

健康医療データの利活用推進に向けて

2025年9月10日

日本製薬工業協会

健康医療データの利活用で実現する世界

製薬企業は健康医療データを用いた効率的な創薬を通じ、
患者さんにいち早く革新的医薬品をお届けしたい

QOLの向上、健康寿命の延伸

患者
国民



政府



医療コストの効率化



健康医療ビッグデータ基盤
(健康・医療・健診/検診・介護情報、
ゲノム等のオミックスデータ等)

個人にあった治療の提供



医療者



製薬会社

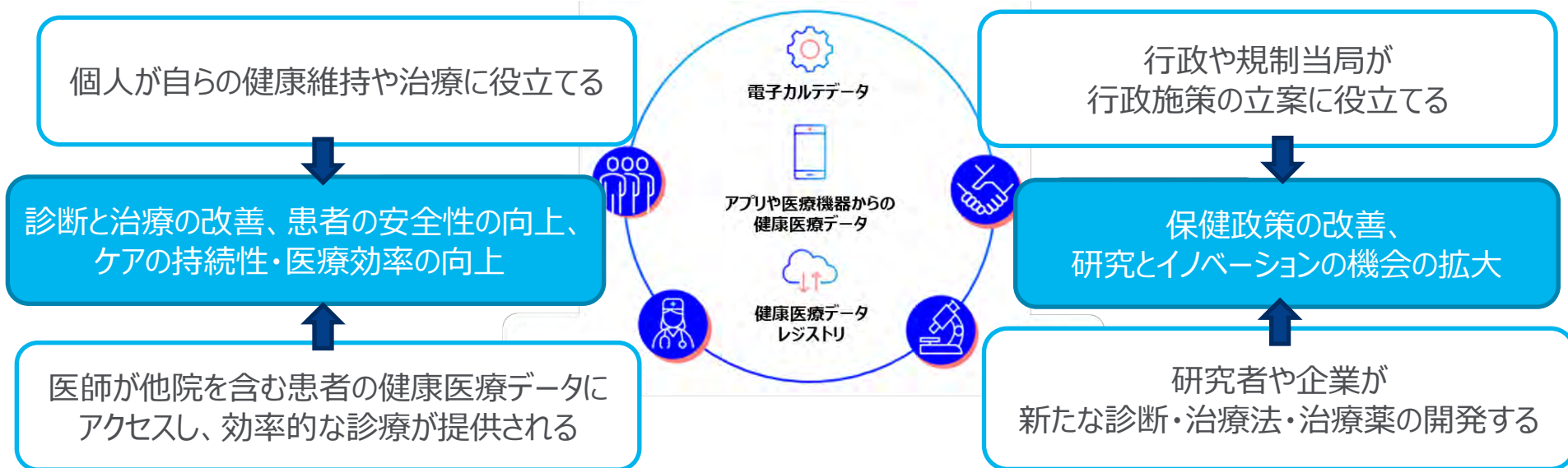
医薬品開発のスピードアップ、
成功確率向上、
安全性監視、エビデンス創出、
コスト低下

そのためには、『**ライフコースデータ基盤構築**』と『**法制度整備**』が必要

EHDS法はデータ基盤構築と利活用ルールを両輪で規定

*EHDS : European Health Data Space 製薬協

- **EHDS法は目的志向でデータ基盤構築と利活用ルールを両輪で設計しており利用者目線で優れている**
- より良い医療提供、より良い研究、**イノベーション**、政策立案のためにヘルスデータを**同意不要**で利活用
- データの利用目的に応じデータを加工。**仮名化データ**も利用可能。*オプトアウト制度は各国裁量
- 二次利用の観点で収集データ項目、二次利用目的、禁止事項等を**明確化**
 - 収集するヘルスデータ：**電子カルテ、ゲノム、オミックス、バイオバンク、研究コホート等のデータ収集を義務化**
 - 二次利用目的：公共・公衆衛生・**研究・創薬を含むイノベーション活動**等の利活用目的を明確化
 - 禁止事項：広告・マーケティング活動・保険契約の利益からの除外・公序良俗に反する活動等を禁止
 - ワンストップ窓口：Health Data Access Body(HDAB)を設置し、データの保有者と利用者の調整や利活用審査等を一元化



国民にとっての健康医療データ二次利用のメリット



副作用のリスクが低減される

- 迅速かつリアルタイム大規模な健康医療データをもとにしたさらなる適正使用の実現
 - ✓ 安全性監視活動、適正使用の推進
 - ✓ エビデンス創出活動



新薬を待つ時間が短くなる

- 治験計画立案の時間の短縮化
- 医療機関の選定・治験参加者募集の時間の短縮化
- 条件付き早期承認制度の拡大に伴う早期新薬アクセスの実現
- 日本で治験を実施するための意思決定の容易化



新薬が生まれる可能性が高まる

- 精緻な治験計画の策定による治験の成功確率の向上
- ゲノムデータ等を用いた研究開発の成功確率の向上
- 失敗の減少によるリソース（金銭、人的）配分の最適化に伴う、さらなる成功確率の向上や新たな研究領域への挑戦

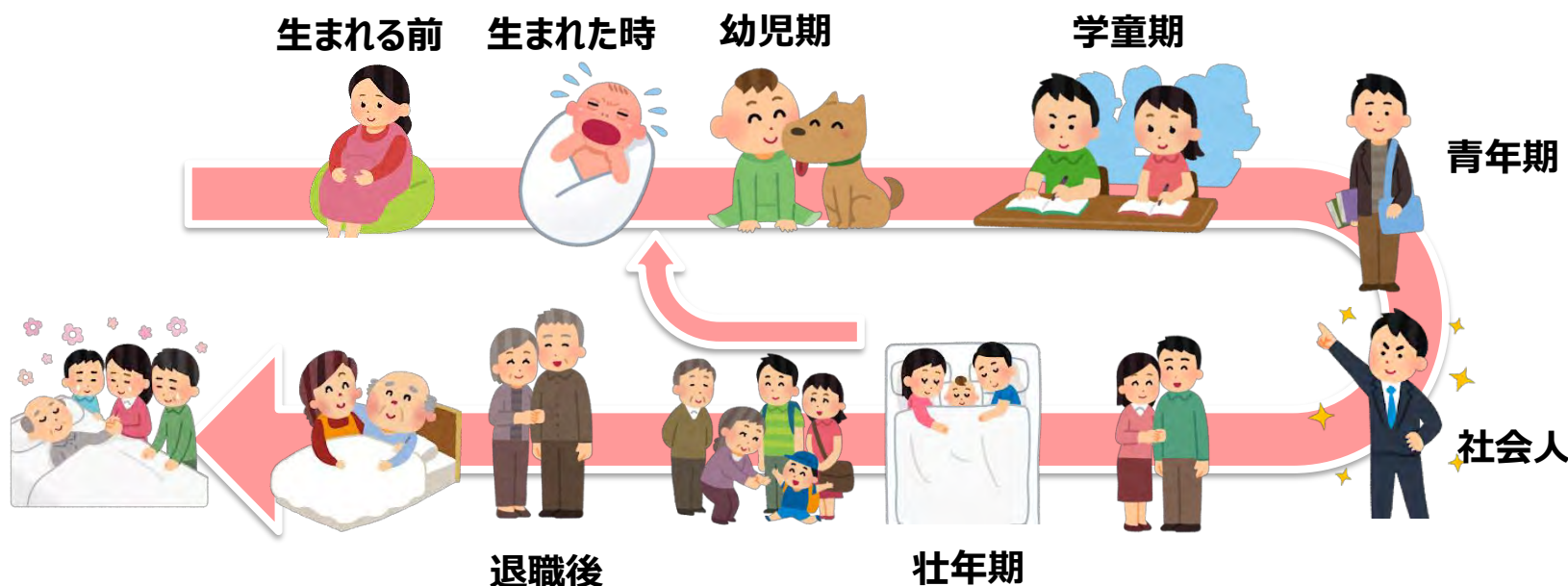
ライフコースデータの重要性

二次利用可能な全国民のライフコースデータ基盤構築が課題

- ◆ 副作用は長期間経たないと現れないものも存在（発がん性等）
- ◆ 本人だけではなく、親子のデータ連携も必要（副作用や遺伝性疾患の研究等）
- ◆ 有効性の評価も長期間必要なケースも多い（特に死亡等のハードエンドポイント）

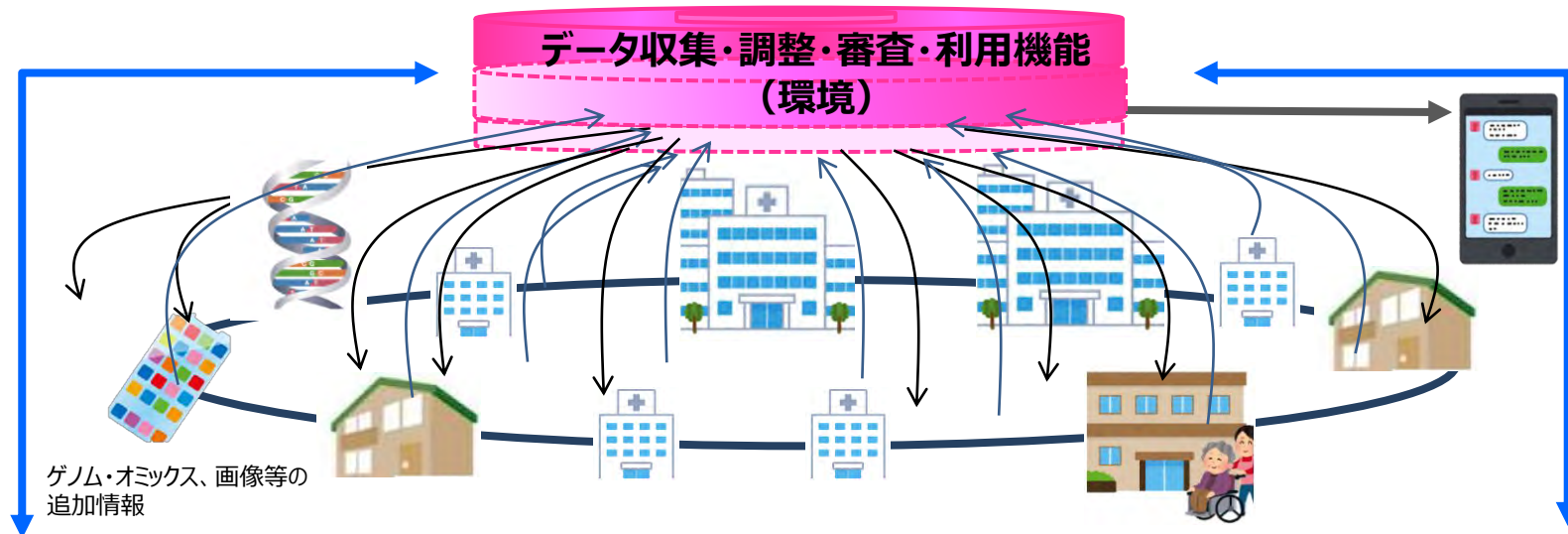
ライフコースデータ＋世代を跨いだ調査ができる環境が必要

- データはあってもバラバラ（国、広域自治体、市町村、学校、病院等）で活用されていない
 - ✓ 母子手帳、乳幼児健診、学童時健診、健診、カルテ、レセプト（医科、歯科、調剤、介護）、DPC、レジストリ（がん登録、難病登録など）、ワクチン接種記録、介護記録、遺伝子情報、死亡情報等



