



RWD時代の 治験エコシステム

— 国内外の動向とこれからの展望



目次

はじめに	3
01 国内外の法規制の状況	4
02 医療データの二次利用の全体像と希少疾患における レジストリの役割	4
03 外部対照群を活用した取り組み事例	5
04 製薬企業の期待と課題：RWD活用状況および外部対照群の認識	7
05 PMDAの留意事項とそれに対する対応	9
06 市場動向と法規制対応の最新状況	9
07 今後の展望と推奨される対応策	9
08 PwCの提言	10
おわりに：RWD活用による治験エコシステムの未来像	11

はじめに

近年、リアルワールドデータ (RWD) を活用した治験設計が、国内外で現実的な選択肢として、急速に位置付けられつつあります。特に希少疾患領域や小児領域では、被験者確保の制約や倫理的観点から、従来型のランダム化比較試験 (RCT) の実施が困難なケースが多くあります。

こうした領域では、プラセボ対照の設定そのものが治験参加の障壁となり、結果としてドラッグラグやドラッグロスを助長してきました。これに対し、既存の医療データを外部対照群として活用する試験設計は、患者負担を軽減しつつ科学的妥当性を補完する手法として注目されています。

本レポートでは、RWDを中核に据えた治験エコシステムを「複数のステークホルダーが制度・技術・運用の観点から連携し、持続的にエビデンス創出を行う枠組み」と定義し、その制度的背景、実装事例、今後の実務的論点を整理します。



01

国内外の法規制の状況

米国では、2016年の21st Century Cures Actにより、RWD／リアルワールドエビデンス (RWE) の薬事活用が制度上明示された¹。その後、PDUFA VII (2023-2027) において米国食品医薬品局 (FDA) はRWE活用を重点施策として位置付け、適用範囲や評価観点を示す複数のガイダンスを公表している²。

欧州では、European Health Data Space (EHDS) の整備が進められており、臨床試験データを含む広範な医療データの二次利用が制度的に担保されつつある³。

日本においても、2021年の厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長、厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長によりレジストリ活用の基本的考え方が示された (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「令和3年3月23日付け 薬生薬審発0323第1号・薬生機審発0323第1号」)⁴。2025年には独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) より「外部対照試験に関する留意事項 (Early Consideration)」が発出された。これにより、外部対照群活用は「検討対象」から「実装を前提とした議論」へと移行しつつある。

02

医療データの二次利用の全体像と希少疾患におけるレジストリの役割

医療データの二次利用は、単なる研究効率化の手段ではなく、将来の医療の質向上を見据えた社会的責任として位置付けられる。診療を通じて蓄積された医療情報を、研究開発や医療政策、薬事評価に活用することで、個々の患者の治療にとどまらない社会的価値が創出される。

特に希少疾患領域では、電子カルテ単体では把握しきれない疾患特異的情報や長期追跡データを収集するため、専用レジストリの構築が不可欠である。高品質なレジストリは、外部対照群としての利用に加え、自然歴理解やエンドポイント設定の基盤として、治験全体の質を底上げする役割を果たす。

1 U.S. Food and Drug Administration (FDA) "Proposed FDA Work Plan for 21st Century Cures Act Innovation Account Activities"
<https://www.fda.gov/files/Proposed-FDA-Work-Plan-for-21st-Century-Cures-Act-Innovation-Account-Activities-as-Submitted-to-Science-Board.pdf>

2 U.S. Food and Drug Administration (FDA) "PDUFA VII: Fiscal Years 2023 – 2027"
<https://www.fda.gov/industry/prescription-drug-user-fee-amendments/pdufa-vii-fiscal-years-2023-2027>

3 European Health Data Space (EHDS) "European Commission"
<https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2025/327/oj>

4 厚生労働省『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』
https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc5763&dataType=1&pageNo=1

03

外部対照群を活用した取り組み事例

RWDを活用した外部対照群の実装は、米国を中心に先行してきたが、日本においても具体的な承認事例が蓄積されつつある。

希少・重篤な神経筋疾患治療薬においては、無作為化対照が困難な状況下で、海外レジストリの自然歴データを外部対照として活用し、背景因子を事前定義した上で比較することで、有効性評価の補強が行われた。この事例では、データ品質管理や評価指標の標準化が重視され、解析計画の透明性が評価された。

また、がん領域では、単群試験における有効性結果を補強する目的で、国内レジストリから背景因子が類似した症例を外部対照群として選定し、治験群との明確な差を示した事例がある。これらの取り組みは、外部対照群が「代替」ではなく「補強的エビデンス」として機能し得ることを示している。

