



令和元年9月15日(日) 16:15~16:40
静岡県コンベンションアーツセンター グランシップ
筋ジストロフィー関連職種セミナーin静岡「筋ジストロフィーを知ろう」

医薬品開発の現場と 患者登録の重要性

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター

TMC 臨床研究支援部長

中村治雅

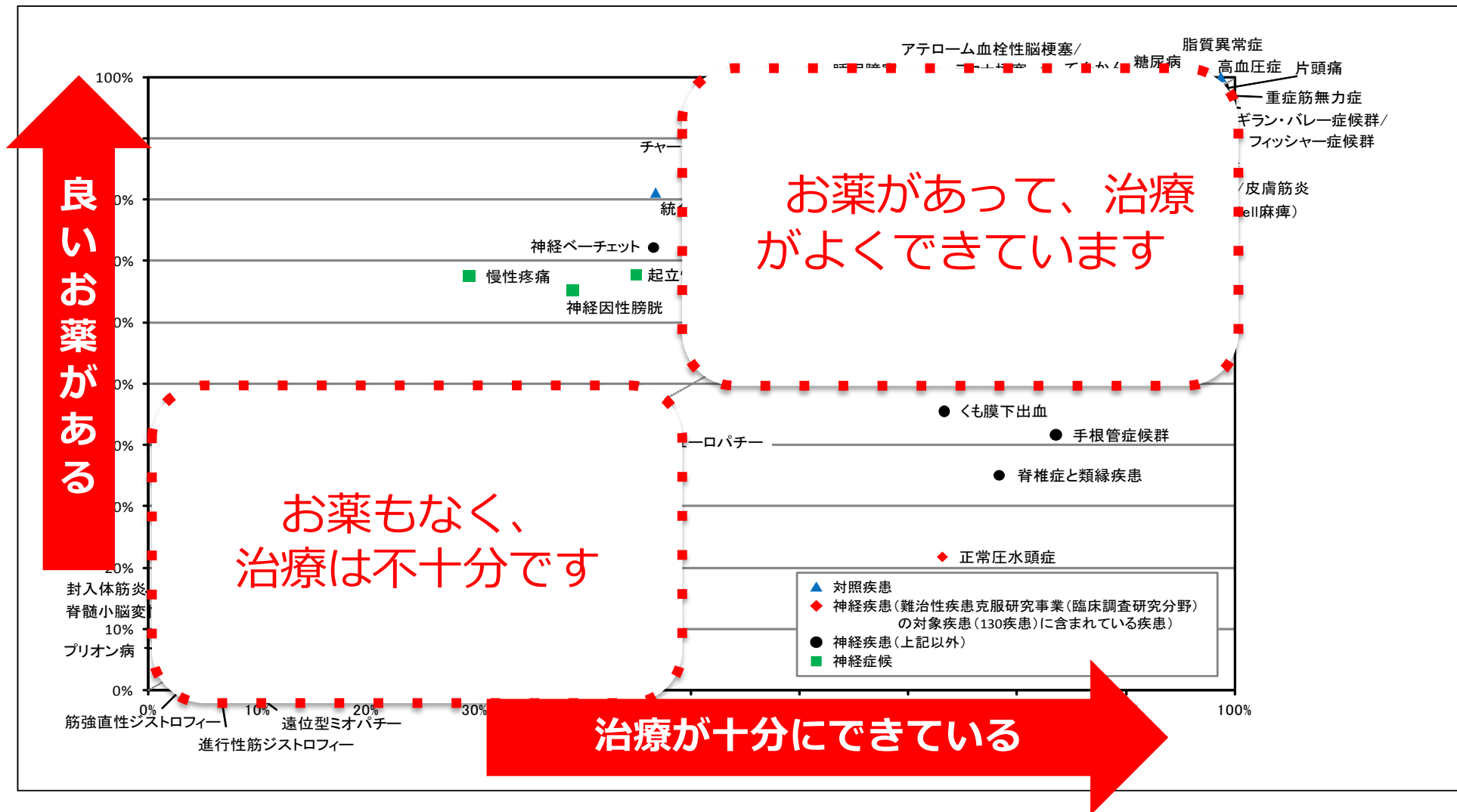
治療開発について

最近のオーファンドラッグ開発の現場

患者レジストリはどう役立つか

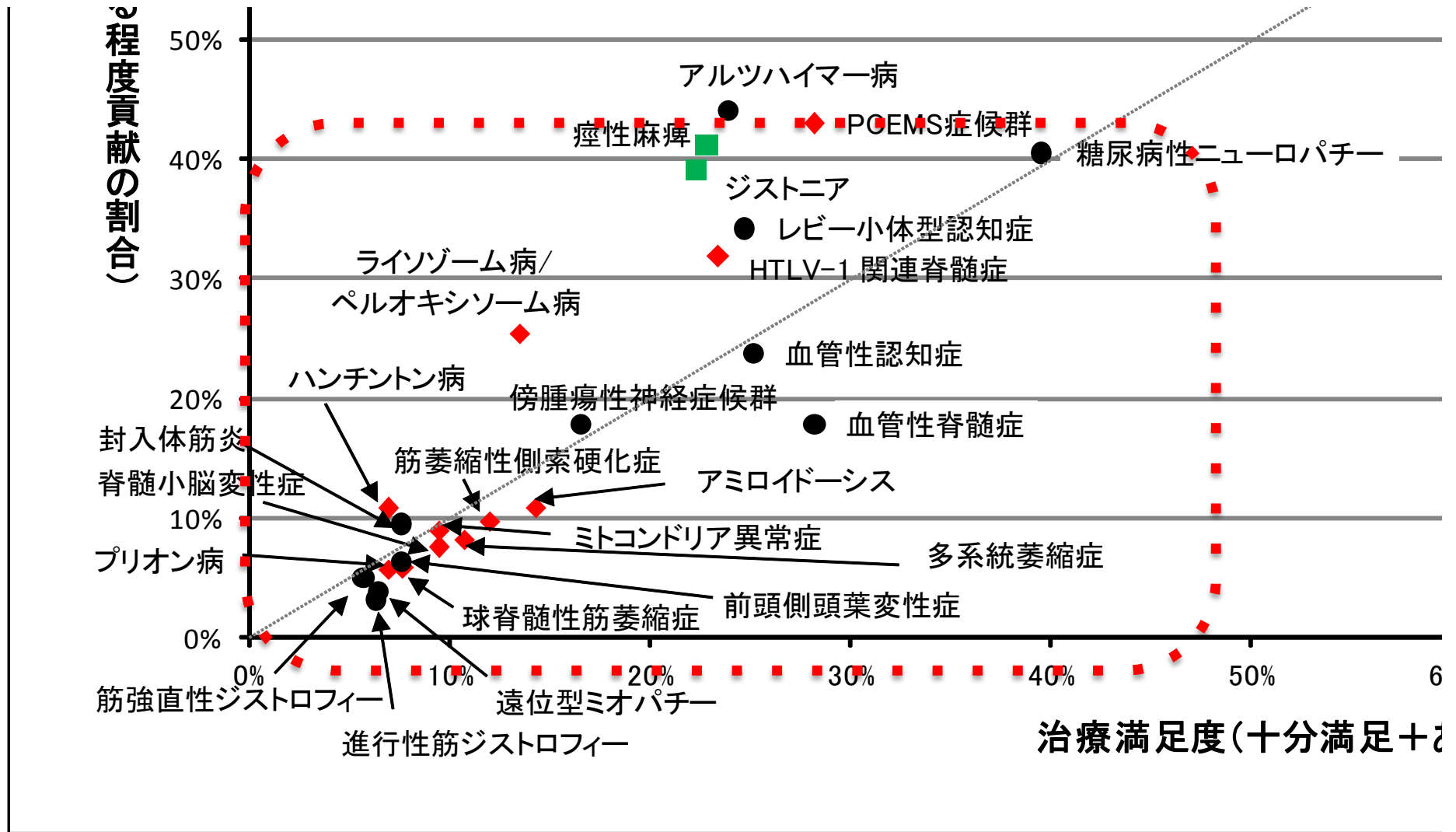
**希少疾患では、治療法開発が急務
ただ、薬の開発はとても難しい**

神経疾患に関する医療ニーズ調査



平成 25 年度(2013 年度) 国内基盤技術調査報告書「神経疾患に関する医療ニーズ調査」
公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

神経疾患に関する医療ニーズ調査



平成 25 年度(2013 年度) 国内基盤技術調査報告書「神経疾患に関する医療ニーズ調査」
公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

希少疾患・難病の 医薬品等の開発状況は？

- 患者さんも少ないし、売上も良くないだろう
- 開発しようと思っても、大変な苦労がある
- まずは、患者さんの多い病気から
-

オーファンドラッグ指定は右肩上がり

Orphan Drug Report 2017

<http://info.evaluategroup.com/rs/607-YGS-364/images/EP0D17.pdf#search=%27orphan+drug+report+2017%27>