様々なデータソースの連携によりライフコースデータが充実

- 様々なデータソースからデータを補完し合うことで、悉皆性・網羅性が高く、個人単位の健康医療情報がライフコースデータとして充実する
- レジストリ・バイオバンクと様々な医療データ（公的データベースを含む）が連携できるようになれば、医療分野の研究開発に資するデータの価値が高まる



レジストリ・バイオバンク等

- 日常診療では収集・評価されることが少なく、公的DBには含まれない、疾患特異的なアウトカムデータ、ゲノム、オミックス、画像等の詳細情報が存在
- 観察期間（記録期間）が限定的なことも

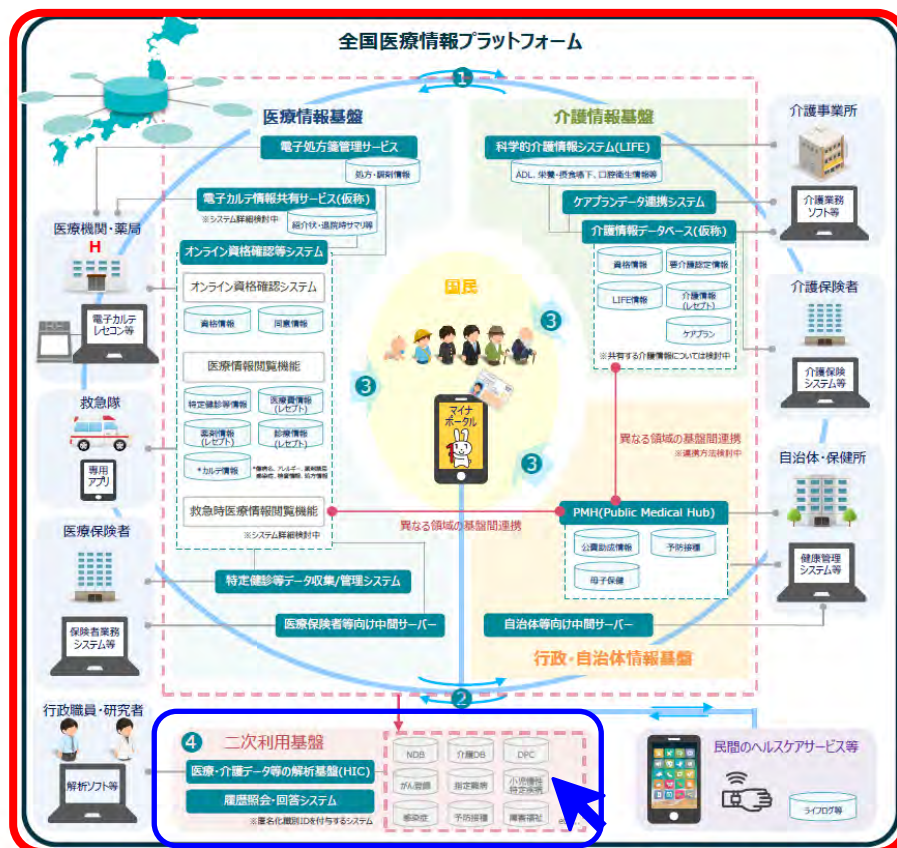
公的データベース

- NDBや電カルDB（仮）はライフコースデータの「軸」
- 「軸」を補強し、追加的な情報をもたらす他の公的DB
- 介護、感染症、予防接種、がん、難病、小慢、等

補完し合うことで
データの価値が向上

「厚労省 医療等情報の二次利用に関するWG これまでの議論の整理」の受け止め

- 公的データベースと二次利用基盤（青枠）が大きく進展
- 全国医療情報プラットフォーム全体（赤枠）における二次利用の在り方は今後の検討課題
 - 3文書6情報のデータの利活用（利活用ルールやデータの保存期間）
 - 公的DB・3文書6情報以外のデータ整備及び利活用ルール整備



必要な取組の概要（製薬協 政策提言2025より）

EHDSを参考としたデータ基盤構築と法制度整備を両輪とする総合政策及び法整備を

法制度整備等

1. 個人情報保護法の医療分野の特別法の制定

- 同意原則（入口規制）から利活用審査（出口規制）への転換
 - 蓄積される健康医療データの二次利用においては、①データ利活用状況の見える化、②利用目的と禁止事項の明確化、③利活用審査機関の厳格な審査、④セキュアな解析環境の構築、⑤罰則強化等の対策を総合的に講じることで、同意取得を前提とせずとも、患者保護の強化、医療機関の負担軽減、データ利活用推進と成果還元を同時に実現できるのではないか
- 仮名化した健康医療データを利用できる利活用ルール及び環境の整備
- 研究開発及び安全性監視を含む市販後研究での利用を正当な利用目的として明確化及び禁止事項の明確化
 - 主にEHDS法 第53,54条と同様に、二次利用の利活用目的と禁止事項の明確化が必要
 - 知的財産権及び営業秘密の保護に一定の配慮が必要。EHDS法 第52条のように、契約上の取り決めを含む、法的、組織的、技術的措置を条件とすることや、高リスクケースにおけるアクセスを拒否、苦情申し立て等

2. 公的DBの利活用促進に向けた法改正

- 公的DBの仮名化情報の利用・第三者提供・各種DB連携を可能とするため、各公的DBの根拠法を2025年の通常国会で改正

3. 「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」の全面的な見直し

- 研究者にわかりやすく、他法規制とバランスの取れた指針に抜本的に改正
 - 第1回生命科学・医学系研究等における個人情報の取扱い等に関する合同会議（2025.3.17）の論点で示された通り、複雑な内容をシンプル化し研究者のみならず参加者にもわかりやすい内容とする
 - また、個人情報保護法の見直しで論点として追加された「個人データ等の取扱いにおける本人関与に係る規律の在り方」と足並みを揃えて整理する

4. 健康医療データ利活用に関する国民への周知

- マルチステークホルダーによる健康医療データ利活用に対する国民の理解促進
 - 製薬協も啓発動画・冊子・用語解説集をマルチステークホルダーとの連携のもと策定しており、今後も自ら取り組む所存

etc.

必要な取組の概要（製薬協 政策提言2025より）

健康医療データ基盤の構築

1. データ基盤の構築

- 全国医療情報プラットフォームの早期創設による、国民の健康医療に関するライフコースデータの共有・交換の仕組みの実現
 - データの共有・交換の仕組みを実装・実現する公的な組織が必要
- 安全かつ利便性の高いVisitingクラウド解析環境の構築・利活用推進、ガバメントクラウド（計算能力、記憶容量、セキュリティ）の強化
 - 処理するデータ量の増加に伴う、HIC等の強化が必要。現状ではHICでNDBの全量データの解析を行うことも容易ではないため。
- 利用手続きのワンストップ化、申請から利用までの時間の短縮化 等
 - 利用申請から7日（事前抽出データセットの場合）～1・2か月程度（データ連携・加工等が必要な場合）で利用できるように
 - 公表物事前確認に要する時間の短縮

2. 標準型電子カルテの迅速な普及

- 標準型電子カルテの開発及び普及の更なる推進
 - HL7 FHIR準拠の電子カルテの開発及び導入の加速推進

3. 健康医療データの標準化等（国際連携も可能に）

- 医薬品の研究開発や安全性監視にも資する電子カルテデータ項目の標準化・構造化
- 疾患領域ごとのアウトカムデータの標準化・構造化と収集促進 等
 - 標準化・構造化においては国際連携を可能とする規格を用いる
 - 標準化が困難なデータ項目についてはAIの活用も視野に入れるべき
 - 3文書6情報の保存期間の延長も必要
 - ゲノムデータの利活用推進（仮名化・匿名化を可能に）

4. データ連携

- 3文書6情報に留まらない医療機関間のデータ連携の推進
 - 一次利用の議論と連動。3文書6情報を超える部分（画像や非構造化データも含む）、レジストリ・バイオバンクとのデータ連携等。
 - データ連携に用いるIDの整備

etc.

製薬企業の利用ニーズが高いデータ項目の活用目的例



製薬協

*議論のたたき台用資料

データ項目名	活用目的例
年齢	- 患者背景による比較・傾向分析 - 有効性・安全性評価における交絡因子の調整やリスク評価 - 体重や体表面積に基づき用量が決定される医薬品における適正使用状況の把握 - 妊婦や小児を対象とした医薬品暴露の評価と追跡調査 - 小児の成長や体重当たりの医薬品暴露量と有害事象の分析 - 研究の組み入れ基準に該当する患者数の推定 - 臨床試験の組み入れ基準の検討
月齢／日齢	
性別	
身長	
体重	
アレルギー	
妊娠・出産関連情報	
喫煙歴	
検診（生活習慣情報を含む）	
居住地情報（都道府県）	
施設情報（都道府県、病床規模区分）	
傷病名	- 疾病毎での各種分析（有効性、安全性、薬剤経済） （重症化）予防効果分析、等
疾患部位	
バイタルサイン（体温、血圧、脈拍、呼吸）	
検体結果（血液・尿・便、微生物学的検査、等）	
生理機能検査（心電図、呼吸機能、等）	
読影・病理レポート	
疾患特異的な検査結果（FEV1・歩行速度・眼圧、等）	
疾患特異的な評価・重症度・スコア	
例：腫瘍（部位ごとの径・転移有無、TNM分類、Stage等）	
その他（ADLスコア、Rankin Scale、Hugh-Jones分類、NYHA心機能分類、Killip分類、Child-Pugh分類等）	
検査画像	- 病態の進行パターンや速度の分析 - 薬効・治療効果に関する評価 - 共変量やアウトカム指標として活用 - 疾病の進行、予後予測 - 治療コントロールや疾患モニタリング - 有効性のエンドポイントになる情報の抽出 - 検査結果と疾病の関係性の解明 - 治療後に発症した疾患と治療の因果関係の分析 - 特定の患者群における薬剤応答性の解析 - アンメットメディカルニーズの探索 - RWDを用いた承認申請 - 製造販売後データベース調査
ゲノム情報	
がん遺伝子パネル検査結果	
薬剤名	
ワクチン接種情報（任意接種含む）	
用法用量	
手術、処置情報	
非薬物療法（運動・食事）	
入退院情報	

製薬企業の利用ニーズが高いデータ項目の情報源



製薬協

*議論のたたき台用資料

データ項目名	「特に」 高いニーズ	電子カルテ情報共 有サービスから直 接入手可（？）	電子カルテ情報共有 サービスから加工/抽 出等で入手可（？）	加工/抽出等の方法案
年齢	○		○	生年月日から算出
月齢／日齢			○	研究に必要な場合、生年月日から算出
性別	○	○	○	
身長	○		△	3文書内に情報があれば抽出
体重	○		△	3文書内に情報があれば抽出
アレルギー	○	○	○	6情報「薬剤アレルギー等」、「その他アレルギー等」あり
妊娠・出産関連情報	○		△	3文書内または傷病名から妊娠と判断できる場合
喫煙歴	○		△	3文書内に情報があれば抽出
検診（生活習慣情報を含む）	○	○	○	「健康診断結果報告書」あり
居住地情報（都道府県）		○	○	カルテ等のテキストデータから抽出しないと無理か？
施設情報（都道府県、病床規模区分）		△	○	カルテ等のテキストデータから抽出しないと無理か？
傷病名	○	○	○	6情報「傷病名」あり
疾患部位				カルテ等のテキストデータから抽出しないと無理か？
バイタルサイン（体温、血圧、脈拍、呼吸）				カルテ等のテキストデータから抽出しないと無理か？
検体結果（血液・尿・便、微生物学的検査、等）	○	△	△	検査された全ての検査結果（48項目に限定しない）
生理機能検査（心電図、呼吸機能、等）	○		△	3文書内に情報があれば抽出
読影・病理レポート	○		△	3文書内に情報があれば抽出
疾患特異的な検査結果（FEV1・歩行速度・眼圧、等）	○		△	3文書内に情報があれば抽出
疾患特異的な評価・重症度・スコア 例：腫瘍（部位ごとの径・転移有無、TNM分類、Stage等） その他（ADLスコア、Rankin Scale、Hugh-Jones分類、 NYHA心機能分類、Killip分類、Child-Pugh分類等）	○		△	3文書内に情報があれば抽出
検査画像			△	3文書にキー画像がある場合
ゲノム情報	○			C-CAT、バイオバンク、全ゲノム解析実行計画等
がん遺伝子パネル検査結果	○		△	3文書内に情報があれば抽出
薬剤名	○	○	○	6情報「処方」あり
ワクチン接種情報（任意接種含む）	○	△	○	HOTコードでの登録
用法用量	○	△	△	6情報「処方」あり。電子処方箋。
手術、処置情報	○		△	3文書内に情報があれば抽出
非薬物療法（運動・食事）	○		△	3文書内に情報があれば抽出
入退院情報	○	○	○	「退院時サマリー」あり

