



2018年11月18日 16:00-16:25

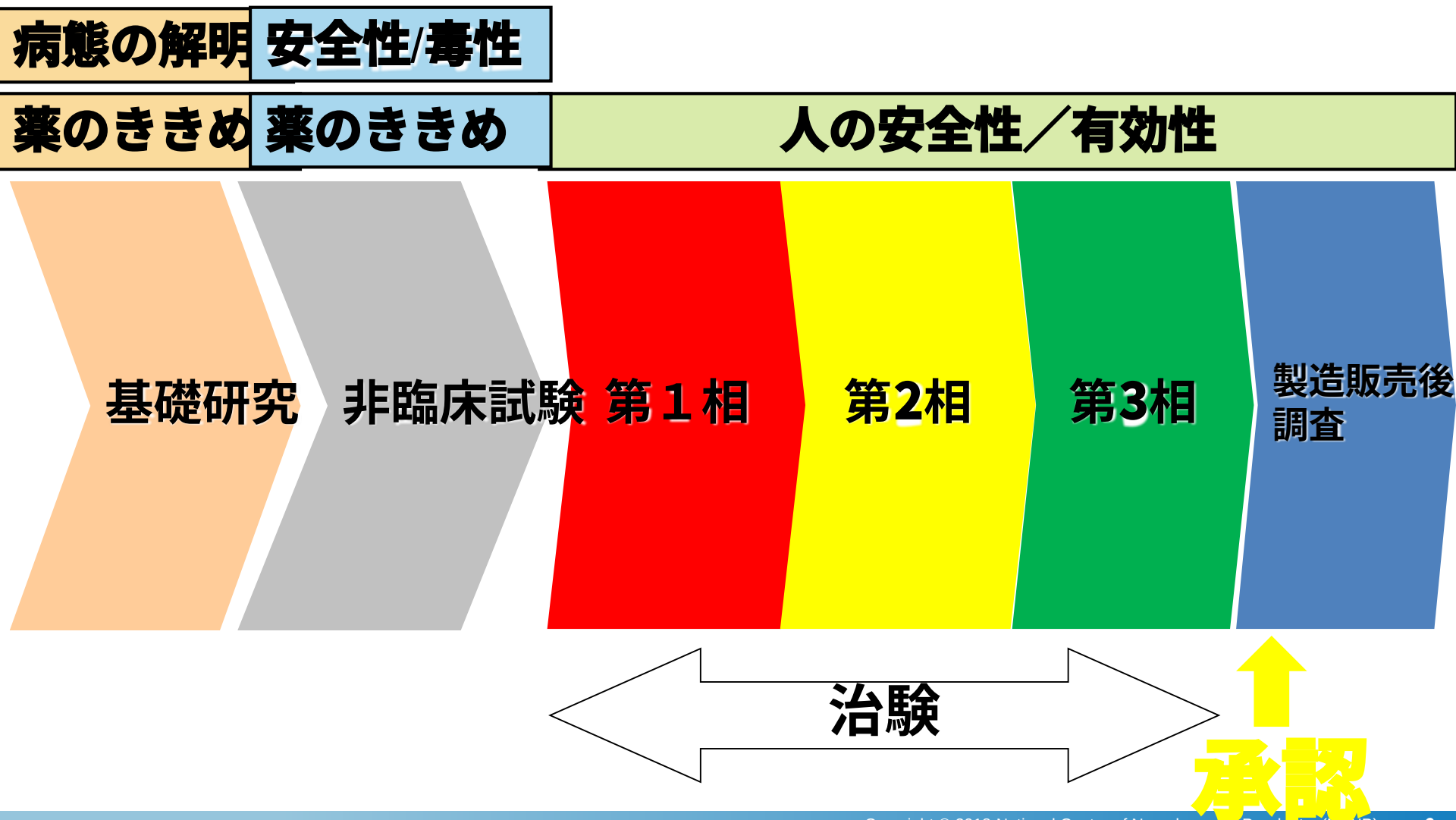
岡山コンベンションセンター

筋ジストロフィー関連職種セミナー「筋ジストロフィーを知ろう」
～筋ジストロフィーに関わるすべての職種の方のために～

新規治療開発の現状と 患者登録の必要性

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

NCNP

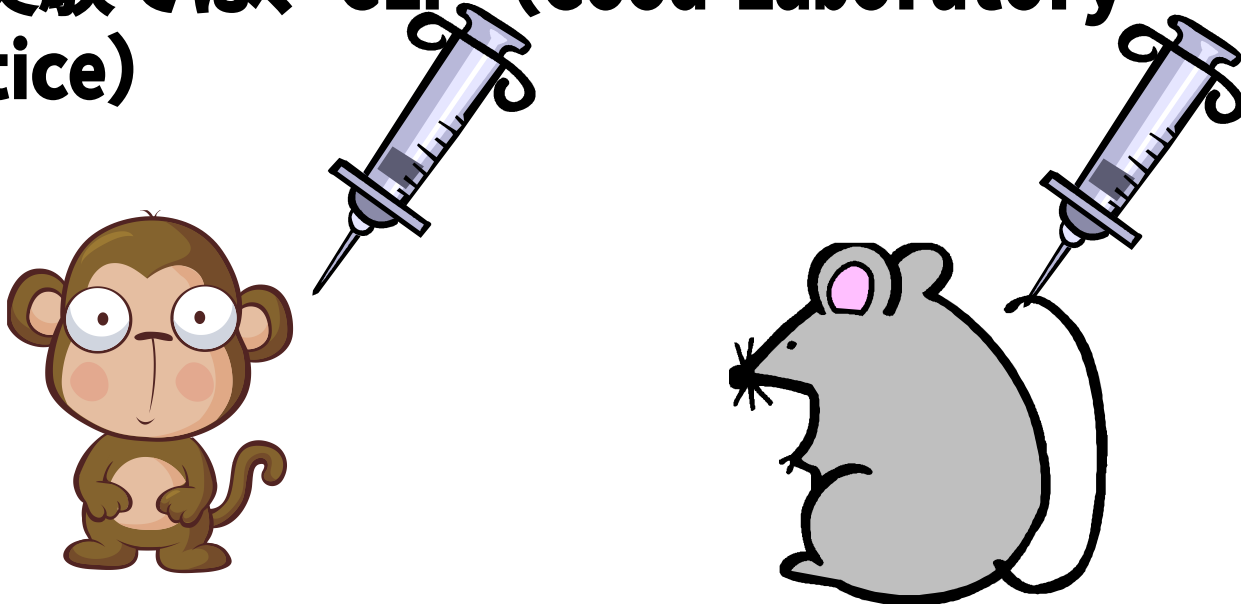


- 薬になりそうなものを、探し出す
- 試験管で薬になるかどうか実験

