

RWDの活用に向けた取組

2025年6月28日 第38回抗悪性腫瘍薬開発フォーラム

厚生労働省医政局研究開発政策課
治験推進室長 飯村 康夫

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

CIN（臨床・イノベーション・ネットワーク）構想の取組の全体像



1. レジストリ構築・活用

- ① レジストリ構築
- ② 企業によるレジストリ活用推進に向けた検討
- ③ ワンストップサービス拠点
- ④ レジストリと企業ニーズとのマッチング・レジストリ改修

【これまでの取組】

- ・NC・基盤研で**18レジストリ**を構築
- ・AMEDにおいて**4レジストリ**（がん、ALS、筋ジストロフィー、医療機器（脳神経外科領域））の**構築を支援**
- ・企業ニーズとのマッチングを実施し、**11レジストリの改修支援**
- ・CIN推進の仕組みの検討や**横断的課題（同意取得等）の解決**（武田班）
- ・**全国のレジストリを調査し、一覧化**（国土班）

2. 治験ネットワーク構築・国際展開

- ① レジストリを活用した臨床研究・治験の実施
- ② 人材育成
- ③ 国際共同治験の推進
- ④ 再生医療の臨床試験の推進

【これまでの取組】

- ・**34研究班**でレジストリを活用した臨床研究等を実施
（医薬品：29件、医療機器：5件）

3. レギュラトリーサイエンス

- ① レジストリを活用した市販後調査、治験対象群としての活用等に関する**ガイドライン策定**
- ② アジア地域における薬事協力の推進

【これまでの取組】

- ・**8ガイドライン等**を策定
製造販売後調査に活用するためのガイドライン整備
（基本的な考え方・留意点）
承認申請等に活用するためのガイドライン整備
（基本的な考え方・留意点）
等

