



第4回 医療等情報の利活用の推進に関する検討会

医療等情報の二次利用の推進に対する期待 (薬事規制における申請資料の評価・実際の活用・情報基盤の運営を担う立場から)

2025年10月14日

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

医療情報科学部長 山口光峰

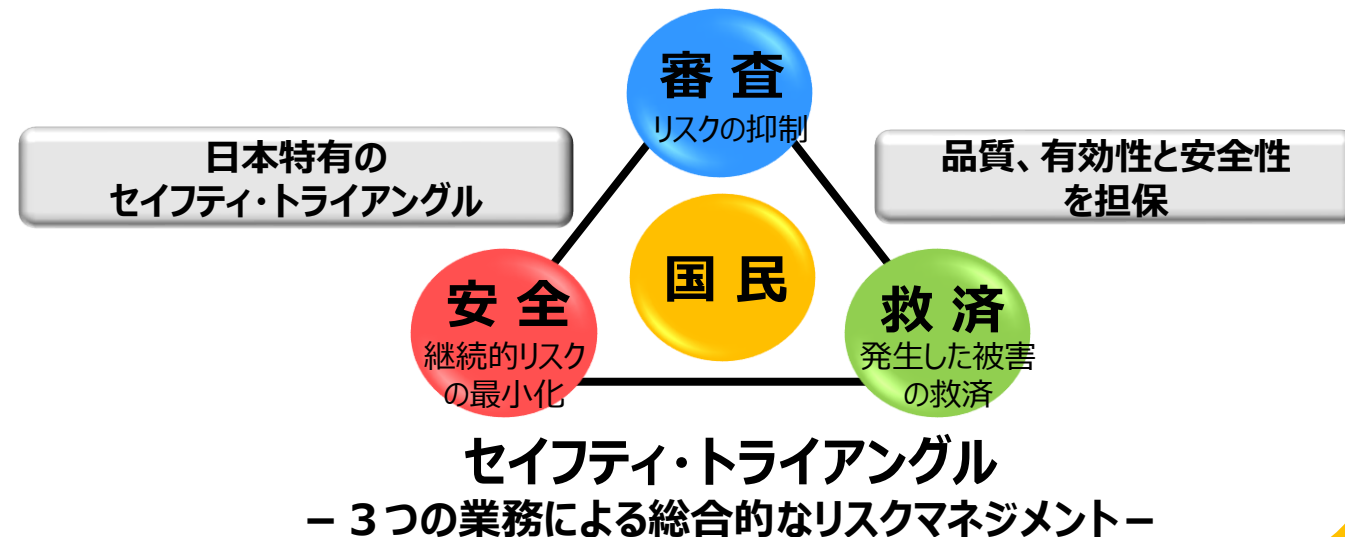


独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

医薬品医療機器総合機構（PMDA）とは？

- 厚生労働省所管の非公務員型独立行政法人（2004年4月設立）
- 医薬品、医療機器、再生医療等製品の承認審査、安全対策、健康被害救済を担う日本で唯一の公的機関
- レギュトリーサイエンスに基づき、より安全でより品質のよい製品をより早く医療現場に届け、医療水準の向上に貢献しています。

