

# 日本におけるリアルワールド データ (RWD) を用いたリア ルワールドエビデンス (RWE) 創出の可能性



## Contents

- 3 Introduction
- 4 なぜ、日本ではRWEの活用範囲が狭いのか
- 6 ガイダンスはいかに有用か
- 7 日本におけるRWE利用の限界
- 10 今後の展望
- 12 日本の製薬産業におけるRWD/RWE活用のビジョン

## Introduction

緒言 電子カルテ、医療費請求(レセプト)データ、疾病登録などのデータベースに蓄積されたリアルワールドデータ(RWD)は、有益なリアルワールドエビデンス(RWE)を生み出す可能性があり、疾患、治療、市販薬の新たな適応症に新しい知見をもたらさう。精密医療の新時代が到来したのだ。<sup>1,2</sup>

わが国は慎重を期しながらも、ようやくこの新しい医療情報の時代に向かって動き出しつつある。2021年3月、厚生労働省(以下、厚労省)は「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点」<sup>3</sup> および「承認申請等におけるレジストリの活用に関する基本的考え方」<sup>4</sup> という二つのガイダンス文書を発表した。これらのガイダンス文書では希少疾患を治療するオーファンドラッグに関するRWE創出のためのレジストリデータの利用について議論している。

規制当局にとって、希少疾患領域は他の治療領域に比して、外部の観察的データを検討して薬事承認をするというハードルが低いため、導入しやすいスタートを切ったと言える。「ランダム化比較試験(RCT)による確固としたエビデンスが無くとも、その治療を必要とする患者さんがいるのです。」と語るのはファイザーR&D合同会社 統計リサーチ・データサイエンス グループ シニアマネージャー 小宮山 靖氏。「希少疾患のように、国内の症例が少なくRCTを実施することが困難である場合に、RWEはエビデンスを構築するための選択肢になりえます。」

「ガイダンス文書がこの狭い領域に焦点を当てている別の理由として、データベースが十分に整備されていないことが挙げられます。」とプリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社 メディカル本部 リアルワールドエビデンス シニアマネージャー 杉谷利文氏は述べる。「海外の規制当局はリアルワールドの電子医療データ、過去の臨床試験データ、およびレセプトデータの使用についてガイダンスを出しているのに対し、厚労省のガイダンスではレジストリに焦点を当てています。これには日本の医療データベース、特に電子カルテデータとレセプトデータの構築が世界に遅れをとっていることが関係しているのではないか。」

他国では希少疾患以外にもRWEの適用が検討されている。<sup>2</sup>例えば米国や欧州の治療担当医や規制当局は、第III相臨床試験では得られないエビデンスを提供するために、いかに観察研究を実施するかということについて議論しているのだ。<sup>1,2</sup> それと比較して、なぜ日本ではRWEの使用範囲はかくも限定されているのだろうか。

SECTION 1

# なぜ、日本ではRWEの活用範囲が狭いのか





**パレクセル・インターナショナル株式会社エンタープライズアカウント部 シニアクライアントリレーションシップディレクター 藤井 裕士氏は、「その理由の一つは、レセプト情報・特定健診等情報データベース (National Data Base、以降NDB) などの日本における患者データベースが、欧州や米国に比していまだ発展途上にあるということです。」と語る。**

また、小宮山氏は、規制当局がこの狭い範囲でのRWEにのみ検討を進めていること理由として、患者データベースへのアクセスが限定されていることや、必要とされるデータが複数のデータベース上でリンク(連結)されていないという現実があると述べる。「製造販売承認の審査あるいは再審査において、国際共同治験を含め、前向きなRCTが行えるなら、それに越したことはないです。しかし、それが実施できない場合の次善策であるRWEを利用するための科学的な論点整理が十分ではない。」と小宮山氏。

データアクセスも一つの問題である。患者データは製薬会社が保有しているわけではないため、製薬会社は直接的に患者データにアクセスできないことがある。政府機関、大学、学会、および私設病院が、疾病レジストリ、レセプトデータ、電子カルテ記録の保有者であり、管理者である。したがって、アカデミアがデータベースを管理しているため、製薬会社がデータを保有したり、特別なアクセス権を得たりするためには、そうした組織に申請する必要があるのだ。

一方で、状況は変わりつつある。MSD社メディカルアフェアーズ統括執行役員で、米国研究製薬工業協会(PhRMA)メディカルアフェアーズ委員会委員長である片山 泰之氏と、同委員会ワーキンググループ(以降WG)1(ワーキンググループ1:RWD/RWE、ワーキンググループ2: ガイドライン、ワーキンググループ3: エクスターナル・アウトリーチ(渉外担当))のメンバーは、日本のレセプトデータであるNDBへのアクセス権を獲得するために厚労省担当者との議論を進めてきた。WGは、すでに製薬企業を含むプライベートセクターとして限定的なアクセス権を得ているが、アクセス権をより拡大させるために引き続き厚労省と協議を重ねている。