クリニカル・イノベーション・ネットワーク中央支援事業

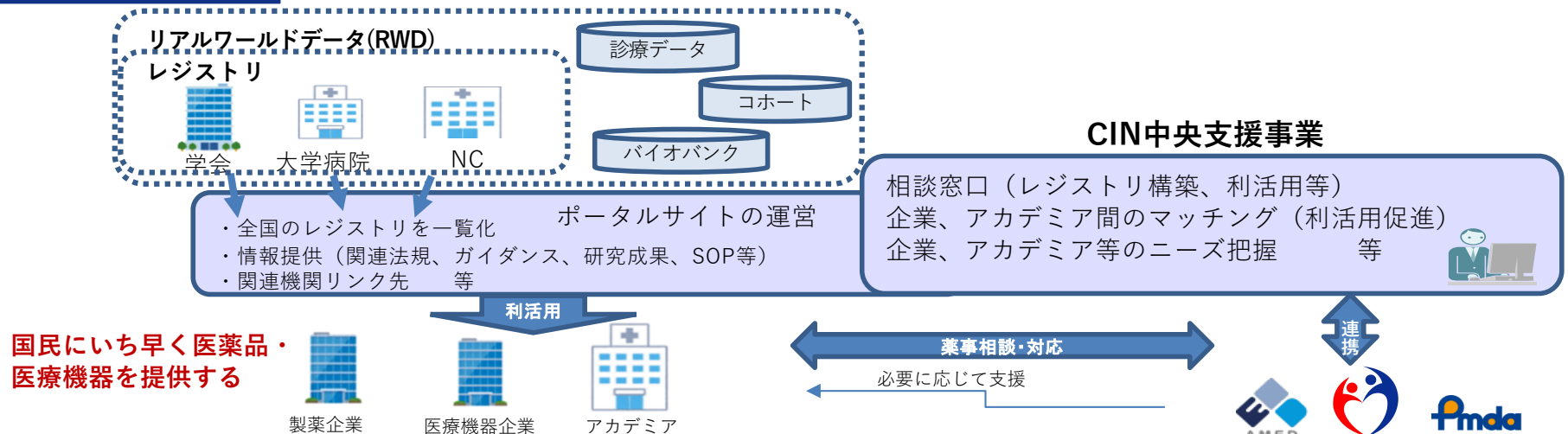
医政局研究開発政策課（内線2542）

令和7年度当初予算額 25百万円（32百万円）※（）内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- ＜背景＞
- 医薬品等の開発コストを抑える観点から、レジストリを活用した臨床開発手法が注目されている。
 - 業界やアカデミアなどから、医薬品等の研究開発や承認申請等におけるレジストリやリアルワールドデータの利活用推進に対して強い要望が寄せられている。
 - これらを踏まえ、2015年よりクリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）構想において、疾患登録システムを活用した革新的な医薬品等の開発環境を整備してきた。
- ＜課題＞
- ワンストップサービス拠点における、ポータルサイトのレジストリ情報や各種資料等の継続的な更新が必要。
 - 業界・学会・アカデミアなどから、レジストリ構築、運営等に関する相談機関がほしいとの要望。
 - これら中央支援業務を一元的に管理する拠点を設置し、レジストリの利活用を推進する必要がある。

2 事業の概要・スキーム



3 実施主体等

- ◆ 実施主体：一般競争入札（総合評価落札方式）により選定
- ◆ 事業実績：レジストリフォーラム開催 1回、レジストリ相談件数 企業5件(重複あり)・学会3件・アカデミア1件（令和5年度）

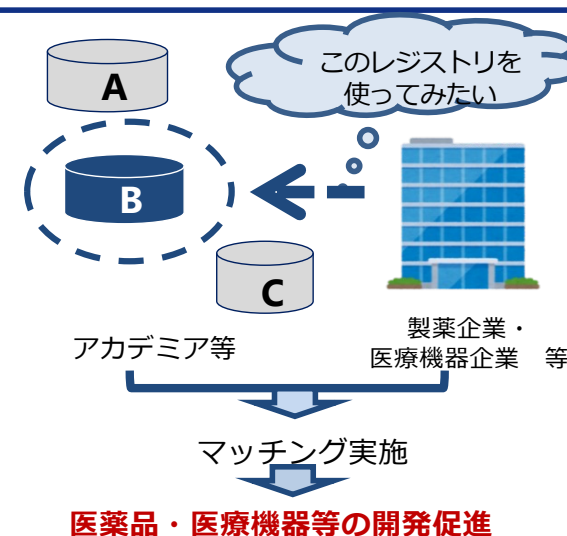
令和7年度当初予算額 54百万円（59百万円）※（）内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- ＜背景＞ ○ 我が国では、患者数が少なく治験が難しい小児領域や希少疾病領域等での医薬品や医療機器の開発は必ずしも円滑に進んでいるといえない。
一方で、希少疾病・難病及び小児分野等を対象としたレジストリは存在するが、それらのデータが企業側の開発に結びついていない。
○ これらを踏まえ、2015年よりクリニカル・イノベーション・ネットワーク（C I N）構想において、疾患登録システムを活用した革新的な医薬品等の開発環境を整備してきた。
- ＜課題＞ ○ 依然として業界やアカデミアなどから、医薬品等の研究開発や承認申請等におけるレジストリやリアルワールドデータの利活用推進に対して強い要望が寄せられている。
※製薬協 政策提言2021（2021年2月 日本製薬工業協会）
○ 企業が研究開発に活用できるレジストリが少ないため、環境を整備し、レジストリの利活用を促進する必要がある。

2 事業の概要・スキーム

- （1）レジストリ保有者と企業とのマッチングを実施し、希少疾病・難病及び小児分野等の医薬品・医療機器開発におけるレジストリの利活用をさらに促進、加速させる。
- （2）企業ニーズに応じたレジストリの改修・新規構築費用を補助する。
（国：企業拠出＝1：1）



3 実施主体等

- （1）実施主体：一般競争入札（総合評価落札方式）により選定 ◆事業実績：マッチング数2件（令和5年度）
（2）実施主体：公募により選定 ◆補助率：1／2 ◆事業実績：レジストリ改修数3件（令和5年度）

