

責任ある臨床試験（治験）データ共有の原則

患者と研究者に対するコミットメント

バイオ製薬企業は、以下の『原則』に一致する責任ある臨床試験（治験）データの共有を通じて、公衆衛生の向上に献身する：

- **患者プライバシーの保護**
- **国の規制制度の統合性の尊重**
- **生物医学研究への投資インセンティブの維持**

企業は、自社の臨床研究を定期的に公表し、学術研究者と共同研究し、また患者募集時、新薬承認後、治験プログラムの中止時には公式ウェブサイト上でその臨床試験（治験）情報を共有する。

バイオ製薬企業は、共通基準としてこれらの『責任ある臨床試験（治験）データ共有の原則』を自主的に採用する。また官学等のすべての医学研究者に対し、下記のコミットメントの採用、実施を通じ、医学と科学の進歩を促進することを推奨する：

1. 研究者とのデータ共有の強化

バイオ製薬企業は、資格要件を満たした科学研究者や医学研究者から要求された場合、正当な研究を実施するために必要な患者レベルの臨床試験（治験）データ、研究レベルの臨床試験（治験）データ、米国（US）および欧州連合（EU）で承認された医薬品・適応症に対する治験プロトコル（治験実施計画書）の共有に取り組む。また、研究企画書を受領、検討し、それらの科学研究・医学研究に寄与する適切なデータやプロトコルの提供システムを確立する。

各企業は、社外の科学者および/または医療専門家を含む科学審査委員会を設置する。科学審査委員会の委員は、企業が該当する臨床試験（治験）データの共有を早期に決定している場合を除き、データ要求の審査に参加し、データ要求者の資格や研究目的の正当性など、下記の基準を満たしているか否かを判定する。またデータ要求に関する審査プロセスや社外の委員との既存関係等、科学審査委員会に参加した社外の科学者、医療専門家の身元を公開する。

企業は、患者のプライバシー保護の原則に反さない患者レベルのデータ、その他の臨床情報へのアクセスを提供する；臨床試験（治験）への参加に関連して患者が提供したインフォームド・コンセントを尊重する。共有する患者レベルのデータはすべて匿名化し、個人の識別が可能となる情報を保護する。個々の患者が再識別される合理的な可能性がある場合は、企業は患者レベルのデータへのアクセスの提供を要求されない。また、第三者へのデータ転移を禁じる契約書または同意文書の規定に従うことを条件に

臨床データが収集される場合がある。そのような制限によって、これらの『原則』に基づいて許可されるアクセスが無効になる場合がある。共同開発契約、その他の法的制限によって特定のデータの共有が阻まれる場合、企業は資格要件を満たした要求者と協力して、共有可能な部分の要約情報を提供する。

データの要求者は、研究課題の正当性および要求者の適格性を実証する研究企画書の提出を求められる。研究企画書は以下を含み、また以下に関して評価される：調査仮説を含む要求データの説明；提案された研究の根拠；分析計画；出版・掲示計画；提案された研究チームの資格と経験；データの競合使用の可能性等、潜在的な利益相反の説明；全研究費の資金源。

企業データへのアクセスを許可された研究者は、各々の分析結果の発表が奨励され、また期待されている。研究者は、研究企画書に明示されていない関係者への共有データまたは情報の転移、研究企画書に含まれていない目的でのデータの使用、または研究被験者の再識別を行わないことに同意しなければならない。

2. 臨床試験情報への一般アクセスの強化

患者や医療専門家の臨床試験（治験）結果や新薬承認のエビデンスに対する理解を促すため、米国や EU 域内で新薬あるいは既承認薬に対する新しい適応症が承認された場合、バイオ製薬企業は少なくとも、米国食品医薬品局（FDA）、欧州医薬品庁（EMA）、EU 加盟国の所轄官庁に提出した治験総括報告書（CSR）の概要を公開する。企業は、適切な編集を行い患者の個人情報、著作権、機密商業情報の保護ニーズに反しない情報を公開する。また、企業は患者レベル、研究レベルのデータを含む CSR 全文に対する要求を評価し、前述のコミットメント 1 の条件に従って共有する。企業は、2014 年 1 月 1 日以降に規制当局に提出した CSR の概要を公開する；CSR の概要は、製品や適応症の承認後、合理的な期間内に公開する。

3. 被験者との臨床試験（治験）結果の共有

自らが参加した臨床試験（治験）について患者に情報を提供し、また患者を啓発するため、バイオ製薬企業は規制当局と協力して臨床試験（治験）結果の事実要約を提供する仕組みを導入し、研究の被験者が要約を閲覧できるようにする。

4. 臨床試験（治験）データ共有手順の認証

『責任ある臨床試験（治験）データ共有の原則』を遵守する企業は、これらデータ共有コミットメントの実施方針および手順を定めた旨を、公開ウェブサイト上で明らかにする。

5. 臨床試験（治験）結果の公表に対するコミットメントの再確認

企業がスポンサーの臨床試験（治験）はすべて、その結果が肯定的、否定的であるかに関係なく、学術文献での発表を検討すべきである。少なくとも第 III 相臨床試験（治験）の結果や医学的に重要な

