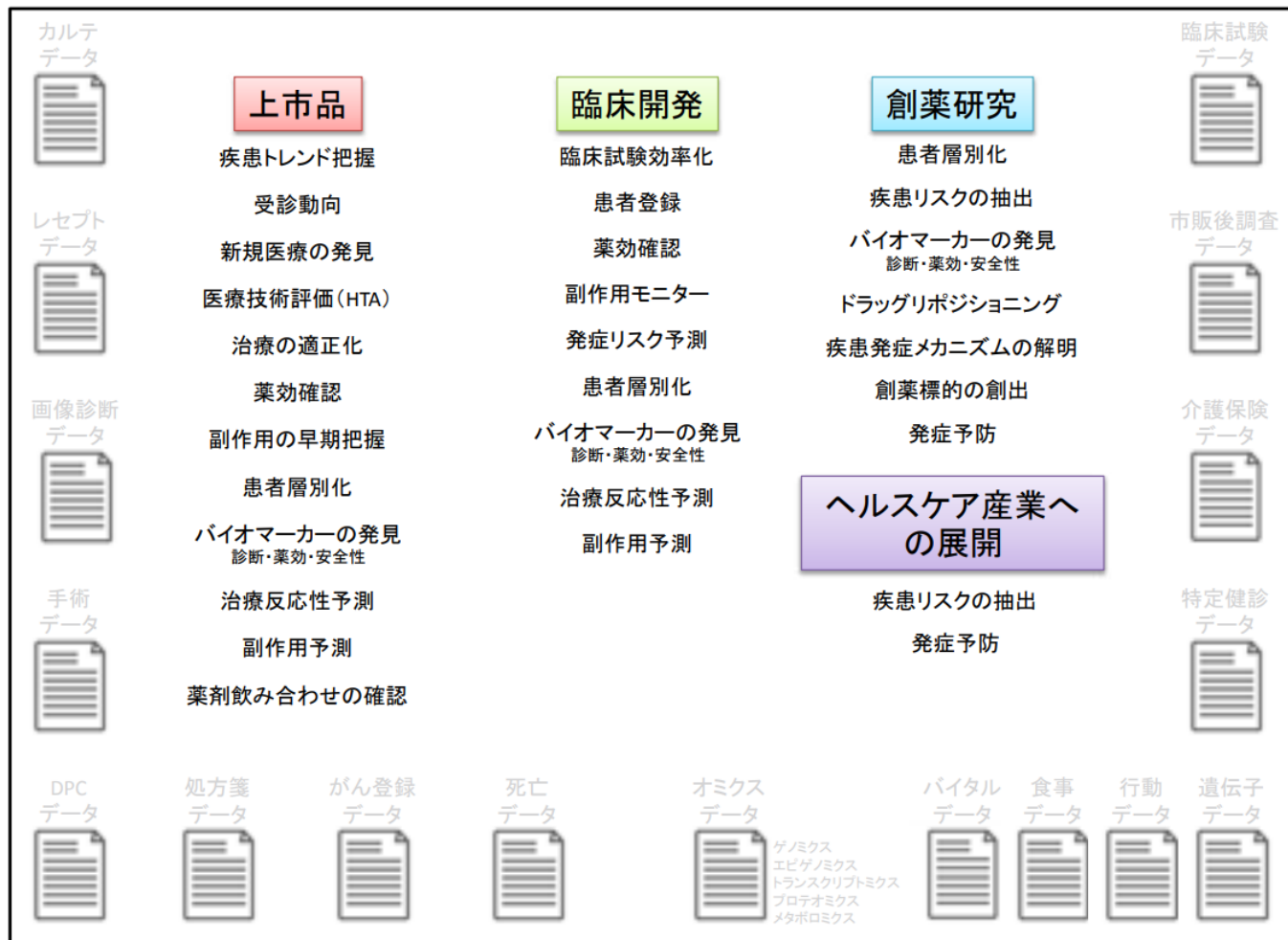