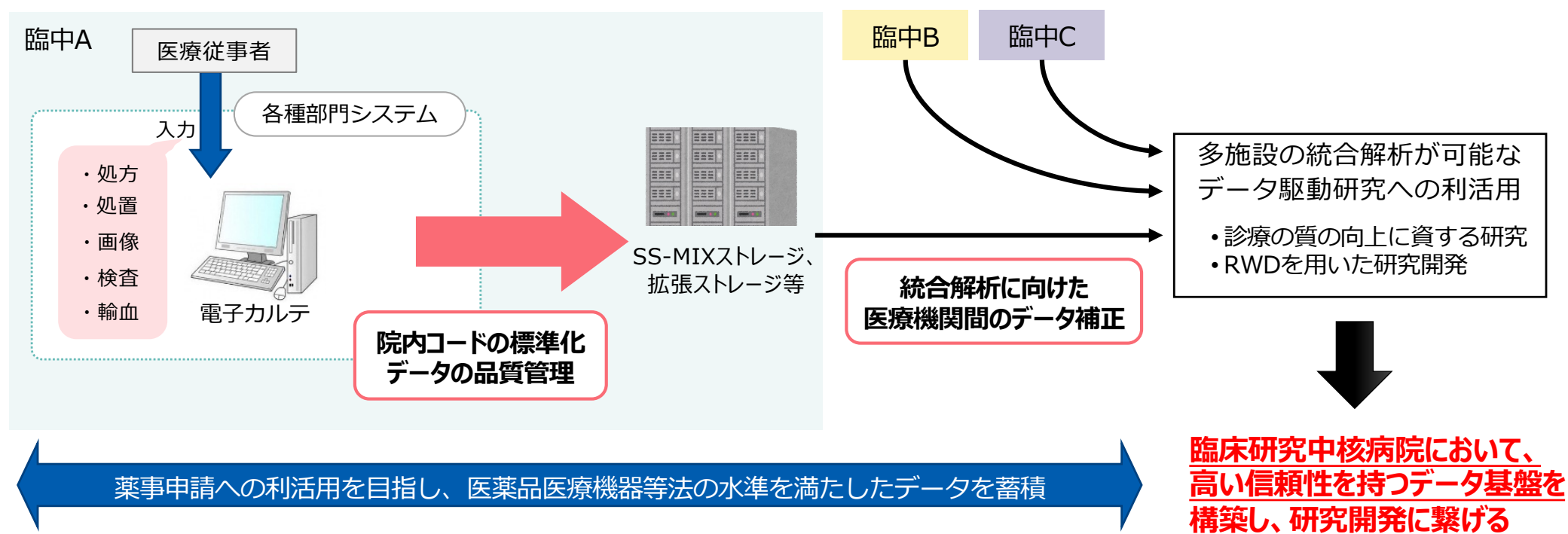
CIN推進支援事業（補助）におけるレジストリ改修支援実績

採択年度	事業代表者	事業課題名
令和2年	日本造血細胞移植データセンター	造血細胞移植・細胞治療レジストリを基盤とした、BCMA標的CAR-T細胞治療データ収集システムおよび製造販売後者シェアリングデータセット構造の構築
	国立大学法人東海国立大学機構	産学協同活用基盤を実現する筋萎縮性側索硬化症レジストリの改修及びレジストリデータを用いた臨床解析研究
令和3年	日本造血細胞移植データセンター	造血細胞移植・細胞治療レジストリを基盤とした、同種造血細胞移植後の移植片対宿主病（graft-versus-host disease, GVHD）レジストリの構築事業
	大阪国際がんセンター	成人T細胞白血病リンパ腫（ATL）のレジストリの質を高める為の基盤研究
	国立精神・神経医療研究センター	脊髄小脳変性症のヒストリカルデータの収集及び製造販売後調査での活用
	学校法人慶應義塾	壊死性膵炎を予測する医療機器の開発
	日本免疫不全・自己炎症学会	製造販売後の有効性評価及び安全性監視に資する、原発性免疫不全症患者レジストリの改修
令和4年	日本造血細胞移植データセンター	造血細胞移植・細胞治療レジストリを基盤とした、同種造血細胞移植後の移植片対宿主病（graft-versus-host disease, GVHD）レジストリ産学協同研究プラットフォームの開発
	大阪国際がんセンター	成人T細胞白血病リンパ腫（ATL）のレジストリの質を高める為の基盤研究
	国立がん研究センター	根治的外科治療可能な結腸・直腸癌を対象に、薬事承認に利活用可能なレジストリを構築・改修するための事業
令和5年	大阪国際がんセンター	HTLV-1感染者のレジストリの質を高める為の基盤研究