「エバーメクチン」を作り出す微生物がいたのは、伊東市川奈のゴルフ場で採取した土の中



- 非臨床とは、ヒト（臨床）で無いつまり動物での実験
- 動物で有効性と安全性を確認
- ヒトへの投与量の推測
- 動物実験では、GLP（Good Laboratory Practice）

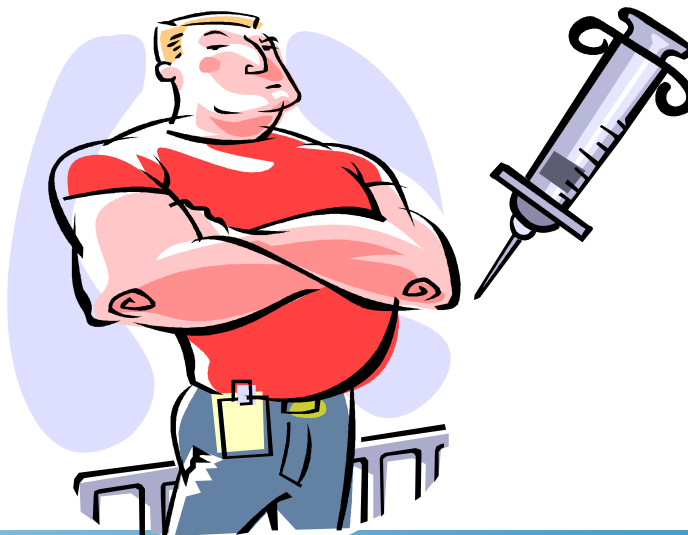


- 医薬品等*の製造販売承認を受けるために提出すべき資料のうち 「臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的とする試験」（薬機法2条16項）

