

治験と臨床試験のメリットとデメリット

臨床試験

今日のがん治療は、予後や生活の質(QOL)の改善を図るため、種々の治療法を組み合わせで行う集学的治療が基本となっています。乳がんの治療も、手術の他、化学療法、ホルモン療法、分子標的療法、放射線療法や免疫療法に様々な支持療法が組み合わされて行われることにより、予後は年々改善されています。一方、こうした集学的治療を、個別の患者さんごとに最も適した形で適用していくという個別化治療も重要になっています。さらに、新たな薬剤や治療法の開発も急速に行われています。そこで今日では、誰に、どの治療法を、どの用量で、どのタイミングで、どのような組み合わせで行うことが最も効果的で、副作用が少ないかを検討するための臨床試験が重要な意味をもっています。従来の治療法の中には、個別の治療としては確立されていても、それをどのように組み合わせるのが最も効果的なのか、あるいは、使用するべきだと考えられていた治療法は本当に必用なのかなど、未だ明確になっていないことがあります。臨床試験とは、人(患者さんや健康な人)を対象とした治療をかねた試験のことです。つまり、臨床試験は個々人の経験的な治療ではなく、患者さんと医師がエビデンスに基づいた治療法の決定を行うために必要なものです。臨床試験は、治療効果を高めることを目的とした試験のみではなく、過剰な治療を避けるために治療の有効性を検討したり、また支持療法による副作用の軽減を図るためにも必要なものです。そして、こうした臨床試験が、将来の医学の進歩を支えることになります。

臨床試験の意義

治療効果の改善

過剰な治療の回避

副作用、侵襲の軽減

そして最終的には、以上全て総合した医学の進歩によるQOLの改善が目的となります

治験(治療試験)

この臨床試験のうちで、新規の薬剤や治療法、医療機器の安全性と有効性を確かめ、厚生労働省による承認を得るための試験が治験(治療試験)です。

新たな薬剤が医療の場で使われるまで

1. 薬の候補(基礎研究)

人々の歴史的な経験や、実験室での実験に基づき、植物や微生物、化学合成した物質などから治療の目的に適った薬剤の候補が見つかります。それらについて、細胞や組織などを用いた実験により、効果を調べます。

2. 動物実験(非臨床試験)

動物(ネズミ、ウサギ、イヌなど)を使った疾患のモデルなどで、有効性と安全性を十分に確認します。

3. 治験

a. 第1相試験(臨床薬理試験)

薬剤の安全性と薬物動態を調べるために、少人数の健常人や患者さんで行う試験です。通常、少ない用量から始め、安全性を確かめながら徐々に予定された用量まで増やしていきます。

b. 第2相試験(探索的試験)

比較的少数の患者さんに対して、安全性・有効性や用法・用量を探索的に調べます。第3相試験で用いる用法・用量を決定する意味もあります。

c. 第3相試験(検証的試験)

より多数の患者さんに対して、第2相試験で得られた結果に基づき設定した薬剤の用法・用量に対して、有効性・安全性を検証する試験です。プラセボや、既存の標準治療と比較して、その有効性を検討する比較試験を行います。

「医薬品の臨床試験の実施の基準」(Good Clinical Practice: GCP)

こうした治験は、有望な薬剤の開発に欠かせないものですが、使用実績の少ない薬剤を使用することになるため、治験に参加する人々の安全性と人権は最大限に尊重されなければなりません。また、治験で得られた結果が、薬の開発に実際に必要かつ有用な意味を持っていないければなりません。そこで、人権を尊重し、治験を科学的に行うために「医薬品の臨床試験の実施の基準」(Good Clinical Practice: GCP: <http://www.mhlw.go.jp/shingi/2002/09/s0904-3d.html>)という厚生労働省が定めた基準(薬事法に基づく省令)があります。この基準の中には、治験審査委員会の設置や、インフォームド・コンセントに関しても規定されています。