	国立がん研究センター	臨床試験データベースを用いた承認申請に資するリアルワールドエビデンス作成の実施可能性の検討
	日本血栓止血学会	日本血液凝固異常症レジストリの構築
令和6年	日本造血細胞移植データセンター	造血細胞移植・細胞治療レジストリを基盤とした、CAR-Tレジストリデータベースの適応性と汎用性向上を目指したアップグレード
	国立がん研究センター	承認申請に資するリアルワールドエビデンス創出のためのがん種横断的レジストリの基盤構築

医療技術実用化総合促進事業 先進的臨床研究実施推進プログラム（RWE創出のための取組：臨中ネット）

事業概要

- 臨床研究中核病院において、リアルワールドデータ（RWD）の研究への利活用を目的に、高い水準でのデータ品質管理を自律的に管理する体制整備を行う。同時に、データ駆動型研究の試行的取り組みを行い、体制整備側と研究者側で相互に課題共有を行うことで、研究利活用のための実効的な仕組みの整備を行う。
- 医療法において研究開発の主導的役割を担うものとされている臨床研究中核病院において、病院長の組織ガバナンスのもと研究者、臨床研究支援部門（ARO）、医療情報部門それぞれの連携を行い、データ駆動型の研究開発基盤を整備する。



臨中ネット(仮)

現在のRWD利活用の課題

- 電子カルテデータを施設内以外で利用することを想定されてこなかったため、医療機関のシステムが出力規格（例：SS-MIX2）に対応していないことがある。
- 標準コードの整備と適切な紐づけが十分とはいえない。
- 複数施設のRWDを統合解析するための明確な品質管理の手法がない。
- RWDを利用するためのルールや手順の整備が不十分である。
- RWDを整備したり、利用を推進するための人材育成方法が確立されておらず、人材不足である。

