進められている。

2022年6月に「経済財政運営と改革の基本方針2022」（令和4年6月7日閣議決定）<sup>1)</sup>において医療デジタルトランスフォーメーション（以下、医療 DX）の推進が提示され、さらに、2024年6月の「経済財政運営と改革の基本方針2024」（令和6年6月21日閣議決定）<sup>2)</sup>では、全国医療情報プラットフォームで共有される情報を新しい医療技術の開発や創薬等のために二次利用する環境整備、医療介護の公的データベースのデータ利活用促進が明記された。

医療 DX を促進するためには、その経済的利益を定量的に評価し、経済的合理性を明確にする必

1) 内閣府、経済財政運営と改革の基本方針2022、<https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2022/decision0607.html>

2) 内閣府、経済財政運営と改革の基本方針2024、<https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2024/decision0621.html>

要がある。European Health Data Space (EHDS) の立法法案に付随して公表された影響評価報告書<sup>3)</sup>では、EHDSを導入することによる経済的利益が試算されており、この結果は、健康医療情報の情報連携基盤による経済的利益を評価するための重要な事例となっている。

わが国の製薬企業において医療情報の二次利用が進んでいる一事例としては、製造販売後調査におけるDB調査が、平成30年4月1日付のGPSP省令の改正<sup>4)</sup>によって製造販売後調査の一形態として認められ、製造販売後調査の新たな選択肢となっていることが挙げられる。

本稿ではこのDB調査に着目し、最近の医薬品製造販売後調査におけるDB調査の実施状況や課題、さらに従来の使用成績調査からDB調査への移行がもたらす経済性（コスト削減や業務効率化等）について定性的、定量的な評価を行い、医療情報利活用推進におけるDB調査の意義と将来的な活用可能性を展望する。

## 2. 調査方法

### 2-1 製造販売後調査等の現状調査

公開情報から製造販売後調査における使用成績調査及びDB調査の現状を調査するため、医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）ホームページで公開されている2020～2024年度（5年度分）の新医薬品承認品目一覧<sup>5)</sup>掲載品目におけるRMP（2025年4月時点）から、追加の医薬品安全性監視活動の有無とその内容を調査し、承認および一部変更承認（以下、一変）により計画された調査を特定、抽出した。なお、調査項目は新医薬品承認品目数、承認により新規に設定された初回RMP数及び調査数とし、以下に示す条件で情報を整理した。

① 追加の安全性監視活動の計画、実施の時期に

関わらず、承認年度でカウントした。

- ② 一般使用成績調査、特定使用成績調査、DB調査のみを抽出してカウントした（市販直後調査、製造販売後臨床試験、使用成績比較調査等はカウントから除外）。
- ③ 使用成績調査の記載のうち、一般使用成績調査か特定使用成績調査か判断できない場合には、一般使用成績調査としてカウントした。
- ④ 同一製品内の同一事項（効能効果等）の承認において、既承認規格に対する一変と新規規格品に対する承認が存在する場合は、承認と一変にそれぞれカウントした。
- ⑤ 同一製品に対する複数事項（複数の効能効果等）が同日に承認されている場合は、製品数を別々にカウントした。

### 2-2 DB調査利用時の経済性評価

従来の使用成績調査と、DB調査の流れを整理し、プロセスごとに発生する作業についてコスト試算を行った。使用成績調査のDB調査への移行可能率から調査期間5年のコスト削減効果を試算した。

## 3. 結果

### 3-1 製造販売後調査等の調査結果

#### 3-1-1 2020～2024年度新医薬品承認品目背景情報

はじめに背景情報として、年度ごとに5年間の新医薬品承認数と初回RMPが設定された品目数を表1に、PMDA審査分野別の品目数を表2に示した。

新医薬品の年度ごとの承認品目数は2020年度から多少の増減はあるが123～146品目の間でほぼ横ばいであった。希少疾病用医薬品は年度による偏りはあるが、26～36品目で対象期間全体では全承

3) Directorate-General for Health and Food Safety, “Impact Assessment on the European Health Data Space”, 3 May 2022, [https://health.ec.europa.eu/publications/impact-assessment-european-health-data-space\\_en](https://health.ec.europa.eu/publications/impact-assessment-european-health-data-space_en)

4) 平成29年10月26日付け厚生労働省令第116号「医薬品の製造販売後の調査および試験の実施の基準に関する省令の一部を改正する省令」

5) 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構、承認審査関連業務 新医薬品の承認品目一覧、<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html>

表1 新医薬品承認、希少疾病およびRMP設定品目数

| 承認年度 | 承認数 |               |             |          | 初回 RMP 数 |               |               |             |          | 希少疾病 |               |
|------|-----|---------------|-------------|----------|----------|---------------|---------------|-------------|----------|------|---------------|
|      | 総計  | 承認<br>(新有効成分) | 承認<br>(その他) | 一部<br>変更 | 総計       | 承認数に<br>対する割合 | 承認<br>(新有効成分) | 承認<br>(その他) | 一部<br>変更 | 総計   | 承認数に<br>対する割合 |
| 2020 | 123 | 43            | 19          | 65       | 50       | 40.7%         | 43            | 7           | 0        | 28   | 22.8%         |
| 2021 | 146 | 50            | 10          | 88       | 53       | 36.3%         | 49            | 4           | 0        | 36   | 24.7%         |
| 2022 | 136 | 38            | 20          | 80       | 42       | 30.9%         | 38            | 4           | 0        | 26   | 19.1%         |
| 2023 | 123 | 46            | 17          | 67       | 48       | 39.0%         | 43            | 5           | 0        | 34   | 27.6%         |
| 2024 | 135 | 48            | 24          | 74       | 52       | 38.5%         | 47            | 5           | 0        | 28   | 20.7%         |
|      | 663 | 225           | 90          | 374      | 245      | 37.0%         | 220           | 25          | 0        | 152  | 22.9%         |

注：同一製品内の同一事項の承認における既承認規格に対する一変と新規規格品に対する承認は各々にカウント  
出所：PMDA ホームページ掲載の新医薬品承認品目一覧及びRMPより医薬産業政策研究所にて作成

表2 PMDA 審査分野別承認品目数

| 分野   | 承認<br>(新有効成分含有) | 承認<br>(その他) | 一部<br>変更 | 総計  | 割合     |
|------|-----------------|-------------|----------|-----|--------|
| 第1   | 28              | 15          | 43       | 78  | 11.8%  |
| 第2   | 24              | 11          | 24       | 56  | 8.4%   |
| 第3の1 | 18              | 6           | 20       | 44  | 6.6%   |
| 第3の2 | 4               | 5           | 10       | 19  | 2.9%   |
| 第4   | 16              | 6           | 13       | 33  | 5.0%   |
| 第5   | 4               | 7           | 26       | 37  | 5.6%   |
| 第6の1 | 22              | 14          | 43       | 71  | 10.7%  |
| 第6の2 | 18              | 5           | 9        | 30  | 4.5%   |
| 体内診  | 0               | 0           | 3        | 3   | 0.5%   |
| 放射   | 2               | 0           | 5        | 7   | 1.1%   |
| 抗悪   | 55              | 4           | 148      | 205 | 30.9%  |
| エイズ  | 2               | 0           | 1        | 3   | 0.5%   |
| ワクチン | 22              | 3           | 21       | 45  | 6.8%   |
| 血液   | 10              | 1           | 8        | 19  | 2.9%   |
| バイオ  | 0               | 13          | 0        | 13  | 2.0%   |
| 総計   | 225             | 90          | 374      | 663 | 100.0% |

注：同一製品内の同一事項の承認における既承認規格に対する一変と新規規格品に対する承認は各々にカウント  
出所：PMDA ホームページ掲載の新医薬品承認品目一覧より医薬産業政策研究所にて作成

表3 PMDA 新薬審査部担当審査分野

|          |                                      |
|----------|--------------------------------------|
| 第1分野     | 消化器官用薬、外用用薬等                         |
| 第2分野     | 循環器官用剤、抗パーキンソン病薬、脳循環・代謝改善薬、アルツハイマー病薬 |
| 第3分野の1   | 中枢神経系用薬、末梢神経系用薬<br>ただし、麻酔用薬を除く       |
| 第3分野の2   | 麻酔用薬、感覚器官用薬（炎症性疾患に係るものを除く）、麻薬        |
| 第4分野     | 抗菌剤、寄生虫・抗ウイルス剤（エイズ医薬品分野を除く）          |
| 第5分野     | 泌尿生殖器官・肛門用薬、医療用配合剤                   |
| 第6分野の1   | 呼吸器官用薬、アレルギー用薬（内服のみ）、感覚器官用薬（炎症性疾患）   |
| 第6分野の2   | ホルモン剤、代謝性疾患用薬（糖尿病、骨粗鬆症、痛風、先天性代謝異常等）  |
| 体内診断薬分野  | 造影剤                                  |
| 放射性医薬品分野 | 放射性医薬品                               |
| 抗悪分野     | 抗悪性腫瘍用薬                              |
| エイズ医薬品分野 | HIV 感染症治療薬                           |
| ワクチン分野   | ワクチン、抗毒素                             |
| 血液製剤分野   | 血液製剤                                 |
| 遺伝子治療分野  | 遺伝子治療薬、カルタヘナ                         |
| バイオ品質分野  | バイオ品質、バイオ後続品                         |

認数の22.9%の割合を占めていた。初回のRMP設定数は対象期間全体の承認数に対して37.0%であり、承認数と同様に5年間の推移はほぼ横ばいであった。新有効成分含有医薬品ではほとんどの製品（220／225承認）で、その他の医薬品では年度に因り異なるが対象期間全体で27.8%（25／90承認）で初回RMPが設定されていた。

PMDA 審査分野別の新医薬品承認品目数を調査した結果、抗悪分野が30.9%、第1分野が

11.8%、第6分野の1が10.7%の順に多かった。

なお、PMDA新薬審査部担当審査分野を表3に示す。

### 3-1-2 製造販売後調査の内訳

各年度の承認、一変によって計画された製造販売後調査の調査数を表4に、各調査数の割合の推移を図1に示した。調査数総計では2023年度まで80調査前後であった数値が2024年度に47調査に減



少している。

詳細をみると調査数は特定使用成績調査が最も多く、一般使用成績調査、DB調査の順であった。また、一般使用成績調査及び特定使用成績調査の調査数は2024年度に減少、DB調査では横ばいの傾向であった。これを各調査数の割合でみると同年度において特定使用成績調査は減少の傾向に変わりはなく、一般使用成績調査は横ばい、DB調査は2020～2023年度では10%前後と横ばいの傾向であるが、2024年度には25.5%と増加の傾向であった。

さらに製造販売後調査の現状を多角的に調査するため、①全例調査の調査数、②希少疾病用医薬品に対する調査種別、③PMDA審査分野別の各調査数、④各調査の症例規模ならびに⑤対照群の有無についてカウントした。

全例調査は全製造販売後調査の27.0%を占め

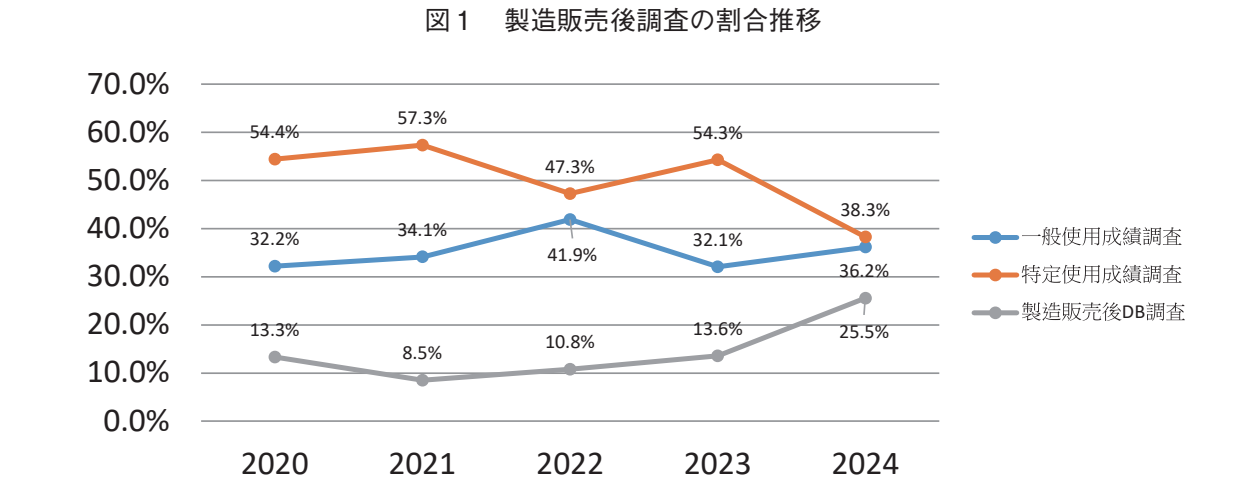
た。全例調査の調査数は、2023年度までは横ばいだが、2024年度では減少（13調査）傾向がみられる。一方で、割合で各調査の動きをみると特に特定使用成績調査で顕著な増加（44.4%）が認められた。全例調査は従来の一般および特定使用成績調査で計画されているが、DB調査でも全例を補足するものがあつた（1調査）。具体的にはレズロックの造血幹細胞移植後の慢性移植片対宿主病に対するもので、TRUMP-GVHDレジストリが利用されていた。（表5）

希少疾病用医薬品の製造販売後調査は調査総計374調査中120調査で約32.1%の割合であった。希少疾病用医薬品に対する調査種別は一般および特定使用成績調査の割合が高いが、DB調査も7調査（5.8%）で選択されている。具体的には以下の製品に対する調査であり、一変で4調査、新有効成分の承認で3調査であった。また、効能効果として造血幹細胞移植後の移植片対宿主病を対象とするものが3調査含まれていた。（表6）

- レンビマ：胸腺癌（一変）
- イムブルビカ：造血幹細胞移植後の慢性移植片対宿主病（一変）
- ジャカビ：造血幹細胞移植後の移植片対宿主病（一変）
- レズロック：造血幹細胞移植後の慢性移植片対宿主病（承認：新有効成分）
- レプロジル：骨髓異形成症候群に伴う貧血（承認：新有効成分）

| 承認年度 | 一般使用 | 特定使用 | 製造販売後 | 総計  |
|------|------|------|-------|-----|
|      | 成績調査 | 成績調査 | DB調査  |     |
|      | 調査数  | 調査数  | 調査数   |     |
| 2020 | 29   | 49   | 12    | 90  |
| 2021 | 28   | 47   | 7     | 82  |
| 2022 | 31   | 35   | 8     | 74  |
| 2023 | 26   | 44   | 11    | 81  |
| 2024 | 17   | 18   | 12    | 47  |
| 総計   | 131  | 193  | 50    | 374 |

出所：PMDAホームページ掲載のRMPより医薬産業政策研究所にて作成



出所：PMDA ホームページ掲載の RMP より医薬産業政策研究所にて作成

表5 年度ごとの全例調査数と製造販売後調査総計に対する割合

| 承認年度 | 全例調査 |       | 内訳       |       |          |       |             |      | 調査総計 |
|------|------|-------|----------|-------|----------|-------|-------------|------|------|
|      | 調査数  | 割合    | 一般使用成績調査 |       | 特定使用成績調査 |       | 製造販売後 DB 調査 |      |      |
|      |      |       | 調査数      | 割合    | 調査数      | 割合    | 調査数         | 割合   |      |
| 2020 | 24   | 26.7% | 12       | 41.4% | 12       | 24.5% | 0           | 0.0% | 90   |
| 2021 | 22   | 26.8% | 8        | 28.6% | 14       | 29.8% | 0           | 0.0% | 82   |
| 2022 | 19   | 25.7% | 11       | 35.5% | 8        | 22.9% | 0           | 0.0% | 74   |
| 2023 | 23   | 28.4% | 10       | 38.5% | 12       | 27.3% | 1           | 9.1% | 81   |
| 2024 | 13   | 27.7% | 5        | 29.4% | 8        | 44.4% | 0           | 0.0% | 47   |
| 総計   | 101  | 27.0% | 46       | 35.1% | 54       | 28.0% | 1           | 2.0% | 374  |

出所：PMDA ホームページ掲載の RMP より医薬産業政策研究所にて作成

表6 希少疾病用医薬品の製造販売後調査種別

| 調査種別        | 希少疾病 |        |
|-------------|------|--------|
|             | 調査数  | 割合     |
| 一般使用成績調査    | 54   | 45.0%  |
| 特定使用成績調査    | 59   | 49.2%  |
| 製造販売後 DB 調査 | 7    | 5.8%   |
| 総計          | 120  | 100.0% |

出所：PMDA ホームページ掲載の RMP より医薬産業政策研究所にて作成

- トレプロスト：間質性肺疾患に伴う肺高血圧症（一変）
- リブマーリ：アラジール症候群及び進行性家族性肝内胆汁うっ滞症における胆汁うっ滞に伴うそう痒（承認：新有効成分）

審査分野別の調査数を見ると、調査数の総計は抗悪（98調査）、第1（53調査）、第6の1（52調査）の順で多い。一方で、DB 調査数は第1（11調査）、第6の1（10調査）、第2と抗悪（各9調査）の順となっていた。また、バイオはDB 調査のみとなっており、エイズ、第5は5年間を通してDB 調査は0件であった。第3の1、第4、第6の2は相当数の調査数があるが、DB 調査は1調査に留まり、DB 調査の割合は低い。（表7、図2）

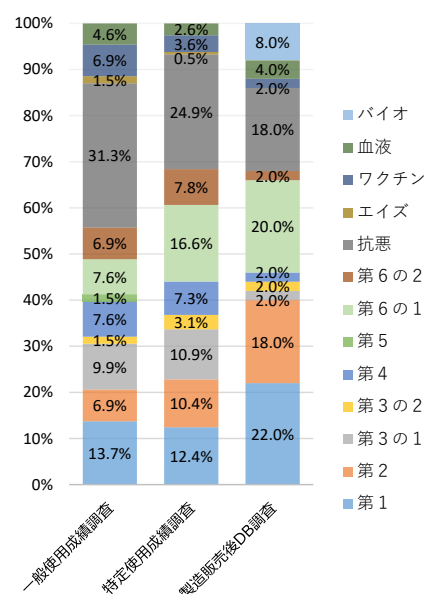
製造販売後調査における症例数規模を見ると、一般および特定使用成績調査では300例以下の調査がそれぞれ58.0%、63.2%を占めており、500例以下ではほぼ70%以上を占めていた。一方で、DB 調査では300例以下から10,000例を超える調査まで幅広い規模の調査に利用されていることが分か

表7 PMDA 審査分野別調査数

| 分野   | 一般使用成績調査 | 特定使用成績調査 | 製造販売後 DB 調査 | 総計  |
|------|----------|----------|-------------|-----|
| 第1   | 18       | 24       | 11          | 53  |
| 第2   | 9        | 20       | 9           | 38  |
| 第3の1 | 13       | 21       | 1           | 35  |
| 第3の2 | 2        | 6        | 1           | 9   |
| 第4   | 10       | 14       | 1           | 25  |
| 第5   | 2        | 0        | 0           | 2   |
| 第6の1 | 10       | 32       | 10          | 52  |
| 第6の2 | 9        | 15       | 1           | 25  |
| 抗悪   | 41       | 48       | 9           | 98  |
| エイズ  | 2        | 1        | 0           | 3   |
| ワクチン | 9        | 7        | 1           | 17  |
| 血液   | 6        | 5        | 2           | 13  |
| バイオ  | 0        | 0        | 4           | 4   |
| 総計   | 131      | 193      | 50          | 374 |

出所：PMDA ホームページ掲載の新医薬品承認品目一覧および RMP より医薬産業政策研究所にて作成

図2 製造販売後調査別の PMDA 審査分野割合



出所：PMDA ホームページ掲載の新医薬品承認品目一覧および RMP より医薬産業政策研究所にて作成

る。DB 調査では症例数検討中または不明の調査が多く認められており、この理由としては、DB 調査実施の方針は決定しているが、詳細計画検討中の状況であるものが多数であった。また、従来調査における症例数不明の計画は、全例調査の計画が主なものとなっている。（表 8、図 3）

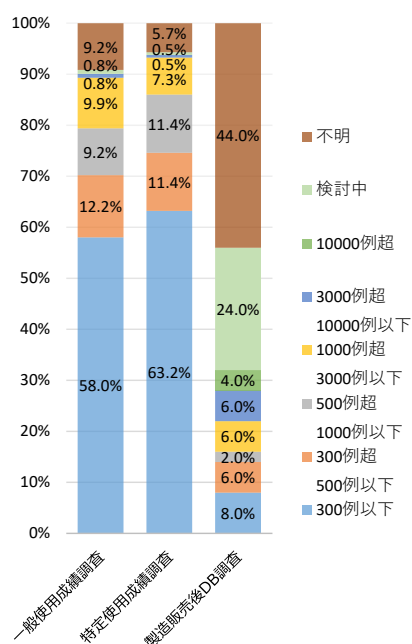
製造販売後調査における対照群設定の有無について、一般および特定使用成績調査では対照群を設定することは想定されないが、一方で、DB 調

表 8 症例数規模別調査数

| 症例数     | 一般使用成績調査 | 特定使用成績調査 | 製造販売後DB調査 | 総計  |
|---------|----------|----------|-----------|-----|
| 300例以下  | 76       | 122      | 4         | 202 |
| 300例超   | 16       | 22       | 3         | 41  |
| 500例以下  | 12       | 22       | 1         | 35  |
| 500例超   | 13       | 14       | 3         | 30  |
| 1000例以下 | 1        | 1        | 3         | 5   |
| 1000例超  | 0        | 0        | 2         | 2   |
| 3000例以下 | 1        | 1        | 12        | 14  |
| 3000例超  | 12       | 11       | 22        | 45  |
| 検討中     | 131      | 193      | 50        | 374 |
| 不明      |          |          |           |     |

出所：PMDA ホームページ掲載のRMPより医薬産業政策研究所にて作成

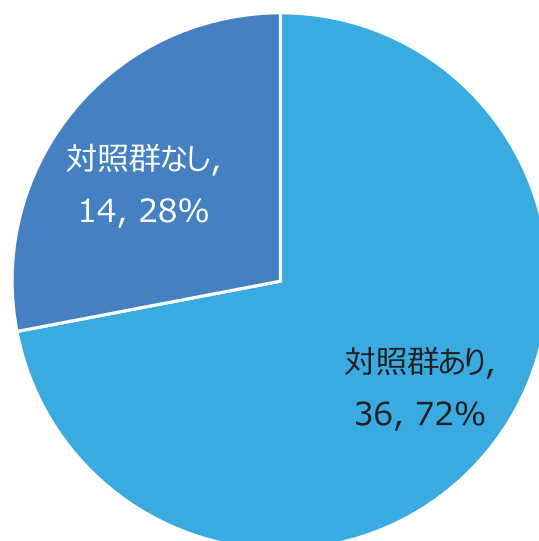
図 3 製造販売後調査別の症例規模割合



出所：PMDA ホームページ掲載の新医薬品承認品目一覧および RMP より医薬産業政策研究所にて作成

査では全50調査中36調査（72.0%）で対照群が設定されていた。（図 4）

図 4 DB 調査における対照群設定有無



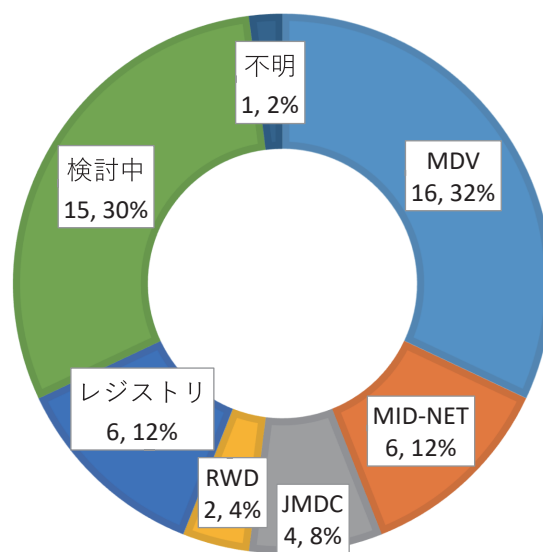
出所：PMDA ホームページ掲載のRMPより医薬産業政策研究所にて作成

### 3-1-3 DB 調査の内訳

DB 調査について、さらに状況を深掘すべく実際に利用しているデータベースの種類を調査し、図 5 にその割合を示した。

利用されているデータベースはメディカル・データ・ヴィジョン（以下、MDV）が最も多く、

図 5 利用データベースの種類



出所：PMDA ホームページ掲載のRMPより医薬産業政策研究所にて作成

Medical Information Database Network（以下、MID-NET）、JMDCが続き、この3種で約50%を占めていた。検討中、不明の調査も複数認められた。複数のレジストリも活用されており、合算するとMID-NETと同じ割合を占める。活用されているレジストリは具体的にTRUMP-GVHD、PIDJ2、CIRCLeであった。それぞれのレジストリ内容を以下に示す。

#### 〈TRUMP-GVHD〉

同種造血細胞移植後合併症である移植片対宿主病（graft-versus-host disease, GVHD）に関する詳細な臨床経過情報を収集するために設計されたelectric data capture system（以下、EDCシステム<sup>6)</sup>。

#### 〈PIDJ2〉

原発性免疫不全症・自己炎症性疾患・早期発症型炎症性腸疾患の遺伝子解析と患者レジストリ<sup>7)</sup>。

#### 〈CIRCLe〉

小児期発症の肝疾患を対象とした多施設前向きレジストリ研究<sup>8)</sup>。

また、DB調査を計画している製薬企業の内資／外資の割合および各企業の実施数を外資系企業・内資系企業の区分でそれぞれ表9および図6に示した。内資／外資の内訳としては、全調査374調査のうち外資228調査（61.0%）に対して内資146調査（39.0%）であったが、DB調査（全50調査）の実施割合は外資35調査（70.0%）、内資15調査（30.0%）と、内資に比べて外資で計画している数が多いといえる。各企業別のDB調査実施数をみると、1社で複数計画している企業が多く認められ、3調査以上を計画している企業は10社であった。

### 3-2 DB調査利活用による経済性評価

#### 3-2-1 製造販売後調査の流れと経済性評価関連項目

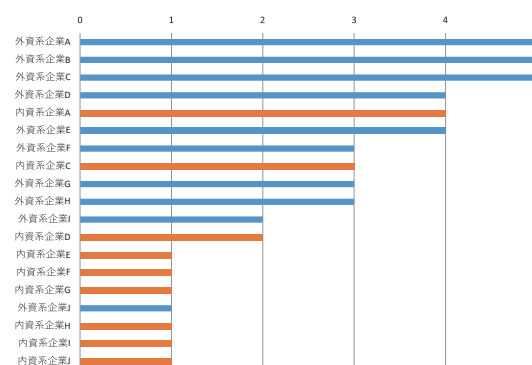
従来の使用成績調査の流れを図7に示した。従

表9 DB調査計画製薬企業の内資／外資の別

| 調査種別          | 外資  |       | 内資  |       | 総計<br>調査数 |
|---------------|-----|-------|-----|-------|-----------|
|               | 調査数 | 割合    | 調査数 | 割合    |           |
| 製造販売後<br>DB調査 | 35  | 70.0% | 15  | 30.0% | 50        |
| 全調査           | 228 | 61.0% | 146 | 39.0% | 374       |

出所：PMDAホームページ掲載のRMPより医薬産業政策研究所にて作成

図6 会社別DB調査数



出所：PMDAホームページ掲載のRMPより医薬産業政策研究所にて作成

来の使用成績調査は調査計画作成から始まり、主に施設選定、依頼契約、症例登録、調査票回収、データマネジメント、統計解析およびメディカルライティングといったプロセスで進められる。一方でDB調査は従来の使用成績調査の施設選定からデータマネジメントまでのプロセスがデータベースからのデータ抽出に置き換えられる。

従来の使用成績調査での調査計画作成プロセスは、これまでの使用成績調査の経験等を参考にし、計画立案できるため、作業負荷は軽度で短期間での対応が可能といえる。これに対してこれまでの経験の蓄積が少なく、製品単位でデザインやアウトカム設定の確からしさ、データが存在し得るかなどを検討することが必要となるDB調査は作業の難易度が高い。また、データベース選定やデータベース事業者との契約、計画立案打合せに加え、適切な計画策定においてPMDAとの相談を行う

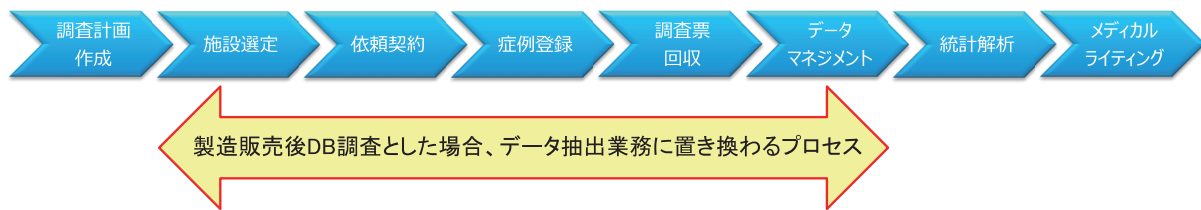
6) 一般社団法人 日本造血細胞移植データセンター、GVHD レジストリ（TRUMP-GVHD）、<https://www.jdchct.or.jp/gvhdr/>

7) 一般社団法人日本免疫不全・自己炎症学会、PIDJ 事業、<https://jsiad.org/pidj/>

8) CIRCLe、CIRCLe とは、<https://www.circle-registry.org/About-us-JP/CIRCLe>



図7 従来の使用成績調査の流れ



ことが主流となっているため、相応の準備期間が必要となる。一方で、従来の使用成績調査での調査計画作成プロセスは基本的に承認後速やかに完了させる必要があるが、DB調査では統計解析に用いるデータ抽出までに完了していればよく、調査計画作成に充てる時間は従来の使用成績調査よりも長く確保できる。

従来の使用成績調査では、調査を依頼する医療機関に対する契約やモニタリング業務など施設単位での対応が必要となり、全調査期間を通して継続的に作業負担、人員、工数がかかる。この業務は内製化される場合には製薬企業における各施設担当MRの工数を利用することとなる。近年ではこの業務を開発業務受託機関（以下、CRO）に外部委託する企業もあり、その場合には委託料が発生するため、外部コストを要する。近年の調査ではEDCシステムを利用した調査が主流となっており、この場合、システム初期設定並びに運用コストが発生する。また、医療機関に対しては調査実施のための報酬、経費等コストの支払いが必要になる。

医療機関においても、調査業務の受託に伴う人員確保や、工数の負担がかかる。特に担当医師においては、調査票作成業務に対する負担が発生する。

対するDB調査に関するコストは、主にデータ抽出にかかるデータベース利用料であり、医療機関での作業負担、EDCシステムや医療機関に対する報酬等のコストは発生しない。データベース事業者は統計解析、メディカルライティングを受託業務範囲としていない場合が多いことから、これら業務を外部委託する場合には、別途委託先の選定、契約等の対応を行う必要があるが、このプロセス

についての委託は従来の使用成績調査でも実施されている範囲と大きな違いはないと考えられる。

### 3-2-2 コストメリット試算

本項では、製造販売後調査における従来の使用成績調査とDB調査の経済性を比較する。評価にあたっては製造販売後調査のプロセスのうち、統計解析ならびにメディカルライティングに関わる工数、社内人件費および業務委託コストなどに大きな変動がないことを前提とし、これら以外のプロセスにおいて必要となるコストの差額をコストメリットと考えた。従来の使用成績調査をDB調査に置き換えることが可能な試験割合を掛け合わせることで、複数年におけるDB調査利活用の経済性評価として試算した。なお、本章では実際に金銭の授受が発生する費用項目に加え、医療機関における作業負担など、金銭支出を伴わないリソース消費として無視できない要素についても、可能な範囲で金銭換算による試算を行っている。

#### 【従来の使用成績調査にかかる費用】

①医療機関へ支払う調査費用、②医療機関スタッフ工数、③医療機関へのモニタリング費用および④EDCシステムセットアップ費用の試算を行った。ただし、これらの項目は調査・試算可能な特定の業務に限定していることに加え、用いた原単位は調査可能な範囲での平均値や代表的な指標等を援用した試算であることに留意が必要である。

#### ① 医療機関へ支払う調査費用

国立病院機構「受託研究費算定要領」<sup>9)</sup>を参考として、1調査票作成当たりの医療機関への報酬額（事務費、管理費を含む）を一般使用成績調査2.86

9) 国立病院機構、「受託研究費算定要領」2020年3月30日改訂版

万円、特定使用成績調査4.29万円と想定する。日本製薬工業協会 ファーマコビジランス部会（以下、PV 部会）によると、分冊ありの調査割合は約55%を占めると報告されており<sup>10)</sup>、55%の症例では2調査票の作成がなされると仮定し、300例、1,000例又は3,000例それぞれの規模に対する1試験の調査費用を以下のように試算した。

〈一般使用成績調査〉

$$2.86\text{万円} \times (300\text{例} + 300\text{例} \times 0.55)$$

$$= 1,329.9\text{万円}$$

$$2.86\text{万円} \times (1,000\text{例} + 1,000\text{例} \times 0.55)$$

$$= 4,433\text{万円}$$

$$2.86\text{万円} \times (3,000\text{例} + 3,000\text{例} \times 0.55)$$

$$= 1\text{億}3,299\text{万円}$$

〈特定使用成績調査〉

$$4.29\text{万円} \times (300\text{例} + 300\text{例} \times 0.55)$$

$$= 1,994.85\text{万円}$$

$$4.29\text{万円} \times (1,000\text{例} + 1,000\text{例} \times 0.55)$$

$$= 6,649.5\text{万円}$$

$$4.29\text{万円} \times (3,000\text{例} + 3,000\text{例} \times 0.55)$$

$$= 1\text{億}9,948.5\text{万円}$$

なお、複雑な作業が伴う調査では、さらに報酬額が高額となる。また、3報告目以降の追加調査票作成が必要な場合には、さらに上記単価分の追加コストが発生する。

## ② 医療機関スタッフ工数

医療機関スタッフの代表的な業務として、担当医師が調査票を作成するコストを試算した。PV部会によると、1調査票の記載事項は平均76項目と報告<sup>11)</sup>されており、1項目1分弱として約1時間で作成されると仮定した。医師の給与額は労働時間当たりの給与額が示されている令和6年賃金構造基本統計調査<sup>12)</sup>から平均時給（病院規模計100～999人、所定内給与額121万4,600円／所定内実労働時間数157時間）約7,700円を算出した。ただし、本給与額は手当や賞与に関する支給額は考慮してお

らず、また、時間外勤務を想定していない。

$$7,700\text{円} \times 1\text{時間} \times (300\text{例} + 300\text{例} \times 0.55)$$

$$= 358.05\text{万円}$$

$$7,700\text{円} \times 1\text{時間} \times (1,000\text{例} + 1,000\text{例} \times 0.55)$$

$$= 1,193.5\text{万円}$$

$$7,700\text{円} \times 1\text{時間} \times (3,000\text{例} + 3,000\text{例} \times 0.55)$$

$$= 3,580.5\text{万円}$$

## ③ 医療機関へのモニタリング費用

従来の使用成績調査では、医療機関に対する契約やモニタリング業務を内製で対応する場合、各施設担当MRの工数を充てて実施することが一般的であるが、内製業務の人件費に係る定量的な試算は困難であったことから、本試算ではこれら業務をCROに委託する場合を想定し、情報収集を行った。CRO業務委託費用は調査計画の複雑さ、調査規模、医療機関数、期間、委託業務内容等さまざまな要因によって見積もられるため、コスト幅が広く公開されている具体的な情報を得ることが難しかったため、専門家へのインタビューにより得た情報より、主にモニタリング費用並びにプロジェクトマネジメント費用として1億円程度（300例規模を想定）のコストがかかっているものと結論付けた。本コストは、施設訪問に際しての交通費は考慮しておらず、また、症例数規模等の増加によってさらに高額となる。

## ④ EDCシステムセットアップ費用

製造販売後調査データ収集システムとして国内PMS／EDCシステムトップシェアを標榜している富士通エフ・アイ・ピー「PostMaNet」の価格情報<sup>13)</sup>を参考に以下のように試算した。ただし、2014年の同社プレスリリース上の参考価格であり症例数は499症例以下の月額料金50万円を使用し、通常製品の再審査期間8年の利用を前提とした。なお、同社初期費用は個別見積りであったことより、臨床開発用EDCシステムの価格が公開されている他の3社費用を比較し、最も低価格であっ

10) 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 ファーマコビジランス部会、内部資料

11) 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 ファーマコビジランス部会、内部資料

12) 厚生労働省、令和6年「賃金構造基本統計調査」

13) 富士通エフ・アイ・ピー株式会社、プレスリリース「製造販売後調査データ収集システム「PostMaNet」の新バージョンを販売開始」（2014年6月30日）

た120万円を採用した。

初期費用 120万円  
+ 運用費用 50万円×12ヵ月×8年  
=4,920万円

【DB 調査にかかる費用】

PMDAとの相談費用（医薬品データベース／レジストリ信頼性調査相談および疫学調査計画相談）<sup>14)</sup> とデータベース利用料を調査した。

① PMDA との相談費用

| 相談区分                          | 手数料額     |
|-------------------------------|----------|
| 医薬品データベース／レジストリ信頼性調査相談（再審査申請） | 211.21万円 |
| 疫学調査計画相談                      | 300.79万円 |

② データベース利用料

DB調査に利用実績のあるデータベースのうち、利用料が公表されている MID-NET 利用料<sup>15)</sup> を参照した。

| 利用料              | 利用料額                                            |
|------------------|-------------------------------------------------|
| 基本料<br>(データ抽出あり) | 1 利活用につき 4,212.3万円 (定額)<br>*利活用終了後5年間のデータ保管料を含む |

【過去5年間の製造販売後調査に基づくコストメリット試算】

症例規模300例、調査期間は通常の再審査期間の8年間、PMDA相談2種各1回実施を前提として従来の使用成績調査費用、DB 調査費用およびコストメリットを以下のように試算した。

- ・従来の使用成績調査費用：計約1億7,000万円  
(医療機関へ支払う調査費用 1,728.87万円\*  
+ 医療機関スタッフ工数 358.05万円  
+ 医療機関へのモニタリング費用 1億円  
+ EDC システムセットアップ費用 4,920万円)  
\*：本稿の調査期間における一般使用成績調査と特定使用成績調査の割合（131：193≒2：

3) で以下のように試算

$1,329.9万 \times 2/5 + 1,994.85万 \times 3/5 = 1,728.87万円$

- ・DB 調査費用：計約4,700万円  
(PMDA 相談費用 211.21万 + 300.79万  
+ DB 利用料 4,212.3万円)  
・コストメリット：総計約1億2,300万円

2020～2024年度に計画立案が指示された調査数は374調査であった。2017年に厚生労働省のワーキンググループが製造販売後調査で想定される MID-NET の利活用数の試算を行っており、2015年度に承認された新医薬品の40.0%に DB 調査実施の可能性があるとして試算<sup>16)</sup> されている。この数値を参考に、すべての調査の DB 調査への置き換えは難しいことを踏まえ、約半数（約20%）の DB 調査への置き換えが実現すると仮定すると、過去5年間の使用成績調査を DB 調査に移行することによる経済性効果は以下のように試算できる。

374調査

- ×DB 調査移行率20%  
×1 試験コストメリット1億2,300万円  
≒92億円

4. まとめと考察

4-1 製造販売後調査の最近の動向

本稿で調査を実施した2020から2024年度の新医薬品承認品目数に対する初回RMP数の割合は37.0%であった。内訳は新有効成分含有医薬品が多くを占め、その他の製品で各年度数件認められた。

承認により新たに計画された調査の推移をみると、調査総計は2024年度に急な減少がみられた。全体の承認品目数、特に新有効成分においても、また、初回 RMP 策定の数字においても大きな変化は見られないことから、これらの各調査数の減少は、製造販売後調査の在り方の見直しにより「医薬品の製造販売後調査等の実施計画の策定に関する検討の進め方について」（以下、ディシジョンツ

14) 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構、承認審査関連業務 医薬品・医薬部外品の相談業務について、<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/consultations/0017.html>

15) 平成30年4月1日付け薬機発第0401004号「MID-NETの利活用の初期段階における基礎的検討の実施要綱について」の別添、<https://www.pmda.go.jp/files/000264717.pdf>

16) 平成29年6月28日付け厚生労働省「医療情報データベースの運営の経費等に関するワーキンググループ報告書」



リー通知)の一部改正通知<sup>17)</sup>が発出された影響によるものと推察できる。このような中で数値としては横ばいに見えるDB調査は割合としては増加傾向であり、各調査の選択の在り方も変化している可能性がある。

一方で、全例調査の数においては総調査数の減少によって調査数の低下は認められたものの、割合としては横ばいの状況であった。しかしながら、この内訳をみると、一般使用成績調査における全例調査割合は減少し、特定使用成績調査における全例調査割合が上昇しているともいえる。ディシジョンツリー通知の改正により、全例調査の在り方が大きく見直されており、全例調査は減少ないしは特定の範囲での実施に絞られていく可能性があり、今後の推移に注目したい。なお、DB調査においても全例調査を計画した調査があり、選択するデータベースや疾患(現時点では希少疾病での実施の可能性が高い)によってはDB調査における全例調査実施の可能性があるといえる。今後、各種公的データベースやレジストリ等の整備、連携が進むことにより、このような対応の可能性が拡大することが期待される。

新医薬品承認品目中で希少疾病用医薬品における製造販売後調査のうち7調査5.8%がDB調査であった。希少疾病を対象とする治験では小規模に留まりがちな部分を、データベースを活用し補完する可能性もあると考えられる。また、同種同効品での計画履歴があることで次のDB調査の計画を促進する可能性が高まるといえる。

PMDA審査分野ごとにみると、主に承認品目数の多い審査部門における調査数が多いことが言えるが、一方で調査の指示割合が比較的少ない分野も存在する。特に第5分野は37品目の承認があるにもかかわらず一般使用成績調査が2調査のみとなっている。第5分野は泌尿生殖器官・肛門用薬ならびに医療用配合剤の担当となっており、医療用配合剤の有効成分は一定の安全性が評価された既承認成分であることが多いことが背景にあると