事例1

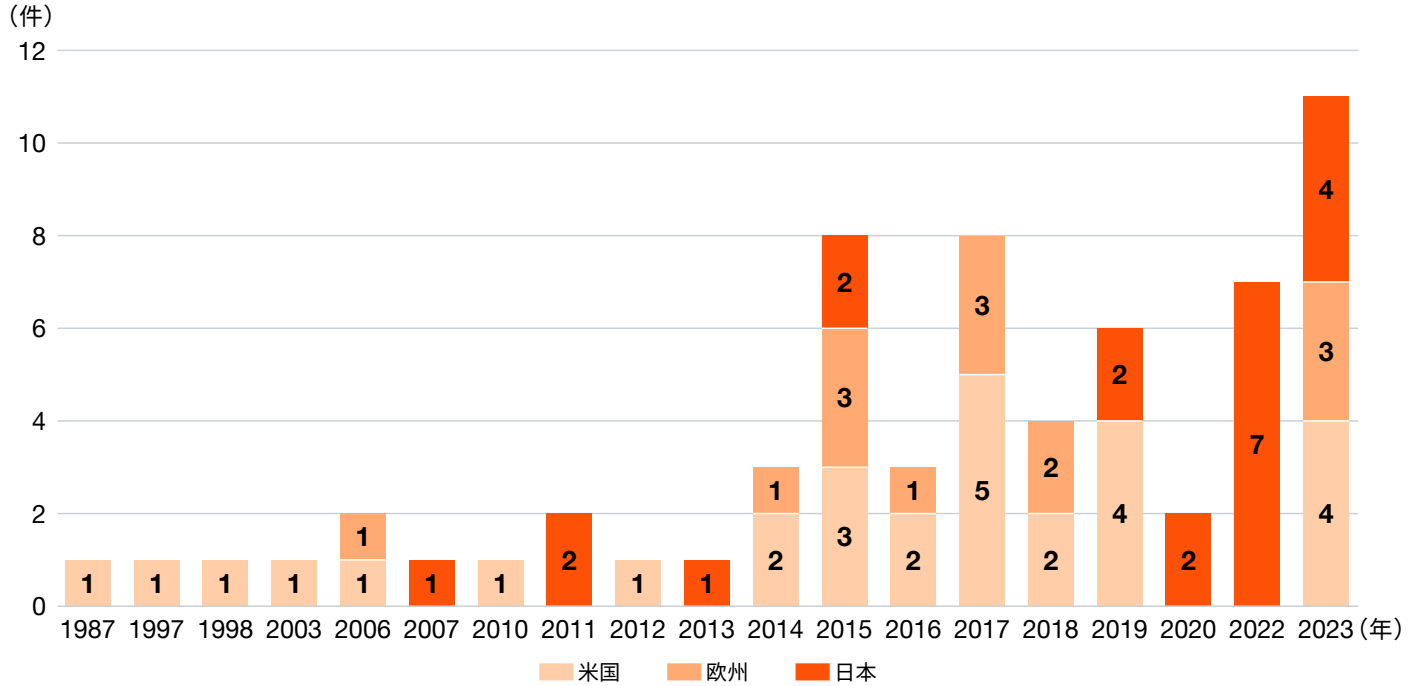
2020年、ビルトラルセンは、PMDAによる審査を経て、厚生労働大臣により条件付き早期承認制度の下で承認された。無作為化対照が困難な中、米国レジストリ自然歴RWD(440例)から年齢・地域・ステロイド使用の状況・遺伝子型などを事前定義して65例を外部対照に選定し、治験施設に合わせた評価標準化でばらつきを抑制した。交絡や一般化可能性の課題を踏まえつつ、背景因子の整合性、データ品質、透明性の高い解析計画を示した点が評価され、副次評価項目の有効性を補強した事例である。