AIを用いた非構造化データの利活用

- AIによる自然言語処理によりカルテ等の文章のような非構造化データであっても利活用できるようになりつつある
- 医薬品の有効性・安全性評価、新たな治療方法の開発等のみならず、プライバシーに関する記載を削除する利活用方法も期待できる



抗がん剤の治療効果判定での利活用事例

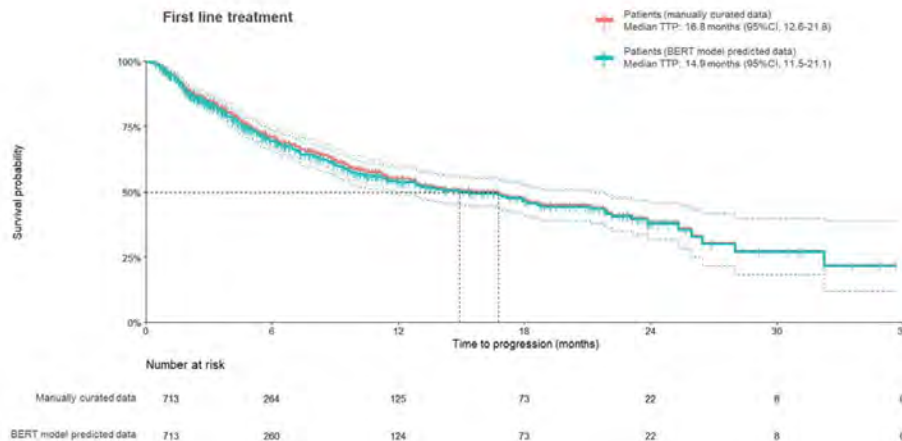
Araki K, et al. Advanced Therapy. 2022.

研究概要：

患者の経過記録、放射線レポートなどの非構造化データから、治療のアウトカムをAIモデルで抽出して、抗がん剤の治療効果を評価した研究

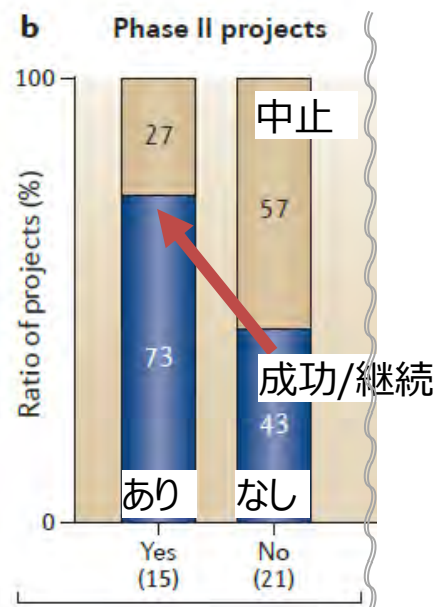
結果：

肺がん患者の1次治療の無増悪期間において、人による評価（オレンジ線）とAIによる評価（水色線）がほぼ一致していた。



ゲノム情報の利活用で治験の成功確率が向上する

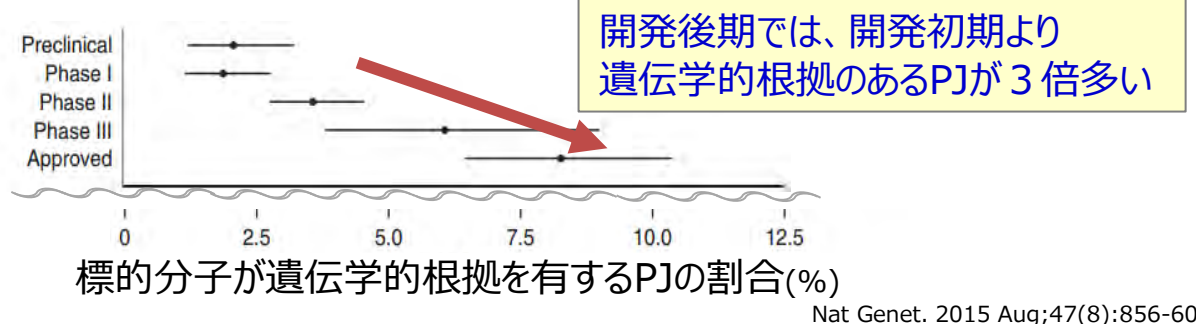
- ・ 標的分子と適応症の間に遺伝学的根拠がある開発品の成功確率が高い
- ・ FDA承認品目のうち2/3の品目はゲノム情報を活用している(2021年)



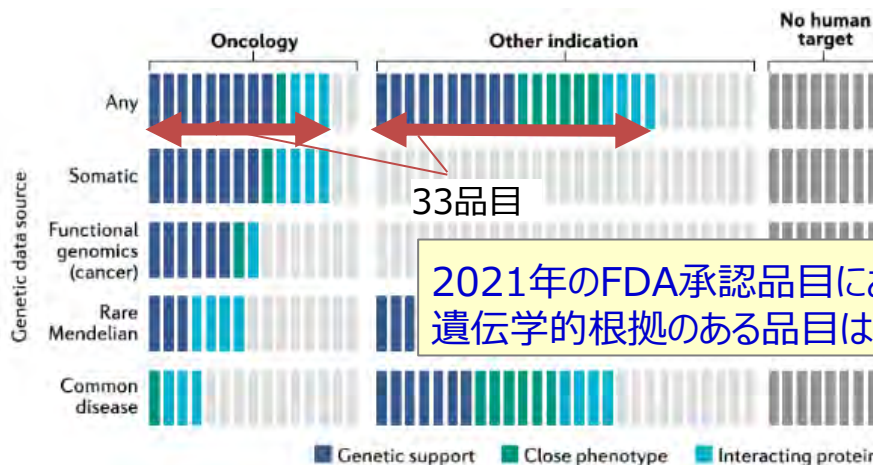
標的分子とゲノムの関係

遺伝学的根拠のあるPJは治験第2相の成功確率が2倍 (43%→73%)

Nat Rev Drug Discov. 2014 Jun;13(6):419-31.



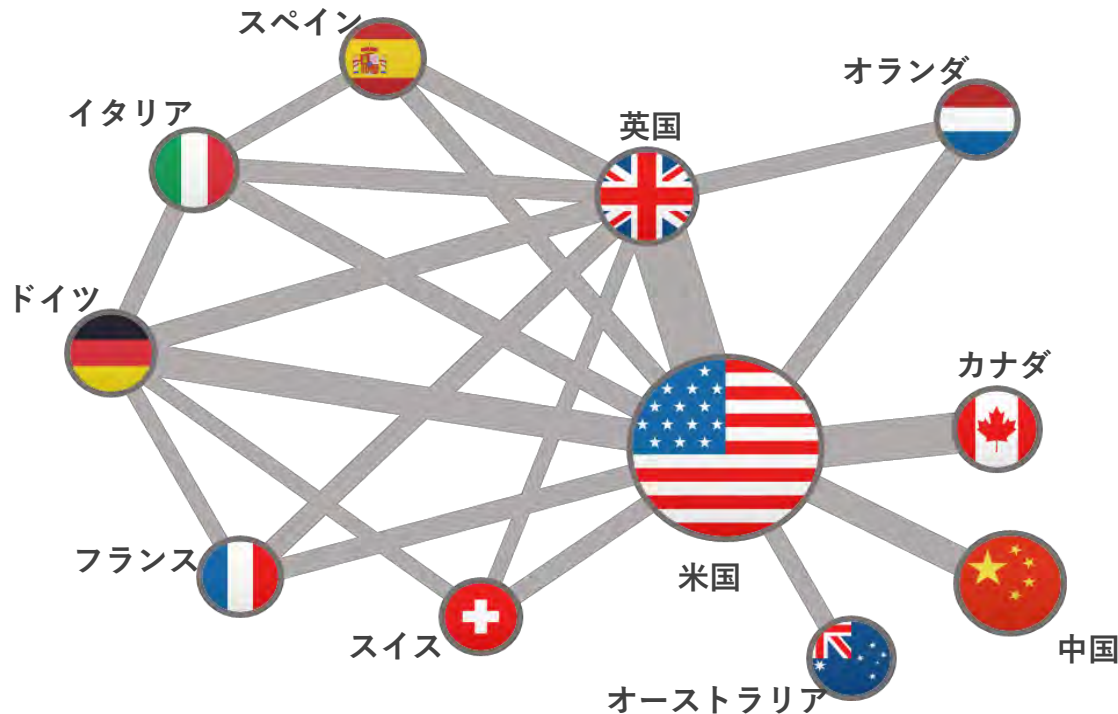
2021年のFDA承認品目 (50品目)



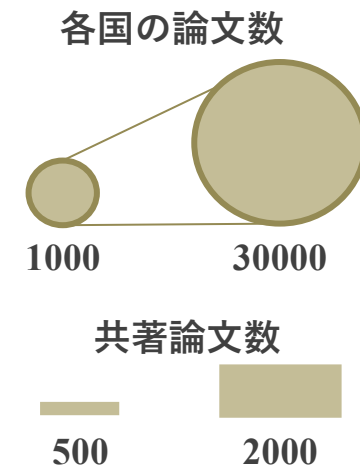
Nat Rev Drug Discov. 2022

RWDを用いた国際連携

- RWDを用いた医療分野の研究は国際連携のもと進んでいる
- 「国際競争・安全保障」と「国際連携」を戦略的に両立すべき
- 国際連携を実現するためのデータ基盤とルール策定を



- 医療分野の論文の共著関係を整理
- 日本は21位以下でランク外



出所：Web of Science®クラリベイトをもとに作成

一対一の共著論文数の上位20位までを抽出。各国の円の大きさに用いた論文数には単一国のみの著者による論文も含む。

「同意」という方法が果たして患者保護策として最適か？医療機関の負担にもなっており、同意取得が形骸化している恐れはないか？

- 内容やリスクを十分に理解・判断して同意しているのか？
- 医師からの提案を断りにくいということは無いか？
- 多忙な医師の負担にもなっているのでは？
- 多忙なゆえ、十分な説明ができていないということは無いか？



データ利活用状況の見える化をしつつ以下の対策を総合的に講じることで、同意取得を前提とせずとも、**患者保護の強化、医療機関の負担軽減、データ利活用推進と成果還元**を同時に実現できるのではないか？

- 利活用目的と禁止事項を明確化し、不利益を防止
- 患者に代わり利活用審査機関がプライバシーの保護も含めて厳格に審査
- セキュアなデータ解析環境の構築による漏洩防止
- 罰則強化 等

