

HUMAN SCIENCE IMPROVING OUTCOMES

エビデンス構築における 支出見直しについて

リアルワールドエビデンス (RWE) の必要性が高まる中、スポンサー各社が、コスト管理、多岐にわたるステークホルダーへの対応、エビデンス構築の迅速化、試験結果の有用性向上のための解決策を求めています。本書では、第IV相試験群を見直し、革新的試験デザインの採用によって試験実施コストを40%削減できる可能性を見出したあるお客様の事例をご紹介します。この結果は、業界のリーダーらでさえ、RWEの新しい活用ノウハウからメリットが得られることを示しています。



NANCY DREYER
PHD, MPH, FISPE, FDIA

Global Chief of Scientific Affairs and
Head of the Center for
Advanced Evidence Generation,
Real-World Insights, IQVIA
nancy.dreyer@iqvia.com



EMILE SCHOKKER, MBA, MSC

Vice President
Real-World Insights
IQVIA
emile.schokker@iqvia.com



MATTHAEUS RIMPLER
MD, MBA

Principal
Real-World Insights
IQVIA
mrimpler@iqvia.com



BARBARA ISQUITH ARONE, MS

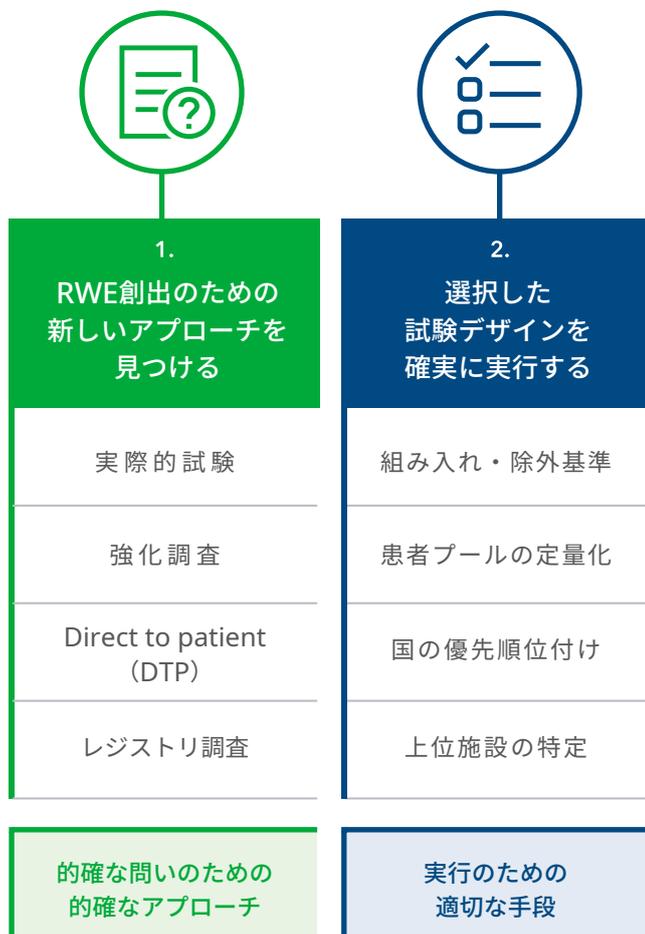
Vice President, Business Operations
Center for Advanced Evidence
Generation
IQVIA
barbara.arone@iqvia.com



RWEに基づく試験デザインによって 後期臨床試験を改善

プレジジョンメディシン時代の到来が、エビデンスの構築にさまざまな影響を及ぼしています。市場経済においては、医薬品がより小規模な患者数を対象とするようになれば、バイオファーマはより効率的に製品サポートを行うことが求められます。それゆえ各社は、臨床試験の実施が一層複雑化する中で、試験を迅速化し、合理化するための新しいソリューションを模索しています。図1に示す通り、バイオファーマには、市販後調査のデザインと実施に関して多くの選択肢が必要です。

図1：試験のデザイン・実施におけるRWEの役割



革新的試験デザイン

リアルワールド・エビデンス(RWE)に基づく試験では、日々発生している事実に関するデータを使用します。RWEには、非介入試験や介入試験により収集されるプライマリーデータ、データベースや患者レジストリに基づく研究、その他実現性に応じこれらを組み合わせた複合型アプローチが含まれます。プライマリーデータの補足や代替としてレセプトや電子カルテなどのセカンダリーデータを使用することによって、ランダム化比較試験のコストを60～80%抑えることができます。

