

クリニカル・イノベーション・ネットワークと患者レジストリの将来について考える会
～患者の関わりについて考える～



2019 年 1 月 20 日（日）14時45分～15時25分
東京都豊島区南大塚3丁目4 3-1 1
全国心身障害児福祉財団ビル内 7F 大会議室

クリニカルイノベーションネットワークについて ～レジストリによる新たな治療の開発～

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター
トランスレーショナル・メディカルセンター 臨床研究支援部 臨床研究支援室
（併任）病院 臨床研究推進部 臨床研究・治験推進室
中村 治雅

クリニカルイノベーションネットワークとは？

患者レジストリとは？

患者レジストリはどう役立つの？

クリニカルイノベーションネットワークとは？

患者レジストリとは？

患者レジストリはどう役立つの？

クリニカル・イノベーション・ネットワーク（C I N）について

医薬品・医療機器開発を取り巻く環境の変化

- 新薬、新医療機器等の開発コストが世界的に高騰 ※ 1新薬当たり約3千億円との試算あり
- 開発の低コスト化、効率化を狙い、疾患登録システム（患者レジストリ）を活用する新たな臨床開発手法が登場

そこで

□ 効率的な創薬のための環境整備を進めるため、NCや学会等が構築する疾患登録システムなどのネットワーク化を行うC I Nを構築、拡充

具体的
には

関係機関のネットワークを構築し、産学連携による治験コンソーシアム
疾患登録情報を活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究体制

