

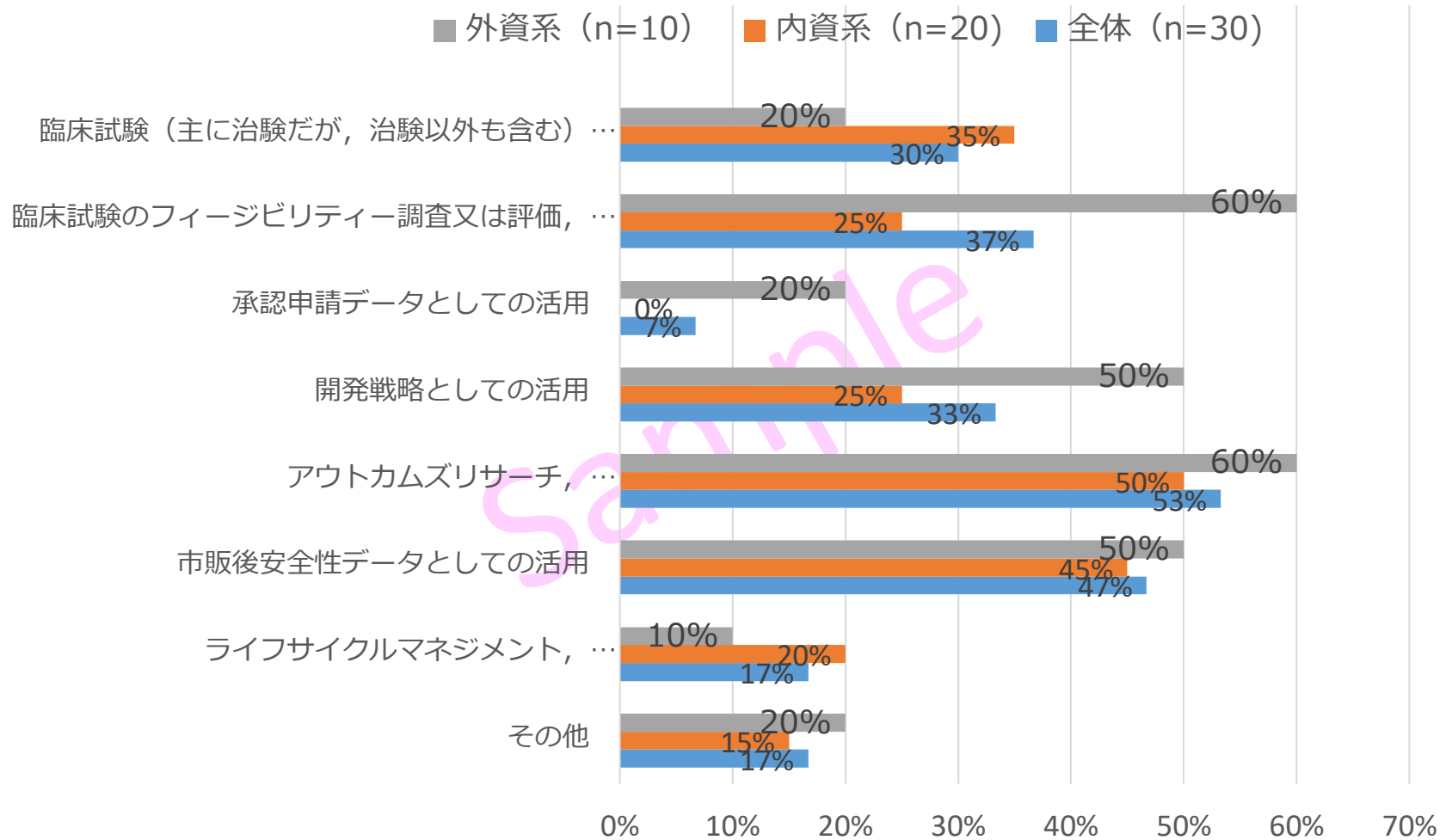
# 臨床開発におけるリアルワールドデータ(RWD)の 活用方法とその課題

～国内外の事例分析から読み取る医療ビッグデータ・  
レジストリの選択と活用のアプローチとは～

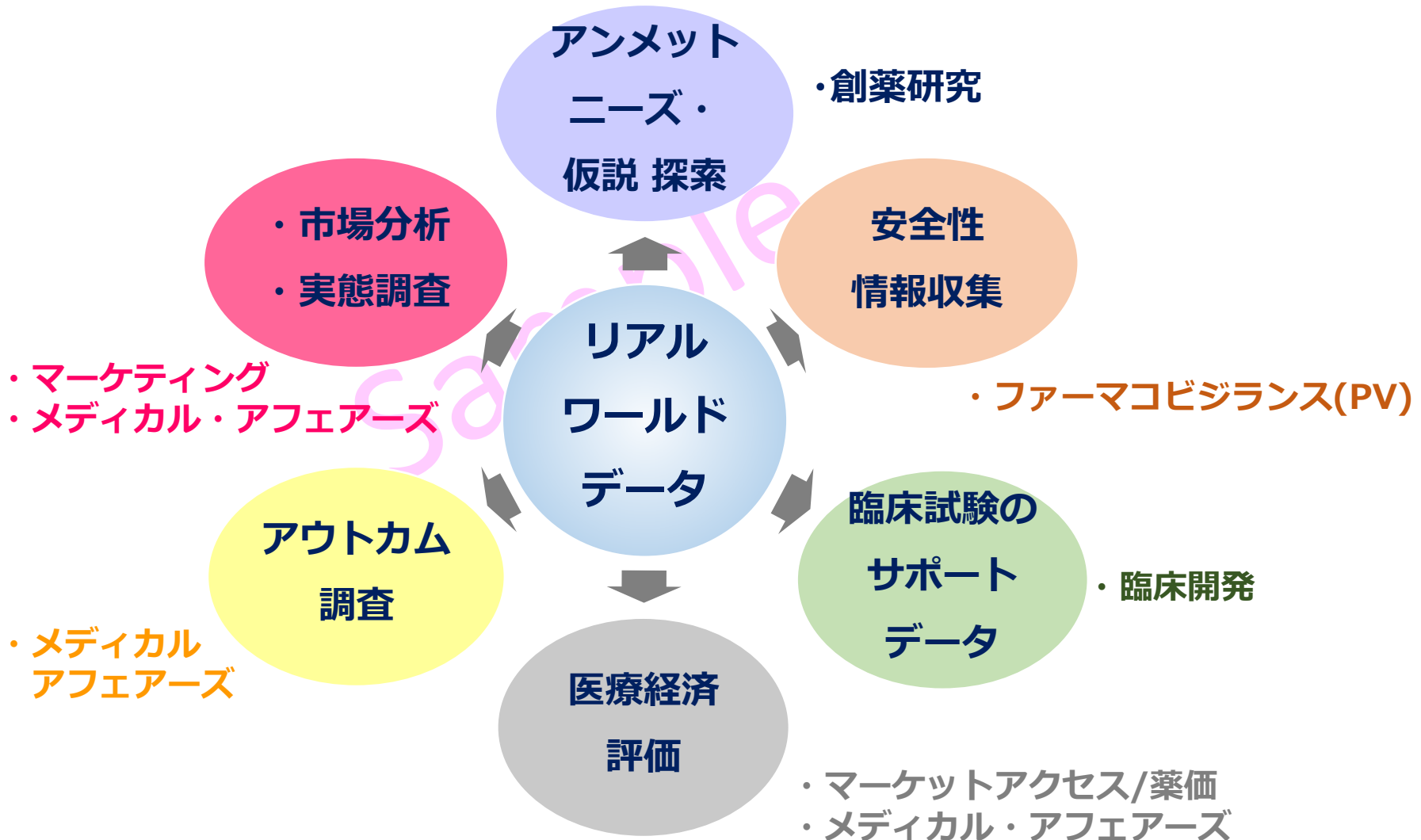
ルンドベック・ジャパン株式会社

小串 健太郎

# 製薬企業におけるリアルワールドデータ活用のトレンド(アンケート結果から)