事例2

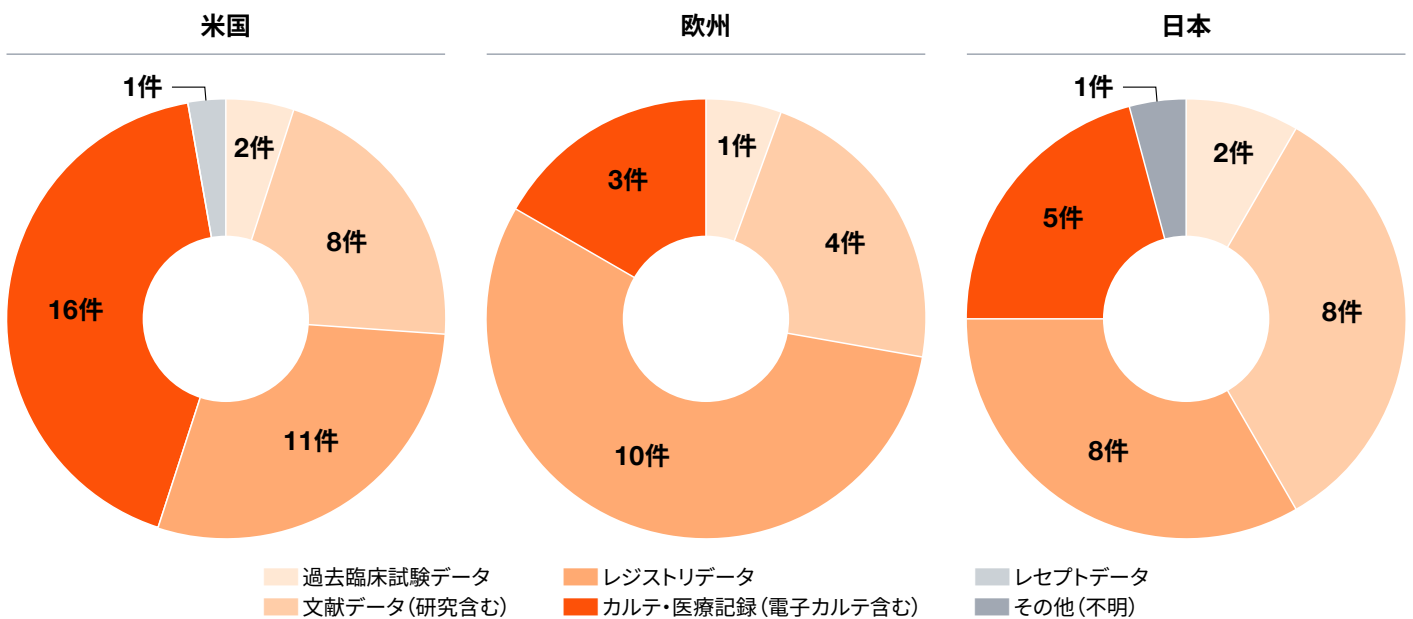
がん領域では、HER2陽性進行・再発大腸がん患者を対象とした単群試験(TRIUMPH試験)において、トラスツズマブ+パルツズマブ併用療法(30例)の有効性が検討され、約30%の奏効率が示された。有効性の補強として、SCRUM-Japanレジストリから背景因子が類似し、同意取得が確認された6例が外部対照群として選定された。これらの症例では奏効率は認められず(奏効率0%)、治験群との明確な差が示された。この結果は補強的エビデンスとして評価され、本併用療法はHER2陽性大腸がんに対する適応拡大が承認された。

上記2事例ともに課題は残るもののRWDの活用は広がりを見せつつあり、承認件数も年々増加傾向にある(図表1)。活用されたデータ種は、「文献データ」「レジストリデータ」に次いで、「カルテ・医療記録(電子カルテデータを含む)」情報が多い状況にある(図表2)。

図表1：米国・欧州・日本における承認件数推移



図表2：RWDを活用した際に用いたデータ種※



04

製薬企業の期待と課題： RWD活用状況および外部対照群の認識

製薬企業において、外部対照群に対する期待は大きい。特に希少疾患領域や小児領域では、被験者確保の困難さや倫理的配慮から、RWD活用による試験実施可能性の向上や開発期間の短縮が強く期待されている。

一方で、電子カルテデータの記載のばらつきやエンドポイント欠損といったデータ品質の課題、RWD解析に精通した人材不足、仮名加工データ利用に伴う運用負荷など、実装上の障壁は依然として大きい。多くの企業では、現時点では第II相試験以降の補助的利用や、ハイブリッド対照群としての活用が現実的な選択肢と認識されている(図表3)。

事例3：希少疾患レジストリ「Remudy」の取り組み

希少筋疾患領域におけるRWD活用の代表的な取り組みが、神経筋疾患レジストリ「Remudy」である。

Remudyは、患者の基本情報を広範にカバーする下層登録と、薬事申請や詳細評価に対応する上層登録の二階建て構造を特徴とし、医療現場の負担を軽減しつつ薬事利用に耐え得る質の高いデータ収集を実現している。

Remudyによるデータは、プレドニゾロンの公知申請支援や新薬承認の補完、さらには医療経済評価などに活用されている。これにより希少疾患領域での薬事承認や治験設計が着実に進展し、患者負担軽減や治療選択肢の拡充に貢献している。