27年 日本版EHDSの実現へ

- ・**全国民のライフコースデータ**を連携し、仮名化データを同意に依存せず利用できる基盤構築と法整備を実現

25年 公的DBの根拠法改正（予定）

- ・改善点：NDB（死亡データ含む）とがん登録、難病、感染症等の公的DBが連結され、**仮名化データを同意に依存せず**利用可能に。
- ・残課題：**公的DB以外のカルテ情報等へのアクセス**

24年秋 NDBの利便性改善

- ・改善点：NDBβ新設により、企業も**全国民**のレセプトデータに**迅速**にアクセス可能に
- ・残課題：**匿名加工データに限る**。迅速にアクセスできるのは一部項目に限定される。

24年4月 改正次世代医療基盤法施行

- ・改善点：**仮名加工医療情報**が法的に認められる
- ・残課題：**悉皆性が低い**（約160機関）、認定作成事業者の**負担が大きい**等

以下、補足資料

医療情報DBの利活用目的と必要なデータ

- 医療情報DBの利活用により、医薬品の研究開発のスピードアップや成功確率の向上、市販後の安全性監視やエビデンス構築等の促進が期待される
- 目的毎に必要なデータの質・量は異なる

	主な活用目的	必要なデータ
研究	ターゲット探索 バイオマーカー探索 発症要因解析 リポジショニング	日常診療データだけでなく、疾患固有の詳細なデータが必要 (ゲノム・オミックス、特殊な検査・画像、表情・声など)
開発	治験フィージビリティ検証 患者リクルート 治験対照群 試験デザイン(層別化) RWDによる適応追加	- 標準化された質の高いアウトカムを含むデータが必要。 - 将来的には、質の高いRWDを広く収集できる環境が必要。
PMS (MA含)	安全性・有効性の 検証・エビデンス創出 使用実態の把握 副作用シグナル検出	- レセプト、DPC、電子カルテ等のアウトカムも含まれたデータ - 長期のフォローデータ
情報提供 ・流通	地域に根差した医療貢献 効率的な情報提供収集 流通管理	レセプト、DPC、電子カルテ等のデータ (網羅性が高いことが望ましい)

狭く、深いデータ



広く、浅いデータ

薬害再発防止の観点からも、健康医療データの利活用は有益

薬害再発防止のための医薬品行政等の見直しについて（最終提言）の概要

（薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会）
厚生労働省医薬品部

〔ゴシック体：「第一次提言」から新たに加わった点（★は主なもの）〕	
第1 はじめに ○ 委員会は、薬害肝炎事件の検証と再発防止のための医薬品行政の見直し等について提言することを目的に設置。 ○ 開催経緯：平成20年5月から平成22年3月まで23回開催。 ○ 構成：第1次提言を基礎に平成21年度の審議結果を追加。	(2) 臨床試験・治験 (3) 承認審査 ①安全性・有効性の評価、②審査手続、③審査の中立性・透明性確保（★）、④添付文書、⑤再評価 (4) 市販後安全対策 ①情報収集体制の強化、②提供された情報の活用（新たなリスク管理手法の導入（★）等）、③リスクコミュニケーションの向上のための情報の積極的かつ迅速な提供と患者・消費者の風通し（★）、④副作用情報の本人への伝達や情報公開の在り方、⑤適正な情報提供及び広告による医薬品の適正使用、⑥GMP調査、⑦GVP、GQP調査、⑧個人情報 (5) 医療機関における安全対策、(6) 健康被害救済制度 (7) 専門的な知見を有効に活用するための方策 (8) 製薬企業に求められる基本精神等（★）。
第2 薬害肝炎事件の経過から抽出される問題点 ○ 薬害肝炎事件の経過の中から、今後の再発防止の観点から抽出される問題点を整理。（※第1次提言と同じ） (1) フィブリノゲン製剤に関する経過関連 (2) 第IV因子製剤に関する経過関連 (3) 上記製剤を通じた事実関係 ○ 平成21年度は新たに以下の検証を実施し、問題点を整理（★） (1) 事件当時の行政及び製薬企業担当者へのヒアリング (2) 医療関係者の意識調査（医師アンケート、医師インタビュー） (3) 被害者実態調査（患者調査、遺族調査）	第5 医薬品行政を担う組織の今後の在り方〔詳細別添付〕 ○ 医薬品行政組織についての議論を整理（★） ・ 医薬品行政組織の一元化（国が独立行政法人）などの論点を中心に議論。今年度は、職員に対するアンケート調査を実施。 ・ 最終的には国が責任を負う形とすることなど、組織の形態にかかわらず、医薬品行政組織の望ましい在り方を指摘。 ○ 第三者監視・評価制度の創設（★） ・ 薬害の発生及び拡大を未然に防止するため、医薬品行政に関わる行政機関の監視及び評価を行い、適切な措置を取るよう提言等を行う「第三者組織」の設置が必要。
第3 これまでの主な制度改正等の経過（※第1次提言と同じ） ○ 医薬品行政のこれまでの主な制度改正等について整理。 ・ 薬事法改正等の経過関係 ・ 医薬品行政組織の変遷関係	第6 おわりに ○ 提言実現のため、医薬品行政に関する総合的な基本法の制定を検討する必要があるとの意見があり、これも考慮されるべき。
第4 薬害防止のための医薬品行政等の見直し〔詳細別添付〕 ○ 薬害の再発防止のための医薬品行政等の抜本的見直しを提言。 (1) 基本的な考え方 ① 医薬品行政に携わる者に求められる基本精神及び法の見直し ② 医薬品行政に係る行政機関の体制とこれに携わる人材の育成、 ③ 薬害教育・医薬品評価教育、④ 薬害研究資料館の設立、 ⑤ 専門家の育成と薬害学研究所の推進（★）。	

異なる情報源からのデータがリンク可能となりかつデータのバリデーションが可能となるような仕組みがない限り、その有用性は極めて限定的なものになるため（中略）**電子カルテ等のデータへのリンクを可能とし、高度な分析への活用を可能にするための検討も行う必要がある。**

「薬害再発防止のための医薬品行政等の見直しについて（最終提言）」
H22.4.28, P.57より抜粋

MID-NET単体で確認検証できる副作用リスクは限定的（9拠点31施設）

例えば、**・発がん性リスクは転院後も長期にわたる観察が必要**

・併用リスクは同時期での別の医療機関のデータとの連結が必要

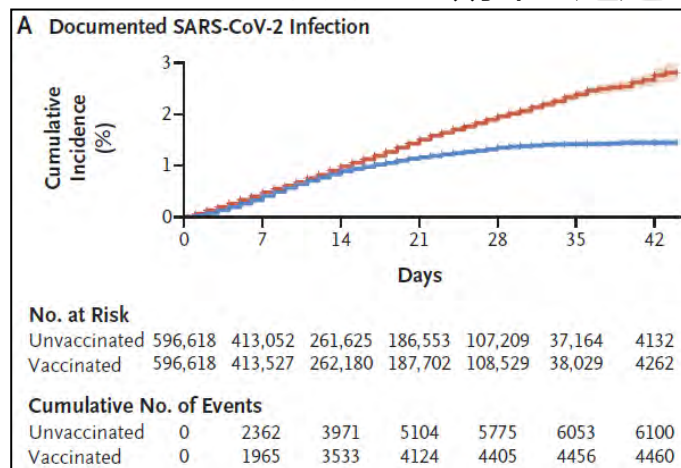
・催奇形性は妊産婦レジストリ等と電子カルテ情報との連結が必要

つながる医療データが増えるほど、特定できる副作用リスクも増える

イスラエルのCOVID-19ワクチンの事例

- ・ **わずか2か月で120万人規模のワクチンの有効性・安全性評価を論文化**
- ・ **悉皆性のある疫学データが政策や医薬品開発の重要な判断根拠となる**

- ◆ イスラエルでは約20年前からデジタルヘルスインフラを整備。全人口の出生から死亡までを完全にカバーするデジタルデータに関する統合インフラがある
- ◆ イスラエルでは国民健康保険への加入が義務付けられており、4つあるヘルスプランのうちいずれかに加入する
- ◆ ヘルスプランとその関連病院は独立して運営されているがいずれも統一された統一IDを利用する電子カルテを使用している
- ◆ 最大ヘルスプラン（人口の53%をカバー）であるClalitが保有するデータを用い、COVID-19ワクチンの効果を迅速に検討し、論文化した



論文概要

- ✓ 2020年12月20日～**2021年2月1日**までにCOVID-19ワクチンを投与された選択除外基準に適合する全員における、COVID-19への感染、重症化、死亡等を検討
- ✓ **2回目投与完了7日以降の感染リスク**が92%低減したことが確認された
- ✓ この論文は**2021年2月24日**に公開された。

健康医療データの利活用による効率化が急務

- ① 長い研究開発期間（9～16年）
- ② 低い成功確率（1/25,000、臨床試験開始後でも約10%）
- ③ 多額の研究開発投資（3000億円）
- ④ 厳しい国際競争＝スピード。COVID-19対応で益々激化

THE BIOPHARMACEUTICAL RESEARCH AND DEVELOPMENT PROCESS



医薬品開発でのRWDの活用

臨床開発のスピード向上を目的とした利用

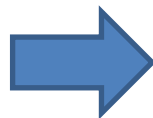
- ◆ 臨床試験の患者の組み入れ基準の作成, 対象患者数の予測にRWDを利用
- ◆ 臨床試験の組み入れにRWDを利用

臨床試験の成功確率向上を目的とした利用

- ◆ RWDから患者背景情報, 有効性の評価項目, 安全性の評価項目の情報を得ることで試験の成功確率に関連する要因を分析できる
- ◆ 治療が必要とされている患者を同定し, アンメットメディカルニーズを把握することは開発戦略に役立つ
- ◆ 成功確率が低いと想定されたプロジェクトを中止し, 他のプロジェクトにリソースを注力できる

データ収集の効率化を目的とした利用

- ◆ 臨床試験とRWDのハイブリッド
- ◆ プラグマティックトライアル

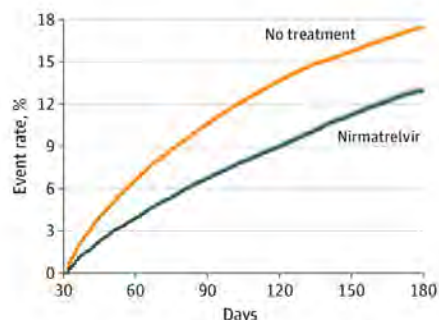


広範な患者集団でのエビデンス
創出に寄与

米国でのニルマトレルビルのLong COVIDの発症抑制効果評価

米国退役軍人DBを利用して、承認薬の追加効果の評価をRWDで実施
この検討に基づき、**追加効果の開発計画を立案**

A PCC



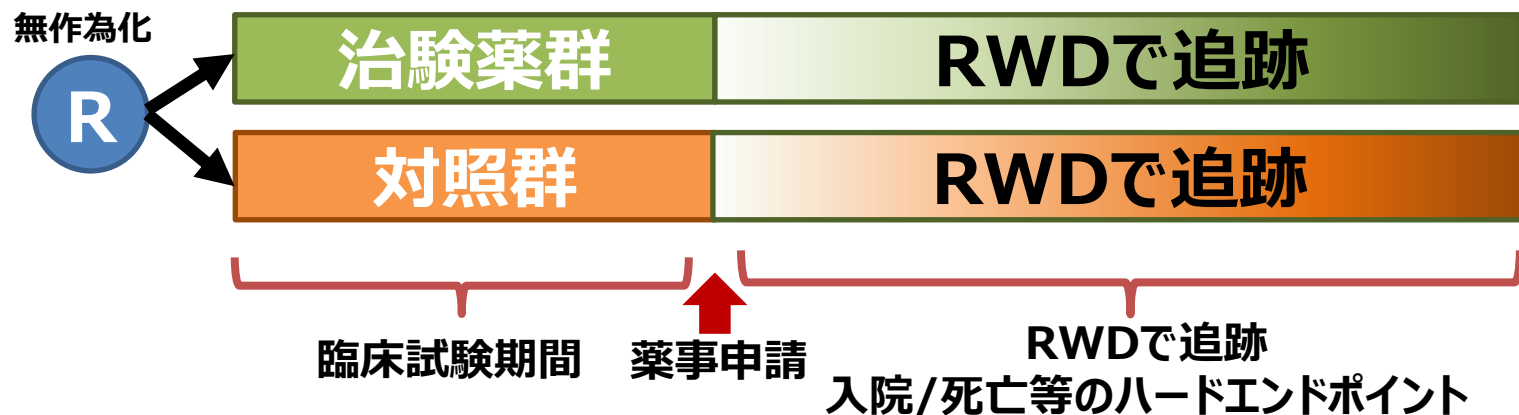
No. at risk	246 076	235 468	225 891	216 902	205 222	189 205
No treatment	35 717	31 549	28 461	25 920	22 898	18 134
Nirmatrelvir						
Cumulative No. of events						
No treatment	0	13 313	21 638	27 610	32 354	36 572
Nirmatrelvir	0	10 75	1837	2452	3060	3526