考えられる。DB調査数をみると、実施割合の高低に分野ごとの違いが認められた。要因としてはPMDA担当分野ごとの受容度の違い、積極的なデータベース利活用を進める製薬企業の開発分野の傾向あるいは疾患ごとのDB調査の適用の向き不向きなどが考えられるが、その特定は難しく今後の動向を注視したい。

症例規模別の集計からは、一般および特定使用成績調査では300例以下の調査が最も多く60%程度であり、10,000例を超える調査は認められなかった。一方で、DB調査では幅広い症例数が設定されており、症例数に対する許容幅の広さが目立った。症例数規模と作業負荷やコスト増加が比例する傾向にある従来の使用成績調査に対して、DB調査は症例規模による作業、コストへの大きな影響がない点は、DB調査を選択する場合の理由のひとつとなる。しかしながら、症例数検討中や不明とされている調査が多く認められ、実際の割合を反映しているかどうかは不明である。DB調査では、承認審査時点ではDB調査実施について合意し、承認を得た後、具体的な調査内容についてはPMDA相談等を経て計画を最終化するため、評価時期に合わせたデータ抽出を行う時点までに症例数等を含めた計画の最終化が行われている状況が伺われる。

また、従来の使用成績調査では対照群の設定は想定されないが、一方でDB調査では対照群が設定された調査は72.0%と高い割合を示した。大規模で対照群を設定した調査を実現しやすい点はDB調査ならではのメリットであるといえる。

利用されているデータベースの種類はMDVやJMDCといった商用データベース、MID-NET、疾患別レジストリ3種などで非常に限定されていた。これらのデータベースは、データベース事業者が個々に診療情報を収集するものであり、それぞれに対象集団や格納情報、構造等に特徴や限界がある。当局が推進している各種公的データベース構築、医療情報の連結などの整備により、DB

17) 令和6年7月18日付け医薬品審発0718第1号、医薬安発0718第1号「「医薬品の製造販売後調査等の実施計画の策定に関する検討の進め方について」の一部改正について」



調査でも選択できるデータベースが増加し、利活用が進んでいくことを期待したい。

DB 調査を計画している製薬企業は内資に比較して外資で多く、日本国内での従来の製造販売後調査のノウハウを持つ内資と、外国の医療データ利活用のノウハウを持つ外資との選択の違いが表れているとも解釈することができる。また、DB 調査を計画している企業は1社で複数の計画をしている実態から、はじめてDB 調査を選択するところに高い壁があると推察された。

#### 4-2 DB 調査の経済的評価

本稿では医療情報利活用における経済的メリットを評価する一事例として、DB 調査の活用による経済的評価（コストメリット）を試算した結果、300例規模の調査における従来の使用成績調査とDB調査の試算可能な項目による比較において、1試験1億2,300万円のコストメリットがあると試算された。この数値から、従来の使用成績調査をDB 調査に移行することによる経済的効果を5年間で約92億円と算出した。

ただし、これらの試算には多くの制約があることに留意が必要である。ひとつには本稿で示すことができた試算項目は限定的であり、実際のコストは調査の種類・規模、内容の複雑性、期間、モニタリング方法、相談回数、使用するデータベースなど、さまざまな条件によって大きく変動する。また、特に多数の安全性検討事項（以下、SS）が設定されている製品においては、従来の1使用成績調査で確認できるSSを、必ずしも1DB 調査で捉えられるとは限らない。

一方、厚生労働省のワーキンググループやPV部会は従来の使用成績調査の中にDB 調査で代替可能な事例があることを報告しており、DB 調査が適用可能であるにも関わらず、十分にこのメリットを利用できていない製品が存在する可能性が示唆されている。なお、本稿では、厚生労働省ワーキンググループの報告を基に試算を行ったが、PV

部会の2024年度活動において、従来の使用成績調査のうちDB 調査の実施が可能であったと考えられる割合は23.3%（全てのSSをDB 調査でカバー可能な調査4.9%、一部のSSのみDB 調査で実施可能な調査18.4%）であることが報告<sup>18)</sup>されており、DB 調査への移行可能率については今後の検討課題である。しかしながら、これらの試算割合には全例調査や希少疾病用医薬品の調査は含んでいない。本稿での調査結果では、特に希少疾病用医薬品でのDB 調査の実績があることや、昨年度実施された製造販売後調査の在り方の見直しによるディシジョンツリー通知改正により、全例調査の対象が絞られていく可能性、各種データベースの整備やバリデーションの促進により、利活用可能なデータベースやレジストリの数が増加し、評価可能となるSSの幅が広がると考えられることなどから、今後DB 調査の利活用可能率は上がっていくものと推測される。

従来の使用成績調査は通常症例数300例規模の調査が主流であったが、DB 調査では対照群を設定できることや、数千例規模での実施も可能であるため、選択するべき状況がそもそも異なる可能性もある。

これらを踏まえ、また、ディシジョンツリー通知に基づく追加の安全性監視活動の要否および製造販売後調査の選択は、それぞれの製品の特性、目的等に合わせ、最適なものを設定する必要がある。従来の使用成績調査のすべてをDB 調査に置き換えることができるものではないと考えられる。これらの特徴や利点を理解したうえで、DB 調査のコストメリットを最大限に生かす選択をしていくことが重要と考えられた。

#### 5. おわりに

わが国では、医療DXが進行する中、その効果や試算手順については、これまで十分な調査研究が行われておらず、個々の事例などを示すに留まっている。本稿では、近年日本において推進され

18) 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 ファーマコビジランス部会 継続課題対応チーム6、令和5年度成果報告会「薬剤疫学に基づくDB 調査・比較調査に関する課題対応」（2024年3月）

ている医療 DX 促進の要となる医療情報基盤構築による製薬企業の医療情報利活用における経済的メリットに注目し、代表的な事例となる製造販売後調査における DB 調査の活用状況について検討を行った。

医薬品の DB 調査は2018年以降、当局が認める製造販売後調査の一形態となったが、現時点においてもその活用が十分に進んでいるとは言い難い状況であった。背景には、全例調査が依然として一定の割合を占めており、現在利用可能なデータベースで対応できるものが非常に限られていること、規制対応で求められるレベルの信頼性確保や継続的、長期的なフォローが可能で利活用の同意取得などの整備がなされたデータベースが不十分であること、利活用に必要なバリデートされたデータベースの充足性に課題があること、そして製薬企業における利活用が一定の企業の範囲に留まり、利活用能力やノウハウに偏りがあることなど、複数の課題が存在している。

一方で、DB 調査の利活用によって、一定の条件下ではあるが、製造販売後調査に対する負担軽減が図られる、つまり経済的メリットが認められる試算結果を得ることができた。このことは、今後適切な状況を捉え、DB 調査を選択していくことの意味付けを与えるものである。

本報告は製造販売後調査に焦点を当てた報告としたが、医療 DX 推進による種々の活動における経済的影響を整理し、経済性評価を行うことは、医療情報利活用の意義を考え、理解、把握し、各種ステークホルダーの意識を高め、共通認識を持つこと、ひいてはわが国の医療 DX を促進することに貢献する。そして、推進に際しての課題等への積極的な取組みを促進するひとつのきっかけを作るものと考えられる。今後の医療情報の活用が実効性のあるものとなるよう、製薬企業における医療情報の積極的な活用と、規制当局、あるいは関係する研究機関等による継続的な経済性評価、効果検証がなされていくことを期待したい。

# 公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告①

## －利活用の可能性と課題－

医薬産業政策研究所 主任研究員 渡邊奈都子  
医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子  
医薬産業政策研究所 主任研究員 枝廣 誠

### 要約

- 現在、厚生労働大臣等が保有する医療・介護に関する公的データベースの仮名化情報の利用・提供や、他の仮名化情報、次世代医療基盤法に基づく仮名加工医療情報との連結解析が制度的に検討されている。
- こうした背景を踏まえ、製薬企業における公的データベース等の利活用の実態や将来的な活用に向けた期待・課題を明らかにすることを目的として、日本製薬工業協会（以下、製薬協）の医薬品評価委員会所属の加盟74社を対象にウェブアンケート調査を実施した。
- 公的データベース等の活用実態については、全回答の約4割が、活用または検討した経験があると回答し、一定の取組みが確認された。
- 今後の活用意向については、全回答の約7割が前向きであった。
- 拡充が期待される情報としては、患者背景、カルテ由来、検査関連のデータが挙げられ、特に臨床検査値、画像データ、医師所見、任意接種の記録に対する要望が寄せられた。
- 今後の利活用にあたっては、制度・運用面の課題に加え、製薬企業側の理解や体制の整備も障壁となっており、実務に即した制度設計と企業側の体制強化の両面が求められる。

### 1. はじめに

近年、医療・介護分野におけるデジタル化の進展に伴い、公的データベースを含む多様な医療情報の二次利用に対する期待が急速に高まっている。こうした期待を背景に、官民双方で医療情報の利活用を促進する取組みが活発化しており、製薬協においても、環境整備に向けた提言活動を継続的に行ってきた。

これらの官民の取組みの方向性は、令和6年6月21日に閣議決定された「経済財政運営と改革の基本方針（骨太方針2024）」<sup>1)</sup>にも通じるものである。同方針では、全国医療情報プラットフォームで共有される情報を新たな医療技術の開発や創薬等に活用する環境の整備、および医療・介護分野の公的データベースの利活用促進と、研究者・企業等が質の高いデータを安全かつ効率的に活用できる基盤の構築が明記された。

さらに、令和7年2月26日に閣議決定された「医療法等の一部を改正する法律案」<sup>2)</sup>は、厚生労働大臣等が保有する公的データベースの仮名化情報の利用・提供、他の仮名化情報や次世代医療基盤法に基づく仮名加工医療情報との連結解析を可能とするものであり、現在国会で審議中である。この法案が成立すれば、既存制度下では困難であった疾患横断的な解析やアウトカム評価、ライフコースに基づく疾病負担分析等の高度な解析が今まで

1) 内閣府、経済財政運営と改革の基本方針2024、<https://www5.cao.go.jp/keizai-shimon/kaigi/cabinet/honebuto/2024/decision0621.html>

2) 厚生労働省、医療法等の一部を改正する法律案の閣議決定について（報告）、<https://www.mhlw.go.jp/content/10801000/001421848.pdf>

以上に可能となり、わが国におけるリアルワールドデータ（RWD）活用は新たな段階へ進展することが期待される。

このような背景のもと、本稿では、公的データベースの仮名化情報としての活用が進展する現状を踏まえ、製薬企業における利活用の実態や将来的な活用に向けた期待、課題を明らかにすることを目的とする。具体的には、公的データベースの利用経験や今後の活用意向、制度・運用面における障壁、さらには利活用により期待される効果等を網羅的に整理し、今後の制度設計や利活用を支える運用基盤のあり方について考察を行う。

あわせて、企業における認知を高め、利活用の意欲喚起を促すことを通じて、医療情報基盤を活用したイノベーションの推進に向けた一助となることを期待する。

## 2. 調査方法

### 2-1. 調査の概要

本稿で取り上げる「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」（以下、本調査）は、製薬企業における公的データベースの利活用の実態や今後の活用意向、課題を把握し、利活用促進に資する基礎資料とすることを目的として、ウェブベースで実施したものである。調査には Microsoft Forms を使用し、2025年3月14日から4月14日までの期間で実施した。

調査対象は、製薬協の医薬品評価委員会に所属する加盟74社であり、原則として各社の研究、臨床開発、市販後安全性、メディカル・アフェアーズ、医療経済・アウトカムズリサーチの5部門を対象に回答を依頼した。

実際の回答にあたっては、各部門において公的データベースの利活用状況を把握している担当者による社内での調整を経て、原則1部門1回答の対応とした。また、データサイエンス部門など業務横断的な部署に関連機能が集約されている企業

においては、業務単位での回答を可能とし、実態に即した情報を収集するよう努めた。

調査は、回答者および企業名が特定されないよう匿名形式で実施し、個別の回答内容が特定の企業に紐づかないよう配慮した上で集計・分析を行った。設問は、定量的な設問と自由記述形式の設問を併用し、両者を組み合わせて分析を行っている。特に自由記述は、定量的な選択肢では把握しきれない具体的な課題や要望を補完する目的で設けたものであり、分析に際しては共通する論点や視点ごとに整理・分類した。

製薬協は、研究開発志向型の製薬企業が加盟する業界団体であり<sup>3)</sup>、医薬品評価委員会は医薬品の研究、開発、市販後安全対策・適正使用、メディカル・アフェアーズ活動に関する技術的・制度的課題の検討および政策提言を行っている<sup>4)</sup>。本調査は、医薬産業政策研究所が、同委員会の協力を得て実施したものであり、収集された知見は、今後の制度設計や実務環境の改善に向けたエビデンスとして活用することを意図している。

### 2-2. 調査の留意点と特徴

本調査は、製薬協医薬品評価委員会に所属する加盟企業を対象に、原則として1社あたり最大5部門への回答を依頼して実施したものである。このため、製薬業界全体の傾向や各企業の多様な実態を統計的に反映しているとは限らないことに留意が必要である。

一方で、実務を担う部門の視点に立脚した調査である点に特徴があり、現場に根差した課題認識や具体的なニーズを把握することを重視した設計となっている。

また、調査では公的データベースと医療等情報の活用拡大により想定される将来的なユースケースに関する自由記述も併せて収集しており、その分析結果は次報の「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告②—格納情報の整理と

3) 日本製薬工業協会、製薬協の概要「製薬協とは」、[https://www.jpma.or.jp/about/about\\_jpma/association\\_information.html](https://www.jpma.or.jp/about/about_jpma/association_information.html)（参照：2025/05/12）

4) 日本製薬工業協会、組織「組織図と各委員会の概要」、<https://www.jpma.or.jp/about/org/committee/index.html>（参照：2025/05/12）



ユースケース」<sup>5)</sup>にて別途報告している。

2-3. 調査対象としたデータベース

本調査では、厚生労働大臣等が保有する医療・介護に関する各種公的データベースおよび、次世代医療基盤法に基づく認定作成事業者が保有する認定データベースを対象とした（NDB、介護DB、DPCDB、予防接種DB、障害福祉DB、全国がん登録DB、難病DB、小慢DB、iDB、電子カルテ情報DB、自治体検診DB、次世代DB：正式名称は表1を参照）。以下では、これらを総称して「公的データベース等」と記載する。現在、これらのデータベースについては、医療法等の法改正により仮名化情報としての連結解析が可能となる方向

で制度設計が検討されており、将来的には製薬企業による研究・開発・市販後安全対策・メディカル・アフケア等の非営業目的での活用が制度上認められる見通しである。

また、医療等情報の二次利用については、医薬産業政策研究所でもポジションペーパー<sup>7)</sup>を通じて提案してきたように、EUのEHDS（European Health Data Space）法などの海外動向も参考にしつつ、仮名化情報の提供体制の整備、申請手続きの一元化、クラウドを基盤としたリモート解析環境の構築が政府により検討されており、企業による利活用の加速が期待されている<sup>8)</sup>。

なお、各データベースの概要については、次報<sup>5)</sup>にて詳述しているため、そちらを参照されたい。

表1 調査対象とした公的データベースおよび認定データベースの一覧

| 公的データベース                        | 概要                                                         |
|---------------------------------|------------------------------------------------------------|
| 匿名医療保険等関連情報データベース（NDB）          | 高齢者医療確保法に基づく匿名医療保険等関連情報データベース。<br>レセプトや特定健診情報などを収集。        |
| 匿名介護保険等関連情報データベース（介護DB）         | 介護保険法に基づき、介護給付費明細書や介護認定データを収集。                             |
| 匿名診療等関連情報データベース（DPCDB）          | 健康保険法に基づき、DPC制度に基づく診療情報や診療報酬データを格納。                        |
| 予防接種等関連情報データベース（予防接種DB）         | 予防接種法に基づき、接種記録や関連情報を管理。                                    |
| 障害福祉サービスデータベース（障害福祉DB）          | 障害者総合支援法および児童福祉法に基づき、障害福祉サービスの提供実態を収集。                     |
| 全国がん登録データベース（全国がん登録DB）          | がん登録等の推進に関する法律に基づき、全国のがん患者データを蓄積。                          |
| 指定難病患者データベース（難病DB）              | 難病法に基づき、指定難病患者の診療情報を管理。                                    |
| 小児慢性特定疾病児童等データベース（小慢DB）         | 児童福祉法に基づき、小児慢性特定疾病の患者情報を記録。                                |
| 匿名感染症関連情報データベース（iDB）            | 感染症予防法に基づき、感染症の発生状況や患者情報を収集。                               |
| 電子カルテ情報共有サービスのデータベース（電子カルテ情報DB） | 医療機関間の情報共有のために設計された電子カルテ情報の管理データベース。                       |
| 自治体検診情報データベース（自治体検診DB）          | 自治体が実施する検診の結果や関連情報を集約・管理。                                  |
| 認定データベース                        | 概要                                                         |
| 次世代医療基盤法の認定事業者のデータベース（次世代DB）    | 医療分野の研究開発促進のため、匿名加工医療情報および仮名加工医療情報を取り扱う認定作成事業者が管理するデータベース。 |

出所：内閣府、「規制改革推進に関する中間答申」<sup>6)</sup>を基に医薬産業政策研究所にて作成

5) 医薬産業政策研究所、「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告②－格納情報の整理とユースケース－」、政策研ニュース No.75（2025年7月）  
6) 内閣府、規制改革推進に関する中間答申 令和7年5月28日、<https://www8.cao.go.jp/kisei-kaikaku/kisei/publication/opinion/250528.pdf>  
7) 医薬産業政策研究所、「健康医療情報の効果的な利用に向けた情報の連携」、ポジションペーパー・シリーズ No.4（2024年11月）  
8) 厚生労働省、医療等情報の二次利用に係る現状と今後の対応方針について、<https://www.mhlw.go.jp/content/10801000/001340998.pdf>

表2 企業属性および部門別の回答件数と構成比

|     |                 | 内資系企業 |        | 外資系企業 |        | 計   |        |
|-----|-----------------|-------|--------|-------|--------|-----|--------|
|     |                 | 件数    | 構成比    | 件数    | 構成比    | 件数  | 構成比    |
| 全体  |                 | 101   | 72.7%  | 38    | 27.3%  | 139 | 100.0% |
| 部門別 | 研究              | 14    | 13.9%  | 2     | 5.3%   | 16  | 11.5%  |
|     | 臨床開発            | 24    | 23.8%  | 12    | 31.6%  | 36  | 25.9%  |
|     | 市販後安全性          | 34    | 33.7%  | 10    | 26.3%  | 44  | 31.7%  |
|     | メディカル・アフェアーズ    | 25    | 24.8%  | 10    | 26.3%  | 35  | 25.2%  |
|     | 医療経済・アウトカムズリサーチ | 4     | 4.0%   | 4     | 10.5%  | 8   | 5.8%   |
|     | 合計              | 101   | 100.0% | 38    | 100.0% | 139 | 100.0% |

注：「内資系企業」は日本国内に本社を有する企業、「外資系企業」は海外に本社を有する企業の日本法人として区分している。  
出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

### 3. 回答者の属性

本調査は、製薬協医薬品評価委員会に加盟する企業を対象に、各社から最大5部門（研究、臨床開発、市販後安全性、メディカル・アフェアーズ、医療経済・アウトカムズリサーチ）にわたる回答を依頼し、計139件の有効回答を得た（企業単位ではなく延べ部門件数として集計<sup>9)</sup>）（表2）。

内訳として、内資系企業からは101件（72.7%）、外資系企業からは38件（27.3%）の回答が寄せられた。また、回答者の所属部門として最も多かったのは市販後安全性（44件、31.7%）であり、次いで臨床開発（36件、25.9%）、メディカル・アフェアーズ（35件、25.2%）、研究（16件、11.5%）、医療経済・アウトカムズリサーチ（8件、5.8%）と続いた。

### 4. 結果

#### 4-1. 公的データベース等の利用経験と検討状況

今回の調査では、まず「現在、または過去に公的データベース等を使用した研究・分析を行ったことがあるか」という設問を通じて、公的データベース等の活用経験の有無について確認した。その結果、全体の回答139件中、「現在または過去に実施したことがある（自社主導・共同研究を含む）」が19件（13.7%）、「実施したことはないが、検討

したことがある」が40件（28.8%）であり、合わせて59件（42.4%）が何らかの形で公的データベース等の活用を検討・経験していると回答した。企業の本社所在地による違いに着目すると、外資系企業においては活用経験・検討割合が55.3%と、内資系企業の37.6%より高い傾向が示された（図1）。また、部門別にみると、メディカル・アフェアーズ23件（65.7%）および医療経済・アウトカムズリサーチ5件（62.5%）において、活用経験・検討割合が比較的高かった。

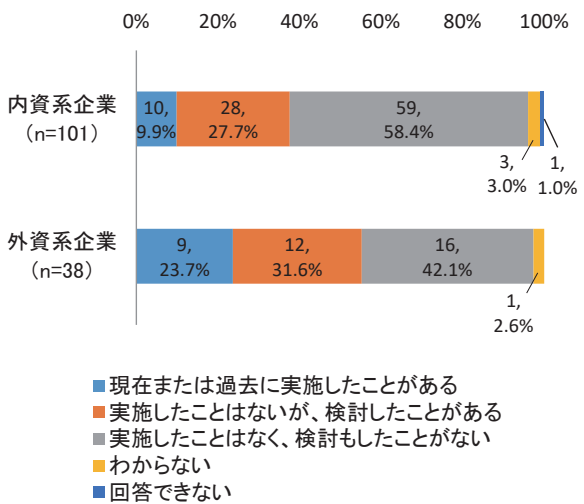
具体的に活用した、あるいは活用を検討したことのあるデータベースとしては、NDBが最も多く47件（79.7%）であった。次いで、次世代DB（次世代医療基盤法の認定事業者のデータベース）が25件（42.4%）、DPCDBが14件（23.7%）、難病DBが11件（18.6%）、全国がん登録DBが10件（16.9%）と続いた（図2）。

なお、これらは「公的データベース等の活用について検討・経験あり」と回答した59件を母数として集計した割合である。

また、公的データベース等を使用した研究・分析において直面した課題に関する自由記述回答を整理した結果、共通して指摘された論点が複数明らかとなった（表3）。具体的には、「制度・運用面の課題」として、利用時の申請・審査手続きの

9) 複数部門に回答を依頼したため、実際の回答企業数は特定していないが、内資・外資ごとの部門別の最大回答数から少なくとも46社以上が回答したと推察される。

図1 公的データベース等の活用経験・検討状況

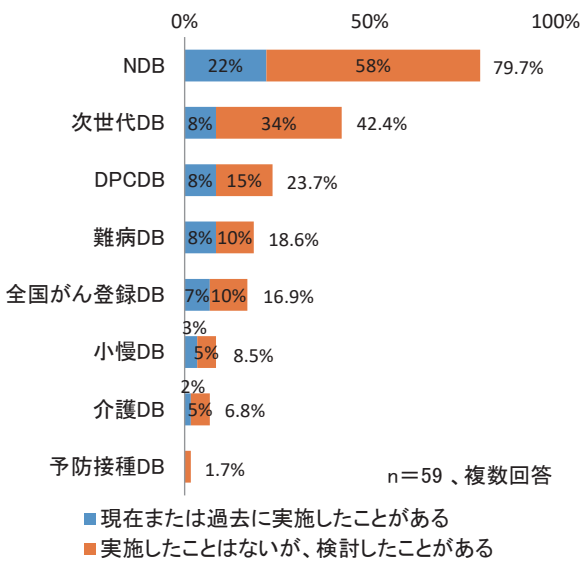


注1：「内資系企業」は日本国内に本社を有する企業、「外資系企業」は海外に本社を有する企業の日本法人として区分している。

注2：「現在または過去に実施したことがある」の選択肢には、自社が主導した研究に加え、他機関との共同研究として実施した事例も含まれる。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

図2 活用経験・検討状況のある公的データベース等の種類別割合



注：「現在または過去に実施したことがある」の選択肢には、自社が主導した研究に加え、他機関との共同研究として実施した事例も含まれる。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

表3 公的データベース等の活用において直面した課題の整理

| 大項目       | 中項目               | 小項目                                                                                                               |
|-----------|-------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 制度・運用面の課題 | 申請・審査手続きの煩雑さ      | ・申請・承認プロセスが複雑で、社内外の調整に時間を要する<br>・企業単独では対応困難で、継続的なデータ活用に支障<br>・商用データと比較して制度面での柔軟性に乏しい                              |
|           | データ提供の遅延・不確実性     | ・提供までに1年以上を要することがあり、研究計画や予算管理と整合しない<br>・提供時期の見通しが立たず、投資判断やリソース配分が困難<br>・商用データと比較してスピード感に欠け、適時性の高い研究に不向き           |
|           | 利活用コストの負担         | ・総コストの予測が困難で、見積もりに課題がある<br>・解析に外部支援や専門リソースが必要となり、コストが高額になりやすい<br>・費用対効果の観点から商用DBを選択せざるを得ない状況                      |
|           | セキュリティ・解析環境に関する制約 | ・セキュリティ要件の厳格さにより、利用環境が制限される<br>・データ抽出・公表に関する制約が厳しく、柔軟な解析が困難<br>・解析環境の整備や手順作成に時間・リソースを要する                          |
| データ面の課題   | データの信頼性に関する懸念     | ・GPSP/GCP基準への適合性に対する懸念<br>・必要な項目や精度を満たさず、申請資料としての活用が難しい<br>・承認申請・再審査等に活用できるかの判断が難しい                               |
|           | データ構造・内容に起因する制約   | ・コード体系の複雑さや保険病名などにより、疾患名や診断情報の特定が困難<br>・アウトカム情報や死亡データの欠如・非構造化<br>・データベース単体では情報の欠如により、アウトカム評価が制限される                |
| 製薬企業側の課題  | 社内体制・人材の不足        | ・データベースに精通した人材が社内になく、専門性を補う体制が構築されていない<br>・分析結果の妥当性や信頼性を評価・保証する知見が十分に蓄積されていない<br>・外部に依存する体制となり、社内に知識やノウハウが蓄積されにくい |
|           | 公的データベース等への理解の不足  | ・データ提供時期や構造に関する仕様情報が乏しく、実務上の準備やリソース配分が困難<br>・適切なデータベースの選定に必要な情報への理解が不十分<br>・制度趣旨や公益性に関する理解が不十分                    |

注：本表は、公的データベース等の使用経験に関する自由記述回答をもとに、主な課題を大項目・中項目・小項目の3階層で分類・整理したものである。内容は複数の回答に共通した論点を中心に再構成している。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

煩雑さ、データ提供までの期間の長さや不確実性、費用の見積りの困難さやコスト負担、セキュリティ要件や解析環境の制約などが挙げられた。

「データ面の課題」では、精度や活用可否の判断が難しいといったデータの信頼性に関する懸念、コード体系の複雑さや構造上の制限、アウトカム情報の欠如といった点が指摘された。アウトカム情報については、将来的に他のデータベースとの連結が実現すれば一定の補完が期待されるものの、現時点では連結されておらず、単独利用では依然として制約となっている。

さらに、「製薬企業側の課題」として、社内体制や人材の不足に加え、制度やデータベースの構造、運用ルールに対する理解の不十分さが利活用を妨げる要因となっていることも明らかとなった。

これらに加えて、個別のデータベースの課題としては、次世代DBについて、対象となる症例数の少なさに対する懸念が多く挙げられていたことから、他のデータベースとの比較においても実務上の課題として認識されている。

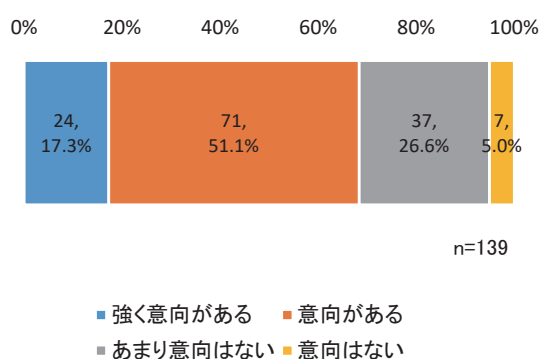
#### 4-2. 公的データベース等の活用意向と展望

今後の研究・分析活動における公的データベース等の活用意向については、全回答の68.3%が前向きな意向（「強く意向がある」「意向がある」）を示し、特に「強く意向がある」との回答は17.3%に上った。一方で「あまり意向はない」「意向はない」とした回答も一定数認められ、全回答の31.7%を占めた（図3）。

また、過去の活用経験と将来的な活用意向には明確な傾向がみられた。「現在または過去に実施したことがある」と回答した部門では、78.9%が将来的な活用意向について、「強く意向がある」としており、活用経験が意向の形成に影響を及ぼしている可能性が示唆される。一方、「実施したことはなく、検討もしたことがない」部門では「強く意向がある」とした回答は1.3%にとどまっていた（図4）。

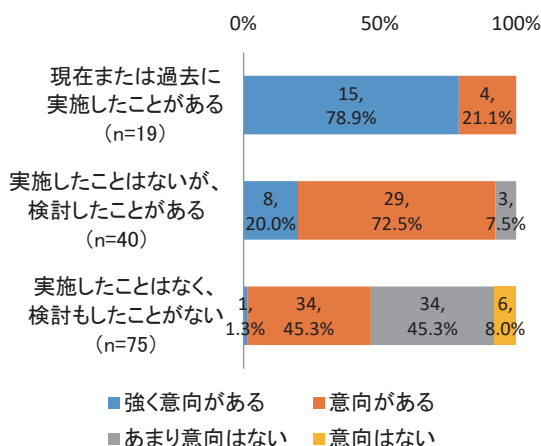
データベース別の活用意向をみると、NDBに対する活用意向が最も高く、全回答の94.7%が「積極的に活用を検討したい」または「活用を検討し

図3 今後の公的データベース等の活用意向



出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

図4 活用経験と今後の活用意向



注：本図は、公的データベース等の活用経験の有無別に、今後の活用意向を構成比で示したものである。

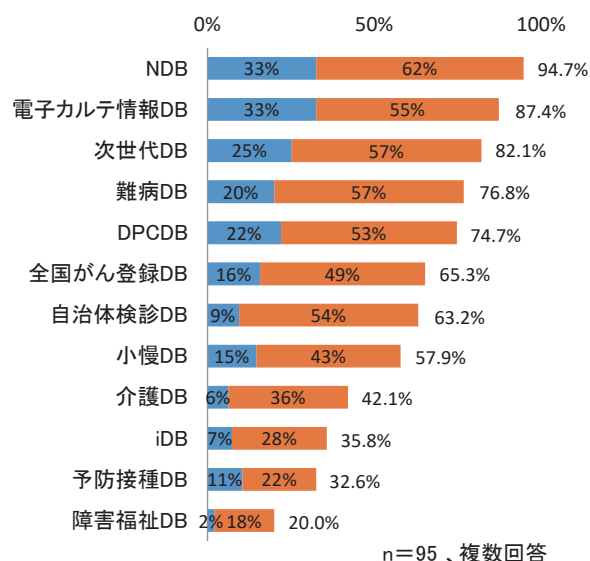
出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

たい」と回答した。次いで、電子カルテ情報DB（87.4%）、次世代DB（82.1%）、難病DB（76.8%）、DPCDB（74.7%）と続き、いずれも高い関心が寄せられている（図5）。なお、図5の結果は、今後の研究・分析活動において「強く意向がある」または「意向がある」と回答した95件を母数とし、それぞれのデータベースについて「積極的に活用を検討したい」または「活用を検討したい」と回答した割合を示している。

また、「公的データベース等の活用により、これまで実施できなかった研究・分析が可能になるか」との設問に対しては、全回答の82.7%が「はい」と回答した（図6）。この傾向は部門にかかわらず一貫しており、業界全体の高い期待が示された



図5 活用意向がある回答者における各公的データベース等の活用検討割合



■ 積極的に活用を検討したい ■ 活用を検討したい

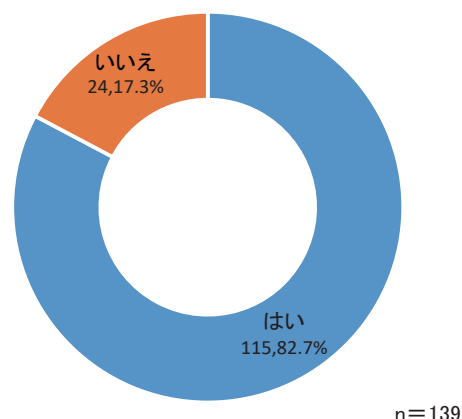
注：本図は、今後の研究・分析活動における公的データベース等の活用について、「強く意向がある」または「意向がある」と回答した95件を対象に、それぞれのデータベースに対して「積極的に活用を検討したい」または「活用を検討したい」と回答した割合を集計したものである。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

(図7)。

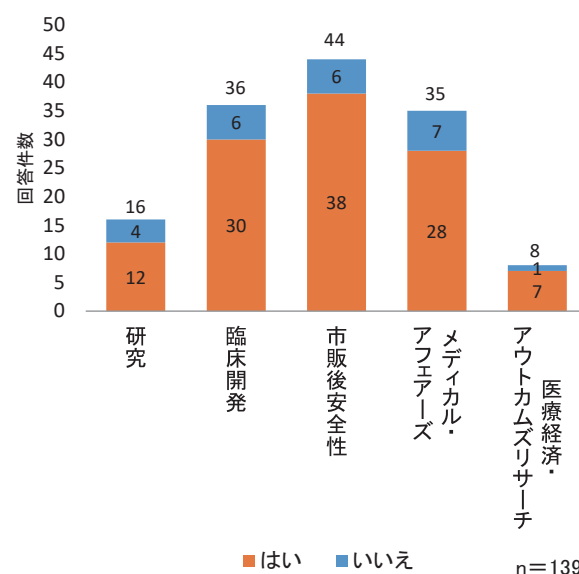
「これまで実施できなかった研究・分析が可能になる」と回答した理由としては、自由記述回答において、特に「網羅性・悉皆性」や「患者単位での追跡性」、および「複数のデータソースの統合的活用」に対する期待が多く寄せられた。全国規模で収集されるレセプトや臨床情報等の活用により、小児や希少疾患など対象集団が限られる領域でも、十分な症例数に基づく解析が可能になるとの见解が示されていた。また、死亡日などのアウトカム指標を含むデータ構造により、長期的な転帰評価やサバイバル解析といった従来困難であった分析が実現できるとの指摘も複数みられた。さらに、NDB、次世代DB、全国がん登録DB、難病DB、予防接種DBなど、各種データベースの情報を連結し、診断から治療・予後に至るまでの患者のライフコース全体を通じた一貫したデータとして統合的に活用することにより、疾患進展メカニズムの解明、治療介入効果の精緻な評価、リ

図6 公的データベース等の活用による研究・分析の可能性



出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

図7 公的データベース等の活用による研究・分析の可能性 (部門別)



出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

スク評価の高度化が可能になることへの期待も高かった。

加えて、「データ項目の多様化と構造化の進展」も新たな研究可能性を広げる要因として挙げられた。予防接種歴、介護情報、自治体検診情報など、商用データベースでは取得困難な変数が公的データベース等に含まれることで、医薬品の有効性・安全性評価、副反応のシグナル検出、患者層別化

といった高度な分析が可能になるとの声があった。特に、予防接種 DB については、定期接種情報を含む網羅的な接種歴の把握が可能となることに加え、NDB や電子カルテ DB など他のデータベースとの連結により、接種の有無と疾患発症や重症化、さらには長期的な健康アウトカムとの関連を分析することができる点が期待されていた。また、こうした項目の整備が進むことで、実臨床に即した精度の高いアウトカム評価や、個別化医療への応用も視野に入るとの見解があった。

さらに、公的データベースの「全国レベルの大規模なデータサイズ」により、希少イベントの解析や対照群の設定など、統計的信頼性を高めるための分析が可能となり、観察研究の質が大幅に向上するとの意見も寄せられた。これにより、臨床試験では得られない、実臨床下でのリアルワールドエビデンスの創出が可能になることが期待されていた。

また、公的データベース等は、「行政政策に資する実証研究の基盤」としての役割も期待されていた。たとえば、予防接種率の改善施策、医療・介護費用の構造分析、疾病による社会的・経済的負担の推計などに活用されることで、エビデンスに基づく社会保障政策の立案に資することが可能になるとの見解も複数見られた。

なお、近年の「法制度整備や情報連携プラットフォームの構築の進展」により、データベースへのアクセス環境や申請手続きの簡素化が進み、従来は企業にとってアクセスが困難であったが、今後はより利用しやすい環境となることも、利活用促進の後押しになると期待されていた。

一方で、「これまで実施できなかった研究・分析が可能になるか」という問いに対して「いいえ」と回答した理由としては、「社内体制の未整備や対象疾患に関する情報の不足、データアクセスの煩雑さ、費用面での懸念」に加え、「公的データベース等の有用性を十分に実感できていない」とする意見もみられた。これらの点は、今後の利活用促進に向けた課題として留意する必要がある。

#### 4-3. 不足している情報・データ項目と活用ニーズ

公的データベース等において現在不足していると認識されている情報・データ項目と、それらの拡充が期待される具体的な活用目的について自由記述形式で意見を収集した結果、指摘された情報不足は多岐にわたり、研究・開発・薬事・政策など多様な局面において高度な利活用への期待が広がっていることが明らかとなった。指摘された主な不足項目とその活用目的について、分類結果を表4に示す。

まず、患者背景に関する情報については、年齢、体重、居住地、社会経済状況、Personal Health Record (PHR) に代表される日常生活データ、妊娠・出産関連情報など、医療情報と組み合わせて患者を多面的に把握するための基礎データが不十分であるとの指摘が多かった。これらの情報は、疾患リスク要因の特定や医薬品の有効性・安全性評価における交絡因子調整、公平性の観点を含む政策評価において不可欠とされている。

次に、カルテ由来の情報については、医師コメントや臨床所見、治療中断理由、治療効果の記述、画像所見など、医師による臨床判断や患者状態を質的に捉えるための情報の構造化と標準化が求められていた。これらが整備されることで、薬効評価や安全性検討、薬事承認申請におけるエビデンス活用の可能性が大きく広がると期待されている。

検査情報についても、バイタルサイン、臨床検査値、画像・病理データ、バイオマーカー、遺伝子検査結果などの拡充が求められた。これにより、疾患の診断・予後予測、副作用の把握、治療モニタリング、アウトカム指標の補完などが可能となる。

なお、自由記述の中でも特に記載が多く見られたのは、臨床検査値、画像データ、カルテ由来の情報（医師コメント、臨床所見、診療録など）、および任意接種のワクチン接種記録であり、これらの整備・利活用に向けた要望が多数寄せられた。

表4 不足していると認識される情報・データ項目とその活用目的の整理

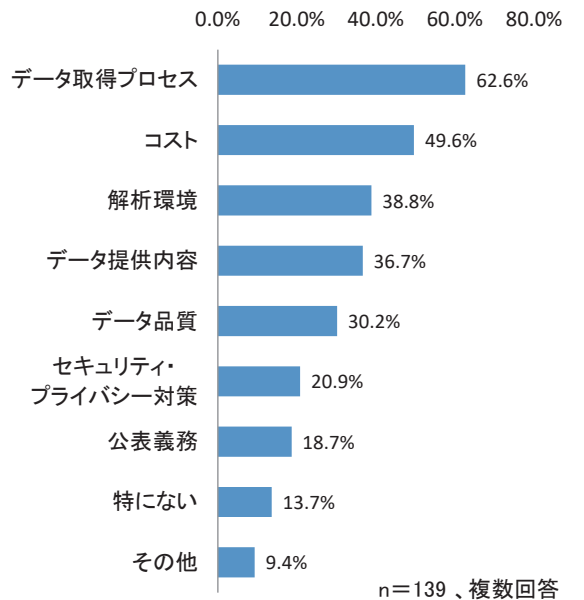
| 大項目    | 中項目                                                                                                                                                                                  | 活用目的                                                                                                                                                                                                              |
|--------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 患者背景情報 | ・月齢・日齢などのより詳細な年齢情報<br>・体重・身長などの身体的測値<br>・居住地情報（都道府県・市区町村レベル）<br>・人種・民族<br>・社会経済的背景状況（学歴、世帯年収など）<br>・日常生活データ（PHR、食事内容、筋肉量など）<br>・妊娠・出産に関する情報（母子手帳の記載事項など）<br>・乳幼児・小児健診、学校健診、定期健康診断データ | ✓患者属性による比較・傾向分析<br>✓有効性・安全性評価における交絡因子の調整やリスク評価<br>✓海外データとの比較や国際的な差異の検証<br>✓社会経済的背景を考慮した健康格差・政策研究<br>✓ライフコースに基づく健康・発育の縦断的研究<br>✓妊婦や小児を対象とした医薬品曝露の評価と追跡調査<br>✓小児の成長や体重当たりの医薬品暴露量と有害事象の分析<br>✓日常生活データを用いた実生活ベースの健康研究 |
| カルテ情報  | ・医師記載の臨床所見、診療サマリ、画像所見<br>・診断・処方・治療歴およびその変更・中止理由<br>・治療の有効性評価、予後に関する情報<br>・副作用発言と原疾患進行の区別に関する医師判断<br>・転帰および転帰日<br>・PRO（Patient Reported Outcome）データ                                   | ✓臨床開発における薬効評価<br>✓薬事承認申請時の実臨床データとしての利用<br>✓特定の患者群における薬剤応答性の解析<br>✓アンメットメディカルニーズの探索<br>✓病態の進行パターンや速度の分析<br>✓治療後に発症した疾患と治療の因果関係                                                                                     |
| 検査情報   | ・バイタルサイン（体温など）<br>・詳細な臨床検査値<br>・画像検査データ、眼科検査データ<br>・病原体および感染症検査結果<br>・バイオマーカー・病理検査結果<br>・がん遺伝子パネル検査結果                                                                                | ✓疾患の進行、予後予測<br>✓医薬品の有効性・安全性評価<br>✓治療コントロールや疾患モニタリング<br>✓製造販売後データベース調査<br>✓共変量やアウトカム指標としての活用<br>✓検査値と疾患の関係性の解明                                                                                                     |
| その他    | ・任意接種のワクチン接種記録(接種有無、接種日など)<br>・時間単位のデータ（時・分・秒単位）<br>・購買情報                                                                                                                            | ✓任意接種ワクチンの接種促進や定期接種化に向けた検討<br>✓任意接種後の副反応シグナルの検出<br>✓超急性期における研究・分析<br>✓購買履歴と健診データを組み合わせた疫学研究                                                                                                                       |