データからエビデンスを創出する方法論が統一されていないということもRWD/RWE導入における一つの障害になっている。<sup>5</sup>「加えて、新薬承認や市販後の適応拡大のためのRCTを補完する新しいデータソースを使用することにおいて、製薬会社のモチベーションが欠けていることも挙げられます。使用成績調査に代表される、リサーチクエスチョンがない、しかし実施体制は各企業で確立されている使用実態の調査を行えば、再審査制度で守られ、販売を継続できるのに、なぜ新しいデータソースに手を出さなければならないのかと考える業界関係者は少なくない。」と小宮山氏は述べる。

問題は、日本の製薬会社が科学的な観察研究を実行し、RCTデータの補完や市販後申請のためにRWDを使用するという点について十分な意欲を有しているのかどうか、という点である。

「メディカルアフェアーズ委員会を代表して発表した最近の論文<sup>5</sup>で述べましたように、本邦のガイダンス文書には限界があることは明白です。」と片山氏。「私および委員会のメンバーは、薬事審査におけるRWD/RWEの評価基準は医薬品規制調和国際会議(ICH)を通じ、国際的に歩みを揃える必要があると考えています。」

さらに、製薬会社および独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA: 新薬や医療機器の申請、新適応や市販後活動を審査指導する規制機関)も、RWDを用いた研究における容認可能な方法論に関する問い合わせが増加していることを報告している。<sup>6</sup>こうした議論を反映した厚労省からの正式なガイダンスが導き出されるべきである。



**薬事審査におけるRWD/RWEの評価基準は医薬品規制調和国際会議(ICH)を通じ、国際的に歩みを揃える必要があると考えています**

片山 泰之氏 MSD社 メディカルアフェアーズ統括執行役員米国研究製薬工業協会(PhRMA)メディカルアフェアーズ委員会委員長

## SECTION 2

# ガイダンスはいかに有用か

規制当局はガイダンス文書のなかで、小規模の患者集団から得られた外部の過去の観察的データが、オーファンドラッグの薬事承認に対する比較対照群として、いかに有用であることを記している。<sup>4</sup> 外部データの1例として罹患した新生児の治療前の米国レジストリデータが使用可能であったことが挙げられる。この手法は過去にも用いられたことがあるが、現在のガイダンス文書では文書化の要件が明確にされている。

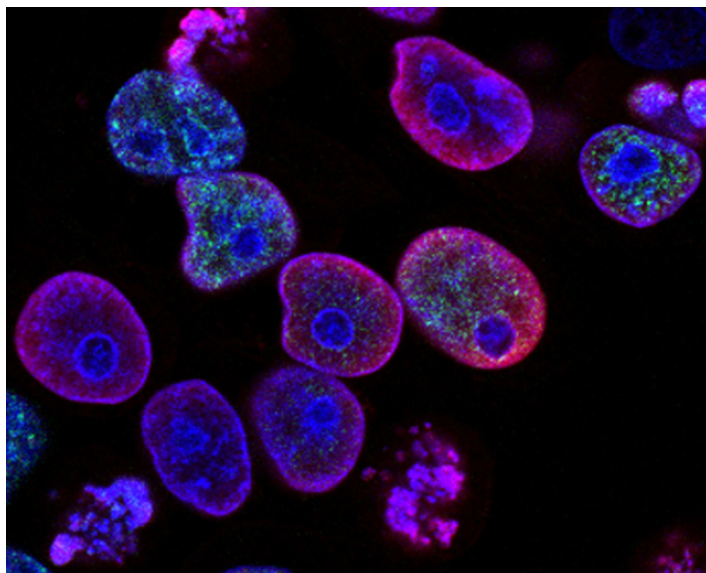
「RWEを外部対照として用いることが最近注目されていますが、ICH E10ガイドライン「臨床試験における対照群の選択とそれに関連する諸問題」(厚生労働省医薬局審査管理課長通知、医薬審発第136号、2001年)において、外部対照を用いる際の論点整理が行われています。2001年当時、日本では医療情報データベースに基づいた外部対照が使える状況ではありませんでしたが、ICH E10ガイドラインで述べられた論点は今日においても色褪せていないと思います。」と小宮山氏は説明する。