# リアルワールドデータ活用の選択肢と、 製薬会社における関連部署・組織



# はじめに: リアルワールドデータの側面

## 1. 医療ビッグデータとしての側面

- 膨大な問診情報や検査・画像・処方・手術記録などが、ITの発展によって活用可能になってきている
- ➡ 主にレセプト、DPCデータや電子カルテなどを想定

## 2. 実臨床を反映したデータ(RCTの対立軸)としての側面

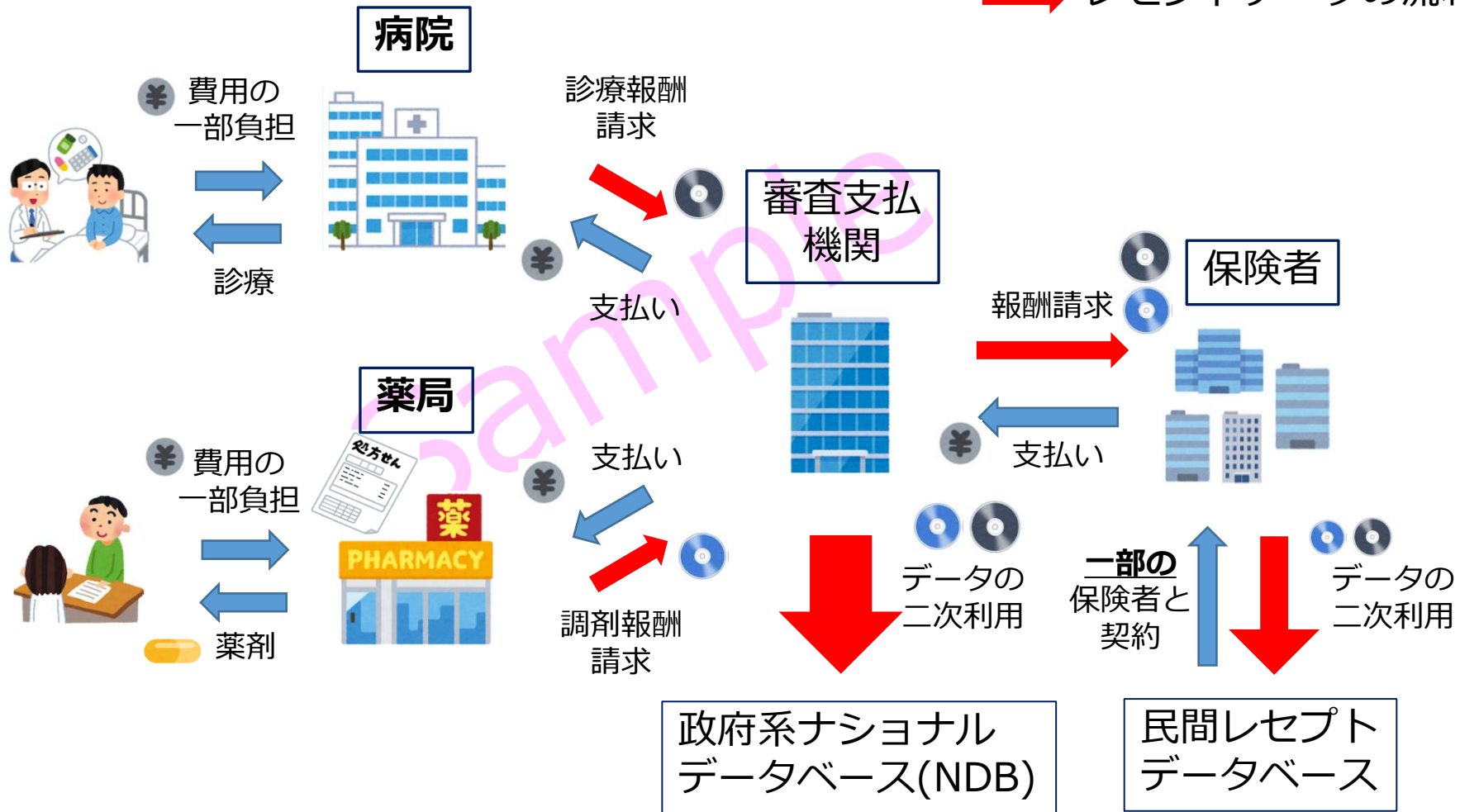
- RCT(ランダム化比較試験)は、合併症の少ない患者を対象とし、併用薬を使用しない、実験的環境から得られたデータ
- より実臨床に即した状況から得られるデータからは、RCTでは取得できないエビデンスが得られる可能性がある
- ➡ 主に、レジストリやカルテデータなどを想定

## 3. 患者から得られる健康情報としての側面

- Personal Health Record (PHR) の積極活用が進められている
- ➡ 主に健康診断やスマートフォン、ウェアラブル機器から得られる健康情報