どうしたら、薬の開発が進むのか その一つにレジストリ

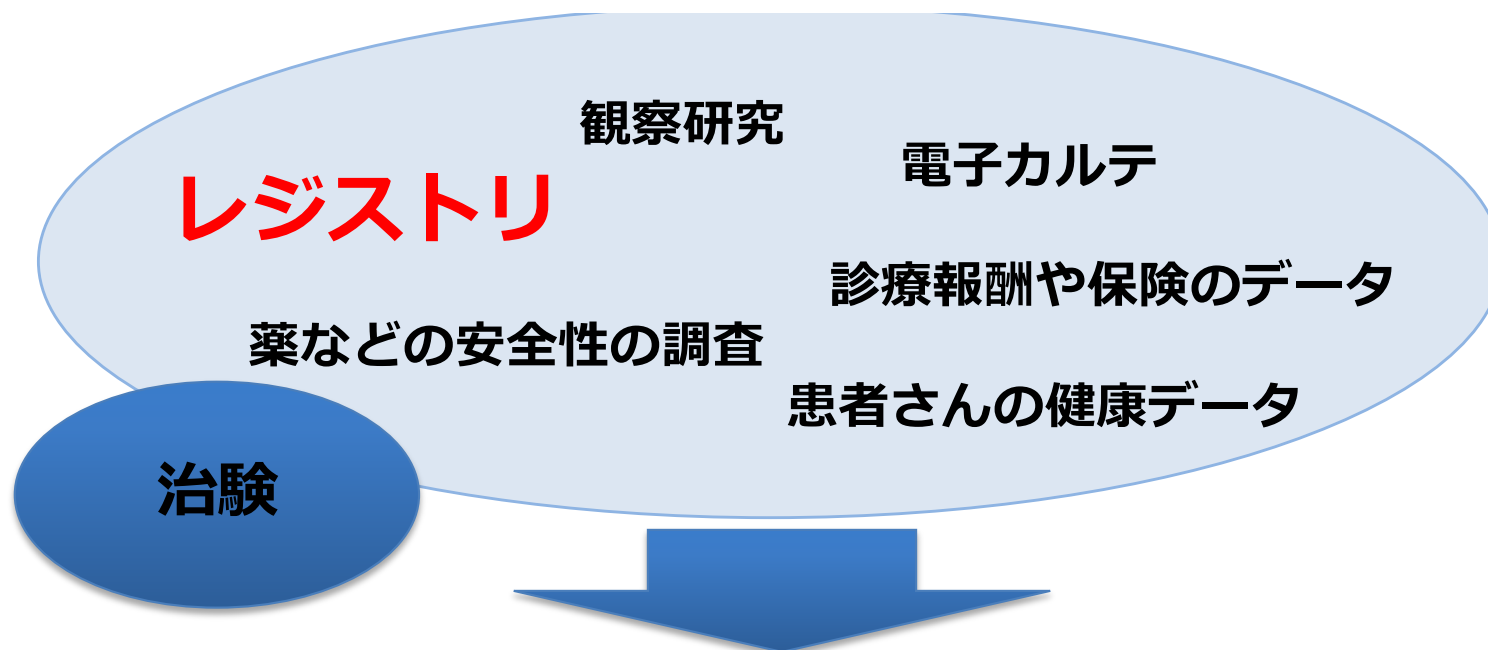
難病、希少疾患はお薬の開発が困難です

- 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！

リアルワールドデータを活用しよう

<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)



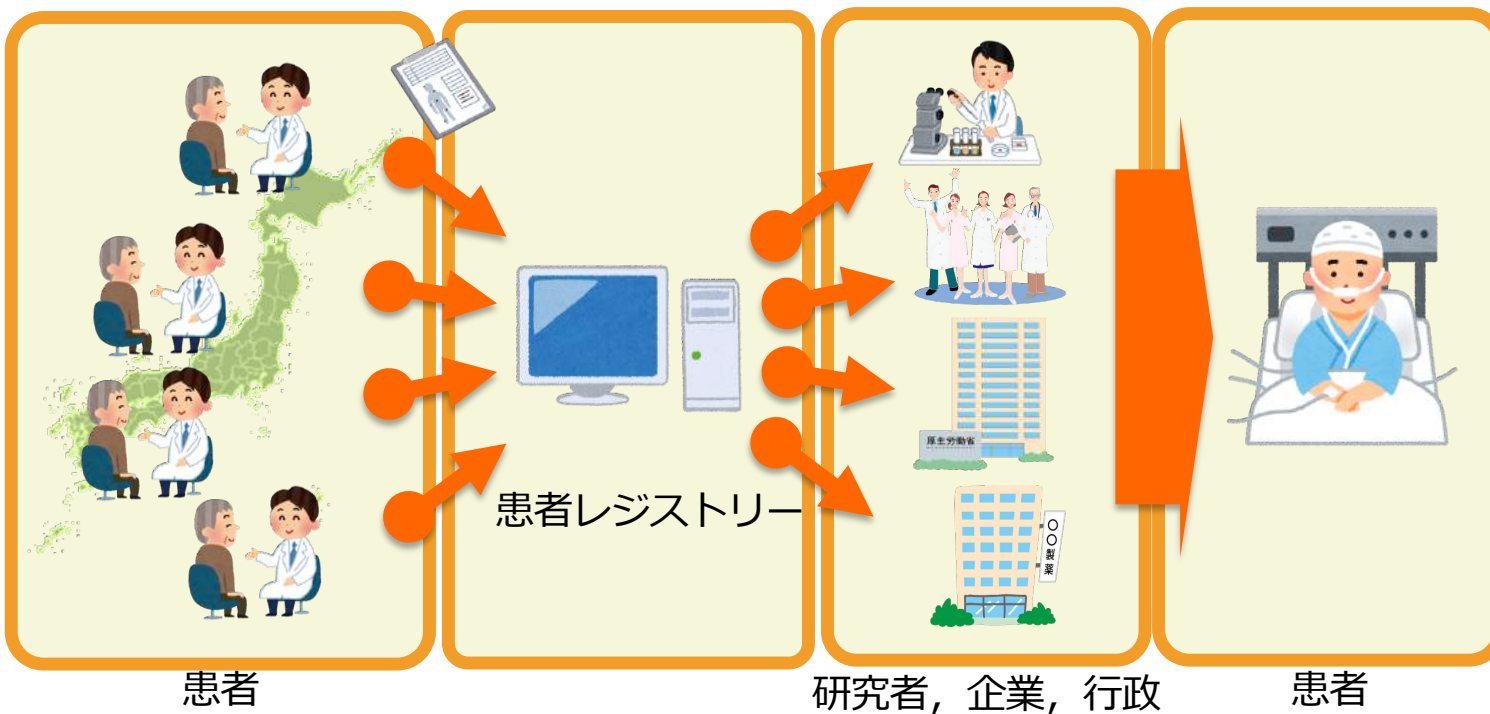
リアルワールドエビデンス (リアルワールドデータからわかること)