パーパス：健やかに生きる世界を、ともに、明日へつなぐ



- 医療等情報の利活用に関しては、次の4つの立場で深く関与

審査業務

RWDを用いた承認申請、
再審査申請への対応

結果を評価する立場

RWDを取り扱うステーク
ホルダーの支援（相談対応）

事業者を支援する立場

安全対策業務

RWDを用いた医薬品の
市販後安全対策の実施

情報を利用する立場

医療情報データベース
(MID-NET)の運営・管理

基盤を運営する立場

1. RWDを用いた承認申請、再審査申請への対応

① 医薬品等の承認申請書や再審査申請書に添付されるRWDを活用した資料の審査及び調査を実施

信頼性が担保されているデータ

×

適切な解析計画

=

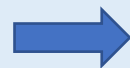
評価可能な結果

〈実績（2024年12月時点）〉

承認申請に利用は少数（臨床試験の実施が困難な場合の利用）。
再審査申請に利用は、実施中を含めると約100品目。（次ページ参照）

PMDA

審査・調査



RWDを
活用した申請資料

② RWDを活用した申請資料を作成する際に参考となる各種通知やガイドラインの作成及び発出への協力

PMDA

各種通知
ガイドライン



RWDを
活用した申請資料

※RWDを活用する際に遵守すべき法令及び参考にするべき各種通知及びガイドライン

発出日	通知等の名称
H26.3.31	医療情報のデータベース等を用いた医薬品の安全性評価における薬剤疫学研究の実施に関するガイドライン
H29.6.9	製造販売後の医薬品安全性監視における医療情報データベースの利用に関する基本的考え方について
H29.10.26	医薬品の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令等の一部を改正する省令（公布）
H30.1.23	製造販売後データベース調査実施計画書の記載要領
H30.2.21	製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点について
H31.3.14	医薬品の製造販売後調査等の実施計画の策定に関する検討の進め方について（R6.7.18 改正）
R1.6.19	（廃止）医薬品の製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点に係る質疑応答集（Q&A）について
R2.3.23	再生医療等製品の製造販売後データベース調査における信頼性担保に関する留意点について
R2.7.31	製造販売後データベース調査で用いるアウトカム定義のバリデーション実施に関する基本的考え方の策定について
R3.3.23	「承認申請等におけるレジストリの活用に関する基本的考え方」について
R3.3.23	「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点」について
R4.9.14	レジストリ又は医療情報データベースのデータを医薬品の承認申請、再審査等申請に利用する場合の信頼性担保に係る留意点に関する質疑応答集（Q&A）について
R5.2.17	医療情報データベースを利用した調査結果に係る電子化された添付文書への記載要領の改正について
R5.3.31	レジストリ又は医療情報データベースのデータを再生医療等製品の承認申請、再審査等申請に利用する場合の信頼性担保に係る留意点に関する質疑応答集（Q&A）について
R6.7.18	「医薬品の製造販売後調査等の実施計画の策定に関する検討の進め方について」の一部改正について
R6.10.4	医療用医薬品の承認事項一部変更承認申請又は電子化された添付文書改訂においてレジストリデータを活用する際の留意点について
R7.3.24	「外部対照試験に関する留意事項」について（Early Consideration）
R7.5.21	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（薬機法）の一部改正（公布）

(1)承認申請の際に、リアルワールドデータの資料(評価資料・参考資料)が添付された主な事例

医薬品／医療機器		効能・効果／製品概要	承認日	RWD
医薬品	トラスツズマブとペルツズマブとの併用	がん化学療法後に増悪したHER2 陽性の治癒切除不能な進行・再発の結腸・直腸癌	2022年3月28日	SCRUM-Japanレジストリに基づき主治医により選択された治療を受けた群を設定し、外部比較対照として利用
医薬品	オリブダーゼ アルファ	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症	2022年3月28日	患者の自然経過データを前向きに収集する多施設共同の国際調査研究を外部比較対照として利用
医薬品	ボソリチド	骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症	2022年6月20日	患者の成長の自然経過を後ろ向きに収集する臨床研究を外部比較対照として利用
医薬品	アルグルコシダーゼ アルファ	低ホスファターゼ症	2015年7月3日	生存期間等の自然経過についてのレトロスペクティブ観察試験を外部比較対象として利用
医療機器	エドワーズサピエン3	外科的手術が困難な弁膜症患者に使用される経カテーテル心臓の膜弁	2022年9月27日	TVT Registryに基づき、新たな治験を実施する代わりに、米国経カテーテル生体弁のレジストリデータを評価資料として利用
医療機器	SelectSecureリード	心房又は心室のペースティング及びセンシングを行う際に使用される、スクリューイン型の双極経静脈リード	2024年6月18日	Product Surveillance Registryに基づき、左脚領域ペースティングを行った患者のデータを前向きに抽出し、有効性及び安全性の評価として利用
医療機器	COMBO Plus コロナリーステント	マウス抗体使用冠動脈ステント	2024年8月2日	ステントサイズの追加にあたり、MASCOTレジストリの二次解析により、追加ステントサイズ群と既存ステントサイズ群との比較を行い、追加ステントサイズの有効性及び安全性の評価として利用