注：本表は、公的データベース等の整備・拡充に関する自由記述回答をもとに、不足が指摘された情報・データ項目と、それらに対する具体的な活用ニーズを項目別に分類・整理したものである。  
出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

4-4. 制度・運用における課題と利活用促進の論点

公的データベース等の利活用に際し、データの内容そのものの以外で課題とを感じる点について複数回答で尋ねた結果、最も多く挙げられたのは「データ取得プロセス（アクセス手続き・申請フローの煩雑さ・利用目的・期間等）」で、全回答の62.6%を占めた。次いで、「コスト（データ取得・維持・解析等に係る費用）」が49.6%、「解析環境（解析ツール・インフラ等の整備状況）」が38.8%、「データ提供内容（提供されるデータの形式・範囲・更新頻度等）」が36.7%と続いた。そのほかにも、データ品質（30.2%）、セキュリティ・プライバシー対策（20.9%）、公表義務に関するルール（18.7%）などが挙げられており、課題は技術的な要素を含むものにとどまらず、規定や管理面に関する要素など多岐にわたることが明らかとなった。一方、「特にない」とした回答は13.7%、「その他」は9.4%であったが、その自由記述の多くは「使用経験がないため判断できない」とする内容であり、課題認識そのものが形成されていない状況も一部にみられた（図8）。

図8 公的データベース等の利活用における制度・運用面の課題



出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

これらの定量結果を補完する目的で、制度・運用面に関する自由記述を通じて具体的な問題点や要望を収集した結果、定量設問で設定された7項



目に沿った領域で、多くの自由記述が集まり、それぞれに関して具体的な改善要望が挙げられた（表5）。

特に、利用時の申請手続きの煩雑さや情報の不透明性、費用の妥当性や見積もりの困難さ、解析環境の未整備、データ形式や更新頻度のばらつきといった実務上の課題に対しては、切実かつ具体的な改善要望が多く寄せられた。

たとえば、「データ取得プロセス」に関しては、申請フローの複雑さや提供までの所要期間の長さへの言及が多く、複数の公的データベースが異なる

所管・運用体制の下で管理されている現状では、ルールや申請様式が統一されておらず、連結利用を希望する場合の手続きが煩雑になるという課題も挙げられた。「コスト」については、費用構造の透明性が十分に確保されていないとの指摘が複数寄せられ、特に総コストの見積もり困難性や価格体系の不明瞭さが、利活用判断の障壁となっている実態が明らかとなった。「解析環境」に関しては、商用データベースと比較して操作性が劣るとの指摘や、クラウド環境を含む柔軟なインフラ整備への要望が示されており、とりわけオンサイト

表5 公的データベース等の利活用における制度・運用面の課題に関する課題と要望の整理

| 課題とする項目           | 主な要望                                                                                                                                        | 具体的な問題点や要望                                                                                                                                            |
|-------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 1 データ取得プロセス       | <ul style="list-style-type: none"> <li>申請フローの簡素化・標準化</li> <li>データ提供までの期間の短縮と明確化</li> <li>窓口の一本化</li> <li>プロセス全体の情報提供の強化</li> </ul>          | 手続きの煩雑さと提供の遅さが最大の課題として挙げられ、特に、「申請フローの複雑さ」や「提供までの時間の長さ」、「プロセス全体に関する情報不足」の指摘が多かった。各データベースの所管の分散により手続きが煩雑化し、申請プロセスの負担が高いために、商用DBの利用を優先せざるを得ない実態も報告されている。 |
| 2 コスト             | <ul style="list-style-type: none"> <li>コストの明確化と妥当性の担保</li> <li>見積り取得の簡素化</li> <li>包括的な定額契約の検討</li> <li>利用頻度に応じた価格調整の導入</li> </ul>           | 価格の透明性と妥当性に対する要望が多く寄せられた。特に、総コストの見積もりが困難であり、取得・維持・解析にかかる費用の全体像が把握しにくいとの指摘があった。また、都度の契約や見積取得の手間を軽減し、費用の予見性を高めるため、一定期間の包括契約を整備すべきとの意見もあった。              |
| 3 解析環境            | <ul style="list-style-type: none"> <li>使いやすい解析ツール・インターフェースの提供</li> <li>クラウド・リモート環境での利用拡大</li> <li>オンサイト環境の緩和</li> </ul>                     | 解析ツールやインフラの制約に関しては、商用DB並みの使いやすさやユーザーフレンドリーな解析ツールの提供、クラウド環境（HIC）で利用可能なDBの拡充、仮想環境（Docker等）の活用、リモート利用の可能性、再解析への対応などが求められており、オンサイト環境の利用条件の厳しさも課題として挙げられた。 |
| 4 データ提供内容         | <ul style="list-style-type: none"> <li>必要なデータ項目・構造の事前把握</li> <li>データ形式・更新頻度の明確化</li> <li>構造化・非構造化データの拡充</li> <li>更新状況の透明化と整合性の確保</li> </ul> | 提供されるデータの形式・範囲・更新頻度への不透明さに起因する課題が多く挙げられた。特に、必要な情報の有無や欠損率、データ構造の事前共有など、利活用の初期段階での判断材料が不足しているとの指摘が目立った。また、データ種類の拡充や更新頻度の向上、更新状況の随時公表などの改善要望が示された。       |
| 5 データ品質           | <ul style="list-style-type: none"> <li>規制要件に適合する品質基準の明確化</li> <li>国・第三者による信頼性担保体制の整備</li> <li>PMDA等による支援体制の構築</li> </ul>                    | 公的データベースをGCPやGPSP省令下での承認申請等に活用する上で、「データの信頼性担保」が大きな課題とされ、どの程度の品質であれば規制上許容されるのか不透明であり、「国による品質保証」や「第三者機関によるバリデーション」、「PMDA等による体制構築支援」の必要性が複数指摘された。        |
| 6 セキュリティ・プライバシー対策 | <ul style="list-style-type: none"> <li>実効性のある情報保護ルール設計</li> <li>過度な制約の緩和による実務負担軽減</li> </ul>                                                | 「個人情報保護には最大限の配慮が必要」との前提に立ちつつも、「現実的な運用を可能にするルール設計が求められる」や「対策が過剰で実務に支障をきたしている」との指摘が見られた。                                                                |
| 7 公表義務            | <ul style="list-style-type: none"> <li>公表ルールの明確化</li> <li>公表義務の趣旨に応じた柔軟な対応</li> <li>公表に適した場の整備</li> </ul>                                   | 公表条件が不明確であることに加え、有害事象の発生頻度など簡易な集計結果を扱う研究では学術的な新規性に乏しく、論文化が難しいケースも多いため、公表義務と実際の公表手段との間で板挟みとなる懸念が示された。このため、解析結果を掲載・共有できる場を含めた公表の受け皿の整備を求める声も見られた。       |

注：本表は、公的データベース等の利活用における制度・運用面の課題に関する自由記述回答をもとに、共通性の高い要望を項目ごとに抽出・分類したものである。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成



条件の厳しさに起因する実務上の制約に対する改善が強く求められている。「データ提供内容」に関しては、提供データの形式、範囲、更新頻度に関する明確な仕様情報の不足が指摘され、構造化・非構造化データの分類や更新情報の適時な提示など、データの利用可能性や利便性の向上につながる運用上の工夫が期待されていた。「データ品質」については、公的データベース等が研究等に用いられる際の信頼性担保の仕組みが不透明であるとの意見が散見され、データの信頼性を担保するための体制や活用の可否判断に関する明確な基準の提示が課題とされていた。「セキュリティ・プライバシー対策」については、「過度な制約が現実的な利活用を困難にしている」との声がある一方で、「最大限の個人情報保護が必要である」との認識も併存しており、バランスの取れた制度設計の必要性が指摘された。さらに、「公表義務」に関しては、その条件が不明確であることが活用判断を難しくしているという意見が寄せられた。たとえばNDBでは、提供申出書に記載した公表時期や方法（論文、報告書、学会、研究会等）に基づき研究成果を公表することが求められ、公表前には成果物を厚生労働省に報告し、確認・承認を受ける必要があるなど、一定の制度的手続きが定められている<sup>10)</sup>。実施した研究の内容によっては、学術論文としての公表に適さないケースもあり、特に、特定疾患における副作用や有害事象の発生頻度のような簡易な集計結果など、必ずしも論文化に適さない研究についても何らかの形で公表が求められる場合、義務的な公表要件と研究成果の特性との間で調整を要する場面が生じることから、実務上の対応に苦慮するという声が挙げられた。

続いて、データ申請から提供までに許容される期間についての自由記述分析では、7割以上が「3か月以内」を希望し、その中でも「1～2か月以内」が望ましいとする回答が多かった。加えて、「照会事項への対応等、即時対応が求められるケースもある」との声もあり、提供までのタイムライ

ンが実務スケジュール、とりわけ開発や薬事戦略上の重要な制約要因になっている実態が浮かび上がった。これらの状況を踏まえれば、迅速な提供を実現するための制度設計や、活用目的に応じた柔軟な提供スキームの構築が急務である。

また、1利用あたりの許容可能な利用料に関する自由記述では、100万円未満から3,000万円超まで幅広い見解が寄せられた。この背景には、研究目的やプロジェクトの特性によって適正額が大きく異なるという事情に加え、そもそも公的データベース等の利用に際して想定される費用感をつかめていない実態もあると考えられる。実際、前設問で「コスト」を課題として選択した回答者からは、費用の透明性や予見可能性の欠如に対する懸念が多く寄せられ、取得から解析までにかかる費用の全体像が把握しにくいことが課題として指摘されており、今後は、目的や利用形態に応じた柔軟でわかりやすい価格体系の設計と、公的資源としての位置づけを踏まえた適切な費用水準の設定が求められる。

さらに、調査の最後に、制度・運用に限定せず広く意見・要望を募る自由記述形式の設問を設けた。本設問は、事前に尋ねた「データの内容そのもの以外で課題と感じる点」に関する定量・定性の設問と重複する回答も多く含まれていたため、それらと明確に重なる記述は除外し、内容的に新たな観点や視点を示している意見に着目して整理を行った。その結果、今後の利活用促進に向けた重点的な論点として以下の4点が抽出された。

#### (1) 利活用事例に関する情報の不足

他社における過去の利用実績、活用に要した費用や期間、得られた成果などの情報が共有されておらず、企業が活用を検討する際の判断材料が乏しいという課題が指摘された。

#### (2) 初回利用時の参入障壁の高さ

初めて公的データベース等の利用を検討する企業にとって、制度の複雑さや不確実性が心理的・実務的な障壁となっており、安心して参入できる

10) 厚生労働省、「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3版」、<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/001480184.pdf>

環境が整っていないとの意見が多く寄せられた。

### (3) 各データベース特性に関する情報の不透明さ

公的データベース等の特性や「独自の強み・弱み」、他のデータソースとのすみ分けが明示されておらず、目的に応じた適切な選択が困難であるとの課題が指摘された。

### (4) 社会的意義の理解の不足

公的データベース等の利活用が単に企業の研究・分析にとどまらず、医療政策や社会保障に資するものであるということが国民に十分に伝わっておらず、社会的な支持・信頼の醸成が課題として指摘された。

## 5. まとめ・考察

### 5-1. 公的データベース等の利用経験と検討状況

本調査の結果、公的データベース等の活用は、全回答の約4割の回答が何らかの検討または活用経験を有すると回答しており、一定の取組みがみられる一方で、今後の更なる展開の可能性も残されていることがうかがえる。企業属性別に見ると、外資系企業における活用経験・検討割合が55.3%と、内資系企業の37.6%を上回っていた。こうした傾向は、欧米におけるデータ基盤整備や制度的枠組みの成熟、本国からの方針展開などを背景に、外資系企業では社内のデータサイエンス体制の整備やRWDの活用が内資よりも相対的に進みやすい環境にあることが一因ではないかと推察される。

活用経験のあるデータベースとしては、NDBの利用が突出して多かった。その背景には、NDBがレセプト情報を中心とした全国レベルの悉皆性を有し、汎用性が高く多様な研究目的に対応できること、さらに制度面・技術面の整備が比較的進んでいる<sup>11)</sup>ことから、企業による活用が進みやすい環境が整っている点が考えられる。活用が少なかった公的データベース等の中には、制度整備や運用体制が十分に確立されておらず、現時点では企業による利活用が現実的に困難なものも含まれて

いる。実務上の運用スキームが未整備であるなど、活用の前提条件自体が整っていない場合もあり、活用実績の少なさが必ずしも需要の低さを意味するわけではない点に留意が必要である。

また、実際に公的データベース等の活用経験がある企業からの声を踏まえると、制度・運用、データ、企業体制といった複数の側面にまたがる課題が相互に関連し、実務上の障壁となっている実態が浮かび上がった。たとえば、手続きの煩雑さや提供時期の不確実性といった制度・運用面の問題は、社内体制や知見の不足といった企業側の課題と複雑に絡み合い、商用データベースと比較した際の実用性の低さという印象を助長している。

次世代DBに関しては、対象となる症例数の少なさへの懸念が多く挙げられたが、令和7年5月末日現在、同法に基づく協力医療情報取扱事業者（いわゆる「協力機関」）は153機関にとどまっており、その多くが大学病院や国立病院機構などの大規模医療機関で占められている<sup>12)</sup>。このため、地域的な偏在や症例規模のばらつきが存在し、利活用に際しての一定の制約となっている可能性がある。

したがって今後は、制度設計や技術基盤の向上に加え、企業側でも制度趣旨への理解を深め、体制整備を進めることが重要である。制度側と利用者側の双方が相互に成熟していくことが、公的データベース等の活用促進に向けた鍵となる。

### 5-2. 公的データベース等の活用意向と展望

今後の活用意向については、全回答の約7割が前向きな意向を示しており、特に実際に活用または検討経験を有する部門では、今後の活用に対する強い意欲がうかがわれた。公的データベースの網羅性・追跡性・多様性に対する期待は大きく、従来困難であった長期的アウトカム評価や因果関係の分析、行政政策へのエビデンス提供など、多様な目的に対する活用可能性が示された。実際に公的データベース等の活用により「これまで実施できなかった研究・分析が可能になる」との回答

11) 厚生労働省、「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>

12) 内閣府、次世代医療基盤法実績データ（2025年5月末）、<https://www8.cao.go.jp/iryou/gaiyou/pdf/data-2025-5.pdf>

は、全体として8割を超え、部門を問わず高い割合を示していた。また、創業の初期段階に関わる研究で75.0%（12件／16件）、後期段階に関わる臨床開発で3.3%（30件／36件）が「はい」と回答しており、公的データベース等が新たな研究・開発活動の基盤としても期待されていることがうかがえる。こうした結果は、業界全体として公的データベース等への利活用に対する強い期待が共有されていることを示している。

また、データベース別の活用意向では、NDBが最も高く95%が検討意向を示しており、次いで電子カルテ情報DB、次世代DB、難病DB、DPCDBと続いた。上位に挙げたNDBや電子カルテ情報DB、次世代DB、DPCDBは、いずれも基礎的な診療情報を対象とする汎用性の高いデータベースであり、特定の疾患群に限定されないという特性が、広範な研究ニーズを反映して高い活用意向につながっていると考えられる。とりわけ、電子カルテ情報DBについては、現時点では整備途上であるにもかかわらず高い活用意向が示されており、公的基盤としての構築・実装に対する業界の強い期待が反映された結果といえる。一方で、難病DBやがん登録DBなどのように、疾患特異的な情報を有するデータベースは、活用の必要性が企業の注力領域に依存するため、全体としての選択率は汎用的なデータベースに比べて低くなる傾向がある。しかしながら、難病DBは今回の結果において比較的高い活用意向が示されており、特定領域に注力する企業にとっては極めて有用な情報基盤と認識されていることがうかがえる。また、こうした疾患特異的なデータベースは、NDBや電子カルテ情報DBなどとの連結や補完的な利用により、より実践的な研究・分析に資する可能性が高い。特に、予防接種DBは、ワクチン接種の有無という基本情報を提供するデータベースとして、ワクチンに関する研究にとどまらず、免疫学や感染症学など幅広い分野における分析基盤としての利活用が期待される。

したがって、今後の制度整備においては、まずは診療情報を広くカバーする基礎的なデータベースの一刻も早い整備が最優先課題とされるととも

に、疾患特異的なデータベースについても可能な限り早期の整備・充実が求められる。特に、ベーシックなデータベースは他のデータベースと連結して利用する際の前提ともなるため、整備が不十分な場合にはデータ連結の活用自体が制約を受けることにもつながる。

ただし、こうした活用意向は各企業の注力領域や開発パイプラインの特性に大きく依存するため、業界全体の総意として一律に評価するのではなく、多様なニーズを前提とした柔軟な制度設計が求められる。

### 5-3. 不足している情報・データ項目と活用ニーズ

公的データベース等において現在不足していると認識されている情報として、患者背景情報（社会経済状況や日常生活情報など）やカルテ由来情報（医師所見、治療効果、治療中断理由等）、臨床検査値や画像・病理所見、バイオマーカーなどの検査情報の整備が不十分であるとの指摘が多かった。特に画像検査情報については、活用ニーズが一定程度存在するにもかかわらず、電子カルテ情報データベースの現行構想においては提供対象に含まれておらず、今後の拡充に対する要望が寄せられた。また、同データベースで現在想定されている「3文書6情報」だけでは、高度な研究ニーズに十分応えるには限界があるとの認識が広がっており、データ項目のさらなる充実が求められている。

さらに、医師記述や画像所見などに代表される非構造化データの利活用についても、臨床判断や患者状態の質的把握に有用であることから、構造化・標準化に向けた取組みが必要とされている。特に、自然言語処理技術の進展は、非構造化データの利活用を可能にする重要な契機となっている。これらの情報の拡充により、疾患理解や薬剤評価の精緻化、特定集団に対する追跡研究など、より高度な活用の実現が期待され、ひいては、薬事申請、製造販売後調査、個別化医療の推進、政策立案を支える研究といった、多面的な領域での展開が可能となる。

なお、こうしたデータ項目の拡充や整備にあた



っては、収集・管理・運用に係るコストも考慮した持続可能な仕組みの構築が求められることから、費用対効果や財源確保のあり方についてもあわせて検討が期待される。

#### 5-4. 制度・運用における課題と利活用促進の論点

本調査では、制度・運用面において製薬企業が直面している複合的な課題として、図8に示すように利用時の申請手続きや費用、解析環境などが特に多く挙げられた一方で、データ品質や公表義務に関する懸念もあり、制度・運用面の課題は多岐にわたっていた。こうした声の大きさに応じて重点的に対応することは重要だが、特定の課題を個別に解決すれば十分というわけではなく、総合的かつ段階的な改善が求められる。

さらに、制度・運用面における実務的な課題への対応に加えて、企業が安心して利活用に踏み出せる環境を整え、今後の利活用促進につなげていくためには、より包括的かつ戦略的な方策が必要である。以下に、本調査結果から抽出された主要な課題に対応する形で、利活用促進に向けた8つの方策を整理した。順序は、制度基盤の整備、利用環境の改善、参入支援、利活用の広がり、社会的発信という段階的な流れを意識して構成している。

##### ① 制度・運用プロセスの合理化

利用時の申請手続きの簡素化や窓口の一本化、提供までの期間短縮、費用構造の明示、一定期間の利用を前提とした包括的な契約制度の導入、提供内容の仕様整備といった制度設計を通じて、企業が直面する実務上の障壁を取り除くことが求められる。

##### ② データの可用性と信頼性の向上

提供データの拡充、形式・更新頻度等に関する仕様の明確化、構造化・非構造化データの整備、品質保証体制の構築を通じて、利便性と信頼性の高い情報基盤を形成する必要がある。加えて、データの信頼性を中長期的に高めていくためには、利用者によるフィードバックや品質報告の仕組みを整備し、継続的なデータ改善を促す参加型の運用モデルの導入

も有効と考えられる。

##### ③ 解析・インフラ環境の整備

クラウドやリモートアクセスへの対応、オンサイト制約の緩和、使いやすい解析ツールの提供といった環境整備により、柔軟かつ持続的な利活用が可能となる。

##### ④ 情報保護と運用実効性の両立

過度な制約により実務が阻害されないよう、利活用の現実性とセキュリティの両立を図った制度設計と柔軟な運用の確保が必要である。

##### ⑤ 初回利用時の参入障壁の低減

初めての利活用に際する心理的・実務的ハードルを下げるため、パイロット枠の導入や明快なマニュアル整備、事前アクセスの仕組みが有効である。

##### ⑥ ユースケースの可視化と共有

過去の利活用実績、(費用、期間、成果などを含む)を可視化し、ユースケースを公開・共有することで、利活用を検討する企業の判断材料となり、利活用の裾野拡大が期待される。

##### ⑦ 公表ルールの整備と柔軟化

研究成果の性質に応じた柔軟な公表要件や、論文文化が困難な解析結果の発信先の整備を通じて、公表義務と実務の整合性を確保することが求められる。

##### ⑧ 利活用の公益性・社会的意義の発信

公的データベース等は「国民のための資源」であり、その利活用が社会保障政策や医療制度の持続可能性に資することを、広く社会に発信していくことが重要である。

以上の結果から、公的データベース等の制度・運用面に関する課題は、単なる技術的・手続的な対応にとどまらず、制度全体の透明性・柔軟性・ユーザビリティを包括的に向上させることが、今後の利活用促進において極めて重要であると考えられる。

さらに、制度設計を担う当局だけでなく、利活用を担う企業側においても、制度の趣旨を踏まえた体制整備と活用の推進が求められる。単にデータベースを利用するにとどまらず、活用による成



果の創出や、実務上の課題・ニーズのフィードバックを通じて制度改善に貢献するなど、利用者としての主体的な役割を果たしていくことが重要である。

## 6. おわりに

公的データベース等の整備は着実に進み、産業界、とりわけ製薬企業における利活用への関心と期待も高まりつつあることが、本調査から明らかとなった。制度面では連結解析を可能とする法改正が国会で審議され、技術面でも仮名化や構造化の取組みが拡充される中で、公的データベース等は、単なる情報インフラにとどまらず、わが国の医薬品開発や医療政策、社会保障制度の持続性を支える中核的な基盤として、その重要性を一層増している。

しかしながら、どれほど高度なデータベースが整備されたとしても、それが実際に利活用されなければ、期待される政策的・社会的意義を十分に発揮することは難しい。現場の実務ニーズに即した制度設計や運用が伴っていないければ、制度と現場との間に乖離が生じ、結果として利活用が進まないという事態に陥りかねない。

一方で、公的データベース等の利活用に対する期待は着実に広がっており、多様な医療情報を用いた新たな研究構想も生まれている。これらを通じて、従来困難であった研究や分析が現実味を帯びてきている。医療情報基盤が連結・整備された先には、それをどのような研究や実装に活かしていくのかという利活用のビジョンを、制度側と利用者側の双方であらかじめ描いておくことが不可

欠である。すなわち、「基盤ができたこと」自体を終着点とせず、「何のために、どのように使うか」を明確にし、共有していく姿勢が求められている。

このように、公的データベース等は一度整備して終わりではなく、継続的な更新と進化が求められる社会的資源である。単発的な整備にとどまらず、実際の利用者からの知見や要望を継続的に収集・反映し、制度や運用を柔軟に改善していく「双方向型の運用サイクル」の確立が不可欠となる。特に、利活用経験を有する企業や研究者との対話を通じて、制度設計と運用実態との乖離を埋めていくことが、公的データベース等の真の価値を引き出すための鍵となると考える。

今後、研究、開発、薬事、政策といった多様な分野において、公的データベース等がより実践的かつ戦略的に活用されていくためには、制度とユーザーの間に存在するさまざまな障壁を丁寧に取り除き、誰もが活用可能な資源として再構築していく姿勢が求められる。また、これらのデータベースは、患者や生活者である国民から提供された情報に基づくものである以上、その活用が国民の健康の向上に還元されるという信頼と理解を得ることが不可欠である。自ら提供した情報が、将来的に自分自身や家族の医療に役立つ可能性を含んでいるという認識を社会全体で共有し、データ活用への理解と共感を広げていくことが重要である。

こうした取組みを通じて、制度の柔軟性とユーザビリティを両立させた、信頼性と持続性のある医療情報基盤が構築されていくことを期待したい。

## 公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告② —格納情報の整理とユースケース—

医薬産業政策研究所 主任研究員 枝廣 誠  
医薬産業政策研究所 主任研究員 渡邊奈都子  
医薬産業政策研究所 主任研究員 富樫満里子

### 要約

- 公的データベースと医療等情報の利活用拡大に伴う将来的なユースケースについて、前報「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告①－利活用の可能性と課題－」<sup>1)</sup>と同様のアンケート調査に基づいて、製薬企業による具体的な研究・分析の構想を紹介する。
- 分析に先立ち、社会的認知の促進を目的として、11種類の公的データベースと次世代医療基盤法に基づく認定データベースの格納情報を整理した。
- ユースケースにおいて想定されている疾患領域として、「抗悪性腫瘍剤」が最多であったが、疾患を限定しない横断的研究も重視されていた。
- また、活用したい公的データベース等の種類については、回答者の74.5%が複数のデータベースの情報を連結して利活用したいと回答し、特にNDBとの組み合わせの希望が多く見られた。
- 製薬企業においては、複数の公的データベースの情報を連結し、それらを統合的に解析することにより、新たな治療法の効果や患者プロファイルを分析し、治療戦略を最適化する個別化医療の研究推進が実現可能となり、また、市販後の安全性監視の強化や効率的なエビデンス構築といった多方面での進展が望まれている。
- 今後、医療等情報の二次利用を推進するために

は法的整備や社会の理解が必要であり、製薬企業は積極的な利活用と、具体的な成功事例を通じてその意義を広めていくことが重要である。

### 1. はじめに

厚生労働大臣等が保有する公的データベースにおける仮名化情報の利用及び提供、さらに他の仮名化情報や次世代医療基盤法に基づく仮名加工医療情報との連結解析について、現在国会で審議が行われている。この法案が成立し、関連法令が改正すれば、制度的には実現が可能となる見通しである<sup>2)</sup>。このような法制度の整備を受けて、医薬産業政策研究所では、製薬企業における公的データベース等の利活用に関する実態や課題を明らかにすることを目的に、2025年に「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」を実施した。前報において当該調査の結果報告①として、「利活用の可能性と課題」に焦点を当てた分析を行い、制度・運用上の障壁や今後の利活用に向けた期待等を報告している。

本稿では、当該調査の結果報告②として、政府が今後連結を検討している公的データベース等の概要を整理し、公的データベースと医療等情報の利活用拡大により想定される将来的なユースケースについて、当該調査から得られた結果をもとに、製薬企業による具体的な研究・分析の構想を紹介

1) 医薬産業政策研究所、「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告①－利活用の可能性と課題－」、政策研ニュース No.75 (2025年7月)

2) 厚生労働省、医療法等の一部を改正する法律案の閣議決定について(報告) <https://www.mhlw.go.jp/content/10801000/001421848.pdf>

する。

特に、製薬企業がどのような領域で、どのようなデータベースを、どのような目的で活用したいと考えているのかに関する自由記述を基に、実務的な利活用イメージを可視化することは、製薬企業内外における医療等情報の利活用可能性の検討や今後の医療情報の二次利用に関わる制度設計及び運用の在り方を具体的に議論する上での一助となることが期待される。

なお、アンケート自由記述の意図をより明確にするために、ユースケースに関連する情報については医薬産業政策研究所にて追記及び補足している箇所がある。また、ユースケースの回答企業数は限定的であり、本稿は事例調査にとどまる。

## 2. 各公的データベース等の概要

本章では、各データベースの概要を把握し、社会的認知を高めることを目的として、厚生労働省等の公開情報に基づき、各公的データベース（合計11種類）に格納されている主な情報項目を簡潔に整理した。なお、次世代医療基盤法に基づく認定データベースも含めて整理しており、現時点において構築中または構築予定のデータベースについても言及している。各データベースの一覧は、補足資料として表にまとめて掲載している（補足1）。

記載内容は、各種ホームページ等一般に公開されている情報に基づいており、制度や運用の詳細、提供可能なデータの範囲、所管の情報等については、今後の制度整備の進展や追加情報の公表に伴い変更される可能性があり、一部不正確な情報が含まれる場合がある点に留意が必要である。

### ●公的データベース

#### 【匿名医療保険等関連情報データベース（以下、NDB）】：

所管：厚生労働省 保険局医療介護連携政策課

「高齢者の医療の確保に関する法律」に基づき構築された公的データベースであり、医療保険等関連情報を一元的に管理している。レセプト情報等の第三者提供が平成23年度から試行的に実施され、平成25年度から本格実施された<sup>3)</sup>。本データベースには、診療報酬明細書を基にした、患者情報・診療行為等の情報（医科、DPC、調剤、歯科、訪問看護）が格納されている。また、健診機関で実施される特定健診及び特定保健指導に関する情報（受診者情報、健診結果、保健指導レベル等）も含まれる。さらに、令和5年4月受付分以降、死亡届及び死亡診断書から収集された死亡情報（死亡年月日時分、死亡の原因と種類等）の蓄積が開始され、翌年12月頃に年単位で格納される体制が整備された（図1、表1）<sup>4)</sup>。日本全国で実施された保険診療のほぼ全てを網羅する悉皆性の高いデータベースであり、国民全体を対象とした母集団代表性にも優れている。令和6年3月時点で、2009～2023年診療分のレセプトが約265億件格納されている<sup>5)</sup>。

#### 【電子カルテ情報共有サービスのデータベース（以下、電子カルテ情報DB）】：

所管：厚生労働省 医政局医療情報担当参事官室

現在、構築中のデータベースであり、全国規模での医療機関間の情報共有を目的として設計された電子カルテ情報を管理する公的データベースである<sup>6)</sup>。「全国医療情報プラットフォーム」の中核的構成要素の一つとして位置づけられており、政府が推進する医療DX（デジタルトランスフォー

3) 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/iryuu/hoken/reseptu/index.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuu/hoken/reseptu/index.html)

4) 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」令和7年5月版 <https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/001496916.pdf>

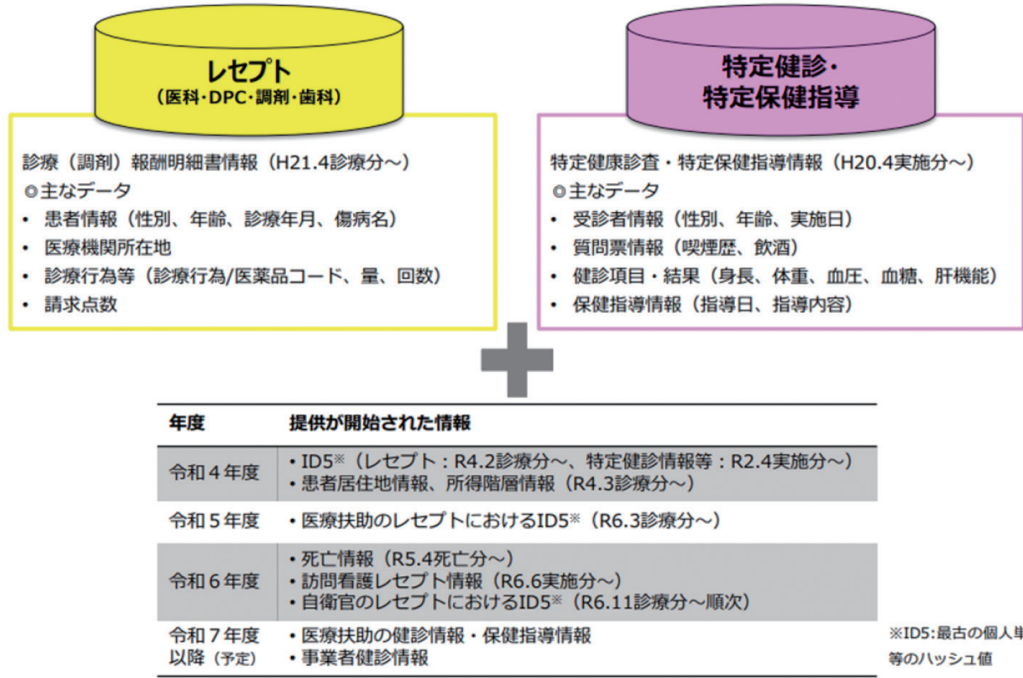
5) 厚生労働省、第176回社会保障審議会医療保険部会 資料2「今後のNDBについて」令和6年3月14日 <https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/001225211.pdf>

6) 厚生労働省、電子カルテ情報共有サービス

[https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou\\_iryuu/iryuu/johoka/denkarukyoyuu.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuu/johoka/denkarukyoyuu.html)

図1 レセプト、特定健診及び特定保健指導の情報

第三者提供の対象となるNDBデータを経年的に拡大しています。



出所：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」令和7年5月版

表1 死亡情報

| 死亡情報の内容            | 詳細項目                                     |
|--------------------|------------------------------------------|
| 死亡年月日時分            | 死亡年月日時分                                  |
| 死亡したところの種別         | 死亡場所（病院／診療所／自宅等）                         |
| 死亡の原因と種類           | 原死因、死亡の種類（病死／交通／溺水等）                     |
| 外因死の追加事項           | 場所の種別（家／施設／街路等）、傷害が発生した年月、路上交通事故の有無      |
| 生後1年未満で病死した場合の追加事項 | 出生時体重、妊娠週数、同胞の数、母の情報（病態、年齢）              |
| その他                | 解剖の有無、関連する手術の情報（有無、年月日）、配偶者関係（既婚／未婚／死別等） |

出所：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」令和7年5月版

メーション）政策の柱でもある。本データベースにおける共有対象は、「健康診断結果報告書」、「診療情報提供書」、「退院時サマリー」の3文書と、「傷病名」、「感染症」、「薬剤アレルギー等」、「その他アレルギー等」、「検査」、「処方」に関する6情報が予定されている（表2、表3）<sup>7)</sup>。

【匿名診療等関連情報データベース（以下、DP-CDB）】：

所管：厚生労働省 保険局医療課

健康保険法に基づき、入院の料金に関して国が定めた診断群分類別包括評価方式 (Diagnosis Procedure Combination、以下DPC) を導入している

7) 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183回社会保障審議会医療保険部会 資料3-1「電子カルテ情報共有サービスについて」 令和6年9月30日 <https://www.mhlw.go.jp/content/12401000/001309907.pdf>



病院である DPC 対象病院等の診療情報や診療報酬データを管理する公的データベースである。令

表 2 共有情報の詳細

| 共有情報の詳細 |         |                                                                          |
|---------|---------|--------------------------------------------------------------------------|
| 文書情報    | 診療情報提供書 | ・退院時サマリーは診療情報提供書に添付扱い                                                    |
|         | 健診結果報告書 | ・特定健診<br>・後期高齢者健診<br>・事業主健診(一般定期健康診断)<br>・学校職員健診<br>・その他健診               |
| 患者サマリー  |         | ・傷病名(主傷病+副傷病)<br>・療養上の計画・アドバイス<br>+薬剤アレルギー等、その他アレルギー等、感染症、検査、処方情報(電子処方箋) |
| 臨床情報    | 5情報     | ・傷病名<br>・薬剤アレルギー等<br>・その他アレルギー等<br>・感染症<br>・検査(救急、生活習慣病に関する項目)           |
|         | 6情報     | ・5情報 + 処方情報(診療情報提供書)                                                     |

出所：厚生労働省 第183回社会保障審議会医療保険部会 資料 3-1（令和 6 年 9 月 30 日）

和 7 年 6 月 1 日時点において、DPC対象病院は全国で1,761施設とされている<sup>8)</sup>。本データベースには、入院患者の入院時から退院時に至るまでの状態、診療行為、使用された薬剤、診療報酬点数等の情報が格納されており、特に大規模病院での入院が必要なことが多い重症疾患の研究等には非常に適したデータベースといえる<sup>9)</sup>。なお、格納情報は表 4 に示す。

【匿名介護保険等関連情報データベース（以下、介護 DB）】：

所管：厚生労働省 老健局老人保健課

介護保険法に基づき、介護給付費明細書（介護レセプト）や要介護認定情報、介護サービスに関する各種情報を一元的に管理する公的データベースである。本データベースに格納されている主な情報は、介護レセプト等情報（表 5）、要介護認定情報（表 6）、LIFE 情報（表 7）の 3 種類に大別される。なお、LIFE 情報とは、介護サービス利

表 3 3 文書、6 情報の詳細

| 3文書 | No | 文書項目      | 概要                                                            | 記述仕様                            | 宛先指定                                                                                               | 添付          | 電子署名           | 保存期間                                                    |                         |
|-----|----|-----------|---------------------------------------------------------------|---------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------|----------------|---------------------------------------------------------|-------------------------|
|     | 1  | 健康診断結果報告書 | 特定健診、事業主健診、学校職員健診、人間ドック等を対象                                   | HS037 健康診断結果報告書<br>HL7 FHIR記述仕様 | なし                                                                                                 | 不可          | 不要             | オンライン資格確認等システムに5年間保存                                    |                         |
|     | 2  | 診療情報提供書   | 対保険医療機関向けの診療情報提供書を対象                                          | HS038 診療情報提供書<br>HL7FHIR記述仕様    | 必須                                                                                                 | 可能          | 任意             | 電子カルテ情報共有サービスに6か月間保存。<br>但し、紹介先医療機関等が受領した後は1週間程度後に自動消去。 |                         |
|     | 3  | 退院時サマリー   | 退院時サマリーを対象<br>※診療情報提供書の添付(任意)としての取り扱い                         | HS039 退院時サマリー<br>HL7FHIR記述仕様    | なし                                                                                                 | 可能          | 不要             |                                                         |                         |
| 6情報 | No | 情報項目      | 概要                                                            | 対象となる<br>FHIRリソース               | 主要コード                                                                                              | 長期保管<br>フラグ | 未告知/未提供<br>フラグ | 照りリーダー<br>照問同意区分                                        | 保存期間<br>(オン負)           |
|     | 1  | 傷病名       | 診断をつけた傷病名                                                     | Condition                       | ICD10対応標準病名マスターの<br>病名管理番号                                                                         | あり          | あり             | 傷病名<br>+手術情報<br>+感染症                                    | 5年間分                    |
|     | 2  | 感染症       | 梅毒STS、梅毒TP、HBs(B型肝炎)、<br>HCV(C型肝炎)、HIVの分析物に関する<br>検査結果        | Observation                     | 臨床検査項目基本コードセット内<br>にあるJLAC(10/11)コード                                                               | あり          | —              |                                                         | 5年間分                    |
|     | 3  | 薬剤アレルギー等  | 診断をつけた薬剤禁忌アレルギー等情報<br>(医薬品、生物学的製剤)                            | Allergy<br>Intolerance          | YJコード (及び派生コード※)<br>テキスト<br>(※銘柄を指定できない場合に限り、<br>下3桁をzzz (一般名処方マスタに相当)<br>で記載する。先頭にメタコードを付<br>与する) | あり          | —              | 診療+お薬<br>+アレルギー等<br>+検査                                 | 5年間分                    |
|     | 4  | その他アレルギー等 | 診断をつけた薬剤以外のアレルギー等<br>情報<br>(食品・飲料、環境等)                        | Allergy<br>Intolerance          | J-FAGYJコード<br>テキスト<br>(J-FAGYで表現できないものはテキスト<br>入力する)                                               | あり          | —              |                                                         | 5年間分                    |
|     | 5  | 検査        | 臨床検査項目基本コードセット(生活習慣<br>病関連の項目、救急時に有用な項目)<br>で指定された43項目の検体検査結果 | Observation                     | 臨床検査項目基本コードセット内<br>にあるJLAC(10/11)コード                                                               | —           | —              |                                                         | 1年間分<br>もしくは<br>直近3回分   |
|     | 6  | 処方        | ※直接登録は行わない<br>(文書から抽出した処方を取り扱う)                               | Medication<br>Request           | YJコード (及び派生コード※)<br>(※銘柄を指定できない場合に限り、<br>下3桁をzzz (一般名処方マスタに相当)<br>で記載する)                           | —           | —              |                                                         | 100日間分<br>もしくは<br>直近3回分 |

出所：厚生労働省 第183回社会保障審議会医療保険部会 資料 3-1（令和 6 年 9 月 30 日）

8) 中央社会保険医療協議会 総会（第608回）総－ 9 令和 7 年度における DPC/PDPS の現況について  
<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001487156.pdf>

9) 厚生労働省、匿名診療等関連情報の提供に関するホームページ  
[https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou\\_iryuu/iryuhoken/dpc/index.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuhoken/dpc/index.html)

表4 格納情報の詳細

| 様式名        | 内容                     | 入力される情報               |
|------------|------------------------|-----------------------|
| 様式1        | 病態等の情報                 | 性別、生年月日、病名、病期分類など     |
| 様式4        | 医科保険診療以外の診療情報          | 保険診療以外(公費、先進医療等)の実施状況 |
| Dファイル      | 診断群分類点数表に基づく診療報酬算定情報   | DPCレセプト               |
| EF統合ファイル   | 医科点数表に基づく診療報酬算定情報      | 出来高レセプト               |
| 外来EF統合ファイル | 外来患者の医科点数表に基づく診療報酬算定情報 | 外来の出来高レセプト            |
| Hファイル      | 日ごとの患者情報               | 重症度、医療・看護必要度          |
| 様式3        | 施設情報(施設ごとに作成)          | 入院基本料等の届け出状況          |

出所：厚生労働省、DPC データの提供に関する事前説明会資料

表5 介護レセプト等情報の一部

| レコード識別名                                      | データの概要                                                                                                   | 悉皆性 | 備考                                            |
|----------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----|-----------------------------------------------|
| 給付実績情報<br>(明細情報レコード)<br>(DT1111_D1)          | ・ 居宅介護支援・介護予防支援及び償還払いサービスを除く介護サービスの介護給付費明細書に記載されている介護サービスの種類、介護給付費単位数等サービスコード、サービス単位数、日数・回数等の情報が収載されている。 | ○   |                                               |
| 給付実績情報(緊急時施設療養・緊急時施設診療情報レコード)<br>(DT1111_D2) | ・ 介護老人保健施設における短期入所療養介護の介護給付費明細書に記載されている緊急時施設療養費について、治療開始年月、往診日数、通院日数、リハビリテーション点数、処置点数、手術点数等の情報が収載されている。  | ○   |                                               |
| 給付実績情報(特定診療費・特別療養費情報レコード)<br>(DT1111_D3)     | ・ 介護療養型医療施設・介護老人保健施設の介護給付費明細書に記載されている特定診療費及び特別療養費について、保険回数、保険サービス単位数等のデータが収載されている。                       | ○   |                                               |
| 給付実績情報(食事費用情報レコード)<br>(DT1111_D4)            | ・ 介護保険施設の介護給付費明細書に記載されている食事費用に関するデータ項目。                                                                  | ×   | H17年10月介護報酬改定において食事費用は廃止されているため、データが格納されていない。 |
| 給付実績情報(居宅サービス計画費情報レコード)<br>(DT1111_D5)       | ・ 居宅介護支援・介護予防支援の介護給付費明細書に記載されている介護サービスの種類、介護給付費単位数等サービスコード、サービス単位数、担当介護支援専門員番号等のデータが収載されている。             | ○   |                                               |

