

タイトル

希少疾病用医薬品の開発における疾患レジストリの利活用

テーマ紹介文

希少疾患における医薬品の開発では、様々な理由から、無作為化比較試験を実施することが困難な場合がある。無作為化比較試験が実施できない場合には、単群試験の実施が検討されるが、単群試験の薬効評価には、多くの統計的課題及び限界が存在する。近年、これらの限界に対する解決策の一つとしてリアルワールドデータ（RWD: Real World Data）である疾患レジストリデータの活用が検討されている。しかし、このような RWD を医薬開発に活用する際に、具体的にどういった課題又は疑問に対して RWD が利用できるのか、また活用する際に実務上どういった問題が生じるのかについて、いまだ整理がなされていない。そこで本テーマでは希少疾病用医薬品の開発における課題を整理したうえで、疾患レジストリを利活用する場合、特に疾患レジストリを対照群として活用する際の問題点や統計的手法について議論する。

1. 希少疾病用医薬品の開発における課題
2. クリニカルイノベーションネットワーク（CIN）の概要
3. 希少疾病用医薬品の開発における CIN 構想への期待及び課題
4. ケーススタディに基づく意見交換