(2)承認品目における製造販売後DB調査の実施状況
(再審査申請の際にリアルワールドデータを用いた添付資料が添付される品目)

平成29年度	平成30年度	令和元年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度	令和5年度	令和6年度
8	14	19	11	10	12	11	13

全98品目
そのうち再審査終了済み:5品目

2.RWDを取り扱うステークホルダーの支援（相談対応等）

①複数の相談枠を設置し、企業、アカデミア、データベース事業者、レジストリ保有者からの相談を随時受付・対応中

審査担当部

レジストリ使用計画相談 （医薬品/再生医療等製品）	疫学調査相談 （医薬品）
個別品目の有効性及び安全性の評価にあたり、レジストリを活用したい場合に、当該レジストリの使用計画について、活用目的に即した使用の妥当性及び評価項目の充足性等について指導及び助言を実施。【主に製造販売業者が対象】	使用成績比較調査又は製造販売後データベース調査等に関する手続きや調査計画に関する指導及び助言を実施。【主に製造販売業者が対象】

信頼性保証担当部

レジストリ活用相談 （医薬品/再生医療等製品/医療機器）	レジストリ信頼性調査相談 （医薬品/再生医療等製品/医療機器）	データベース活用相談 （医薬品）	データベース信頼性調査相談 （医薬品）
レジストリの利活用を前提とした計画の考え方、また、その際のレジストリの質向上及び信頼性確保のための一般的な考え方について指導及び助言を実施。【主にアカデミア（レジストリ保有者）が対象】	個別品目について、調査等の開始前にレジストリの信頼性担保の考え方に対する助言又は申請前に当該調査の信頼性に関する確認を実施。【主に製造販売業者が対象】	データベースの利活用を前提とした計画の考え方、また、その際のデータベースの質向上及び信頼性確保のための一般的な考え方について指導及び助言を実施。【主にDB事業者が対象】	個別品目について、調査等の開始前にデータベースの信頼性担保の考え方に対する助言又は申請前に当該調査の信頼性に関する確認を実施。【主に製造販売業者が対象】

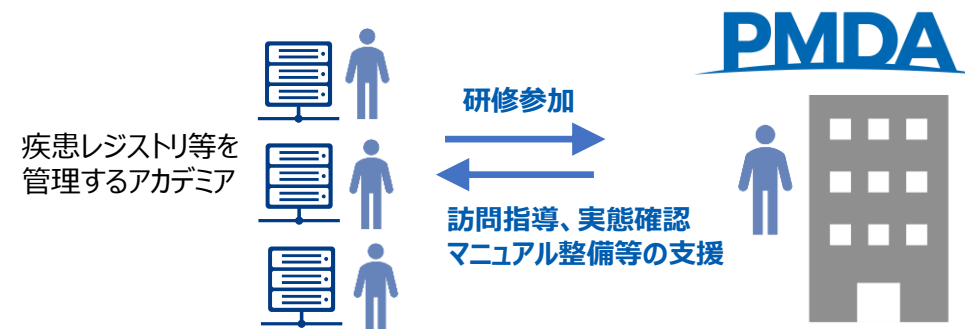
②厚生労働省が主管するリアルワールドデータ活用促進事業への協力

【概要】

- 薬事水準のリアルワールドデータの信頼性確保の方策等に関する知識の普及を図ることを目的に、**PMDA職員が事業の参加者※と意見交換等を行うとともに、事業の参加者の目線で薬事水準のデータの信頼性担保について分かりにくい点等を把握するための事業。**