* 医薬品、医薬部外品、化粧品、医療機器
及び再生医療等製品

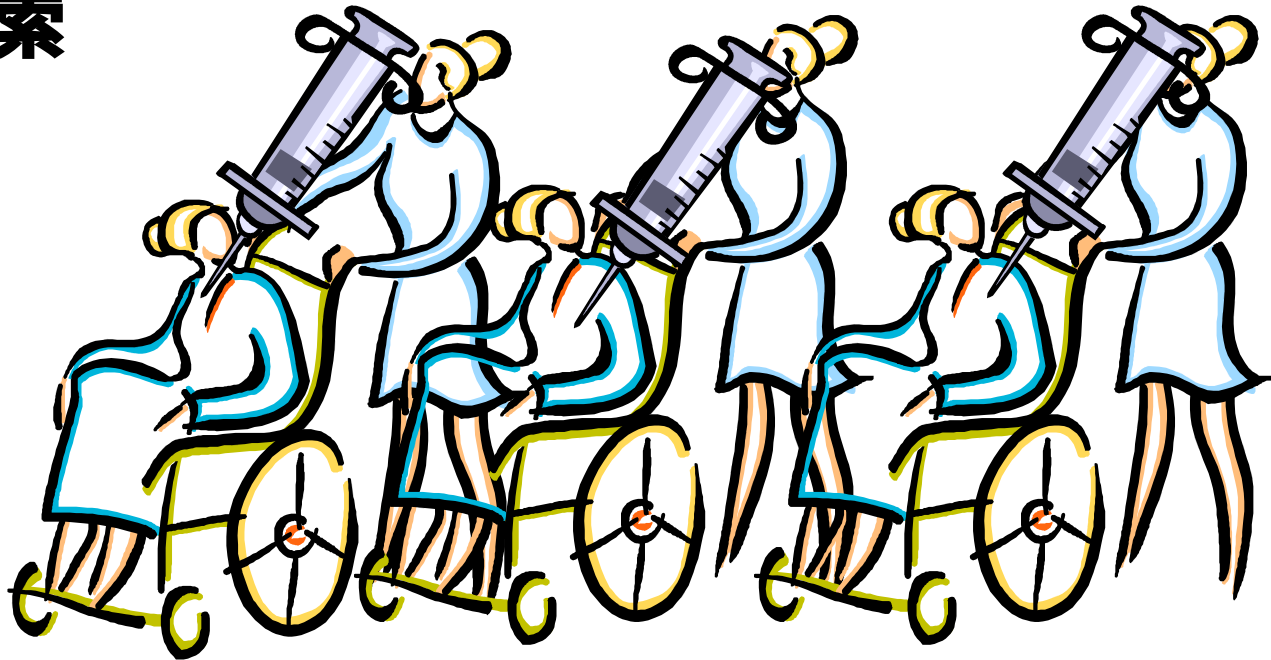
第1相試験

- 基礎研究、非臨床試験をクリアー
- 主に、健康男性
- ヒトへの初めての安全性
- ヒトでの体内の薬の動き（薬物動態）



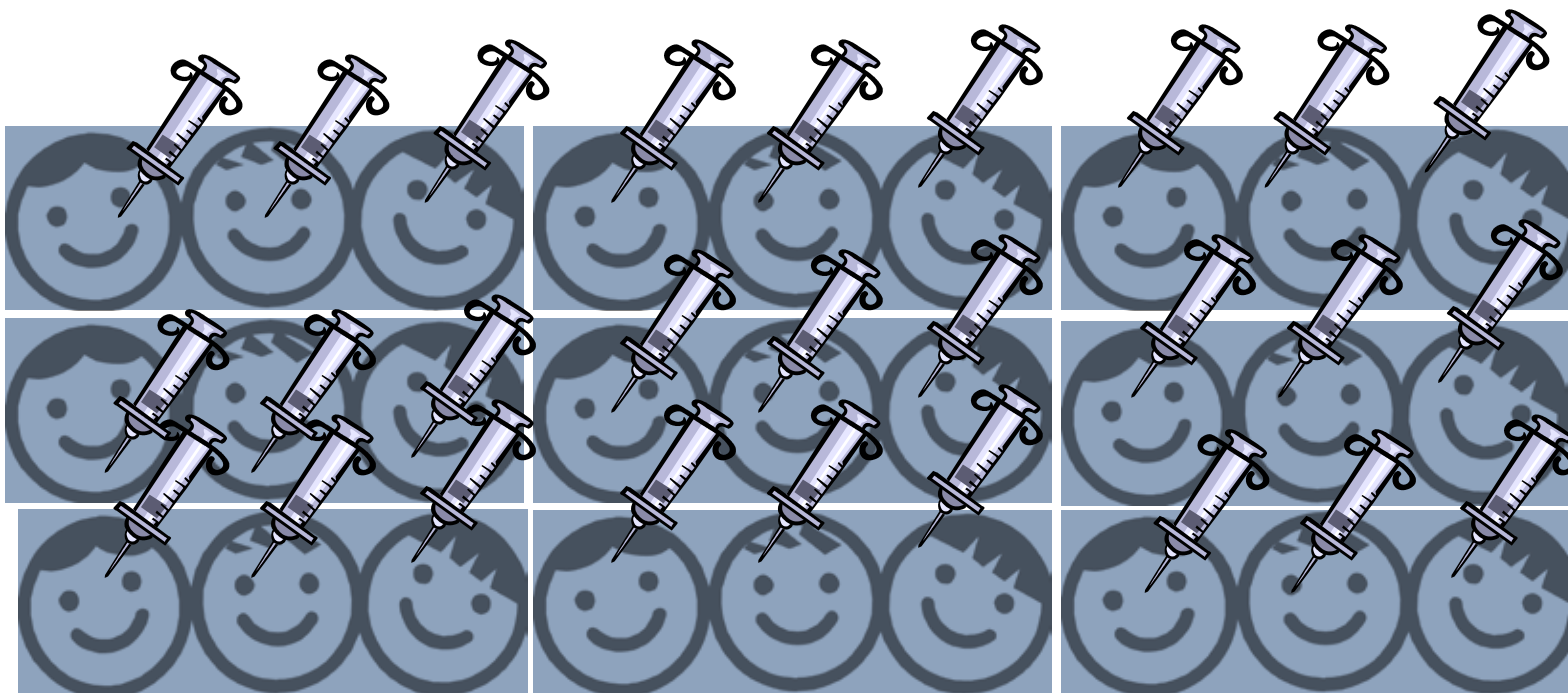