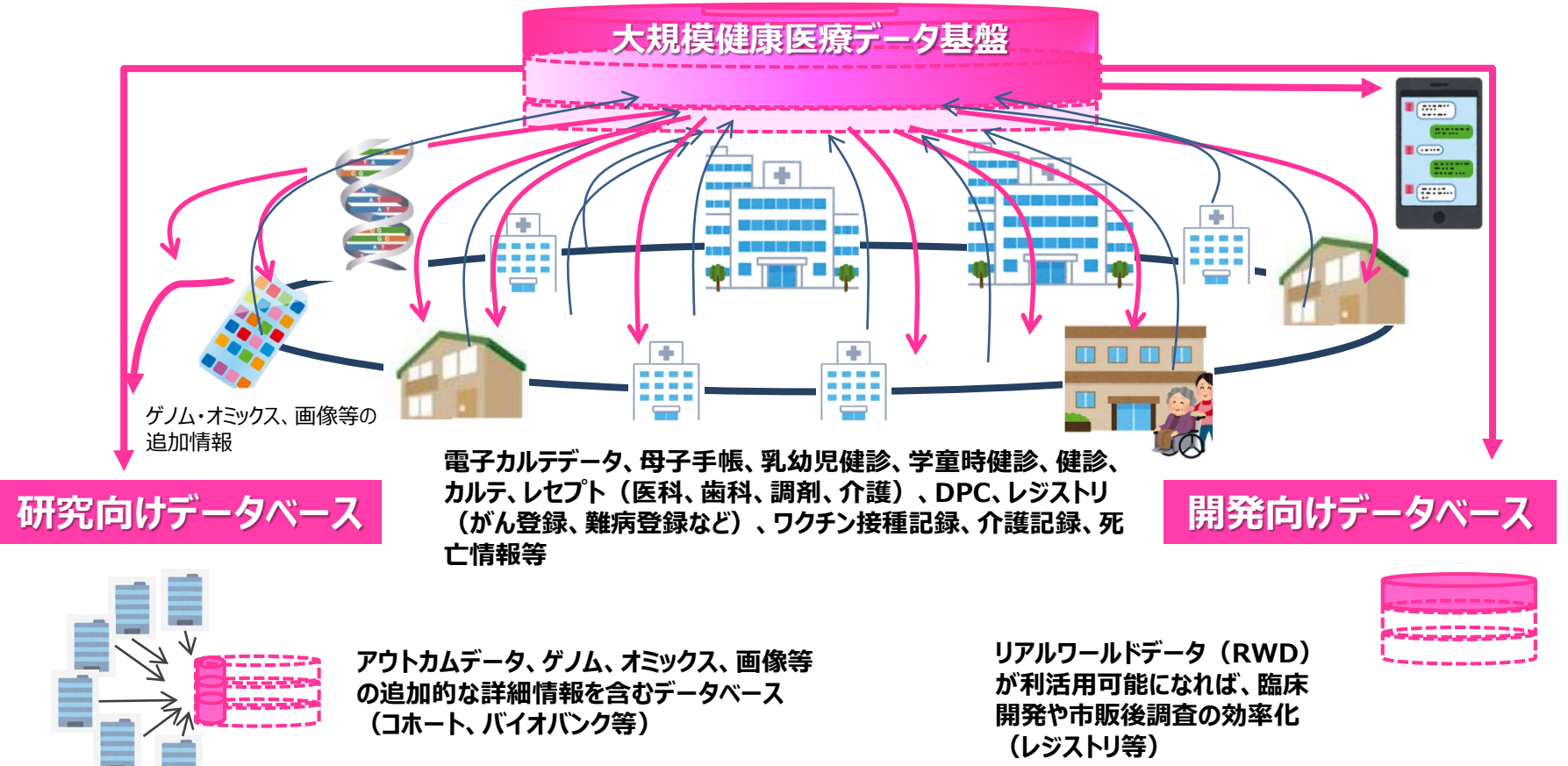