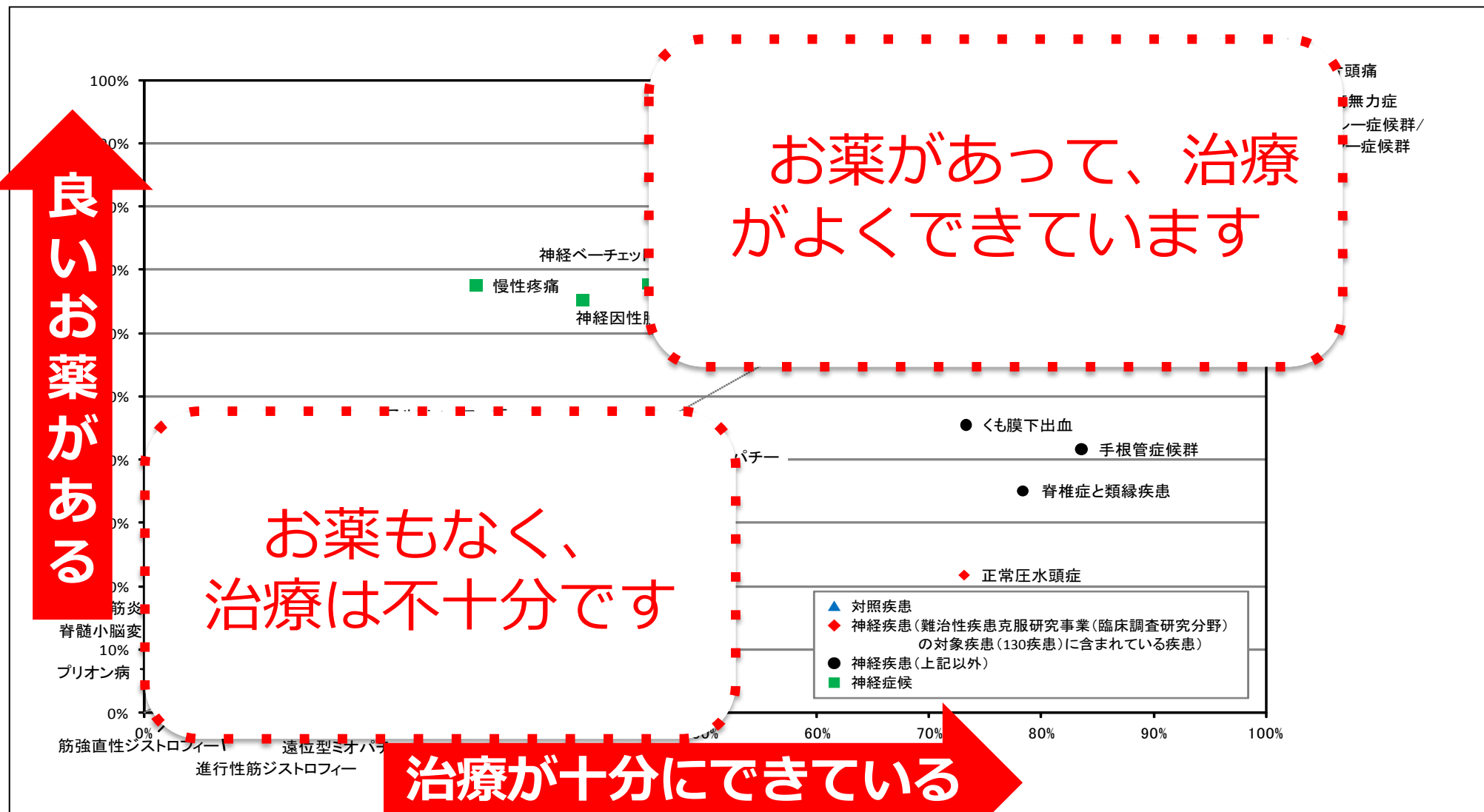
C I N（構想）
のイメージ



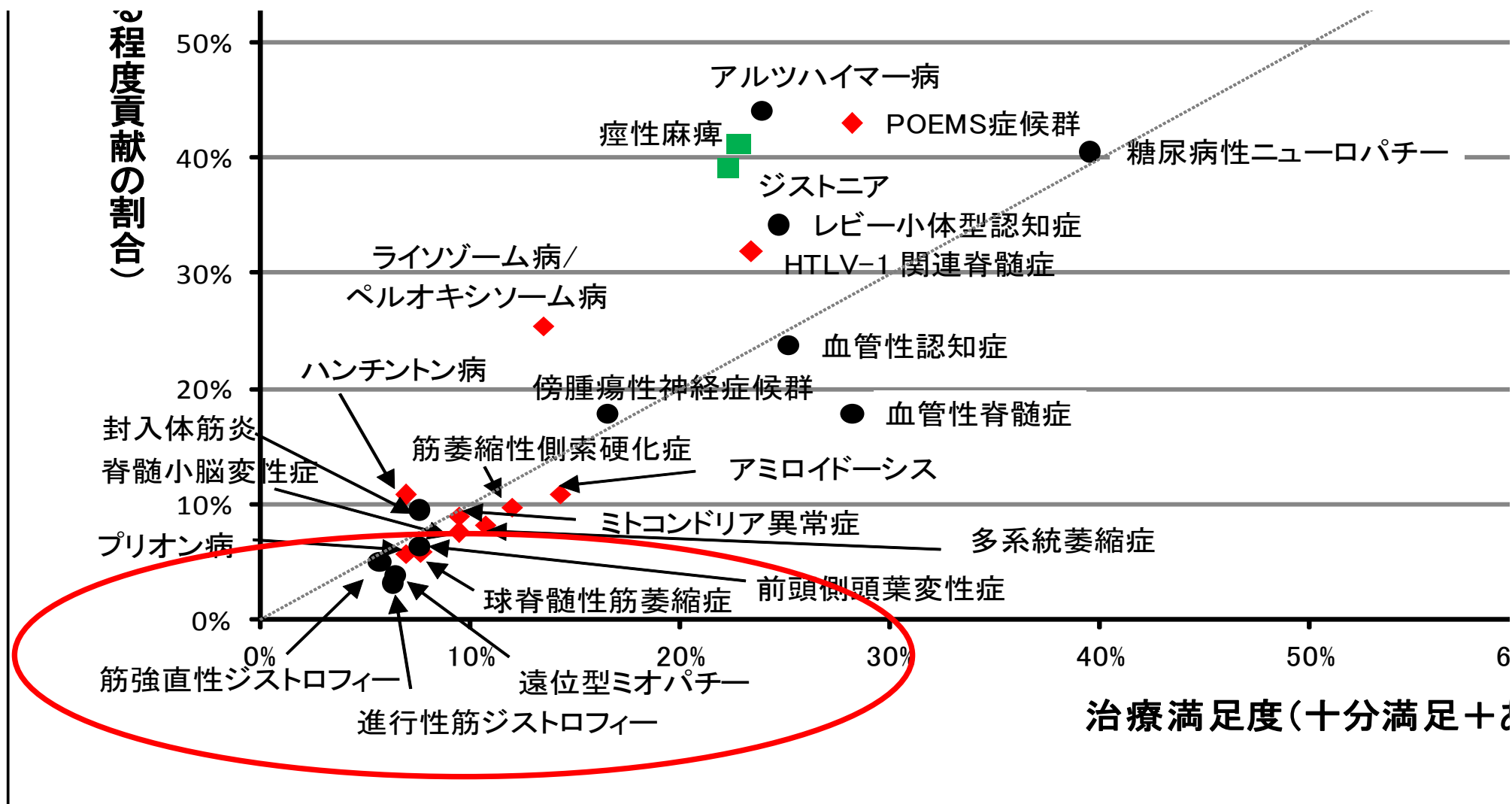
創薬のための
魅力的な環境

厚生労働省資料
一部改変

神経疾患に関する医療ニーズ調査



神経疾患に関する医療ニーズ調査



お薬ができるまで

- お薬のタネを見つける基礎研究から、動物実験、そして人・患者さんへの試験を経て、皆が使えるようになるには、多くは10年以上
- 基礎研究で見つけたお薬のタネが、本当にお薬になるのは、一般的に2万分の1以下
- 研究開発に係る全ての総額は、多くて300–500億円になることも

