

脳神経外科領域患者レジストリ研究における規制当局の役割

独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA) 医療機器審査第二部 根木 宏明

筆頭演者はNPO法人日本脳神経血管内治療学会へのCOI自己申告を完了しています。
本演題の発表に関して開示すべきCOIはありません。

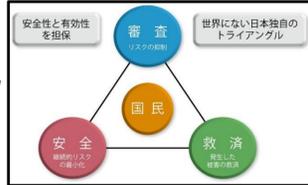
【はじめに】

昨今、**レギュラトリー・サイエンス(RS)**の一環として現在の日本における医療状況の把握や医療機器の開発において患者レジストリを活用した手法が注目を浴びており、**クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)**の構築が期待されている。

【PMDAとは】

医薬品医療機器等法に基づき、規制当局の役割の一部を担っている。国民のために医薬品・医療機器の安全性と有効性を担保する機関

- * 審査…リスクの抑制
- * 安全…継続的リスクの最小化
- * 救済…発生した被害の救済



【レギュラトリー・サイエンス(RS)とは】

科学と人間との調和を図る科学(行政科学・規制科学・評価科学・使命遂行型科学 等)

→**有効性と安全性の評価・予測科学**

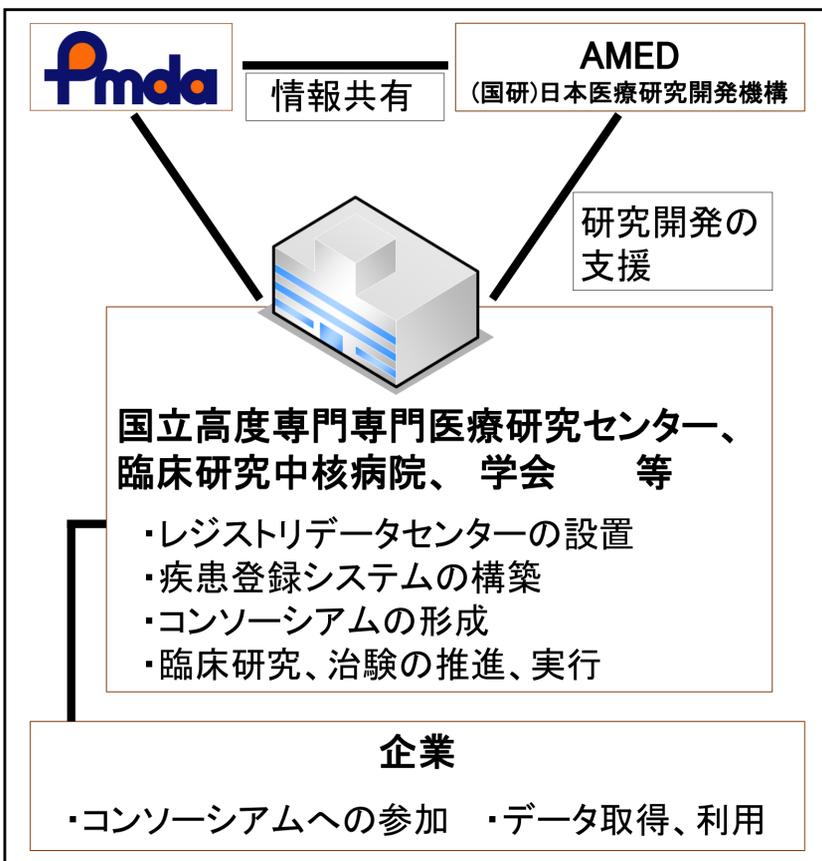
【クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)とは】

- ・ 医薬品・医療機器開発費用は世界的に高騰し、特に本邦でも開発コストが高いことが問題である。
- ・ RSに基づき疾患登録情報を用いることで効率的な開発、承認審査、安全対策等の促進が期待される。