臨床試験（治験）の結果はすべて出版投稿すべきである。またこのコミットメントは、開発プログラムが中止された治験薬にも該当する。

これらのコミットメントは 2014 年 1 月 1 日より施行する。

問答集

Q：バイオ製薬企業が、コミットメント 1 にある資格要件を満たした科学研究者や医学研究者と共有するために準備するのは、どのような情報か？

A：バイオ製薬業界は、資格要件を満たした科学研究者や医学研究者との患者レベルのデータ、研究レベルのデータ、臨床試験設計、プロトコルの共有に取り組んでいる。

患者レベルのデータとは、臨床試験中に収集された個々の患者の情報を意味し、以下を含む：人口統計学的データ、臨床検査の結果、ベースライン特性、薬物血中濃度、バイオマーカーと薬理遺伝学的データ、発現した有害事象。これらの情報は症例報告書（CRF）に収集・記載されるか、または電子的に取り込まれ、患者レベルの一覧表やデータセットに簡単に整理できるデータベースに入力される。この情報は、米国医学研究所（IOM）がプロセスと称する、つまり手書きまたはデジタルの CRF から抽出した臨床試験のデータを、試験本来の治験責任医師やスタッフの監査、照会、手直しを経て曖昧さを解消し、最終的に「患者個人データ」として生成するというプロセスを経て作成される¹。

研究レベルのデータは、臨床試験のアウトカムを解釈するために結合、編集・集計、操作、階層化、あるいは研究レベルのデータセットに整理された個人レベルのデータにより構成される。研究レベルのデータとは、主観的分析や解釈を排除した客観的な臨床試験（治験）データであり、通常は収集した試験データの、例えば平均、層別化またはパターンなどを示した表やグラフ、統計の形で示される。治験対象母集団全体またはサブグループ別の患者のベースライン特性（人口統計学的および疾患関連）、患者傾向（すなわち、治験を終了/中止した患者数/割合）、評価項目（主要、副次、その他）、治験薬の暴露、有害事象、生命徴候、実験室およびその他の安全対策を示した表はその一例である。

臨床試験設計の情報やプロトコルは、ある特定の試験をどのように進めるかについて治験責任医師を導く。プロトコルは、例えばどの薬剤をいつ投与するのか、何の値を測定するのか、その測定値をいつ、どのように記録するのか、有害事象にどのように対処し、記録するのかといった指示を治験責任医師に与える。

Q：コミットメント 2 にある CSR の概要を提供する理由は何か²？

A：何百万ページにも及ぶこともある規制当局への申請書類のデータ量を考慮し、企業は米国、EU または加盟国の販売承認後の概要の公表に取り組んでいる。

概要は、臨床試験（治験）の結果や新薬の承認に使用されたエビデンスに関する詳細情報を、患者とその主治医に提供する。概要は CSR の一部であり、承認の一環として FDA や EMA の審査を受ける。研究を迅速化し、科学的理解を深めるため、企業は患者レベル・研究レベルのデータを含む CSR 全体に対する要求を評価し、コミットメント 1 の条件に従って共有する。

概要の提供に加えて、患者のプライバシーと機密企業情報の保護のために編集された CSR の追加情報を自主的に公開することを選択する企業もある。

Q：データが再識別される可能性の高い患者を対象に実施された臨床試験（治験）に関して、患者レベルのデータの利用の可能性を制限する必要があるのは、何故か？

A：資金を提供して医学研究を実施するバイオ製薬企業にとって、臨床試験（治験）に参加する患者のプライバシーの保護は極めて重要な義務である。「匿名化」された患者レベルのデータであっても、近代的データマイニング技術を使用することによって再識別が可能なる場合もある²。そのため、患者のプライバシーが危険にさらされる合理的な可能性がある場合は、企業は通常、患者レベルの情報の公表を差し控える。希少疾患の患者を対象とした、例えば 25 人以下の患者しか含まないような臨床試験（治験）など、患者数が少ない場合は「再識別」のリスクが極めて高い。

Q：コミットメント 1 によって企業は、患者レベルのデータやその他の専有情報を競合他社と共有しようとしているのか？

A：いいえ。新薬の創薬は、長く、複雑で、コストのかかるプロセスである。2007 年の調査によると、通常、検討した 5,000～10,000 の実験的化合物うち、たった 1 つが平均 12 億ドルのコストを要する 10～15 年の研究開発を経て、FDA の承認を受ける。つまり数少ない成功で無数の失敗を埋め合わなければならない。事実、費やしたコストを回収できるのは 10 の薬剤のうち、わずか 2 剤にすぎない。

