**Optimising the availability and use of real world data and real world evidence to support health technology assessment in Australia**

Table of Contents

[List of Tables 4](#_Toc147507792)

[List of Figures 4](#_Toc147507793)

[Glossary of terms 5](#_Toc147507794)

[List of acronyms 6](#_Toc147507795)

[Executive Summary 8](#_Toc147507796)

[Background and Aim 11](#_Toc147507797)

[PART 1: Real world data availability and access, and opportunities for use of RWD for assessments of health technologies in Australia throughout their lifecycle 13](#_Toc147507798)

[1. Methods 13](#_Toc147507799)

[2: Findings 16](#_Toc147507800)

[2.1: Key global developments in the use of RWD in HTA 16](#_Toc147507801)

[2.2: Sources and types of RWD used to estimate the uptake and performance (assessment) of health technologies in Australia 24](#_Toc147507806)

[2.3: Barriers and enablers of access to RWD for HTA in Australia 30](#_Toc147507810)

[2.4: Sources and types of RWD that will be needed to estimate the uptake and performance of health technologies into the future 35](#_Toc147507814)

[2.5: Overview of the options for Part 1 of this paper: Opportunities to optimise the availability and use of RWD to support HTA in Australia 38](#_Toc147507815)

[PART 2: Roadmap for optimising the availability and use of RWD to generate robust RWE to support the HTA lifecycle in Australia. 41](#_Toc147507816)

[References 48](#_Toc147507817)

[APPENDIX A: Bibliography of key resources and literature 53](#_Toc147507818)

[APPENDIX B: Sources and types of Australian RWD 59](#_Toc147507825)

[APPENDIX C: Barriers and enablers of access to RWD for HTA in Australia 63](#_Toc147507827)

# Executive Summary

Real world data（RWD）の分析から得られるreal world evidence（RWE）は、医療技術評価（HTA）の一環として、市場承認や補助金承認など、医療技術パイプライン全体における意思決定者のエビデンス・ニーズをサポートする上で重要な役割を果たしている。本レポートは2部構成となっており、RWD の入手可能性とアクセスに関する現在の「状況」の概要を説明し、オーストラリアの HTA を支援するために RWD と RWE の利用を最適化する機会を特定している。また、これらの機会を実現するための短期、中期、長期の段階的なステップを提示している。特に、医薬品給付制度（Pharmaceutical Benefits Scheme ：PBS）への医薬品およびワクチンのリストアップ、およびメディケア給付制度（Medicare Benefits Scheme：MBS）への関連技術のリストアップのためのHTAに焦点を当てている。

RWE の開発は、規制当局や保険者による意思決定のグローバルな文脈の中で急速に進展している。RWE は従来から使用されており、特定の疾患の発生率や有病率を推定し、医療技術がリストアップされる前の治療状況を説明し、リストアップ後のモニタリングや監視において、今後も HTA において重要な役割を果たし続けるだろう。さらに、ランダム化臨床試験（RCT）によるエビデンスの質と入手可能性に関連して、RWD/RWEがさらに活用される可能性がある3つのシナリオがある。これらのシナリオには、RCTのエビデンスが、償還対象リストへの登録を裏付けるのに十分、不十分、または入手不可能であるとみなされる場合が含まれる（図）。RWEは、後者の2つのシナリオにおいて、HTAでますます活用されるようになっている。

**Figure: Scenarios where RWD can generate comparative treatment effects in HTA**

多くの新しい医療技術や新興医療技術は、非常に限られた患者集団（例えば、まれな疾患や超まれな疾患）で使用される可能性が高い。このような患者集団では、自然疾患史が十分に解明されておらず、疫学も不確実で、表現型も多様であり、診断精度も低い。そのため、重要なエビデンスの不確実性は、上記の図のシナリオ2と3に該当することが多い。HTAをサポートするための具体的なデータニーズは、治療の種類や使用される状況によって異なる。国際的な法域では、この文脈において定量的データと定性的データの双方の使用を推奨している。

他の種類の医療技術の場合と同様、RWDとその分析方法に品質の観点を取り入れることは不可欠である。我々は、RWEの品質は多因子性であると主張する。それは、基礎データ（由来、信頼性、欠損）、それらのデータを分析するために使用される方法（適切な研究デザインと分析方法）、そして対処される問題（データは必要なエビデンスを生み出す目的に適しているか）に依存している。

オーストラリアの HTA における意思決定に RWE を統合するための枠組みが早急に必要とされている。 医薬品給付諮問委員会と医療サービス諮問委員会のエビデンス・ニーズをサポートし、RWE の質と透明性を高めるために、オーストラリアの HTA に採用または容易に適応できる、注目すべき国際的なイニシアティブ、枠組み、ツールが存在する。