レジストリってなんでしょう

- 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」

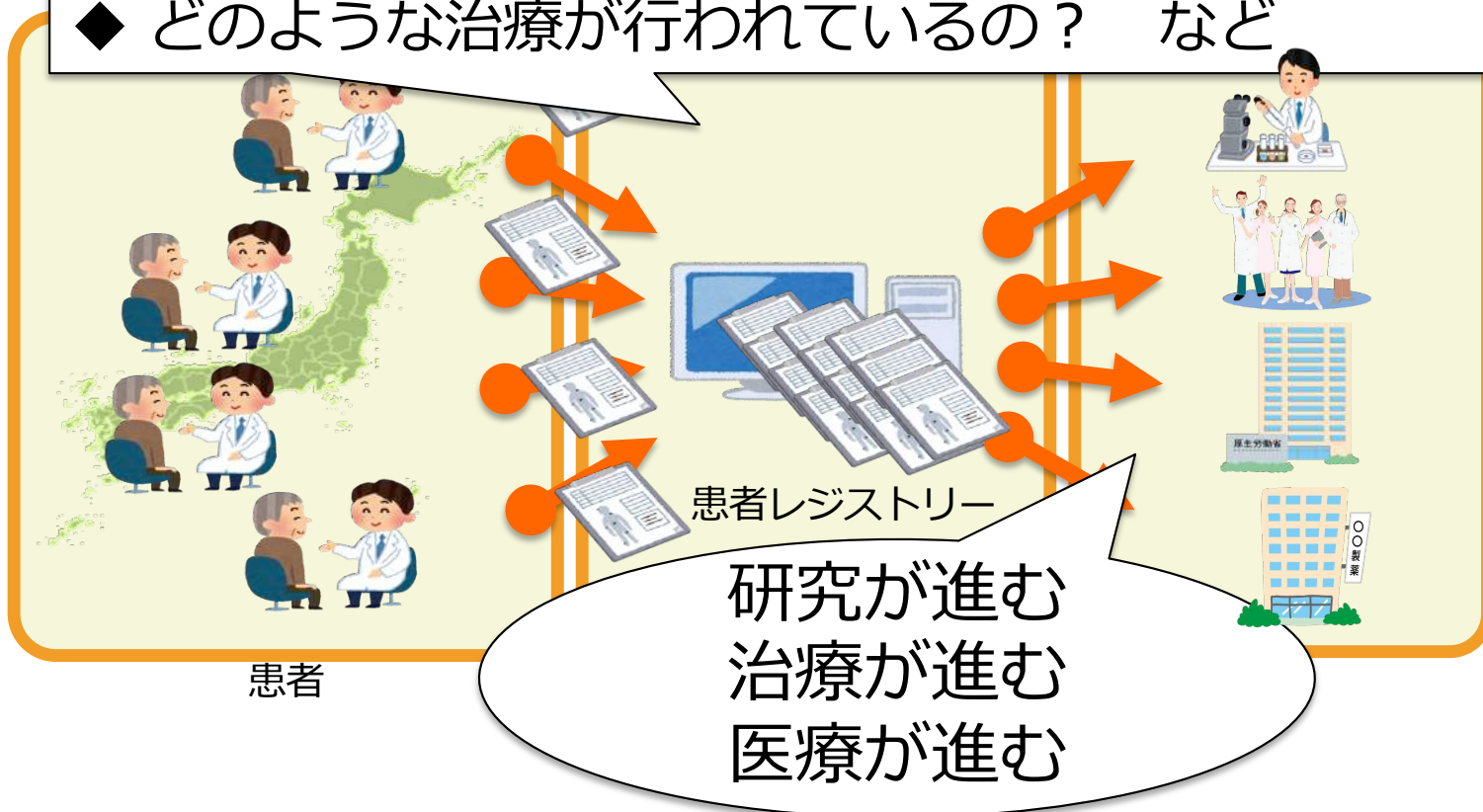


岡山大学 大学院医歯薬学総合研究科 クリニカルバイオバンクネットワーク事業化研究講座 森田瑞樹先生のご厚意による