製薬企業のバリューチェーン毎に整理しても、ニーズは多岐に亘る



健康医療データプラットフォーム構築への期待

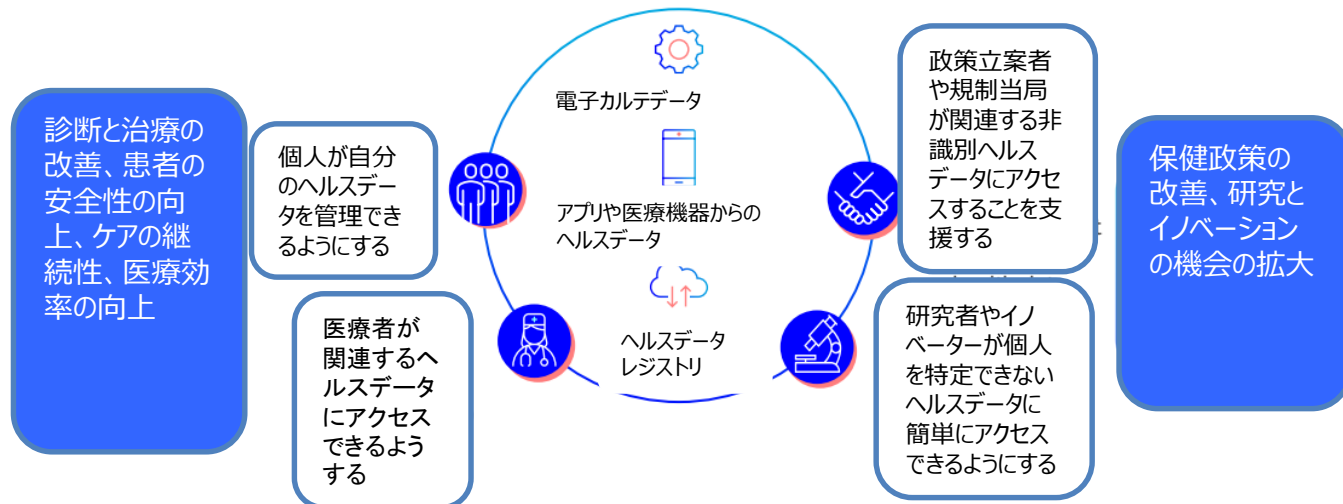
悉皆性が高く個人単位での追跡が可能な健康医療データ基盤と
研究開発向けデータ基盤（コホート、バイオバンク、レジストリ等）の整備を



European Health Data Space (EHDS)の概略

EUは5月にヘルスデータ基盤構築と利活用に関する総合的な構想・法案を公表

- 個人が自分のヘルスデータをスマートフォン等で管理できるようにする
 - 自分のヘルスデータをいつでも閲覧可能
 - 自分のヘルスデータがどのように二次利用されているかを確認できる**
- より良い医療提供、より良い研究、イノベーション、政策立案のためにヘルスデータを利活用する
- 二次利用の観点で収集データ項目、二次利用目的、禁止事項等を明確化
 - 収集するヘルスデータ：電子カルテ、ゲノム、オミックス、バイオバンク、研究コホート等の収集を義務付け（33条）
 - 二次利用目的：公共・公衆衛生・研究・創薬を含むイノベーション活動等の利活用目的を明確化（34条）
 - 禁止事項：広告・マーケティング活動・保険契約の利益からの除外・公序良俗に反する活動を禁止（35条）



データ基盤構築と法制度整備の総合政策を

EHDSを参考としつつ、**データ基盤構築**と**法制度整備**を両輪とする総合政策及び法整備を推進して頂きたい

データ基盤構築

1. 電子カルテの標準化と普及
 - HL7 FHIR準拠のクラウドベースの電子カルテを全医療機関に導入
 - 創薬にも資するデータ項目の標準化
2. データ連携
 - マイナンバーを活用
3. データ基盤
 - 国が一括で管理し利活用できる基盤構築、ライフコースデータの利活用基盤構築（健診・検診、死亡情報及び死者データ、PHR等も）

個人情報保護法制

- 次世代医療基盤法の改正
 - 匿名加工から仮名化へ、データの信頼性確認手段の確保、NDB等との連結、死者データの収集 等
- 医療分野における個人情報保護法の特別法の制定
 - 入口規制（同意原則）ではなく、出口規制（利用審査＋オプトアウト）への転換
 - 仮名化データの利活用推進（匿名加工データの利活用のみでは不十分）
 - データ基盤整備の方針も定める

医療データの分類

① 医療現場の情報をそのまま収集・整理したDB

- NDB (レセプト情報・特定健診等情報データベース)
- 健保・国保レセプトDB
- DPC DB
- 調剤薬局DB
- MID-NET
- 次世代医療基盤法によって認定事業者の保有するDBなど

