

2024年10月7日

公益財団法人大原記念倉敷中央医療機構 倉敷中央病院

株式会社 JMDC

リアルワールドデータ株式会社

倉敷中央病院と JMDC グループ、電子カルテデータベースを用いて、 小児適応外薬の公知申請に資するエビデンス創出を目指した共同研究を開始

公益財団法人大原記念倉敷中央医療機構 倉敷中央病院（住所：岡山県倉敷市、院長：寺井章人、以下「倉敷中央病院」）、株式会社 JMDC（本社：東京都港区、代表取締役社長兼 CEO：野口亮、以下「JMDC」）及び JMDC の子会社であるリアルワールドデータ株式会社（本社：京都市、代表取締役：木村丈、以下「RWD」）は、電子カルテから構築した医療情報データベースを用いて、現在小児適応外薬となっているプラケニル®の公知申請時に参考資料として利用可能なエビデンス創出をを目指した共同研究を開始することといたしましたので、以下のとおりお知らせいたします。なお本研究は、難病を含めた小児医療の発展のためにビッグデータを活用して JMDC が始動させた支援プロジェクト「Big Data For Children」の一環として実施されます。

■ 本研究実施の背景

欧米では承認されている医薬品が、日本では承認が遅延、または承認されないドラッグラグ・ドラッグロスが昨今問題となっており、中でも小児用医薬品は一定の割合を占めています。小児に適応外となっている医薬品の承認を得る方法の一つとして公知申請がありますが、公知申請の要件の一つとして実臨床において使用実績があることを示す資料が必要です。そのエビデンス構築のためにデータベースの利活用が期待されていますが、レセプトや DPC 由来のデータベースは保険請求を基としたデータベースのため、保険適応外で使用された医薬品のデータ収集には限界があります。

■ 本研究の概要

電子カルテデータベースには、保険適応の有無に関わらず患者さんに処方された医薬品の情報が記録されています。そこで倉敷中央病院、JMDC 及び RWD は、RWD にて従来から構築していた電子カルテデータベース（RWD-DB）を用いて、現在は小児適応外薬となっているプラケニル®の公知申請を目指した共同研究を開始いたします。

プラケニル®は現在、日本では全身性及び皮膚エリテマトーデスの治療薬として承認されており、また欧米の治療ガイドラインでは小児の遺伝性間質性肺疾患への治療の一つとして推奨されています。他方、日本では6歳未満の小児に対しては禁忌とされており、適応外となっています。出生時から呼吸障害をきたし、他の治療で効果が見られない場合は死亡を含め重篤な経過をたどるため、現状では、倫理審査や保護者の同意を経て、プラケニ

ル®を投与するケースが存在していますが、倫理審査には時間がかかり治療計画に影響があるため、適応承認が望まれています。

なお、RWD-DB を使用した DB 研究においては、公知申請ではありませんが、過去アセトアミノフェンにおける重篤な腎障害のある患者に対する禁忌解除の際に活用されています¹²。

1. PMDA が作成した調査結果報告書 <https://www.pmda.go.jp/files/000264874.pdf>

2. 引用された文献

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/?term=https%3A%2F%2Flink.springer.com%2Farticle%2F10.1007%2Fs11255-020-02596-7>

本研究では電子カルテデータベースを解析して、日本国内における小児例へのプラケニルの使用状況及び副作用として懸念されている網膜症の発症率について集計することで、プラケニル®の公知申請のエビデンス創出を目指します。

【公益財団法人大原記念倉敷中央医療機構 倉敷中央病院について】

1923年に倉敷紡績株式会社社長であった大原孫三郎氏により開設。岡山県西部の中核医療機関として高度急性期医療および高度先進医療（高額医療機器が必要な医療、高難易度の治療、希少疾患に対する専門的治療など）を担っています。

URL : <https://www.kchnet.or.jp/>

【Big Data For Children について】

日本では、子ども向けの医薬品開発が非常に少なく、臨床現場では、オフラベルでの薬剤使用や大人用製剤が個々の医師や薬剤師の工夫により使用されています。疾病負荷（Disease Burden）の観点では、疾病を抱えた子どもにかかる生活負担や経済的負担など、様々な負担の詳しい調査・分析は十分行われていません。子どもたちがどんな疾病にどのくらいかかり、どのくらいの通院や入院をしているか、といった基礎的な記述疫学も十分行われていません。

「Big Data For Children」は、JMDCが有する国内最大級のヘルスビッグデータを活用し、小児における疾患・治療の実態についての研究が困難な状況を解消するためのユニークな取り組みを推進するプロジェクトです。

病気に苦しむ子どもたちの実態を社会に伝えることで、日本の未来をつくる子どもたちを救うきっかけづくりを行っています。

URL : <https://www.bigdataforchildren.jp/>

【株式会社 JMDC について】

医療ビッグデータ業界のパイオニアとして2002年に設立。独自の匿名化処理技術とデータ分析集計技術を有しています。12億5,500万件以上のレセプトデータと6,200万件以上の健診データ（2024年3月時点）の分析に基づく保険者向け保健事業支援、医薬品の安全性評価や医療経済分析などの情報サービスを展開しています。また、健康度の単一指標（健康年齢）や健康増進を目的としたWebサービス（Pep Up）など、医療データと解析力で健康社会の実現に取り組んでいます。

URL : <https://www.jmdc.co.jp/>

【リアルワールドデータ株式会社について】

2015年創業。創業以来、自治体から学校健診情報や乳幼児健診情報を、医療機関からは医学的な信頼性の高い診療情報を集積し、経年的な疾患の因果関係を明らかにするなど、疫学的アプローチを用いて医療の進歩に貢献する「ライフコースデータベース」を構築してきました。2022年よりJMDCグループに参画し、現在は電子カルテをはじめとする医療機関内の診療データを集約、活用することで、医療機関における診療データ分析、臨床研究、治験、製造販売後調査を効率化し、医療に関わる全ての人が理想的なデータインフラにアクセスできる社会の実現に取り組んでいます。

URL : <https://rwdata.co.jp/>

【本件に関するお問い合わせ先】

株式会社 JMDC IR 室

TEL : 03-5733-5010

Email : jmdc-pr@jmdc.co.jp

リアルワールドデータ株式会社 担当：服部

TEL : 075-748-0742

Email : solution@rwdata.co.jp