- ◆ COVID-19の急性期のニルマトレルビル治療がLong COVIDのリスク低減に関係するかを評価
- ◆ SARS-CoV-2検査陽性時に入院を伴わず、COVID-19の重症化のリスク因子を1つ以上有し、感染後30日生存した患者に対して、検査陽性後5日以内にニルマトレルビルを服薬した患者と急性期にCOVID-19の抗ウイルス/抗体治療を受けていない患者を比較
- ◆ ニルマトレルビルは対照群と比べて、Long COVIDの発症の相対リスクは0.74 (95% CI, 0.72-0.77) であり、ニルマトレルビル治療とLong COVIDのリスク低減との関連が示された

米国ではRWEをきっかけに追加効果の開発計画が始まるケースが出てきている
日本では患者の診療情報が分散し連結ができないため、同様の研究ができない
日本で上市している医薬品の追加効果の検討をDBで行う機会を損失している

データ収集の効率化を実現するニーズ

- ◆ 臨床試験とRWD（Real World Data）のハイブリッド
（短期間の評価は臨床試験，長期追跡はRWD）



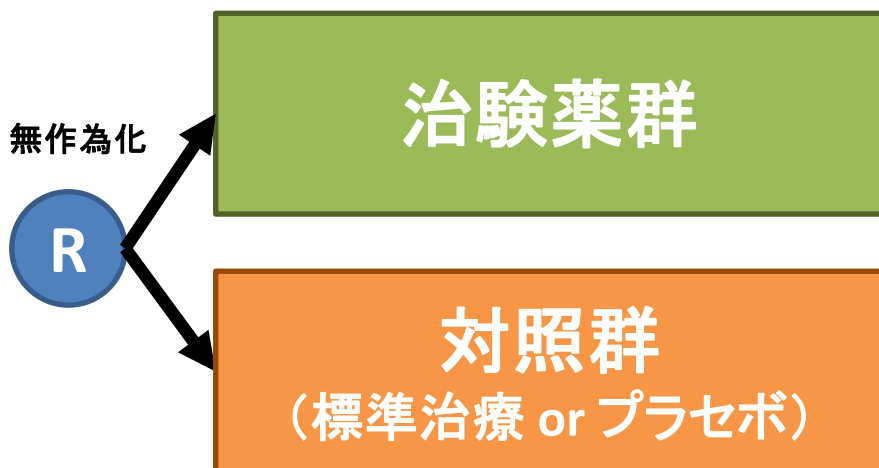
- ◆ 具体的な事例



データ収集の効率化を実現するニーズ

◆ 外部対照群としての活用

通常の臨床試験



通常の臨床試験の課題

- 希少疾患の臨床試験の場合
→ 被験者数の確保が困難
- 標準治療が存在しない場合
→ プラセボ投与が人道的に問題となりうる

RWDを活用した臨床試験

- パターン1：RWDを対照群の一部に使用



- パターン2：RWDのみを対照群として使用



パルボシクリブ男性乳がんの承認申請活用例

FDAはリアルワールドデータを評価し希少がん治療薬を承認

- ◆ パルボシクリブはHR+/HER2- 女性乳がんの適応でFDAから2015年に迅速承認、2017年に正式承認
- ◆ FDAから2019年に男性転移性乳がんの追加適応取得
 - 男性乳がんは致死性が高い希少疾患で、治験の実施が困難
 - 臨床試験の代わりに、リアルワールドデータで評価
 - Flatiron Health社EHRデータベースから実臨床下の腫瘍縮小効果や特定の有害事象を評価
 - IQVIA社保険請求データベースから治療継続期間を評価
 - HIPAAに基づくDe-identified Data（非識別化データ）を利用

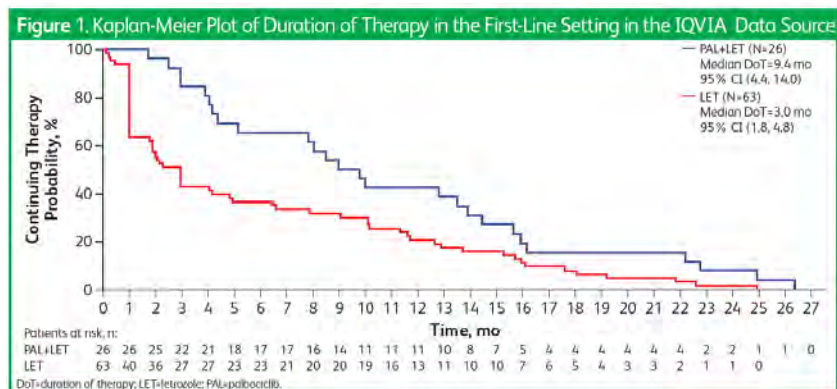


Figure 2. Response Assessments in the Flatiron Health EHR-Derived Data Source

A. Real-world maximum tumor response

	Palbociclib + AI/FUL Cohort* N=12 n (%)	AI/FUL Alone Cohort* N=8 n (%)
Response		
Complete response	2 (16.7)	0
Partial response	2 (16.7)	1 (12.5)
Stable disease	5 (41.7)	4 (50.0)
Progressive disease	3 (25.0)	3 (37.5)
Response (CR+PR) rate	4 (33.3)	1 (12.5)

氏名・連絡先の情報は必要としない

製薬企業は、患者さんの氏名・連絡先の情報は必要としておらず、入手や利活用（患者さんへの直接的なコンタクト等）をすることはない

- ◆ 治験データの場合、医療機関において氏名を被験者識別コードに置き換えた上で入手する。また、連絡先は入手しない。（補償対応を除く）

医療機関

対応表

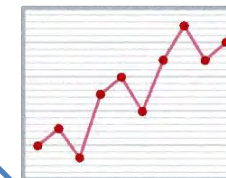
Name	code
山田次郎	A001
鈴木花子	A002
佐藤桜子	A003
渡辺四郎	A004
...	...



原データ

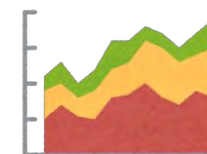
Name	code	Age	Hight	Weight	64	80
山田次郎	A001	46	173	74.2	88	73
鈴木花子	A002	19	159	51.3	78	77
佐藤桜子	A003	83	152.8	48.4	74	...
渡辺四郎	A004	73	166	74.8	...	
...	...	...	...	...		

製薬企業



氏名等を削除した仮名化したデータ

code	AST	ALT	LDH
code	HR	SBP	DBP
code	Age	Hight	Weight
A001	46	173	74.2
A002	19	159	51.3
A003	83	152.8	48.4
A004	73	166	74.8
...	...	...	...



仮名化と匿名化の違い

○医療情報（個人情報）

診断名

処方薬剤

氏名	被保険者番号	住所	性別	年齢 (歳)	体重 (kg)	来院日	高血圧症	1型 糖尿病	収縮期血圧 (mmHg)	ARB	CCB	利尿薬
佐藤太郎	12345...	〇〇県××市本町1-2-3	男性	74	59.1	6月26日	○		211	○	○	
鈴木花子	23456...	〇〇県△△市東町2-3-4	女性	81	51.2	5月11日	○		171	○	○	○
高橋二郎	34567...	〇〇県××市南町3-4-5	男性	39	72.3	4月17日	○	○	141	○		
田中恵子	45678...	〇〇県□□市西町4-5-6	女性	105	44.7	4月19日	○		166		○	
伊藤三郎	56789...	〇〇県××市北町5-6-7	男性	76	53.8	6月8日	○		152			
...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...

○仮名化

■個人情報保護法施行規則31条1号～3号対応

- ✓ データ項目削除（氏名・被保険者番号）
- ✓ 一般化（住所）

氏名	被保険者 番号	住所	性別	年齢 (歳)	体重 (kg)	来院日	高血圧症	1型 糖尿病	収縮期血圧 (mmHg)	ARB	CCB	利尿薬
-	-	〇〇県××市	男性	74	59.1	6月26日	○		211	○	○	
-	-	〇〇県△△市	女性	81	51.2	5月11日	○		171	○	○	○
-	-	〇〇県××市	男性	39	72.3	4月17日	○	○	141	○		
-	-	〇〇県□□市	女性	105	44.7	4月19日	○		166		○	
-	-	〇〇県××市	男性	76	53.8	6月8日	○		152			
...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...

○匿名化

■個人情報保護法施行規則34条1号～5号対応

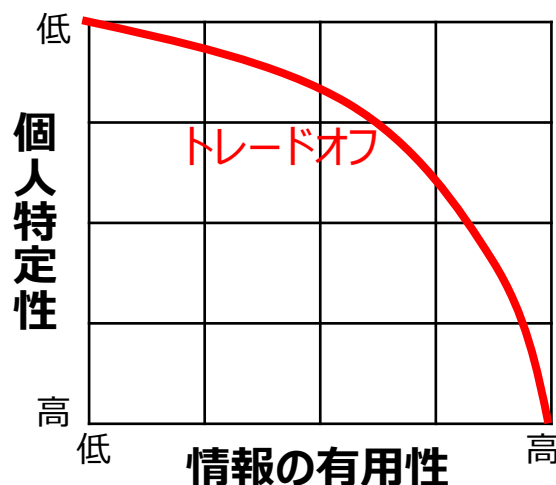
- ✓ データ項目削除（氏名・被保険者番号・特異な記述[1型糖尿病・利尿薬]）
- ✓ 一般化（住所・年齢・体重）
- ✓ トップ（ボトム）コーティング（年齢・収縮期血圧）
- ✓ ノイズ付加（来院日）

氏名	被保険者 番号	住所	性別	年齢 (歳)	体重 (kg)	来院日	高血圧症	1型 糖尿病	収縮期血圧 (mmHg)	ARB	CCB	利尿薬
-	-	〇〇県××市	男性	70代	56-60	6月24日	○	-	201以上	○	○	-
-	-	〇〇県△△市	女性	80代	51-55	5月15日	○	-	171	○	○	-
-	-	〇〇県××市	男性	30代以下	71-75	4月21日	○	-	141	○		-
-	-	〇〇県□□市	女性	90代以上	41-45	4月18日	○	-	166		○	-
-	-	〇〇県××市	男性	70代	51-55	6月10日	○	-	152			-
...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...	...