製薬協研究開発委員会メンバー
国内企業実績（2004～2008年）資料より

- 患者さんが少ない！
- 専門家も少ない！
- 医療機関も少ない！
- 患者さんの状態がわからない！
- 研究、治験に参加してくれる患者さんも少ない！
- 治験ができない！

- 患者さんのリアルワールドの情報を集めましょう
- 集めた情報を、産・官・学・患（者）の皆で協力して、新しい治療法の開発に役立てましょう
- そのための仕組みやルールづくりを進めましょう

<http://dx.doi.org/10.14236/jhi.v22i3.177>

リアルワールドデータ (患者さんの様々な情報)

観察研究

電子カルテ

レジストリ

診療報酬や保険のデータ

薬などの安全性の調査

患者さんの健康データ

治験



リアルワールドエビデンス (リアルワールドデータからわかること)

クリニカルイノベーションネットワークとは？

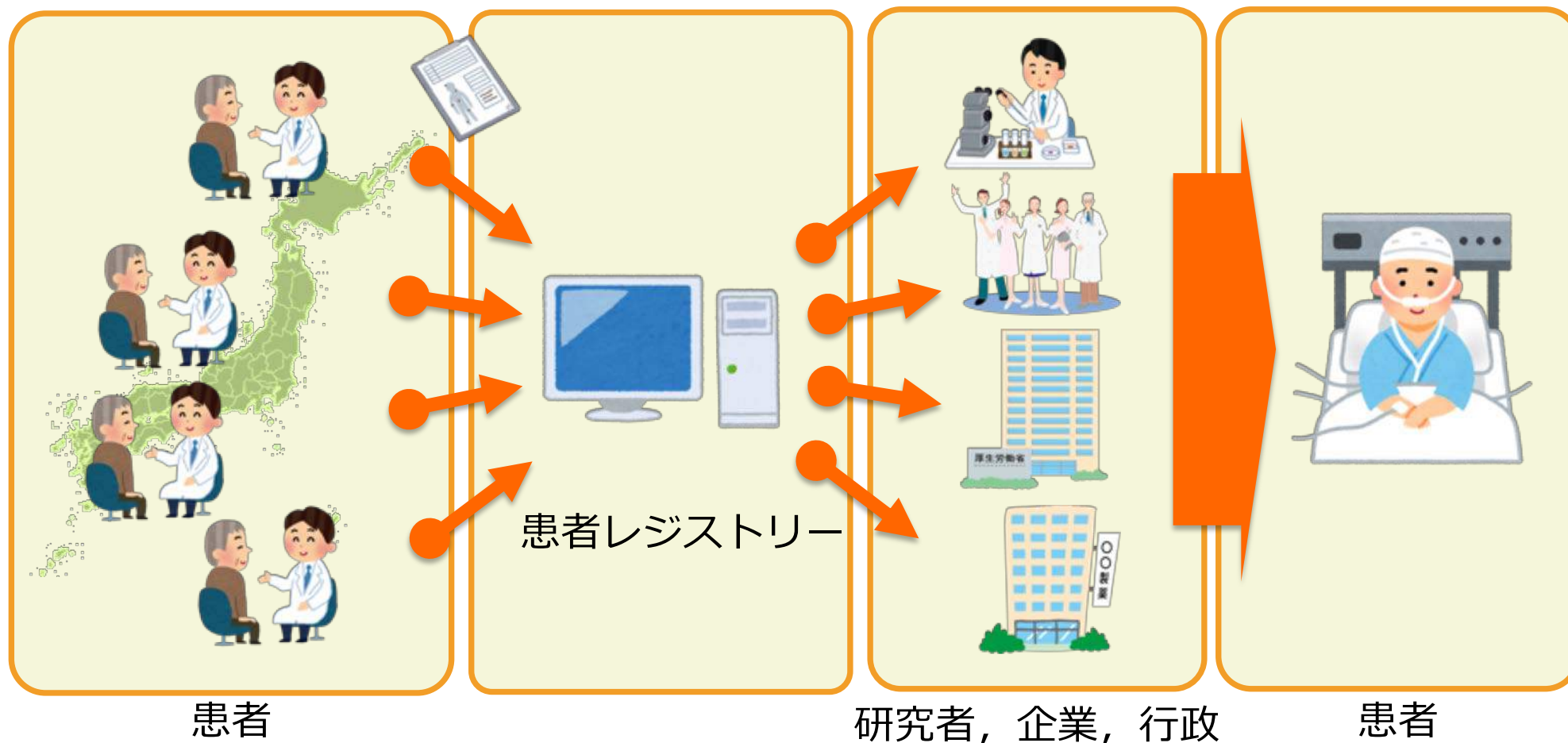
患者レジストリとは？

患者レジストリはどう役立つの？

- レジストリ (Registry) とは
 - 登録、登録すること、記録簿など
 - Registries for Evaluating Patient Outcomes: A user's guide. Second Edition, AHRQ, 2010
- 患者/疾患レジストリーとは、
 - 何らかの目的を持って患者さんや疾患の情報を収集する事、その記録簿

