

日時：6月23日（金）17時～18時40分

セッション名：合同シンポジウムリアルワールドデータ

### 【講演1】

演題名：企業は適正使用指針をどのように考えているか

内容：適正使用指針は、トレーニング・教育および適切な患者選択を目的に策定される。しかし、適正使用指針はフォーマットがないため、特に新規参入企業にとって作成が難しい。また、実臨床の成績に基づき改訂されるべきであるが、改訂ルールがなく、必要な患者へ使用拡大されにくい。今後は、適正使用指針の雛形作成、改訂のルール作成、RWD・適切な改訂による迅速な対象患者の拡大をしていくべきである。

### 【講演2・3・4】

演題名：適正使用指針を形骸化しないためにはどうすべきか、医療提供者から見た企業の姿勢を問う。使用成績調査のデータ共有は出来ないのか、適正化に向けたアカデミアからの考察と提案

内容：

#### (1) 適正使用指針の改訂

デバイスラグの時代は海外で有効性・安全性が評価された医療機器が承認されていたが、現代では海外で有効性・安全性が未評価な医療機器であり、承認時には適正使用指針にて使用範囲が限定されることがある。適正使用指針は実臨床での成績に基づいた改訂が前提なはずだが、改訂ルールがない。RWD データに基づいた適正使用指針改訂のルールを策定し、実例を作っていく必要があると考える。

#### (2) 使用成績調査のデータ共有

使用成績調査は膨大な時間・資金がかかるが、利活用されていない。数年前にパクリタキセル関連デバイスの生命予後が悪いという報告がされたため、使用成績調査をメタ解析に活用したいと考えた。当初各社声掛けし総論賛成いただいたが本国の了承を得ることが難しく、厚労省・PMDA の協力のもとデータ収集協力を仰いだ。解析には、守秘契約締結やデータ整理（欠損値の存在や定義・検討項の相違）などが伴い大変であったが、他の医薬品と生命予後が変わらないという結果を得ることができた。各社には、二次利用を前提としプラットフォームを統一する等、日本のために使用成績調査をしてほしい。

### 【講演5】

演題名：レジストリ以外の RWD の利活用

内容：所属大学院での JMDC を用いた腹部大動脈の医療機器に関する解析研究の成果を報告する。RWD のうち、JMDC は健康保険加入者及び家族のデータベースであり、レジスト

リと比べて高齢者のデータが少ないこと、転院後もデータを追えるため中長期的な解析が可能であること、個別品目の特定ができないこと、高額療養費に関する内容は確認できないことが特徴である。研究では、JMDC のデータから大動脈疾患の病名だけでなく、ステントグラフトの請求・手術コードがある患者を選別することで特異度・感度を向上させ、目的とする腹部大動脈の医療機器について解析することができた。

#### 【パネルディスカッション】

##### <適正使用指針策定の時代背景>

鈴木 適正使用指針改訂について、行政の立場からもともと適正使用指針はどのような形で始まったのかお伺いしたい。

俵木 適正使用指針はいつ頃出てきた言葉か定かではないが、もともと限定された臨床試験のみで承認せざるを得ない状況で学会・先生方から要望があって承認する以上、学会が責任を取ってほしいということがあったと思う。

石井 コロナリーローターブレイダーの審査では、トレーニングや適正使用指針は論点になっておらず、学会が自主的に施設基準に関する保険上の縛りを作った。行政側が適正使用指針の必要性を感じたのは、ダヴィンチが販売開始後 1 か月で死亡例が出た際に、様々な領域で承認が通っていたものの診療科によってはトレーニングがされていないことが注目された時である。これまで承認審査では機器の性能を中心に確認し、使用者は検討していなかった。新規性が高く、デバイスラグがあり導入のニーズが高い機器について、どの病院でも同等の成績であってほしいという願いから適正使用指針を求めるようになった。最近では、頻回な一変を避けるために承認審査で縛るのではなく、審査時の懸念となった細かい注意事項や施設基準を適正使用指針で決めている。

鈴木 デバイスラグがあった時代は、海外データのみで承認審査していたため日本の施設・使用者が使用できるか検討する必要があったが、最近は海外データがない状況で、どんな患者に使用すれば安全か分からず、適正使用指針や PMS 調査などで使用範囲を限定する流れになっている。

##### <適正使用指針の策定・改訂>

鈴木 適宜適正使用指針の改訂ルールがないという問題提起をしていただいたが、どのようなルールを作ればよいか。

中村 現場から要望が出れば学会も動くと思うが、改訂の根拠となるデータがないためか何も要望がないので改訂されていないのではないかな。

俵木 これまで患者の安全を確保するために適正使用指針を作ってきたが、今は考え方を改めて検討すべきと思う。昔の効能効果は広く承認されていたが、その後適応範囲が明確化され臨床試験の範囲に狭まった時期があった。昔ほどではないが使用範囲は科学的根拠に基づき比較的広めに承認した上で、適正使用指針などで施設基準を狭

めて、徐々に広げるのがよいのではないか。

鈴木 最近では保険も厳しく、開発コストが限られるため、承認において可能な限り広げられるように審査し、適正使用指針にて施設範囲を縛る方向になっているが、企業ではこの考え方は受け入れられるのか。

仙土 トレーニング実施や施設基準の策定は重要と考えている。一方で、承認条件の中に適正使用指針に準拠することと記載されているため、広く承認されていても結局狭くなっている。厳しく規定されすぎると適応拡大のためのデータを収集することが難しい。適正使用指針の雛形と併せて幅のあるガイダンスなどルール策定の必要と考える。

山元 適正使用指針で縛ってデバイスを育てていく方針はよいと考える。

#### <企業間のデータ共有>

山元 テルモでは学会と共同でPMSにてデータベース調査を行っている。企業主体のPMSよりもデータ共有など可能性があると思う。

鈴木 適用使用指針で縛った範囲を徐々に拡大するためのデータが重要になる。データ収集には1社のデータではなく、複数の企業のデータを収集することが必要と考えるが、企業間で同じプラットフォームでデータを共有することは可能か。

宮坂 企業側としては、上市後のデータは今後ビジネスとして継続可能か判断にも使用できるため、各社共有する場合のデータの収集方法の整理・入手できる環境の整備が重要と考える。デバイスラグの時代では、海外データから日本の市場予測ができたが、デバイスラグが解消されると市場予測ができないので、産官学でデータ収集・提供の仕組みを構築させなければ海外企業からの参入に制限を感じるのではないかと懸念している。

土井 製品のライフサイクル・適正使用指針改訂を考えるとRWDの収集は重要である。自身の経験でいえば、海外と日本で同時に開発した製品について、日本ではトレーニングすることを条件に広い適用で承認されたが、海外では日本に追う形で適応拡大され、産官学でいい連携ができた。それを踏まえると、今は適正使用指針の規制があることでよいデータが収集できるはずであり、それを活用するために企業はデータを公表すべきである。ただ、企業自ら話し合いで共有することは難しいので、最初から共有データベースを構築するよう行政側から企業へ言っていただきたい。

鈴木 日本で適正使用指針である程度制限した上でデータを蓄積できれば、海外にアピールできるデータになると思う。また、場合によっては適用使用指針外の使用についてのニーズやデータが蓄積されれば、徐々に適応拡大していくことが可能になると考える。そのため、各企業がデータを共有できれば、効率的なデータの利活用に繋がり、日本のプレゼンスを高めることも可能だと思う。デバイスごとの比較をしないことを前提にデータを共有し、医療のライフサイクルを進めていくべき。

以上