図表3：製薬会社におけるRWD活用状況および外部対照群に対する認識

期待される効果		課題		今後の展望
短期間での承認	<ul style="list-style-type: none"> 希少疾患などにおけるドラッグラグ解消につながり、患者の利益に直結 	EHRデータの品質	<ul style="list-style-type: none"> 電子カルテの記載レベルが医師ごとに大きく異なり、データの品質や一貫性が確保できないことが、利用上の大きな課題 	社会全体でのデータベース連携やデータの充実が進むことを期待しており、RWDについては第II相試験からの活用を想定
希少疾患領域への対応	<ul style="list-style-type: none"> 患者数の少なさからリクルートが難しく試験設計が複雑化している希少疾患領域において、RWDは外部対照群やエビデンス補強として課題解決に寄与 第II相試験では積極的な活用を推奨 第III相試験ではハイブリッド対照群(対照群の一部をRWDで補完)としての利用に期待 	人材不足	<ul style="list-style-type: none"> 臨床開発のビジネス課題を理解し、解決策を選択する能力を持ち、適切な解析計画を立て実行できる人材が求められるが、RWDに特化したデータサイエンティストは不足 	短期的には外部からのデータ解析サポートが必要
倫理的代替としての活用	<ul style="list-style-type: none"> 小児・希少疾患の対照群としてRWDを活用するなど、倫理的にRCTが実施できない試験に対するアプローチとして有効 過去には、承認済み薬剤の用量変更申請でヒストリカルデータを対照群に用い、実薬群のみの試験により予定より前倒して承認を得た事例あり 	エンドポイントの欠損	<ul style="list-style-type: none"> 現在の電子カルテの品質や項目では、エンドポイント欠損している場合があり、当面は前向き収集や市販後での活用が現実的 	日本のRWDが適切に整備され、エンドポイントが明確に示されれば、活用が広がる可能性がある
治験期間の短縮	<ul style="list-style-type: none"> ランダム化対照群の設定が倫理的または実務的に困難な場合において合理的な対処 治験の効率化や開発期間短縮、収益機会の最大化に寄与する可能性がある 	GCP要件、匿名／仮名加工の制度的制約	<ul style="list-style-type: none"> 仮名加工の医療データでない治験には耐えられない上、手続きが煩雑、患者同意取得も大きな障壁 匿名加工情報では薬剤の有効性評価に不十分、薬事に適していない GCP規定により治験データは原資料での確認が不可欠とされており、匿名データでは現状困難 	RWD活用が進まない理由として制度的障壁があると捉えており、GCPに準拠しつつ外部対照群を用いるための制度を整備する必要がある

05

PMDAの留意事項とそれに対する対応

PMDAは、希少疾患、小児、がんの一部領域など、倫理的・実務的制約が大きい疾患領域において、RWD活用の余地があるとの理解を示している。2025年にPMDAが発出した「外部対照試験に関する留意事項」では、特にデータ品質、背景因子の整合性、解析計画の妥当性が重要な評価観点として明示された。

申請企業には、早期の科学的助言を活用し、試験設計段階から外部対照群利用を織り込んだ透明性の高い資料作成と、交絡リスク管理の明確化が求められている。

06

市場動向と法規制対応の最新状況

国際的な規制整備の進展に伴い、RWDは「後付け活用」から「目的適合型データ設計」へと移行している。共通エンドポイントを事前定義した前向きレジストリ、フェデレーテッド解析、プライバシー保護型リンケージといった技術が普及しつつあり、GCP要件との両立も現実的になりつつある。

07

今後の展望と推奨される対応策

今後のRWDおよび外部対照群活用を推進する上では、以下の3点を設計段階から統合的に検討することが不可欠である。

第一に、データの「用途適合性」である。エンドポイントと測定プロトコルを事前に設計し、それに基づくデータ収集と品質管理を行う必要がある。

第二に、患者同意・プライバシー保護の「運用可能性」である。eConsentや長期追跡同意を含む同意設計を初期段階から組み込むことが重要となる。

第三に、規制対応の「実装可能性」である。仮名加工、原資料確認、解析計画の整合性を一体として設計することが求められる。

08

PwCの提言

これまで述べてきた内容を踏まえ、RWDを活用した治験の普及・利活用を推進するために以下3点を提言する。

提言1 データは「使えるか」ではなく 「用途に適合しているか」を基準に設計すべき

エンドポイント、測定プロトコル、追跡期間を事前に定義し、それに基づいた前向きレジストリやRWD収集を行うことで、解析の妥当性と規制対応力を同時に高める必要がある。後付けでのデータ活用には限界がある。