「RWDを比較対照として用いた初期の研究は海外からのものですが、最近では同様の目的で日本の疾病レジストリが用いられています。現在、日本には製薬会社の薬事申請に完全にフィットする疾病レジストリはほぼ存在しません。ただ、例外もありまして、例えば筋ジストロフィーのレジストリで国立精神医療センター保有のREMUDYは、製薬会社が薬事申請に用いている事例があります。」と杉谷氏は述べる。

REMUDYレジストリ内のデュシェンヌ型筋ジストロフィーの遺伝子変異を有する患者集団における一治療に対してオーファンドラッグの資格が認められた。<sup>7</sup> 製薬会社は現在もREMUDYレジストリ内で患者を追跡し、当該薬で治療した日本人患者の観察を継続し、すべての安全性および有効性データを報告している。

本記事でインタビューしたエキスパートの方々は皆、希少疾患治療の薬事申請におけるレジストリデータの必要性をガイダンス文書が明確にしたことについて、前向きにとらえている。「疾病レジストリデータが一つのRWDとして認められたことは、RWDの活用において意義のある重要な一歩だと思えます。」と片山氏。

ノバルティスファーマ社執行役員 グローバル医薬品開発本部 臨床開発統括部長の大山 尚真氏は、ガイダンス文書を支持しており、データ利用に関する基準がより透明化されてきたことに同意している。



ファイザー社ヘルスアンドバリュー統括部 アウトカムアンドエビデンス担当部長の東郷 香苗氏は「このガイダンスによって、薬事申請目的でレジストリデータを提出する際の要件を理解できるようになりました。レジストリデータの薬事申請利用は、主に希少・難病疾患を対象に今後増えていくと思います。」と述べている。

また、藤井氏は「(このガイダンス文書は)データ活用の認知度を高めるという意味において、日本でのRWDの将来発展にとって意義のあるものです。」と語る。



(このガイダンス文書は) データ活用の認知度を高めるという意味において、日本でのRWDの将来発展にとって意義のあるものです

藤井 裕士氏 パレクセル・インターナショナル株式会社 エンタープライズアカウント部 シニアクライアントリレーションシップディレクター



## SECTION 3

# 日本におけるRWE利用の限界



## 医療データベースの未熟さ

海外の規制当局は疾病レジストリに加えて、電子カルテデータ、過去の臨床試験のデータ、およびレセプトデータなどのデータソースの利用方法について、より多くのガイダンスを提供している。なぜなのか。

データベース構築が遅れているということが問題のポイントとなる、と杉谷氏は説明する。「(ガイダンスの内容の)差は、日本が欧米諸国に比較して医療データベース、特に電子カルテとレセプトデータの構築

において遅れをとっているということが関係していると考えます。」

また、藤井氏は「疾病レジストリは構築されているかもしれませんが、NDBなどの日本における患者データベースは、欧米に比してまだ発展途上にあると言えます。したがって、現実的には一部の研究に用いることができる希少疾患を対象としたレジストリデータ以外で、利用できる患者データの数がまだ限られているのだと推察します。」と語る。

## データベースおよびレジストリへのアクセス制限

データベースの構築の遅れに加えて、アクセスが制限されていることも、RWD利用に限界があるという理由の一つである。多くの有益な疾病登録、レセプトデータ、電子医療記録データベースは政府機関、学術・医療機関によって管理されている。しかし、データが共有されていないことや、共有を難しくするプライバシーの問題が存在するせいで、製薬会社はそうしたデータを十分に活用できていない。

「製薬会社はレジストリの立ち上げに直接関与することはありませんが、レジストリの保有者である学会や医療機関などと連携し、収集データを解析しています。連携する方法はさまざまで、共同研究の契約を交わす方法や、アクセス権を取得して製薬会社が独自にデータを解析する方法もあります。」と片山氏は述べる。

しかし、「製薬会社はアカデミア主導のレジストリを市販後調査、マーケットアクセス、およびメディカルアフェアーズのプロジェクトに活用しています」と述べるのは小宮山氏。

つまり、学術機関が製薬会社と連携し、有害事象および有効性を観察するための市販後レジストリ研究を管理しており、それは日本の規制当局によって薬事承認後に要求されているというのである。

レジストリやデータベースの利活用の別の方法として、受託研究機関が学術機関と製薬会社の橋渡し役となり、データを取得するという方法が挙げられる。「我々がRWD/RWEプロジェクトの依頼をいただく際には、各企業にデータの利用目的をうかがいます。」と藤井氏。「例えば、その疾患の患者データが解析を支持するのに不十分であったとします。その場合には、患者データを保有する医療機関と契約した上で、観察研究としてデータを収集します。」