出所：厚生労働省、介護 DB データの提供についての説明資料①データ編

表6 要介護認定情報

| レコード識別名               | データの概要                                                                                                      | 悉皆性 | 備考                                                |
|-----------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----|---------------------------------------------------|
| 要介護認定情報<br>(D_NINTEI) | ・ 認定調査項目、主治医意見書の項目(認知症自立度Ⅱ以上の蓋然性判定ロジック等に必要項目のみ)、一次判定結果、認定審査会資料の項目(要介護認定等基準時間、中間評価項目得点等)、認定有効期間等の情報が収載されている。 | △   | 平成30年4月以降は悉皆。平成30年3月以前は悉皆でないが、悉皆になるように収集が進められている。 |

出所：厚生労働省、介護 DB データの提供についての説明資料①データ編

表7 LIFE 情報

| No. | インターフェース名                         | 概要                            | 提供対象 |
|-----|-----------------------------------|-------------------------------|------|
| 1   | 利用者情報                             | 利用者の個人属性、利用しているサービスの情報等       | ○    |
| 2   | 科学的介護推進情報                         | アセスメント結果等                     | ○    |
| 3   | 科学的介護推進情報(既往歴情報)                  | 既往歴情報(ICD10コードまたは傷病名コード)等     | ○    |
| 4   | 科学的介護推進情報(服薬情報)                   | 薬品コード等                        | ○    |
| 5   | 栄養・摂食嚥下情報                         | 身長、体重、栄養に関する情報等               | ○    |
| 6   | 栄養ケア計画等情報                         | 栄養ケア・経口移行・経口維持計画の分類等          | ○    |
| 7   | 口腔衛生管理情報                          | 口腔の状態、口腔衛生管理の実施内容等            | ○    |
| 8   | 口腔機能向上サービス管理情報                    | 口腔機能改善管理計画の目標、実施記録            | ○    |
| 9   | 興味関心チェック情報                        | 興味関心の該当有無等                    | ○    |
| 10  | 生活機能チェック情報                        | ADL、IADL、起居動作のレベル等            | ○    |
| 11  | 個別機能訓練計画情報                        | ICD10コード若しくは傷病名コード、個別機能訓練の項目等 | ○    |
| 12  | リハビリテーション計画書(医療介護共通部分)            | 原因疾病(ICD10コード若しくは傷病名コード)等     | ○    |
| 13  | リハビリテーション計画書(介護)                  | 環境因子、社会参加の状況、リハビリテーションサービス等   | ○    |
| 14  | リハビリテーション会議録(様式3情報)               | 開催日、開催時間、終了時間、参加者の職種等         | ○    |
| 15  | リハビリテーションマネジメントにおけるプロセス管理票(様式4情報) | プロセス管理の情報等                    | ○    |
| 16  | 生活行為向上リハビリテーション実施計画書(様式5情報)       | 通所訓練期の通所頻度、社会適応訓練期の通所頻度等      | ○    |
| 17  | 褥瘡マネジメント情報                        | 褥瘡発生日、褥瘡部位、褥瘡状態の評価等           | ○    |
| 18  | 排せつ支援情報                           | 排尿・排便の状態等                     | ○    |
| 19  | 自立支援促進情報                          | 支援計画の有無、座位保持_1日あたり(時間)等       | ○    |
| 20  | 薬剤変更情報                            | 薬品コード、ステータス(追加、薬剤変更、規格変更)等    | ○    |
| 21  | 薬剤変更情報(既往歴情報)                     | ICD10コード若しくは傷病名コード等           | ○    |
| 22  | ADL維持等情報                          | ADL評価日、ADLに関する情報等             | ○    |
| 23  | その他情報                             | 様々なアセスメント方式の評価結果、HDS-R、FIM等   | ○    |
| 24  | NPI評価尺度情報                         | 各項目の頻度、重症度、項目得点               | ▲    |

出所：厚生労働省、介護 DB データの提供についての説明資料①データ編

用者の状態や介護施設・事業所で行っているケアの計画・内容等を管理する科学的介護情報システム(LIFE)に登録されている高齢者の状態やケアの内容等に関する情報である<sup>10)</sup>。

#### 【自治体検診情報データベース(以下、自治体検診DB)】:

所管：厚生労働省 健康・生活衛生局健康課

今後構築が予定されている公的データベースである。本データベースは、全国の自治体を実施する各種検診の結果や関連情報を一元的に管理・活用することを目的としている。本データベースも電子カルテ情報DB同様、「全国医療情報プラットフォーム」の中核的構成要素の一つとして位置づけられており、これにより、自治体が保有する検診情報と医療機関・薬局等が保有する医療等情報

との間で、必要な情報の相互共有が可能となる仕組みの構築が目指されている。自治体検診の対象となる種類には、がん検診(胃がん、子宮頸がん、肺がん、乳がん、大腸がん)、骨粗鬆症検診、歯周疾患検診、肝炎ウイルス検診等が含まれる予定である。これらの検診情報については、制度面からの検討と標準規格化が行われ、自治体システムの標準化の状況を考慮しながら、連携を開始する予定である<sup>11)</sup>。

#### 【全国がん登録データベース(以下、全国がん登録DB)】:

所管：厚生労働省 健康・生活衛生局がん・疾病対策課

「がん登録等の推進に関する法律」に基づき、全国のがん患者に関する情報を一元的に管理する公

10) 厚生労働省老健局老人保健課、介護 DB データの提供についての説明資料 ① データ編  
<https://www.mhlw.go.jp/content/12301000/001320729.pdf>

11) 厚生労働省健康・生活衛生局健康課、第59回厚生科学審議会地域保健健康増進栄養部会 資料1「自治体検診DXについて」令和6年11月5日 <https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/001325267.pdf>



表8 全国がん登録の届出項目全26項目

| 分類     |       | 項目                                        |
|--------|-------|-------------------------------------------|
| 基本情報   |       | ①病院等の名称、②診療録番号、③カナ氏名、④氏名、⑤性別、⑥生年月日、⑦診断時住所 |
| 腫瘍の種類  |       | ⑧側性、⑨原発部位、⑩病理診断                           |
| 診断情報   |       | ⑪診断施設、⑫治療施設、⑬診断根拠、⑭診断日、⑮発見経緯              |
| 進行度    |       | ⑯進展度・治療前、⑰進展度・術後病理学的                      |
| 初回治療   | 観血的治療 | ⑱外科的、⑲鏡視下、⑳内視鏡的、㉑観血的治療の範囲                 |
|        | その他治療 | ㉒放射線療法、㉓化学療法、㉔内分泌療法、㉕その他治療                |
| 生存確認情報 |       | ㉖死亡日                                      |

出所：厚生労働省 第11回匿名医療情報等の提供に関する専門委員会 参考資料1（令和4年8月31日）

的データベースである<sup>12)</sup>。がんを診断したすべての医療機関には、がんと診断された患者の情報を都道府県知事に届け出ることが法律により義務付けられており、都道府県で集約された情報は国に報告され、全国がん登録として統合管理されている。これにより全国規模でのがん罹患状況の把握が可能となっている。本データベースでは、全国がん登録の届出項目全26項目が収集されており、これらの項目には、患者の基本情報、腫瘍に関する情報（原発部位、診断根拠、発見経緯、進展度（治療前・術後病理学的）等）、初回治療に関する情報（化学療法の有無等）、及び届出時点での情報（死亡日等）が含まれる（表8）。これにより罹患数の他に進行度や生存率等の情報を収集・分析が可能である<sup>13)</sup>。

#### 【指定難病患者データベース（以下、難病 DB）】：

所管：厚生労働省 健康・生活衛生局難病対策課

「難病の患者に対する医療等に関する法律（難病法）」に基づき、指定難病患者の診療情報を一元的に管理する公的データベースである。令和7年4月1日時点で対象となった指定難病は、348疾病にのぼる<sup>14)</sup>。本データベースには、指定医が作成する「臨床調査個人票」に記載されている情報が登録され、研究開発の推進や医療の質の向上を図ることを目的としている。この「臨床調査個人票」に記載される主な情報は6つである（図2）。姓名・生年月日といった患者の基礎的な情報の他、医療費助成の支給認定の審査に必要な診断基準及び症状の程度に関する情報、研究に用いられる臨床所見や検査所見等の情報が登録されている<sup>15)</sup>。

#### 【小児慢性特定疾病児童等データベース（以下、小慢 DB）】：

所管：厚生労働省 健康・生活衛生局難病対策課

児童福祉法に基づき、小児慢性特定疾病患者の情報を管理する公的データベースである。令和7年4月1日時点で対象となる疾病は801疾病<sup>16)</sup>にのぼり、小児期に発症する慢性疾患のほぼ全てを網羅している。これは世界的にも類を見ない規模の小児疾病登録データベースであり<sup>17)</sup>、本データベースには、指定医が作成する「医療意見書」に基づいて情報が登録されている。この「医療意見書」に記載される情報は8つである（図3）。姓名・生年月日といった患者の基礎的な情報の他、臨床所見、検査所見、経過、今後の治療方針等の情報が登録されている<sup>18)</sup>。

12) 国立研究開発法人国立がん研究センター、がん情報サービス 全国がん登録の情報の利用をご検討の皆様へ [https://ganjoho.jp/med\\_pro/cancer\\_control/can\\_reg/national/datause/general.html](https://ganjoho.jp/med_pro/cancer_control/can_reg/national/datause/general.html)

13) 厚生労働省、第11回匿名医療情報等の提供に関する専門委員会 参考資料1「公的データベースについて（参考資料）」令和4年8月31日 <https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/000982805.pdf>

14) 厚生労働省、指定難病 <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000084783.html>

15) 厚生労働省、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に関するホームページ [https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000078973\\_00001.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000078973_00001.html)

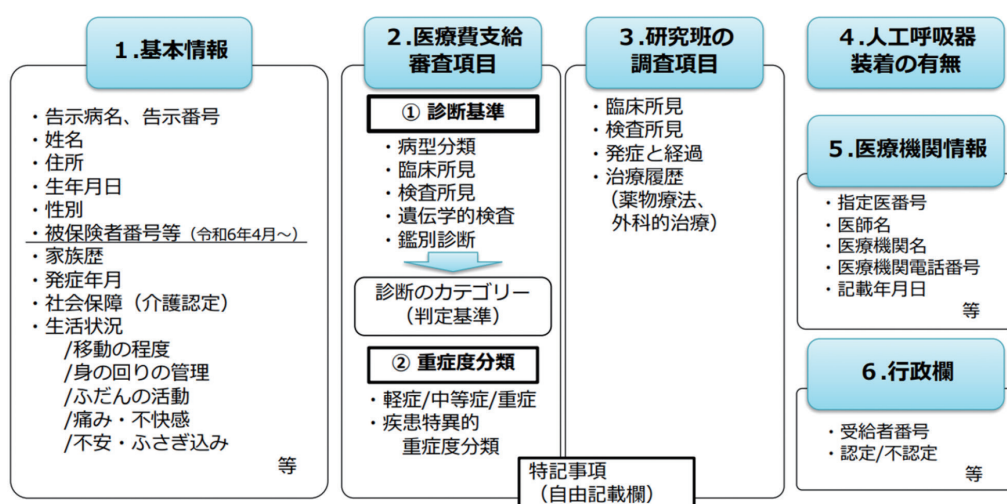
16) 小児慢性特定疾病情報センター、令和7年4月1日以降の小児慢性特定疾病の対象疾病リスト <https://www.shouman.jp/disease/R070401add>

17) 盛一享徳、小児慢性特定疾病児童等データベースの概要、保健医療科学 2023 Vol.72 No.4 p.303-309

18) 厚生労働省、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に関するホームページ [https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000078973\\_00001.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000078973_00001.html)

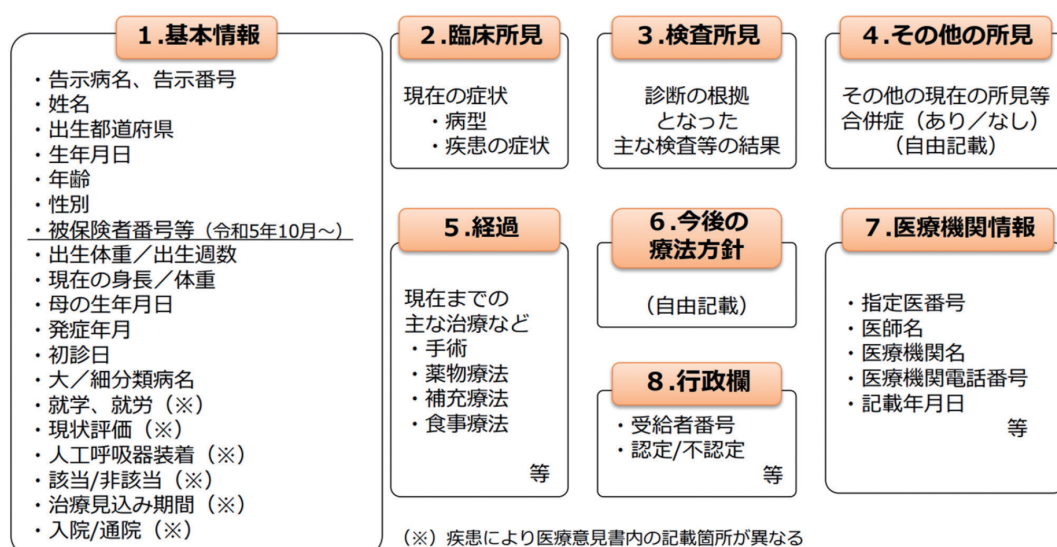


図2 「臨床調査個人票」に記載される情報



出所：厚生労働省 第1回匿名指定難病関連情報及び匿名小児慢性特定疾病関連情報の提供に関する有識者会議 資料2（令和5年11月10日）

図3 「医療意見書」に記載される情報



出所：厚生労働省 第1回匿名指定難病関連情報及び小児慢性特定疾病関連情報の提供に関する有識者会議 資料2（令和5年11月10日）

## 【匿名感染症関連情報データベース（以下、iDB）】：

所管：厚生労働省 健康・生活衛生局感染症対策部 感染症対策課

「感染症の予防及び感染症の患者に対する医療に関する法律（感染症予防法）」に基づき、医師による届出（発生届）に関して国が報告を受けた感染症の発生状況や患者情報を一元的に管理する公

的データベースである<sup>19)</sup>。本データベースには、発生届等の情報（発症日、診断日等）、症状、診断方法、感染経路、感染原因等の感染症の発生状況や患者情報等、感染症の疫学的把握に必要な情報が格納されている（図4）。令和6年4月の法改正により、第三者提供の枠組みも整備された。なお、令和6年4月時点では、新型コロナウイルス感染

19) 厚生労働省健康・生活衛生局感染症対策部感染症対策課、匿名感染症関連情報データベース（iDB）の利用に関するガイドライン第2版（令和6年11月）<https://www.mhlw.go.jp/content/001341375.pdf>

図4 匿名感染症関連情報データベースの格納情報の詳細

#### 提供が可能な項目（イメージ）

患者属性（性別・生年月・年齢・住所） 診断情報（診断年月日、病原体に感染したと推定される年月日、発病年月日、死亡年月日 等）  
その他（入院の必要性の有無、重症化リスク因子となる疾患等の有無、重症度 等）

→第1回有識者会議にて委員から出された連結後の活用例

（例）コロナ罹患後の罹患後症状の変化に関する分析

コロナ罹患前後の要介護度・ADL・介護サービス変化の分析

コロナ罹患者の発病日・死亡日、予防接種接種歴等を用いた分析

- ※ 当該者住所、当該者所在地、従事する病院・診療所の所在地については、その提供の範囲を原則都道府県単位とし、市町村単位の必要性については審査会にて判断
- ※ 感染原因・感染経路、感染地域、新型コロナウイルスワクチン接種歴については、自由記載を除く

#### 提供対象としない項目（イメージ）

患者等の個人情報（氏名、職業、電話番号、保護者氏名及び住所・電話番号(感染者が未成年の場合)、医師の氏名、等）

患者の行動履歴・健康観察情報 等

出所：厚生労働省、第2回匿名感染症関連情報の第三者提供に関する有識者会議（令和5年7月24日）資料1

症（COVID-19）に関する情報のみが提供対象となっている<sup>20)</sup>。

#### 【予防接種等関連情報データベース（以下、予防接種DB）】：

所管：厚生労働省 健康・生活衛生局感染症対策部予防接種課

現在構築中の公的データベースであり、「予防接種法」に基づいて整備が進められている。予防接種等の有効性及び安全性の向上を図るために必要な調査及び研究が可能となるよう検討されている<sup>21)</sup>。本データベースには、自治体が記録・保存している予防接種の実施状況等に係る情報（被接種者の生年月日や性別、接種年月日、接種場所、接種したワクチンの種類等）と、医師等から報告される副反応疑い報告に関する情報（ワクチンの種別や製造販売業者名、ロット番号、接種回数、主たる症状、発生日時等）が格納される予定である（図5）。

図5 予防接種等関連情報データベースの格納予定情報

| 予防接種の実施状況等に係る情報                                                                                                                             | 副反応疑い報告に関する情報                                                                                                                                                                                                            |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>・生年月日</li> <li>・性別</li> <li>・接種年月日</li> <li>・接種場所</li> <li>・接種したワクチンの種類</li> <li>・ロット情報 等</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>・性別/年齢（接種時点）</li> <li>・ワクチンの種別</li> <li>・製造販売業者名</li> <li>・接種回数</li> <li>・ロット番号</li> <li>・基礎疾患（既往歴を含む）</li> <li>・薬物または食物アレルギー歴</li> <li>・主たる症状、その他の症状</li> <li>・発生日時 等</li> </ul> |

※ 死亡情報の連携・利活用については検討中。

出所：第102回厚生科学審議会予防接種・ワクチン分科会副反応検討部会、令和6年度第4回薬事審議会医薬品等安全対策部会安全対策調査会（合同開催）資料5（令和6年7月29日）

#### 【障害福祉サービスデータベース（以下、障害福祉DB）】：

所管：厚生労働省 社会・援護局障害保健福祉部企画課、こども家庭庁 支援局障害児支援課  
障害者総合支援法及び児童福祉法に基づき、障害者及び障害児に対する福祉サービスの提供状況や支援区分の認定情報等を一元的に管理する公的データベースである。本データベースには、障害支援区分認定データ（障害支援区分認定情報）、障害福祉サービス等給付費等明細書データ（障害福祉レセプト情報）、台帳情報データ（台帳情報）が格納されている（図6）<sup>22)</sup>。

20) 厚生労働省、匿名感染症関連情報の第三者提供の利用に関するホームページ

[https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou\\_iryuu/kenkou/kekaku-kansenshou/idb\\_index.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/kenkou/kekaku-kansenshou/idb_index.html)

21) 厚生労働省 第102回厚生科学審議会予防接種・ワクチン分科会副反応検討部会、令和6年度第4回薬事審議会医薬品等安全対策部会安全対策調査会（合同開催）資料5「予防接種データベースについて」令和6年7月29日  
<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/001281051.pdf>

22) 厚生労働省社会・援護局障害保健福祉部企画課こども家庭庁支援局障害児支援課、第1回匿名障害福祉及び障害児福祉情報等の提供に関する専門委員会 資料2-1「障害福祉DBデータについて」令和6年9月18日  
<https://www.mhlw.go.jp/content/12201000/001304808.pdf>

図6 障害福祉サービスデータベースの格納情報の詳細

| 情報名                           | 主な項目                                                                                                                       |
|-------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 事業所台帳情報<br>(基本情報、サービス情報)      | 事業所番号、事業所名称、法人種別、サービス種類、利用定員数、加算情報等                                                                                        |
| 障害児施設台帳情報<br>(基本情報、サービス情報)    | 事業所番号、施設名称、法人種別、サービス種類、入所定員数、施設情報、設備情報、加算情報等                                                                               |
| 受給者台帳情報<br>(基本情報、支給決定情報)      | 匿名化受給者証番号、ID4、障害支援区分、利用者負担上限額情報、補足給付情報、計画相談支援情報、独自助成対象者区分、介護保険給付対象者有無、重度包括支援対象者有無、高額障害福祉サービス等給付費情報、決定サービスコード、決定支給量、決定支給期間等 |
| 障害児支援受給者台帳情報<br>(基本情報、支給決定情報) | 匿名化受給者証番号、ID4、利用者負担上限額情報、障害児相談支援情報、多子軽減対象区分、独自助成対象者区分、無償化対象区分、決定サービスコード、決定支給量、決定支給期間等                                      |
| 給付費明細データ<br>(障害福祉サービス)        | 事業所番号、匿名化受給者証番号、上限額管理事業所、当該事業所への通所日数、給付単位数、総費用額、利用者負担額、給付費、サービス提供年月、サービス種類コード、サービスコード、サービス開始日・終了日、利用日数、単位数、回数、契約支給量等       |
| 計画相談給付費明細データ<br>(障害福祉サービス)    | 事業所番号、匿名化受給者証番号、サービス提供年月、件数、モニタリング日、単位数、請求額、サービスコード、回数等                                                                    |
| 給付費明細データ<br>(障害児支援)           | 事業所番号、匿名化受給者証番号、上限額管理事業所、給付単位数、総費用額、利用者負担額、給付費、サービス提供年月、サービス種類コード、サービスコード、サービス開始日・終了日、利用日数、単位数、回数、契約支給量等                   |
| 障害児相談給付費明細データ<br>(障害児支援)      | 事業所番号、匿名化受給者証番号、サービス提供年月、件数、モニタリング日、単位数、請求額、サービスコード、回数等                                                                    |
| 障害支援区分認定データ                   | 市町村番号、匿名化受給者証番号、給付区分、障害種別、年齢階級、概況調査情報、認定調査情報、医師意見書情報、難病名、判定スコア、総合評価項目得点、一次判定日、二次判定日等                                       |

出所：厚生労働省、第11回匿名医療情報等の提供に関する専門委員会 参考資料1（令和4年8月31日）

## ●認定データベース

### 【次世代医療基盤法の認定事業者のデータベース（以下、次世代DB）】：

厚生労働大臣等が直接保有する公的データベースではなく、次世代医療基盤法に基づき認定を受けた民間の事業者が保有・運用する認定データベースである。令和7年4月末時点の認定匿名加工医療情報作成事業者には、「一般社団法人ライフデータイニシアティブ（LDI）」、「一般財団法人日本医師会医療情報管理機構（J-MIMO）」、「一般財団法人匿名加工医療情報公正利用促進機構（FAST-HDJ）」がある。収集される情報の内容は認定事業者ごとに若干異なるが、令和7年5月末時点で、急性期病院を中心に全国153の協力医療機関から約499万人分の情報を収集している<sup>23)</sup>。格納されている情報には、患者情報や診療行為等のレセプト情報、入退院情報、診断群分類等のDPC

データ、処方箋や検査結果等の構造化データに加え、経過記録や臨床サマリー等の非構造化データを含む（表9）。

## 3. 調査方法

### 3.1. 調査概要

本稿は、2025年3月14日から4月14日までの期間に、日本製薬工業協会（以下、製薬協）の医薬品評価委員会に所属する加盟74社（原則として各社あたり最大5部門：研究、臨床開発、市販後安全性、メディカル・アフェアーズ、医療経済・アウトカムズリサーチ）を対象として、医薬産業政策研究所が実施した「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」に基づくものである。当該調査の詳細は前報の調査方法に記載した。

23) 内閣府、次世代医療基盤法実績データ（2025年5月末）  
<https://www8.cao.go.jp/iryou/gaiyou/gaiyou.html>



表9 認定匿名加工医療情報作成事業者が収集する情報

| LDI<br>(2024年事業計画書) |                                                                                  | J-MIMO<br>(2024年事業計画書) |                                                                                                                                                                                                                                          | FAST-HDJ<br>(2024年事業計画書) |                                                                                                 |                                                                                                                                                                     |
|---------------------|----------------------------------------------------------------------------------|------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 属性                  | 内容                                                                               | 属性                     | 収集する医療情報等                                                                                                                                                                                                                                | 収集する医療情報                 | 属性                                                                                              |                                                                                                                                                                     |
| 基本情報                | 患者情報、健康保険情報                                                                      | 基本情報                   | ・氏名、性別、生年月日<br>・保険情報<br>・審査支払機関情報、保険者情報、被保険者情報<br>・公費に関する情報<br>・区分・公費・負担割合・課税所得区分など<br>・医療機関・薬局情報<br>・カルテ番号、調剤録番号、診療・調剤年月、保険医氏名、麻薬免許番号<br>・要介護認定情報                                                                                       | SS-MIX2<br>標準ストレージ       | ・患者基本情報<br>・アレルギー情報<br>・処方、注射<br>・検体検査結果<br>・入退院・外来受診<br>・食事オーダー<br>・放射線・生体検査オーダー<br>・内視鏡検査オーダー |                                                                                                                                                                     |
| 診療行為                | 診断履歴情報、基礎的診断情報、初診時特有情報、経過記録情報<br><br>手術記録情報、臨床サマリ情報、検歴情報、バイタルサイン体温表、注射記録、透析、汎用措置 |                        | 診療行為関連情報                                                                                                                                                                                                                                 |                          |                                                                                                 | ・診療行為に対応する傷病名情報<br>・診療行為の内容に関する情報<br>・実施年月日、診療内容、検査、処置、処方・調剤、手術、麻酔、輸血、移植、食事、リハビリ情報等<br>・DPC病院入院関連情報<br>・入院情報(病棟移動等)、前回退院年月、入院時年齢、出生時体重、Burn Index、重症度等<br>・症状に関する情報 |
| レポート情報              | 報告書情報                                                                            | レポート等                  | ・DPCデータ<br>・検査結果(血算・生化学・生理など)<br>・画像、画像診断レポート<br>・病理レポート<br>・看護サマリ<br>・退院時サマリ<br>・診療情報提供書<br>・健診情報(妊婦、乳幼児、学校健診、定期健康診断、特定健診、後期高齢者健康診査など)<br>・介護情報(ケアサービス計画、主治医意見書、訪問看護指示書等)<br>・死亡情報(死亡診断書、死体検案書)<br>・生活情報(かかりつけ連携手帳、歯科診療・歯科レポート、調剤レポート等) | DPCデータ                   | ・様式1 (診療録情報)<br>・Eファイル (診療明細情報)<br>・Fファイル (行為明細情報)<br>・Dファイル (包括レポート情報)<br>・Hファイル (日ごとの患者情報)    |                                                                                                                                                                     |
| レポート情報              | 医科入院、医科入院外、DPCレポート                                                               |                        |                                                                                                                                                                                                                                          |                          |                                                                                                 |                                                                                                                                                                     |
| DPC情報               | 様式1、3、D、E、F、EF統合、Hファイル                                                           |                        |                                                                                                                                                                                                                                          | レポート                     | レポート                                                                                            | ・医科レポート<br>・調剤レポート<br>・DPC レポート                                                                                                                                     |
| 画像情報                | 単純X線、CT、MRI、エコー等(DICOM)の画像情報及び付帯情報                                               |                        |                                                                                                                                                                                                                                          |                          |                                                                                                 |                                                                                                                                                                     |
| その他情報               | 生活習慣情報、紹介状、処方箋                                                                   |                        |                                                                                                                                                                                                                                          |                          |                                                                                                 |                                                                                                                                                                     |

出所：内閣府健康・医療戦略推進事務局、改正次世代医療基盤法の施行について（令和6年7月26日）

3.2. 本稿における回答者

前報に示した通り、当該調査結果では計139件の有効回答を得た。本稿では、この139件のうち、今後の研究・分析活動における公的データベース等の活用に関して、「強く意向がある」と回答した24件及び「意向がある」と回答した71件の合計95件を対象に、ユースケースの傾向を分析したものである。なお、ユースケースは1部門につき最大3件まで回答可能な形式で収集しており、回答は企業単位ではなく延べ部門単位で集計した（表10）。

4. 結果

4.1. 公的データベースを活用して研究・分析の対象としたい領域

本項では、調査項目の一つである「今後、公的データベース等を活用して取り組みたい具体的な研究・分析の構想」に関する設問に基づき、各ユースケースの対象となる疾患領域を分析した。なお、当該調査では本項目への回答は各回答において最大3件までとなっており、すべての意向は反映できていない可能性がある点は、解釈に注意が必要である。

「将来的に公的データベース等を活用して研究・分析の対象として取り組みたいと考えられている領域」として最も多く挙げられたのは「抗悪性腫瘍剤」であり、全体の43.2%でこの領域が選択されていた。次いで、「全身性抗感染症薬（ワクチンを含む）」が18.9%、「循環器官用剤」が15.8%、そして「神経系用剤」が14.7%と続いた。また、「特定の疾患領域はない（基礎研究・横断的研究等）」の回答も30.5%に達し、特定疾患に依存しない横断的かつ構造的な研究テーマを志向する傾向も伺えた。さらに、「その他」として自由記載された領域は多岐にわたり、希少疾病、小児領域、及び指定難病といった領域が複数挙げられていた（図7）。

4.2. 各ユースケースにおいて活用を想定している公的データベース等の種類

続いて、「各ユースケースにおいて利活用を想定している公的データベース等の種類」について分析を行った。

本設問では、複数のデータベースを組み合わせで利活用することが想定される場合には、該当す



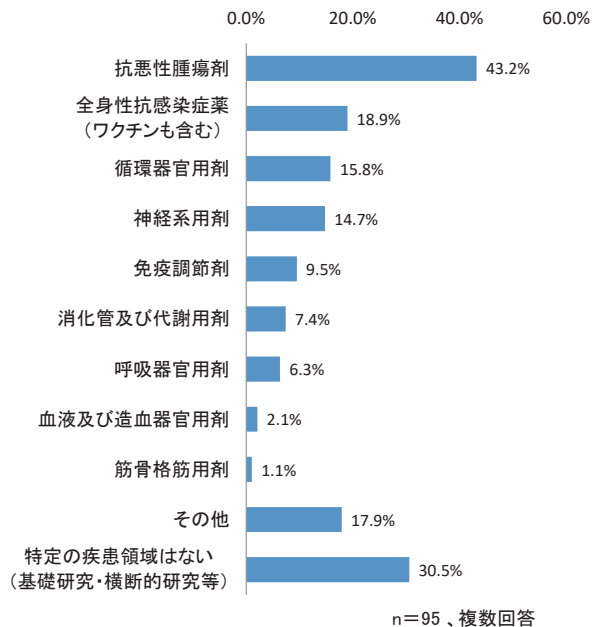
表10 本稿で扱う調査回答者

| 回答部門                      | 計   |        |
|---------------------------|-----|--------|
|                           | 件数  | 構成比    |
| 強く意向がある（積極的に活用したい）        | 24  | 17.3%  |
| 意向がある（必要に応じて活用したい）        | 71  | 51.1%  |
| あまり意向はない（活用の必要性は低いと考えている） | 37  | 26.6%  |
| 意向はない（活用は想定していない）         | 7   | 5.0%   |
| 計                         | 139 | 100.0% |

注：本表は、今後の研究・分析活動における公的データベース等の活用に対する意向について、全体回答139件をもとに集計したものである。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

図7 ユースケースにおいて想定されている研究・分析の対象疾患領域

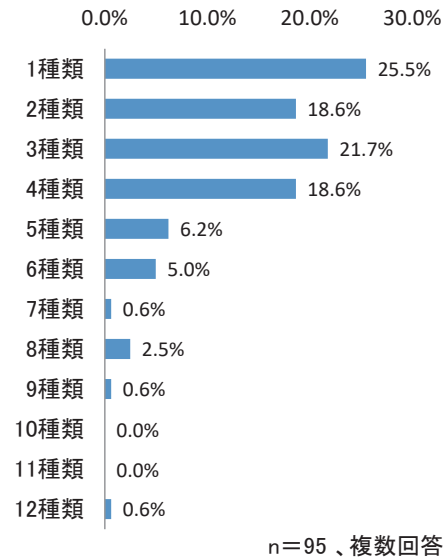


注：本図は、今後の研究・分析活動における公的データベース等の活用について、「強く意向がある」または「意向がある」と回答した95件を対象に、それぞれのユースケースで想定されている研究・分析対象の疾患領域を集計したものである。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

るすべてのデータベースを選択する形式とした。その結果、1種類のみ（単体）のデータベースを選択した回答者が25.5%と最も多かったものの、次いで、3種類（21.7%）、2種類（18.6%）、4種類（18.6%）と、複数のデータベースの情報を連結して利活用したいとする回答も多く見られた（図8）。2種類以上のデータベースの情報を連結

図8 1 ユースケースあたりで活用を検討している公的データベース等の種類数の分布



注：本図は、今後の研究・分析活動における公的データベース等の活用について、「強く意向がある」または「意向がある」と回答した95件を対象に、それぞれのユースケースにおいて将来的に活用を検討している公的データベース等の種類数を集計したものである。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

して利活用したいとする回答を合計すると、全体の約74.5%に上り、単体のデータベースの利活用を大きく上回っていた。

公的データベース等の組み合わせの内訳を分析すると（表11）、特に、「NDB、電子カルテ情報DB」や「NDB、次世代DB」、「NDB、DPCDB」といったNDBを中心とした2種類の組み合わせが多く見られた。また、3種類以上のデータベースを組み合わせた利活用も複数回答にみられ、

表11 ユースケースにおける公的データベース等の組み合わせ上位例（抜粋）

| NDB | 電子カルテ情報 DB | 次世代 DB | DPCDB | その他 DB     | 件数 |
|-----|------------|--------|-------|------------|----|
| ○   | ○          |        |       |            | 70 |
| ○   |            | ○      |       |            | 51 |
| ○   | ○          |        | ○     |            | 51 |
|     | ○          | ○      |       |            | 43 |
|     | ○          |        | ○     |            | 38 |
| ○   | ○          | ○      |       |            | 38 |
| ○   | ○          |        | ○     |            | 35 |
|     | ○          |        | ○     |            | 32 |
| ○   |            | ○      | ○     |            | 29 |
| ○   |            |        |       | ○全国がん登録 DB | 25 |
|     |            | ○      |       | ○全国がん登録 DB | 22 |
|     | ○          |        |       | ○全国がん登録 DB | 21 |
| ○   |            |        |       | ○介護 DB     | 19 |
| ○   |            |        |       | ○難病 DB     | 18 |
| ○   |            |        |       | ○自治体検診 DB  | 18 |
| ○   | ○          |        |       | ○全国がん登録 DB | 18 |

注：本図は、今後の研究・分析活動における公的データベース等の活用について、「強く意向がある」または「意向がある」と回答した95件を対象に、それぞれのユースケースにおいて将来的に活用を検討している公的データベース等のうち、使用意向の件数が多かった上位を抜粋して整理したものである。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

「NDB、電子カルテ情報DB、次世代DB」や「NDB、電子カルテ情報DB、DPCDB」といった組み合わせが多く挙げられていた。

さらに、全国がん登録 DB、難病 DB 等特定疾患に特化したデータベースについても、多くの回答者が利活用を希望していた。また、自治体検診 DB や介護 DB 等地域に根ざした医療・介護情報を扱うデータベースも連結対象として挙げられていた。

#### 4.3. 部門別の公的データベース等の活用目的

本項では、調査項目の中で「将来的に実施してみたい研究・分析の目的や内容」に関する設問の自由回答を精査し、共通するテーマやカテゴリーに基づいて整理を行った。特に、「公的データベース等の活用目的」について、部門ごとに分類・整理している。ここでいう「活用目的」とは、公的データベース等を将来的にどのようなニーズや課題に対応するために活用したいと考えているかを記述したものであり、ユースケースの背景にある目的意識を明らかにするものである（表12）。

研究部門については、「医療への社会的需要の分析」、「未充足ニーズと治療状況の調査」、「疾患に関する統計と分析」、「治療と予後の評価」といった4つのカテゴリーに分類された。主な具体事例としては、「アンメットメディカルニーズに対する潜在的な患者数の分析」、「AIを用いた予測患者層に基づく創薬ターゲットの特定」や、「予防的介入や発症早期の介入がもたらす医療的及び医療経済的なメリットの評価と算出」が挙げられていた。また、特定の年齢層に関する内容として、「小児用医薬品の先行開発研究や医薬品市場分析会社においてカバーされていない高齢者診療情報の分析」等も挙げられていた。

臨床開発部門については、「臨床試験と治療戦略」、「承認と申請プロセス」、「疾患分布とデータ分析」、「長期評価と予後」といった4つのカテゴリーに分類された。主な具体事例としては、「臨床試験の企画における患者数の把握」、「ワクチンと感染症治療薬の有効性評価」、「がんステージ毎の治療状況やがん種毎の予後の解析」や、「希少疾患や難病における疾患自然歴の分析」等が挙げられ

表12 部門別のユースケースの活用目的

| 研究部門                                                                                                                                                                                                                                                    | 臨床開発部門                                                                                                                                                                                                                                                                       | 市販後安全性部門                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  | メディカル・アフェアーズ部門                                                                                                                                                                                                                                                                                                        | 医療経済・アウトカムズリサーチ部門                                                                                                                                                                                                                                                            |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>【医療への社会的需要の分析】</b><br>・医療費の分析<br>・想定患者数の把握<br>・高齢者情報の分析<br><br><b>【未充足ニーズと治療状況の調査】</b><br>・未充足ニーズの調査<br>・アンメットメディカルニーズの調査<br>・現治療割合の分析<br><br><b>【疾患に関する統計と分析】</b><br>・疾患や重症度毎の患者数の分析<br>・重症度毎の分析<br><br><b>【治療と予後の評価】</b><br>・治療や安全性仮説の検証<br>・予後の解析 | <b>【臨床試験と治療戦略】</b><br>・ヒストリカルコントロール<br>・開発計画の立案<br>・外部対照<br><br><b>【承認と申請プロセス】</b><br>・承認申請<br><br><b>【疾患分布とデータ分析】</b><br>・地域別疾患分布の把握<br>・シグナル検出に用いる疾患背景情報の分析<br>・ワクチンと感染症治療薬の有効性評価<br>・がんステージ毎の治療状況やがん種毎の予後の解析<br><br><b>【長期評価と予後】</b><br>・長期暴露化のアウトカム評価<br>・ペイシェントジャーニーの調査 | <b>【シグナル評価と因果関係の検討】</b><br>・重篤な皮膚障害に関する分析<br>・軽度な消化器障害に関する分析<br>・医薬品の使用有無による因果関係の検討<br><br><b>【疫学調査とリスク要因の分析】</b><br>・特定のアウトカムの発現率を比較し、重症化リスク要因を検証<br>・副作用の発現におけるリスク要因を分析<br>・薬物療法における心血管イベント抑制効果の検討<br><br><b>【製造販売後データベース調査とリスク評価】</b><br>・比較対照群を設定し、患者の長期フォローアップの実施<br>・妊産婦への投与に関する安全性情報の収集<br><br><b>【ファーマコビジランスとモニタリング】</b><br>・背景疾患群における傷病の発生状況の可視化 | <b>【実臨床下における医薬品の評価とエビデンスの創出】</b><br>・医薬品の治療実態を踏まえた有効性や安全性の検討<br>・長期的な予後から医薬品の臨床的意義を評価する研究<br><br><b>【希少・難病疾患に関する研究】</b><br>・処方後の患者アウトカムの評価<br>・疾患特有のアンメットメディカルニーズに関する調査<br>・ペイシェントジャーニーの調査<br><br><b>【予防接種における医療・介護に関する横断的な分析】</b><br>・予防接種の有無による感染症発症や疾患予後への影響評価<br>・予防接種後の副反応や安全性に関する評価<br>・実臨床における予防接種の効果と費用対効果の分析 | <b>【治療や予防介入におけるアウトカムの評価】</b><br>・処方後の患者アウトカム（死亡や後遺症等）の評価<br>・医薬品の疾病予防効果の検証<br>・予防接種の有効性や安全性の評価<br><br><b>【医療・介護を含む経済的影響の評価】</b><br>・治療介入が医療・介護費用に与える長期影響の評価<br>・医療・介護を含む費用対効果の分析<br>・医療保険の範囲を超えた医薬品の価値評価<br><br><b>【処方と治療の実態把握の分析】</b><br>・処方や治療の実態に関する調査<br>・ペイシェントジャーニーの調査 |

注：本表は「将来的に実施してみたい研究・分析の目的や内容」について、回答者からの自由回答を医薬産業政策研究所にて精査し、部門ごとに整理したものである

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

た。また、より具体的な状態や疾患に関する内容として、「心血管系や腎臓に関連する状態や疾患（拡張型心不全／収縮型心不全、急性心筋梗塞、心血管疾患＋慢性腎疾患）や代謝や内分泌に関連する状態や疾患（2型糖尿病、肥満、高BMI、メタボリック関連脂肪性肝炎）を有する患者が存在する施設群の特定や治療歴等の分析」、「潰瘍性大腸炎患者に関する再発状況及び処方薬の変化」や、「大腸がん等の関連疾患の発症リスクに関する長期の追跡研究」等も挙げられていた。

市販後安全性部門については、「シグナル評価と

因果関係の検討」、「疫学調査とリスク要因の分析」、「製造販売後データベース調査とリスク評価」、「ファーマコビジランスとモニタリング」といった4つのカテゴリーに分類された。主な具体事例としては、「診断コードが付与されにくい副作用である比較的軽度な消化器障害に関する分析」や、「重篤な皮膚障害を有する抗悪性腫瘍剤における治療状況、併用薬、既往歴等、転帰に与える影響の分析」等が挙げられていた。