その前提として、RWDの入力装置である電子カルテへの記載を、医師や医療機関が明確な目的意識をもって行える環境整備が不可欠である。具体的には、RWDの質・標準化・網羅性に資する診療情報入力を評価対象とし、DPC制度における機能評価係数への反映などを通じて、経済的インセンティブを付与する仕組みを国が検討することが重要である。

こうした制度的後押しにより、診療現場における「日常診療としてのRWD蓄積」と、治験・薬事利用を見据えた「用途適合型データ創出」との接続が初めて現実のものとなる。

提言2 患者同意・プライバシー運用は、 制約ではなく長期的な「資産」として設計すべき

eConsentや長期追跡同意を前提とした同意設計を初期段階から組み込み、二次利用・外部対照群活用を見据えた運用を構築することが、持続的なエビデンス創出の基盤となる。

提言3 規制要件への対応は、 解析・運用・ガバナンスを含めた「実装可能性」で評価すべき

仮名加工、原資料確認、交絡管理、解析計画の透明性を個別対応するのではなく、治験全体の運用設計として一体的に構築することが、規制当局との建設的な対話と承認可能性の向上につながる。

おわりに： RWD活用による治験エコシステムの未来像

RWDと外部対照群を活用した治験エコシステムは、制度整備、技術進展、患者理解の深化を背景に、すでに構想段階を超え、実装を前提とした現実的な選択肢として定着し始めている。今後数年で、希少疾患領域や小児領域、がん領域を中心に、外部対照群活用は例外的な手法ではなく、一定の条件下における標準的な治験設計オプションとして位置付けられていくことが見込まれる。

この動きは、治験の効率化にとどまらず、医薬品開発の在り方そのものを変革する可能性を秘めている。RWDを前提に設計された治験は、患者負担を軽減しながら、より早期に、より実臨床に近いエビデンスを創出することを可能にする。さらに、市販後データとの連続的なエビデンス構築を通じて、開発・承認・実装を一体で捉える新たな治験エコシステムへと進化していく。

PwCコンサルティング合同会社は、この変革の本質は「技術」や「データ」そのものではなく、データ、同意、規制という三要素を分断せず、実装を起点に統合設計できるかにあると考えている。用途適合性を備えたデータ設計、長期的な活用を前提とした同意・プライバシー運用、そして規制要件を織り込んだ解析・ガバナンス体制を一体として構築することが、治験エコシステムの成熟度を左右する決定的要因となる。

今後、製薬企業、医療機関、患者組織、規制当局がそれぞれの役割を明確にしながら連携し、透明性と再現性を備えたエビデンス創出を継続的に実現していくことが求められる。その先には、ドラッグラグやドラッグロスの構造的解消、患者中心の医薬品開発、そして持続可能な医療システムの構築という、社会的価値創出を伴う治験エコシステムの完成形が見えてくる。

PwCコンサルティングは、制度・技術・運用を横断する視点と実装支援の知見を通じて、こうした治験エコシステムの進化を構想から実行まで一貫して支援していく。



PwC Japanグループ

<https://www.pwc.com/jp/ja/contact.html>



www.pwc.com/jp

PwC Japanグループは、日本におけるPwCグローバルネットワークのメンバーファームおよびそれらの関連会社 (PwC Japan有限責任監査法人、PwCコンサルティング合同会社、PwCアドバイザリー合同会社、PwC税理士法人、PwC弁護士法人を含む) の総称です。各法人は独立した別法人として事業を行っています。

複雑化・多様化する企業の経営課題に対し、PwC Japanグループでは、監査およびブローダーアシュアランスサービス、コンサルティング、ディールアドバイザリー、税務、そして法務における卓越した専門性を結集し、それらを有機的に協働させる体制を整えています。また、公認会計士、税理士、弁護士、その他専門スタッフ約13,500人を擁するプロフェッショナル・サービス・ネットワークとして、クライアントニーズにより的確に対応したサービスの提供に努めています。

PwCは、クライアントが複雑性を競争優位性へと転換できるよう、信頼の構築と変革を支援します。私たちは、テクノロジーを駆使し、人材を重視したネットワークとして、世界137の国と地域に364,000人以上のスタッフを擁しています。監査・保証、税務・法務、アドバイザリーサービスなど、多岐にわたる分野で、クライアントが変革の推進力を生み出し、加速し、維持できるよう支援します。

発行年月：2026年5月

管理番号：I202604-01

© 2026 PwC. All rights reserved.

PwC refers to the PwC network member firms and/or their specified subsidiaries in Japan, and may sometimes refer to the PwC network. Each of such firms and subsidiaries is a separate legal entity. Please see www.pwc.com/structure for further details.

This content is for general information purposes only, and should not be used as a substitute for consultation with professional advisors.