匿名化したデータによる解析結果は信頼性が低下

匿名化のための加工の強度に依存し情報ロス・変質が発生
(レコード削除、データ値の変更、疑似データ追加等)

- 匿名化による「個人特定性のリスク」と「情報の有用性」は**トレードオフの関係**
- 匿名化によるデータの加工により**解析結果に影響する恐れ**
 - 実際には「効果がない」ものが「効果あり」という結果を示す可能性も
(逆も同様)



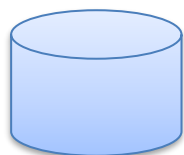
この不確実性を許容できる利用目的か否か？

匿名加工情報の詳細な加工方法を得ることは法律で禁じられている

- データに施された具体的な加工方法も分からないため、解析結果への影響度合いを推察することもできない

匿名化では長期の追跡研究が不可能

対照表を削除する匿名化では、長期の前向き研究・追跡研究が不可能



初回解析

202X年1月時点で選択基準に
合致した患者を抽出

治療開始時 患者背景情報				有効性or安全性情報		
仮ID	年齢	性別	基礎疾患X	治療開始日	1カ月後	2カ月後
XXX1						
XXX2						
XXX3						
...						

- ✓ 承認申請のために解析結果を提出
- ✓ 抽出患者データの信頼性調査を実施



追加解析

202X年11月時点で初回と
同じ患者の追加データ抽出

治療開始時 患者背景情報				有効性or安全性 情報	
仮ID	基礎疾患Y	基礎疾患Z		6カ月後	12カ月後
YYY1					
YYY2					
YYY3					
...					

患者毎に連結

ID001 = XXX1

ID001 = YYY3

- ✓ 追加の経過データの提出
- ✓ 追加の患者背景データの提出

想定される利用場面

- ✓ 最初に抽出した患者を固定して追加データを評価する必要がある場合の薬事申請利用
- ✓ 最初の抽出データの解析結果の再現性を保ちつつ、追加データを含めた解析が求められる場合の薬事申請利用
(論文のレビュー対応でも必要)

例

- ✓ 有効性評価が死亡のイベントで、申請時はイベント数が不十分で、申請後にデータ追加
- ✓ 安全性評価の臨床検査値の変化の長期観察データを追加
- ✓ 治験データとの比較でマッチングor調整する交絡因子を追加

Pragmatic試験の例 : Recovery Study

RECOVERY
Randomised Evaluation of COVID-19 Therapy

176 NHS機関が参加

参加基準
≥18歳.
新型コロナ感染症による入院

無
作
為
化

標準治療

ロピナビル・リトナビル

デキサメタゾン

ヒドロキシクロロキン

アジスロマイン

アウトカム
主要: 死亡
副次:

- 入院日数
- 人工呼吸器の必要性

RECOVERY試験の主要マイルストーン

2020年1月31日: 英国で 1 例目感染症者

2020年5月14日: RECOVERYに 1 万人が参加

2020年6月16日: デキサメタゾンの結果公表

137日(4.5ヵ月)

デキサメタゾンは死亡率を減少
人工呼吸器使用中 : 1/3
酸素吸入療法中 : 1/5

CRF収集データ : 治療群とアウトカム

- 生存
- 人工呼吸器
- 腎臓の状態
- その他の感染症
- 安全性情報
- 治療群
- 不整脈
- 血栓・出血
- 代謝合併症
- 妊娠

データ収集方法 (例)

0. What is the patient's vital status?

- ☐ Alive 生存
☐ Dead

4. Did the patient require any form of assisted ventilation (ie, more than just supplementary oxygen) from day of randomisation until 28 days later?

- ☐ Yes 人工呼吸器
☐ No

+

治療群とアウトカム以外のデータは
NHSが保有するデータベースから抽出

第14条：一次利用のための個人の電子ヘルスデータの優先カテゴリー

1. 本章の目的上、電子形式で処理されるデータについては、個人の電子ヘルスデータの優先カテゴリーは以下のとおりとする。

- (a) 患者の要約
- (b) 電子処方箋
- (c) 電子調剤
- (d) 医療用画像診断および関連画像報告書
- (e) 臨床検査結果やその他の診断結果、および関連報告書を含む医療検査結果
- (f) 退院レポート

一次利用を目的とした優先カテゴリーの個人の電子ヘルスデータの主な属性は、附属書Iに定めるとおりとする。

加盟国は、本章に従い、一次利用のためにアクセスされ交換される個人の電子ヘルスデータの追加カテゴリーを国内法で規定することができる。

(後略)

第51条：ヘルスデータの二次利用のための最小カテゴリー

1. ヘルスデータ保有者は、本章に従って、以下のカテゴリーのヘルスデータの二次利用を可能にしなければならない。

- (a) EHRからの電子ヘルスデータ
 - (b) 社会的経済的、環境的、行動的決定要因を含む、健康に影響を与える要因に関するデータ
 - (c) 医療ニーズ、医療に割り当てられたリソース、医療の提供およびアクセス、医療支出および資金調達に関する集計データ
 - (d) 人間の健康に影響を与える病原体に関するデータ
 - (e) 調剤、償還請求および償還に関するものを含む医療関連の管理データ
 - (f) ヒト遺伝子、エピゲノムおよびゲノムデータ
 - (g) プロテオミクス、トランスクリプトミクス、メタボロミクス、リポミクス、その他のオミクスデータなどのその他のヒト分子データ
 - (h) 医療機器を通じて自動的に生成された個人の電子ヘルスデータ
 - (i) ウェルネスアプリケーションからのデータ
 - (j) 職業上の地位、および自然人に対する治療に関与する医療専門家の専門分野および所属に関するデータ
 - (k) 公衆衛生レジストリなどの集団ベースのヘルスデータレジストリからのデータ
 - (l) 医療レジストリおよび死亡レジストリからのデータ
 - (m) 規則（EU）No 536/2014、欧州議会および理事会規則（EU）2024/1938、規則（EU）2017/745および規則（EU）2017/746の対象となる臨床試験、臨床研究、臨床調査および性能試験のデータ
 - (n) 医療機器からのその他のヘルスデータ
 - (o) 医薬品および医療機器のレジストリからのデータ
 - (p) 健康に関する研究コホート、アンケート、調査からのデータ（関連する結果の最初の公表後）
 - (q) バイオバンクおよび関連データベースからのヘルスデータ
- （後略）

規則536/2014：臨床試験規則、規則2024/1938：ヒト由来物質の品質および安全基準に関する規則、
規則2017/745：医療機器規則、規則2017/746：体外診断用医療機器規則

*製薬協による翻訳

第52条：知的財産権と企業秘密

1. 知的財産権、企業秘密によって保護されている、または欧州議会および理事会指令2001/83/ECの第10条(1) または欧州議会および理事会規則(EC)No726/2004の第14条(11) 規定されている規制上データ保護権によって保護されている電子ヘルスデータは、本規則に定められた規則に従って二次利用できるようにしなければならない。
2. ヘルスデータ保有者は、知的財産権、企業秘密、または指令 2001/83/EC第10条(1)または規則 (EC)726/2004第14条(11)に定める規制上のデータ保護権によって保護される内容または情報を含む電子ヘルスデータについて、ヘルスデータアクセス機関に通知しなければならない。ヘルスデータ保有者は、データセットのどの部分が関係しているかを特定し、そのデータの特定の保護の必要性を正当化しなければならない。ヘルスデータ保有者は、本規則第60条 (3) に従って保有するデータセットの説明をヘルスデータアクセス機関に伝達する際、または遅くともヘルスデータアクセス機関からの要請を受けた後に、その情報を提供しなければならない。
3. ヘルスデータアクセス機関は、知的財産権、企業秘密、または指令2001/83/EC第10条 (1) 項または規則 (EC) 726/2004第14条 (11) 項に定められた規制データ保護権を保護するために必要と判断される、法的、組織的、技術的な性質を含む、あらゆる特定の適切な均衡のとれた措置を講じなければならない。ヘルスデータアクセス機関は、そのような措置が必要かつ適切であるかどうかを判断する責任を負うものとする。
4. 第68条に従ってデータ利用許可を発行する際、ヘルスデータアクセス機関は、知的財産権や企業秘密によって保護された情報やコンテンツを含むデータの共有に関するヘルスデータ保有者とヘルスデータ利用者間の契約上の取り決めを含む、法的、組織的、技術的措置を条件として、特定の電子ヘルスデータへのアクセスを許可することができる。欧州委員会は、そのような取り決めに関する拘束力のない契約条件のモデルを作成し、推奨するものとする。
5. 二次利用のための電子ヘルスデータへのアクセス権の付与が、知的財産権、企業秘密、または指令2001/83/ECの第10条(1)項もしくは規則(EC)No726/2004の第14条(11)項に規定された規制上のデータ保護権を侵害する重大なリスクを伴い、満足な方法でこれに対処することができない場合、ヘルスデータアクセス機関は、ヘルスデータ申請者に対して、当該データへのアクセスを拒否するものとする。ヘルスデータ・アクセス機関は、その拒否の理由をヘルスデータ申請者に通知し、かつ、その理由をヘルスデータ申請者に提供しなければならない。ヘルスデータ保有者及びヘルスデータ申請者は、本規則第81条に従って苦情を申し立てる権利を有する。

第53条：電子ヘルスデータの二次利用のための処理目的

1. ヘルスデータアクセス機関は、ヘルスデータの二次利用のために第51条の電子的ヘルスデータへのアクセス権を、当該ヘルスデータの利用者によるデータ処理が以下の目的の1つに必要である場合にのみ付与するものとする：
 - (a) 健康に対する国境を越えた深刻な脅威から保護する活動、公衆衛生監視活動、患者安全を含むヘルスケアの高い質と安全性、医薬品や医療機器の安全性を確保する活動など、公衆衛生や労働衛生の分野における公共の利益
 - (b) 医療・介護分野の公的機関または規制当局を含む連合機関、団体、事務所または当局が、その職務権限に定められた任務を遂行するのを支援するための政策立案および規制活動
 - (c) 規則(EU)No 223/2009の第3条(1)に定義される統計（医療・介護分野に関連する国レベル、多国間レベル、連合レベルの公的統計など）
 - (d) 職業教育または高等教育レベルの医療・介護分野における教育または指導活動
 - (e) 患者、医療専門家、医療管理者などのエンドユーザーに利益をもたらすことを目的として、公衆衛生や医療技術評価に貢献する、あるいは医療、医薬品、医療機器の高い品質と安全性を保証する、医療・介護分野に関連する科学研究
 - (i) 製品やサービスの開発・イノベーション活動
 - (ii) 医療機器、体外診断用医療機器、AIシステム、デジタルヘルスアプリを含むアルゴリズムのトレーニング、テスト、評価
 - (a) 他の自然人の電子ヘルスデータに基づく、ケアの提供、治療の最適化、およびヘルスケアの提供を改善
2. 第1項の(a)、(b)及び(c)に言及された目的のための電子ヘルスデータへのアクセスは、公共部門機関並びに連合法又は国内法によって付与された任務を遂行する連合機関、団体、事務所及び当局（これらの任務を遂行するためのデータ処理が、当該公共部門機関又は連合機関、団体、事務所及び機関に代わって第三者によって行われる場合を含む）に限定されるものとする。

第54条：禁止される二次利用

ヘルスデータの利用者は、第68条に従って発行されたデータ許可証、第69条に従って承認されたヘルスデータリクエスト、または第67条(3)に言及された状況においては、第75条に言及されたHealthData@EUの関連承認参加者からのアクセス承認に含まれる目的に基づき、かつこれに従ってのみ、電子ヘルスデータを二次利用で処理することができる。

