

2023年11月10日

第1回 匿名指定難病関連情報及び匿名小児慢性特定疾病関連情報
の提供に関する有識者会議

アカデミアにとっての難病・小慢DBの 研究利用の有用性

浜松医科大学
渡邊裕司

臨床研究における レジストリデータの活用法

- ベースラインデータの提供 → 病状や診療実態の把握, 予後予測
- 患者数や都道府県分布の把握 → サンプルサイズや実施可能性の検討, 施設候補選定の資料
- 臨床研究参加候補者パネル → 主治医を通じた研究参加要請
- 対照群を形成

難病小慢DBに限らず
一般的なレジストリデータの
活用方法

Real World Dataを臨床研究に 使用する際の一般的な留意点

- ▶どのようなRWD？ その質は？
- ▶どのような目的で利用したいのか？
- ▶システムバリデーションやセキュリティ対策は？
- ▶対象者からのインフォームドコンセント取得は？
- ▶個人情報保護の対策は？

RWD（二次利用）と臨床試験データの主な相違点

	RWD（二次利用）	臨床試験データ
データ利用に対する 患者同意	二次利用の同意は必ずしも得られていない	文書同意を得ている
データベース構造	標準的なものはない/保有するデータ項目の 種類や粒度も様々である	多くはCDISC標準に準拠 している
データベース保有者	民間事業者やアカデミアなど	臨床試験のスポンサー
データクレンジング	通常実施していない	実施している

引用：リアルワールドデータを承認申請時に活用するための3つの要件と7つの提案
2021年4月 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会

難病・小慢DBの臨床研究における活用法

- ベースラインデータの提供 → 病状や診療実態の把握, 予後予測
- 患者数や都道府県分布の把握 → サンプルサイズや実施可能性の検討, 施設候補選定の資料
- 臨床研究参加候補者パネル → 主治医を通じた研究参加要請
- 対照群を形成

赤字は難病小慢DBで特に期待される活用法