

臨床治験の効果的な推進を支援する、 多系統萎縮症レジストリシステム

国立大学法人 東京大学医学部附属病院（以下、東大病院）が「多系統萎縮症レジストリシステム」の運用を開始しました。このシステムは、多くの医療機関や患者さんから集められた疾患情報をクラウドでセキュアに匿名管理。多様なデータを活用できるIT基盤が整備されたことで、治験や新しい治療法の開発、病態解明が一層進むものと期待されています。

患者さんの個人情報 強固に守るデータベース

東京大学大学院 医学系研究科 特任教授の辻 省次氏は、日本における神経変性疾患の分子遺伝学研究とゲノム解析の第一人者として知られています。辻氏は長年、神経変性疾患の中でも難病の一つとされている「多系統萎縮症」の研究に取り組んできました。

「多系統萎縮症は50代後半に発症する希少疾患で、国内では約12,000名の患者さんがいらっしゃる」と推定されています。家族性に発症することは極めてまれで、ほとんどの場合は孤発性の発症です。パーキンソン病に似た震えや筋肉のこわばり、歩行時にふらついてしまう、排尿障害などの症状が見られ、緩徐に進行することが特徴です。病気の進行を遅らせる有効な治療法はまだ見つかっていませんが、国際的な共同研究で行ったゲノム研究の成果から、コエンザイムQ10の合成に関与しているCOQ2遺伝子の多様性が発症リスクを高めることが分かってきており、コエンザイムQ10の補充という新たな治療法への期待が出てきました。適切な治験計画の立案のためには、多系統萎縮症がどのような経過をとるかという自然歴のデータが必要であり、さらに、COQ2の遺伝子型に基づいて層別化さ

れた治験のデザインを検討していることから、多施設共同研究体制で、レジストリの構築をしようと考えました」と辻氏は語ります。

辻氏らは新たなレジストリシステムのフレームワークとして、全国の協力医療機関から患者さんの主治医を通じて集める臨床データと、外部の医薬品開発受託機関（CRO※）に依頼した患者さんへの電話インタビューの両面から情報登録を行う仕組みを考案。それぞれで扱う患者さんの疾患に関連する情報をセキュアに一元管理可能なソリューションとして、日立の「患者レジストリシステム」を採用しました。

「システム構築で重視したのは、患者さんの個人情報を強固に守る、使いやすいデータベースを作ることでした。そこで参考にしたのは、当時すでに運用されていた国立精神・神経医療研究センターのRemudy（Registry of Muscular Dystrophy）でした。Remudyを運営している木村 円先生に相談したところRemudyで運用しているシステムを紹介いただきました。正確な自然歴の取得には、どうしても医療機関から、患者さんの臨床情報を提供いただくことが必要となりますので、CROと秘密保持契約を取り交わし、臨床情報は、それぞれの病院と契約を結ん

だうえて、CROに臨床情報を集積し、クラウド上でセキュアなデータベースの構築を進めました」と辻氏は経緯を振り返ります。

※ Contract Research Organization

自然歴の集約と治験への リクルートを期待

システム構築では協力医療機関からの情報登録に加え、CROによる電話インタビューの情報を同じデータベース上で管理する独自仕様の策定に多くの時間が費やされました。

「われわれの要求が多岐にわたっていたこともあり、テーブル策定では日立と何度も協議しながら細部を詰めていきました。項目の追加や修正といった面倒なリクエストにも真摯に対処してくださり、最終的に理想的なレジストリのクラウドデータベースができあがったことに感謝しています」と語るのは、システム要件定義を担当した医学系研究科 分子神経学 特任准教授の三井 純氏です。

東大病院内での試行運用を経て2016年9月から本格稼働を開始した多系統萎縮症レジストリシステムは、全国13の大学病院などから寄せられた医師経由の情報と、来院が負担となる患者さんから同意を得たうえで電話インタビューにより聞き

国立大学法人 東京大学医学部附属病院

所在地 東京都文京区本郷7-3-1
 設立 1858年5月
 職員数 常勤 2,655名/非常勤 1,336名 (2017年4月1日現在)
 病床数 1,217床



取った臨床情報を、個人情報も含めて日立が提供するクラウドで一括管理しています。独自のセキュリティ技術によって個人情報管理の負担とコストが軽減できるだけでなく、マシンの維持管理もサービスに含まれているため、大学やCROはコア業務に専念することができます。