実際の臨床試験(pRCTs)は、従来のランダム化比較試験のいくつかの要素を継承しながらも、より臨床的に価値があり、一般化できる結果をコストを抑えながら導き出すことができます。実際の臨床試験では、治療は盲検化していない試験薬と有効比較対照薬を無作為に割り付け、日常の治療の中でフォローアップのための受診とデータ収集を行います。アウトカムは、処置を明かされていない評価者が判定します。幅広い実際の臨床試験デザインは、従来のランダム化比較試験コストをおよそ40～60%抑えることが可能です。

DTP(direct-to-patient)調査では、医師を介さずに被験者の募集と情報提供依頼が行われます。この調査には、自己申告データのほか、同意に基づく医療記録へのアクセスや臨床検査結果の収集が含まれることがあります。

**DTP試験デザインは
採用されるケースが次第に増え、
従来のランダム化比較試験の
40～60%のコストで信頼できる
結果を得ることができます。**



強化調査では、被験者の同意に基づき、既存データを試験固有のプライマリーデータと紐付けし、さまざまな目的に活用できる強化データを構築します。

[次頁へつづく](#)

ケーススタディ

革新的機会を見つけるためのポートフォリオ見直し

あるバイオフーマのRWEチームから依頼を受け、IQVIAは、RWEを使って第IV相試験の有効性を高めるための機会を洗い出すマルチフェーズプロジェクトを行いました。一番の検討ポイントは、この会社の研究ポートフォリオを踏まえ、試験デザインの中でRWEの利点をフル活用できているか、コスト削減、時間短縮、医師や被験者のスムーズな参加についての革新性を失っていないか、という点です。

IQVIAでは、顧客チームと協力し、4つの基本ステップの中で全般的な研究計画を検討しました。

1. 現在の後期臨床試験群を見直し、採用した試験デザインの点から特徴づけする

検討の結果、多くは(90%)1カ国のみで行う国内試験であること、全体の4分の1は規制当局が義務付けた試験であること、多くは仮説検証ではなく、記述統計であることが判明しました(図2参照)。

2. RWEを活用した革新的試験デザインを採用する潜在的な機会を見つけ出す

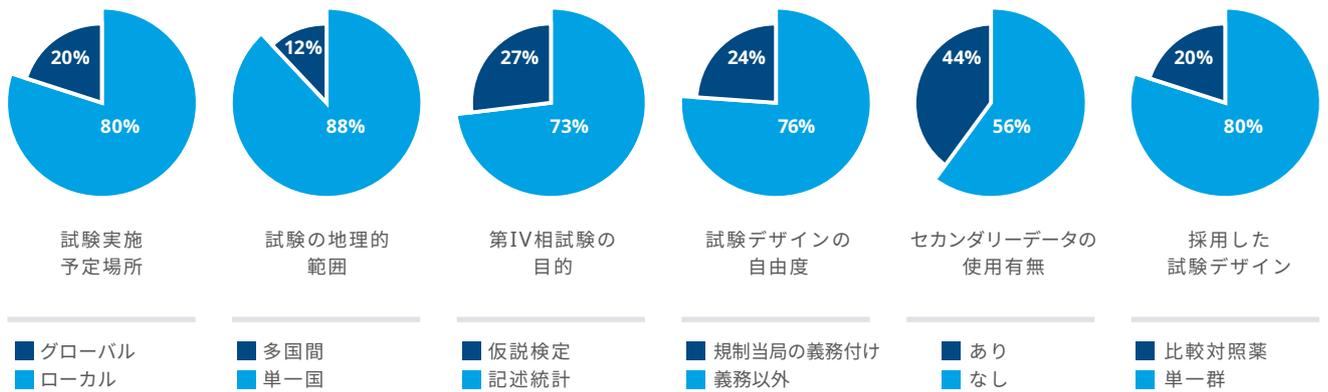
この会社でのおよそ200件の後期臨床試験のうち、28件のデザイン選択について評価を行い、一部はさまざまな理由により検討対象から除外しました。

28件のうち、11件については、リアルワールド・データ(RWD)の使用を含む代替策を提案しました。興味深いことに、新しいデザインが提案できなかった17の試験には一つの共通点がありました。それは、試験のエンドポイントがRWDでの評価に適していなかったということです。