→**登録情報を活用した臨床開発インフラ**
≡ CIN

→活用方法例

- ・ 市場性調査
- ・ 自然歴を把握し、治験対照群としての利用
- ・ 患者リクルート
- ・ 使用成績調査



【現状と問題点】

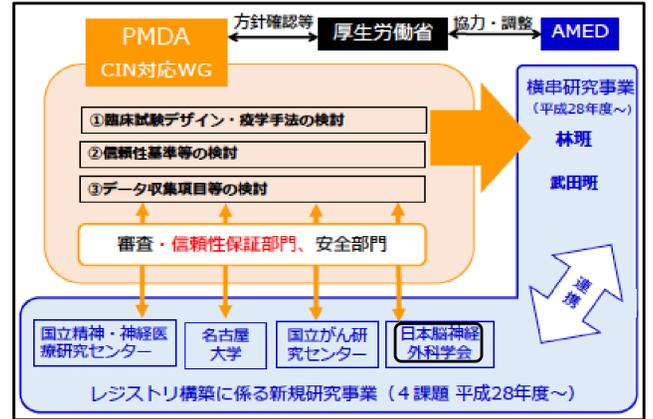
- ・ 特定の疾患における臨床予後の把握、医薬品・医療機器におけるエビデンスの構築のためにレジストリ研究は注目を浴びてきている。
- ・ 希少疾患治療法の確立、国内のエビデンス構築、医療機器開発・改良におけるレジストリ研究の有用性が期待されている。
- ・ レジストリの構築においては、長期安定運用のための資金や人材、インセンティブのあり方、医療現場の負担、学会の主導力といった課題がある。

【CINにおけるPMDAの役割】

- ・ 各部署との連携協力をはかり、レジストリ構築を推進する
- ・ RSに基づき、レジストリの活用方法(臨床試験デザイン、承認審査、使用成績調査 等)、データの信頼性保証のあり方を検討する

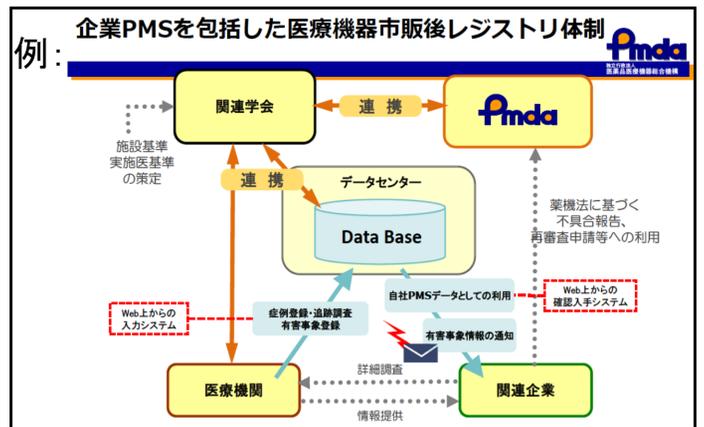
→PMDA内にワーキンググループ(WG)を設置し、関連部署との協議を行っている。

WG: RS推進部、新薬審査部、医療機器審査部、医療情報活用推進室、信頼性保証部



* 主な検討項目

1. 使用用途に応じた要件
 - ・ データ項目、データパッケージ(疾患特異性や主要評価項目)の妥当性 等
2. データを活用した評価手法
 - ・ 評価デザイン 等
3. 信頼性保証のあり方
 - ・ PMS (Post Marketing Surveillance)における基準としてGPSP (Good Post-marketing Study Practice) 等



* 信頼性保証のための注意点

- ・ **医療機関**—**患者レジストリ保有者(学会等)**—**申請者(あるいは企業)**間でのデータの取り扱い

 1. 医療機関の原データとレジストリデータの一貫性
 2. 原データが適切にレジストリに登録される設計、運営体制

*困難な場合には、十分な理由の説明が必要

【脳神経外科領域におけるレジストリ研究の役割】

- ・ 他領域と比較すると市場規模が小さい
 - ・ 自然歴、治療後のReal world dataが把握しづらい
- これらの状況を打破し、新規、改良医療機器の開発の促進

【まとめ】

- ・ 医療機関、関連学会、関連企業、規制当局が密に連携を図り、CINを基盤としたレジストリ構築が必要である。
- ・ 脳神経外科領域におけるレジストリ研究は、RSの発展並びに新規医療機器の開発、早期導入に寄与できると考えられるため、早期のコンソーシアムの形成、承認審査に有効な症例登録が期待される。

【おことわり】

本発表は、あくまでも全て個人の見解であり、機構の意見ではありません。