

ヘルスケア研究グループ

製薬企業における リアルワールドエビデンスの 更なる活用を目指して

日本の製薬企業は、アドバンスドアナリティクスを活用することでリアルワールドエビデンス (RWE) から価値を引き出し、患者のアウトカム改善に貢献することができる

ミケーレ・ラヴィショーニ、レイモンド・チャン、反田篤志、井谷翼、永谷 朋子



製薬企業では、これまで、意思決定のための情報、外部関係者からの要求への対応、治療法の改善、そして最近では一部の地域において規制当局に新薬の承認申請を行うためのエビデンスとして、リアルワールドエビデンス（RWE）を活用してきた。しかし、RWEからインサイトを導き出すためにアドバンスアナリティクスを活用することで、今までにない莫大なインパクトを生み出せる可能性がある。世界のトップ20の製薬企業は、各社のバリューチェーン全体でRWEのアドバンスアナリティクスを活用することで、今後3～5年間に年平均3億ドル以上の利益を得られると推計されている¹。またこれによってコストを削減できるだけでなく、患者の特性や行動がヘルスアウトカムにどのように影響するのかを理解し、適切な患者が適切な治療を適切なタイミングで受けることができるようになる。

組織のケイパビリティや入手可能なデータ、法規制、RWEアドバンスアナリティクスを支えるエコシステムといった様々な要因が影響することから、企業によるRWEのアドバンスアナリティクスの活用状況は国によって異なる。そのため欧米では既により広く活用されているが、日本ではまだ現在拡大途中にあると言える。

日本においても既に導入による成果が出始めている企業はあるが、本格的に導入している企業はまだ少なく、いまだ導入に至っていない企業もある。企業は導入のどの段階にあっても、既により成熟した市場で展開している企業の経験から学ぶことができる。

なぜ今なのか

予測モデル、機械学習、確率的因果モデル、教師なし学習アルゴリズムといった分析技術の進歩によって、RWEは製薬企業にとってますます強力な情報源になりつつある。これらの分析技術とRWEを組み合わせることで、ある治療について効果が最も高い患者サブセグメントを特定するなど、患者のアウトカムへの理解を深め、分析から得られたインサイトは製薬企業のバリューチェーン上の様々な段階で意思決定に役立てることができる。

加えて日本市場で追い風となる要素としては、ランダム化比較試験以外のデータに対する規制当局の受け入れ拡大、データの集約およびその利活用推進に関わる政府の取り組み、エコシステムの出現・発展、データプロバイダーから提供されるサービスの多様化などが挙げられる。

規制当局のデータの受け入れ拡大：厚生労働省と医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、全国10拠点の23病院の電子カルテデータやレセプトデータ、DPCデータが統合された医療情報データベース「MID-NET」（Medical Information Database NETwork）を構築し、2018年4月に本格稼働を開始した。製薬企業は、このデータベースを利用して、医薬品の安全対策や公益性の高い調査・研究を行うことが可能となっている²。また、「医薬品の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令（GPSP省令）」が一部改正され、2018年4月より、医薬品の製造販売後の調査にMID-NETなどの医療情報データベースを利用できるようになった³。さらに2021年、厚生労働省はランダム化比較試験の実施が困難な場合にレジストリデータを外部対照群として活用する可能性などをまとめた「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

¹ David Champagne, Alex Devereson, Lucy Pérez, and David Saunders, "Creating value from next-generation real-world evidence," McKinsey.com (2020年7月30日)