第2相試験

- | 少数の患者さんを対象
- | 患者さんへの有効性、安全性、用量を探索



第3相試験

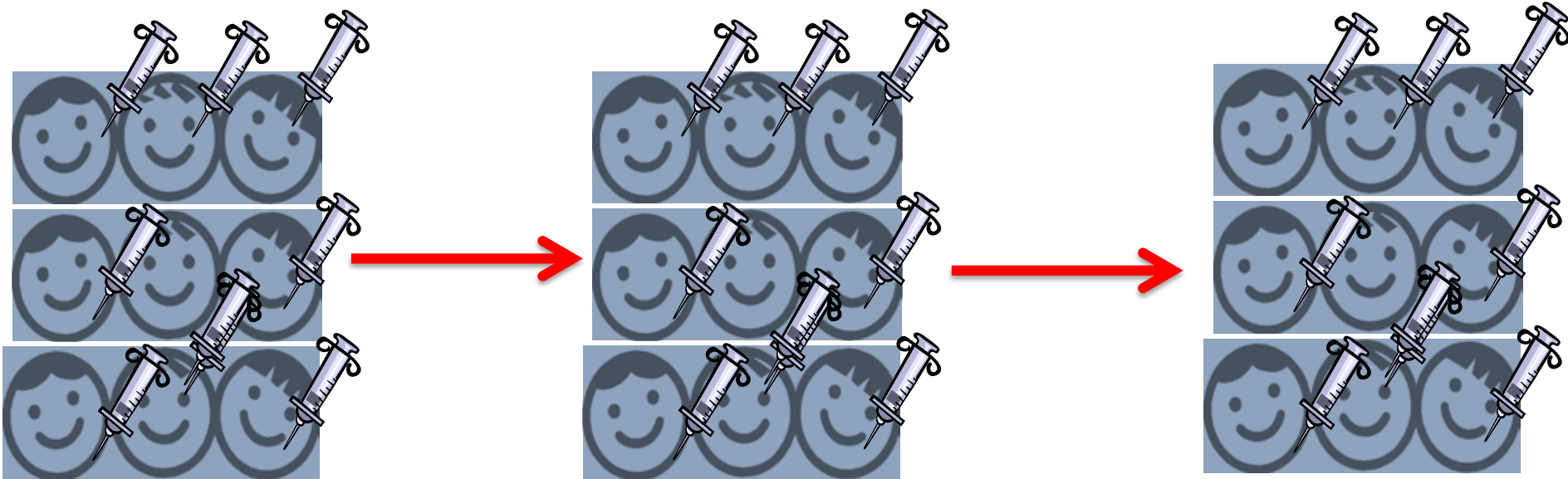
- | 治験の最終ステップ
- | 多数の患者さんを対象
- | 有効性の確認
- | 安全性の確立