※厚生労働省が公募により選定した「疾患レジストリ等の保有者」及び「認定仮名加工医療情報作成事業者」

- 事業の参加者以外の方にも、事業で使用する説明動画を視聴する場を提供（視聴は任意）。薬事水準のデータの信頼性担保について分かりにくい点等を情報収集。



3.医療情報データベース（MID-NET）の運営・管理



- MID-NET®は、医薬品安全対策等に資することを目的に構築された医療情報データベース。PMDAが機構法の規定※に基づき協力医療機関の協力を得ながら運営・管理している。

※独立行政法人医薬品医療機器総合機構法第15条第1項第5号ハ及びヘ

- 次の提言に基づき、2011年から構築を開始。

- 「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」による「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）」（2010年4月）
- 「医薬品の安全対策等における医療関係データベースの活用方策に関する懇談会」による「電子化された医療情報データベースの活用による医薬品等の安全・安心に関する提言（日本のセンチネル・プロジェクト）」（2010年8月）

- **2018年から本格運用開始。**外部からの要望を踏まえ、行政だけでなく、製薬企業・アカデミアの利用も可能に。利活用者のオフィスからも利用可能。なお、行政利活用の結果は、既に、安全対策措置を検討する上で活用されている。

（利活用実績（2024年12月時点））13社16品目（2社2品目は再審査終了品目）

- **データベースの品質管理、標準化の維持管理、システムの運営管理を適切且つ効率的に実施することが重要。**さらに、**利活用者の利便性を向上するため、利活用ルール**については、適宜改訂している。

MID-NET®による医薬品等の安全対策

行政（PMDA）

製薬企業

アカデミア

医薬品等の安全性情報の調査・解析

協力医療機関

DB

レセプトデータ

電子カルテデータ

DPCデータ

検査データ



全国9拠点31病院

830万人超

（2024年12月末時点）

協力医療機関

DB

協力医療機関

DB

協力医療機関

DB

利活用者のオフィス

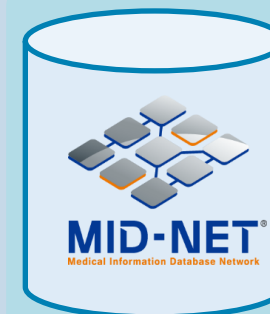


オンサイトセンター



接続

MID-NET データベース



4.RWDを用いた医薬品の市販後安全対策の実施

新たな注意喚起

- ◆ DAA投与時のワルファリン等の用量調節
- ◆ ペグフィルグラスチムによる血小板減少
- ◆ 腎機能障害の程度に応じたビスホスホネートによる低カルシウム血症リスク
- ◆ NSAIDsによる心筋梗塞、脳血管系障害のリスク



安全対策措置効果評価

- ◆ 定期的な臨床検査とチアマゾールによる顆粒球減少
- ◆ 腎機能障害患者でのメトホルミンの安全性（乳酸アシドーシスなど）
- ◆ 炭酸リチウム処方時の血中濃度測定の実施状況

現在の安全対策の適切性確認

- ◆ ロモソズマブによる心血管系事象リスク
- ◆ DAAの製剤別の腎機能障害リスク
- ◆ 非定型抗精神病薬による消化管障害リスク
- ◆ フルオロキノロン系抗菌薬による網膜剥離リスク

新たな安全性シグナルの検出・強化

- ◆ 緊急承認を受けたエンシトレルビル フマル酸（COVID-19治療薬）の安全性シグナル検出
- ◆ 肝機能、腎機能、血液系等の臨床検査値異常に関する安全性シグナル強化

その他

MID-NET®で特定した肺動脈性肺高血圧症治療薬による肝障害発現リスクは、全例調査の結果を一定程度再現可能であったこと、NDBで特定した疾患の背景発現率がワクチン接種による副反応のリスク評価に活用できる場合があることなどを明らかにしてきた。