特に、第68条に従って発行されたデータ許可証または第69条に従って承認されたヘルスデータリクエストを介して取得された電子ヘルスデータに、以下の用途でアクセスを求め、処理することは禁止される：

- (a) 自然人の電子ヘルスデータに基づいて、その個人または自然人の集団に不利益となる決定を行うこと。この点における「決定」として認められるためには、その決定が法的、社会的、または経済的な効果を生じさせるか、または同様にそれらの個人に著しい影響を及ぼすものでなければならない
- (b) 自然人または自然人のグループに関連して、求人、商品またはサービスの提供における不利な条件の提供（保険やクレジット契約の利益からの排除、保険料や融資条件の変更、または、取得したヘルスデータに基づく差別につながる、個人または個人グループに関するその他の決定を含む）
- (c) 広告またはマーケティング活動を行うこと
- (d) 違法薬物、アルコール飲料、タバコ、ニコチン製品、武器、または中毒を引き起こしたり、公序良俗に反したり、人体に危険を及ぼすような方法で設計または変更された製品やサービスなど、個人、公衆衛生、または社会全体に害を及ぼす可能性のある製品やサービスを開発すること
- (e) 国内法に定められた倫理規定に抵触する活動を行うこと

第77条：データセットの説明とデータセット・カタログ

1. ヘルスデータアクセス機関は、一般に利用可能で標準化された機械可読のデータセットカタログを通じて、利用可能なデータセットとその特徴に関するメタデータの形態による記述を提供しなければならない。各データセットの説明には、そのデータセット内の電子ヘルスデータのデータソース、範囲、主な特徴、性質に関する情報と、それらのデータを利用可能にするための条件を含めなければならない。
2. 国別データセットカタログのデータセットの説明は、連合の少なくとも一つの公用語で利用できるものとする。連合のヘルスデータアクセスサービスが提供する、連合の機関、団体、事務所および当局のためのデータセットカタログは、連合のすべての公用語で利用できるものとする。
3. データセットカタログは、規則(EU)2022/868の第8条に基づき設置または指定された単一の情報窓口が利用できるようにしなければならない。
4. [本規則の発効日から2年後までに] 欧州委員会は、実施法によって、ヘルスデータ保有者がデータセットに提供すべき最低限の要素およびそれらの要素の特性を定めるものとする。これらの実施法は、第98条(2)項に規定する審査手続きに従って採択されるものとする。

第78条：データ品質とユーティリティ・ラベル

1. ヘルスデータアクセス機関を通じて入手可能なデータセットには、ヘルスデータ保有者によって連合のデータ品質と有用性に関するラベルが付与される場合がある。
2. 連合または国の公的資金による支援を受けて収集・処理された電子ヘルスデータを含むデータセットは、第3項に定める要素を網羅するデータ品質と有用性ラベルが付与される。
3. データ品質および有用性ラベルは、該当する場合、以下の要素を網羅するものとする：
 - (a) データ文書化：メタデータ、サポート文書、データディクショナリ、使用されているフォーマットと標準、データソース、可能な場合はデータモデル
 - (b) 技術的品質の評価：データの完全性、一意性、正確性、妥当性、適時性、一貫性
 - (c) データ品質マネジメントプロセス：レビューおよび監査プロセス、バイアス調査を含むデータ品質マネジメントプロセスの成熟度
 - (d) カバー率の評価：サンプリングされた集団の期間、母集団カバー率、可能な場合は、サンプリングされた集団の代表性、およびデータセットに現れる自然人の平均的なタイムフレーム
 - (e) アクセスおよび提供に関する情報：電子ヘルスデータが収集されてからデータセットに追加されるまでの時間、およびデータ許可証またはヘルスデータ要求承認証の発行後に電子ヘルスデータを提供するために必要な時間
 - (f) データ修正に関する情報：他のデータセットとのリンクも含めた、既存のデータセットへのデータを統合・追加

(後略)

ANNEXI：一次利用のための個人の電子ヘルスデータの優先 カテゴリの主な特徴

電子ヘルスデータの категория	カテゴリーに含まれる電子ヘルスデータの主な特徴
1. 患者サマリー	識別可能な自然人に関連する重要な臨床的事実を含み、その人に安全かつ効率的なヘルスケアを提供するために不可欠な電子ヘルスデータ。以下の情報は患者サマリーの一部である： 1. 個人の詳細情報 2. 連絡先 3. 保険に関する情報。 4. アレルギー歴。 5. メディカルアラート 6. ワクチン／予防接種情報（場合によってはワクチンカードの形態で） 7. 現病歴、既往歴、観察終了または観察下にある問題（国際分類コード化を含む） 8. 病歴に関するテキスト情報 9. 医療機器・埋込型医療機器 10. 医療上または介護上の処置 11. 機能状態 12. 現在および関連する過去の治療薬 13. 健康に関する社会的背景 14. 妊娠歴 15. 患者から提供されたデータ 16. 健康状態に関連する観察結果 17. 治療計画 18. 希少疾病に関する情報（例えば、その疾患の影響や特徴の詳細など）
2. 電子処方箋	指令2011/24/EUの第3条(k)に定義される医薬品の処方を構成する電子ヘルスデータ
3. 電子調剤	電子処方箋に基づく、薬局による自然人への医薬品の供給に関する情報
4. 医療画像検査および関連画像レポート	医学的状態の予防、診断、または治療のために人体を観察するために使用される技術の使用に関連した、またはそれらによって生成された電子ヘルスデータ
5. 医学的検査結果（臨床検査やその他の診断結果、および関連するレポートを含む）	特に臨床生化学、血液学、輸血学、微生物学、免疫学などの、特に体外診断で実施された検査結果を表す電子ヘルスデータであり、関連する場合は、結果の解釈を裏付ける報告書を含む
6. 退院レポート	医療機関の受診または治療のエピソードに関連する電子ヘルスデータで、自然人の入院、治療、退院に関する基本的な情報を含む

EHDSの経済的インパクト影響評価

直接的なベネフィット=約110億ユーロ（1.55兆円）/10年



製薬協

項目	規模	コメント
ヘルスケア分野におけるコスト削減と効率化	54億ユーロ （患者一人当たり年間58.9ユーロの節約）	遠隔医療の普及率向上による節約効果。従来型の医療の費用が患者一人当たり年間 68.9ユーロかかるのに対し、遠隔医療を利用した場合はわずか 10ユーロと仮定（現在からの追加的支出）
国境を越えた医療サービス提供によるコスト削減	173百万ユーロ～232 百万ユーロ	MyHealth@EUを通じた国境を越えたePrescription と医療画像サービスの迅速な展開に起因するコスト削減
研究者やイノベーターがヘルスデータにアクセスする際の効率化	8億ユーロ	健康分野の政策決定においてリアルワールド・エビデンスを活用することで、医薬品の有効性の透明性が高まり、規制プロセスの効率化につながるため、大幅なコスト削減が期待できる
ヘルスデータアクセスの再利用によるコスト削減	34億ユーロ	研究者、イノベーター、規制当局、政策立案者にとって、ヘルスデータをさらに処理するためにデータ主体に直接アクセスする必要がなく、代わりに国のヘルスデータアクセス機関が付与するアクセスに依存することによる節約
ヘルスデータの価値向上	12億ユーロ	より集中的かつ広範なヘルスデータの共有が、データ主導のイノベーションと保健分野の規制・政策決定プロセスを支援することによって生まれる価値

注：Preferred optionでの算定、1 ユーロ = 140円で換算
[Impact Assessment on the European Health Data Space \(Part 2\)](#)

- ヘルスデータの再利用は、年間約 250から300 億ユーロの価値があると推定されている。この数字は10年以内に約500億ユーロに達すると予想されている。
- ヘルスケア間のヘルスデータの相互運用性の向上は、EU加盟国で撮影された医療画像の約10% (年間約140億ユーロ)が不要になることを考えると、患者とヘルスケアシステムにとって大幅な節約につながる可能性がある。また、電子処方箋のおかげで、医療品の調剤ミスを平均6%、よりデジタル化された国では最大15%減らすことができた。また、国境を越えた文脈でMyHealth@EUを体系的に使用することで、国境を越えた電子処方箋のサービスを通じて全体で20から30億ユーロの節約になると推定されている（10年間で3700万から5200万ユーロの追加調剤に相当）
- EHDSは、より効果的でアクセスしやすくレジリエンスのある医療と生活の質の向上を可能にすると同時に、個人が自分のヘルスデータを管理できるようにし、データ経済の可能性を解き放つ。
- EUは、医療データの大きな可能性を利用して、欧州全体の豊富なヘルスデータを市民のための知識に変え、病気の予防、診断、治療を改善する必要がある。
- 研究者、イノベーター、および政策立案者は、プライバシーを保護する方法で安全にデータをより効果的に使用できるようになる。
- ヘルスデータとデータサイエンスは、公衆衛生を劇的に変革し、ヘルスケアシステムに革命をもたらし、救命医療の改善を可能にする。ヘルスデータは、最も必要とする患者のための新しい医療製品や治療法の開発を加速させる上でも重要な役割を果たすことができる。

公的DBの製薬企業によるユースケース

将来的に公的データベース等をどのようなニーズや課題に活用したいと考えているかについて、公的データベース等の活用目的として部門ごとに分類・整理した。本整理により、各ユースケースの背景にある目的意識を可視化する。

研究部門	臨床開発部門	市販後安全性部門	メディカル・アフェアーズ部門	医療経済・アウトカムズリサーチ部門
【医療への社会的需要の分析】 ・医療費の分析 ・想定患者数の把握 ・高齢者情報の分析 【未充足ニーズと治療状況の調査】 ・未充足ニーズの調査 ・アンメットメディカルニーズの調査 ・現治療割合の分析 【疾患に関する統計と分析】 ・疾患や重症度毎の患者数の分析 ・重症度毎の分析 【治療と予後の評価】 ・治療や安全性仮説の検証 ・予後の解析	【臨床試験と治療戦略】 ・ヒストリカルコントロール ・開発計画の立案 ・外部対照 【承認と申請プロセス】 ・承認申請 【疾患分布とデータ分析】 ・地域別疾患分布の把握 ・シグナル検出に用いる疾患背景情報の分析 ・ワクチンと感染症治療薬の有効性評価 ・がんステージ毎の治療状況やがん種毎の予後の解析 【長期評価と予後】 ・長期暴露化のアウトカム評価 ・ペイシエントジャーニーの調査	【シグナル評価と因果関係の検討】 ・重篤な皮膚障害に関する分析 ・軽度な消化器障害に関する分析 ・医薬品の使用有無による因果関係の検討 【疫学調査とリスク要因の分析】 ・特定のアウトカムの発現率を比較し、重症化リスク要因を検証 ・副作用の発現におけるリスク要因を分析 ・薬物療法における心血管イベント抑制効果の検討 【製造販売後データベース調査とリスク評価】 ・比較対照群を設定し、患者の長期フォローアップの実施 ・妊産婦への投与に関する安全性情報の収集 【ファーマコビジランスとモニタリング】 ・背景疾患群における傷病の発生状況の可視化	【実臨床下における医薬品の評価とエビデンスの創出】 ・医薬品の治療実態を踏まえた有効性や安全性の検討 ・長期的な予後から医薬品の臨床的意義を評価する研究 【希少・難病疾患に関する研究】 ・処方後の患者アウトカムの評価 ・疾患特有のアンメットメディカルニーズに関する調査 ・ペイシエントジャーニーの調査 【予防接種における医療・介護に関する横断的な分析】 ・予防接種の有無による感染症発症や疾患予後への影響評価 ・予防接種後の副反応や安全性に関する評価 ・実臨床における予防接種の効果と費用対効果の分析	【治療や予防介入におけるアウトカムの評価】 ・処方後の患者アウトカム（死亡や後遺症等）の評価 ・医薬品の疾病予防効果の検証 ・予防接種の有効性や安全性の評価 【医療・介護を含む経済的影響の評価】 ・治療介入が医療・介護費用に与える長期影響の評価 ・医療・介護を含む費用対効果の分析 ・医療保険の範囲を超えた医薬品の価値評価 【処方と治療の実態把握の分析】 ・処方や治療の実態に関する調査 ・ペイシエントジャーニーの調査