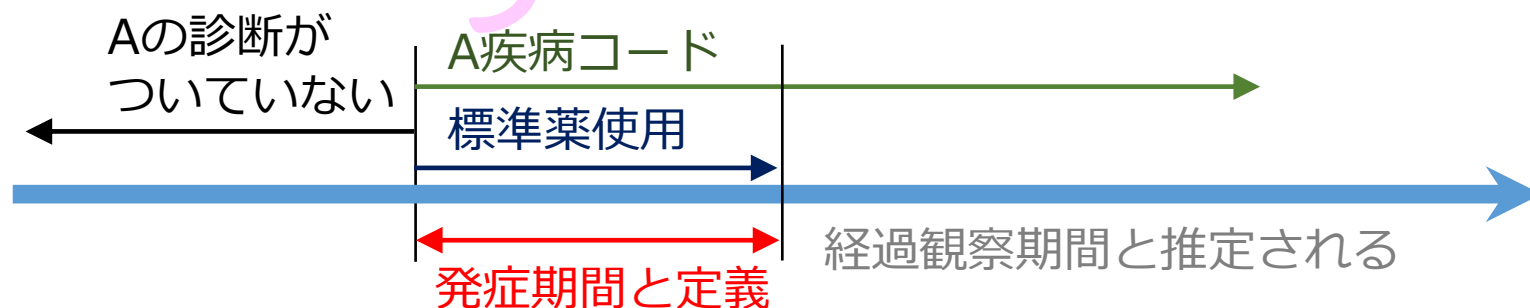
# レセプトデータの流れと、データ2次利用の関係

→ レセプトデータの流れ



# レセプトから疾患を定義する

- この疾患にはガイドラインでも推奨されている標準的な治療薬がある。そこで、ICD-10での疾患コードと、この薬剤のコード（ATC）が同月に存在するという定義で検索すると、他の推計データともよく一致した。
- また、DB中で一定期間中（例えば1年）にこのICD-10コードがなく、その後初めてこのコードが付いたときだけをカウントするデザインにすることも、対処できるかもしれない。