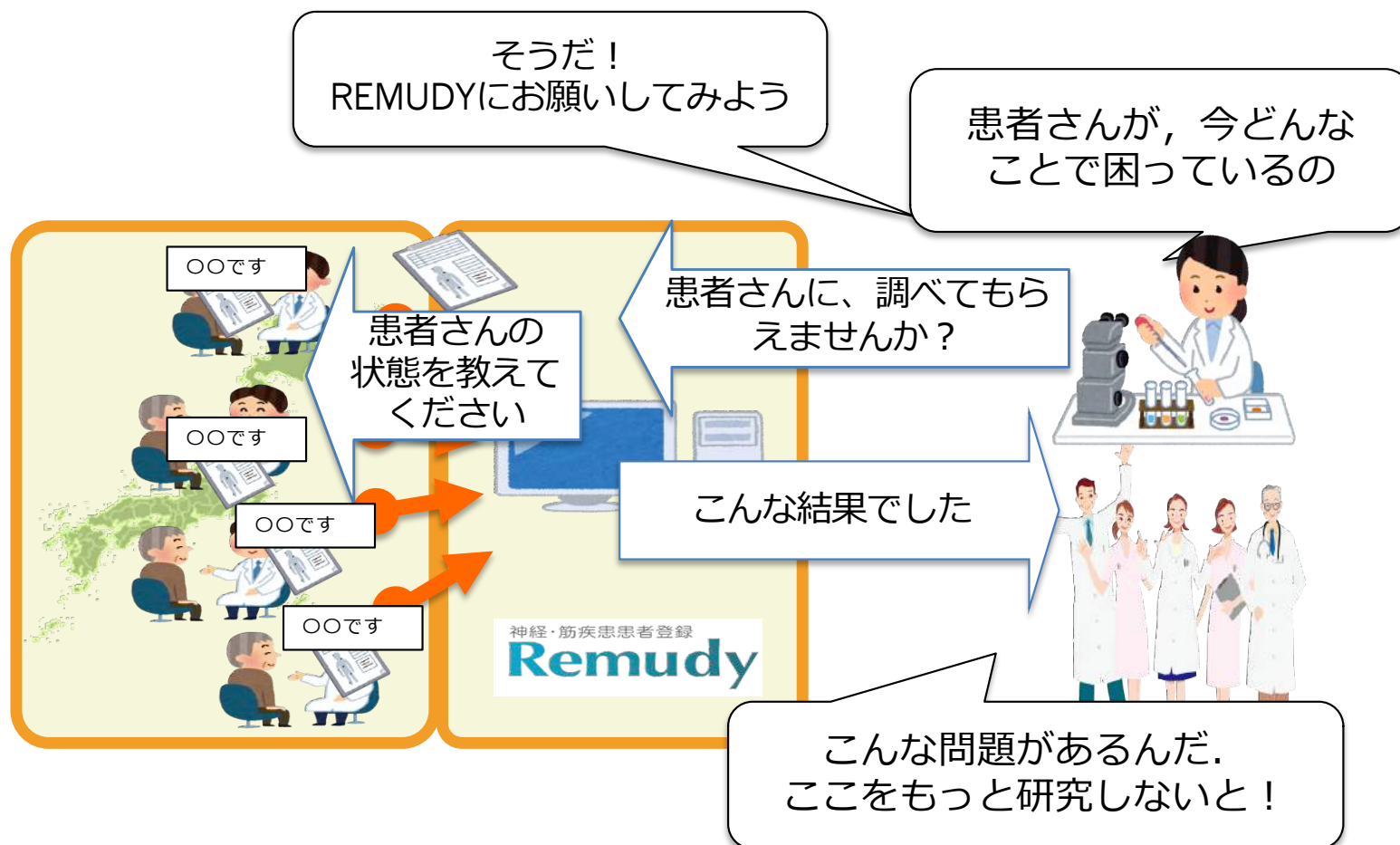
この病気ってどんな病気？

集まった情報を分析することで、

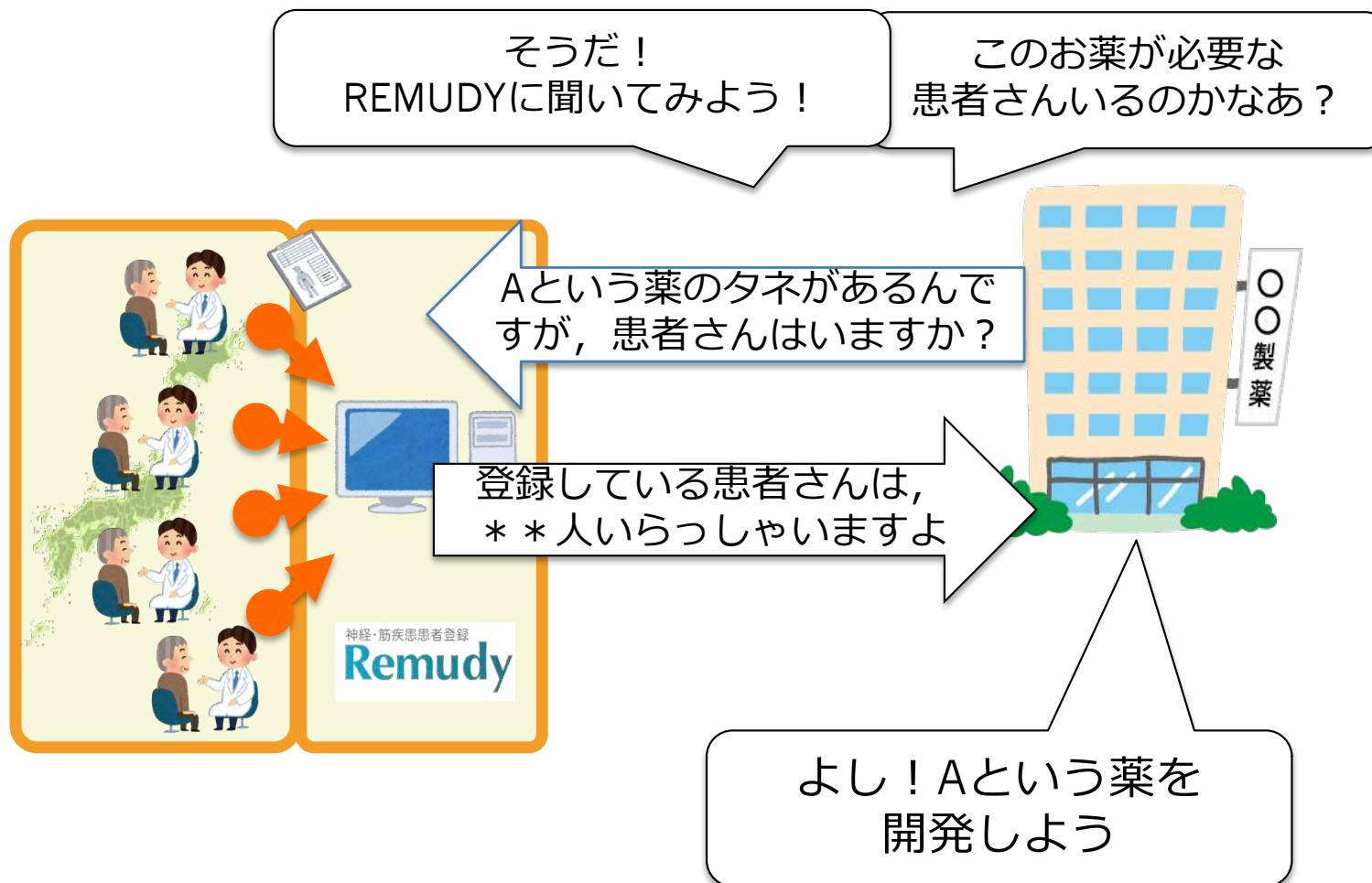
- ◆ 患者さんの数は？
- ◆ どのような症状があるの？
- ◆ どうやって進行するの？
- ◆ どのような治療が行われているの？ など