製薬会社によるデータへのアクセスは改善しつつある。「我々は厚労省のNDB担当者と意見交換を重ね、当初は製薬会社を含めた民間企業へのアクセス権付与は限定的でしたが、最終的には法律が改正され、民間企業もNDBにアクセスできるようになりました。しかし、一部のハードルはまだ残っていますので、よりアクセスを改善するために厚労省担当者と対話を続けているところです。」と片山氏は語る。

## データベースとレジストリの連結が限定的

アクセスにおける制限に加えて、データベース同士の連結が構築されていないという課題がある。「最大の課題は、国民の医療情報をいかにしてデジタル化し、既存のばらばらなデータベースに連結させるか、ということです。連結させることができれば、有益なエビデンスを創出することが可能となるでしょう。」と片山氏。

学術機関によるレジストリ以外に、厚労省、PMDA、および国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)などの日本の公立機関も疾病レジストリを運用、管理している。厚労省とAMEDはデータベースとレジストリを連結させ、地方の大学、医療機関、および政府機関からの情報を、クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)を通じて標準化および一元化させることを開始している。<sup>8</sup> 2021年以降のCINの計画には、レジストリデータ以外のRWDソースを活用し、革新的な医薬品や機器を開発することが盛り込まれている。

厚労省は2009年にNDBの運用を開始した。<sup>9</sup>「介護保険及び老人福祉法の一部を改正する法律」<sup>5</sup>に規定されているとおり、NDBは健康保険請求、特定健康診断、保健指導に関する情報を収集している。国民健康保険制度を通じて記録を収集しているため、全国の医療登録者の95%の情報を提供していることになる。<sup>9</sup>

NDBは、プログラム開始時は研究者のみにアクセスが制限されていたが、現在では第三者でもアクセス可能である。AMEDによる2021年の発表では、NDBは乳幼児期から死亡までのヒト生涯のデータの連結と共有を目指していることが報告されている。この目的を達成するために介護データベース(介護DB)とNDBが統合された。<sup>10</sup>



最大の課題は、国民の医療情報をいかにしてデジタル化し、既存のばらばらなデータベースに連結させるか、ということです。連結させることができれば、有益なエビデンスを創出することが可能となるでしょう

片山 泰之氏 MSD社 メディカルアフェアーズ統括執行役員米国研究製薬工業協会(PhRMA) メディカルアフェアーズ委員会委員長



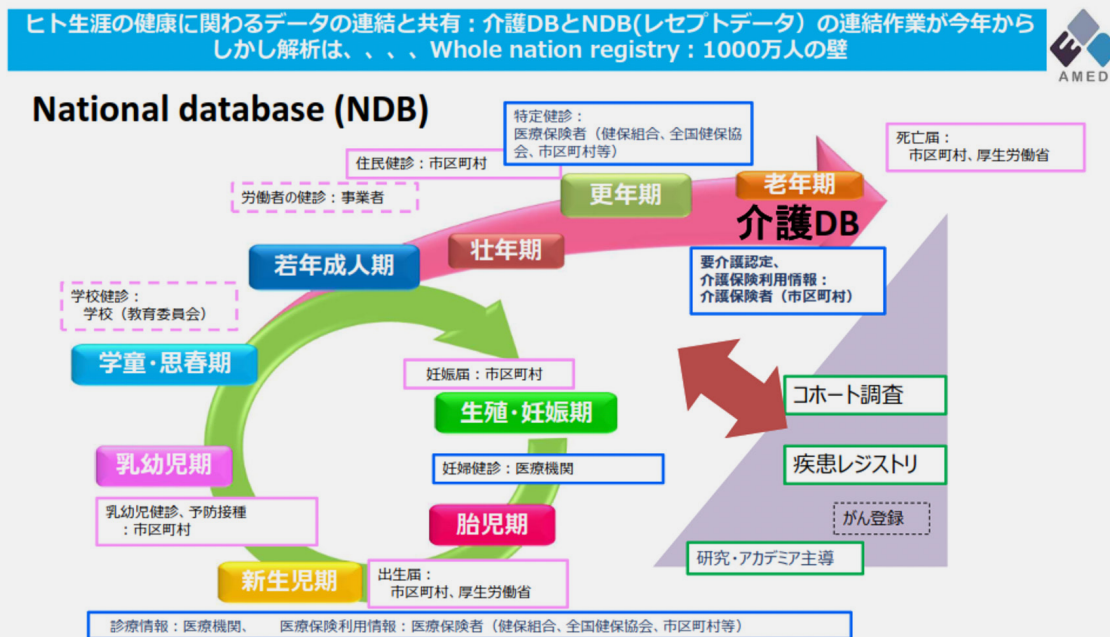


図1. ナショナルデータベース(NDB)の使命：日本国民全員の乳幼児期から死亡までの健康管理データを収集すること。出典：国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)医薬品規制調和・評価研究プロジェクト<sup>10</sup>