3. 特定した試験についてコスト分析を行い、デザイン革新性の価値を理解する

最初に、患者報告アウトカム(PRO)を使った、治験責任医師施設でのフォローアップ受診を伴う多国間オープンラベル試験について検証し、当社が提案した方法を用いることによって、患者あたりのコストを50%削減できる可能性が明らかになりました。

図2：第IV相試験群の俯瞰評価



結論：

- 多国間試験のコーディネーションにはより一層の注意が必要
- 試験目的は研究戦略の観点から批判的視点にたったレビューが必要
- セカンダリーデータの使用について体系的検討が必要

2番目のケースは、2つの慢性合併症を持つ患者を対象にした多施設二群間ランダム化比較試験です。どちらの被験者群も試験薬の投与を参加条件の一つとし、生活習慣の改善を介入群としました。検証の結果、試験薬のみの被験者群は、電子カルテのみを使用したデータ収集によって実施可能であったとの結論に達し、その場合、予算を50%削減できた可能性があります。

4. コスト分析の結果を試験群全体に当てはめる

お客様側で、分析のおおまかな想定を残りポートフォリオに適用するための手法を構築し、代替デザインの使用の検討が可能な場合、デザインの各手段を当てはめました。このお客様の場合、全体で15%以上のコスト削減の可能性があり、改善余地のある試験群に限れば、コスト削減効果は平均でおよそ40%となりました(図3参照)。

ケーススタディからの考察

ケーススタディから、臨床試験の生産性を改善したいと考えているどのスポンサー企業でも活用できるいくつかの点が明らかになりました。試験実施の助けとしてRWEを確実に最大活用するためには、次の事項を推奨します。

- 実施中の後期臨床試験について全社的レビューを行う。

実施中の試験の特性を明確にすると、全体的試験戦略の実行度合や効率化の余地が把握でき、それを土台に調整や工夫を凝らすことができます。ケーススタディからの重要な学びの一つは、試験目標を地理的視点から検討することによってコスト削減が図れるという点です。革新的試験デザインを適用できるかどうかは、ステークホルダーの同意と必要となる現地情報資産の有無が関係するためです。

次頁へつづく

図3：デザイン変更によって予想されるコスト削減

デザイン変更案	試験件数	削減範囲	結論
プライマリーデータ収集に代えて既存の電子カルテデータを使用(単一群)	1	30 - 40%	
特定国でDTPフォローアップ調査の実施(施設ベースに代えて)	1	40 - 60%	
プライマリーデータ収集に代えて既存の電子カルテデータを使用	1	60 - 80%	
臨床情報として電子カルテ/保険請求を使用PRO収集のためにDTP調査を行う	1	30 - 40%	
Direct-to-patientフォローアップ調査の実施(施設ベースに代えて)	1	40 - 60%	
データ抽出のためチャートレビューの活用	2	50%	
患者特定のためセカンダリーデータの活用	2	20%	
電子データを収集し、レジストリと紐付	2	30%	
特に提案なし	17	0%	
	計 28	加重平均 ~16%	

世界的主要企業でさえ、まだ手つかずの改善余地があります。
 ここでご紹介したお客様に関しては、後期臨床試験の一部について
 RWEを活用した別のデザインが使用可能で、
 その結果およそ40%のコスト削減効果が見込めるということがわかりました。



- **後期臨床試験にガバナンスを実施する**

試験デザインについてビジネス横断的ユニット、部門横断的レビュー・承認プロセスを導入することによって、試験デザインの知識を活かし、調査にかかる工数の効果を最大化できます。また、エビデンスニーズを優先順位付け、調整を図り、無駄な重複をなくすことでも価値(コスト削減効果)が生まれます。提案される試験が全て戦略に寄与するわけではありません。しかし、試験にはローカル性があるため、こうした部門・地域横断的な連携が容易ではないことは言うまでもありません。

- **革新的デザイン採用の機会のために、計画した試験プログラムを全社横断で検証**

ガバナンスプロセスには、今後の試験デザインにRWEを活用できないかの検討作業を通常手順として組み込む必要があります。規制当局や保険者と協議し、新しい方法への質問に対応する時間を十分に確保するために、プランニングは、早めに完了させなければなりません。革新的デザインの専門家に相談すると、検討する選択肢の幅が広がります。