レジストリってなんでしょう

疾患・患者さんの「情報」を「集めて、貯めて、活用する」



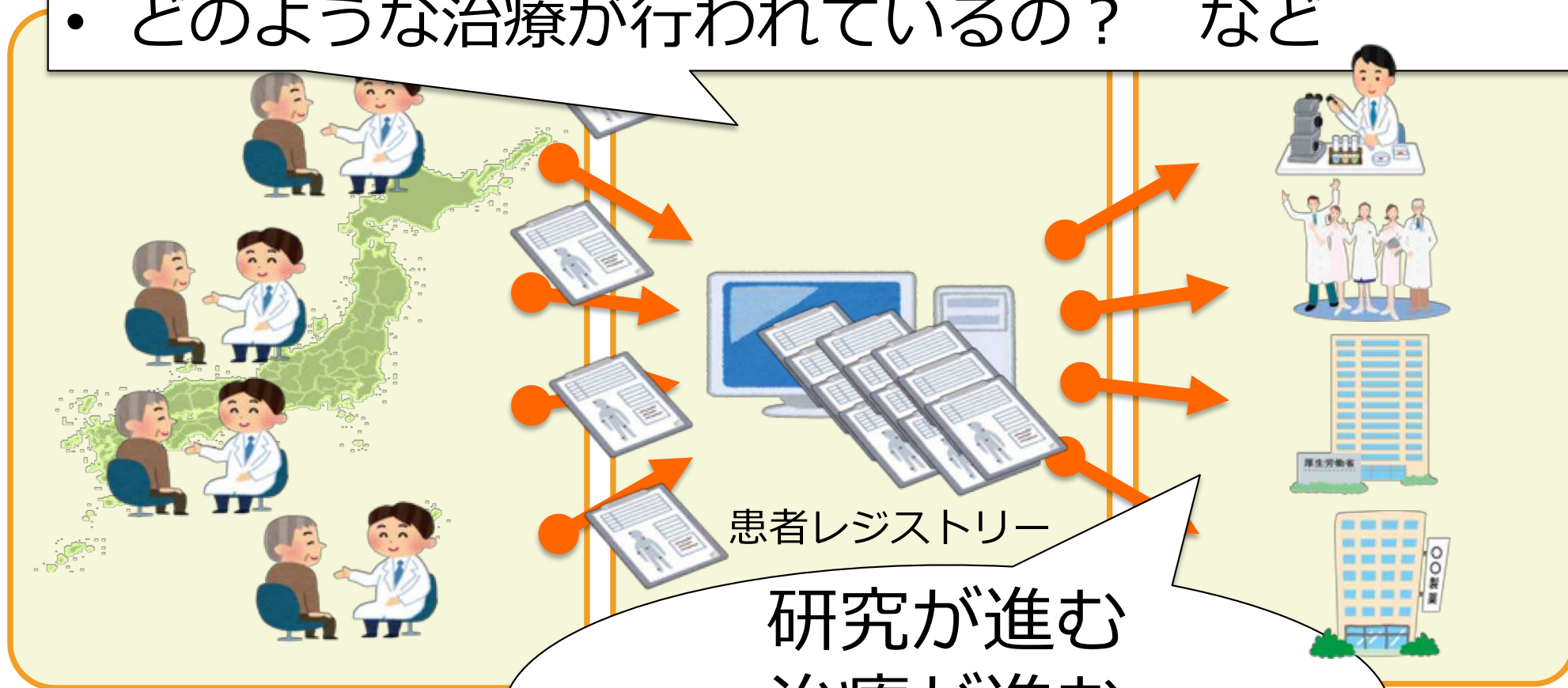
クリニカルイノベーションネットワークとは？

患者レジストリとは？

患者レジストリはどう役立つの？

集まった情報を分析することで、

- 患者さんの数は？
- どのような症状があるの？
- どうやって進行するの？
- どのような治療が行われているの？ など



患者

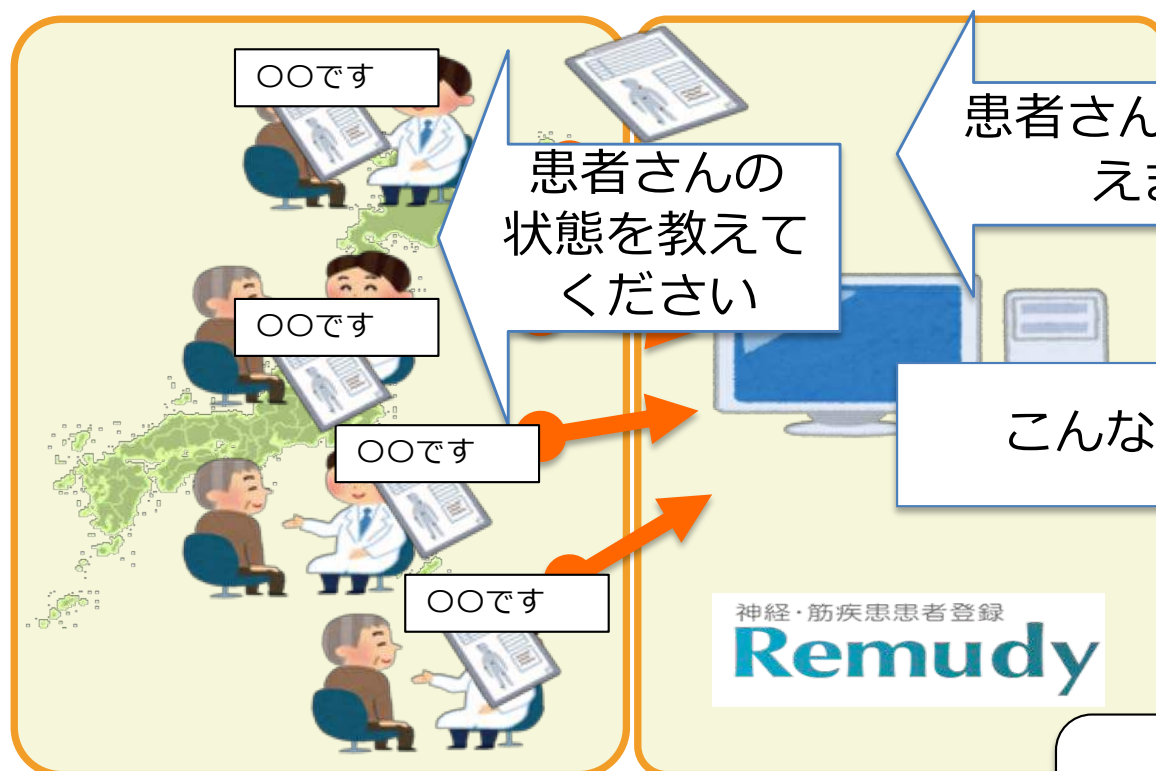
患者レジストリー

研究が進む
治療が進む
医療が進む

患者さんの困ってること、現状を調べたいんだけど...