² 「医療情報データベース『MID-NET』について」（医薬品・医療機器等安全性情報 No.351、2018年3月）、mhlw.go.jp

³ 「GPSP省令の改正と製造販売後調査等について」（医薬品・医療機器等安全性情報 No.355、2018年8月）、mhlw.go.jp

方」を策定した。その中で、診療記録などのデータも、準じることが可能な部分はあるとしている⁴。

データの集約および利活用に向けた政府の取り組み：

現在、政府は、RWEのアドバンスアナリティクスに有用な医療データを集約し、その利活用を推進するために様々な取り組みを行っている。

- 一 医療データの集約：レセプト情報・特定健診等情報データベース（NDB）には、日本全国の電子化されたレセプトデータが格納されている。2020年10月の法改正により、NDBと介護保険総合データベース（介護DB）の連結解析が可能となったことで世界最大級の縦断的データセットの構築が可能となり、またNDBのデータを民間企業が公益目的で利用できるようになった⁵。さらに政府は、マイナンバーカードを活用して個人の健康情報を一元管理するPHR（Personal Health Record）システムを拡充しようとしている⁶。PHRは、主に本人および医療関係者による健康記録としての利用を想定しているが、本人が同意すれば民間事業者も利用できるため、製薬企業やアカデミアによる二次利用にまで拡大する可能性がある⁷。
- 一 複数の医療機関にわたる医療情報の集約・活用の促進に向けた認定：次世代医療基盤法では、患者の同意を得たオプトイン、もしくは通知に関する一定の要件を満たすオプトアウトにより、認定事業者が医療機関から個人医療情報を収集し、複数のデータソースから患者の情報を集約した後、その情報を匿名化して研究者や民間企業に提供することができるとしている⁸。なお、2022年5月時点での認定匿名加工医療情報作成事業者は3社となっている⁹。

エコシステムの拡大：RWEのアドバンスアナリティクスの潜在的な価値を最大限に引き出すには、データプロバイダー、医療機関、製薬企業、アナリティクスサービスプロバイダー、ソフトウェア企業、政府機関などから構成される強力なエコシステムを築くことが重要となる。日本ではいくつかの製薬企業が、このようなエコシステムの構築・拡大に向けてパートナーシップの締結を進めている。例えば、ファイザー日本法人、ライフデータ・インシアティブ、NTTデータの3社は、RWEを活用したがん患者の臨床アウトカムの評価に関する共同研究を行っている¹⁰。しかし米国と異なり、日本では製薬企業によるデータプロバイダーの大規模な買収や合併事業の立ち上げといった事例がまだない。そのため製薬企業は差別化に向けて大胆な一手を打ち出すことで独自の優位性を築ける可能性がある。

データプロバイダーによる提供サービスの充実化：

ヘルスケア関連企業だけでなく様々な組織が、提供するデータの充実化を図っている。例えば、メディカル・データ・ビジョン社は創業以来、急性期病院から収集した匿名加工の患者データを提供してきたが、現在は健康保険組合のデータも提供している¹¹。さらに同社はDeNAと提携して国民健康保険に加入している自営業者や後期高齢者医療保険制度の対象となる75歳以上のデータを加えた保険者データを追加することを発表した¹²。また、NTTは京都大学と共同で「新医療リアルワールドデータ研究機構株式会社（PRIME-R）」を設立し、まずはがん領域に特化した研究を開始し100以上の医療機関から電子カルテやその他のデータを収集することを目指すとしている¹³。

⁴ 『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』について（薬生薬審発0323第1号、薬生機審発0323第1号、2021年3月23日）、mhlw.go.jp

⁵ 「規制改革推進に関する答申」（規制改革推進会議、2020年7月2日）、cao.go.jp

⁶ 「経済財政運営と改革の基本方針2020について」（閣議決定、2020年7月17日）、cao.go.jp

⁷ 「集中改革プラン」で進むデータヘルス改革—今後2年間で医療・健康情報のデジタル化を一気に推進へ」（薬事ニュース、2020年9月18日）

⁸ 「次世代医療基盤法」とは」（内閣府健康・医療戦略推進事務局、2022年1月）、cao.go.jp

⁹ 「次世代医療基盤法に基づく事業者の認定」（内閣府、2022年5月13日時点）、cao.go.jp

¹⁰ 「電子カルテなど医療ビッグデータ活用によるがん患者臨床アウトカム評価の研究開始」（ファイザー株式会社、2020年12月14日）、pfizer.co.jp

¹¹ 「547万人健保データ提供し、多様なニーズに対応 病院から診療所などへの診療履歴も把握可能に」（メディカル・データ・ビジョン株式会社、2020年4月22日）、mdv.co.jp

