



レギュラトリーサイエンス

TMC(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 中村 治雅 部長

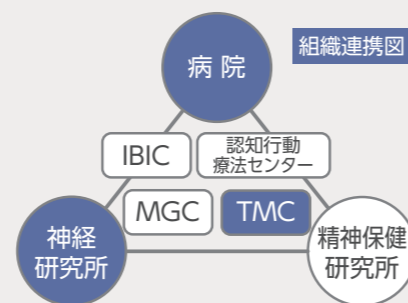
リアルワールドデータを活用して、医薬品開発を進める

TMC (トランスレーショナルメディカルセンター) は、病院と神経研究所・精神保健研究所などの研究部門との橋渡しの役割を担っています。基礎的研究で得られた成果を患者さんに還元することや、日々の臨床体験から得られた疑問を臨床研究として展開するための支援を行います。



TMC (臨床研究支援部、情報管理・解析部)

病院 (小児神経科、脳神経内科) 神経研究所 (疾病研究第一部)



※2021年10月1日の組織変更により、TMC「臨床研究支援部」「情報管理・解析部」は病院に編成されます

リアルワールドデータの活用を含めた研究支援

リアルワールドデータ (REAL WORLD DATA: RWD) とは、普段の医療現場で発生している診療情報や最近ではモバイルデバイス (時計型のウェアラブル端末など) で集められる健康情報などを含めたリアルな臨床データです。厳格な治験などの“実験的要素”の少ない状況で集められたものといえます。最近では、電子カルテの情報や、レセプト (診療報酬明細書)、レジストリ (患者さんたちの医療情報を集めたデータベース) などを使って、医薬品開発を効率的に進めようとする活動が盛んです。TMCは、Academic research organization (ARO) とよばれる研究機関や医療機関にある医薬品開発等を含めた臨床研究を支援する組織として、研究支援プロフェッショナル (プロジェクトマネジメント、臨床研究デザイン、生物統計、データマネージメント、薬事、生命・研究倫理、CRCなど) が在籍し、治験のように厳格なルールで行われるものから、RWDを使った開発手法の確立、研究まで、幅広く研究支援を行っています。

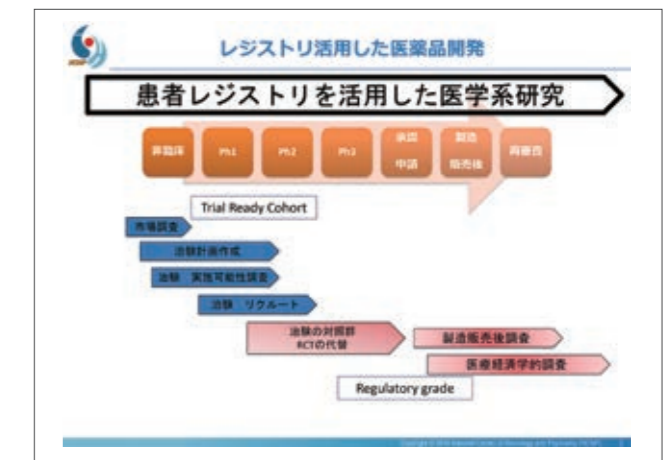
レジストリ (RWD) 活用で、難病患者さんに新たな治療を

難病・希少疾患の患者さんへ治療薬を届けることは、NCNPの大切なミッションです。2020年には、NCNPが企業と共同開発したデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬であるビルトラルセンが承認されました。この薬の国内初めての治験は、NCNP研究者自身が行う医師主導治験として実施されました。また、この薬の開発が行われているまさにその時期、国が主導するレジストリを活用した医薬品開発の効率化を進めるクリニカルイノベーションネットワーク (CIN) という活動が始まりました。CINの開発手法をいち早く取り入れ、NCNPが構築するRemudy (筋ジストロフィーレジストリ) によって治験が非常に早く進みました。また、承認された後の有効性や安全性を確認するためのレジストリであるRemudy-DMDを立ち上げ運用されています。

医師主導治験、RemudyおよびRemudy-DMDの実施を、TMCは深く支援しており、難病・希少疾患における医薬品開発のひとつのモデルを提案しています。



Remudy (筋ジストロフィーレジストリ) のホームページ画像より



レジストリを活用した医薬品開発の流れ

【リファレンス】

- プレスリリース2020年3月27日「デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 (NS-065/NCNP-01、ビルトラルセン) の製造販売承認について」 <https://www.ncnp.go.jp/topics/2020/20200327.html>
- Nakamura H, et. al. Characteristics of Japanese Duchenne and Becker muscular dystrophy patients in a novel Japanese national registry of muscular dystrophy (Remudy). *Orphanet J Rare Dis.* (2013) 8, 60
- 中村治雅、水澤英洋. 治療開発のバックアップシステム 患者レジストリシステム Remudyの経験. *医学のあゆみ.* (2020) 273, 123-127



右/TMC小牧宏文 センター長 左/TMC情報管理・解析部 小居秀紀 部長