このままでは多施設のデータを統合解析することは不可能

これらの課題を解決しつつ、最終的に基盤技術に依存せず、概念として確立し、普及させていく必要がある

How to Collect

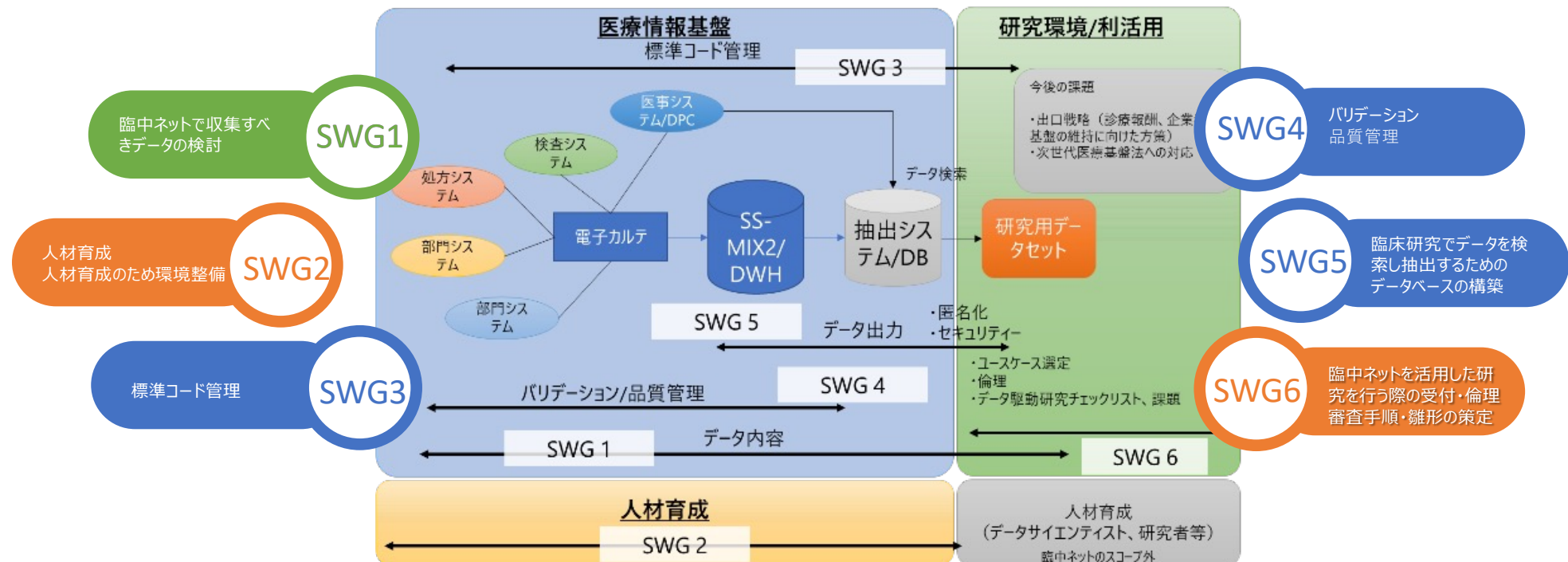
- RWDを収集できる**基盤整備**
- 収集したRWDの**品質管理**
- RWDを共通利用するための**標準化**

How to Use

- RWDを利用した**ユースケースの実施**

How to Manage

- RWDを利用するための**ルール整備**
- RWDの利用を進める**人材確保・育成**



「治験・臨床試験の推進に関する今後の方向性について 2025年版とりまとめ」概要

第43回 臨床研究部会

令和7年6月12日

参考資料 1

とりまとめの背景

2019年に行った治験活性化のとりまとめから5年が経過し、臨床研究を取り巻く環境が変化したこと、政府の創薬力向上に関する取組が掲げられたことを踏まえ、新たな治験活性化策を厚生科学審議会臨床研究部会において策定する。

各項目の対応等

I 国際競争力のある治験・臨床試験体制の強化

- ・国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成
- ・ドラッグ・ロスへの対応
- ・国際共同治験のためのワンストップ相談窓口の設置
- ・ヒト初回投与試験の体制整備
- ・臨床研究中核病院以外の施設の治験・臨床試験レベルの向上

II 症例集積力の向上

- ・レジストリ・リアルワールドデータの利活用の促進
- ・クリニカル・イノベーション・ネットワーク構想の進展
- ・分散型治験を実施可能な体制の整備と効率の良い適用・運用方法の模索
- ・臨床研究中核病院・NC・JIHS・NHO等間での連携強化
- ・治験・臨床試験DXの推進

III 治験・臨床試験手続きの効率化

- ・AI関連技術を用いた症例分析など利活用の促進
- ・一括審査を進めるためのSingle IRB化の推進
- ・ICH-E6 GCPの改定を踏まえた治験手続き等の運用の見直し
- ・電子カルテ情報を含む治験・臨床試験に必要なデータの標準化
- ・説明文書・同意文書・契約書等の書類の標準化

IV 治験コストの透明化の向上

- ・Fair Market Valueに基づく費用算定の導入推進
- ・モデル事業等を通じたタスクベース型の費用算定方法の検討

V 研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ

- ・臨床研究総合促進事業等を通じた人材育成
- ・研究従事者や研究支援人材のキャリアパス構築、インセンティブ付与に向けた検討

VI 治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進

- ・患者・市民参画のガイドラインや広報資料の作成等による啓発・推進
- ・jRCTをユーザーフレンドリーなデータベースにするための大規模改修
- ・スマートフォンでアクセスしやすくする等、患者が扱いやすい情報提供の普及
- ・治験・臨床試験の実施に関する情報公開