医療等情報の利活用は、PMDAの業務に深く関係しています。推進するにあたっては（制度設計するにあたっては）、次の点にもご配慮いただきたくお願いします。

①利用する情報は、信頼性が確保されていることが重要。

「医療等情報の収集」＝「医療等情報が利活用できる」ではない。また、データ入力段階の統一は現状難しい。しかし、データ収集段階から、データの標準化と品質管理を実施されるような制度設計が必要不可欠である。

②利活用者の利用環境は、利便性確保が重要。

利活用者に課せる義務は、管理者に課せる義務と切り離せない。しかし、安全面で留意することが重要であるが、契約や運用面での制限を重視し、物理要件を最低限になるような制度設計が必要不可欠である。

③利活用手続きの事務処理は、短期間で終了することが重要。

当該事務処理は、時間がかからないような制度設計が必要不可欠である。また、行政機関が実施する業務の活用は、緊急時に対応することがあるため、更に時間がかからないようにすることが必要不可欠である。

④承認申請や再審査申請に利用されることも見越して、制度設計することが重要。

医療等情報を薬事利用する際、申請時に、医薬品等の有効性・安全性を説明できる集計結果やデータセットを提出しなければならない。また、信頼性調査に対応（原データ及びその管理状況を示す資料にアクセス）しなければならない。それらができなければ申請に利用できなくなるため、それを見越した制設計が必要である

※次世代医療基盤法でも対応されているため、参考となる。

⑤データの利活用と個人情報保護のバランスが重要。

希少疾病薬や開発要請を行う医薬品の薬事承認を検討する際、医療等情報の活用が有用な場合がある。治療の選択肢が限定される患者にとって自分の医療等情報を使えるようにすることも権利である。医療等情報の取扱いを最大限留意しつつ、このような患者を対象とした医薬品の研究だけでなく、開発や申請に利用できるようなバランスを重視した制度設計が必要である。

※EHDSのルールにおいても、患者等のエンドユーザーの利益を目的として、研究・開発等の二次利用目的で、医療情報データへのアクセスを許可するとされている（次ページのとおり）。

REGULATION (EU) 2025/327 OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL of 11 February 2025 on the European Health Data Space and amending Directive 2011/24/EU and Regulation (EU) 2024/2847

Article 53

Purposes for which electronic health data can be processed for secondary use

1. Health data access bodies shall only grant access to electronic health data referred to in Article 51 for secondary use to a health data user where the processing of the data by that health data user is necessary for one of the following purposes:

- (a) the public interest in the areas of public or occupational health, such as activities to protect against serious cross-border threats to health, public health surveillance or activities ensuring high levels of quality and safety of healthcare, including patient safety, and of medicinal products or medical devices;
- (b) policymaking and regulatory activities to support public sector bodies or Union institutions, bodies, offices or agencies, including regulatory authorities, in the health or care sector to carry out their tasks defined in their mandates;
- (c) statistics as defined in Article 3, point (1), of Regulation (EC) No 223/2009, such as national, multi-national and Union-level official statistics, related to health or care sectors;
- (d) education or teaching activities in health or care sectors at vocational or higher education level;
- (e) scientific research related to health or care sectors that contributes to public health or health technology assessments, or ensures high levels of quality and safety of healthcare, of medicinal products or of medical devices, with the aim of benefiting end-users, such as patients, health professionals and health administrators, including:
 - (i) development and innovation activities for products or services;
 - (ii) training, testing and evaluation of algorithms, including in medical devices, *in vitro* diagnostic medical devices, AI systems and digital health applications;
- (f) improvement of the delivery of care, of the optimisation of treatment and of the provision of healthcare, based on the electronic health data of other natural persons.

(e) 患者、医療専門家、医療行政担当者などのエンドユーザーの利益を目的として、公衆衛生または医療技術評価に貢献し、または医療、医薬品、医療機器の高い水準の品質と安全性を確保する保健医療または介護分野に関連する科学的研究。これには以下が含まれる：

- (i) 製品またはサービスの開発および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ケーションを含むアルゴリズムの研修、試験、評価。