

(題名: 疾患レジストリにおける国際協調について(神経・筋疾患領域))

<レジストリ名>

Registry of Muscular Dystrophy, Remudy

<アブストラクト>

疾患/患者レジストリは、その時代背景や疾患領域等によって目的はさまざまではあるものの、医学系研究におけるその重要性については異論のないところである。この点は日本のみでなく国際的にみても同様であり、レジストリ構築については、国内のみでなく海外の動向も踏まえつつ進めていくことが重要である。我々は Remudy の開始当初から、筋疾患などの希少疾患領域では特に国際協調の重要性を認識しており、これまでも海外レジストリと協調して進めてきた。Remudy の経験を通じて、筋疾患におけるレジストリの国際協調について、TREAT-NMD などについて紹介し、我々のこれまでの取り組み、現状と今後の方向性について紹介する。

<本文>

希少疾患において、疾患/患者レジストリの重要性については異論のないところであるが、その希少性からも一国におけるレジストリの構築とともに、国際的な協調が非常に重要である。神経・筋疾患領域において、国際的レジストリの重要性を唱えてそれを実践して来たのが、TREAT-NMD alliance (A network for the neuromuscular field that provides an infrastructure to ensure that the most promising new therapies reach patients as quickly as possible)である。2007年に、欧州を中心に設立された研究ネットワークであり、イギリスの Newcastle upon Tyne にその事務局を置いている。TREAT-NMD は、2007年に設立されたが、設立当初からの重要な取り組むべき課題として、国際的な患者レジストリの構築をあげていた。特に、Duchenne Muscular dystrophy や Spinal Muscular Atrophy などにおいて、新たな医薬品シーズが開発されて来ていた時期であるが、これら含めた神経・筋疾患はまさに希少疾患であるため、将来的な臨床試験の実施が困難であると考えられていた。そのために、患者の実態把握、臨床試験の実施可能性調査、そして患者のリクルートといったことに役立つレジストリの構築が急務であった。

日本においては、2007年から TREAT-NMD の協力も得てレジストリ構築を開始した。我々は、TREAT-NMD と協調するために、TREAT-NMD Global Database Oversight Committee (TGDOC)の CHARTER に則り、その上で日本代表をこの committee へ送った。そして、TREAT-NMD の求める登録項目を含めた形での Remudy を 2009年に構築した。その後、10年近くが経過し、TREAT-NMD registry は神経・筋疾患では最も成功したモデルとなった。

我々日本もその一端として参加しているとともに、日本の Remudy 自体も国際的に認知されている。

TREAT-NMD global registry は、国際的な疫学情報の提供とともに、Trial readiness の基盤として、数多くの製薬企業等から、実施可能性調査や、リクルート、試験の計画段階での情報提供依頼に対応してきた。TREAT-NMD registry、Remudy によって、筋ジストロフィーの研究基盤が整備されたのである。そして医薬品等が実際に承認されるようになった現在、TREAT-NMD にとっても、さらなる課題は製造販売後調査に資するレジストリ構築となっている。

希少疾患においては、国内のみでなく国際的な協調を構築当初から視野に入れて開始することが必要であり、その後の進展にもつながる。

<http://www.remudy.jp>

レジストリの運営主体の名称: 国立精神・神経医療研究センター

問い合わせ先: 中村治雅 Remudy 事務局

〒187-8551 東京都小平市小川東町4丁目1番1号

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター TMC

神経・筋疾患患者登録センター(Remudy)患者情報登録部門

電話・FAX: 042-346-2309

E-mail: remudy@ncnp.go.jp

#### 【参考資料】

1. Bladen CL, Rafferty K, Straub V, et al. The TREAT-NMD Duchenne muscular dystrophy registries: conception, design, and utilization by industry and academia. Hum Mutat. 34; 1149-1157; 2013
2. Bladen CL, Salgado D, Monges S, et al. The TREAT-NMD DMD Global Database: analysis of more than 7,000 Duchenne muscular dystrophy mutations. Hum Mutat, 36; 395-402; 2015
3. The TREAT-NMD Global Registries  
<http://www.treat-nmd.eu/resources/patient-registries/global-registries/introduction/>
4. Infrastructure development for clinical research and clinical trials in Duchenne muscular dystrophy in Japan Infrastructure development for clinical research and

clinical trials [http://www.treat-](http://www.treat-nmd.eu/newsletter/archive/email/7th_September_2011.html)  
[nmd.eu/newsletter/archive/email/7th\\_September\\_2011.html](http://www.treat-nmd.eu/newsletter/archive/email/7th_September_2011.html)

5. Remudy

<http://www.remudy.jp>

