

未来会議WG1
RWD/RWE薬事承認活用研究の活動について

未来会議WG1:RWD/RWE薬事承認活用研究の方針

GIS	内容・取り組み
ゴール(G)	<p>①RWD/RWEを用いた薬事承認の実現による開発治験コスト・薬剤費の削減 (最初のステップとして、プラセボのない薬事承認取得)</p> <p>②わが国から世界をリードする新しい創薬・最適化治療開発基盤の構築</p>
ゴールにいたるまでの課題(I)	<p>① ・RWD/RWEを薬事承認に利活用するためのガイドライン・法整備 ・世界の薬事規制を決めるICH-GCP E6 annexでの国際的議論の推移</p> <p>② ・HL7/FHIR/OHDSIなどの世界標準規格の多施設での導入 ・最先端臨床・マルチオミクスデータベース構築の財政的基盤</p>
課題解決手段(S)	<p>① 薬事申請に用いられる比較試験個別データと先端的臨床ゲノム・マルチオミクスデータを有する前向きレジストリ/RWDでの比較 (REALISE試験) により、薬事申請利活用可能なRWD収集・品質保証体制を整備</p> <p>② わが国からの新しい創薬・最適化治療開発を目指し、すでに製薬/診断薬/IT/AI企業20社と世界最先端の大規模臨床ゲノム・マルチオミクスデータベース (VAPOR CONE) を構築中であり、産学での共同利活用研究による創薬研究などを推進し、世界をリードする</p>

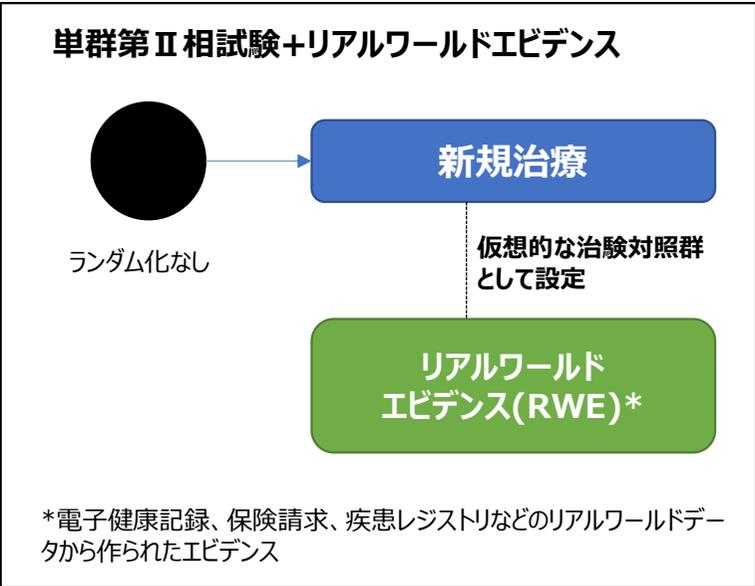
未来会議WG1：新薬や機器の開発を合理化し、医療費を抑制するイノベーション

現状

- 新薬や医療機器の開発のために高い人的コストをかけて、治験や臨床試験を実施
- 患者さん、医療従事者に多大な負担が発生。最終的に新薬や医療機器の価格にも影響
- 希少がんや特殊な遺伝子異常を持つ疾患では、患者さんの数が少なく、開発が長期化するケースも

実現したい未来像

- 医療データを活用することにより、治験の負担を大幅に低減
- テーマ例「プラセボのない治験」



解くべき課題

- 実証、研究活動の早期化
- 1.リアルワールドエビデンスによりプラセボを代替する方法と費用対効果の実証
 - 2.医療現場で精度の高いデータを収集するための実践的なデータ要件、入力についてのガイドラインの作成
 - 3.プラセボの無い治験による薬事承認申請を可能とする薬事法、および関連法規対応の研究

未来会議関連事項の進捗：WG1

□ 研究項目①：RWDの薬事承認申請利活用

年月	進捗事項	内 訳
2024年4月	厚労科研採択	RWEの医薬品開発・市販後安全対策利活用に関する「質」と「信頼性」に関するGL作成目的
8月	レジストリ活用に関する企業説明会	SCRUM/CIRCULATE規制対応レジストリの薬事申請利活用に関する製薬企業向け説明会
	厚労科研班会議	REMUDYレジストリグループ、LDI、厚労省とのGL作成に向けた意見交換
10月	ARCAD説明会（癌治療学会）	ARCADデータベース（グローバルRCT個別データ4.5万例）のRWE構築利活用に関する説明会と学会での公募体制構築（外科学会では構築済）
	RALISE研究中間報告	薬事承認申請に資するRWD活用範囲拡大に関する検討中間結果報告
2025年3月	厚労科研班会議	厚労省からの指示によりRWE薬事申請に関する提言書作成に向けて枠組み構築
5月	厚労班会議	RW薬事申請に関する提言書作成方針および公表までのスケジュール策定

未来会議関連事項の進捗：WG1

□ 研究項目②：創薬・最適化治療開発基盤構築

年月/	進捗事項	内 訳
2024年7月	MONSTAR-SCREEN3 (B)登録開始	コホートB (周術期) WGSベースctDNA/ST含む組織マルチオミックス解析
9月	VAPOR CONEデータ格納完了	スパコンへのアーカイブデータ (臨床・ゲノム/マルチオミックスデータ2.5万例、CDISC等国际標準・規制対応)
10月	VAPOR CONE利活用企業向け説明会	VAPOR CONE利活用に関する説明。参加企業20社参加
11月	VAPOR CONE利活用アカデミア向け説明会	VAPOR CONE利活用に関する説明。国内アカデミア約40施設97名の基礎・臨床研究者が参加
	MONSTAR-SCREEN3 (A)登録開始	コホートA (進行がん) ST含む組織マルチオミックス・ctNA/proteome解析
2025年2月-3月	VAPOR CONE 活用研究助成事業公募開始	MONSTAR/CIRCULATE付随研究採択研究者からの研究助成申請応募受付
5月	上記助成事業採択課題の選定	研究助成事業審査委員会及び理事会で採択4課題を選定

WG1 マイルストーン

研究項目	2025年度	2026年度	2027年度
研究項目①： RWDの薬事承認申請利活用	<p>マイルストーン1： 医薬品開発・市販後安全対策に資するRWE構築に関する厚労省ガイドラインの策定</p>	<p>マイルストーン2： 厚労省ガイドライン通知発布</p>	<p>マイルストーン3： 産学でのガイドラインに基づいたRWE構築の実装および開発治験の効率化によるコスト削減</p>
	<p>マイルストーン4： REALISE研究による薬事申請可能RWD範囲の策定と論文公表</p>		<p>マイルストーン5： 薬事申請可能RWDのHL7/FHIR等による多施設からの効率的データ収集システムの構築</p>
研究項目②： 創薬・最適化治療開発基盤構築	<p>マイルストーン1： 臨床ゲノム・オミックスデータベース（VAPOR CONE）を用いた産学での創薬・個別化治療開発研究の開始</p>	<p>マイルストーン2： 産学共同創薬・個別化治療開発研究の継続と新薬創出に向けた実用化研究への移行</p>	<p>マイルストーン3： 海外バイオ医薬品開発企業（EBP）等との共同研究・治験実施によるドラッグロス消失への貢献</p>
			<p>マイルストーン4： 遺伝性腫瘍等に関するデータの提供（WG4との連携）</p>