メディカル・アフェアーズ部門については、「実臨床下における医薬品の評価とエビデンスの創

出]、「希少・難病疾患に関する研究」、「予防接種における医療・介護に関する横断的な分析」といった3つのカテゴリーに分類された。主な具体事例としては、「抗悪性腫瘍剤を用いた治療におけるアウトカムの評価」、「予防接種の有無による感染症の罹患状況や地域差の解析」や、「予防接種の効果や費用対効果に関する研究」等が挙げられていた。さらに、小児の希少疾患において、「診断までの期間や治療の経過を探ることを目的としたペイシエントジャーニーに関する調査」や「精神疾患患者を対象とした予後や介護・障害福祉サービスの分析」等が挙げられていた。

医療経済・アウトカムズリサーチ部門については、「治療や予防介入におけるアウトカムの評価」、「医療・介護を含む経済的影響の評価」、「処方と治療の実態把握の分析」といった3つのカテゴリーに分類された。主な具体事例としては、「循環器領域での疾患の種類やその進行段階に応じた医療費及び医療資源使用状況の実態把握」、「予防接種による疾患予防効果の評価」や、「介護費用までも考慮した費用対効果分析」が挙げられていた。

3部門（臨床開発、メディカル・アフェアーズ、医療経済・アウトカムズリサーチ）に共通する点としては、患者の経過を時系列で捉える「ペイシエントジャーニー」の可視化に関心が寄せられていた。

#### 4.4. 部門別のユースケースの詳細

本項では、「特に利用したいデータベース及び具体的なデータ内容や情報」に関する設問に寄せられた自由回答を精査し、具体的なユースケースとして5項目（疾患領域、期待される効果、ユースケースの説明、連結を希望するデータベース、データベース連結時に希望するデータ項目）を部門別に整理した。

なお、ユースケースは複数のデータベースにあるデータの連結を想定しているものを選択し、医薬産業政策研究所にて同様の目的や意図を持つケースを可能な範囲で集約、追記、補足等を行って作成した。ただし、自由回答で記載された内容の整理に限界があり、記載したデータ項目の粒度には一定のばらつきが見られる。なお、「期待される効果」とは、その研究等により、実際に得られる結果や改善点を示すものであり、「ユースケースの説明」とは、具体的に何を行うのかを示すものとして整理している。

研究部門については、主なユースケースとして、基礎研究や横断的研究等において、7種類のデータベースの情報を幅広く利活用することで、「アンメットメディカルニーズを把握し、それぞれのニーズに対する潜在的な患者数、重症度毎の患者数、現治療割合や、予後等の解析」を行うケースが挙げられた（表13）。これにより、広い領域で、「新薬候補の選定や新しい治療法の必要性を評価

表13 研究部門におけるユースケース

| 疾患領域                     | 期待される効果                         | ユースケースの説明                                       | 連結を希望するデータベース | データベース連結時に希望するデータ項目                                         |
|--------------------------|---------------------------------|-------------------------------------------------|---------------|-------------------------------------------------------------|
| 特定の疾患領域はない（基礎研究・横断的研究など） | 新薬候補の選定や新しい治療法の必要性を評価するための基盤となる | アンメットメディカルニーズに対する潜在的な患者数、重症度毎の患者数、現治療割合や、予後等の解析 | NDB           | ・レセプト情報（診療行為等、請求点数）                                         |
|                          |                                 |                                                 | DPCDB         | ・病名 ・病期分類 ・公費<br>・先進医療等の実施状況                                |
|                          |                                 |                                                 | 電子カルテ情報 DB    | ・投薬 ・症状 ・臨床検査値の変遷                                           |
|                          |                                 |                                                 | 次世代 DB        | ・研究情報（技術名、対象疾患名）                                            |
|                          |                                 |                                                 | 難病 DB         | ・研究班の調査項目全て ・病名 ・発症年月<br>・生活情報 ・診断基準 ・重症度分類<br>・発症と経過 ・治療履歴 |
|                          |                                 |                                                 | 全国がん登録 DB     | ・基本情報 ・腫瘍情報 ・初回の治療情報                                        |
|                          |                                 |                                                 | 小慢 DB         | ・疾患名 ・患者数 ・治療法 ・臨床所見<br>・検査所見 ・その他の所見 ・経過                   |

注：本表は「特に利用したいデータベース及び具体的なデータ内容や情報」について、回答者からの自由回答を医薬産業政策研究所にて精査し、追記・整理したものである  
 出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成



し、効果を検証できる可能性」が期待されている。特に、利用したい具体的なデータ項目として、「患者の基本情報となる項目」に加え、「それらの重症度等病状に関する項目」、そして「治療や検査値等所見」や、「研究情報」等幅広い項目が挙げられている点が特徴的であった。

臨床開発部門については、主なユースケースとして、3つをとりあげる（表14）。一つ目は、抗悪性腫瘍剤領域の「開発計画立案時における情報収集に関わる活用」である。4種類のデータベースの情報を利活用することで、「対象患者数の把握、組み入れ候補患者の特定、治療歴や治療実態の把握、実施施設の選定、組み入れ基準の検討や、外部対照群設置の検討」を行うケースが挙げられた。これら情報を収集することにより「開発計画立案における適正化と効率化」が期待されている。特に、電子カルテ情報 DB に関しては、治療に関する詳細情報として、「医薬品の予後に関するデータ」や「画像データ」の開示を求める要望が見ら

れた。なお、ここでは抗悪性腫瘍剤領域として示したが、その他の領域での利用を考える声も寄せられており、広い分野での活用の可能性があるといえる。

二つ目は、全身性抗感染症薬領域の「新しい治療法やワクチンの開発に向けた研究の基盤」として4種類のデータベースの情報を利活用し、予防接種の有無から、感染症の発生とその治療、死亡（転帰）までの情報を解析し、「ワクチンや感染症治療薬の有効性評価」を行うといったケースが挙げられた。NDB の情報の中では、COVID-19感染後の後遺症に関する発生率や経過、治療状況等を分析するために、「耳鼻咽喉科に関連する症状（感染後の嗅覚及び味覚障害）に関するデータ」が求められていた。

三つ目は、その他（小児の希少疾患）領域において、3種類のデータベースの情報を利活用することにより、「臨床試験における対照群への利用」のケースが挙げられた。このような利活用により

表14 臨床開発部門におけるユースケース

| 疾患領域              | 期待される効果                    | ユースケースの説明                                                | 連結を希望するデータベース | データベース連結時に希望するデータ項目                                                       |
|-------------------|----------------------------|----------------------------------------------------------|---------------|---------------------------------------------------------------------------|
| 抗悪性腫瘍剤            | 開発計画立案における適正化と効率化          | 対象患者数把握、組み入れ候補患者特定、治療歴・治療実態把握、実施施設選定、組み入れ基準検討、外部対照群設置の検討 | NDB           | ・レセプト情報（患者情報、疾患名、診療行為）<br>・死亡情報 ・施設情報 ・患者数                                |
|                   |                            |                                                          | 電子カルテ情報 DB    | ・患者情報 ・診療内容 ・傷病名<br>・治療の詳細情報（過去の治療、医薬品の種類・効果・予後、画像データ） ・検査所見 ・処方<br>・注射記録 |
|                   |                            |                                                          | 次世代 DB        | ・電子カルテ                                                                    |
|                   |                            |                                                          | 全国がん登録 DB     | ・罹患情報 ・疾患詳細情報 ・診療内容 ・転帰                                                   |
| 全身性抗感染症薬（ワクチンも含む） | 新しい治療法やワクチンの開発に向けた研究の基盤となる | ワクチンや感染症治療薬の有効性評価                                        | NDB           | ・レセプト情報（傷病名、入院日） ・治療<br>・死亡情報（傷病名、入院日、死亡日）<br>・耳鼻咽喉科関連症状（嗅覚、味覚障害など）       |
|                   |                            |                                                          | 電子カルテ情報 DB    | ・感染症の検査結果                                                                 |
|                   |                            |                                                          | 予防接種 DB       | ・予防接種情報（ワクチン接種日、ワクチン名）                                                    |
|                   |                            |                                                          | iDB           | ・感染症の発生情報（検査結果）                                                           |
| その他（希少疾患、小児疾患）    | 比較試験で困難な疾患領域における対照群の設定の実現  | 臨床試験におけるコントロールアームへの利用                                    | NDB           | ・レセプト情報（患者情報、疾患名、診療行為、請求点数） ・死亡情報                                         |
|                   |                            |                                                          | 電子カルテ情報 DB    | ・患者情報 ・診療内容 ・傷病名 ・検査所見<br>・処方 ・アウトカム情報（バイオマーカー、クリニカルエンドポイント） ・転帰 ・画像データ   |
|                   |                            |                                                          | 小慢 DB         | ・基本情報 ・臨床所見（疾病情報、治療情報）<br>・経過                                             |

注：本表は「特に利用したいデータベース及び具体的なデータ内容や情報」について、回答者からの自由回答を医薬産業政策研究所にて精査し、追記・整理したものである  
 出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

「比較試験が困難な疾患領域における対照群の設定の実現」が期待されている。臨床的な有効性、安全性評価に利用するために必要な「クリニカルエンドポイント（検査項目等）の情報」、「転帰（死亡情報）」、「薬剤情報」等の開示が求められていた。

市販後安全性部門については、主なユースケースとして、2つをとりあげる（表15）。一つ目は、抗悪性腫瘍剤領域の「医薬品の潜在的な有害事象を調査する研究」のケースである。3種類のデータベースの情報を利活用することにより、「抗悪性腫瘍剤に関連する有害事象の早期特定とリスク評価」が期待されている。特に、利用したい具体的なデータ項目として、医薬品の影響を受ける可能性がある「外因死（事故、自殺、暴力等）」や医薬品が引き起こす可能性のあるリスクを特定することができる「死亡の種類や原因」が挙げられている。

二つ目は、抗悪性腫瘍剤領域の「治療対象患者

集団における記述統計値の経年推移の研究」のケースである。なお、この記述統計値とは、治療方法の採用率、患者層（年齢、性別、併存疾患等）、臨床アウトカム情報（有効性や副作用の発生率等）が挙げられていた。5種類のデータベースの情報を幅広く利活用することにより、「疾患管理や治療方針の改善への貢献」が期待されている。特に、利用したい具体的なデータ項目として、「患者基本情報（月齢、日齢、人種、学歴、世帯年収）」、「臨床データ（重症度、血圧、体温、体重、眼圧）」、「治療関連情報（各病院の治療方針）」、「時間データ（時・分・秒単位）」等、幅広く、かつ詳細な項目が挙げられている点が特徴的であった。

メディカル・アフェアーズ部門については、主なユースケースとして、2つをとりあげる（表16）。一つ目は、小児の希少疾患領域において、3種類のデータベースの情報を利活用することで、「初診から診断確定、治療開始に至るまでのペイシェントジャーニーを可視化する」といったケースが示

表15 市販後安全性部門におけるユースケース

| 疾患領域   | 期待される効果                      | ユースケースの説明                        | 連結を希望するデータベース | データベース連結時に希望するデータ項目                                                                                                                                  |
|--------|------------------------------|----------------------------------|---------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 抗悪性腫瘍剤 | 薬剤に関連する有害事象を早期に特定し、リスクを評価できる | 潜在的な有害事象と特定の薬剤との関係を詳しく調べる研究      | NDB           | ・レセプト（患者情報、診療行為等）<br>・特定健診等情報（受診者情報、健診項目、保健指導情報）<br>・死亡情報（死亡の原因と種類、外因死の追加事項）                                                                         |
|        |                              |                                  | 電子カルテ情報 DB    | ・傷病名   ・薬剤アレルギー等   ・検査   ・処方<br>・患者サマリー                                                                                                              |
|        |                              |                                  | 全国がん登録 DB     | ・腫瘍情報   ・初回の治療情報                                                                                                                                     |
| 抗悪性腫瘍剤 | 疾患管理や治療方針の改善に貢献できる           | 特定疾患領域の治療対象患者集団における記述統計値の経年推移の研究 | NDB           | ・レセプト（患者情報、診療行為等）<br>・特定健診等情報（受診者情報、健診項目、保健指導情報）<br>・死亡情報（死亡の原因と種類、外因死の追加事項）                                                                         |
|        |                              |                                  | DPCDB         | ・病態等の情報   ・医科保険診療以外の診療情報<br>・日ごとの患者情報   ・DPC レセプト   ・重症度<br>・月齢   ・日齢   ・各病院の治療方針                                                                    |
|        |                              |                                  | 電子カルテ情報 DB    | ・退院時サマリー   ・感染症   ・薬剤アレルギー等<br>・その他アレルギー等   ・検査   ・血圧   ・体温<br>・体重   ・眼圧   ・月齢   ・日齢<br>・日単位より細かい時間単位のデータ（時・分・秒単位）<br>・人種   ・学歴   ・世帯年収<br>・各病院の治療方針 |
|        |                              |                                  | 次世代 DB        | ・レセプト   ・DPC データ   ・電子カルテデータ                                                                                                                         |
|        |                              |                                  | 全国がん登録 DB     | ・患者基本情報   ・腫瘍情報   ・初回の治療情報<br>・届出時の状況                                                                                                                |

注：本表は「特に利用したいデータベース及び具体的なデータ内容や情報」について、回答者からの自由回答を医薬産業政策研究所にて精査し、追記・整理したものである  
出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

表16 メディカル・アフェアーズ部門におけるユースケース

| 疾患領域                  | 期待される効果                                                 | ユースケースの説明                                                                        | 連結を希望するデータベース | データベース連結時に希望するデータ項目                                                                                     |
|-----------------------|---------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------|---------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| その他<br>(希少疾患、小児疾患)    | 小児希少疾患における早期診断と適切な介入を促進するためのエビデンスが得られ、医療現場における診断支援に貢献する | ペイシェントジャーニーを可視化し、初診から診断確定、治療開始に至るまでの経過を時系列で分析する                                  | NDB           | ・レセプト情報（患者情報〔性別、年齢、診療年月、傷病名、発病年月日、重症度〕）                                                                 |
|                       |                                                         |                                                                                  | 難病 DB         | ・基本情報（姓名、生年月日、性別、家族歴、発症年月）<br>・医療費審査項目（診断基準、重症度分類）<br>・研究班の調査項目（臨床所見、検査所見、発症と経過、治療履歴）                   |
|                       |                                                         |                                                                                  | 小慢 DB         | ・基本情報（出生体重／出生週数、発症年月、大／細分類病名）<br>・臨床所見（病型、疾患の症状）<br>・経過（手術、薬物療法、補充療法、食事療法）<br>・検査所見（診断の根拠となった主な検査等の結果）  |
| 全身性抗感染<br>症薬（ワクチンも含む） | 予防接種の啓発                                                 | 予防接種の有無と感染症罹患、疾患の重症度、医療・介護費用、後遺症発生率などの関連や、予防接種の有無による疾患予後の違いや地域間の接種格差を長期的に追跡・評価する | NDB           | ・レセプト情報（患者情報〔性別、年齢、診療年月、傷病名、発病年月日、重症度〕）<br>・死亡情報（死亡年月日）                                                 |
|                       |                                                         |                                                                                  | 予防接種 DB       | ・予防接種の実施状況等に係る情報（接種年月日、接種したワクチンの種類）<br>・副反応疑いに関する情報（性別／年齢、ワクチンの種別、製造販売業者、接種回数、ロット番号、基礎疾患、アレルギー歴、症状発生日時） |
|                       |                                                         |                                                                                  | iDB           | ・患者属性（性別、生年月、年齢）<br>・診断情報（診断年月日、病原体に感染したと推定される年月日、発病年月日、死亡年月日）<br>・その他（入院の必要性の有無、重症化リスク因子となる疾患等の有無、重症度） |

注：本表は「特に利用したいデータベース及び具体的なデータ内容や情報」について、回答者からの自由回答を医薬産業政策研究所にて精査し、追記・整理したものである

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

された。これにより、小児の希少疾患における早期診断と適切な介入を促進するためのエビデンスが得られ、医療現場における診断支援や治療方針の検討に貢献することが期待されている。特に、病歴や臨床経過を理解するための「発症時期」、治療効果や病気の特徴を理解するための「経過」や、診断の根拠となる「検査所見」等の情報が求められていた。

二つ目は、全身性抗感染症薬領域（ワクチンも含む）において、3種類のデータベースの情報を利活用し、「予防接種の有無と感染症罹患、疾患の重症度、医療・介護費用や、後遺症発生率等の関連性、さらには地域間の接種格差や疾患予後の違いを長期的に追跡・評価する」といったケースが挙げられていた。これにより、ワクチンの接種効果を明らかにし、接種啓発につなげることが期待されていた。

医療経済・アウトカムズリサーチ部門については、主なユースケースの一つとして、全身性抗感染症薬（ワクチンも含む）領域において、5種類のデータベースの情報を利活用することで、「予防接種の有無が疾患発症、死亡・後遺症、医療・介護費に与える影響を長期的に評価するとともに、治療実態や患者経過を分析する」といったケースが挙げられた(表17)。こうした分析を通じて、「予防接種が医療・介護費の抑制や患者アウトカムの改善に与える影響を定量的に把握し、その費用対効果を評価する」ことが期待されている。特に、利用したい具体的なデータ項目として、「接種年月日とワクチンの種類」、「診断名や処方内容、死亡情報」が挙げられていた。

表17 医療経済・アウトカムズリサーチ部門におけるユースケース

| 疾患領域             | 期待される効果                                                           | ユースケースの説明                                               | 連結を希望するデータベース | データベース連結時に希望するデータ項目                                                                                     |
|------------------|-------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------|---------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 全身性抗感染薬（ワクチンも含む） | 予防接種による疾患予防が医療・介護費の削減や患者アウトカムの改善に与える影響を定量的に示すことで、ワクチンの費用対効果の評価できる | 予防接種の有無が疾患発症、死亡・後遺症、医療・介護費に与える影響の長期的評価と、治療の実態および患者経過の分析 | NDB           | ・レセプト情報（患者情報〔性別、年齢、診療年月、傷病名〕）、診療行為等（診療行為／医薬品コード）、請求点数）<br>・死亡情報（死亡年月日、死亡の原因と種類）                         |
|                  |                                                                   |                                                         | 電子カルテ情報 DB    | ・診療情報提供書、退院時サマリー（経過、症状、SOAP）<br>・臨床情報（傷病名）                                                              |
|                  |                                                                   |                                                         | iDB           | ・患者属性（性別、生年月、年齢）<br>・診断情報（診断年月日、病原体に感染したと推定される年月日、発病年月日、死亡年月日）<br>・その他（入院の必要性の有無、重症化リスク因子となる疾患等の有無、重症度） |
|                  |                                                                   |                                                         | 予防接種 DB       | ・予防接種の実施状況等に係る情報（接種年月日、接種したワクチンの種類）                                                                     |
|                  |                                                                   |                                                         | 介護 DB         | ・介護レセプト等情報（サービスの種類、日数、回数、給付実績情報）                                                                        |

注：本表は「特に利用したいデータベース及び具体的なデータ内容や情報」について、回答者からの自由回答を医薬産業政策研究所にて精査し、追記・整理したものである

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

## 5. まとめ・考察

### 5.1. 公的データベース等を活用して研究・分析の対象としたい領域

当該調査における回答者、回答数には制約があるが、将来的に公的データベース等を活用したいと考えられている領域として、最も多く挙げられたのは「抗悪性腫瘍剤」（43.2%）、次いで、「全身性抗感染薬（ワクチンを含む）」（18.9%）であった。

これらの結果から、がん治療における新たなアプローチや治療法の研究手法として公的データベース等が注目されていることが推察される。とりわけ、全国がん登録 DB には全国規模で収集されたがんに関する情報が存在しており、これを活用することでがん研究において多様な分析が可能となるとの期待が高まっていることも推察される。

また、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の影響を受けた近年の状況において、感染症に対する迅速かつ効果的な治療法の研究開発の重要性が再認識されている可能性がある。

一方で「特定の疾患領域はない（基礎研究・横断的研究等）」との回答が30.5%に達し、特定の疾

患に依存しない横断的かつ構造的な研究も一定数の志向があるといえる。特定の疾患に依存しない横断的研究は、複数の疾患に共通するメカニズムの解明や新たな治療法の発見に寄与する可能性がある。また、基礎研究における疾患の特異性にとられない広範な知識の蓄積が、将来の革新的な治療法の開発につながることを期待される。

「その他」として自由記載された領域には、希少疾病、小児領域、及び指定難病等多岐にわたる疾患が挙げられていた。これにより、製薬企業が幅広い疾患に対して公的データベース等を利活用したいと考えていることが明らかとなり、特にアンメットメディカルニーズに対する研究開発の重要性が強調されている。希少疾病、小児領域、及び指定難病は、患者数が少ないことや専門的な知識の必要性から研究者が限られており、十分な実態把握が難しい領域である。これらの領域に対するデータの蓄積と分析は、新たな治療法の発見のみならず、特に医療の質の向上や患者の生活の質に直接的な影響を与える知見をもたらす可能性が期待される。



## 5.2. 各ユースケースにおいて活用を想定している 公的データベース等の種類

当該調査結果から、複数のデータベースを組み合わせることで利活用したいというニーズが顕著であることが明らかとなった。特に、NDBとの組み合わせが多く見られ、NDBが有する全国民を対象とした網羅的な情報基盤としての価値が高く評価されていることが伺えた。他のデータベースの情報と連結して利活用することにより、NDB単体では把握が難しい詳細な患者プロフィールや治療経過の把握が可能となり、疾患に対する包括的な視点からの分析が実現する。

また、全国がん登録 DB や難病 DB 等、特定疾患に特化したデータベースへの関心も高く、これらを利活用して特定の疾患領域における詳細な情報を取得し、分析することで、具体的な疾患特有の課題解決に寄与することが期待される。例えば、全国がん登録 DB と他のデータベースの情報を利活用することで、がん患者に係る詳細な診療情報、がんと他疾病の関係性や合併症に関する知見、がん診療の医療経済的側面、がん患者における介護サービスの利用状況といった情報の収集・分析が可能となると考えられる。こうした特定疾患に関する公的データベースの利活用が進むことで、実態に基づいた効果的な治療法の開発に貢献する可能性が高まると考えられる。

さらに、自治体検診 DB や介護 DB といった地域に根ざした医療・介護情報を扱うデータベースの利活用意向も多く見られた。これらの情報を通じて、地域ごとの健康課題や疾患の傾向を把握することで、地域医療の最適化や予防医療の強化等、地域の特性に即した施策の立案と実装に資する可能性がある。

## 5.3. 部門別の公的データベースの活用目的及び 詳細

研究部門においては、研究テーマ探索に向けた未充足ニーズや疾患の統計データを活用した新薬や治療法の探索研究が期待されている。具体的には、特定の難病に対する現行治療の効果不足や、患者の生活の質に関する課題を特定すること、疾

患の重症度に応じた治療法の普及状況を把握すること、さらには、どの治療法が治療成績に優れているかを評価する研究への利活用が想定されている。こうした探索的研究では、非構造化データに記載される情報は、より高度な患者プロフィールの構築や予測の精度の向上に寄与することができ、個別化治療の研究を進める上で不可欠であると考えられる。特に、高齢者は多くの慢性疾患を抱えていることが多く、複数の医薬品を同時に使用するポリファーマシーの問題が発生しやすいため、高齢者に関する情報の開示は重要といえる。研究部門では、医療等情報を統合的に活用することで、社会的・臨床的ニーズに基づいた研究テーマの設定に利活用される可能性が示唆された。

臨床開発部門においては、医薬品の開発から治療法の改善、患者のフォローアップに至るまで多様な視点が見られ、治験計画の立案時間の短縮や日本での治験実施に向けた意思決定の効率化、さらに精緻な治験計画の策定による成功確率の向上が期待されている。また、対象となる患者数の把握は治験参加者のリクルート促進に直結する他、疾患の自然歴の理解は、新薬の有効性や安全性を評価する上で不可欠である。これにより、信頼性の高いエビデンスの構築が可能となる。

対象患者数の把握や組み入れ候補者特定には、NDB「レセプト情報」と電子カルテ情報 DB「患者情報、治療の詳細情報」の利活用が重要となる。この「レセプト情報」は実際に治療を受けた患者の背景や治療の実態を把握するために利活用され、「治療の詳細情報」は治療法の改善に向けたエビデンスを収集する目的で利活用されることが考えられる。これらの情報を組み合わせることで、治験の計画や治療法の評価に多角的な視点が加わることで期待される。

さらに、NDB「耳鼻咽喉科関連症状」と電子カルテ情報 DB 及び iDB「検査結果」の情報を利活用することで、特定の感染症の影響や感染症の流行、ワクチンの効果等が評価可能となり、これらの情報の利活用可能性の高さが示唆される。また、治療法の臨床効果評価を検討する声もあり、「検査所見」に加えて、「医師評価」、「転帰」、及び「画

像データ」を用いることで、より医学的な指標に基づく治療効果の評価が可能になると考えられる。医療等情報の利活用を促進するためにも、これらの医療情報の早期公開やアクセス体制の整備が急務であり、データ利活用環境のさらなる強化が強く望まれる。

市販後安全性部門においては、医薬品の使用に伴うリスクを評価し、患者の安全を確保するという役割が改めて浮き彫りとなった。活用目的で挙げられたシグナル評価と因果関係の検討、疫学調査とリスク要因の分析、製造販売後データベース調査とリスク評価、ファーマコビジュランスとモニタリングに関連する活動において、医薬品の潜在的な有害事象を明らかにし、適切な対応を行うための基盤を構築するという共通の目的がみられた。

特に、抗悪性腫瘍剤に関連する有害事象の早期特定とリスク評価を行う研究においては、3種類の公的データベース等の情報を利活用することで、医薬品のリスクを特定し、適切な対策を講じることが可能になると考えられる。具体的には、NDB から患者の治療履歴や投与された医薬品の詳細を収集することにより、特定の抗悪性腫瘍剤の使用状況を明らかにし、治療の基盤となるデータを整備することができる。また、電子カルテ情報DBを組み合わせることで、その処方された抗悪性腫瘍剤の期間や用量に関する詳細なデータを補足し、有害事象が発生した時期や形態を正確に追跡できるようになる。さらに、全国がん登録DBを利活用することで、腫瘍の病理診断情報やステージ情報を基に、特定の抗悪性腫瘍剤が引き起こす潜在的な有害事象の種類や頻度を精緻に特定することが可能になると考えられる。このように、3種類の公的データベース等を統合的に利活用することにより、有害事象のリスクと治療効果の両面を包括的に評価することができると考えられる。

メディカル・アフェアーズ部門においては、公的データベース等の利活用が、単なるデータ分析にとどまらず、臨床と行政、研究の接点に立脚したエビデンスの創出という役割を担う可能性が示

唆された。なかでも、ペイシエントジャーニーの可視化に関する研究は、初診から診断確定、治療開始に至るまでの経過を時系列で把握し、診断や治療の遅れの要因を明らかにするものとして、高い意義を持つと考えられる。このような可視化を実現するには、NDB「レセプト情報」に加え、難病DBや小慢DB「臨床所見・検査所見・発症年齢」等の情報を統合的に利活用することが有効であり、患者の経過や判断の分岐点をより精緻に追跡することが可能となる。

さらに、予防接種が感染症の罹患や重症化、医療・介護費用に与える影響を分析する試みは、個別の医薬品の評価を超え、予防接種プログラム全体の価値を検証するうえで重要な研究と位置付けられる。この実現には、予防接種DBとiDB、NDBといった複数のデータベースの情報を連結し、診療情報・接種履歴・感染症発症状況などを統合的に解析する必要がある。こうした取り組みは、地域差を含む接種率とアウトカムとの関連性の解明や、予防接種の啓発、政策評価に資するだけでなく、感染症予防に向けた戦略の見直しに具体的な示唆を与えるものとして、大きな意義を持つ。

医療経済・アウトカムズリサーチ部門においては、治療や予防介入におけるアウトカムの評価を通じて、治療効果と医療経済の最適化を図り、患者の安全性の確保や経済的負担の軽減に貢献することが期待される。特に、予防接種の有無が感染症の発症や重症化、死亡・後遺症、さらには医療費・介護費に与える影響を長期的に評価することは、予防医療の価値を明らかにするうえで重要な視点である。このような分析を実現するためには、複数のデータベースの情報を連結し、診療履歴・接種履歴・介護情報等を統合的に把握する仕組みが不可欠である。具体的には、NDBからは、「診療履歴（診断名・処方内容・医療処置・医薬品使用）や死亡情報」、電子カルテ情報DBから「検査結果や退院時サマリー」、介護DBから「介護度・サービス内容・利用回数等」の詳細データが得られる。これに加えて、予防接種DB「接種履歴（接種年月日、ワクチンの種類）」や、iDB「感染症発症日や症状の重症度に関する情報」を組み合わせ

ることで、予防接種の効果やその経済的インパクト等を多面的かつ長期的に評価する分析が可能となる。

さらに、治療経過における医療・介護サービス利用の変遷を追跡し、医療費と介護費を総合的に分析することで、介護サービスの質を向上させるための改善点を明らかにし、医療と介護の連携を強化することで患者の健康状態の改善につながる可能性がある。

以上のことから、今後、製薬企業においては、複数のデータベースの情報を連結し、それらを統合的に解析することにより、医薬品の研究開発の迅速化や成功確率の向上、市販後の安全性監視の強化、さらには効率的なエビデンス構築といった多方面での進展が望まれている。こうした医療等情報の利活用は、製薬企業の研究開発戦略の最適化だけでなく、医療の質の向上や患者の安全性確保にもつながり、今後ますますその利活用の範囲も拡大し、重要性が高まっていくものと考えられる。

## 6. おわりに

医療等情報の二次利用に関する政府の取り組みは、法的整備、技術革新、そして社会的なインフラの整備が相互に影響し合いながら、進展している。2019年以降、製薬協は医療等情報の二次利用に関する政策提言を行っており、今後関連法令の

改正が実現すれば、公的データベースにおける匿名化情報の利用及び提供が制度的に可能となる見通しである。これにより、他の匿名化情報や次世代医療基盤法に基づく匿名加工医療情報との連結解析が可能となり、より豊富な医療等情報の二次利用が期待される。さらに、薬機法の改正も進行中であり、これに伴い具体的なデータ二次利用に向けた議論が活発化している。これらの状況を踏まえると、本稿における公的データベース等の格納情報の整理とユースケースの提示は、今後の制度的・実務的な議論において重要な示唆を与えるものと考えられる。

製薬企業が、医療等情報をより効果的に利活用を促進するためには、まず、自らが積極的に利活用を進めること、そして図や動画等の視覚的な資料を活用し、具体的な成功事例やその効果を可視化して共有することが重要である。また、製薬企業だけでなく、行政機関や医療機関、国民等さまざまなステークホルダーに対しても医療等情報の利活用の意義や価値について理解を深めるための活動も不可欠である。このような取り組みが進み、公的データベース等の利活用に関する共通認識が形成され、医療等情報の利活用が一層促進されていくことを期待している。

本稿が公的データベース等の利活用検討の一助となることを期待する。



補足 1 公的データベース等一覧

| 区分     | 公的データベース                                                                                                                                                            |                                                                                             |                                                                                                                                                                          |                                                                                                                                                                                            |                                                                                                                                                           |                                                                                                                                                                                |
|--------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 名称     | 匿名医療保険等関連情報データベース (NDB)                                                                                                                                             | 電子カルテ情報共有サービスのデータベース (電子カルテ情報 DB)                                                           | 匿名診療等関連情報データベース (DPCDB)                                                                                                                                                  | 匿名介護保険等関連情報総合データベース (介護 DB)                                                                                                                                                                | 自治体検診情報データベース (自治体検診 DB)                                                                                                                                  | 全国がん登録データベース (全国がん登録 DB)                                                                                                                                                       |
| 元データ   | ・ レセプト<br>・ 特定健診<br>・ 死亡情報                                                                                                                                          | ・ 3 文書 6 情報                                                                                 | ・ DPC データ                                                                                                                                                                | ・ 介護レセプト等情報<br>・ 要介護認定情報<br>・ LIFE 情報                                                                                                                                                      | ・ 自治体検診情報                                                                                                                                                 | ・ がんの罹患等に関する情報<br>・ 死亡者情報票                                                                                                                                                     |
| 主な情報項目 | <u>レセプト</u><br>患者情報、医療機関所在地、診療行為等、請求点数<br><u>特定健診等情報</u><br>受診者情報、質問票情報、健診項目・結果、保健指導情報<br><u>死亡情報</u><br>死亡年月時分、死亡したところの種類、死亡の原因と種類、外因死の追加事項、生後1年未満で病死した場合の追加事項、その他 | <u>3 文書</u><br>健康診断結果報告書、診療情報提供書、退院時サマリー<br><u>6 情報</u><br>傷病名、感染症、薬剤アレルギー等、その他アレルギー等、検査、処方 | <u>病態等の情報</u><br>性別、生年月日、病名、病期分類など<br><u>医科保険診療以外の診療情報</u><br><u>DPC レセプト</u><br>出来高レセプト<br><u>外来の出来高レセプト</u><br>日ごとの患者情報<br>重症度、医療・看護必要度<br><u>施設情報</u><br>入院基本料等の届け出状況 | <u>介護レセプト等情報</u><br>要介護者等の属性、サービス内容（種類、単位数、日数、回数）<br><u>要介護認定情報</u><br>基本調査74項目、主治医意見書のうち、日常生活自立度の項目、要介護認定等基準期間、一次判定結果、認定有効期間、二次判定結果<br><u>LIFE 情報</u><br>利用者情報、科学的介護推進情報（アセスメント結果、既往歴情報等） | <u>自治体検診内容</u><br>（種類・検査項目）<br><u>歯周疾患検診</u><br><u>骨粗鬆症検診</u><br><u>肝炎ウイルス検診</u><br><u>がん検診</u><br>・ 胃がん検診<br>・ 子宮頸がん検診<br>・ 肺がん検診<br>・ 乳がん検診<br>・ 大腸がん検診 | <u>基本情報</u><br>病院等の名称、診療録番号、氏名・性別、生年月日、診断時住所<br><u>腫瘍の種類</u><br>側性、原発部位、病理診断<br><u>診断情報</u><br>診断・治療施設、診断根拠、診断日、発見経緯<br><u>進行度</u><br><u>初回治療</u><br>観血的治療、その他治療<br><u>死亡日</u> |

| 区分     | 公的データベース                                                                                                                                                                                       |                                                                                                                                                                                                      |                                                                                                                                        |                                                                                                                                      |                                                                                                                                                                             | 認定データベース                                                                                                                                                                                                |
|--------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 名称     | 指定難病患者データベース (難病 DB)                                                                                                                                                                           | 小児慢性特定疾病児童等データベース (小慢 DB)                                                                                                                                                                            | 匿名感染症関連情報データベース (iDB)                                                                                                                  | 予防接種等関連情報データベース (予防接種 DB)                                                                                                            | 障害福祉サービスデータベース (障害福祉 DB)                                                                                                                                                    | 次世代医療基盤法の認定事業者のデータベース (次世代 DB)                                                                                                                                                                          |
| 元データ   | ・ 臨床調査個人票                                                                                                                                                                                      | ・ 医療意見書                                                                                                                                                                                              | ・ 発生届情報等                                                                                                                               | ・ 予防接種記録<br>・ 副反応疑い報告                                                                                                                | ・ 給付費等明細書情報<br>・ 障害支援区分認定情報                                                                                                                                                 | ・ 医療機関の診療情報等                                                                                                                                                                                            |
| 主な情報項目 | <u>基本情報</u><br>告示病名、患者情報、被保険者番号、発症年月、生活状況 等<br><u>医療費支給審査項目</u><br>診断基準、重症度分類<br><u>研究班の調査項目</u><br>臨床所見、検査所見、発症と経過、治療履歴<br><u>人工呼吸器装着の有無</u><br><u>医療機関情報</u><br><u>行政欄</u><br>受給者番号、認定／不認定 等 | <u>基本情報</u><br>告示病名、患者情報、被保険者番号、発症年月、身長／体重 等<br><u>臨床所見</u><br>病型、疾患の症状<br><u>検査所見</u><br><u>その他の所見</u><br><u>経過</u><br>手術、薬物療法 等<br><u>今後の療の方針</u><br><u>医療機関情報</u><br><u>行政欄</u><br>受給者番号、認定／不認定 等 | <u>患者属性</u><br>性別、生年月、年齢、住所<br><u>診断情報</u><br>診断年月日、病原体に感染したと推定される年月日、発病年月日、死亡年月日 等<br><u>その他</u><br>入院の必要性の有無、重症化リスク因子となる疾患等の有無、重症度 等 | <u>予防接種の実施状況等に係る情報</u><br>性別、接種年月日、接種したワクチンの種類、ロット情報 等<br><u>副反応疑い報告に関する情報</u><br>性別／年齢、ワクチンの種類、製造販売業者、接種回数、ロット番号、基礎疾患、アレルギー歴、発生日時 等 | <u>障害支援区分認定データ</u><br>障害福祉サービスを受けるための「障害支援区分」の認定調査結果等のデータ<br><u>給付費等明細書データ</u><br>障害福祉サービス、障害児支援の給付実績データ<br><u>台帳情報データ</u><br>給付手続きのための各種台帳情報データ（受給者台帳、事業所台帳、市町村台帳、都道府県等台帳） | <u>レセプト</u><br>患者情報、保険情報、診断情報、診療行為、医薬品情報 等<br><u>DPC データ</u><br>入退院情報、診断群分類 等<br><u>電子カルテデータ</u><br>〈構造化データ〉<br>患者情報、健康保険、診断履歴、検歴情報、バイタルサイン、体温票、処方箋、注射記録 等<br>〈非構造化データ〉<br>経過記録、臨床サマリー、紹介状、報告書（読影レポート等） |

出所：厚生労働省等から公開されている情報を基に、医薬産業政策研究所にて作成



## FDA 公表データからみた Patient-Reported Outcome (PRO) の使用状況

医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原慎治  
医薬産業政策研究所 主任研究員 白石隆啓  
医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美

### 要約

- 近年、医薬品開発における患者参画の重要性を産官学それぞれの立場から発信している。
- 製薬協は「PPI/E (Patient and Public Involvement/Engagement: 患者・市民参画)、患者との Co-creation (共創)」を促進し患者・市民参加型創薬の実現を目指すとしている。
- 患者を中心とした創薬研究や PPI/E の重要性が唱えられている中、積極的に患者自身による健康評価ツール「患者報告アウトカム (Patient-Reported Outcome, PRO)」を臨床試験に実装することの関心が高まっている。
- このような背景を踏まえ、本稿ではFDAが2021年に公表した、種々の疾患／症状に対して使用された PRO 等の評価ツールの情報を一元化した『CLINICAL OUTCOME ASSESSMENT (COA) COMPENDIUM』を分析した。
- 173の疾患／症状、296の試験薬の臨床試験において、PRO の使用数は216であり、その数は臨床医による評価 (ClinRO) 数の9割弱であった。
- 疾患／症状毎にみると、リウマチ性関節炎と類縁疾患、喘息等の慢性呼吸器疾患、女性の性機能障害で疾患特異的 PRO の使用が充実しており、各種疼痛疾患では、主に NRS や VAS といった基礎的な PRO が活用されていた。
- 排便機能障害と各種てんかん症状においては、Diary (日誌) を利用した PRO が中心であ

った。

- これら『COA COMPENDIUM』の分析から、PRO の使用と開発における今後の課題に関し若干の考察をする。

### 1. はじめに

2025年に日本製薬工業協会（以下、製薬協）が公表した「政策提言2025」、「産業ビジョン2035」では、患者個々人のニーズを一層満たすことができる創薬イノベーションのためには患者の方々に積極的に研究に参画してもらうことが極めて重要と捉え、製薬協として創薬の研究開発における生産者の視点から患者・市民の視点へこれまで以上にシフトし、「PPI/E (Patient and Public Involvement/Engagement: 患者・市民参画)、患者との Co-creation (共創)」を促進することで患者・市民参加型創薬の実現を目指すとしている<sup>1)</sup>。その方法の一つとして、「患者報告アウトカム (Patient-Reported Outcome, 以下、PRO)」と「リアルワールド・データ (Real World Data, 以下、RWD)」の活用を掲げている。PROとは臨床アウトカム評価 (Clinical Outcome Assessment, 以下、COA) の一つで、患者の健康状態に関して患者本人から直接報告される情報に基づく尺度であり、FDAによる定義では「患者の回答について、臨床医や他の誰の解釈も介さず、患者から直接得られる患者の健康状態に関するすべての報告」とされ

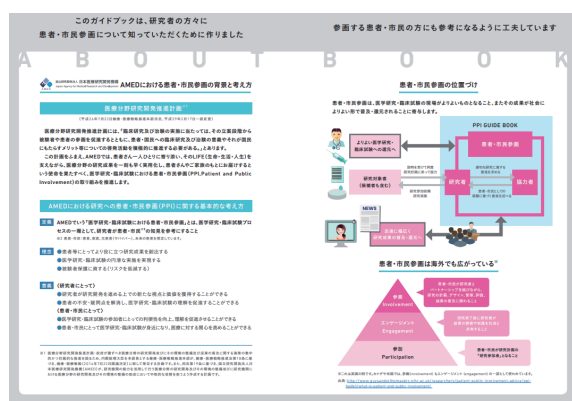
1) 日本製薬工業協会ホームページ、「「製薬協 産業ビジョン2035」、「製薬協 政策提言2025」について」(2025.2)  
[https://www.jpma.or.jp/news\\_room/release/2025/250226\\_vision.html](https://www.jpma.or.jp/news_room/release/2025/250226_vision.html)

ている<sup>2)</sup>。

PRO による測定もしくは評価の対象とする概念は、①疼痛、掻痒、息切れ等、患者のみが認知できる主観的感覚や経験、②患者の日常生活におけるあらゆる種類の機能または活動、③医療技術がもたらす治療や機能に対する患者の満足度もしくは不満足度、④疾患による複数の症状がもたらす日常生活への影響の程度 が主とされている<sup>2)</sup>。

医薬品開発における患者参画の促進に関する近年の動きとして、政府からは2019年厚生科学審議会 臨床研究部会より『臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について』の中間とりまとめが公表され、臨床研究・治験の推進に係る基本的考え方のひとつに「国民・患者の理解や参画促進」が掲げられている<sup>3)</sup>。同年、国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（以下、AMED）は「臨床研究等における患者・市民参画に関する動向調査」を経て、『患者・市民参画（PPI）ガイドブック』（図1）を公表している<sup>4)</sup>。本資料でのPPIは、

図1 AMED「患者・市民参画(PPI)ガイドブック」



出典：引用4)