- **エンドポイントを確定する前に、革新的デザインの選択肢を検討(図4参照)**

通常の試験計画プロセスでは、エンドポイント選択によって、デザインのオプションが、時に不必要なまでに制限されてしまうことがあります。言い換えると、固定的で柔軟性がなく、実際的でない(代用)エンドポイントが起点である場合、研究者はRWDを活用した多様な革新的試験デザインを必ずしも考慮できなくなります。エンドポイントの選択は、時に試験デザインを予め決めてしまうことになり、革新性の機会損失となります。

例えば、選択したエンドポイントが普段の臨床診療では行わない臨床検査を用いた差分の測定である場合、その介入試験では、将来を見越して、そのデータを計画的に収集しなければなりません。しかし、仮に日常的に収集する臨床検査値の変化の測定で有効であるならば、介入的ではなく、もっと実際的なデザインが可能になるかもしれません。

図4：試験設計の道筋オプション



まとめ

多くのライフサイエンス企業は新しい試験方法(実際の試験デザインやDTP調査など)を採用し始めています。その一方で、主要グローバル企業でさえ手つかずの改善余地があります。ここでご紹介したお客様は、RWEの活用により、後期臨床試験の一部について、およそ40%のコスト削減効果のある別のデザインが可能であることがわかりました。

ポートフォリオ全体に関して、RWEの新しい活用によって15%以上のコスト削減が可能であり、またRWEを考慮に加えることによってさらに大きな投資利益が得られた可能性があります。

図5が示す通り、試験デザインへの注目は、市販後調査を効率化するための一つの側面にすぎません。デザインされた試験を成功裏に実施するには、全体的エビデンス戦略を見直すところから始め、的確な運用手順を採用する必要があります。

図5：RWEの価値推進要因 - 戦略から実施まで



試験デザインを成功裏に実施するには、全体的エビデンス戦略を見直すところから始め、的確な運用手順を採用する必要があります。

IQVIA について

IQVIA (NYSE:IQV) は、情報や革新的テクノロジー、及び臨床試験サービスを提供する世界的なリーディングカンパニーであり、データとサイエンスを駆使して、ヘルスケアに関連するお客様が患者様により良いソリューション提供することに貢献しています。IMS HealthとQuintilesが統合することで誕生したIQVIAは、ヘルスケアの発展に寄与する医療情報、テクノロジー、分析力および人知による創意工夫を活用した幅広いソリューションをご提供しています。私たちIQVIAは、お客様が新たなアプローチで臨床開発や製品の上市・販売を実現し、自信を持ってイノベーションに取り組み、いち早く有意義なヘルスケアアウトカムを実現できるようお手伝いします。世界100カ国以上で活躍する、およそ5万5,000人の当社社員一人一人が、ヒューマン データ サイエンスの実現に尽力しています。この、ヒューマン データ サイエンスの原動力は「IQVIA CORE™」であり、ビッグデータ、革新的なテクノロジーと専門的かつ広範な知識に裏付けされた分析力とを結集した、実用的かつ唯一無二のインサイトによってこれらを可能にしているのです。

IQVIAは、患者様の個人情報の保護の分野においても世界をリードしています。ヘルスアウトカムを発展させるのに必要な情報を収集し分析する一方で、様々なプライバシー保護のための技術や安全対策に取り組んでおります。IQVIAが持つインサイトや実行力は、患者様の治療・治癒の実現を目指すバイオテクノロジー企業、医療機器メーカー、製薬企業、医学研究者、政府機関、保険者その他の医療関係者の皆様が、疾患や人間行動、サイエンスの進歩を追求するのにきっとお役に立てるものと考えております。IQVIAの詳細な情報はこちら (www.IQVIA.com) をご覧ください。

IQVIAソリューションズ ジャパン株式会社

〒108-0074 東京都港区高輪四丁目10番8号 京急第7ビル

TEL: 03-6894-5400

EMAIL: jp.coms@iqvia.com

URL: www.iqvia.co.jp

IQVIAサービシーズ ジャパン株式会社

〒108-0074 東京都港区高輪四丁目10番18号 京急第1ビル

TEL: 0120-994-060

EMAIL: Japan@iqvia.com

URL: www.iqvia.co.jp