オーストラリアには、HTAの支援に現在使用されている、あるいは将来使用される可能性のある、豊富な伝統的および新興のデータソースがある。RWDの定義は広範囲に及ぶことが推奨され、保健医療および社会福祉の分野において日常的に収集されるデータ、疾患や医療技術に特化した登録簿、患者から直接収集されるデータなどが含まれる。従来のRWDは主に定量的データであるが、患者固有の価値観や経験を取り入れた定性的なデータも、今後ますます重要になるだろう。

大量のデータが存在しても、それが HTA を支援するためにタイムリーに活用されるとは限らない。本報告書では、オーストラリアにおける RWD の入手可能性、アクセス、利用の障壁について包括的な評価を行い、アクセスの障害に対する解決策を提案している。特に、データの利用における透明性の欠如と、データへのアクセスに関する統一された合理的な手順の欠如は、HTA や研究を含む幅広い用途でのデータ利用にとって依然として大きな障壁となっている。

HTAの文脈において、オーストラリアにおけるRWDおよびRWEの価値を最大限に引き出す機会は、4つの相互に関連した原則、すなわちパートナーシップ、信頼、データインフラ、方法論によって支えられている。以下の表は、オーストラリアで現実的に採用できるオプションを示しており、急速に進化するHTA、データ、方法論の動向に対応できるよう設計されている。

**Table: Options to maximise the value of RWD and RWE for HTA in Australia**

|  |
| --- |
| **PARTNERSHIPS** |
| HTAにおけるRWDの利用とアクセスを最適化するシステム、経路、評価、研究の開発と実施を共同設計し、監督するために、政府に報告する多ステークホルダー諮問グループを設置する。 |
| **TRUST** |
| HTAにおける複数の管轄区域や部門にまたがるRWDへのアクセスと利用に対する信頼、認知度、受容度を高めるための戦略的アプローチを開発する。このアプローチは、消費者と地域社会の参加と共同設計を中心に据え、既存の国際的な活動やガイドラインを活用・統合し、オーストラリアの文脈とエビデンスを組み込み、HTAに特化した対応とメッセージを微調整すべきである。オーストラリアは、プライバシー保護とデータセキュリティを保証するシステムの開発と強化を継続することが極めて重要である。 |
| **DATA INFRASTRUCTURE** |
| HTA 用の RWE 開発を促進するために、透明性があり合理化されたガバナンスを含む、ダイナミックで持続可能な政府全体にわたるデータインフラストラクチャを開発する。このインフラストラクチャは、HTA 機関やその他の利害関係者のニーズに基づいて、時間をかけて進化させていくべきである。また、国際標準を使用して調和を図り、治療状況の変化に対応できる柔軟性を備え、新たなデータセットを取り入れるための拡張性を備え、透明性の高いデータ品質評価を可能にする必要がある。人口の多い管轄区域から収集された統合された医療・社会データは、一部の研究課題に対処するために適している可能性がある。これらのデータは、より迅速にアクセスでき、複数の分野にわたる深みを提供できる可能性がある。 |
| **METHODS** |
| HTAのベストプラクティス手法を用いて、データの標準化、標準化された分析、報告に及ぶ、透明性の高いエビデンス開発に向けた多主体調整アプローチを開発する。 |

本レポートの第2部では、これらの選択肢をサポートするためのロードマップを示し、即座に、12か月以内に、そして長期的に実施できる一連のステップを提示している。ロードマップの実施には、第一に、データアクセスに関する倫理およびガバナンスプロセスをより調和させ、合理化し、透明化するための取り組みが必要である。これは、オーストラリアにおけるHTAのためのRWE開発を加速するために必要な基盤となるステップである。オーストラリアは、地域RWDから確固たるエビデンスを生み出すアプローチにおいて、グローバルな視点も取り入れるべきである。この取り組みにおいては、長期的な実現可能性と資源やインフラの賢明な利用を確保するため、調整された多主体アプローチを支持する。

# Background and Aim

ヘルスケア技術パイプラインとは、概念開発から臨床試験、規制当局や助成金の承認、市販後調査に至るまで、技術が発展していくダイナミックなプロセスである。現実世界のデータ（RWD）の分析から得られる現実世界のエビデンス（RWE）は、ヘルスケア技術評価（HTA）の一環として、市場承認や助成金の承認など、ヘルスケア技術パイプラインにおける意思決定者のエビデンスニーズをサポートする上で重要な役割を果たしている1。RWDは、国際HTA評価機関ネットワークにより、臨床試験条件以外の日常的な医療提供時に収集されたデータと定義されている2。他の機関や団体は、さらに広範な定義を採用しており、疾患や医療技術に特化した登録簿やデジタルプラットフォームを通じて患者から直接収集された、医療および社会ケアのあらゆる側面で日常的に収集されたデータも含まれる3、4。RWDから生成されるリアルワールドエビデンスは、政策立案者に日常臨床ケアにおける医療技術のリスクとベネフィットをより包括的に理解させることができ、それはランダム化比較試験（RCT）で観察される結果と異なることが多い。