AMEDの定義として「医学研究・臨床試験プロセスの一環として、研究者が患者・市民の知見を参考にすること」とあり、医学研究・臨床試験に患者・市民の視点を取り入れる意義について、研究者と患者・市民双方の理解を進める目的で作成されている。ここでの重要なポイントは、「研究者が持つ“専門知”では解決できない課題や見出せない視点に対して、患者・市民が持つ“経験知”によって、新しい研究の可能性を見出すことができるかもしれない」という医療技術開発の進歩に向けた相互作用への期待である。2021年には独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）は『PMDA 患者参画ガイドランス』を公表<sup>5)</sup>し、PMDA 及びその役職員が参照すべき患者参画の推進に向けた活動指針を取りまとめたガイドランスを作成し、患者の声等を積極的に収集し“Patient First”の取り組みを実現することを目標としている。

アカデミアにおいては、2020年より PRO の系統的研究が厚生労働科学研究の行政政策研究分野研究班によって開始され、2023年6月に『関連学会の取組と連携したPROガイドラインの作成』が研究成果として報告された<sup>6)</sup>。この報告では、欧米では2005年ごろから臨床試験や臨床実践における PRO 使用に関するガイドラインが各規制当局から発出されてきたが、日本ではPRO や QOL 評価に関する基礎・応用研究は海外に劣らずに行われてきたにも関わらず PRO 使用ガイドランスは発表されなかったとし、研究班の考察として、日本は主観的健康観の定量的な評価結果をevidenceとして医療に生かすことの重要性の認識が欧米と比較して20年遅れてきた、としている。その主な背

- 2) FDA homepage, 「Patient-Reported Outcome Measures: Use in Medical Product Development to Support Labeling Claims」 (content current : 2019.10) <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-reported-outcome-measures-use-medical-product-development-support-labeling-claims>
- 3) 厚生労働省ホームページ、「臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について（2019年版）中間とりまとめ」（2019.3）[https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage\\_04179.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_04179.html)
- 4) AMED ホームページ、「研究への患者・市民参画（PPI）：患者・市民参画（PPI）ガイドブック」（2019.9）<https://www.amed.go.jp/ppi/guidebook.html>
- 5) PMDA ホームページ、「患者参画WG：患者参画ガイドランス（PDF）」（2021.9）<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/cross-sectional-project/0020.html>
- 6) 厚生労働科学研究成果データベース、「関連学会の取組と連携した PRO ガイドラインの作成」（2023.6）<https://mhlw-grants.niph.go.jp/project/161320>

景として同研究班は、日本は欧米先進国と比較して人権意識が「必ずしも」高くない点と、患者を含む一般国民は医療における意思決定に主体性が高くない点があるのではないかと推察している。その後これらの研究成果は、PROを臨床研究等に実装する際の国内初の公的ガイダンスとなる『患者報告アウトカム（PRO）評価関連 特設ページ』サイトとして結実し公開された<sup>7)</sup>。これは今後新医薬品の国際共同臨床試験の増加に伴って、国内でも実装する機会が増えるであろうPROによる有効性・安全性評価の使用指針となるものである。当サイトにはPRO使用のガイダンスという位置づけのみならず、欧米におけるPROの概念の推移、PRO使用ガイダンスの推移、PROの尺度開発の流れ等、網羅的に記載されており、詳細についてはご参照頂きたい。

このように国内においては、医薬品開発への積極的な患者参画とPROの活用について産官学が

推進している背景から、近年の医薬品開発におけるPROの使用実態を理解するために、米国FDAが2021年に公表した『CLINICAL OUTCOME ASSESSMENT COMPENDIUM』<sup>8)</sup>（以下、COA COMPENDIUM、図2）に記載された疾患領域毎のCOAの使用実態を把握し、その中でのPROの位置づけや意義を分析する。それに先立ち、当資料の公表背景の概要を述べる。

FDAは2009年に『Guidance for Industry, Patient-Reported Outcome Measures : Use in Medical Product Development to Support Labeling Claim』として、製薬企業等の医薬品開発者向けに、承認申請を前提とした臨床試験におけるPRO使用に対する指針を公表した<sup>2)</sup>。その後米国では2016年に、医薬品や医療機器の開発・承認プロセスの迅速化、研究資金の増額、精神保健サービスの改善等、医療分野の革新を促進することを目的とした『the 21st Century Cures Act』（Cures

図2 『CLINICAL OUTCOME ASSESSMENT COMPENDIUM』抜粋

| DIVISION OF NON-MALIGNANT HEMATOLOGY (DNH)          |                                                                                                                                                                                             |                                                                                                                                                                            |                                                                                        |                                                             |
|-----------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------|
| Disease/Condition                                   | COA Context of Use                                                                                                                                                                          | Concept                                                                                                                                                                    | COA Tool & Type                                                                        | Drug Name/Approval Date/Qualification Link                  |
| Acquired thrombotic thrombocytopenic purpura (aTTP) | Adults with aTTP, in combination with plasma exchange and immunosuppressive therapy                                                                                                         | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Recurrence of TTP (exacerbation)</li> <li>• Treatment-emergent major thromboembolic event</li> <li>• TTP-related death</li> </ul> | Composite: <b>ClinRO</b>                                                               | Cablivi (caplacizumab-yhdp)<br>February 6, 2019             |
| Hemophilia A                                        | Adult and adolescent males (aged 12 to 75 years) with hemophilia A and FVIII inhibitors who previously received either episodic (on-demand) or prophylactic treatment with bypassing agents | Frequency of bleeding requiring treatment with coagulation factors                                                                                                         | <b>ClinRO</b>                                                                          | Hemlibra (emicizumab-kxwh)<br>November 16, 2017             |
|                                                     | Adults with hemophilia A and FVIII inhibitors who previously received either episodic (on-demand) or prophylactic treatment with bypassing agents                                           | Health related quality of life-physical health                                                                                                                             | Haemophilia-specific Quality of Life (Haem-A-QoL)<br>Physical Health Score: <b>PRO</b> |                                                             |
| Iron deficiency anemia                              | Adults with iron deficiency anemia who have intolerance to oral iron or have had unsatisfactory response to oral iron                                                                       | Disease-related fatigue                                                                                                                                                    | Functional Assessment of Chronic Illness Therapy-Fatigue (FACIT-fatigue): <b>PRO</b>   | Feraheme (ferumoxytol)<br>June 30, 2009<br>February 2, 2018 |

出典：引用8)

7) ライフサイエンス出版ホームページ、「患者報告アウトカム（Patient-Reported Outcome：PRO）評価関連 特設ページ」（最終確認：2025.5.31）<https://www.lifescience.co.jp/pro/index.html>

8) FDA homepage, 「Clinical Outcome Assessment Compendium」 (content current : 2021.11) <https://www.fda.gov/drugs/development-resources/clinical-outcome-assessment-compendium>

Act, 21世紀治療法)が法制化された<sup>9)</sup>。これは基本法である「Federal Food, Drug, and Cosmetic Act」(FD & C Act、連邦食品・医薬品・化粧品法)に加えて革新的な技術開発の実現のために補完する拡張法として位置づけられる。その第3011条は「医薬品開発ツール (Drug Development Tool, 以下、DDT)」の開発を推進する条項であり、DDTすなわち、医薬品開発において有効性・安全性をより効果的に評価するための PRO を含むアセスメントツールの開発・改良を審査するプロセスを記した条項である。また FD & C Act の追加第507条では、FDA が医薬品評価研究センター (以下、CDER) および生物学的製剤評価研究センター (以下、CBER) の見解をもとに、DDT を「バイオマーカー、COA、その他の測定手段や材料」と定義し、DDT を新医薬品、新生物製剤、治験薬の承認申請といった新たな医薬品開発と審査プロセスに使用することを法的に示している<sup>10)</sup>。

更に同条では、医薬品開発者等が開発・改良し FDA に申請した DDT の科学的妥当性を FDA が確認しその適格性を認定するプロセスも示しており、申請を予定している企業に対するガイダンスとして『Qualification Process for Drug Development Tools』が FDA より2020年に公表されている<sup>10)</sup>。この中では、疾患や病態解明に向けた研究が進歩するに従い、適格な DDT の開発は革新的な医療技術や医薬品の開発において新たな分野にアプローチし統合することを可能とすると述べられ、例えば新たに開発した適格性のある DDT を用いて特定の性質を持つ患者を研究対象集団に豊

富に含むようにすることで、研究対象集団の規模を縮小し研究期間を短縮できる可能性がある、としている。

同時に2020年には『Patient-Focused Drug Development: Collecting Comprehensive and Representative Input』(最終版)がFDAより公表された<sup>11)</sup>。これは製薬企業、FDA 職員、その他のステークホルダーに向けた、患者中心の医薬品開発を推進する4部シリーズのガイダンスの第1部であり、まず2018年のドラフト公表を経て策定された。患者の経験や視点を医薬品開発および規制判断に組み込むためのガイダンスであり、患者や介護者からの包括的かつ代表的な意見を収集する方法に焦点が当てられている。その後同シリーズとして、『Patient-Focused Drug Development: Methods to Identify What Is Important to Patients』(患者や介護者が重要と考える症状、疾患の影響、治療の負荷、リスクとベネフィット等の情報を収集するためのガイダンス、2022年、最終版)<sup>12)</sup>、『Patient-Focused Drug Development: Selecting, Developing, or Modifying Fit-for-Purpose Clinical Outcome Assessments』(患者の経験や視点を臨床試験に適切に反映させるためのCOAの選定、開発、修正に関するガイダンス、2022年、ドラフト)<sup>13)</sup>、『Patient-Focused Drug Development: Incorporating Clinical Outcome Assessments Into Endpoints for Regulatory Decision-Making』(COAを規制上の意思決定に使用するエンドポイントとして組み込むための方法、基準、技術に関するガイダンス、2023年、ドラフ

9) FDA homepage, 「21st Century Cures Act」(content current: 2020.1) <https://www.fda.gov/regulatory-information/selected-amendments-fdc-act/21st-century-cures-act>

10) FDA homepage, 「Qualification Process for Drug Development Tools Guidance for Industry and FDA Staff」(content current: 2020.11) <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/qualification-process-drug-development-tools-guidance-industry-and-fda-staff>

11) FDA homepage, 「Patient-Focused Drug Development: Collecting Comprehensive and Representative Input」(content current: 2020.6) <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-focused-drug-development-collecting-comprehensive-and-representative-input>

12) FDA homepage, 「Patient-Focused Drug Development: Methods to Identify What Is Important to Patients」(content current: 2025.1) <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-focused-drug-development-methods-identify-what-important-patients>

13) FDA homepage, 「Patient-Focused Drug Development: Selecting, Developing, or Modifying Fit-for-Purpose Clinical Outcome Assessments」(content current: 2024.4) <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-focused-drug-development-selecting-developing-or-modifying-fit-purpose-clinical-outcome>



ト)<sup>14)</sup> が公表されている。

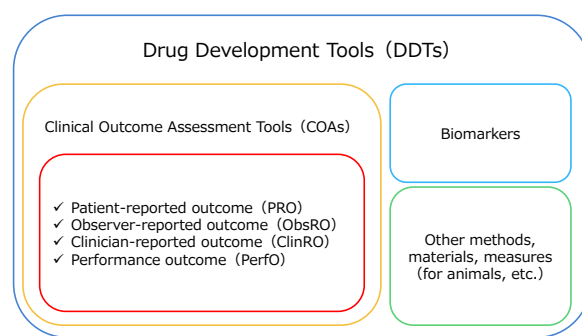
今回分析対象とした『COA COMPENDIUM』はこれらガイダンスの理解をサポートするために、種々の疾患や症状に対して使用された PRO 等の COA の情報を一元化、要約したものである。医薬品開発者等に COA 情報を明確にして提供することで、当局と医薬品開発者、研究者間のコミュニケーションを促進することを目的としている。医薬品開発者や研究者が臨床試験に COA の組み込みを検討する場合は、当資料を出発点とすることを FDA は推奨している。ただし、『COA COMPENDIUM』は包括的なリストではなく、記載された COA がすべて FDA による認定を意味するものではないとされ、ガイダンスを示すものではないとする免責事項が示されており、あくまで検討資料の範囲としていることに注意が必要である。医薬品開発者は臨床試験に COA を実装する際には、疾患固有の最新版ガイドラインを確認し、疾患や適応を問わず関連する承認審査部門と COA の選択について実際に話し合うことを強く推奨している。

『COA COMPENDIUM』に記載されている情報は、2016年1月公表のパイロット版では、①2003～2014年の間に新薬申請（New Drug Application, 以下、NDA）または生物学的製剤承認申請（Biologics License Application, 以下、BLA）において審査承認された新規分子化合物医薬品（New Molecular Entity、以下 NME）の添付文書等の情報文書、②CDER の COA 適格性評価プログラム<sup>15)</sup>によって適格性認定を受けた COA、③ CDER の COA 適格性評価プログラムで審査中だった COA、から収集された情報であり、2019年の第1回改訂では、④2003～2017年6月までに NDA または BLA で審査承認された NME の情報文書、⑤2017年1～6月までに承認された新しい適応症ま

たは新しい適応患者に関連する効能の補足、⑥ CDER の COA 適格性評価プログラムによって新たに適格性認定を受けた COA の情報、が追加された。更に2021年の第2回改訂版には、⑦2017年7月～2019年6月に NDA または BLA で審査承認された NME の情報文書、⑧2017年7月～2018年6月までに承認された新適応に関連する効能補足情報、⑨新たに適格性認定を受けた COA の情報、が追加された。

NME の承認と有効性の補足について、FDA は添付文書内の臨床研究に関連する COA の医学的見解をレビューしており、結果評価が複雑すぎて表形式で説明できないケース、追加情報に対応するガイダンスの参照がないケース、現在利用可能な FDA 発行のガイダンスでより新しい、もしくはより適切な COA の使用が推奨されているケースについては、『COA COMPENDIUM』には除かれるルールとしているが、結果的にはほぼ例外なく記載されたとしている。図3にDDT(s)とCOA(s)の関係を簡潔に示す。『COA COMPENDIUM』が対象とした COA タイプは PRO、ObsRO、ClinRO、PerfO の4つであり、詳細は後に記す。

図3 DDTs と COAs の関係



出典：FDA 各種ガイダンスを元に医薬産業政策研究所にて作成

14) FDA homepage, 「Patient-Focused Drug Development : Incorporating Clinical Outcome Assessments Into Endpoints for Regulatory Decision-Making」 (content current : 2023.4) <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-focused-drug-development-incorporating-clinical-outcome-assessments-endpoints-regulatory>

15) FDA homepage, 「Clinical Outcome Assessment (COA) Qualification Program」 (content current : 2023.10) <https://www.fda.gov/drugs/drug-development-tool-ddt-qualification-programs/clinical-outcome-assessment-coa-qualification-program>

## 2. 資料解説と集計方法

『COA COMPENDIUM』は、CDERに設置されている医薬品審査部署が管轄する疾患群毎に整理されている。医薬品審査部署は「Office」（局）とその傘下部署である「Division」（部門）に分類されており、表1<sup>16)</sup>はCDER内にある審査部署と管轄とする疾患例を示したものである。『COA COMPENDIUM』に掲載されたCOA情報は、グレーで示した部署で審査された医薬品の臨床試験情報から取得したものである。

次に『COA COMPENDIUM』の構成要素を表2に示す。表内に示した説明通りだが、特に「COA Context of Use」と「Concept」の用語の理解が必要となる。「COA Context of Use」は、臨床試験でCOA尺度が使用される試験薬剤の当該疾患に対する使用目的と、試験に組み入れる患者カテゴリーである。例えば、ざ瘡を対象としたある薬剤の臨床試験の対象患者は「Patients 9 years of age and older with inflammatory lesions of non-nodular moderate-to-severe acne vulgaris（中等度から重度の非結節性尋常性ざ瘡の炎症性病変を有する9歳以上の患者）」<sup>8)</sup>、多発性骨髄腫の臨床試験では「Prevention of skeletal related events in patients with multiple myeloma and in patients with bone metastases from solid tumors（多発性骨髄腫患者と固形腫瘍の骨転移患者における骨関連イベントの予防）」というものである<sup>8)</sup>。「Context of Use」はしばしば「COU」と略される。

「Concept」は簡潔に言えば、治療評価のエンドポイントとして、COAを用いて患者の何を測定するのかを示したものである。具体的には表2にあるように、個人の臨床的、生物学的、身体的、機能的状態、経験等が測定対象となる<sup>10)</sup>。例えば特定の多発性硬化症に対する臨床試験でのConceptを「Fatigue-related symptoms and associated impacts on daily activities（疲労関連症状と日常生活への影響）」としてPROで評価している<sup>8)</sup>。発作性夜間ヘモグロビン尿症に対する臨床試験で

は、PROで「Disease-related fatigue（疾患関連疲労）」の度合いを測定し、ClinROとして医療者が「Transfusion avoidance（輸血回避）」の程度を評価する<sup>8)</sup>、というものもある。

また複数の「Concept」を評価し、それらを複合（Composite）評価するものも多くある。複合評価には、異なるCOAを組み合わせたこともあり（ClinROとPRO等）、BiomarkerとCOAを複合して評価するケースもある。なお『COA COMPENDIUM』には、Biomarkerは複合評価された場合のみ記載されている。

「COA Type」として、PROは先述の通りであり、ObsRO（Observer-reported outcome：観察者報告アウトカム）は、患者または医療専門家以外の者、主に患者家族や介護者による患者の健康状態に関連する測定である。ClinRO（Clinician-reported outcome：臨床医報告アウトカム）は、患者の健康状態を観察した訓練を受けた医療専門家からの報告に基づく測定である。PerFO（Performance outcome：パフォーマンスアウトカム）は患者が一連の指示に従って能動的に行う標準化されたタスクに基づく測定である。そして「COA Tool」は、これらCOAの測定のために用いられる尺度、アセスメントツールである<sup>8)、10)</sup>。

本稿の『COA COMPENDIUM』情報の定量分析の集計項目（①）と集計ルール（②～⑤）を以下に示す。

① 集計項目は、i) CDERのCOA適格性評価プログラムによって認定されたCOA、ii) 疾患／症状数、iii) 試験薬剤数、iv) Context of Useの対象年齢（成人、青年期、小児、幼児）毎の数、v) 試験薬剤毎に測定されたConcept数、vi) 複合（Composite）評価数、vii) 疾患／症状毎のCOA数、viii) Diary（日誌）を用いたPRO数とした。②「iii）試験薬剤数」は、疾患／症状別にContext of Use毎にカウントした。③「iv）Context of Useの対象年齢」が表中から読み取れない場合は疾患の特徴から判断し、すべて成人として集計した。

16) FDA homepage, 「CDER Offices and Divisions」 (content current : 2024.12) <https://www.fda.gov/about-fda/center-drug-evaluation-and-research-cder/cder-offices-and-divisions>

表1 CDER 医薬品審査部署と主な対象疾患

| 審査局                                                                                           | 略号    | 審査部門                                                             | 略号     |                      | 主な対象疾患                                                                                |
|-----------------------------------------------------------------------------------------------|-------|------------------------------------------------------------------|--------|----------------------|---------------------------------------------------------------------------------------|
| OFFICE OF CARDIOLOGY, HEMATOLOGY, ENDOCRINOLOGY, AND NEPHROLOGY<br>心臓病学、血液学、内分泌学、腎臓学局         | OCHEN | DIVISION OF CARDIOLOGY AND NEPHROLOGY                            | DCN    | 心臓病学・腎臓学部門           | 急性冠症候群、心不全、高血圧、末梢動脈疾患、肺高血圧症、不整脈、慢性腎臓病、急性腎障害、糸球体疾患                                     |
|                                                                                               |       | DIVISION OF DIABETES, LIPID DISORDERS AND OBESITY                | DDLO   | 糖尿病・脂質異常症・肥満症部門      | 1型・2型糖尿病、脂質異常症、脂肪異常症、減量・体重維持治療                                                        |
|                                                                                               |       | DIVISION OF GENERAL ENDOCRINOLOGY                                | DGE    | 一般内分泌学部門             | 成長ホルモン関連疾患、副腎およびACTH障害、甲状腺機能低下症、甲状腺機能亢進症、副甲状腺機能亢進症、身体発達障害、悪液質、クッシング症候群、サルコペニア、ビタミン欠乏症 |
|                                                                                               |       | DIVISION OF NON-MALIGNANT HEMATOLOGY                             | DNH    | 非悪性血液学部門             | 血小板減少性紫斑病、血友病、鉄欠乏性貧血、骨髄線維症、発作性夜間血色素尿症、血小板減少症、静脈血栓塞栓症                                  |
| OFFICE OF IMMUNOLOGY AND INFLAMMATION<br>免疫学・炎症学局                                             | OII   | DIVISION OF DERMATOLOGY AND DENTISTRY                            | DDD    | 皮膚科学・歯科学部門           | アトピー性皮膚炎、乾癬、酒さ様皮膚炎、表在性基底細胞癌、創傷治癒／潰瘍、日光角化症、ざ瘡、歯肉炎、う蝕                                   |
|                                                                                               |       | DIVISION OF GASTROENTEROLOGY                                     | DG     | 消化器病学部門              | 炎症性腸疾患、過敏性腸症候群、胃食道逆流症／びらん性食道炎、十二指腸潰瘍／胃潰瘍、好酸球性胃腸疾患、便秘、肛門直腸障害、短腸症候群、吐気、嘔吐               |
|                                                                                               |       | DIVISION OF HEPATOLOGY AND NUTRITION                             | DHN    | 肝臓学・栄養学部門            | 代謝機能障害関連脂肪肝疾患、アルコール関連肝疾患、肝線維症、肝硬変、自己免疫性肝炎、薬物性肝障害、胆汁うっ滞性肝疾患、門脈圧亢進症、経腸栄養／腸管不全関連肝疾患      |
|                                                                                               |       | DIVISION OF PULMONOLOGY, ALLERGY AND CRITICAL CARE               | DPACC  | 呼吸器科学・アレルギー科・集中治療科部門 | 喘息、慢性閉塞性肺疾患、特発性肺線維症、急性呼吸窮迫症候群、アレルギー性鼻炎、慢性特発性蕁麻疹、咳、風邪、遺伝性血管性浮腫、アナフィラキシー、乳児呼吸窮迫症候群      |
|                                                                                               |       | DIVISION OF RHEUMATOLOGY AND TRANSPLANT MEDICINE                 | DRTM   | リウマチ科学・移植医学部門        | 関節リウマチ、若年性特発性関節炎、強直性脊椎炎、乾癬性関節炎、全身性エリテマトーデス、全身性強皮症、血管炎、臓器移植関連疾患（GVHD、虚血再灌流障害、ウイルス感染症等） |
| OFFICE OF INFECTIOUS DISEASE<br>感染症局                                                          | OID   | DIVISION OF ANTI-INFECTIVES                                      | DAI    | 抗感染症部門               | 細菌感染症、真菌感染症、原虫感染症                                                                     |
|                                                                                               |       | DIVISION OF ANTIVIRALS                                           | DAV    | 抗ウイルス部門              | ウイルス感染症                                                                               |
|                                                                                               |       | DIVISION OF PHARM/TOX FOR INFECTIOUS DISEASES                    | DPT-ID | 感染症薬理学／毒性学部門         |                                                                                       |
| OFFICE OF NEUROSCIENCE<br>神経科学局                                                               | ON    | DIVISION OF NEUROLOGY I                                          | DN I   | 神経学部門 I              | アルツハイマー病、パーキンソン病、ハンチントン病、筋ジストロフィー、筋萎縮性側索硬化症、痙攣                                        |
|                                                                                               |       | DIVISION OF NEUROLOGY II                                         | DN II  | 神経学部門 II             | てんかん、片頭痛、その他頭痛、外傷性脳損傷、内耳障害、脳卒中、多発性硬化症等の神経免疫疾患                                         |
|                                                                                               |       | DIVISION OF PSYCHIATRY                                           | DP     | 精神医学部門               | 双極性障害、統合失調症、統合失調感情障害、大うつ病、注意欠陥多動性障害、強迫性障害、パニック発作、心的外傷後ストレス障害、全般性不安障害、自閉症スペクトラム障害、不眠症  |
|                                                                                               |       | DIVISION OF ANESTHESIOLOGY, ADDICTION MEDICINE AND PAIN MEDICINE | DAAP   | 麻酔学、依存症医学、疼痛医学部門     | 急性疼痛、癌性疼痛、神経障害性疼痛、線維筋痛症、変形性関節症の痛み、腰痛等の慢性疼痛、ニコチン、アルコール、覚醒剤、オピオイド等の依存症                  |
|                                                                                               |       | DIVISION OF PHARM/TOX FOR NEUROSCIENCE                           | DPT-N  | 神経科学薬理学／毒性学部門        |                                                                                       |
| OFFICE OF ONCOLOGIC DISEASES<br>腫瘍疾患局                                                         | OOD   | DIVISION OF ONCOLOGY I                                           | DO I   | 腫瘍学部門 I              | 乳がん、婦人科および泌尿生殖器がん、がん支持療法                                                              |
|                                                                                               |       | DIVISION OF ONCOLOGY II                                          | DO II  | 腫瘍学部門 II             | 胸部がん、頭頸部がん、神経腫瘍、希少がん、小児固形腫瘍                                                           |
|                                                                                               |       | DIVISION OF ONCOLOGY III                                         | DO III | 腫瘍学部門 III            | 消化器がん、表在性皮膚がん、黒色腫、肉腫                                                                  |
|                                                                                               |       | DIVISION OF HEMATOLOGIC MALIGNANCIES I                           | DHM I  | 造血器悪性腫瘍学部門 I         | 急性白血病、骨髄異形成症候群、慢性骨髄性白血病等                                                              |
|                                                                                               |       | DIVISION OF HEMATOLOGIC MALIGNANCIES II                          | DHM II | 造血器悪性腫瘍学部門 II        | リンパ腫、慢性リンパ性白血病、多発性骨髄腫、その他の形質細胞悪性腫瘍                                                    |
|                                                                                               |       | DIVISION OF HEMATOLOGY ONCOLOGY TOXICOLOGY                       | DHOT   | 血液腫瘍学毒性学部門           |                                                                                       |
| OFFICE OF RARE DISEASES, PEDIATRICS, UROLOGY AND REPRODUCTIVE MEDICINE<br>希少疾患・小児科・泌尿器科・生殖医療局 | ORPUM | DIVISION OF PEDIATRICS AND MATERNAL HEALTH                       | DPMH   | 小児科および母性保健部門         |                                                                                       |
|                                                                                               |       | DIVISION OF RARE DISEASES AND MEDICAL GENETICS                   | DRDMG  | 希少疾患および医療遺伝学部門       | アミノ酸代謝異常症（先天性）脂質代謝異常症、有機酸代謝異常症、ライソゾーム病、ミトコンドリア病、バルオキシゾーム病、先天性胆汁酸代謝異常症、早老症             |
|                                                                                               |       | DIVISION OF UROLOGY, OBSTETRICS, AND GYNECOLOGY                  | DUOG   | 泌尿器科、産科および婦人科部門      | 前立腺肥大症、勃起不全、過活動膀胱障害、不妊症、性機能障害、更年期障害、異常子宮出血、子宮筋腫、子宮内膜症、月経前不快気分障害、早産                    |
| OFFICE OF SPECIALTY MEDICINE<br>専門医療局                                                         | OSM   | DIVISION OF IMAGING AND RADIATION MEDICINE                       | DIRM   | 画像・放射線医療部門           |                                                                                       |
|                                                                                               |       | DIVISION OF OPHTHALMOLOGY                                        | DO     | 眼科学部門                | 各種眼疾患                                                                                 |

出典：16）を元に医薬産業政策研究所にて作成

表2 『COA COMPENDIUM』の構成要素

| Elements (要素)                         | 要素の説明                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               |
|---------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Disease/Condition<br>(疾患/症状)          | 対象とした疾患/患者の症状を説明している                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
| COA Context of Use<br>(COA の使用状況)     | ・ COAが使用された目的(治療、予防等)と条件(例 疾患の重症度、年齢等)を説明している<br>・ CDER DDT 認定プログラムで認定された COA では、認定された目的と条件について説明している                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               |
| Concept<br>(概念、コンセプト)                 | COA が測定・評価する概念(コンセプト)を説明している<br>*概念(コンセプト): 評価によって捉える(または反映する)ことを意図した、個人の臨床的、生物学的、身体的、または機能的状態、あるいは経験の側面                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            |
| COA Tool & Type<br>(COA のツールとタイプ)     | ツール: 製品情報または認定ツール証明書に記載されている COA<br>タイプ:<br>・ PRO (Patient-reported outcome; 患者報告アウトカム)<br>患者(すなわち研究対象者)から直接得られた、患者の健康状態に関する報告に基づく測定<br>臨床医またはその他の者による患者の反応の修正や解釈は含まない<br>・ ObsRO (Observer-reported outcome; 観察者報告アウトカム)<br>患者または医療専門家以外の者による、患者の健康状態に関連する観察可能な兆候、事象、または行動の報告に基づく測定<br>・ ClinRO (Clinician-reported outcome; 臨床医報告アウトカム)<br>患者の健康状態を観察した訓練を受けた医療専門家からの報告に基づく測定<br>・ PerfO (Performance outcome; パフォーマンスアウトカム)<br>患者が一連の指示に従って能動的に行う標準化されたタスクに基づく測定 |
| Drug Name/Approval Date<br>(医薬品名と承認日) | 承認医薬品の製品名と一般名、NME 承認を受けた日もしくは適応拡大等の追加の有効性の最新承認日                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     |

出典: 8)、10) を元に医薬産業政策研究所にて作成

④「v) 試験薬剤毎に測定されたConcept数」は、箇条書きで記載されている Concept は個別に集計し、複数の Concept を「e.g.」として羅列記載している場合は1とカウントした。⑤「vii) 疾患/症状毎の COA 数」は、複数の Concept の複合(Composite)評価で、単一の COA を用いている場合(例: ClinROのみ)は1とカウントした。複合評価で複数の COA を用いている場合はそれぞれを1としてカウントした(例: PROとPerfOの複合は各1とカウント)。

### 3. 結果

第一に、CDER の COA 適格性評価プログラムで適格性が認定された COA を記載する。第二に、『COA COMPENDIUM』には掲載されているが適格性は認定されていない COA に関連する各種集計結果を記載する。

#### (1) 適格性認定 COA

「i) CDER の COA 適格性評価プログラムによって認定された COA」を表3に示す<sup>8), 17)</sup>。7の適格性認定 COA が記載されており、すべて PRO であった。慢性心不全、過敏性腸症候群(便秘型)、喘息、COPD、COPD 患者の細菌感染時の急性増悪、大うつ病性障害、非小細胞肺がんの自覚症状を評価する PRO 尺度であり、喘息に対する PRO (ANSD) のみ青年期患者での使用が可能、残りは成人を対象とした PRO 尺度であった。これら尺度の詳細は引用17を確認いただきたい。

#### (2) 適格性未認定 COA に関する定量分析

適格性の認定はされていないが申請者への参考として『COA COMPENDIUM』に掲載されている COA 情報について定量的に分析した。「ii) 疾患/症状数」は173、「iii) 試験薬剤数」は296、「iv) Context of Use の対象年齢」は、成人のみ

17) FDA homepage, 「Qualified Clinical Outcome Assessments (COA)」(content current : 2021.7) <https://www.fda.gov/drugs/clinical-outcome-assessment-coa-qualification-program/qualified-clinical-outcome-assessments-coa>



表3 適格性認定 COA

| 略号    | 疾患／症状                                                                                                                                                     | COA 申請番号と COA 名称                                                                                           | COA タイプ | COA Context of Use                                                                                                                                                                          | Concept                                                    |
|-------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------|
| DCN   | Chronic heart failure (CHF)<br>慢性心不全                                                                                                                      | DDT COA #000084:<br>Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire (KCCQ)                                        | PRO     | 18歳以上の慢性心不全患者                                                                                                                                                                               | 慢性心不全症状と身体機能への影響                                           |
| DG    | Irritable Bowel Syndrome (IBS)<br>過敏性腸症候群                                                                                                                 | DDT COA #000005:<br>Diary for Irritable Bowel Syndrome Symptoms-Constipation (DIBSS-C)                     | PRO     | ROME 基準およびFDA 最終 IBS ガイダンスで定義された IBS-C (過敏性腸症候群 便秘型) と診断された18歳以上の患者                                                                                                                         | ・排便関連症状 (例: 排便頻度、便の硬さ、残便、いきみ)<br>・腹部症状 (例: 腹痛、腹部不快感、腹部膨満感) |
| DPACC | Asthma<br>喘息                                                                                                                                              | DDT COA #000006:<br>Asthma Daytime Symptom Diary (ADSD) and Asthma Nighttime Symptom Diary (ANSDD)         | PRO     | 青年期 (12～17歳) および成人患者                                                                                                                                                                        | 喘息症状の重症度                                                   |
|       | Chronic Obstructive Pulmonary Disease (COPD)<br>慢性閉塞性肺疾患 (COPD)                                                                                           | DDT COA #000017:<br>Evaluating Respiratory Symptoms in Chronic Obstructive Pulmonary Disease (E-RS : COPD) | PRO     | 安定期 COPD の成人外来患者                                                                                                                                                                            | 安定期 COPD の呼吸器症状                                            |
| DAI   | Acute Bacterial Exacerbation of Chronic Bronchitis in patients with Chronic Obstructive Pulmonary Disease (ABECB-COPD)<br>COPD 合併の慢性気管支炎患者における細菌感染による急性増悪 | DDT COA #000003:<br>Exacerbations of Chronic Pulmonary Disease Tool (EXACT)                                | PRO     | FDA ガイダンスに記載されている臨床試験参加基準を満たす ABECB-COPD 外来患者                                                                                                                                               | ABECB-COPD の症状 (呼吸困難感、咳・痰、胸部症状、痰喀出困難感、疲労感・脱力感、睡眠障害、恐怖・不安)  |
| DP    | Major Depressive Disorder (MDD)<br>大うつ病性障害                                                                                                                | DDT COA #000008:<br>Symptoms of Major Depressive Disorder Scale (SMDDS)                                    | PRO     | 18歳以上の成人で、大うつ病性障害の臨床診断を受けており、以下の条件を満たす患者:<br>・外来治療中<br>・過去6ヶ月以内に大うつ病エピソードを経験<br>・HAM-D スコアが18を超え、DSM-IV または DSM-V の MDD 基準を満たす                                                              | MDD の全般的症状                                                 |
| DO II | Non-Small Cell Lung Cancer (NSCLC)<br>非小細胞性肺癌                                                                                                             | DDT COA #000009:<br>Non-Small Cell Lung Cancer Symptom Assessment Questionnaire (NSCLC-SAQ)                | PRO     | ステージ IIIB または IV の非小細胞肺癌 (NSCLC) の成人患者 (18歳以上) で、以下の条件を満たす患者:<br>・未治療 (現在化学療法を受けていない、かつ試験登録から過去6ヶ月以内に化学療法を受けていない)<br>・治療を受けている (過去6ヶ月以内に化学療法を受けており、CTCAE v4.03グレード1以上の前治療関連毒性／有害事象から回復している) | 症状 (咳、痛み、呼吸困難、疲労、食欲) の重症度                                  |

出典：8)、17) を元に医薬産業政策研究所にて作成

227、青年期～成人16、小児～成人43、小児～青年期8、小児のみ5であった。なお青年期は12～18歳未満と定義、小児は11歳未満と定義し新生児、乳児を含むケースもある。

「v) 試験薬剤毎に測定された Concept 数」は延べ633であった。複数の Concept を複合で評価する「vi) Composite評価数」は81、「vii) 疾患／症状毎の COA 数」は、ClinRO 251、PRO 216、PerfO 33、ObsRO 15であった。「viii) Diary を用いた PRO の数」は74であった。

次に審査局 (Office)、審査部門 (Division) 別の詳細を表4、5に示す。試験薬剤数が5以上で薬剤数に対する PRO アセスメント数の割合が

50%以上の疾患領域は、「皮膚科学・歯科学部門」、「消化器病学部門」、「呼吸器科学・アレルギー科・集中治療科部門」、「リウマチ科学・移植医学部門」、「神経学部門Ⅰ・Ⅱ」、「麻酔学、依存症医学、疼痛医学部門」、「泌尿器科、産科および婦人科部門」であった。PerfOは「心臓病学・腎臓学部門」7、「神経学部門Ⅰ・Ⅱ」8、「精神医学部門」3、「希少疾患および医療遺伝学部門」10、「眼科学部門」4であった。ObsROは「神経学部門Ⅰ・Ⅱ」で11、「呼吸器科学・アレルギー科・集中治療科部門」、「抗ウイルス部門」、「精神医学部門」、「抗腫瘍部門Ⅱ」がそれぞれ1であった。

表4 CDER 審査部門別にみた COA 関連情報（1）

| 審査局                         | 略号     | 審査部門                     | 略号          | 疾患／<br>症状数 | 試験<br>薬剤数 | 試験対象患者 |            |           |            |    |
|-----------------------------|--------|--------------------------|-------------|------------|-----------|--------|------------|-----------|------------|----|
|                             |        |                          |             |            |           | 成人     | 青年期<br>－成人 | 小児<br>－成人 | 小児<br>－青年期 | 小児 |
| 心臓病学、<br>血液学、内分泌学、<br>腎臓学局  | OCHEN  | 心臓病学・腎臓学部門               | DCN         | 14         | 23        | 23     |            |           |            |    |
|                             |        | 糖尿病・脂質異常症・<br>肥満症部門      | DDLO        | 3          | 3         | 3      |            |           |            |    |
|                             |        | 一般内分泌学部門                 | DGE         | 1          | 1         | 1      |            |           |            |    |
|                             |        | 非悪性血液学部門                 | DNH         | 8          | 12        | 11     | 1          | 1         |            |    |
| 免疫学・炎症学局                    | OII    | 皮膚科学・歯科学部門               | DDD         | 12         | 24        | 17     | 1          | 6         |            |    |
|                             |        | 消化器病学部門                  | DG          | 12         | 22        | 22     |            |           |            |    |
|                             |        | 呼吸器科学・アレルギー科・<br>集中治療科部門 | DPACC       | 8          | 25        | 9      | 7          | 6         |            | 3  |
|                             |        | リウマチ科学・移植医学部門            | DRTM        | 6          | 18        | 16     |            | 2         |            |    |
| 感染症局                        | OID    | 抗感染症部門                   | DAI         | 15         | 18        | 11     | 2          | 5         |            |    |
|                             |        | 抗ウイルス部門                  | DAV         | 1          | 2         | 2      |            |           | 1          |    |
| 神経科学局                       | ON     | 神経学部門Ⅰ＋Ⅱ                 | DNⅠ<br>ANDⅡ | 27         | 48        | 30     | 3          | 10        | 4          | 1  |
|                             |        | 精神医学部門                   | DP          | 11         | 27        | 24     | 2          | 1         | 1*         |    |
|                             |        | 麻酔学、依存症医学、<br>疼痛医学部門     | DAAP        | 7          | 8         | 8      |            |           |            |    |
| 腫瘍疾患局                       | OOD    | 腫瘍学部門Ⅰ                   | DOⅠ         | 2          | 2         | 2      |            |           |            |    |
|                             |        | 腫瘍学部門Ⅱ                   | DOⅡ         | 3          | 3         | 2      |            | 1         |            |    |
|                             |        | 造血器悪性腫瘍学部門Ⅰ              | DHMⅠ        | 2          | 4         | 3      |            | 1         |            |    |
|                             |        | 造血器悪性腫瘍学部門Ⅱ              | DHMⅡ        | 12         | 14        | 14     |            |           |            |    |
| 希少疾患・<br>小児科・泌尿器科・<br>生殖医療局 | ORPURM | 希少疾患および<br>医療遺伝学部門       | DRDMG       | 9          | 9         |        |            | 6         | 2          | 1  |
|                             |        | 泌尿器科、産科および<br>婦人科部門      | DUOG        | 9          | 17        | 17     |            |           |            |    |
| 専門医療局                       | OSM    | 眼科学部門                    | DO          | 11         | 16        | 12     |            | 4         |            |    |
| 計                           |        |                          |             | 173        | 296       | 227    | 16         | 43        | 8          | 5  |

\*：青年期のみ

出典：8）を元に医薬産業政策研究所にて作成

表5 CDER 審査部門別にみた COA 関連情報（2）

| 審査局                         | 略号     | 審査部門                     | 略号          | 疾患／<br>症状数 | 試験<br>薬剤数 | COA 関連情報 |           |        |     |       |       |
|-----------------------------|--------|--------------------------|-------------|------------|-----------|----------|-----------|--------|-----|-------|-------|
|                             |        |                          |             |            |           | Concept  | Composite | ClinRO | PRO | PerfO | ObsRO |
| 心臓病学、<br>血液学、内分泌学、<br>腎臓学局  | OCHEN  | 心臓病学・腎臓学部門               | DCN         | 14         | 23        | 57       | 17        | 23     | 5   | 7     |       |
|                             |        | 糖尿病・脂質異常症・<br>肥満症部門      | DDLO        | 3          | 3         | 9        | 2         | 3      |     |       |       |
|                             |        | 一般内分泌学部門                 | DGE         | 1          | 1         | 1        |           |        | 1   |       |       |
|                             |        | 非悪性血液学部門                 | DNH         | 8          | 12        | 24       | 5         | 9      | 6   |       |       |
| 免疫学・炎症学局                    | OII    | 皮膚科学・歯科学部門               | DDD         | 12         | 24        | 48       | 4         | 36     | 13  |       |       |
|                             |        | 消化器病学部門                  | DG          | 12         | 22        | 41       | 3         | 6      | 35  |       |       |
|                             |        | 呼吸器科学・アレルギー科・<br>集中治療科部門 | DPACC       | 8          | 25        | 61       | 12        | 20     | 27  |       | 1     |
|                             |        | リウマチ科学・移植医学部門            | DRTM        | 6          | 18        | 121      | 18        | 20     | 37  |       |       |
| 感染症局                        | OID    | 抗感染症部門                   | DAI         | 15         | 18        | 28       | 6         | 21     | 3   |       |       |
|                             |        | 抗ウイルス部門                  | DAV         | 1          | 2         | 3        |           |        | 3   |       | 1     |
| 神経科学局                       | ON     | 神経学部門Ⅰ＋Ⅱ                 | DNⅠ<br>ANDⅡ | 27         | 48        | 86       | 6         | 44     | 31  | 8     | 11    |
|                             |        | 精神医学部門                   | DP          | 11         | 27        | 44       |           | 34     | 6   | 3     | 1     |
|                             |        | 麻酔学、依存症医学、<br>疼痛医学部門     | DAAP        | 7          | 8         | 8        | 2         |        | 8   |       |       |
| 腫瘍疾患局                       | OOD    | 腫瘍学部門Ⅰ                   | DOⅠ         | 2          | 2         | 2        | 1         | 1      | 1   |       |       |
|                             |        | 腫瘍学部門Ⅱ                   | DOⅡ         | 3          | 3         | 3        |           | 1      | 2   |       | 1     |
|                             |        | 造血器悪性腫瘍学部門Ⅰ              | DHMⅠ        | 2          | 4         | 4        |           | 4      |     |       |       |
|                             |        | 造血器悪性腫瘍学部門Ⅱ              | DHMⅡ        | 12         | 14        | 28       | 4         | 15     | 2   |       |       |
| 希少疾患・<br>小児科・泌尿器科・<br>生殖医療局 | ORPURM | 希少疾患および<br>医療遺伝学部門       | DRDMG       | 9          | 9         | 14       | 1         | 3      |     | 10    |       |
|                             |        | 泌尿器科、産科および<br>婦人科部門      | DUOG        | 9          | 17        | 30       |           | 2      | 29  |       |       |
| 専門医療局                       | OSM    | 眼科学部門                    | DO          | 11         | 16        | 21       |           | 9      | 7   | 5     |       |
| 計                           |        |                          |             | 173        | 296       | 633      | 81        | 251    | 216 | 33    | 15    |