¹² 「DeNAと国内最大規模1500万人超の保険者DB構築へ」（メディカル・データ・ビジョン株式会社、2022年5月10日）、mdv.co.jp

¹³ 「京都大学におけるリアルワールドデータ事業の実施とあらたな産学連携モデルとしての新会社PRIME-R設立について—日本におけるリアルワールドデータを活用する日本初の産学連携の取り組み」（日本電信電話株式会社、2020年2月3日）、group.ntt.jp

今、目の前にある機会

こうした状況を背景に、日本ではすでに多くの製薬企業がRWEのアドバンストアナリティクスによる価値を享受し始めている。

ある多国籍製薬企業の日本法人は、RWEデータを活用して5万人以上の患者の治療歴を把握することで、これまで認識されていなかった治療率の低さ、治療開始時期の遅れ、大きな患者セグメントの見落としなど、医療機関・医療関係者との連携を通じて対処可能な問題を明らかにした。また別のグローバル製薬企業は、自社の主な疾患領域に関するペイシエントジャーニーを理解したいと考え、治療における自社製品の位置づけや使用状況に関わる具体的なビジネス課題について10以上の機械学習モデルを活用して、レセプトやDPCデータを含む保険者および医療機関のRWEデータを分析した。その結果、数十もの患者特性に加え、患者のアウトカムを改善する機会を特定することができ、分析から得たインサイトを事業戦略に反映させることができた。

当面の間、どのユースケースが実行可能であるかは、データが入手できるかどうかによって決まると考えられる。現在、ヘルスケアエコシステムの主要領域をカバーするデータベースは数多く存在するが、データごとに所出や対象範囲は異なり、またそれぞれに一定の限界がある。したがって、各データベースがどの程度ユースケースに対応できるのかは慎重に評価する必要がある（コラム「第三者データベースは幅広いデータを網羅しているもののそれぞれに限界がある」参照）。また米国に比べて日本では、薬価・保険償還・医薬品アクセス制度とそれに関わる規制により実行可能なユースケースの数が限られるということも念頭に置く必要がある。とはいえ、研究開発やコマーシャル、メディカルアフェアーズの領域では、アンメットニーズの特定や、診断されていない患者のターゲティングの改善、ファーマコビジランスの強化など、数多くの機会がある。

経営陣は、RWEを戦略的議論や研究開発における重要な要素と位置づけて積極的に取り入れ、RWEから得られた新しいインサイトに基づいて行動を起こすためには、ある程度の大胆さが必要である。

第三者データベースは幅広いデータを網羅しているもののそれぞれに限界がある

医療機関や保険者、調剤薬局から提供されたデータを基に構築された第三者データベースは数多く存在する。これらのデータベースには、電子カルテやDPCデータ、病院や診療所における入院および外来の保険診療、調剤レセプト、血糖値などの健康診断の結果、医薬品販売データなどが含まれる。

しかし、医療機関のデータベースでは通常、患者が他の医療機関を受診した場合は追跡できない、健康保険組合のデータセットの場合は現役世代以外の高齢者のカバー率が低い、調剤薬局のデータベースには患者の診断名などの詳細な診療情報が含まれていないなど、どのデータベースにも潜在的な限界がある（図表）。