### 観察研究実施に対するモチベーションの欠如

規制当局によって要求されない研究に企業が投資したいかどうか、という点が最も解決すべき課題かもしれない。国による薬価制度が製薬会社の意欲を失わせる、と小宮山氏は言う。現在の制度上、製薬会社は薬事承認前や市販後8年の段階ではRWD/RWEを用いた科学的観察研究を実施する必要がない。

「科学的な研究を何もしなくても、使用実態下における情報を真面目に収集していれば再審査は通ります。ですから、例えば当該薬を使用した3,000人の患者さんを追跡してサーベイランスを行ったとしても、我々がしなければならないことは医師からの症例報告を収集するのみで、解析をする必要はありません。」

小宮山氏によると、具体的には薬剤再審査期間中に有害事象の原因や特定の患者集団における有効性の解析は必要とされていない。欧米ではこれらの解析は実施されていることから、各国の規制当局で要求している可能性がある。<sup>11</sup>

「したがって、日本の規制当局はそうした追加研究も実施せず再審査承認をし、製薬会社は合意のもと引き下げた薬価で医薬品を販売し続けるのです。」と小宮山氏。さらに片山氏は「日本の薬価制度は反革新的であると言っても過言ではありません。」と述べる。「たとえ価値が高く、革新的な医薬品であっても、薬価制度のもとでは特許期間中であるにもかかわらず、薬価は自動的に引き下げられます。それゆえ今後はますます日本の製薬産業市場は魅力がなく、投資価値がないとみなされていく可能性があるのです。」

小宮山氏や片山氏は日本におけるこの反革新的な薬価設定の手法は、日本のRWEに関する研究への投資意欲をさらに低下させると考えている。

## SECTION 4

# 今後の展望



## アクセスおよび相互運用性を可能にするデータの非識別化

「個人情報の保護に関する法律(2022年4月1日時点)」<sup>12</sup> および「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針(2022年3月10日一部改正)」<sup>13</sup> はあらゆる形態での患者データを保護している。これらの規制により、患者の同意がない限り、民間企業が患者情報にアクセスし、利用することは認められていない。したがって、製薬会社はこれらの規制を遵守し、事前に許可を得る必要がある。または代替の方法として教育目的で患者情報にアクセスできる学術機関と提携する方法も挙げられる。

また別の解決策もある。5 2018年に「次世代医療基盤法(NHIA)」が制定され、ライセンス企業が研究に使用するために個人の医療データに

アクセスして匿名化(非識別化)し、データベースに保存することで患者の個人情報を保護することが可能になった。この場合、患者は自分のデータが利用されるためのインフォームドコンセントを提供する必要はない。

2020年に、株式会社NTTデータが初めて「認定医療情報等取扱受託事業者」となり、他の事業者もそれに続いた。さらに、一般財団法人日本医師会医療情報管理機構が「認定匿名加工医療情報作成事業者」となった。しかし、これらの臨床試験目的の個人非識別データベースの品質を審査する政府機関は存在しない。NHIAは医療記録の相互運用を目的としているが、日本ではまだ医療機関を超えた全国一律のデータ収集・保管ルールは存在しない。

### 個人の健康記録のデジタル化とデータベースとの連結

日本のPhRMAのメディカルアフェアーズ委員会およびコミュニケーション委員会は2021年12月1日、プレスセミナー「COVID-19が明らかにした日本におけるリアルワールドデータとリアルワールドエビデンス：現在の状況と課題：デジタル化の進展で日本のヘルスケアはどう変わるのか」を開催した。

PhRMAは、医療記録と国民識別番号(マイナンバー)とを紐づけ、連結データの有用性に関する啓発、および個人情報の安全な取り扱いの確保を提案している、と片山氏は述べる。

「製薬会社の幹部の夢は、国民全体のレジストリデータとヒトが生まれてから死ぬまでの健康記録を一元管理して、それを迅速に活用し、最新のデータを基にリアルタイムで様々な意思決定を行うことです。」

さらに片山氏はこう続ける。「そのために、委員会はRWDのデジタル化を提案しています。RWDをデジタル化することで臨床医はエビデンスに基づいた決定を行い、個人にあったオーダーメイドの治療を行うことができ、さらにアンメットニーズのある患者に向けた今後も革新的な医薬品の開発が加速されるのです。」<sup>14</sup>