「医薬品の臨床試験の実施の基準」の規定の例

健康被害が生じた場合、補償をされることが規定されています。

治験審査委員会の設置が必要とされています(第4章第1節)。

治験審査委員会は、治験が倫理的及び科学的に妥当であるかどうか、当該医療機関で行うのが適当であるかどうかにつき審査します。

治験に参加する人に対して文書による説明と同意(インフォームド・コンセン

ト)を取得することが必要です。

治験責任医師等は、治験の目的や方法についてわかりやすい文書で説明をし、文書で同意を得ることが必要です。

治験の参加はいつでも取りやめることができます。

治験に参加しない場合や、参加を取りやめる場合にも、不利益な取り扱いはありません。

治験に参加する人の情報は厳密に管理され、秘密は保全されます。

特に、説明文書に関する規定は重要なので、以下に抜粋します。

- 1 治験責任医師等は、前条第一項の説明(治験の内容やその他の治験に関する事項についての説明)を行うときは、次に掲げる事項を記載した説明文書を交付しなければならない。
 - 一 当該治験が試験を目的とするものである旨
 - 二 治験の目的
 - 三 治験責任医師の氏名、職名及び連絡先
 - 四 治験の方法
 - 五 予測される治験薬の効果及び予測される被験者に対する不利益
 - 六 他の治療方法に関する事項
 - 七 治験に参加する期間
 - 八 治験の参加を何時でも取りやめることができる旨
 - 九 治験に参加しないこと、又は参加を取りやめることにより被験者が不利益な取扱いを受けない旨
 - 十 被験者の秘密が保全されることを条件に、モニター、監査担当者及び治験審査委員会が原資料を閲覧できる旨
 - 十一 被験者に係る秘密が保全される旨
 - 十二 健康被害が発生した場合における実施医療機関の連絡先
 - 十三 健康被害が発生した場合に必要な治療が行われる旨
 - 十四 健康被害の補償に関する事項
 - 十五 当該治験に係る必要な事項
- 2 説明文書には、被験者となるべき者に権利を放棄させる旨又はそれを疑わせる記載並びに治験依頼者、実施医療機関、治験責任医師等の責任を免除し若しくは軽減させる旨又はそれを疑わせる記載をしてはならない。

- 3 説明文書には、できる限り平易な表現を用いなければならない。

臨床試験や治験への参加を依頼された方へ

臨床試験や、治験に参加するかどうかは、個人の自由意思に任されています。また、意思決定のために必要な情報は、医師からわかりやすい文書で十分に説明を受けることができます。このように、十分な説明を受けた上で、自由な意思で治療に同意することをインフォームド・コンセントといい、人権の尊重のためにとても大切なものです。また、自分一人で決める必要はありません。説明文書を持ち帰り、家族や知人と十分に相談の上で、意思決定を行ってください。治験の説明文書の内容については、前ページに「医薬品の臨床試験の実施の基準」(GCP)からの抜粋規定があります。是非ご覧ください。

また、参加しない場合や、参加を取りやめた場合にも、不利益な扱いはいっさい受けません。そこで、参加した後でも、いつでも取りやめることが可能です。

臨床試験・治験に参加する際に考慮する点

臨床試験や治験は医学の進歩にとって欠くことのできないものですが、参加する際には、良い面ばかりではありませんので、様々な角度から自分にとって参加することが良いかどうかを考えることが重要です。その際に考慮の参考になる点をあげておきます。

治験について

従来の治療法とは異なった新しい治療法のため、臨床効果において明確でない面があります。そこで、より効果的な治療法を受けられる可能性がある一方、効果が少ない可能性もあります。

また、新しい治療法であるため、予測できない副作用があらわれる場合もあります。そのため、治験に参加されている方に対しては、副作用等の発生がないかどうかを細かくチェックする仕組みになっています。また、副作用が発生した場合には、迅速に副作用に対する医療が施行されるような仕組みになっています。

このように、新しい治療法をより効果的なものとし、副作用を減らすために、治験までにさまざまな基礎実験や、動物実験がなされますが、こうした結果がかならずしも人間にも同様にあてはまるとは限りません。そこで、その治療法について、現在までに分かっている知見はどういうものなのか、今までに人での使用経験はどうなのか、他の国での使用経験はどうなのか等を十分に理解してから参加することが重要です。

日常生活においても、治験に参加される場合には、制限を受けることがあります。得られた結果が、新しい治療法の効果をできるだけ純粋に反映したものとなるように、その治療法に影響を与えるような薬や治療、食物などをひかえていただかなければならない場合があります。また、効果や副作用を細かく確認するために、病院に来て

いただくこともあります。こうした制限は、治験の内容によって異なりますので、十分に医師に確認の上で、参加されるかどうかを決定してください。また、治験に参加を希望されても、参加していただけない場合もあります。参加を希望される方の身体の状態や、内服している薬などにより、治験に参加することが適当でない場合もあります。その場合には、治験への参加を希望されていても治験へ参加していただくことはできず、通常の治療を受けていただくことになります。

治験以外の臨床試験について

すでに厚生労働省の承認を得られた治療を行う点で治験とは異なりますが、より効果の高い治療法やより安全な治療法を開発するために行う点では共通しており、おおむね治験について考慮する点があてはまります。すでに承認された治療法でも、その方法や組み合わせにより、効果に差がある場合や、予測しない副作用がでることがあります。また、検査による副作用などもあり得ます。そこで、倫理面と科学面に十分配慮するために、全ての臨床試験は院内の倫理委員会による承認を受けてからでなければ行うことができないようになっています。

また、臨床試験によっては、検査のために病院へ来ていただく場合や、使用できる薬に制限がある場合もあります。

こうした効果の差や副作用に関する点は、臨床試験の目的や内容により大きく異なりますので、医師から十分に説明を受けたうえで納得するまで話し合い、家族や知人などともご相談の上、参加されるかどうかを決定することが重要です。

参加までの手続き