したがって、それぞれのデータベースがユースケースにどの程度対応できるのか、慎重に見極める必要がある。

図表

第三者データベースは幅広いデータを網羅しているものの、それぞれに限界があるため、ユースケースに十分対応できない場合もある

各種データベースの比較

■ 基本的に含まれている ■ 含まれている場合がある □ 含まない

	医療機関データベース	保険者データベース	調剤薬局データベース
概要	病院・診療所のデータ	保険加入者のレセプトデータ	調剤薬局のレセプトデータ
電子カルテ	■	□	□
DPCデータ	■	□	□
医科レセプト	■	■	□
調剤レセプト	□	■	■
健康診断データ	□	■	□
医薬品販売データ	□	□	■
潜在的な限界	<ul style="list-style-type: none"> 通常、患者が他の医療機関を受診した場合は追跡できない 大病院の患者が大半を占めている 地域や医療機関に関する情報が限定的 	<ul style="list-style-type: none"> 65歳以下など特定の患者群のデータに偏っている 地域や医療機関に関する情報が限定的 	<ul style="list-style-type: none"> 通常、患者が他の薬局に来院した場合は追跡できない 診断名など患者に関する詳細な診療情報が含まれていない 各医療機関に関する情報が含まれていない

重点的に取り組むべき分野

製薬企業は「導入検討」、「一部導入」、「全社レベルで導入」といった自社のRWEのアドバンスアナリティクスの導入状況に応じて注力すべき主要分野で特定のアクションをとることで、RWEの利活用をさらに進めることができる（図表）。

導入検討段階

RWEのアドバンスアナリティクスの導入を検討している企業は、そのポテンシャルを理解しながらも、どこから手をつければいいのか見当がつかず苦慮している場合が多い。そのような場合、RWEに関する戦略とビジョン、そして目指す提供価値を明確にし、すぐに行動に移すことで弾みをつけることが重要となる。

戦略、ビジョン、価値：企業は、「どこに価値が存在するのか」あるいは「どのようなユースケースが最適なのか」という議論に終始しがちであるが、人によって見解や優先順位は異なるため、足並みを揃えることは難しい。この問題を解決するためには、コマーシャル、メディカルアフェアーズ、研究開発のメンバーか

ら成るチームを立ち上げ、RWEの活用に関する包括的な戦略やビジョンについての共通認識を深め、バリューチェーン全体で最もRWEが価値をもたらす可能性が高い領域を特定し、どのような価値を、どのようにして、いつまでに創出するのかを明確にすべきである。そして、ビジネス上の優先課題とインパクトの観点からユースケースを選び、優先順位をつける必要がある。ここではRWEのアドバンスアナリティクスによって何が可能になるのかを理解することが重要となるため、模範となる初期のユースケースは実現可能性が高く、かつ一定の価値をもたらすものが適切である。これがうまくいけば、その後の取り組みにもより多くの支持を得られる可能性が高まるだろう。

ケイパビリティ：RWEアナリティクスを初めて導入する企業の場合、データサイエンティストは在籍していてもプロジェクトの要となるデータエンジニアが日本にいない場合が多い。ほとんどのデータベースは日本語のデータを含み、データ構造だけでなく日本の医療制度についても深い理解が必要となる。また、ビジネス要件を技術チームが実行可能な指示に変換し、逆に

図表

RWEアドバンスアナリティクスの更なる活用に向けて 重点的に取り組むべき6つの分野

導入検討

戦略、ビジョン、価値

- ・バリューチェーン全体で戦略およびビジョンの整合性を確保
- ・一定の価値をもたらすユースケースに注力
- ・ビジネス上の喫緊の課題に対応し、RWEアナリティクスの価値を実証するために模範となるユースケースを実行

ケイパビリティ

- ・データサイエンティスト、データエンジニア、トランスレーター、ドメインエキスパートを含む分野横断的チームを立ち上げ
- ・当面は必要に応じて一部の業務をアウトソーシング

一部導入

組織、オペレーティングモデル、文化

- ・専任担当者を配置し、分野横断的チームを結成
- ・国内のチームに必要な権限を付与
- ・最大限のインパクトを創出するために、オペレーティングモデルの確立、企業文化の変革、部門・ブランド横断的な理解を促進