RCT は、医療技術の有効性を確立するためのゴールドスタンダードであることは広く認められている。RCT から得られた推定値は、規制や HTA の意思決定の礎となってきた。しかし、RCT には限界があり、状況によっては実施できないことも認識されている。RWE は、統制実験の必要性を完全に代替できるわけではないが、その価値は実証されており、世界中の規制当局や HTA 機関の証拠に基づくニーズをサポートしている。これらの機関は、疾病の疫学、治療パターン、疾病の負担に関する記述的な RWE を、規制や助成金の決定を下す際に長らく利用してきた。また、RWE を活用して、医療技術が日常的な臨床ケアで使用可能になった際に、その使用や安全性に関する不確実性を低減してきた。RWE はまた、医療技術の現実世界における（費用）効果や比較（費用）効果を評価するために使用されてきたが、これらの分野におけるベストプラクティス手法やガイドラインは、現在も発展途上である。最近では、臨床試験の実施が不可能な、あるいは倫理的に実施できない希少疾患の治療技術の開発が主な要因となり、RWE が臨床試験を補完し、製品の有効性を推定するために使用されるケースも増えている。

オーストラリアでは、新しい医療技術の規制と市場承認は、医薬品管理局（TGA）の責任である。TGAは、市場承認前に医療技術の有効性と安全性を評価し、市場導入後も引き続き技術のリスクと利益のバランスを監視する。市場承認が下りると、その技術はオーストラリア医薬品登録簿（ARTG）に登録され、製造業者またはスポンサーはオーストラリアの HTA 委員会に公的補助金の申請を行うことができる。TGA-PBAC の並行プロセスにより、医薬品およびワクチンに関する一部の申請は、TGA 登録書類の提出後いつでも、医薬品給付諮問委員会（PBAC）で評価される。この報告書に関連する HTA 諮問委員会は 2 つある。医薬品とワクチンに関しては、HTAはPBACの管轄である。医療サービス諮問委員会（MSAC）は、メディケア給付スケジュール（MBS）やその他のプログラムで資金提供されている新しい医療サービスや既存の医療サービスを評価する。本報告書では、PBACで検討される医療技術、またはPBSに掲載されている医療技術の効果を強化するMSACの管轄下にある医療技術を対象としている。これらの委員会は、公的助成（本稿では「リスト化」とも呼ばれる）について保健大臣に提言を行う。助成の決定にあたっては、医療技術の有益性と有害性、経済的な影響、医療システムへの影響を考慮しなければならない。これらのHTAプロセスは、協議的かつ柔軟で、「強固かつ適切なエビデンス」5に基づく情報に基づいて、オーストラリアの公的助成制度の持続可能性、透明性、説明責任、独立性を支援する。

|  |
| --- |
| ***本論文の全体的な目的は、オーストラリアにおけるHTAライフサイクル全体を通じた意思決定をサポートするために、RWDの利用可能性、有用性、利用を最適化するオプションの概要を示すことである。*** |

本稿では、以下の医療技術に関する PBAC および MSAC の HTA を支援するための RWD および RWE の利用に焦点を当てる。

* すべての医薬品およびワクチン
* 高度に専門化された治療法（細胞療法や遺伝子療法など）
* 上記の技術に関連する健康上の成果を改善するその他の医療技術（例えば病理検査や画像技術）
* 新しい医療技術の必要性、アクセス可能性、有効性、費用対効果に影響を与える可能性のある、予測可能な医療の変化。

本論文は、以下の問題を取り上げる2つの相互に関連したパートに分かれている。

* 第1部：オーストラリアにおける医療技術のライフサイクル全体を通じた評価におけるRWDの利用可能性と、RWDの利用可能性とアクセス性。
* HTAにおけるRWDの利用に関する世界の主な動向
* オーストラリアにおける医療技術の普及率と性能（評価）の推定に用いられたRWDのソースと種類
* オーストラリアにおける HTA における RWD へのアクセスにおける障壁と促進要因
* 将来的に医療技術の普及と成果を推定するために必要となるRWDのソースと種類
* オーストラリアにおける HTA を支援するために RWD の入手可能性と利用を最適化する機会。
* 第 II 部：オーストラリアにおける HTA のライフサイクルをサポートするための強固な RWE を生成するために、RWD の入手可能性と利用を最適化するロードマップ。
	+ - オーストラリアにおけるHTAをサポートするためにRWDの利用を最大化するために必要な、短期、中期、長期にわたる一連のハイレベルなステップ。

この文書は、以下のものではないことに留意することが重要である。

* グローバルなRWE開発に関する系統的レビュー
* オーストラリアにおける実世界データの収集に関する監査
* 新たな医療技術の将来予測
* RWEを生成するためのベストプラクティス手法の総合。