### データの品質と解析手法の信頼性の確保

「ガイドンスに明記されているように、品質の担保に不可欠であることは、1) データソースの信頼性、2) 試験デザインと解析の透明性、3) RWEを創出する結果の信頼性の保証です。」<sup>4</sup>と杉谷氏は語る。

「1のデータソースの信頼性を満たすデータベースを構築することが最も時間のかかるステップであり、長期的な視点が必要です。しかし、ひとたび1のステップを満たせば、2と3のステップはデータサイエンスが主な役割を担います。」

杉谷氏によると、具体的には、主に米国食品医薬品局(FDA)の生物統計家がレジストリデータをハイブリッド・コントロールとして活用すべく、新しいBayesian borrowing手法を開発した。<sup>15</sup> 研究者はBayesian法を用いて過去の研究からデータを「borrow(借りる)」ことで、小規模の患者集団における試験の比較対照にRWDを用いることができるのである。

「この試験デザインは統計の専門家でなくとも理解しやすく、薬事申請にも使用できる可能性がある」と杉谷氏。

しかし、日本ではまだこの手法は使用されていない。片山氏によれば、新しい統計手法の適用に関して日本は他国に後れをとっている。生物医学研究の進歩に向けて寛容になる必要があるようだ。

日本で教育を受けた医師として、片山氏はこう続ける。「日本における医学教育はグローバル化の波に乗り切れず、学生は日本の教授が書いた教科書にしか触れられないため、ガラパゴス症候群に陥っています。日本の医薬品開発や安全性モニタリングについても、いまだに日本人データは他国のデータと異なり独特であるという信念をもつキーオピニオンリーダーの影響を受けてきました。」

片山氏の説明によると、ほぼ単一民族の島国の日本では国民がグローバルな視点を持ちづらく、そうした姿勢が医薬品の有効性と安全性の客観的かつ科学的評価の妨げになっているようだ。



製薬会社の幹部の夢は、国民全体のレジストリデータとヒトが生まれてから死ぬまでの健康記録を一元管理して、それを迅速に活用し、最新のデータを基にリアルタイムで様々な意思決定を行うことです

片山 泰之氏 MSD社 メディカルアフェアーズ統括執行役員米国研究製薬工業協会(PhRMA)メディカルアフェアーズ委員会委員長



## SECTION 5

# 日本の製薬産業におけるRWD/ RWE活用のビジョン

## The Changing Clinical Research Pathway

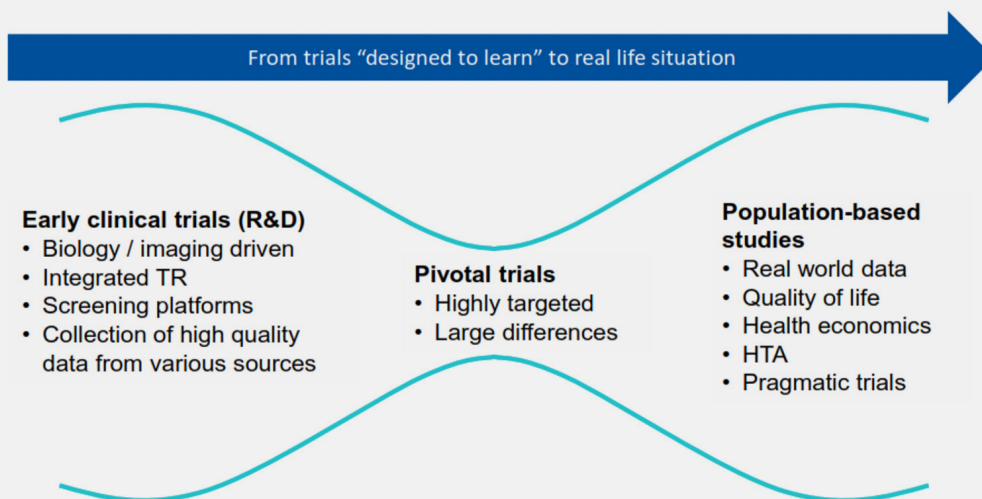


図2 疾患理解に基づく新しい開発スキームがインフォームド・ピボタル試験デザインにつながり、実生活の問題に切り込む。許可を得て掲載 Burock et al. Eur J. Cancer (2013)<sup>16</sup>

### レジストリやデータベースにおけるRWDを活用するためのハイブリッドアプローチ

疾病レジストリを0から構築するには莫大な時間と予算が必要となる。そのため、杉谷氏は製薬会社が大学や学会が保有する既存のレジストリと連携し、薬事申請に必要な追加情報を適宜取得することが現実的なアプローチの1つになるのではないかと推察する。