データ

- ・薬剤および疾患領域ごとにデータ戦略を策定
- ・日々進化するデータ環境を継続的に評価し、革新的なデータソースに投資

全社レベルで導入

パートナーシップ

- ・データプロバイダーと提携し、データへの独自のアクセスを確保し、独自のデータセットを構築
- ・地方自治体、革新的なスタートアップ企業、学術的なコンソーシアム、アナリティクス企業、医療機関などとパートナーシップを締結

ツールおよび環境

- ・最先端のプラットフォーム構築に投資し、必要に応じて既存プラットフォームを統合
- ・ローカル“サンドボックス”を構築し、クラウドプラットフォームを拡張、および分析用アセットのリポジトリを作成・可視化
- ・データの利活用や外部との提携を迅速に進めるためのガバナンスを確立

分析で得たインサイトからビジネスへの意味合いを理解できるビジネスストラテジャーも必要になる。これらのケイパビリティをどの程度アウトソーシングせずに自社内で構築するかはそれぞれの組織で判断することになるが、完全にアウトソーシングしてしまうべきではない。どの企業も、ある程度は自社でデータサイエンティスト、データエンジニア、ストラテジャーといったエキスパートを確保しておかなければならない。実際のところ、何が必要かを早い段階で把握することは難しいため、将来的にどのようなケイパビリティが必要になるのかの判断や、それらのケイパビリティを構築または獲得するためのアクションプランの策定を急ぐ必要はない。むしろ、初期のユースケースを実行することで見てくるものがあると考え、しばらくはある程度アウトソーシングが必要になるかもしれないこと、体制を整えるあるいはチーム全員を揃えるためにはそれなりの時間がかかることを想定しておいた方が良さだろう。

一部導入段階

この段階の企業は、既に特定のユースケースでRWEのアドバンスアナリティクスを取り入れており、それを後押しする幹部がいて自社のケイパビリティの強化に着手していると考えられる。これらの企業においてよく見られる課題は、取り組みの勢いを維持し、初期のユースケースから得た学びを組織全体に落とし込むことである。そのためには、適切な組織構造、オペレーティングモデルおよび企業文化を確立することに加え、大きなインパクトをもたらすデータ戦略を策定することが有効と考えられる。

組織、オペレーティングモデル、文化：製薬企業は、RWEのアドバンスアナリティクスの専任担当者を配置することで、全社的な利活用を推進することができる。この担当者は、各部門と連携してRWEのアドバンスアナリティクスの機会を特定しそのような機会のポートフォリオを構想、また各ブランドや部門に革新的なアプローチを取り入れることを促す役割を担う。また通常、部門横断的チームを結成し、RWEに関わるすべての取り組みについて各部門を取りまとめ、ユースケースの実行順序の決め方、予算や人員の割り当てを含む内部業務プロセスを整備する必要がある。ビジネス、分析、業界知見、医学的知識を備えた部門横断的チームは、業務プロセスや企業文化を変革する際に直面し得る課題の解決にも貢献できる。

このようなチームは、国内、アジアといった地域、グローバルのどのレベルに設置してもかまわない。ただし、日本市場に詳しくなければ理解できない側面もあるため、日本で資金調達を含めた意思決定の権限を持つことが重要となる。

また、有能なRWE責任者と部門横断的チームがいても、組織全体を巻き込んでRWEのアドバンスアナリティクスを幅広く導入するためには、チェンジマネジメントプログラムが必要になる場合がある。経営陣は、RWEを戦略的議論や研究開発における重要な要素と位置づけて積極的に取り入れ、RWEから得られた新しいインサイトに基づいて行動を起こすためには、ある程度大胆さが必要である。アドバンスアナリティクスに関する必須のトレーニングを含むチェンジマネジメントプログラムは、組織文化の変革の後押しとなる。