長期投与試験

- ｜ 長く使うお薬の安全性をみる
- ｜ 多数の患者さんを対象
- ｜ 最低1年間以上安全性の確立

1年間以上の長い間、繰り返しの投与



- 国は、**薬機法***に基づき、品質、有効性及び安全性の確保された医薬品・医療機器等を安全に国民に提供することができるよう、必要な規制を設けている。

・ *医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律
(昭和三十五年八月十日法律第百四十五号)

- 「承認」とは、医薬品・医療機器等を製造販売しようとする際に、厚生労働大臣が、その品目ごとに、品質、有効性及び安全性を確認して与えるものであり、承認を受けていないものは製造販売できない。

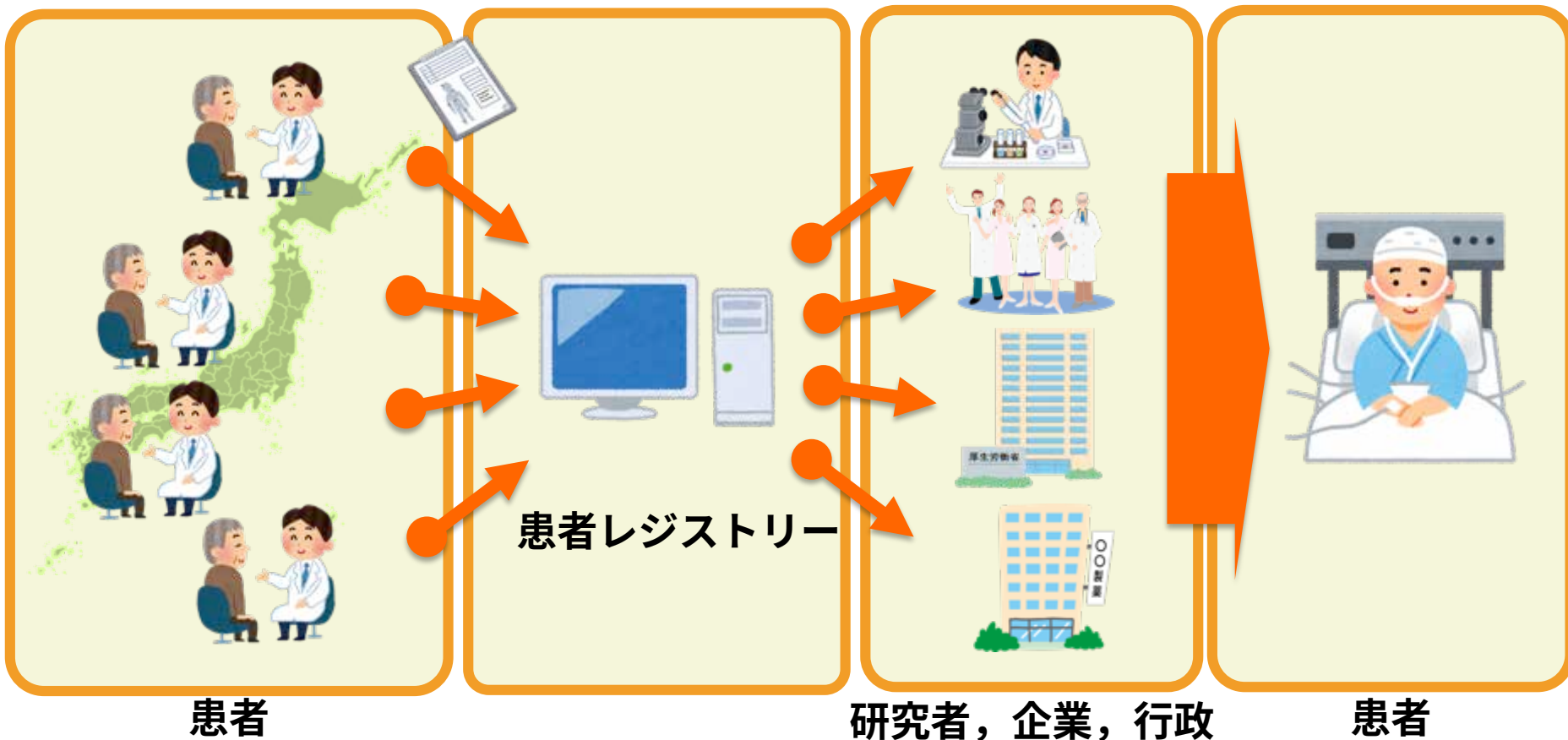
- **開発に着手するとき**
 - 患者数、売り上げ予想
 - 開発の可能性
- **治験を計画するとき**
 - 患者さんの数
 - 疾患の診断基準
 - 自然歴
 - 有効性指標
 - 副次的な評価指標
 - バイオマーカー
 - 統計学的検討
- **治験を実施するとき**
 - 患者組み入れの可能性
 - 研究者グループ
 - 施設基準
- **製造販売されたとき**
 - 調査、臨床試験
 - 患者追跡
 - 評価指標
 - 比較対照