### 患者背景に合わせたテーラーメイド治療

昨今、精密医療が話題だ。これは適切な患者集団をターゲットとして、質の高い比較有効性エビデンスを創出するものである。医薬品開発プロセスとヘルスケアモデルが連結し、安価な医療を提供することで実現可能となる、とベルギー ブリュッセルのthe European

Organization for Research and Treatment of Cancer (EORTC) に所属するDenis Lacombeらは記している。<sup>2</sup>

小宮山氏は現在EORTCが図2で紹介しているように、どのようなRWE研究が実施されるか(図2の左よび右)、ということを理解することが重要だと指摘する。

「グローバル展開が標準になりつつあります。」と小宮山氏。「日本人であろうが外国人であろうが、患者要因、環境要因といった要因と患者個人のベネフィット・リスクとを関連づけて考えていくことが重要です。そのことがテーラーメイド医療にもつながっていきます。」と彼は続ける。患者に関する豊富なデータを医薬品研究に関連付けることで「我々は医薬品の有効性やリスクに関して今以上に予測できるようになるのです。」

## 寄稿者

**小宮山 靖氏**

**ファイザーR&D合同会社**

統計リサーチ・データサイエンス グループ シニア  
マネージャー

**杉谷 利文氏**

**ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社**

メディカル本部 リアルワールドエビデンス シニ  
アマネージャー

**藤井 裕士氏**

**パレクセル・インターナショナル株式会社**

エンタープライズアカウント部 シニアクライアン  
ト リレーションシップディレクター

**吉住 敏氏**

**パレクセル・インターナショナル株式会社**

臨床開発部 シニア クリニカルオペレーション  
リーダー

**片山 泰之氏**

**MSD社**

メディカルアフェアーズ統括執行役員米国研究  
製薬工業協会 (PhRMA) メディカルアフェアーズ  
委員会委員長

**大山 尚貢氏**

**ノバルティス ファーマ社**

執行役員 グローバル医薬品開発本部 臨床開発  
統括部長

**東郷 香苗氏**

**ファイザー社**

ヘルスアンドバリュー統括部 アウトカムアンドエ  
ビデンス 担当部長

**著者**

**Mary Y. Nishikawa**

本企画にご協力いただいた方々の所属情報は、取材時  
のものです。

## References

- National Institutes of Health. The Promise of Precision Medicine. Published online February 12, 2020. Accessed March 30, 2022. <https://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/nih-turning-discovery-into-health/promise-precision-medicine>
- Lacombe D, Liu L, Meunier F, Golfinopoulos V. Precision Medicine: From “Omics” to Economics towards Data-Driven Healthcare - Time for European Transformation. Biomed Hub. 2017;2(Suppl. 1):1-10. doi:10.1159/000480117
- Pharmaceutical Safety and Environmental Health Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare. PSEHB/PED Notification No. 0323-2: Points to Consider for Ensuring the Reliability in Utilization of Registry Data for Applications. MHLW; 2021. Accessed February 24, 2022. <https://www.pmda.go.jp/files/000240811.pdf>
- Pharmaceutical Safety and Environmental Health Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare. PSEHB/PED Notification No. 0323-1: Basic Principles on Utilization of Registry for Applications. MHLW; 2021. Accessed February 24, 2022. <https://www.pmda.go.jp/files/000240810.pdf>
- Hiramatsu K, Barrett A, Miyata Y, PhRMA Japan Medical Affairs Committee Working Group 1. Current Status, Challenges, and Future Perspectives of Real-World Data and Real-World Evidence in Japan. Drugs - Real World Outcomes. 2021;8(4):459-480. doi:10.1007/s40801-021-00266-3
- Nishioka K, Makimura T, Ishiguro A, Nonaka T, Yamaguchi M, Uyama Y. Evolving Acceptance and Use of RWE for Regulatory Decision Making on the Benefit/Risk Assessment of a Drug in Japan. Clin Pharma and Therapeutics. 2022;111(1):35-43. doi:10.1002/cpt.2410
- Pharmaceutical Evaluation Division, Pharmaceutical Safety and Environmental Health Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare. Report on the Deliberation Results of Viltolarsen.; 2020. Accessed March 25, 2022. <https://www.pmda.go.jp/files/000237467.pdf>
- Ministry of Health, Labour and Welfare, Research and Development Promotion Division; Medical Affairs Bureau, Pharmaceutical Evaluation and Control Division, Pharmaceutical Affairs Bureau. Efforts to date and future direction of the CIN concept: Document 4. Presented at: The 6th Clinical Development Environment Improvement Promotion Conference; March 27, 2020. Accessed February 24, 2022. <https://www.mhlw.go.jp/content/10801000/000621590.pdf>
