

「米国における RWD/RWE 活用施策の変遷からみる活用促進への示唆」

公益財団法人医療機器センター

医療機器産業研究所 主任研究員 本田 大輔

1. はじめに

医療機器開発において、RWD (Real-World Data) / RWE (Real-World Evidence) 活用の期待は高い。我が国でも活用に向けた施策が進められているが、実際の活用は限定的との声も聞かれる。一方、米国では、FDA が長年にわたり、医療機器分野における RWD/RWE 活用の施策を進めている。本稿では、これまでの FDA の施策を振り返り、今後の活用促進に向けた示唆を考察する。

2. 利用可能な RWD を生み出す基盤の整備

FDA による RWD/RWE 活用の取組は、医療機器の市販後監視に利用可能なデータ基盤の整備から始まった。

2012 年 9 月に公表された「[Strengthening Our National System for Medical Device Postmarket Surveillance](#)」では、医療機器の市販後安全をより効率的に把握するため、様々なデータソースを活用する市販後監視システムの構想が示された。当時の課題の一つは、日常診療の中には医療機器に関するデータが存在するものの、それらが分散しており、医療機器の評価に利用可能な形で十分に結び付いていないことであった。この課題に対して、医療機関やレジストリ等が保有する RWD を連携させ、活用するための基盤整備を進めた。2016 年 8 月には、Medical Device Innovation Consortium (MDIC) に協力協定を付与し、NEST ([National Evaluation System for health Technology](#)) の調整機能を担う NESTcc (NEST Coordinating Center) が設置された。NESTcc は、RWD を保有する組織とのネットワーク形成や研究実施の支援等を通じて、医療機器のライフサイクルを通じた RWD/RWE 活用の基盤整備を担っている。

3. 規制上の予見性の向上

FDA は並行して、RWD/RWE を薬事規制に活用する際の予見性の向上も進めてきた。2017 年 8 月にガイダンス「[Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices](#)」を発出し、RWD の relevance (関連性) や reliability (信頼性) を評価した上で、RWE を薬事規制上の意思決定に用いる際の基本的な考え方を示した。同ガイダンスは、2025 年 12 月に改訂されている。また、2021 年 3 月には、RWE が薬事に活用された [90 事例](#) (2012～2019 年対象) を公表し、2026 年 4 月には新たに [73 事例](#) (2020～2025 年対象) を追加した。この 73 事例

には、510(k) が 44 件、De Novo が 7 件、HDE が 1 件、PMA が 9 件、PMA supplement が 12 件含まれており、RWE が様々な市販前規制判断に利用されていることが示されている。こうした取組により、RWD/RWE を薬事規制に活用するためのルールと具体的な事例が蓄積され、[2016 年以降、250 件を超える医療機器の市販前承認等に RWE が活用](#)されている。

4. より活用を促進するために

一方で、FDA は RWE を活用した [承認等の件数の伸びは近年頭打ちになっている](#)との認識も示している。これは、制度上の環境は整いつつある一方、実務上はなお課題が残されていることを示唆している。具体的には、データ品質の確認や適切なデータソースの選定などが挙げられ、その対応策の一つとして位置づけられるのが「[NEST Mark: Real-World Data Source](#)」である。NEST Mark は、電子健康記録、レジストリ、保険請求データ等の RWD ソースについて、正確性、追跡可能性、完全性等の基礎的な品質特性をあらかじめ評価する仕組みである。2026 年 7 月に公表された [MDUFA VI の Draft Commitment Letter](#) では、2027 年 12 月末までに、FDA と NEST が連携して、NEST Mark が付与されたデータソースを医療機器の市販前申請にどのように活用できるかを明確化する方針が示されている。NEST Mark により、研究や申請ごとに繰り返される基礎的なデータ品質評価の負担軽減が図られ、より広範に RWE の活用が展開されることが期待される。もともと、個々の評価に対するデータの妥当性等については、引き続き個別の評価が必要な状況でもあるとしている。

5. おわりに

米国 FDA は、データ基盤の整備、薬事規制上の予見性の向上、利用時の負担軽減へと各種施策を打ち出しながら発展させてきている。こうした変遷は、RWD/RWE の活用促進には、施策を一度整備して終えるのではなく、活用状況を踏まえて課題を捉え直し、次の施策につなげていくことの重要性を示している。すなわち、短期間で活用を定着させる単一の施策を見いだすことは難しく、長期的な視点で粘り強く取り組む必要がある。

本邦においても、RWD/RWE 活用の現在地を把握し、残されたボトルネックに応じて施策を継続的に見直していくことが求められる。