② 特定の条件に該当する対象者のデータを入力・トレースする レジストリ系のDB

- CIN (クリニカル・イノベーション・ネットワーク)
- NCD (National Clinical Database)
- 学会等による疾患レジストリ
- 地域コホート
- 全国がん登録
- 難病登録
- バイオバンクから得られるデータなど

③ 臨床研究・治験データ

- 企業やアカデミアが保有している過去の臨床研究や治験のデータなど

治験の成功確率に寄与する要素

- 対照群（既存治療）の有効性・安全性の予測
- 対照群（既存治療）の有効性に与える要因の把握
- 対象患者の患者特性の把握（国際共同治験では地域での異同）

現状

- 治験の有効性評価項目の多くはRWDで収集されていない。
 - 例) がんの奏効評価, 痛みのVAS評価, 6分間歩行距離等
 - イベント抑制の評価項目はアウトカム定義が可能(例, 心筋梗塞, 脳卒中)
- 患者特性で傷病や診療行為記録で定義できないものはRWDで収集できない
 - 例) BMI, 血圧, がんのステージ, 疾患評価のスコア等

今後の期待

- 実医療下で治療効果の判断に使うような臨床評価項目をRWDで収集し2次利用が可能になる
- 新たな治療が出てくる分野では, 最新の医療実態下のデータが必要
- 有効性の評価がイベントの場合は, 病院間の追跡が必要(複数の情報源のデータを連結)

治験の組入れ促進

- 治験の対象患者がどの医療施設に多くいるのかRWDで把握

現状

- 医療施設名まで開示できている情報源は限定的
 - [DPC導入の影響評価に関する調査：集計結果 | 厚生労働省 \(mhlw.go.jp\)](#)
 - [院内がん登録全国集計：\[国立がん研究センター がん情報サービス 一般の方へ\] \(ganjoho.jp\)](#)
 - 2年前の情報が公開されている
 - 傷病名の分類レベルの集計粒度
 - 上記以外のDBは医療施設の許諾が必要な場合や開示費用が高額で利活用が進まない

今後の期待

- 左記以外のDBで医療施設名が開示でき、安価に治験の組入れ利用ができる仕組みの整備
- 可能な限り最新のデータで患者特定ができるようになる
- 治験の組入れ基準は多くの条件があるため、治療歴や併存疾患、病歴などの複数の条件で患者を特定できるようになる

DBの連結ができないため、1つのDBの中で評価可能な研究を実施

- 日本では下記の韓国のような研究ができていない

韓国のCOVID-19ワクチンの安全性評価事例



国民健康保険，メディカルセンター，韓国疾病予防管理庁（KDCA），大学が本研究を実施

- ◆ SARS-CoV-2ワクチンが二次的合併症を予防するかどうかは不明で、COVID-19感染後のワクチン接種と急性心筋梗塞（AMI）および虚血性脳卒中との関連を検討
- ◆ ワクチンを接種していない患者と接種した患者（mRNAワクチンまたはウイルスベクターワクチン2回接種）のCOVID-19感染後のAMIおよび虚血性脳卒中の発生率を比較する後ろ向きコホート調査
- ◆ 韓国全国規模の COVID-19 登録（COVID-19の報告は義務）と韓国国民健康保険サービスのデータベース（国民皆保険制度）を連結して使用
- ◆ 主要アウトカムの調整済リスクは、接種群で有意に低かった。またAMIおよび虚血性脳卒中ともに、調整後リスクは接種群で有意に低値であった。

	No. of events		Incidence per 1 000 000 person-days			P value
	Not vaccinated (n = 62 727)	Fully vaccinated (n = 168 310)	Not vaccinated	Fully vaccinated	Adjusted HR (95% CI)	
Composite outcome	31	74	6.18	5.49	0.42 (0.29-0.62)	<.001
Acute myocardial infarction	8	24	1.60	1.78	0.48 (0.25-0.94)	.03
Ischemic stroke	23	50	4.59	3.71	0.40 (0.26-0.63)	<.001