VII その他

- ・2019年のとりまとめ後の社会情勢を踏まえた方策
- ・生成AI等の新たな技術や手法による、医療環境や海外での治験・臨床試験の変化への備え
- ・認定臨床研究審査委員会及び治験審査委員会の質の確保
- ・特定臨床研究における保険外併用療養費制度の周知
- ・治験・臨床試験以外の臨床研究等について本取りまとめを踏まえた種々の取組

臨床研究中核病院の今後のあり方

- 臨床研究中核病院の役割・機能を踏まえた承認要件の見直し
各拠点の特徴をより評価できるようなポイント制の導入、評価期間の延長、承認の取消基準等の明確化等による承認要件の見直しを検討する。
- 国際拠点型臨床研究中核病院(仮称)の新設
国際共同治験・臨床試験実施の主導及び海外からの依頼に対応できる優れた拠点として「国際拠点型臨床研究中核病院」(仮称)の新設を検討する。
- 特定領域に係る臨床研究中核病院の見直し
これまでの承認実績がないことやNC等の役割を踏まえ、政策医療領域のネットワークの強化とあわせて、廃止を含めた制度の見直しを検討する。

Ⅱ. 症例集積力の向上

治験・臨床試験を成功させるための重要な要素の一つとして研究参加者の確保が挙げられる。研究参加者の確保を迅速に進め、各研究機関における症例集積力を向上させるために取り組むべき事項がいくつか指摘されている。

○レジストリ・リアルワールドデータ(RWD)の利活用の促進

レジストリ・RWDについては、民間企業から提供されるデータセットや匿名医療保険等関連情報データベース(National Database; NDB)等の公的データベース、学会等主導のレジストリやデータベースも存在し、2019年版とりまとめの時より活用が進んでいる。

一方で、国レベルのRWDの使いづらさへの指摘があった。また、データを蓄積する後ろ向きのRWDについては仕組みができつつあるが、**将来的には前向き、動的にデータを取得する仕組みとして、電子カルテ情報を、治験・臨床試験データ収集システムに円滑に登録するための生成AI等の活用も期待される。**その際には、国際標準化の意識も重要である。

電子カルテのデータを精度の高いRWDとして治験・臨床試験に活用するために、電子カルテ情報の標準化を図ることとあわせて、大規模なデータベース、例えばPMDAのMID-NET(厚生労働省の医療情報データベース基盤整備事業で構築された医療情報データベース)や臨中ネット(Real World Evidence創出のための臨床研究中核病院の情報ネットワーク)の取組を進めることが重要である。

また、遺伝子治療薬や分子標的薬等の治験・臨床試験の実施においては、ゲノム情報を含んだデータベースの活用が有用であり、ゲノム情報の収集とデータベース構築を図る。

更に、既に学会や民間主導で整備されているレジストリやデータベースがあることから、患者・アカデミア・医療機関が一体となるネットワークを構築し、RWDの活用の課題の検証や、活用事例の集積等を行うなど、引き続きその利活用の促進を図る。

○クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)構想の進展

CIN構想については、レジストリを活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究の体制構築を推進し、我が国の医薬品・医療機器等の開発を促進するものであり、これまで、レジストリの改修・構築の支援や、レジストリを活用した治験・臨床試験の推進のための取組、ガイドラインの作成等を行っている。

しかしながら、**それらの成果が周知されておらず、まずは現状の把握から改めて行うべき**という指摘がある。

この指摘も踏まえ、**現状と課題について改めて整理を行い、CIN構想や関連した取組の周知を行うとともに、質の高いレジストリの構築・改修及びレジストリを活用した治験・臨床試験に対する支援を継続的に行う。**