出典：8）を元に医薬産業政策研究所にて作成

### (3) 疾患別にみた PRO の使用状況

CDER の審査部署に応じて疾患別の PRO の使用数を集計し、『COA COMPENDIUM』に記載された PRO の Concept (測定対象) と測定に用いられた Tool (尺度) を整理した。「心臓病学、血液学、内分泌学、腎臓学局 (OCHEN)」の報告 (表 6) では PRO が使用された臨床試験の記載は限られており、PRO Concept は「安定狭心症」、「骨髄線維症」、「発作性夜間ヘモグロビン尿症」が各 2、他は 1 であった。Diary (日誌) による PRO は「安定狭心症」、「骨髄線維症」のみであり、疾患特異的尺度、ツールの利用は「心筋症」、「神経性起立性低血圧」、「血友病 A」、「骨髄線維症」の 4 疾患であった。

「免疫学・炎症学局 (OII)」(表 7) では PRO 使用の臨床試験、試験薬剤が多く記載されていた。皮膚疾患 (皮膚美容、尋常性乾癬)、慢性呼吸器疾患 (気管支喘息、COPD、嚢胞性線維症)、リウマチ性疾患および類縁疾患 (リウマチ性関節炎、乾癬性関節炎、強直性脊椎炎) において疾患特異的の尺度が多く用いられていた。対して、特発性、薬剤性問わず各種の排便機能障害と化学療法誘発性嘔気・嘔吐の臨床試験においては主に Diary と Numerical Rating Scale (以下、NRS) といった汎用的な PRO 尺度が用いられていた。

「感染症局 (OID)」(表 8) の PRO 使用の疾患／症状は 3 あり、嚢胞性線維症、旅行者下痢、イン

フルエンザであった。インフルエンザに対する小児臨床試験では観察者評価 (ObsRO) を可能としていた。

「神経科学局 (ON)」(表 9) では、「神経学部門」の疾患／症状で PRO 尺度の使用記載が多かった。9 の疾患特異的の尺度が用いられていた反面、舞蹈病 (Huntington's chorea)、ランバート・イートン筋無力症候群といった希少疾病の PRO は全般的印象 (Global impression) といった汎用的尺度であった。また、遺伝子疾患を含めた各種「てんかん」症状に対する PRO はすべて Diary であり、小児患者等では ObsRO による Diary も可能としていた。「精神医学部門」での PRO 使用の臨床試験はすべて睡眠障害関連であり、Diary と全般的印象が用いられていた。「麻酔学、依存症医学、疼痛医学部門」では、鎮痛薬の臨床試験の PRO は Numerical Pain Rating Scale (以下、NPRS) もしくは Visual Analogue Scale (以下、VAS) による汎用的な疼痛評価のみであった。

「腫瘍疾患局 (OOD)」(表 10) の PRO 使用の臨床試験は 4 であり、「転移性去勢抵抗性前立腺がん」の疼痛症状、「転移性非小細胞肺がん」の呼吸器症状、「結節性硬化症」に伴うてんかん部分発作、「慢性 GVHD」による不快症状であった。

「希少疾患・小児科・泌尿器科・生殖医療局 (ORPURM)」(表 11) では、「泌尿器科、産科および婦人科部門」のみで PRO 使用が記載されてい

表 6 疾患別にみた PRO の使用状況：心臓病学、血液学、内分泌学、腎臓学局 (OCHEN)

| 審査部門       | 略号  | 疾患／状態           | 試験薬剤数 | PRO 関連 |          |                                                                                                |                                         | ObsRO (参考) |
|------------|-----|-----------------|-------|--------|----------|------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------|------------|
|            |     |                 |       | PRO    | Diary 利用 | PRO Concept                                                                                    | PRO Tool                                |            |
| 心臓病学・腎臓学部門 | DCN | 心筋症             | 1     | 1      |          | Health status                                                                                  | KCCQ-OS score *                         |            |
|            |     | 安定狭心症           | 1     | 2      | 2        | ・ Angina attack frequency<br>・ Nitroglycerin use                                               | Diary                                   |            |
|            |     | 神経性起立性低血圧       | 1     | 1      |          | Symptom severity                                                                               | OHQ#1*                                  |            |
|            |     | 静脈瘤             | 1     | 1      |          | Patient satisfaction with treatment                                                            | 5-point verbal rating scale             |            |
| 一般内分泌学部門   | DGE | HIV 関連リポジストロフィー | 1     | 1      |          | Body image                                                                                     | Belly appearance distress score         |            |
| 非悪性血液学部門   | DNH | 血友病 A           | 2     | 1      |          | Health related quality of life-physical health                                                 | Haem-A-QoL *                            |            |
|            |     | 鉄欠乏性貧血          | 1     | 1      |          | Disease-related fatigue                                                                        | FACIT-fatigue                           |            |
|            |     | 骨髄線維症           | 1     | 2      | 1        | ・ MF symptom severity<br>・ Fatigue-related symptoms and associated impacts on daily activities | ・ MF-SAF diary *<br>・ PROMIS-Fatigue 7b |            |
|            |     | 発作性夜間ヘモグロビン尿症   | 2     | 2      |          | Disease-related fatigue                                                                        | FACIT-fatigue                           |            |

\*：疾患特異的の尺度およびツール

出典：8) を元に医薬産業政策研究所にて作成

表7 疾患別にみた PRO の使用状況：免疫学・炎症学局（OII）

| 審査部門                             | 略号    | 疾患/状態                | 試験<br>薬剤数 | PRO 関連 |             |  |  | PRO Concept                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                        | PRO Tool                                                                                                                                                                           | ObsRO<br>(参考) |
|----------------------------------|-------|----------------------|-----------|--------|-------------|--|--|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------|
|                                  |       |                      |           | PRO    | Diary<br>利用 |  |  |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    |                                                                                                                                                                                    |               |
| 皮膚科学・<br>歯科学部門                   | DDD   | アトピー性皮膚炎             | 2         | 1      |             |  |  | Itching intensity                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  | Pruritus NRS                                                                                                                                                                       |               |
|                                  |       | 額のしわ                 | 1         | 2      |             |  |  | ・ Forehead line severity at maximum eyebrow elevation<br>・ Facial line satisfaction                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                | ・ Facial Wrinkle Scale with Photonic Guide*<br>・ Facial Line Satisfaction Questionnaire*                                                                                           |               |
|                                  |       | 眉間のしわ                | 1         | 1      |             |  |  | Glabellar line severity at maximum frown                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           | Glabellar Line Scale*                                                                                                                                                              |               |
|                                  |       | 足、体部白癬<br>(局所療法)     | 2         | 2      |             |  |  | Clearance of signs and symptoms                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    |                                                                                                                                                                                    |               |
|                                  |       | 尋常性乾癬                | 8         | 5      | 2           |  |  | ・ Symptoms of plaque psoriasis<br>・ Itching severity<br>・ Patient-reported symptoms<br>・ Symptoms of psoriasis (itch, pain, stinging, burning and skin tightness)<br>・ Signs and symptoms related to pain, redness, itching and burning                                                                                                                                                                                                                                                                            | ・ PSI*<br>・ Itch numeric Rating Scale<br>・ Psoriasis Symptom Diary*<br>・ PSSD*<br>・ PSS*                                                                                           |               |
|                                  |       | 顎下脂肪                 | 1         | 2      |             |  |  | ・ Improvement in submental convexity or fullness<br>・ Visual and emotional impact of submental fat                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                 | ・ PR-SMFRS*<br>・ Six-question survey                                                                                                                                               |               |
| 消化器病学<br>部門                      | DG    | カルチノイド症候<br>群に伴う下痢   | 2         | 5      | 5           |  |  | ・ Frequency of bowel movement<br>・ Abdominal pain<br>・ Flushing<br>・ Use of rescue therapy<br>・ Frequency of diarrhea and flushing symptoms                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                        | Diary                                                                                                                                                                              |               |
|                                  |       | 特発性慢性便秘症             | 4         | 11     | 7           |  |  | ・ Frequency of complete spontaneous bowel movements<br>・ Frequency of spontaneous bowel movements<br>・ Straining-amount of time pushing or physical effort to pass stool<br>・ Stool consistency<br>・ Signs and symptoms related to constipation                                                                                                                                                                                                                                                                    | ・ Diary<br>・ BSFS<br>・ NRS assessing signs and symptoms                                                                                                                            |               |
|                                  |       | クローン病                | 2         | 2      |             |  |  | Signs and symptoms of the disease                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |                                                                                                                                                                                    |               |
|                                  |       | 過敏性腸症候群<br>便秘型       | 2         | 4      | 2           |  |  | ・ Frequency of complete spontaneous bowel movements<br>・ Abdominal pain intensity                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  | ・ Diary<br>・ 11-point abdominal pain NRS                                                                                                                                           |               |
|                                  |       | 過敏性腸症候群<br>下痢型       | 1         | 2      | 1           |  |  | Abdominal pain intensity and stool consistency                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | ・ Diary<br>・ BSFS<br>・ 11-point abdominal pain NRS                                                                                                                                 |               |
|                                  |       | 化学療法誘発性<br>嘔気・嘔吐     | 3         | 3      | 3           |  |  | ・ Absence of vomiting retch-ing or nausea and no use of rescue medication<br>・ Absence of emetic episodes and no use of rescue medication<br>・ Complete Response: Emetic episodes, Use of rescue medication                                                                                                                                                                                                                                                                                                        | ・ Diary                                                                                                                                                                            |               |
|                                  |       | 非感染性下痢               | 1         | 2      | 1           |  |  | ・ Stool consistency<br>・ Frequency of the watery bowel movement                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    | ・ BSFS<br>・ Diary                                                                                                                                                                  |               |
|                                  |       | オピオイド誘発性<br>便秘症      | 2         | 3      | 3           |  |  | ・ Frequency of spontaneous bowel movements without laxative use<br>・ Frequency of complete spontaneous bowel movement                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              | ・ Diary                                                                                                                                                                            |               |
|                                  |       | オピオイド誘発性<br>イレウス（術後） | 1         | 1      | 1           |  |  | Resolution of opioid induced ileus, both the upper and lower gas-<br>trointestinal tract                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           | ・ Diary                                                                                                                                                                            |               |
|                                  |       | 潰瘍性大腸炎               | 2         | 2      | 2           |  |  | Signs and symptoms of UC                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           | ・ Diary                                                                                                                                                                            |               |
| 呼吸器科学・<br>アレルギー<br>科・集中治療<br>科部門 | DPACC | アレルギー性鼻炎             | 1         | 1      |             |  |  | Nasal symptoms severity                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            | 4-point categorical nasal symptom severity scale*                                                                                                                                  |               |
|                                  |       | 喘息                   | 9         | 13     | 2           |  |  | ・ Signs and symptoms of asthma and adequacy of asthma control<br>・ Health Related Quality of life<br>・ Signs and symptoms of asthma and measure of asthma exacerbation<br>・ Functional problems related to asthma<br>・ Adequacy of and change in asthma control<br>・ Asthma control<br>・ Symptoms frequency and severity, physical activity limitations,<br>and impact on daily life<br>・ Frequency and severity of asthma exacerbation<br>・ Improvement in asthma symptoms severity<br>・ Use of rescue medication | ・ ACQ-5.67*<br>・ AQLQ*<br>・ AQLQ(S) + 12*<br>・ PAQLQ*<br>・ SGRQ<br>・ Asthma symptoms score*<br>・ Diary : PRO or ObsRO (e.g. pediatric)                                             | 1             |
|                                  |       | 慢性閉塞性肺疾患             | 6         | 5      | 1           |  |  | ・ Symptoms frequency and severity, physical activity limitations,<br>and impact on daily life<br>・ Reduction in rescue medication use                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              | ・ SGRQ<br>・ SGRQ-C*<br>・ Diary                                                                                                                                                     |               |
|                                  |       | 嚢胞性線維症               | 3         | 3      |             |  |  | ・ Respiratory symptoms (cough, sputum production, difficulty breathing)<br>・ Respiratory symptoms severity                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                         | ・ CFQ-R : Respiratory Domain*<br>・ CFQ-R : Revised Respiratory Domain*                                                                                                             |               |
|                                  |       | 好酸球性多発血管<br>炎性肉芽腫症   | 1         | 2      | 1           |  |  | Time to first relapse :<br>・ Asthma control<br>・ Sino-nasal symptoms                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               | ・ ACQ-6*<br>・ Diary                                                                                                                                                                |               |
|                                  |       | 遺伝性血管性浮腫             | 3         | 3      |             |  |  | ・ Signs and symptoms severity<br>・ Improvement of each anatomic site of attack                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | ・ 100mm VAS or evaluating each sign/symptom severity<br>・ 4-point categorical scale<br>・ Categorical scale evaluating treatment improvement                                        |               |
|                                  |       |                      |           |        |             |  |  |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    |                                                                                                                                                                                    |               |
| リウマチ科<br>・移植医学<br>部門             | DRTM  | 強直性脊椎炎               | 2         | 5      |             |  |  | ・ Signs and symptoms of ankylosing spondylitis<br>・ General health status<br>・ Health-related quality of life                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      | ・ VAS pain scale<br>・ Bath Ankylosing Spondylitis Functional Index*<br>・ Bath Ankylosing Spondylitis Disease Activity Index*<br>・ Patient global assessment<br>・ SF-36<br>・ ASQoL* |               |
|                                  |       | クリオピリン関連<br>周期性症候群   | 2         | 1      |             |  |  | Signs and symptoms severity                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                        | Severity rating of each symptom on a 0-10-point scale with<br>half point increments on the Daily Health Assessment Form                                                            |               |
|                                  |       | 乾癬性関節炎               | 6         | 15     |             |  |  | ・ Improvement in number of tender and swollen joints<br>・ Pain intensity<br>・ Patient's global assessment of disease activity<br>・ Disability<br>・ Physical functioning<br>・ General health status                                                                                                                                                                                                                                                                                                                 | ・ ACR core set of outcome measures*<br>・ HAQ-DI*<br>・ SF-36                                                                                                                        |               |
|                                  |       | リウマチ性関節炎             | 6         | 16     |             |  |  | ・ Improvement in number of tender and swollen joints<br>・ Pain intensity<br>・ Patient's global assessment of disease activity<br>・ Disability<br>・ Physical functioning<br>・ General health status                                                                                                                                                                                                                                                                                                                 | ・ ACR core set of outcome measures*<br>・ DAS-28 (VAS)*<br>・ HAQ-DI*<br>・ SF-36                                                                                                     |               |

\*：疾患特異的尺度およびツール

出典：8）を元に医薬産業政策研究所にて作成



表8 疾患別にみた PRO の使用状況：感染症局（OID）

| 審査部門   | 略号  | 疾患／状態                | 試験<br>薬剤数 | PRO 関連 |             |                                                                                      |                                       | ObsRO<br>(参考) |
|--------|-----|----------------------|-----------|--------|-------------|--------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------|---------------|
|        |     |                      |           | PRO    | Diary<br>利用 | PRO Concept                                                                          | PRO Tool                              |               |
| 抗感染症部門 | DAI | 嚢胞性線維症               | 1         | 1      |             | Changes in respiratory symptoms                                                      | CFQ-R respiratory domain *            |               |
|        |     | 旅行者下痢                | 2         | 2      |             | ・ Clinical response based on time to last unformed stool<br>・ Resolution of symptoms |                                       |               |
|        | DAV | インフルエンザ感染<br>(急性単純性) | 2         | 3      | 3           | Signs and symptoms of Influenza                                                      | Diary : PRO or ObsRO (e.g. pediatric) | 1             |

表9 疾患別にみた PRO の使用状況：神経科学局（ON）

| 審査部門             | 略号             | 疾患／状態                               | 試験<br>薬剤数 | PRO 関連 |             |                                                                                                                                       |                                                                                 | ObsRO<br>(参考) |
|------------------|----------------|-------------------------------------|-----------|--------|-------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------|---------------|
|                  |                |                                     |           | PRO    | Diary<br>利用 | PRO Concept                                                                                                                           | PRO Tool                                                                        |               |
| 神経学部門<br>I + II  | DN I<br>AND II | 頸部ジストニア                             | 2         | 2      |             | ・ Severity of dystonia<br>・ Disability<br>・ Pain                                                                                      | TWSTRS *                                                                        |               |
|                  |                | 全身性重症筋無力症                           | 1         | 1      |             | ・ Impact on daily function<br>・ Global impression<br>・ Global impression of the effects of the study treatment on physical well-being | ・ MG- ADL *<br>・ Patient-rated Global Impression<br>・ Subject Global Impression |               |
|                  |                | 舞蹈病                                 | 1         | 1      |             | Global impression                                                                                                                     | Patient-rated Global Impression                                                 |               |
|                  |                | ランバート・イートン症候群                       | 1         | 1      |             | Global impression of the effects of the study treatment on physical well-being                                                        | Subject Global Impression                                                       |               |
|                  |                | 片頭痛                                 | 3         | 4      | 4           | ・ Migraine frequency<br>・ Impact of migraine on EA and PI                                                                             | ・ Diary<br>・ MPFID *                                                            |               |
|                  |                | 慢性片頭痛                               | 2         | 3      | 2           | ・ Migraine frequency<br>・ Headache frequency<br>・ Impact of migraine on daily activities                                              | ・ Diary<br>・ MSQv2.1 Role Function-Restrictive domain *                         |               |
|                  |                | 反復性片頭痛                              | 2         | 2      | 2           | Migraine frequency                                                                                                                    | Diary                                                                           |               |
|                  |                | 多発性硬化症                              | 9         | 1      |             | Ambulatory disability                                                                                                                 | 12-item Multiple Sclerosis Walking Scale *                                      |               |
|                  |                | パーキンソン病                             | 1         | 1      | 1           | Signs and symptoms of dyskinesia                                                                                                      | Diary                                                                           |               |
|                  |                | パーキンソン病<br>(進行期)                    | 2         | 2      | 2           | “Off” time                                                                                                                            | Diary unified parkinson's disease *                                             |               |
|                  |                | 遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシスによる多発ニューロパチー   | 2         | 2      |             | Patient experience of neuropathy                                                                                                      | QoL-DN *                                                                        |               |
|                  |                | レストレスレッグ症候群                         | 1         | 1      |             | Sensory and motor symptom severity and impacts                                                                                        | RLS Rating Scale *                                                              |               |
|                  |                | てんかん                                | 2         | 2      | 2           | Seizure frequency                                                                                                                     | Diary : PRO or ObsRO (e.g. pediatric)                                           | 2             |
|                  |                | ドラベ症候群に伴うてんかん                       | 2         | 2      | 2           | ・ Convulsive seizure frequency<br>・ Generalized clonic or tonic clonic seizure frequency                                              | Diary : PRO or ObsRO (e.g. pediatric)                                           | 2             |
|                  |                | レノックス・ガストー症候群に伴うてんかん                | 3         | 4      | 3           | ・ Drop seizure frequency<br>・ Total seizure frequency<br>・ Seizure frequency                                                          | Diary : PRO or ObsRO (e.g. pediatric)                                           | 4             |
|                  |                | 部分発作型てんかん                           | 1         | 1      | 1           | Seizure frequency                                                                                                                     | Diary : PRO or ObsRO (e.g. pediatric)                                           | 1             |
|                  |                | 難治性の複雑部分発作型てんかん                     | 1         | 1      | 1           | Seizure frequency                                                                                                                     | Diary : PRO or ObsRO (e.g. pediatric)                                           | 1             |
| 精神医学部門           | DP             | ナルコレプシーまたは閉塞性睡眠時無呼吸症候群に関連する日中の過度の眠気 | 1         | 2      |             | ・ Daytime sleepiness<br>・ Global impression of change of symptom severity                                                             | Patient Global Impression of Change                                             |               |
|                  |                | 不眠症                                 | 3         | 3      | 3           | Sleep latency (sleep onset)                                                                                                           | Diary                                                                           |               |
|                  |                | 非24時間睡眠覚醒症候群                        | 1         | 1      | 1           | Nighttime sleep time and daytime nap time                                                                                             | Diary                                                                           |               |
| 麻酔学、依存症医学、疼痛医学部門 | DAAP           | アルコール依存症                            | 1         | 1      | 1           | Attaining and maintaining abstinence or low risk drinking                                                                             | Diary                                                                           |               |
|                  |                | オピオイド退薬症                            | 1         | 1      |             | Opioid withdrawal symptoms                                                                                                            | SOWS-Gossop total score *                                                       |               |
|                  |                | 急性疼痛                                | 1         | 1      |             | Pain intensity                                                                                                                        | NPRS or VAS                                                                     |               |
|                  |                | 慢性疼痛                                | 1         | 1      |             | Pain intensity                                                                                                                        | NPRS or VAS                                                                     |               |
|                  |                | 神経障害性疼痛                             | 2         | 2      |             | Pain intensity                                                                                                                        | NPRS or VAS                                                                     |               |
|                  |                | 術後局所疼痛                              | 1         | 1      |             | Pain intensity                                                                                                                        | NPRS or VAS                                                                     |               |
|                  |                | 禁煙                                  | 1         | 1      |             | Abstinence                                                                                                                            | Patient-reported abstinence                                                     |               |

\*：疾患特異的尺度およびツール

出典：8）を元に医薬産業政策研究所にて作成

た。排尿障害、性機能障害では疾患特異的尺度の使用が認められていたが、避妊効果、加齢に伴う血管運動神経症状や性器萎縮といった女性特異的

な疾患／症状では Diary が主であった。

「専門医療局（OSM）」（表12）のPROは「眼科学部門」のみ記載があり、ドライアイが疾患特異

表10 疾患別にみた PRO の使用状況：腫瘍疾患局（OOD）

| 審査部門              | 略号     | 疾患／状態             | 試験<br>薬剤数 | PRO 関連 |             |                                                                            |                                             | ObsRO<br>(参考) |
|-------------------|--------|-------------------|-----------|--------|-------------|----------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------|---------------|
|                   |        |                   |           | PRO    | Diary<br>利用 | PRO Concept                                                                | PRO Tool                                    |               |
| 腫瘍学部門 I           | DO I   | 転移性去勢抵抗性<br>前立腺がん | 1         | 1      |             | Pain intensity                                                             | Brief Pain Inventory Item #3<br>—Short Form |               |
| 腫瘍学部門 II          | DO II  | 転移性非小細胞肺がん        | 1         | 1      |             | Delay in time to develop-<br>ment or worsening of short-<br>ness of breath | EORTC QLQ C-30/LC13*                        |               |
|                   |        | 結節性硬化症に伴う<br>部分発作 | 1         | 1      | 1           | Seizure frequency                                                          | Diary：PRO or ObsRO（e.g.<br>pediatric）       | 1             |
| 造血器悪性腫<br>瘍学部門 II | DHM II | 慢性 GVHD           | 1         | 2      |             | Patient-reported symptom<br>bother                                         | Lee Symptom Scale Total<br>Score            |               |

表11 疾患別にみた PRO の使用状況：希少疾患・小児科・泌尿器科・生殖医療局（ORPURM）

| 審査部門                    | 略号   | 疾患／状態      | 試験<br>薬剤数 | PRO 関連 |             |                                                                                                   |                                                                                                                       | ObsRO<br>(参考) |
|-------------------------|------|------------|-----------|--------|-------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------|
|                         |      |            |           | PRO    | Diary<br>利用 | PRO Concept                                                                                       | PRO Tool                                                                                                              |               |
| 泌尿器科、<br>産科および<br>婦人科部門 | DUOG | 夜間頻尿       | 1         | 2      |             | ・ Nocturia episodes<br>・ Nighttime urination bother                                               | ・ Nocturic episodes *<br>・ INTU questionnaire *                                                                       |               |
|                         |      | 過活動膀胱      | 4         | 4      | 4           | Incontinence episodes, uri-<br>nary frequency and urinary<br>void volume                          | Voiding diary *                                                                                                       |               |
|                         |      | 前立腺肥大症     | 2         | 2      |             | BPH symptoms severity                                                                             | IPSS *                                                                                                                |               |
|                         |      | 勃起不全       | 3         | 6      | 3           | ・ Erectile function<br>・ Attainment and mainte-<br>nance of erection                              | ・ IIEF *<br>・ SEPDiarly *                                                                                             |               |
|                         |      | 避妊         | 2         | 1      | 1           | Return to fertility                                                                               | Diary                                                                                                                 |               |
|                         |      | 子宮内膜症      | 1         | 4      |             | ・ Dysmenorrhea pain<br>・ Non-menstrual pelvic pain<br>・ Dyspareunia<br>・ Worst endometriosis pain | ・ Endometriosis Daily Pain<br>Impact Scale *<br>・ NPRS                                                                |               |
|                         |      | 性欲低下障害（女性） | 2         | 7      | 1           | ・ Sexual satisfaction<br>・ Sexual desire<br>・ Sexually-related distress                           | ・ SSE *<br>・ FSEP-R *<br>・ Sexual desire from e-Diary *<br>・ FSFI Questions 1 & 2 *<br>・ FSDS-R *<br>・ FSDS-DAO Q13 * |               |
|                         |      | 血管運動神経症状   | 1         | 2      | 1           | ・ Frequency of VMS<br>・ Severity of VMS                                                           | ・ Diary<br>・ Daily severity score                                                                                     |               |
|                         |      | 外陰腔萎縮      | 1         | 1      | 1           | Symptoms of vulvar and<br>vaginal atrophy                                                         | Diary                                                                                                                 |               |

表12 疾患別にみた PRO の使用状況：専門医療局（OSM）

| 審査部門  | 略号 | 疾患／状態                | 試験<br>薬剤数 | PRO 関連 |             |                                                      |                                                           | ObsRO<br>(参考) |
|-------|----|----------------------|-----------|--------|-------------|------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------|---------------|
|       |    |                      |           | PRO    | Diary<br>利用 | PRO Concept                                          | PRO Tool                                                  |               |
| 眼科学部門 | DO | アレルギー性結膜炎<br>を伴う痒み   | 3         | 3      |             | Ocular itching severity                              | 5-point itching severity NRS<br>with half unit increments |               |
|       |    | 水晶体手術もしくは<br>眼内レンズ手術 | 1         | 1      |             | Absence of post-surgical ocu-<br>lar pain/discomfort | VAS                                                       |               |
|       |    | ドライアイ                | 1         | 1      |             | Symptoms of DED:Extent of<br>eye dryness             | EDS by VAS *                                              |               |
|       |    | 眼手術に関連する<br>炎症・疼痛    | 2         | 2      |             | Absence of post-surgical ocu-<br>lar pain/discomfort | VAS and/or 6-point NRS                                    |               |

\*：疾患特異的尺度およびツール

出典：8）を元に医薬産業政策研究所にて作成

的尺度、他は掻痒感、術後の疼痛・不快症状などを NRS もしくは VAS で評価するものであった。

#### 4. まとめと考察

本稿では、米国FDAが2021年に公表した『COA COMPENDIUM』に記載された、疾患領域毎の各 COA、特に PRO の使用実態を調査した。更に臨床試験、試験薬剤および使用された COA、PRO の各種データ間の関係等を分析していくつか課題を考察した。

##### (1) 記載データの更新状況

『COA COMPENDIUM』は先述通り、パイロット版が2016年に公表され、その後2019年に第1版、2021年に第2版が公表されたがそれ以降の更新がないため、直近の疾患／症状毎、試験薬剤毎の臨床試験における COA の使用状況、使用トレンドの分析ができない。そのため現状では参考資料の分析としての域は出ないが、最大の医薬品開発国である米国の審査当局が公表している資料であり、臨床試験に使用された COA を疾患毎、薬剤毎に一元に整理した資料は他にないため、具体的に臨床試験に PRO を実装するための参考資料として価値の高い資料だと考える。『COA COMPENDIUM』には継続的な更新が望まれるとともに、これから PPI/E を推進しようとする本邦においても臨床試験での PRO の使用状況を一元化する資料の作成が望まれる。

##### (2) 記載データの網羅性

『COA COMPENDIUM』は、パイロット版では2003～2014年、第1版では2003～2017年、第2版では2017～2019年までの NDA または BLA で審査承認された NME の添付文書等の情報と適応拡大に伴う新たな情報、適格性認定 COA の情報で構成されているが、長期に渡って収集された各種の臨床試験情報にしては、先述の定義に示された

NME 等の COA 情報は少なく網羅記載されているか明らかではない。あらかじめ包括的リストではないとしているが、そのために情報に偏りがあることも考えられ、更なる調査と研究が期待される。

##### (3) 適格性認定 COA の数

2016年に『the 21st Century Cures Act』が制定され、以降米国では DDT 開発が推進されると考えられたが、『COA COMPENDIUM』に記載された CDER の COA 適格性評価プログラムによって科学的に認定された COA は限られた7疾患／症状に対する PRO であり、2021年以降を調べたところ、アルコール依存症患者のアルコール摂取量を評価する特殊な PRO が新たに適格性認定<sup>18)</sup>された程度である。これまでの COA の適格性認定申請を FDA サイトで検索<sup>19)</sup>したところ、その数は現時点で88であった。その多くは申請の入り口である Letter of Intent（開発意向書）のレベルで留まっており、科学的妥当性のある COA の開発の難しさが伺える。同時に、意向書受理後のステップである Qualification Plan submission（認定計画申請）提出に対しても FDA の受理で留まっているものが多く、適格性認定にも困難のあることが推察される。今後の期待としては、現在適格性認定された COA はすべて PRO であり、COA 開発と CDER 適格性認定の志向には「Patient-Focused Drug Development」が基本にあると考えられる。今後アンメットメディカルニーズに対する新規作用機序、新規分子標的、新規モダリティ等の医薬開発が更に進むと考えられるが、Co-creationの観点で考えると、それら新薬によって患者が経験する新たな価値、多様な価値が科学的妥当性をもって深耕される PRO の開発が同時に望まれるであろう。

##### (4) 各 COA の使用状況

『COA COMPENDIUM』には、173の疾患／症

18) FDA homepage, 「DDT-COA-000110, WHO Risk Drinking Levels of Alcohol Consumption」(Qualified : 2025.1)  
<https://force-dsc.my.site.com/ddt/s/ddt-project?ddtprojectid=33>

19) FDA homepage, 「CDER & CBER Drug Development Tool Qualification Project Search」(最終確認 : 2025.5.31)  
<https://force-dsc.my.site.com/ddt/s/>

状に対する臨床試験で298の試験薬剤のCOA使用状況が記載されている。年齢別の延べ数は成人のみが226、青年期から成人が16、小児から成人が45、小児から青年期が6、幼児～小児が5であった。この結果から、記載されたCOAのほとんどが成人対象で使用もしくは開発されたものであり、小児をはじめとした若年層に特異的なCOAは未だ希少であることがわかる。COA別の延べ数はClinRO 251、PRO 216、PerfO 32、ObsRO 15であり、薬剤効果の評価機会を量的にみるとPROはClinROと同程度に導入されていた。対してPerfO、ObsROは少なく、特にObsROはてんかん（の頻度）、喘息症状、インフルエンザ症状（表7、8、9）といった小児－成人共通の疾患で、小児患者等自己評価を的確に表現することが困難な場合にPROとObsROの選択を可能としたものであった。また13～17歳の青年期ADHDを対象とした臨床試験ではPROは記載されておらず、ClinROとObsRO（Connor's Parent Rating Scale）が使用されていた。

これらの分析から、現在のCOA開発において以下の問題が考えられた。①若年層にフォーカスしたPROをはじめとしたCOA開発は十分とはいえない、②ObsROは小児-成人共通の疾患に限られておりその数も僅少である、③認知症等の器質性精神障害、パーキンソン病等の神経変性疾患に対してObsROの記載がない、④器質性精神障害、神経変性疾患に対するPerfOの記載が僅少である、⑤ムコ多糖症やポンペ病等の先天性希少疾患に対してObsROの記載がない。

上記のような疾患に対する科学的妥当性のあるCOA開発は非常に難易度が高いと推察される。しかし、急速な高齢化の進展によって増加が危惧される器質性精神障害、神経変性疾患に対峙するために、また少子化進展の中、一人でも多くの難治性疾患の小児患者を救う画期的医薬品を開発しこれからの社会的負担の増大を抑制するためにも、患者自身の評価に加えて、患者の日々の「生活」

と「人生」に関わる介護者の視点は非常に重要になると考える。特に医薬品による介護負担の軽減等の「社会的価値」評価の必要性に関する議論においては、「なぜ、どのように負担が軽減したのか」について妥当性のある説明ができるようにするためにも、PROに加えObsROとPerfOの開発の高度化は本質的であり必要条件と考える。

#### (5) 疾患領域毎のPRO使用状況

173の疾患／症状のうち82は臨床試験に何らかのPROが記載されていた。つまり残りの91の疾患／症状にはPROは使用されていなかった。確かに急性冠症候群や脳梗塞急性期のような重篤イベントに直結する急性期疾患ではPRO評価は不適と考えるが、『COA COMPENDIUM』内の急性期疾患試験は少数であった。医薬品開発においてPPI/Eの機会拡大を実現するためには、多くの疾患領域でPRO開発の余地が残っているのではないかと考えられた。

PROが使用された疾患／症状には偏りがあり、尋常性乾癬、リウマチ性疾患および類縁疾患といった自己免疫疾患と、喘息、COPD、嚢胞性線維症といった慢性呼吸器疾患、美容皮膚、排尿障害、性機能障害において疾患特異的PRO尺度の使用が充実していた。特にリウマチ性疾患や喘息は、近年になって生物学的製剤等の革新的治療薬が開発されてきたものの、古代より多くの人間を苦しめてきたmajor diseaseであり、疾患特異的なClinRoやPROの豊富な開発は長い臨床研究の歴史で培われた成果と言えよう。

疼痛症状の臨床試験はPROによる評価が主体であったが、先とは異なり、疼痛疾患に対する臨床試験のほとんどはNPRSやVASといった基礎的PRO尺度が用いられていた。国際疼痛学会による疼痛の定義は「実際の組織損傷もしくは組織損傷が起こりうる状態に付随する、あるいはそれに似た、感覚かつ情動の不快な体験」<sup>20)</sup>とされており、「疼痛は常に個人的な経験」として、周知の通

20) IASP homepage, 「IASP Announces Revised Definition of Pain」(2020.7) <https://www.iasp-pain.org/publications/iasp-news/iasp-announces-revised-definition-of-pain/?ItemNumber=10475>



り疼痛評価の本質は主観であり PRO による評価が最重要である。その点を踏まえ、他の疼痛尺度の存在を確認するために COA 専門サイト<sup>21)</sup> で簡易検索したところ、当サイトに登録された“Pain”のワードを含む COA は712あり、疼痛の原因別（神経障害性等）、状態別（慢性等）、基礎疾患別（認知症、鎌状赤血球症等）、臓器、部位（背部、皮膚等）、年齢別（小児等）といった多様な疼痛評価 COA が開発されていた。大多数が PRO であったが少数ながら ClinRO や ObsRO も存在した。患者が体験する疼痛表現は様々である。数値による疼痛レベルの変化だけではなく、患者の特性毎にきめ細やかに患者の不快な表現を拾い上げる PRO の開発は、医薬品開発における PPI/E と Co-Creation の推進において重要な要素と考える。

排便機能障害、性関連疾患、てんかんの臨床試験では、PRO として「Diary」の使用頻度が高かった。Diary は患者が日々経験する症状の変化を示す貴重な一次情報であり、患者状態の評価として最適なツールと思われる。しかし定量スケールとは異なり、特に紙媒体の自記式 Diary は患者の個性、気分、状態等によって情報の精度に変動があることが懸念されるとされる。紙媒体 Diary は報告時間の正確性低下、報告ルールの遵守率低下、報告文字の判読性低下といったデータの信頼性確保のための重要な要素である ALCOA（Attributable；帰属可能、Legible；判読可能、Contemporaneous；同時性、Original；原本性、Accurate；正確性）に問題点があると指摘されている<sup>7)</sup>。その改善として近年 Diary 情報等を電子的に報告・収集する「ePRO」の導入が推奨されている<sup>22)</sup>。ePRO は記入時間の自動記録、入力リマインダー機能、agile なデータ転送とフィードバック等の報告サポート機能が実装され、文字の判読性も担保されることによりデータ品質と信頼性の向上が期待されるとしている。しかしたとえ ePRO を導入

したとしても、医薬品開発における Co-Creation が成立するためには、患者もしくは介護者の臨床試験への積極的な協力と、ヘルスリテラシー、データリテラシーが不可欠である。加えて、ePRO の Diary で得られた定性的な一次情報から最大限に価値を引き出すためにも、個々の患者が多様な文脈で表現する非構造的健康情報を、測定可能かつ科学的妥当性の高い構造化データに変換し集約する AI 技術の開発は PPI/E、Co-Creation の意義を高める点で重要な課題だと考える。

最後に、引用20の COA 専門サイトに登録されている COA は8,130あり、“PRO”のワードを含む COA を検索すると1,580であった。PRO は疾患特異的を問わず数多く開発されており、引用7においても「疾患／症状特異的 HRQL（健康関連 QOL）尺度も枚挙に暇がないほど数多く開発されている」としている。このように数多く開発されてきた PRO の中から、医薬品開発の Co-Creation に最適な PRO を選択する、もしくは更に科学的妥当性の高い PRO を開発するためにも、政府、アカデミアと協力しながら患者と直接コミュニケーションを取り患者の声に耳を傾ける機会を設けることは、今後の製薬産業の重要な取り組みになるものと考ええる。

## 5. おわりに

『COA COMPENDIUM』では腫瘍疾患に対する PRO 使用例の記載は少なかったが、Patient-Focused Drug Development の推進はがん領域でも注目されている。米国国立がん研究所（以下、NCI）は、がん臨床試験の有害事象情報をより正確に把握するために、参画患者自らに治験薬や治験医療技術による有害事象の重症度、頻度、日常生活への影響等を報告してもらう PRO 尺度「PRO-CTCAE（Patient-Reported Outcomes version of the Common Terminology Criteria for

21) ePROVIDE<sup>®</sup> Mapi Research Trust 2025, All rights reserved, 「PROQOLID<sup>™</sup>」(COAs online database) Free Access Level <https://eprovide.mapi-trust.org/about/about-proqolid>（最終確認：2025.5.31）

22) ISPOR, Value in Health, Report of the ISPOR ePRO Systems Validation Good Research Practices Task Force, 「Validation of Electronic Systems to Collect Patient-Reported Outcome (PRO) Data - Recommendations for Clinical Trial Teams」(2013.7) [https://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015\(13\)01797-X/fulltext](https://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015(13)01797-X/fulltext)

Adverse Events)』を開発した<sup>23)</sup>。その日本語版は日本臨床腫瘍研究グループ (JCOG) の承認を受け、NCI ホームページで2017年公開された<sup>24)</sup>。

2023年にはNCIより、1985～2020年の間に実施された臨床試験をがん領域と非がん領域に分けて、臨床試験に使用された COA を定量分析した論文が報告された<sup>25)</sup>。分析対象の臨床試験のうち、がん領域の18%、非がん領域の26%で何らかの COA が使用されており、そのうち PRO の使用は

それぞれ84%、78%と COA 類型の中で PRO の使用頻度が格段に高い点を指摘していた。課題として、early phase trial の COA 使用試験が少なかった点、がん臨床試験において treatment-focused trial の COA 使用が17%に対して、supportive care trial は49%だったが、それでも半数に満たなかった点等が指摘されていた。今後これらの課題を含めた COA、PRO に関する研究機会を設けたいと考える。

---

23) NIH homepage, Patient-Reported Outcomes version of the Common Terminology Criteria for Adverse Events (PRO-CTCAE<sup>®</sup>) (2025.5) <https://healthcaresdelivery.cancer.gov/pro-ctcae/>

24) JCOG homepage, PRO-CTCAE<sup>™</sup> (version 1.0) Patient-Reported Outcome (PRO) Common Terminology Criteria for Adverse Events (CTCAE) (最終確認：2025.5.31) [https://jcog.jp/doctor/tool/pro\\_ctcae/](https://jcog.jp/doctor/tool/pro_ctcae/)

25) Kim Y., et al. 「Clinical outcome assessment trends in clinical trials—Contrasting oncology and non-oncology trials」 *Cancer Medicine* 12(16), 16945-16957 (2023) <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/cam4.6325>

## Patient-Reported Outcome (PRO) の最新動向 ー臨床試験登録データベースを用いた調査・分析ー

医薬産業政策研究所 主任研究員 吉野九美  
医薬産業政策研究所 主任研究員 白石隆啓  
医薬産業政策研究所 主任研究員 椿原慎治

### 要約

- ClinicalTrials.govに登録されたPRO関連臨床試験数、割合は、過去15年（2009～2023年）で増加傾向であるが、2020～2023年は同程度で推移した。
- 疾患カテゴリー別でみると、PRO関連臨床試験数ではPathological Conditions, Signs and Symptoms、Neoplasmsが上位だが、割合としてはMusculoskeletal Diseasesが多かった。
- 試験Phase別（Phase1～4）でみると、Phase3で最もPRO関連臨床試験の割合が高かった。
- 国・地域別でみるとJapanのPRO関連臨床試験数についてはUnited States、Europe各国に比べて少ないが、増加比はUnited States、Europe各国と同程度であり、その割合も他の国・地域と比べ大きな差はなかった。一方、Chinaは割合が他の国・地域に比べ低い傾向が見られた。