- Office for the Advancement of Insurance Systems, Health Care Coordination Policy Division, Health Insurance Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare. Second National Data Base (NDB) Open Data Discussions. Published online September 2017. Accessed February 26, 2022. <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000139390.html>
- Nakamura H. Research on the regulatory use of new data sources such as real-world data and issues for their international regulatory harmonization: Japan Agency for Medical Development (AMED) Research Project for Harmonization and Evaluation of Pharmaceutical Regulations (2018-2020) Document 1-3. Presented at: The 7th Clinical Development Environment Improvement Promotion Conference; March 8, 2021. Accessed February 24, 2022. <https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/000748584.pdf>
- Jonker CJ, van den Berg HM, Kwa MSG, Hoes AW, Mol PGM. Registries supporting new drug applications. Pharmacoepidemiol Drug Saf. 2017;26(12):1451-1457. doi:10.1002/pds.4332
- Personal Information Protection Commission - Japan. Act on Personal Information Protection, Law No. 119.; 2006. Accessed March 25, 2022. <https://www.kantei.go.jp/jp/it/privacy/houseika/hourituan/030307houan.html>
- Ministry of Health, Labour and Welfare. Ethical guidelines for medical and health research involving human subjects.; 2007. Accessed March 25, 2022. <https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-Daijinkanboukouseikagakuka/0000153339.pdf>
- Current Status and Issues of Real World Data and Real World Evidence in Japan Revealed by the COVID-19 Pandemic: Digitization as the driving force of change in Japan's healthcare. Presented at: December 1, 2021. [http://www.phrma-jp.org/wordpress/wp-content/uploads/2021/11/211201\\_PressSeminar\\_Slide.pdf](http://www.phrma-jp.org/wordpress/wp-content/uploads/2021/11/211201_PressSeminar_Slide.pdf)
- Wang C, Li H, Chen WC, et al. Propensity score-integrated power prior approach for incorporating real-world evidence in single-arm clinical studies. J Biopharm Stat. 2019;29(5):731-748. doi:10.1080/10543406.2019.1657133
- Burock S, Meunier F, Lacombe D. How can innovative forms of clinical research contribute to deliver affordable cancer care in an evolving health care environment? European Journal of Cancer. 2013;49(13):2777-2783. doi:10.1016/j.ejca.2013.05.016



## パレクセル・インターナショナル株式会社について

パレクセルは、世界中のライフサイエンス企業やバイオ医薬品企業が、科学的な発見を新しい治療法へと変換する手助けとなる様々なサービスを提供し、患者さんがより健康になるための革新的で新しい治療法の開発をサポートしています。パレクセルの臨床試験支援、薬事コンサルティング、そして市販後やマーケットアクセスにわたる高い専門性や高度なテクノロジー、幅広い疾患領域における能力と機能性は、パレクセルの強い信念によって支えられています。パレクセルは、2020年12月にインフォーマ・ファーマ・インテリジェンスの独立パネルによって「ベストCRO」に選ばれました。

詳細については、[website](#)や[LinkedIn](#)、[Twitter](#)、[Instagram](#)をご覧ください。



## Reuters Eventsについて

Reuters Events製薬部門は、製薬業界がよりオープンでより価値のある存在となる未来を見据えています。最も優れたアイデアやインサイトを、オープンに透明性の高く信頼できる方法で共有いただき、患者さんにとって重要な製品やサービスの構築に向けた、本質的なアプローチをとれるよう、製薬企業の意思決定者の皆様、患者さん、その他の医療関係者が交流できる場を提供しています。ぜひ皆様のご関心やご興味についてフィードバックをお寄せください。ご連絡をお待ちしております。

## 免責事項

本レポートの作成にあたり、広範な一次調査を行った著者の方々に感謝いたします。本紙に掲載されている情報や意見は、Reuters Eventsで発表された内容に基づくものです。ライター・イベントは、本レポートに掲載された意見や情報が変更された場合に、それを伝える義務を負いません。Reuters Eventsは、信頼できる包括的な情報を提供できるようあらゆる努力をしておりますが、その情報の全てが正確または完全であるとの表明は控えます。Reuters Eventsおよびそのパートナーは、本文書の資料または内容の使用に起因するいかなる損害、損失、経費、データの損失等について、一切責任を負いません。本文書のいかなる部分も、当社の事前の書面による許可なしに、配布、再販、コピー、または翻案することはできません。©2022 Reuters Events