データ：現在日本国内で利用可能なデータベースには限界があるため、RWEのアドバンスアナリティクスを全社レベルで導入する際には慎重にデータ戦略を練る必要がある。日本では米国に比べてデータの網羅性が低く、患者が治療を受けた医療機関や地域に関する情報も限られている。そのため、企業は、薬剤や疾患領域ごとにデータ戦略を検討・展開する必要がある。希少疾患など一部の疾患領域については、利用可能な商用データベースでは十分な量や質のデータを得られないため、革新的なパートナーシップが必要になる場合がある。製薬企業には、どのデータベースを使用し、どのユースケースを実行するかを見極めることが求められる。また、急速に進化するデータ環境を継続的に評価し、RWEのアドバンスアナリティクスに関する戦略の実行に役立つ新しいデータソースに投資する必要がある。

全社レベルで導入の段階

一歩先を行く企業は、RWEのアドバンスアナリティクスを体系的に設計・実行している。経営層はその成果に対して説明責任を負い、インサイトをオペレーションに反映するためのチームが組成されている。さらにこれらの企業は、RWEのアドバンスアナリティクスに関する新たな機会を模索し、更なる活用拡大に向けての障壁を乗り越え、リーディングポジションを確立するための取り組みを進めている。ここでは、ツールや技術的環境だけでなく、長期的なパートナーシップへの投資も重要な鍵となる。

パートナーシップ：先進的な企業にとっては、特に一般的ではない疾患領域でさらにRWEのアドバンスドアナリティクスを活用したい場合に、横断的データが限られていることが大きな障壁になる可能性がある。そのため、データプロバイダーとの関係を強化してデータへの独自のアクセスを確保し、独自のデータセットを構築する必要性は高い。このようなアセットは、日本では重要な価値創出の源泉となると思われる。ただし、製薬企業のケイパビリティ向上に寄与するパートナー候補はデータプロバイダーだけではない。自治体やスタートアップ企業、学術的なコンソーシアム、アナリティクス企業や医療機関などもその対象に含まれる。

ツールおよび環境：RWEのアドバンスドアナリティクスの導入拡大を目指す企業は、少なくともユースケースやデリバリーモデルに関する基本的なテストを行うための“サンドボックス”を用意する必要がある。さらに一歩先を目指す企業は、独自の最先端プラットフォーム構築への投資、あるいは既存のプラットフォームの統合を検討して、自動化されたパイプラインや分析用アセットのリポジトリ、および可視化に対応する必要がある。リアルワールドデータからの深いインサイトをプラットフォーム上で継続的に導き出すことで、企業は常に最新のRWEに基づいた意思決定を行えるようになる。また、新しいデータの利活用や外部との提携を迅速に進めるためのガバナンスを確立することが重要となる。

日本の製薬企業は、データ利活用の拡大とインパクトの創出に注力することで、RWEのアドバンスドアナリティクスにおける重要プレーヤーになりうる。日本は既にこの領域においてアジアで最も進んでいる市場であるため、日本での取り組みを通じて得た知見をアジアで広く共有することもできる。新たに必要となるケイパビリティや業務プロセスを考えると、価値を最大限引き出せるようになるまでには数年かかると思われるが、既に大きな成果をあげている企業もいくつか出始めている。したがって、RWEのアドバンスドアナリティクスの導入が遅れている企業は、先行企業に置いていかれないよう、取り組みを加速させていく必要があるだろう。

ミケーレ・ラヴィショーニはマッキンゼー東京オフィス（以下同様）のシニアパートナー、反田 篤志はパートナー、井谷 翼と永谷 朋子はエキスパート、レイモンド・チャンはマッキンゼー関西オフィスのパートナー。

本稿の執筆にあたりご協力いただいた、David Champagne、Alex Devereson、Lucy Pérezの各位に、執筆者一同より感謝の意を表す。

Designed by McKinsey Global Publishing
Copyright © 2022 McKinsey & Company. All rights reserved.