そうだ！
REMUDYにお願いしてみよう

患者さんが、今どんな
ことで困っているの



患者さんに、調べてもら
えませんか？

こんな結果でした

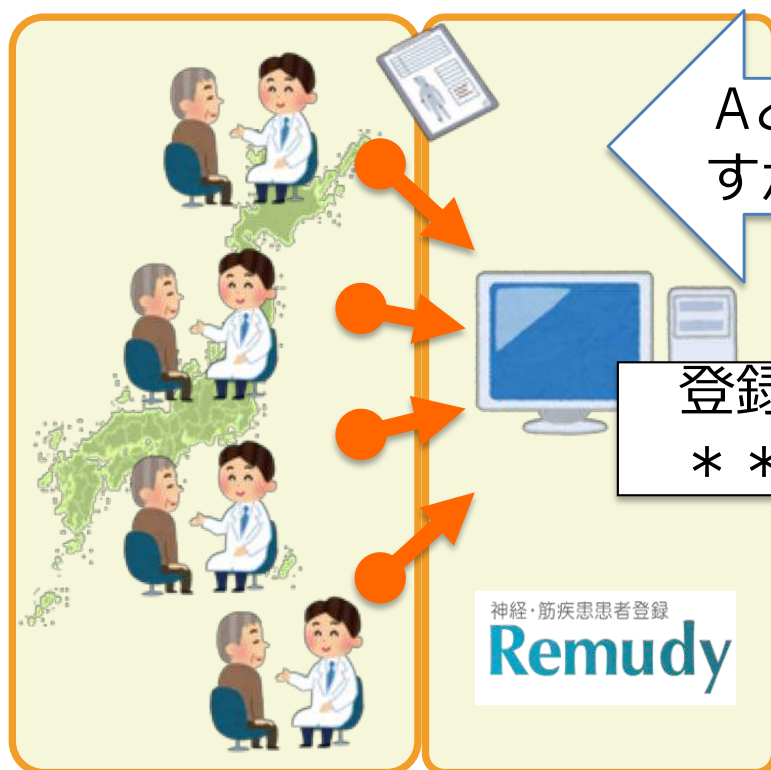


こんな問題があるんだ。
ここをもっと研究しないと！

このお薬を待ってる患者さんはいらんだらうか？

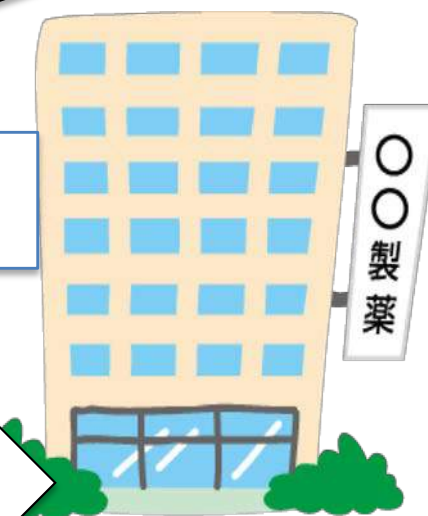
そうだ！
REMUDYに聞いてみよう！

このお薬が必要な
患者さんいるのかなあ？



Aという薬のタネがあるんで
すが、患者さんはいますか？

登録している患者さんは、
**人いらっしやいますよ

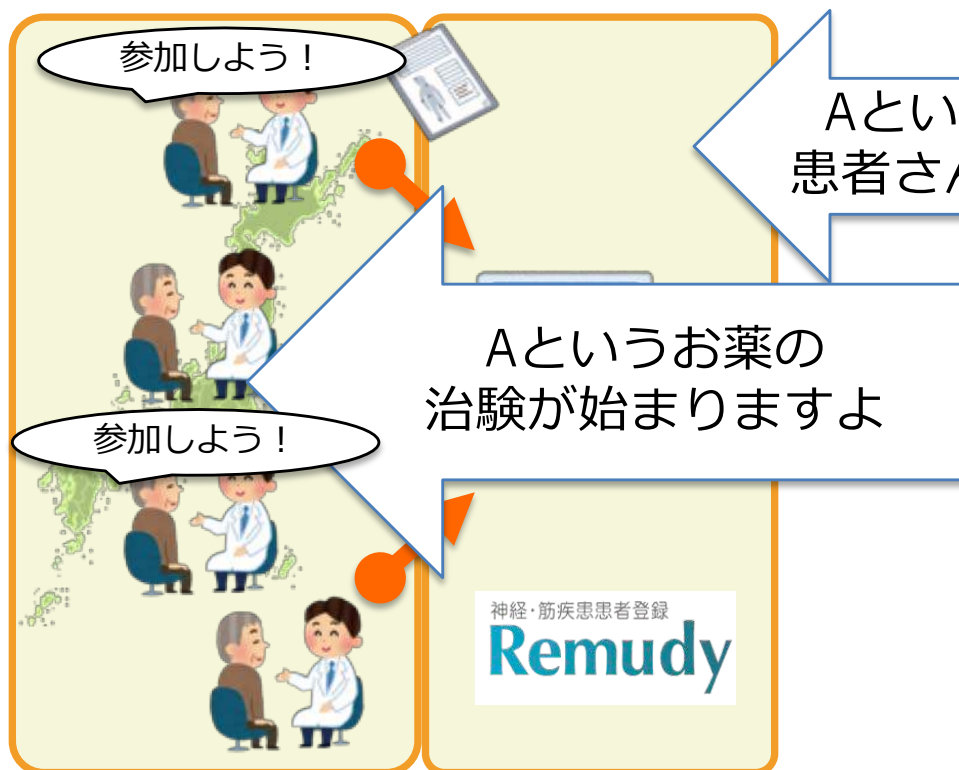


よし！Aという薬を
開発しよう

治験に参加してくれる患者さんっているんだろうか？

そうだ！
REMUDYにお願いしてみよう

筋ジストロフィーは患者さん
とっても少ない病気だ
治験に参加してくれる
患者さんを集めない！



よかった。
治験に参加していただける患
者さんがいらっしやった！

患者さんが少なくて、治験ができないんです

そうだ！