- このように、疾病コードや治療、処置などを組み合わせた疾患の定義を「アルゴリズム」と呼ぶ。

# リアルワールドデータを用いた比較 交絡調整法：傾向スコア手順の実施

## マッチング

- 傾向スコアの一致した（あるいは極めて近い）個体同士を選択する

## 層別

- 傾向スコアを用いて層別したうえで層別解析を行う

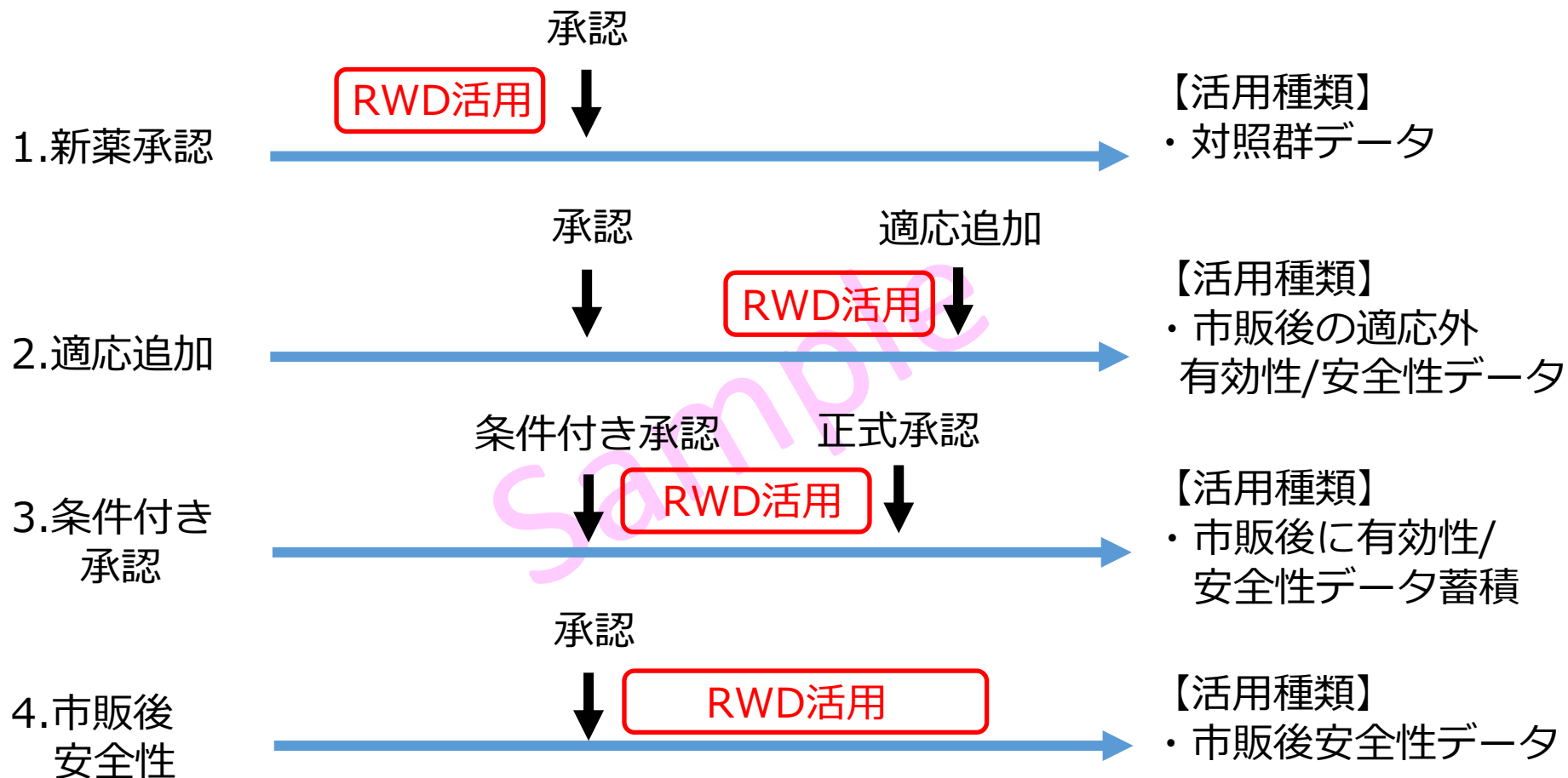
## 逆確率重み付け

- 傾向スコアを用いて層別したうえで層別解析を行う

## 共分散分析

- 傾向スコアを共変量にとった共分散分析を実施する
- これらの手法はいずれかを使うということではなく、組み合わせて用いることもできる。例えば、マッチング後に共分散分析を行うことが考えられる

# 承認申請等におけるRWDの活用場面





# RWDが外部対照に用いられた国内事例①： プログラムカプセル（タクロリムス）、2013

## 【効能・効果】

- 多発性筋炎、皮膚筋炎に合併する間質性肺炎

## 【臨床試験(計画時\*)】

- 非盲検非対照下で本剤とステロイド剤併用時の有効性および安全性を検討(目標症例数：20例)
- 外部対照としてステロイド単剤で初期治療が行われたデータを後ろ向きに収集したヒストリカルコントロール群を設定し、マッチングを行ったうえで本剤投与群と比較する

非盲検非対照試験  
タクロリムス・  
ステロイド併用

↑ マッチング ↓

外部対照群  
ステロイド剤単独

治験実施機関で  
データを後ろ向きに収集

## 【主要評価項目】

- 投与52週後の生存率

\*外部対照の症例集積が進まず、最終的に公表文献との比較に切り替え

タクロリムス審査報告書. 平成25年5月17日.

[https://www.pmda.go.jp/drugs/2013/P201300087/800126000\\_20500AMZ00157000\\_A100\\_2.pdf](https://www.pmda.go.jp/drugs/2013/P201300087/800126000_20500AMZ00157000_A100_2.pdf)

# ブレークスルーを促す「次世代医療基盤法」

## 1. インプットのみならずアウトカムも含む医療情報の利活用

・レセプトは診療行為の結果(アウトカム)を含まないため、アウトカム情報の利活用の仕組み整備が求められた。

## 2. 医療情報の分散保有

・医療機関が民間中心、かつ医療保険者が分立しているため、医療情報が分散しているため、集約・結合の仕組みを整備が求められた



2018年5月に施工された次世代医療基盤法では、オプトインと条件付きオプトアウトにより、

- ① 医療機関から認定事業者へ、医療情報を提供することが可能
- ② 認定事業者から利活用者へ、匿名加工された医療情報を提供することが可能