

2025 年 1 月 22 日

東京大学 学際情報学府 生物統計情報学コース

修士課程 1 年 司梓君

## 承認申請におけるリアルワールドデータ利活用のための検討

レジストリデータを含むリアルワールドデータ（RWD）の活用が、医薬品・医療機器の開発と承認申請において注目を集めている。従来の臨床試験では、希少疾患や多様な患者層に対する十分なエビデンス構築が困難であったが、RWD の活用により、これらの課題に対処できる可能性が高まっている。承認申請における RWD 利活用の要件として、主に「データの品質」「データの適合性」「エビデンスの信頼性」という三つが議論される。活用国内外で、RWD 利活用の取り組みが進展しており、日本では「日本再興戦略」改訂 2015 に基づき、疾患登録システムやクリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）の整備が進められている。アメリカでは、21 世紀治療法により RWD と RWE（リアルワールドエビデンス）を活用した医薬品評価の枠組みが導入されている。

この背景を踏まえ、国立がん研究センター東病院では 2024 年から REALISE 研究を開始した。この研究では、複数のデータベースの「関連性」と「信頼性」を比較分析し、承認申請に資する RWE の作成可能性を検討する。研究結果は、PMDA の「レジストリ整備相談窓口」に提出され、標準的な方法論の検討に活用される予定である。今年 2 月から任意研究生として REALISE 研究に参加する予定である。最近の日本とアメリカにおける RWD の利活用の現状を整理し、それを基にレビューした上で、今後の方針について述べる。

## References

1. U.S. Food and Drug Administration. Real-World Data: Assessing Electronic Health Records and Medical Claims Data to Support Regulatory Decision-Making for Drug and Biological Products Guidance for Industry ,2024/7.
2. Bando, H., Misumi, T., Sakamoto, Y., Takeda, Y., Nakamura, Y., Mizuguchi, K.,etc(2024). Appropriate Relevancy and Reliability of Real-World Data for the Utilization of Regulatory Submission. *Clinical Colorectal Cancer*, 23(2), 111-117.
3. 日本製薬工業協会. リアルワールドデータを承認申請等に活用するための 3 つの要件と 7 つの提案,2021/4.