REMUDYにお願いしてみよう

もしお薬飲んでなかったら、患者さんはどのくらい歩けるんだろう

お薬を飲んでいない患者さんの
歩行の機能はどうですか？

何m歩けます

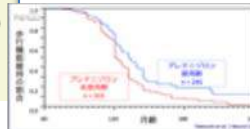
何m歩けます

歩きます

何m歩けます

飲んでいない患者さんたちは
これくらい歩けますよ。

神経・筋疾患患者登録



この情報と、お薬飲んでいる人を比べてみよう
この情報を持って規制当局と相談しよう

〇〇製薬

お薬が売り出されたけど、本当に安全？ ほんとうに効いてるの？

そうだ！
REMUDYにお願いしてみよう

Aというお薬売り出したけど
本当に効果あるんだろうか？
患者さんに副作用が出ていない？

Aというお薬よく
効いています

Aというお薬飲む
と調子悪いんです

Aというお薬が売られていますが、
患者さんに効果ありますか？
副作用はありませんか？

Aというお薬を飲んでいる
患者さんは、こんな状況です

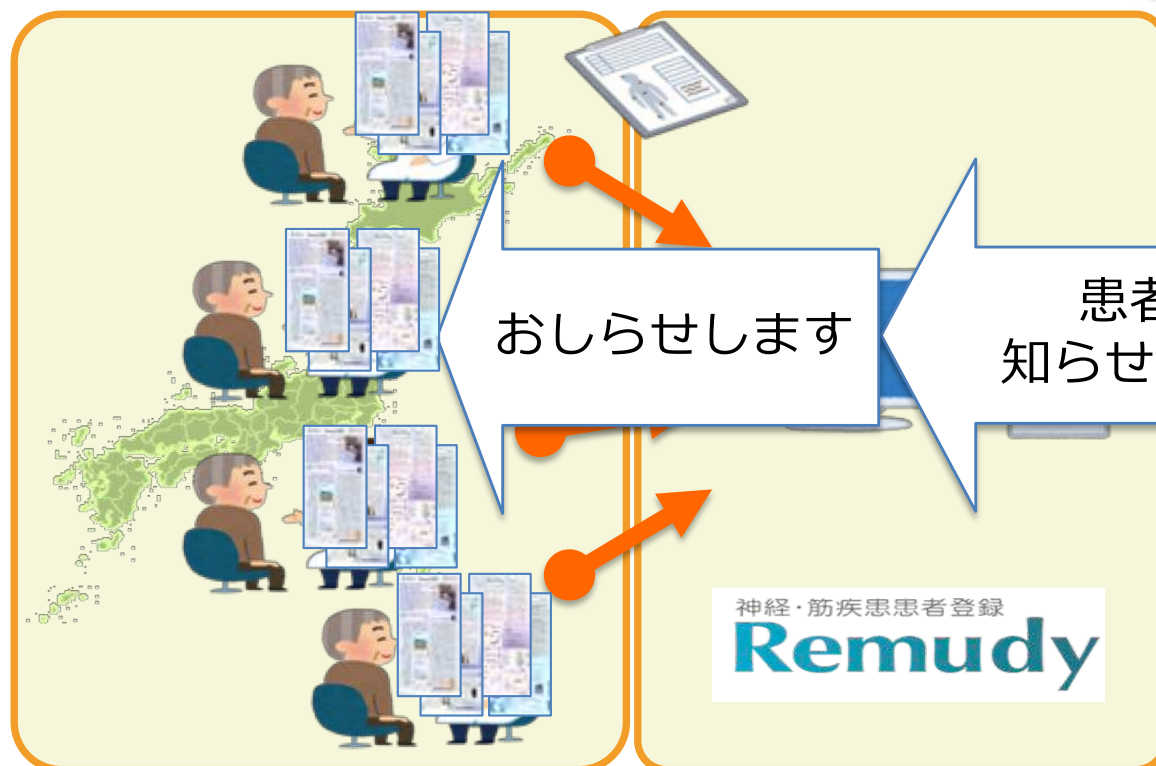
神経・筋疾患患者登録
Remudy

よかった、効果があるんだ！
何かおかしいことが起こってるぞ、