### 1. はじめに

PRO（Patient-Reported Outcome、患者報告アウトカム）は、「被験者の症状やQOLに関して、自分自身で判定し、その結果に医者をはじめ他の

ものが一切介在しないという評価方法」としてFDAのガイダンス<sup>1)</sup>において定義される臨床アウトカムの一つである。PRO尺度を大きく分類すると、一般的な健康状態を包括的に評価する包括的尺度（SF-36、EQ-5D等）と、特定の疾患やそれに伴う特定の症状の程度を評価する疾患・症状特異的尺度（疼痛に用いられるVAS、関節炎・腰痛に用いられるWOMAC等）に分類することができる<sup>2)</sup>。PROは患者自身の症状や印象の変化が重要な疾患が対象であり、すべての疾患が該当するものではない。「痛み」や「痒み」、「眠気」のような患者の主観以外に信頼性の高い適切な評価方法がないものが想起されやすいが、そうした疾患に対し、これまでわが国ではPROを「利用せざるを得ない」とする消極的な活用がなされていた。しかし、近年は医師による評価が可能なものであっても、患者が直接評価することで同等あるいはそれ以上に意義のある評価が得られる場合に、PROを積極的に活用するようになりつつある<sup>3)</sup>。

また、前報の「FDA公表データからみたPatient-Reported Outcome（PRO）の使用状況<sup>4)</sup>」でも記載のとおり、2021年9月には、PMDAより「独立行政法人医薬品医療機器総合機構患者参画ガイド

- 
- 1) Food and Drug Administration, Guidance for industry: patient-reported outcome measures: use in medical product development to support labeling claims. 2009.
- 2) 治験における Patient Reported Outcomes～臨床開発担当者のための PRO 利用の手引き～ [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/eo4se3000000878v-att/DS\\_202504\\_PRO.pdf](https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/eo4se3000000878v-att/DS_202504_PRO.pdf)
- 3) 医薬産業政策研究所、「国民にとって納得性の高い薬価及び薬価制度に向けて」、リサーチペーパー・シリーズ No.83 (2024年3月)、[https://www.jpma.or.jp/opir/research/rs\\_083/es9fc600000009g0-att/RESEARCH\\_PAPER\\_SERIES\\_No83.pdf](https://www.jpma.or.jp/opir/research/rs_083/es9fc600000009g0-att/RESEARCH_PAPER_SERIES_No83.pdf)
- 4) 医薬産業政策研究所、「FDA公表データからみたPatient-Reported Outcome（PRO）の使用状況」政策研ニュースNo.75 (2025年7月)

ンス」<sup>5)</sup>が発行され、その中で、「PROは、審査において患者の Benefit を評価するための有用なツールであり、これを活用することは、臨床的意義が患者に支持される医薬品等の効率的な開発に資すると考えられる」と記載されている。こうした状況において、PROを評価項目の一部とした治験の結果を含む承認申請が日本でも増加することを想定し、これまで過去のニュースにおいても、PRO 関連臨床試験数の推移を報告してきた<sup>6, 7)</sup>。

本稿では、臨床試験における医薬品の評価において、PRO関連情報が現状どの程度用いられているかについて、最新の動向を把握するため、臨床試験登録データベース (ClinicalTrials.gov) を用いた調査・分析を行った。過去の2報の政策研ニュースのデータとも比較しつつ、最近の傾向を報告する。

## 2. 調査方法

臨床試験登録データベース ClinicalTrials.gov を用いて、PRO に関連した臨床試験がどの程度実施・計画されているかを調査・分析した<sup>8)</sup>。なお、ClinicalTrials.govは、米国国立衛生研究所 (NIH) 等によって運営されている臨床試験登録システムである。米国の登録システムではあるものの、各社の情報発信目的など企業戦略の観点等により米国が参加しない臨床試験情報も登録されている<sup>9)</sup> ことなどから、米国以外の国・地域も含めた世界的な医薬品開発状況を調査するために着目すべきひとつの代表的なデータベースと判断した。データベースにおける検索条件は以下のとおりである。

- a) 2009年1月1日から2023年12月31日\*までに新規に登録された試験計画書の中で、Interventional Study (介入試験) で、かつ介入の対象として Drug あるいは Biological と記載があるもの (Device、Behavior、Radiation 等は除外)。
  - a') 一部、介入の対象として Genetic と記載があるものも調査した。
- b) PRO に関連し得る検索用語として、Patient Reported、Patient self-reported、Patient Handling Questionnaire、Patient Satisfaction とし、これらのうちいずれかの用語が、評価項目 (Outcome Measures) に記載されているもの。
- c) 疾患カテゴリー別の調査：各試験に関連ワードとして記載されている MeSH (Medical Subject Headings、医学件名標目表) を抽出し、その上位語 C01~C26 で分類した。上位語は National Library of Medicine のサイトの MeSH Browser 内にある Tree View<sup>10)</sup> をもとに判断した。1つの試験に複数の MeSH が記載されていたり、複数の上位語に紐づく MeSH が記載されていたりする場合は重複してカウントした。
- d) Phase 別の調査：ClinicalTrials.gov に登録された Phase ごと (Phase1、Phase2 (Phase1/2を含む)、Phase3 (Phase2/3を含む)、Phase4ごと) の試験数と割合を調査した。Early phase1 (以前はPhase0とされていた試験)、NA (FDA が定義

5) PMDA患者参画検討ワーキンググループ、「独立行政法人医薬品医療機器総合機構 患者参画ガイダンス」、<https://www.pmda.go.jp/files/000242830.pdf>

6) 医薬産業政策研究所、「Patient Reported Outcome (PRO) の最新動向—臨床試験登録データベースを用いた調査・分析—」政策研ニュースNo.57 (2019年7月)、2009年1月1日から2018年12月31日までの10年間データを2019年5月21日時点で検索したもの。

7) 医薬産業政策研究所、「PRO (Patient Reported Outcome) の最新動向—臨床試験登録データベースを用いた調査・分析—」政策研ニュースNo.65 (2022年3月)、2012年1月1日から2021年12月31日までの10年間データを2022年1月12日時点で検索したもの。

8) 2025年3月26日時点で ClinicalTrials.gov のウェブサイトに登録されているデータを基に調査した。

9) 2025年5月22日時点で、被験者募集が米国だけの試験は全体の30%、米国外のみの試験は65%、米国と米国外の両方の試験は5%とされており、米国外の情報も多く登録されていることが分かる。<https://clinicaltrials.gov/about-site/trends-charts#recruitingStudies> (参照：2025/05/22)

10) National Library of Medicine、Tree View (MeSH Browser) <https://meshb.nlm.nih.gov/treeView> (参照日：2025/3/27)



するPhaseがない試験)についてはPhase別の調査においては、調査対象外とした。

e) 地域別の調査：ClinicalTrials.govの定義に従い、実施された国・地域別にカウントした。複数地域で実施されている試験は両方で（重複して）カウントした。

注）本検索条件は、あらゆるPRO評価ツール（VASやEQ-5D等）を具体的に規定して検索できていないため、網羅性には限界がある。また、評価手法の解説として直接評価、患者満足といった表現を用いただけの試験（本来のPROには該当しない）も、PRO関連臨床試験として抽出されていることに留意する必要がある。

また、ClinicalTrials.govでの登録内容は各臨床試験の進行状況などに応じて変化する場合があります、その可能性はデータ取得日に近いほど高いことが、過去の政策研ニュースで指摘されている<sup>11)</sup>。したがって、2024年分のデータについては調査可能であったものの、直近のデータは情報量が少ない懸念が大きいと判断し、今回は調査対象としなかった。また、過去に報告済みの期間においても、調査時期によって総臨床試験やPRO関連臨床試験の数に変動がある可能性が高いため、臨床試験の実数の比較は同一調査内でのみ行った。

### 3. 結果

#### 3-1. PRO関連臨床試験数の推移

検索条件a)にて抽出された臨床試験（対象期間、介入方法が一致する全ての臨床試験：以下、総臨床試験と略す）は、トータルで168,262試験あった。その中で、検索条件b)でヒットした試験（以下、PRO関連臨床試験）は、6,273試験であった（表1）。なお、期間を5年間で区切って比較すると、直近5年間のPRO関連臨床試験数は10～15年前と比較して3.7倍、5～10年前と比較して1.6倍に増え、総臨床試験におけるPRO関連臨床試験の割合も1.9%、3.7%、5.1%と経時的に増加し

ていた。

また、過去のニュースでは調査していないが、近年は遺伝子治療に関する製品も増加していると考えられることから、遺伝子治療関連の試験におけるPRO関連臨床試験の動向を確認する目的で、検索条件a)についても調査した。その結果、トータルは2,398試験、PRO関連臨床試験は77試験であり、期間を5年間で区切ったときの総臨床試験におけるPRO関連臨床試験の割合は1.2%、2.9%、4.6%であった（表2）。検索条件a)（DrugあるいはBiological）と同様の傾向を示しており、遺伝子治療関連の試験においてもPROの活用が進んでいることが伺われたが、数の影響は少ないと判断し、以降の調査にはGeneticは含めないこ

表1 PRO関連臨床試験、総臨床試験の数とその割合（Drug/Biological）

|              | 5年ごと      |           |           | 全期間       |
|--------------|-----------|-----------|-----------|-----------|
|              | 2009－2013 | 2014－2018 | 2019－2023 | 2009－2023 |
| PRO関連臨床試験数   | 889       | 2,093     | 3,291     | 6,273     |
| 総臨床試験数       | 47,306    | 56,708    | 64,248    | 168,262   |
| PRO関連臨床試験の割合 | 1.9%      | 3.7%      | 5.1%      | 3.7%      |

出所：ClinicalTrials.govデータをもとに医薬産業政策研究所にて作成

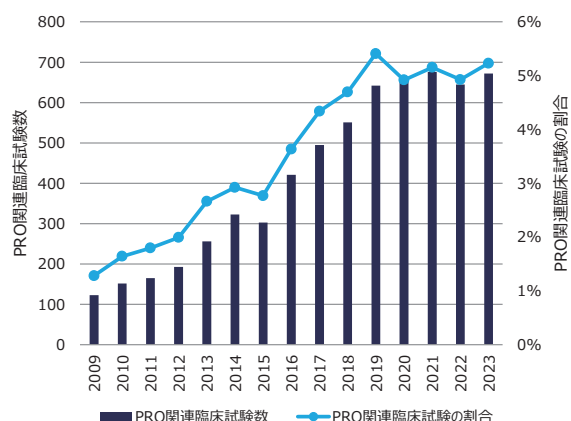
表2 PRO関連臨床試験、総臨床試験の数とその割合（Genetic）

|              | 5年ごと      |           |           | 全期間       |
|--------------|-----------|-----------|-----------|-----------|
|              | 2009－2013 | 2014－2018 | 2019－2023 | 2009－2023 |
| PRO関連臨床試験数   | 7         | 23        | 47        | 77        |
| 総臨床試験数       | 574       | 802       | 1,022     | 2,398     |
| PRO関連臨床試験の割合 | 1.2%      | 2.9%      | 4.6%      | 3.2%      |

出所：ClinicalTrials.govデータをもとに医薬産業政策研究所にて作成

11) 医薬産業政策研究所、「近年における国際共同治験の動向調査—2023年までの動向とアジア地域について—」政策研ニュース No.73（2025年11月）

図1 PRO 関連臨床試験数と総臨床試験数に対する割合の年次推移



出所：ClinicalTrials.govデータをもとに医薬産業政策研究所にて作成

とした。

また、年次推移を見ると、2019年のニュース、2022年のニュースと同様、2019年まではほぼ右肩上がりに増加する傾向がみられたが、2020年から2023年までは、PRO関連臨床試験数も割合もほぼ横ばいであった（図1）。

### 3-2. 疾患カテゴリー別

次に、疾患カテゴリー別のPRO関連臨床試験数について、過去10年間について5年ごとに分け、前後で比較した。ClinicalTrials.govのサイトの様式変更があったと思われることから、過去の調査とは完全に同一の手法ではないが、過去2報と同様にPRO関連臨床試験数はいずれの5年間においてもPathological Conditions, Signs and Symptoms（病理学的状態、症状、徴候）が最も多く、Neoplasms（腫瘍）が次いで多かった（図2）。一方、PRO関連臨床試験の割合でみるとMusculoskeletal Diseases（筋骨格系疾患）がいずれの5年間でも最も高く、試験数で1位、2位であったカテゴリーはいずれも低い順位であった（2014－2018年、2019－2023年の順位は、Pathological Conditions, Signs and Symptomsはそれぞれ4位、7位、Neoplasmsはそれぞれ15位、18位）。

注）この疾患カテゴリーはClinicalTrials.govの各試験に関連ワードとして記載されたMeSHを上位カテゴリーに分類したものであり、Clin-

icalTrials.govの独自カテゴリーを用いて調査した過去の政策研ニュースとは調査方法が同じでない点に留意する必要がある。なお、過去と同様、1つの試験が複数の疾患カテゴリーに属する場合などは、重複して試験数をカウントしている。

### 3-3. 試験Phase別

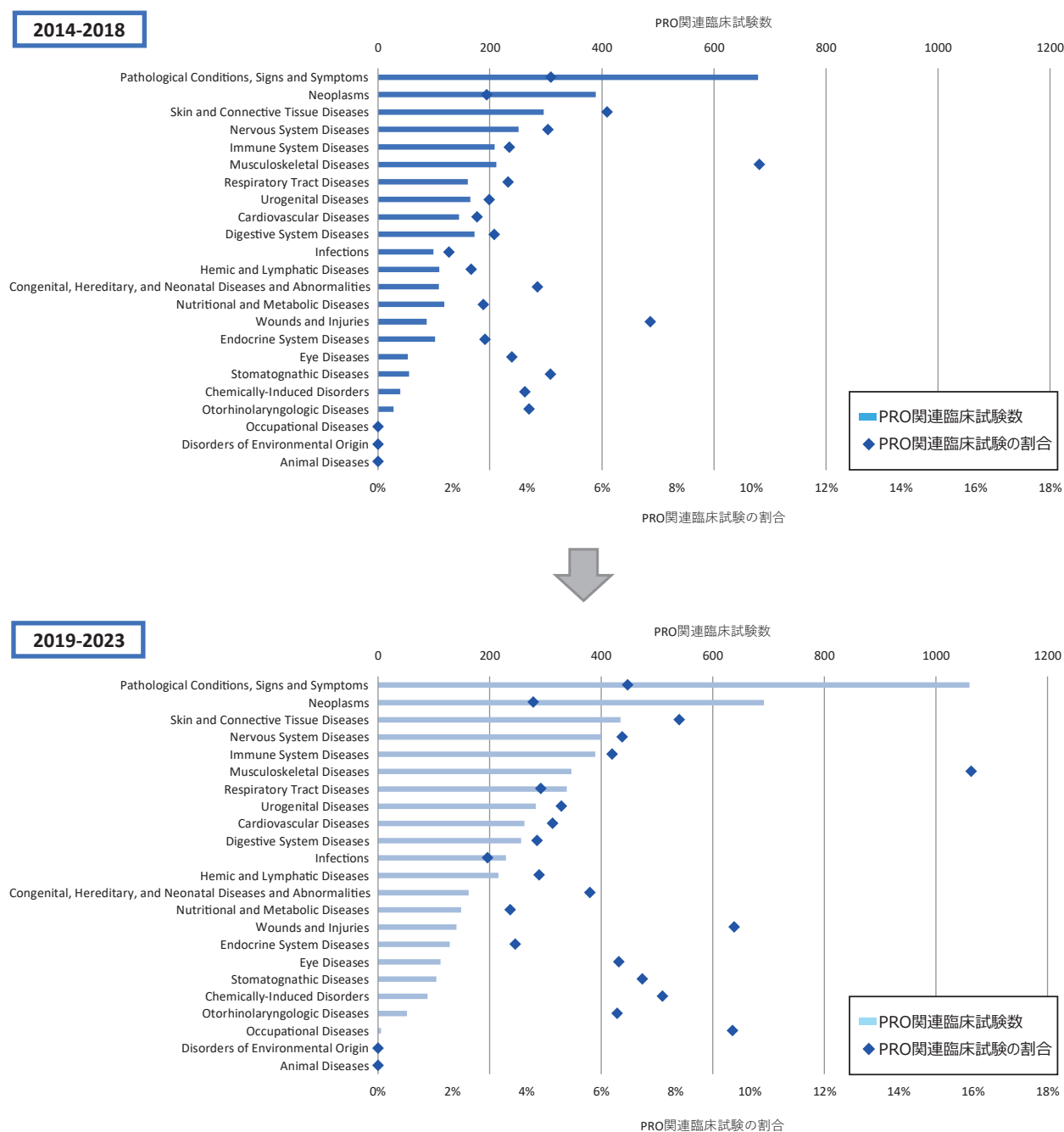
続いて、試験Phase別のPRO関連臨床試験数について以下に示した。まず、各Phaseの総臨床試験に対するPRO関連臨床試験の割合はPhase3（Phase2/3含む）で最も高く、次いでPhase4が高かった（図3、棒グラフ）。これは過去2報と同じ傾向である。

次に、PRO関連臨床試験の割合を5年間比較でみると、全てのPhaseにおいて直近5年間での割合が増加していた（図3、折れ線グラフ）。また、Phase3の直近5年間ではPRO関連臨床試験の割合が7%を超えていたことも過去の政策研ニュースと同様である。

### 3-4. 国・地域別

最後に国・地域別の変化を図4に示した。調査対象は、United States、そしてEuropeの国として、United Kingdom、France、Germany、Italy、さらにEast Asiaの国・地域として、Japan、China、Hong Kong、Taiwan、Koreaとした。5年間区切りで比較したところ、どの国・地域でもPRO関連臨床試験数（図4、棒グラフ）は増加していた。直近5年間（2019～2023年）の試験数において、Japan（208試験）は、突出して高いUnited States（1,808試験）や、Europe各国（351～382試験）と比べて少ない状況ではあるが、2014～2018年の5年間に対する直近5年間（2019～2023年）の増加比で見ると、Japan（1.5倍〔208試験／141試験〕）は、United States（1.5倍〔1,808試験／1,173試験〕）、Europe各国（1.4～1.7倍〔351～382試験／209～264試験〕）と同程度であった。一方、ChinaのPRO関連臨床試験数は316試験でEurope各国並みとなっており、増加比としては3.0倍と大きく伸長していた。

図2 疾患カテゴリー別の PRO 関連臨床試験数と割合（5 年間比較）



注：MeSH の「C 疾患」のカテゴリーを、2019～2023年の PRO 関連臨床試験数の多い順で上から並べた。  
出所：ClinicalTrials.gov データをもとに医薬産業政策研究所にて作成

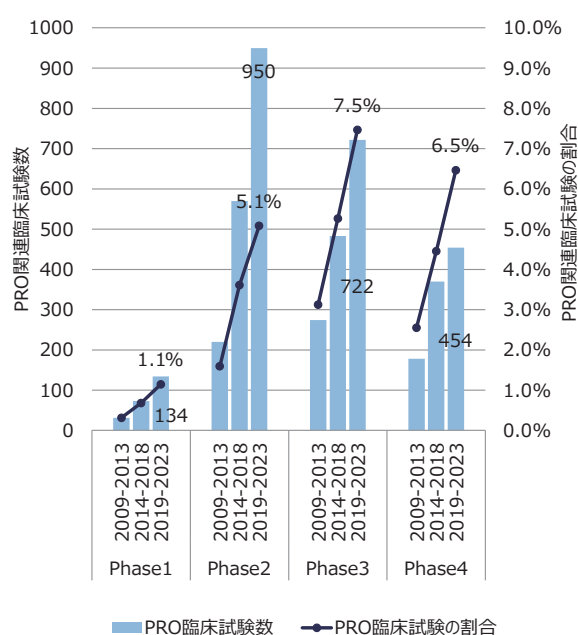
また、総臨床試験に対する PRO 関連臨床試験の割合（図4、折れ線グラフ）については、直近5年間（2019～2023年）でJapanは10.5%であり、他の国・地域と同程度であったが、Chinaは2.7%と顕著に低かった。

なお、図3に示した通り、PRO関連臨床試験の割合はPhase3で最も多く、また、医薬品の承認に

より深くかかわるのもPhase3であることから、Phase3に限定した国・地域別の調査も行った。その結果、すべてのPhaseでの調査（図4）に比べて全体的に割合が5ポイント程度高くなったが、国・地域間で傾向に大きな差は見られず、Chinaのみが10%を切る結果であった（2019～2023年の割合は、United States:12.9% [457試験/3,533試

験)、Europe 各国：14.2～16.2%、Japan：15.2% [159試験／1,046試験]、China：7.5% [158試験／2,117試験]、その他のEast Asia：13.7～16.7%、図なし)。

図3 Phase別のPRO関連臨床試験数と割合（5年間比較）



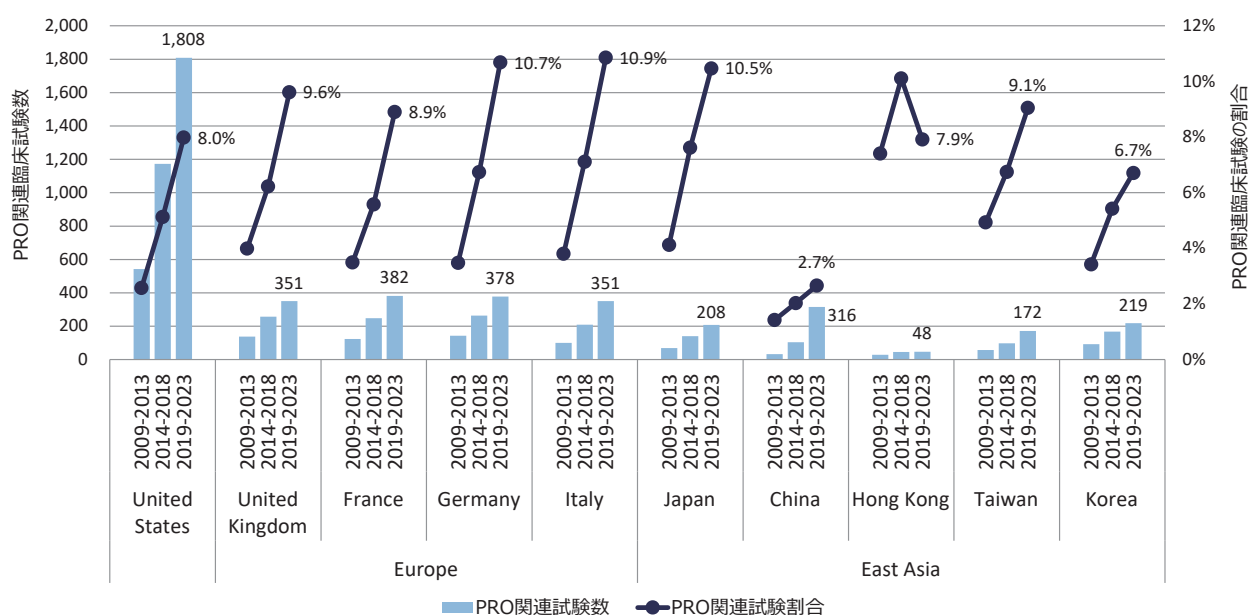
注：Phase2はPhase1/2を、Phase3はPhase2/3を含む。  
出所：ClinicalTrials.govデータをもとに医薬産業政策研究所にて作成

#### 4. まとめ・考察

臨床試験における医薬品の評価において、PRO関連情報がどの程度用いられるようになっているのか、過去15年間の調査・分析を行った。PRO関連臨床試験数とその総臨床試験数に対する割合は、5年間区切りで見ると順調に伸長していたが、年次推移でみると、2020年以降で一定になりつつある傾向が見られた(図1)。この期間は、COVID-19の流行期と一部重なっており、COVID-19関連の疾患以外においては新たな臨床試験の開始や進行中の臨床試験を休止・中断する状況があったと推察され、そうしたなか、PROを利用した臨床試験の計画・実施が困難であったことが重要な原因となっている可能性がある。

実際に、疾患カテゴリー別のPRO関連臨床試験数を確認すると、この期間はCOVID-19に関連すると思われる疾患カテゴリーInfections（感染症）、Respiratory Tract Diseases（呼吸器疾患）では2019年に比べて2020年以降で顕著な増加が見られる一方で、PRO関連臨床試験数が多いカテゴリーであるPathological Conditions, Signs and Symptoms、Neoplasm、Skin and connective Tissue Diseases（皮膚および結合組織疾患）、Nervous System Diseases（神経系疾患）やPRO関連臨床

図4 国・地域別のPRO関連臨床試験数と総臨床試験数に対する割合（5年間比較）



出所：ClinicalTrials.gov データをもとに医薬産業政策研究所にて作成



試験の割合が高いカテゴリーである Musculoskeletal Diseases においては2019年より減少した時期が散見された(補足1)。また、全カテゴリーにおける総臨床試験数においても、2020年以降は伸びていない(2020年:13,329、2021年:13,115、2022年:13,093、2023年:12,845)。なお、今回は調査対象としていないものの、2024年はPRO 関連臨床試験数(774試験)、総臨床試験数(13,904試験)ともに伸びが見られていることから、今後は回復基調となる可能性も考えられるが、PRO関連臨床試験数の伸び率が鈍化している可能性も否定はできず、今後の動向については注視が必要である。

疾患カテゴリー別、試験Phase別の調査については、上述の通り、前回までのニュースと比べて大きな傾向の変化は認められなかった。しかし、いずれの疾患カテゴリー、PhaseにおいてもPRO 関連臨床試験の割合が増加する傾向が見られており、全体的なPRO への関心の高まりは伺われた。直近5年間での目立つ変化としては、疾患カテゴリーのうち、Occupational Diseases(職業病)においてPRO 関連臨床試験の割合が0%から9.5%に増加し、3番目に多い割合となった(図2)。ただし、実数としては多くなく、総臨床試験63試験中、PRO関連臨床試験が6試験であった。総臨床試験数が少ない疾患カテゴリーではPRO 関連臨床試験数の多少の増減による割合への影響が大きいと考えられ、この傾向が継続するかどうかは今後の動向を見る必要がある。

国・地域別においては、5年間区切りで見ると、どの国・地域においてもPRO 関連臨床試験数は増加傾向であった(図4)。つまり、今回調査した国・地域においては、臨床試験でその国・地域の患者・被験者の声が考慮される傾向が高まってきていることが伺われる。PRO 関連臨床試験数はUnited Statesが突出しており、次いでEurope各国で多かった。これは、United States、EuropeにおいてPROに関連する各種ガイダンス等の環境の整備が進んでいることによる可能性が推察され

る。

Chinaに関しても直近5年間ではPRO 関連臨床試験数がEurope各国並みとなり、近年急速に伸びてきていた(図4)。この背景としては、2022年1月に「患者報告アウトカム(PRO)を医薬品の臨床試験に応用するガイドライン」が発表<sup>12)</sup>され、PROは患者のQOLや臨床的価値の向上を反映する指標とされているなど、PROへの関心の高まりと環境整備があった可能性が考えられる。一方、PRO 関連臨床試験の割合自体は顕著に低く他の国・地域と比べても3~4倍の開きがあった(2019~2023年:2.7%、図4)が、Phase3に限定すると他の国・地域と同様に5ポイント程度高くなり(2019~2023年:7.5%、図なし)、他の国・地域との開きも2倍程度に縮小した。以上より、Phase3におけるPRO 関連臨床試験の割合は他のPhaseに比べるとChinaとその他の国・地域で差が小さいことが示唆された。

Japanについては、Europe各国と比べてPRO 関連臨床試験の割合としては同程度となっている(図4)ことから、こうした試験を実施する為の臨床試験の実施能力・環境は整っていると考えられる。

なお、複数国で実施された臨床試験でのPRO 関連臨床試験の割合は、China含めて国・地域の間で大きな差はなかった(補足2)ことから、複数国で試験を実施することで、PROの意識浸透が先行する国・地域に合わせてPROが取り入れられやすくなる可能性が考えられる。一方、単一国でのみ実施された試験におけるPRO 関連臨床試験の割合は国・地域によってばらつきが見られた(補足3)。その要因については、各国・地域のPROに対する意識や環境整備、承認への活用状況の違いが影響した可能性や、臨床試験が実施されやすい疾患カテゴリーに各国・地域で違いがある可能性など、様々なものが想定されるが、詳細な調査を行っていないため今後の調査課題としたい。各国・地域でPRO 関連臨床試験の割合をより高め

12)「患者報告結局在薬物臨床研究中応用的指導原則(試行)」、<http://www.cjpi.org.cn/zryyxxwjw/rootfiles/2022/02/17/1640591735484325-1640595221872832.pdf>

るためには、複数国での試験を増加させるとともに、単一国での試験への PRO の浸透を加速させる方策の検討が重要な要素になると考えられる。

## 5. おわりに

本稿での調査の結果、各国・地域において PRO 関連臨床試験数や割合が増加傾向であることがわかったが、Japan は全体としての PRO 利用率は United States、Europe 各国並みであるものの、単一国での試験での利用率等に課題が残ることが示唆された。今後、日本においては、患者参画ガイ

ダンス<sup>5)</sup>でも、「国内外での使用実績等の観点に留意しつつ、その取扱いについて検討する」旨の記載がなされており、2023年6月には「関連学会の取組と連携した PRO ガイドラインの作成」<sup>13)</sup>も報告されていることを受け、PROを評価項目の一部とした臨床試験の結果を含む承認申請が更に増加することが想定される。更なる PRO に対する意識の向上やその実施と結果活用への環境整備が進むことによって PRO 関連臨床試験数が増加していくことを期待し、引き続き動向を注視していきたい。

---

13) 関連学会の取組と連携した PRO ガイドラインの作成、<https://mhlw-grants.niph.go.jp/project/161320>

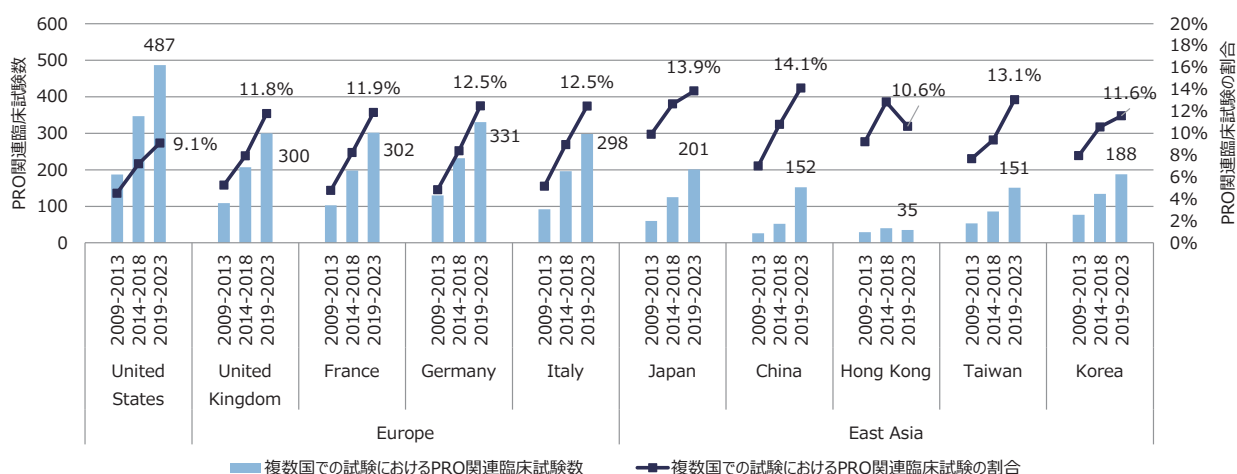
補足1 一部の疾患カテゴリー別のPRO関連臨床試験数と2019年に対する増減（％）

| 疾患カテゴリー                         |                                                | 2017 | 2018 | 2019 | 2020  | 2021  | 2022 | 2023 | 2024   |
|---------------------------------|------------------------------------------------|------|------|------|-------|-------|------|------|--------|
| COVID-19関連と<br>考えられる<br>疾患カテゴリー | Infections                                     | 28   | 25   | 25   | 68    | 59    | 36   | 42   | (36)   |
|                                 |                                                | —    | —    | ±0%  | +172% | +136% | +44% | +68% | (+44%) |
|                                 | Respiratory Tract Disease                      | 43   | 48   | 47   | 95    | 73    | 62   | 62   | (67)   |
|                                 |                                                | —    | —    | ±0%  | +102% | +55%  | +32% | +32% | (+43%) |
| PRO 関連臨床試験<br>数1～4位の<br>疾患カテゴリー | Pathological Conditions,<br>Signs and Symptoms | 153  | 177  | 224  | 198   | 227   | 218  | 193  | (260)  |
|                                 |                                                | —    | —    | ±0%  | -12%  | +1%   | -3%  | -14% | (+16%) |
|                                 | Neoplasms                                      | 92   | 108  | 130  | 138   | 132   | 137  | 155  | (159)  |
|                                 |                                                | —    | —    | ±0%  | +6%   | +2%   | +5%  | +19% | (+22%) |
|                                 | Skin and Connective<br>Tissue Diseases         | 71   | 76   | 105  | 69    | 90    | 83   | 88   | (105)  |
|                                 |                                                | —    | —    | ±0%  | -34%  | -14%  | -21% | -16% | (±0%)  |
|                                 | Nervous System Diseases                        | 49   | 66   | 92   | 72    | 71    | 80   | 85   | (91)   |
| PRO 関連臨床試験の<br>割合1位のカテゴリー       | Musculoskeletal Diseases                       | 49   | 48   | 81   | 55    | 85    | 65   | 61   | (83)   |
|                                 |                                                | —    | —    | ±0%  | -32%  | +5%   | -20% | -25% | (+2%)  |

注：COVID-19関連カテゴリー2つ、PRO関連臨床試験が多いカテゴリー5つ（試験数上位4つ、割合上位1つ）を示した。2000年以降の2019年に対する増減（％）は、+10%以上を青、-10%以上を橙で示した。

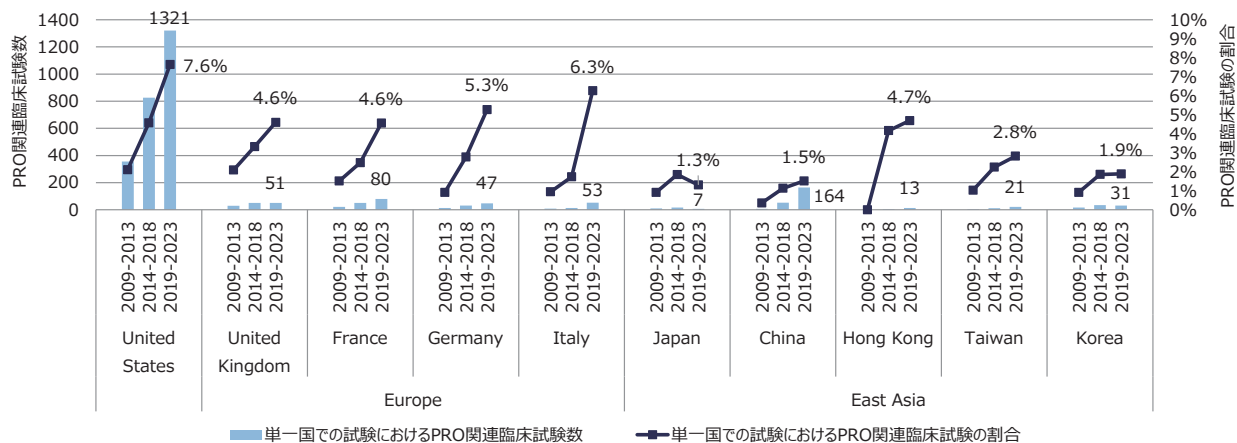
出所：ClinicalTrials.gov データをもとに医薬産業政策研究所にて作成

補足2 複数国での試験におけるPRO関連臨床試験数と割合（5年間比較）



出所：ClinicalTrials.gov データをもとに医薬産業政策研究所にて作成

補足3 単一国での試験におけるPRO関連臨床試験数と割合（5年間比較）



出所：ClinicalTrials.gov データをもとに医薬産業政策研究所にて作成

## 主な活動状況（2025年3月～2025年6月）

|    |     |                           |                                                                                                                                                                                                                      |
|----|-----|---------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 3月 | 3日  | 政策研ニュース No.74発行           |                                                                                                                                                                                                                      |
|    | 28日 | 政策研リサーチペーパー・シリーズ No.85 発行 | 「学術論文から見る製薬産業におけるリアルワールドデータの利用実態」<br>医薬産業政策研究所 前・主任研究員 岡田法大                                                                                                                                                          |
| 4月 | 17日 | 海外論文公開                    | 「Cost and Duration of Clinical Trials in Drug Development by Japanese Pharmaceutical Companies」<br>（リサーチペーパーNo.82 医薬品の研究開発の実態～アンケート調査に基づく研究開発期間、成功確率、研究開発費用～の改編）<br>医薬産業政策研究所 前・主任研究員 岡田法大<br>医薬産業政策研究所 前・主任研究員 高橋洋介 |

## レポート・論文紹介（2025年3月～）

政策研リサーチペーパー・シリーズ No.85 発行  
「学術論文から見る製薬産業におけるリアルワールドデータの利用実態」  
医薬産業政策研究所 前・主任研究員 岡田法大（2025年3月）

### 【要旨】

本稿では、製薬産業におけるリアルワールドデータの学術研究での利用に関して、Web of Science Core Collection に収載されている学術論文を基に実施した調査の結果を紹介する。主にグローバルでの医薬品事業売上高上位10社の製薬企業、または国内に本社を有する医薬品事業売上高上位10社の製薬企業に所属する研究者が著者として関与した論文を調査対象とし、これらの論文におけるリアルワールドデータの利用状況を中心に調査を行った。医療機関で取得されるような電子カルテや、保険請求データ等の学術論文の中で明示的にリアルワールドデータという表現を用いて利用されている医療情報に関する調査に加えて、ウェアラブルデバイスや生体センサーを搭載したスマートフォンから取得されるモバイルデータに関する調査、ゲノムデータを中心とする分子プロファイルの情報に関する調査を実施した。製薬企業において利用されている各データの特徴、国際的な連携の現状、ならびに関連する課題に関して定量的な情報を提示する。



## 【Abstract】

### Background

Understanding parameters such as cost and duration, which reflect the scale of clinical trials, is essential for government agencies to formulate pharmaceutical policies and for pharmaceutical companies to strategically allocate resources. As most studies on clinical trial costs and durations have primarily focused on pharmaceutical companies developing drugs in the USA, understanding actual trial costs and durations for Japanese pharmaceutical companies engaged in global development or development within their own countries remains challenging.

### Objectives

This study aimed to clarify the actual phase-specific costs and durations of clinical trials conducted by leading Japanese pharmaceutical companies and to identify the factors influencing these parameters.

### Methods

We conducted a questionnaire-based survey among 22 pharmaceutical companies headquartered in Japan. Respondents from each company retrospectively identified clinical trials for new drug applications or for expanding approved disease indications, conducted between 2012 and 2022, providing cost and duration data of each clinical trial. We calculated summary statistics for costs and durations by phase and conducted an exploratory analysis of the variables influencing these parameters.

### Results

In total, 631 projects with clinical trials conducted by these companies were analyzed. The median costs in the analysis population were 859 million Japanese yen (JPY) for Phase 1, 1,739 million JPY for Phase 2, and 4,183 million JPY for Phase 3. For reference, the median annual average exchange rates during the study period were 109 JPY per US dollar (USD) and 130 JPY per euro (EUR). The median durations were 20 months for Phase 1, 29 months for Phase 2, and 31 months for Phase 3. For projects targeting approval only in Japan, the median Phase 3 cost was 3,050 million JPY, while for projects targeting approval involving the USA or Europe, it was 8,083 million JPY.

### Conclusions

This study quantifies the costs and durations incurred by Japanese pharmaceutical companies in conducting clinical trials, revealing the high costs associated with projects targeting approval involving the USA or Europe. The findings highlight the substantial investments required by the Japanese pharmaceutical industry to bring new drugs to the global market.

---

## 政策研メンバー紹介

政策研に新メンバーが加わりましたので、以下に紹介します。

| ①名前                                                                                                                                                                                                                                      | ②所属 | ③興味のあるテーマ、抱負                                                                                                                                                   |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 〈2025年4月1日より〉                                                                                                                                                                                                                            |     | 〈2025年4月1日より〉                                                                                                                                                  |
| ① 枝廣 誠（主任研究員）                                                                                                                                                                                                                            |     | ① 金井 大輔（主任研究員）                                                                                                                                                 |
| ② 協和キリン株式会社                                                                                                                                                                                                                              |     | ② 武田薬品工業株式会社                                                                                                                                                   |
| ③ MRとして入社以降、人事総務、営業企画、海外事業企画において、日本での営業人材強化、Asia Pacificでの営業力強化、China現地法人ではITシステムの導入PJ等に従事してまいりました。<br>日本の製薬産業が二次利用可能な健康医療データを効果的かつ効率的に活用できるよう、関連分野の知識や調査・分析手法を学び、政策的な取り組みを情報発信していきたいと考えております。この活動を通じて、製薬産業のさらなる発展に微力ながら貢献することを目指しております。 |     | ③ 営業部および産業政策部に従事しておりました。この度、縁あって政策研で仕事をすることとなりました。私にとって初めての研究業務です。積み上げてきたキャリアが異なるからこそ常識に捉われない独創的な視点で研究に取り組んでいきたいと思います。医薬品産業の活性化、患者さんの健康につながるような成果に向け尽力してまいります。 |

日本製薬工業協会  
**医薬産業政策研究所**  
OPIR

Office of Pharmaceutical Industry Research

政策研ニュース  
2025年7月発行

〒103-0023  
東京都中央区日本橋本町2-3-11  
日本橋ライフサイエンスビル7階

TEL 03-5200-2681

FAX 03-5200-2684

MAIL [opir-sp@jpma.or.jp](mailto:opir-sp@jpma.or.jp)

<https://www.jpma.or.jp/opir/>

無断転載を禁ずる