- 難病の定義
 - 発病の機構が明らかでなく
 - 病気の正体が分かっていない！
 - 治療方法が確立していない
 - 希少な疾病であって
 - 患者さんが少ない！
 - 専門家も少ない！ 医療機関も少ない！
 - 患者さんの状態が良く調べられていない！
 - 長期の療養を必要とするもの
 - 病気によっては長期間の経過をたどる！

- 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」



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

〇〇です

〇〇です

〇〇です

〇〇です

患者さんの
状態を教えて
ください

患者さんに、調べてもら
えませんか？

こんな結果でした

神経・筋疾患患者登録

Remudy

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、
**人いらっっしゃいますよ

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と！

参加しよう！

Aという薬の治験するんですが
患者さんに伝えてもらえますか？

Aというお薬の
治験が始まりますよ

参加しよう！

神経・筋疾患患者登録
Remudy

〇〇製薬

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，治験ができないんだけど．．．

そうだ！
REMUDYにお願いしてみよう

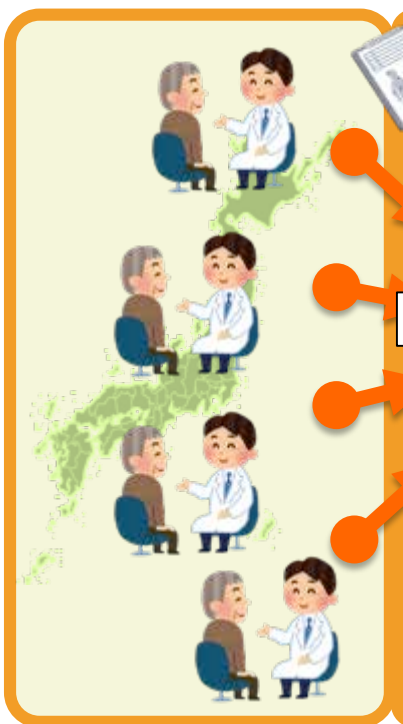
もしお薬飲んでなかったら，患者さんはどのくらい歩けるんだろう

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？

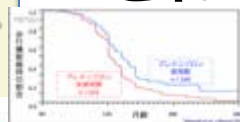
何m歩けます
何m歩けます
何m歩けます
何m歩けます

飲んでいない患者さんたちは
これくらい歩けますよ。

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



神経・筋疾患患者登録



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というお薬飲
むと調子悪いん