「疾病の経過を経時的に観察して究明していくコホート研究では、それぞれの患者さんの経過を定期的に調べる自然歴の評価が欠かせません。通院に負担のある患者さんに来院してもらって調査する従来手法では、どうしても自然歴を半年・1年ごとにチェックするのが難しく、中断してしまうことが多々ありました。自然歴の正確なデータがないために治験がうまくデザインできないことが長年の悩みでしたが、今回のシステムが稼働したことで、自然歴が収集しやすくなり、治験に協力していただく患者さんのリクルートにも大きな威力を発揮すると考えています。また、クオリティの高い自然歴が一定数収集できれば、治験の際にプラセボ(有効成分が入っていない偽薬)を使わずとも効果が検証できるため、患者さんの負担を一層減らせる可能性も出てきます。そうした情報を明確なルールに沿ってセキュアに収集・管理できる基盤づくりは、医療関係者の努力だけでは実現が難しく、日立のような専門的知識と経験を持つITベンダーと協力しながら作っていくことが重要だと実感しました」と辻氏は語ります。

登録者数の拡大で臨床治験を迅速化していく

多系統萎縮症レジストリシステムへの登録者数は現在75名(2017年9月時点)。この数が100名以上になれば自然歴として一

定の評価ができるようになりますが、治験を開始するためには最低でも250名、またゲノム解析による大規模コホート研究を行うには数千名の情報登録が必要になると辻氏は説明します。

「希少疾患の治療法を確立するには、より多くの臨床データが必要です。

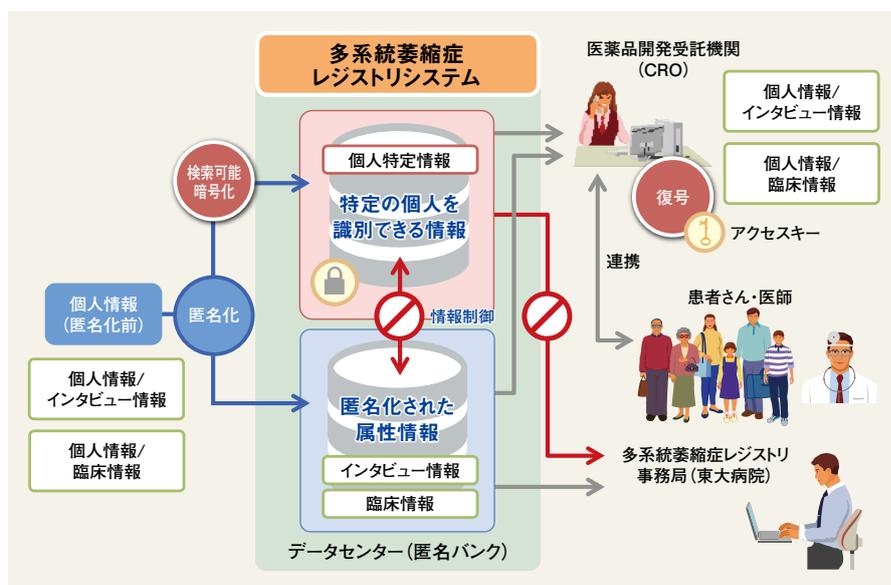
その第一歩となる基盤づくりを実現できたことで、今後は関係者の協力を得ながら、登録して下さる患者さんを一人でも多く増やしていくことが目標です。登録者数が増えて臨床研究が進めば、それだけ患者さんに提供できる情報量も多くなり、自身の病状把握や健康管理に生かすことができます。また今回のシステムでは東大病院独自の工夫として、患者さんから提供されたバイオリソース(DNA、血液、細胞などの生体試料)を国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所(以下、医薬基盤



国立大学法人 東京大学医学部附属病院
三井 純氏 辻 省次氏

研究所)にも寄託する仕組みとなっています。われわれの研究活動に加え、医薬基盤研究所に寄託した試料を他の研究者も積極的に活用していただくことで、新たな視点での治療法の発見や創薬に役立つ可能性が広がると期待しています」と辻氏は今後の展望について語ります。

これからも日立は東大病院とともにレジストリシステムの継続的な強化・改善を図りながら、さまざまな疾患に苦しむ人々の臨床研究と治験プロセスの迅速化に貢献していきます。



多系統萎縮症レジストリシステムの概要

お問い合わせ先

(株)日立製作所 ヘルスケアビジネスユニット
http://www.hitachi.co.jp/products/healthcare/contact_us/

■ 情報提供サイト
<http://www.hitachi.co.jp/tokumeibank/>