注：本表は「将来的に実施してみたい研究・分析の目的や内容」について、回答者からの自由回答を医薬産業政策研究所にて精査し、部門ごとに整理したものである
出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

公的DB等の活用において直面した課題

- 公的データベース等を用いた研究・分析において直面した課題に関する自由記述回答を整理した結果、共通した論点が明らかとなった。
- また、個別のデータベースの課題としては、次世代DB について、対象となる症例数の少なさに対する懸念が多く挙げられていたことから、他のデータベースとの比較においても実務上の課題として認識されている。

大項目	中項目	小項目
制度・運用面の課題	申請・審査手続きの煩雑さ	・ 申請・承認プロセスが複雑で、社内外の調整に時間を要する ・ 企業単独では対応困難で、継続的なデータ活用に支障 ・ 商用データと比較して制度面での柔軟性に乏しい
	データ提供の遅延・不確実性	・ 提供までに1年以上を要することがあり、研究計画や予算管理と整合しない ・ 提供時期の見通しが立たず、投資判断やリソース配分が困難 ・ 商用データと比較してスピード感に欠け、適時性の高い研究に不向き
	利活用コストの負担	・ 総コストの予測が困難で、見積もりに課題がある ・ 解析に外部支援や専門リソースが必要となり、コストが高額になりやすい ・ 費用対効果の観点から商用DBを選択せざるを得ない状況
	セキュリティ・解析環境に関する制約	・ セキュリティ要件の厳格さにより、利用環境が制限される ・ データ抽出・公表に関する制約が厳しく、柔軟な解析が困難 ・ 解析環境の整備や手順作成に時間・リソースを要する
データ面の課題	データの信頼性に関する懸念	・ GPSP/GCP基準への適合性に対する懸念 ・ 必要な項目や精度を満たさず、申請資料としての活用が難しい ・ 承認申請・再審査等に活用できるかの判断が難しい
	データ構造・内容に起因する制約	・ コード体系の複雑さや保険病名などにより、疾患名や診断情報の特定が困難 ・ アウトカム情報や死亡データの欠如・非構造化 ・ データベース単体では情報の欠如により、アウトカム評価が制限される
製薬企業側の課題	社内体制・人材の不足	・ データベースに精通した人材が社内に少なく、専門性を補う体制が構築されていない ・ 分析結果の妥当性や信頼性を評価・保証する知見が十分に蓄積されていない ・ 外部に依存する体制となり、社内に知識やノウハウが蓄積されにくい
	公的データベース等への理解の不足	・ データ提供時期や構造に関する仕様情報が乏しく、実務上の準備やリソース配分が困難 ・ 適切なデータベースの選定に必要な情報への理解が不十分 ・ 制度趣旨や公益性に関する理解が不十分

注：本表は、公的データベース等の使用経験に関する自由記述回答をもとに、主な課題を大項目・中項目・小項目の3階層で分類・整理したものである。内容は複数の回答に共通した論点を中心に再構成している。

出所：「公的データベース等の利用状況や意向に関するアンケート調査」結果を基に医薬産業政策研究所にて作成

出典：医薬産業政策研究所 ポジションペーパー・シリーズNo.7

「公的データベース等の利活用に関する製薬企業調査報告 -政策研ニュースNo.75より-」（2025年7月）

個人情報保護制度の課題(一例)

- **匿名加工は医療分野の研究開発に馴染まず、仮名化が望ましい**
 - ・データの真正性が担保できず薬事申請等の利活用が困難
 - ・症状等の追加情報収集や経時的追跡が不可能
 - ・希少な症例や外れ値の活用ができない
 - ・ゲノムデータは匿名加工、仮名加工できない（個人識別符号のため）
 - ・次世代医療基盤法の「丁寧なオプトアウト」は通常の同意取得と大差なく医療機関の負担大
 - ・次世代医療基盤法では、認定された民間事業者が自らデータ収集をする取り組みであり、全人口をカバーするデータ基盤になる見込みはない
- **本人同意の困難性**
 - ・同意説明と取得を行う医療機関の手間や手続き等の負担は非常に大きい
 - ・将来のために情報を蓄積する場合（レジストリ、バイオバンク等）同意取得時点で詳細な説明が困難
 - ・製薬企業はグローバルに活動しており、令和2年改正法による外国への第三者への提供に関する説明事項の増加が大きな負担
- **その他**
 - ・公衆衛生例外規定では革新的な医薬品の研究目的（開発は対象外）のみしか活用できず限定的
 - ・個人情報保護法や医学系倫理指針が複雑であり、研究者、倫理審査委員会関係者、国民にとって理解困難
 - ・医薬品開発は10年以上要するが、その間も個人情報法は3年毎に見直される。過去に取得したデータが利用できなくならないよう、適切な経過措置や予見性が必要

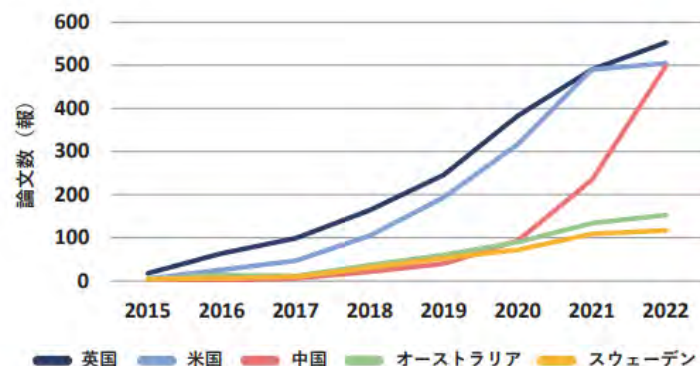
ゲノムデータの利活用目的の一例



ゲノム研究は大規模化し、国際的な協業が不可欠

欧州、英国、米国以外とも国際連携が可能な仕組みの構築

UKバイオバンクを 英国以外の研究者が多く利用している

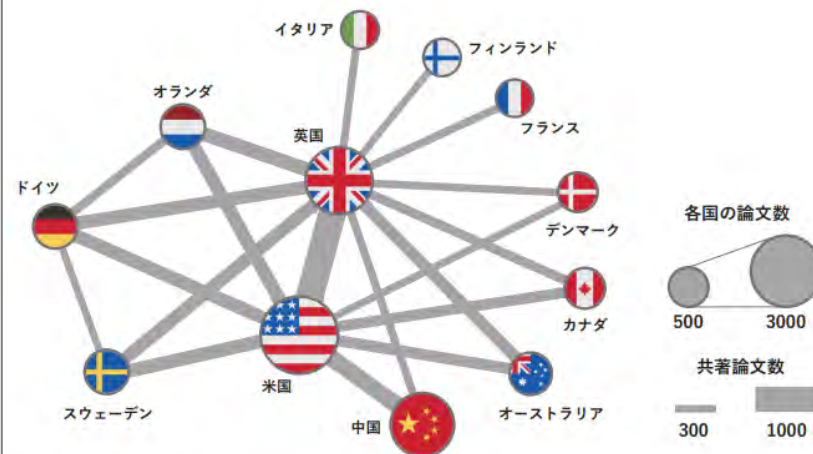


出所：Web of Science®クラリベイトをもとに作成
2023年1月12日時点の情報

上位5か国を記載（日本は18位）

UKバイオバンクに関連する論文の著者国の推移

米英につぎ、米中での連携が進展



出所：Web of Science®クラリベイトをもとに作成
2023年1月12日時点の情報

複数国の研究室が含まれる論文での組み合わせ

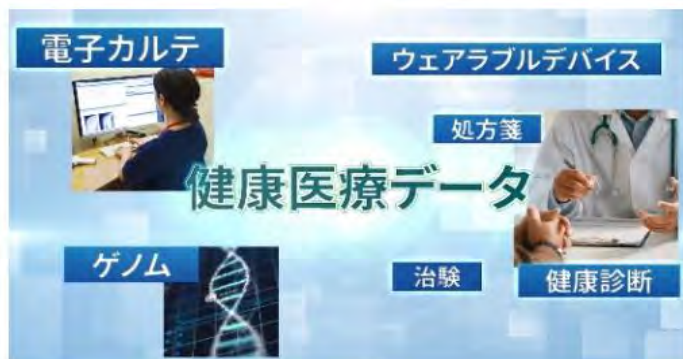
大規模データを用いたゲノム研究の国際連携

健康医療データ利活用に関する啓発動画

製薬協では、一般の方々に向けて、製薬産業だけではなく社会全体で、健康医療データの利活用が発展することを目的に活動しています。

健康医療データを活用する意義をわかりやすく紹介した動画を公開しています。各種イベント、SNS、ウェブサイトなどでぜひご活用ください。

【Short版】 45秒



【Long版】 3分27秒



動画は、下記URLの製薬協ウェブサイトから無料で視聴、ダウンロードが可能です。

https://www.jpma.or.jp/about_medicine/forpatients/healthmedicaldata/index.html

QRコードからアクセスし、スマートフォンからもご覧いただけます。



健康医療データと私たちの生活（冊子）



健康医療データの用語集



健康医療データの 用語集

健康医療データとは、健診・介護や日常的な活動で得られた健康データと、病院や診療所、調剤薬局で記録された医療に関するデータの総称です。健康医療データに関係する用語を解説します。

監修：認定特定非営利活動法人 ささあい薬学人権センターCOMIL（コムル）

リアルワールドデータ

日常生活で得られる健康に関わるデータ



キーワード

電子カルテ、健康診断、レジストリ、レセプト、ウェアラブルデバイス、無作為化臨床試験、臨床研究

解説はコチラ

医療情報データベース

診断・治療や医療費の記録などの医療にかかわる情報の集まり



キーワード

診療報酬明細書（レセプト）、データの一次利用・二次利用、NDB（National Data Base）オープンデータ、全薬がん登録

解説はコチラ

データの一次利用・二次利用

データの利用用途の分類



キーワード

個人情報

解説はコチラ

オプトアウト/オプトイン

臨床研究や情報利用をする際に患者さんの権利を保障する方法



キーワード

解説はコチラ

個人情報/個人情報保護法

特定の個人を識別することができる情報



キーワード

個人識別符号、DNA、指紋認証/静脈認証

解説はコチラ

匿名化/匿名加工

プライバシー保護の観点で個人を特定できないよう情報加工すること



キーワード

仮名化、仮名加工、個人情報/個人情報保護法

解説はコチラ

臨床研究/臨床試験

人を対象に行われる病気に関する研究



キーワード

臨床試験、治療

解説はコチラ

臨床開発/治験

画から医薬品または医療機器として認められることを目的とした臨床試験



キーワード

臨床開発

解説はコチラ

無作為化臨床試験

患者をランダム（無作為）にグループ分けし、薬の効果を比較する試験



キーワード

無作為、ランダム

解説はコチラ

標的分子/分子標的薬

体内の特定のたんぱく質や遺伝子を標的として、病気を治療する薬

遺伝子/遺伝情報

人間の体を作るための設計図の役割を果たしているもの

健康被害

医薬品・医療機器の使用など、ある物事が原因で健康が損なわれること