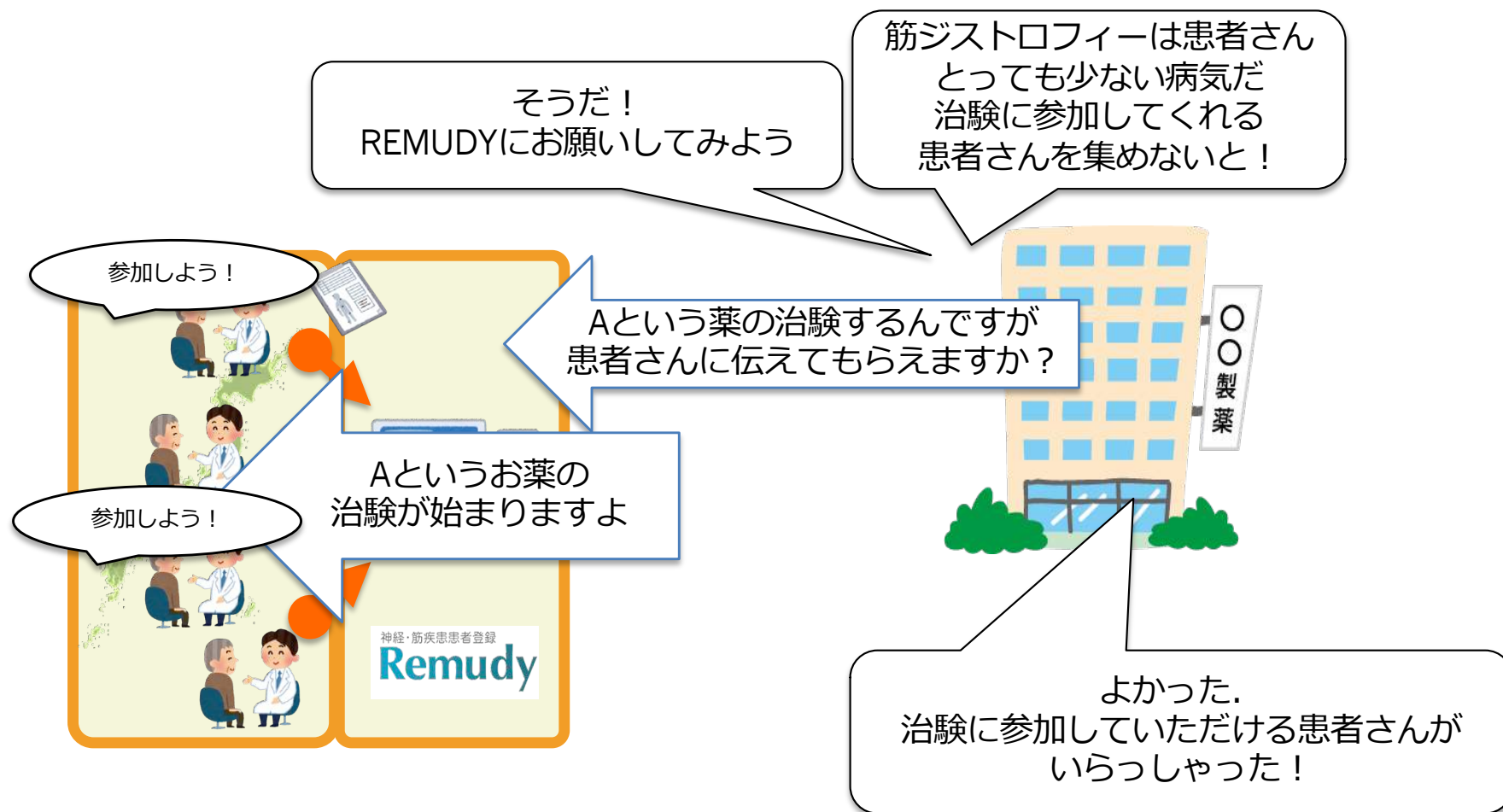
患者さんの困ってること，現状を調べたいんだけど．．．



どれくらい、この薬を必要としている人がいるのか



治験に参加してくれる患者さんいるんだろうか？



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

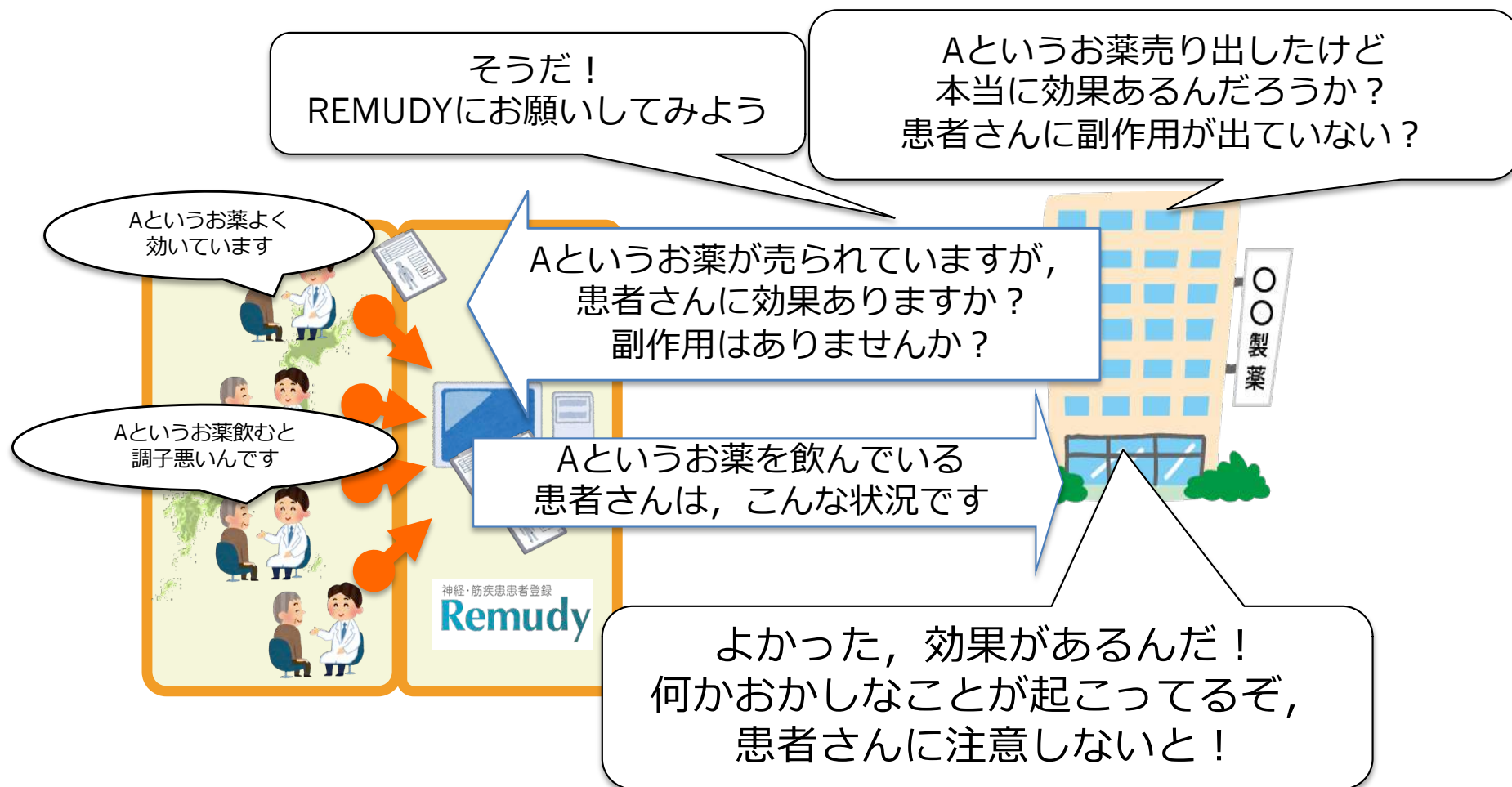
何m歩けます

何m歩けます

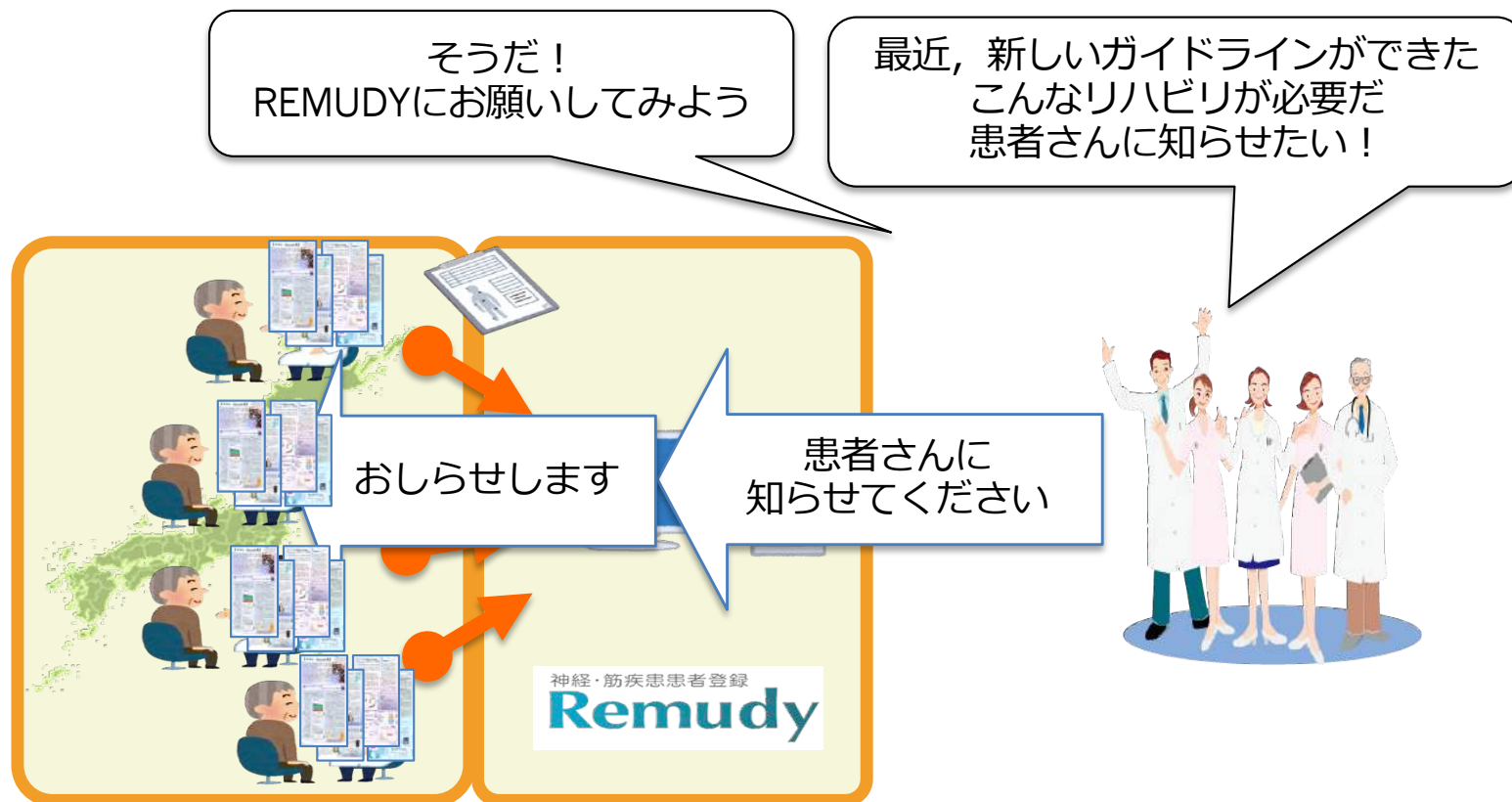
飲んでいない患者さんたちは
これくらい歩けますよ。

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

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？



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



レジストリでなにができますか

- 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

今後の課題と対応

<課題整理に当たっての基本的考え方>

○数次にわたる活性化計画の集大成である「臨床研究・治験活性化5か年計画2012」の総括に際して、今後の課題について治験・臨床研究の意義と推進方策の基本的考え方として以下の2つの観点から整理することとする。

1. 質の高い診療を患者・国民に提供するためには、質の高い臨床研究が必要

**Clinical trials should be conducted
in collaboration with patients**

2. 臨床研究・治験の推進には、実施する医療機関等の協力はもとより、国民・被験者からの理解・協力が不可欠。

- ・臨床研究のなかでも臨床試験は、被験者として患者自身が参画するものであることから、他の一般的な研究と異なり、患者に対して実施するものではなく、患者と共に実施するものである。

4

治療開発について

最近のオーファンドラッグ開発の現場

患者レジストリはどう役立つか