市販後の有効性評価

日本のDBでは制約が多く、有効性に関するRWE研究は進んでいない

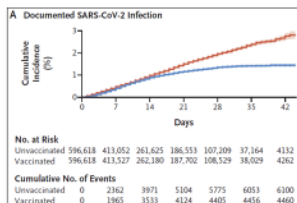
- 評価項目の情報がない
- 患者特性の項目で収集できないものがある

イスラエルのCOVID-19ワクチンの事例



わずか2週間で120万人規模のワクチンの効果を論文化

- ◆ イスラエルでは約20年前からデジタルヘルスイフラを整備。全人口の出生から死亡までを完全にカバーするデジタルデータに関する統合インフラがある
- ◆ イスラエルでは国民健康保険への加入が義務付けられており、4つあるヘルスプランのうちいずれかに加入する
- ◆ ヘルスプランとその関連病院は独立して運営されているがいずれも統一された統一IDを利用して電子カルテを使用している
- ◆ 最大ヘルスプラン（人口の53%をカバー）であるClalitが保有するデータを用い、COVID-19ワクチンの効果を迅速に検討し、論文化した



論文概要

- ✓ 2020年12月20日～2021年2月1日までにCOVID-19ワクチンを投与された選択除外基準に適合する全員における、COVID-19への感染、重症化、死亡等を検討
- ✓ 2回目投与完了7日以降の感染リスクが92%低減したことが確認された
- ✓ この論文は2021年2月24日に公開された。

N Engl J Med. 2021 Feb 24 ; NEJMoa2101765.

5

パルボシクリブ男性乳がんの承認申請活用例



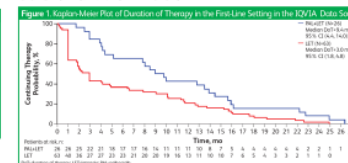
FDAはリアルワールドデータを評価し希少がん治療薬を承認

- ◆ パルボシクリブはHR+/HER2- 女性乳がんの適応でFDAから2015年に迅速承認、2017年に正式承認
- ◆ FDAから2019年に男性転移性乳がんの追加適応取得
 - 男性乳がんは希少疾患かつ致死性が高い
 - 複数のRWEを利用して承認申請
- ◆ Flatiron Health社EHRデータベースから実臨床下の腫瘍縮小効果や特定の有害事象を評価
- ◆ IQVIA社保険請求データベースから治療継続期間を評価

Figure 2. Response Assessment in the Flatiron Health EHR-Derived Data Source

A. Real-world maximum tumor response

	Palbocicli + AI/FL Cohort ^a	AI/FL Alone Cohort ^b
	N=12	N=8
	n(100)	n(125)
Response		
Complete response	2 (16.7)	0
Partial response	2 (16.7)	1 (12.5)
Stable disease	5 (41.7)	4 (50.0)
Progressive disease	3 (25.0)	3 (37.5)
Response (CR+PR) rate	4 (33.3)	1 (12.5)



参考資料： Pfizer Press Release on April 4, 2019; ASCO Annual Meeting 2019 発表資料。

6

必要なデータと質

	必要なデータ	データの種類	求められる質の高さ
研究	<ul style="list-style-type: none"> 日常診療データだけでなく、疾患固有の詳細なデータが必要 (ゲノム・オミックス、特殊な検査・画像、表情・声など) 	<ul style="list-style-type: none"> 構造化/標準化されたデータ 前向きに収集するレジストリ/治験データ・臨床研究データのシェアリング ゲノム/オミックスデータ、検査画像等 	高いことが望ましい
開発 (薬事利用)	<ul style="list-style-type: none"> 標準化された質の高いアウトカムを含むデータが必要。 将来的には、質の高いRWDを広く収集できる環境が必要。 	<ul style="list-style-type: none"> 構造化/標準化されたデータ 前向きに収集するレジストリ 	非常に高い
PMS (MA含)	<ul style="list-style-type: none"> レセプト、DPC、電子カルテ等のアウトカムも含まれたデータ 長期のフォローデータ 	<ul style="list-style-type: none"> 構造化/標準化されたデータ 	高い
情報提供 ・流通	<ul style="list-style-type: none"> レセプト、DPC、電子カルテ等のデータ (網羅性が高いことが望ましい) 	<ul style="list-style-type: none"> 構造化/標準化されたデータ 	中程度