です

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

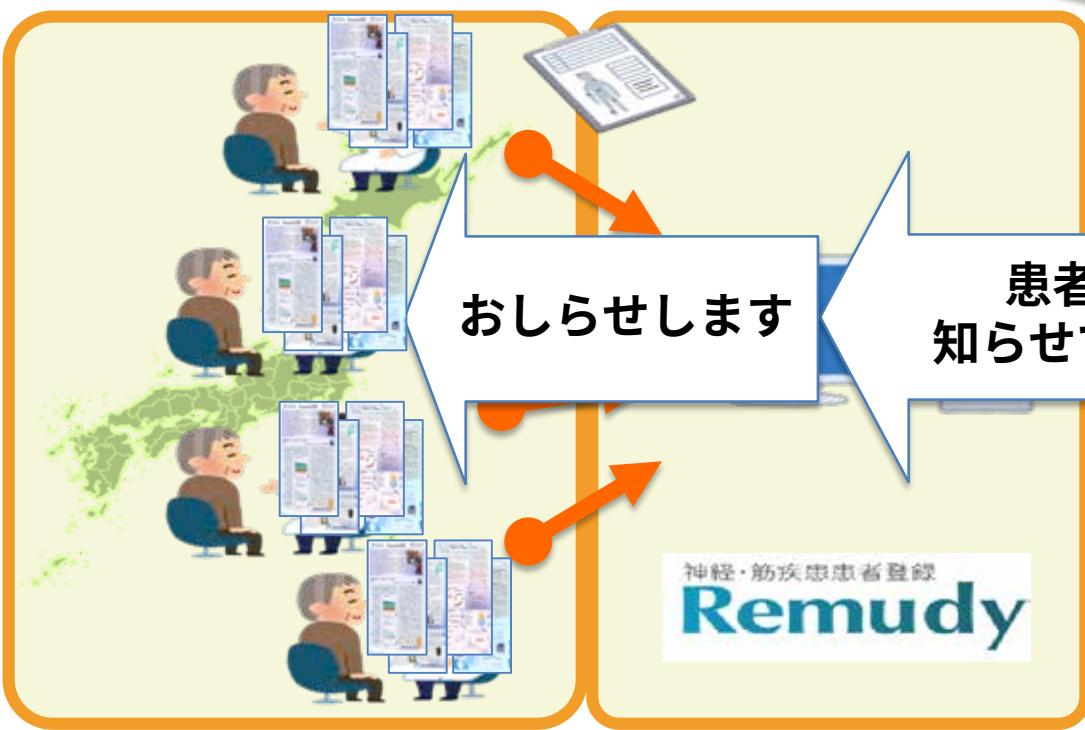
よかった、効果があるんだ！
何かおかしいことが起こってるぞ、
患者さんに注意しないと！

〇〇製薬

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にお願いしてみよう

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！



- 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



Remudy

[患者登録サイト](#)[お知らせ・医療情報](#)[製薬関連企業・研究者の
皆さま](#)[医療従事者の皆さま](#)

難治性神経・筋疾患の治療研究は
臨床試験の段階に入りました。

製薬関連企業・研究者と患者さまの間の
情報の橋渡しをいたします。



Remudy
WEB 患者情報登録システム

Remudyのウェブシステムが
いよいよ開始します

[ウェブ登録システム](#)

お知らせ・最新医療情報

このたび熊本地震で被災された皆さまに、心よりお見舞い申し上げます。

登録に関する最新情報、筋ジストロフィーに関係した治験などの最新医療情報や、Remudyに関する市民公開講座・ワークショップなどのご案内をお届けします。

お知らせ

医療情報

医療従事者・研究者

ご案内

- | | |
|-------------|---|
| 2016年05月17日 | 【ご案内】 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@宮崎(6/11) |
| 2016年05月16日 | 【ご案内】 青森県筋ジストロフィー市民公開講座in弘前市(6/11) |
| 2016年05月12日 | 【お知らせ】 現在の登録状況を更新しました (2016年4月末) |
| 2016年04月28日 | 【ご案内】 第13回筋ジストロフィー市民公開講座@東京 (7/2) |
| 2016年04月28日 | 【ご案内】 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@大阪 Part2(5/22) |