バイオ製薬企業は、新薬の創薬に極めて多額の投資をする自社の能力を守ることでできる持続可能な研究エコシステムの構築に取り組んでいる。イノベーションのリスクの一つは、開発者が行った多額の投資への「ただ乗り」を許す可能性のある企業秘密や専有情報が競合他社に渡ることである。そのような環境では、企業は新しい医療技術に対する数十年もかかる投資の能力を育成することはできない。従って、持続可能な研究エコシステムでは、企業は専有情報が競合他社に暴露されることなく、安全に保持されることを確信する必要がある。そのためコミットメント 1 では、競合薬の承認取得に利用されかねない患者レベルのデータやその他の機密商業情報は、資格要件を満たした科学研究者や医学研究者のみと共有するよう企業に求めている。コミットメント 1 はこれらの懸念を反映したものであり、これによって企業は、競合他社のデータ利用の可能性などの利益相反の可能性に照らした臨床情報公開の要望の検討が可能になっている。

コミットメント 1 に基づき、企業は提案された研究に科学的、医学的に正当な目的があるか、データの要求者と企業との間に利益相反の可能性はないか、あるいは競合他社のデータ利用の可能性はないかなど、様々な点を評価する。データの要求者が、企業の患者レベルのデータまたはその他の情報を、競合する可能性のある薬剤の承認を得るために利用する意図を持って要求することも想定される。企業は医薬製品の共同開発契約を締結することもあるが、これらデータ共有に関する『原則』は、便乗を許したり、バイオ製薬研究に投資する企業のインセンティブを損なったりすることを意図したものではない。従って、コミットメント 1 に基づき、企業が競合他社と専有情報を共有することを拒むことに何ら問題はない。

Q：企業は、誰が患者レベルのデータ、その他の専有情報の提供を受けられるのかを、どのように判断するのか？

A：各企業は、研究企画書やデータを要求する研究者の経歴を検討し、提案された研究が誠実なものであるか否かを判断するシステムを整備する。企業は、これらのシステムを個別または中央科学審査委員会と共同で整備することができる。患者のプライバシー保護に対する約因には、研究被験者のインフォームド・コンセントや、プライバシー許可（例：米国の HIPAA 法）および/またはデータ使用許諾契約書等、その他の法的許可が含まれる。患者に対するコミットメントに関して、共有可能な患者レベルのデータすべてが、個人識別可能情報を保護するための法的要件を遵守して「匿名化」される。企業は、患者個人が再識別される合理的な可能性がある場合、患者レベルのデータへのアクセスを提供しない。また、共同開発契約またはその他の法的制限が特定データの共有を妨げる場合、企業は、可能ならば、資格要件を満たした要求者と協力して要約情報を提供する。

Q：コミットメント 1 に基づき提供されるデータの使用に関して、その他に制限はあるか？

A：各企業は、患者のプライバシーを保護し、患者レベルのデータへのアクセスがバイオ製薬研究に対する将来的な投資インセンティブを損なわないことを保証する最善の方法を決定する。コミットメント 1 は、データの要求者が研究企画書に特定された関係者以外に共有データを転移しない、研究企画書に含まれる目的以外でデータを使用しない、研究への被験者の再識別を試みないことに同意することを求めている。また企業は、データが非商業目的のみで使用されることを要求する場合がある。その他の追加的な条件として、企業の情報システム上のデータのみへのアクセス許可や、規制当局への報告義務がある安全性所見、その他の重要な結果を企業に通知することをデータの要求者に要求することなどが含まれる場合がある。

Q：患者のプライバシー情報以外で、コミットメント 2 によって一般に提供される CSR 情報から除外されるのは、どのような情報か？

A：バイオ製薬研究に対する将来の投資インセンティブを維持するため、個々の企業は、CSR への一般アクセスから以下の情報を除外することを選択する場合がある：様々なビジネス手法や分析法に関する情報；製造および前臨床情報またはその他の機密商業情報；試験の実施に直接関係のない情報あるいは知的財産権を侵害する可能性のある情報；企業が共有する法的権利を持たない情報（例：

既存の共同開発契約による)。

CSR への一般アクセスから除外される情報は、上記にも関わらず、コミットメント 1 の条件に従って資格要件を満たした研究者に公表される場合がある。

Q：企業が任意でコミットメントに述べられた臨床試験（治験）情報以外の情報を共有する可能性はあるか？

A：はい。これらのコミットメントをどのように実施するか、責任あるデータ共有の一般的なコミットメントを越えた共有を行うか否かについては、企業が個々に決定する。例えば、企業は患者のプライバシーあるいは機密商業情報を保護するために編集した CSR の本文を自主的に一般公開することを選択する可能性もある。

1 Institute of Medicine, Sharing Clinical Research Data: A Workshop Summary 10 (2013).

2 Melissa Gymrek et al., Identifying Personal Genomes by Surname Inference, 339 SCIENCE 6117 321-324 (2013).

2013 年 7 月 18 日