患者さんに注意しないと！

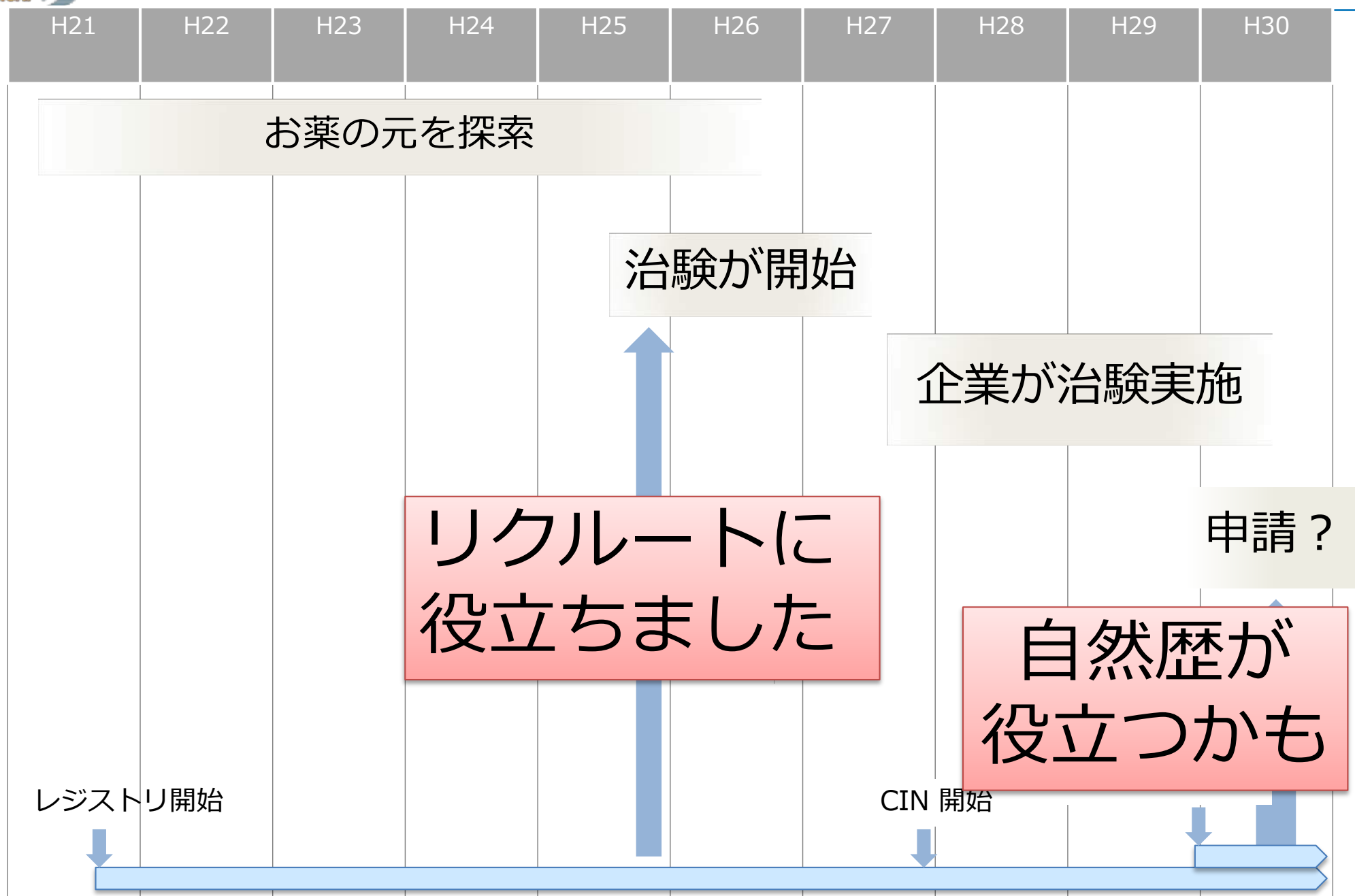
患者さんに、新しい治療の情報や、 最近のリハビリのことなど伝えたいんだけど

そうだ！
REMUDYをお願いしてみよう

最近、新しいガイドラインができた
こんなリハビリが必要だ
患者さんに知らせたい！



ある病気でのレジストリ活用した臨床開発



- 研究が進みます
- お薬の開発が進みやすくなります
- 患者さんへの情報提供が可能になります
- 患者さん、研究者、医療従事者、企業などの橋渡しができます

など、いろいろ

- 筋ジストロフィー協会、神経センター、筋ジス研究班のこれまでのとりくみが、クリニカルイノベーションのさきがけです

まとめ

- 希少疾患、難病のお薬の開発はとても難しいです
- そのために、レジストリはとても重要な仕組みです
- クリニカルイノベーションネットワークは、レジストリをお薬の開発に活用する取り組みです
- レジストリは、研究者、企業、行政だけではできません
- 患者さん・ご家族も、ぜひその一員として一緒に進みましょう

みんなで“レジストリを作る” “レジストリ”は大切な財産



ご静聴ありがとうございました
