

# 新薬の来る道。

# 治験を探索してみよう。

編集／医師35人とCOML合同委員会  
事務局／ロハスメディア  
監修／矢崎義雄 国立病院機構理事長  
江口研二 東海大学教授  
イラストレーション／アラタ・クールハンド

海外で使えるのに日本で使えない薬がある、なんて話を聞いたことがあると思います。なぜそんなことが起きるのか、

そもそも新薬はどうやって生まれるのか。

今回は、そのカギを握る「治験」ということのお話です。

## まずルールありき

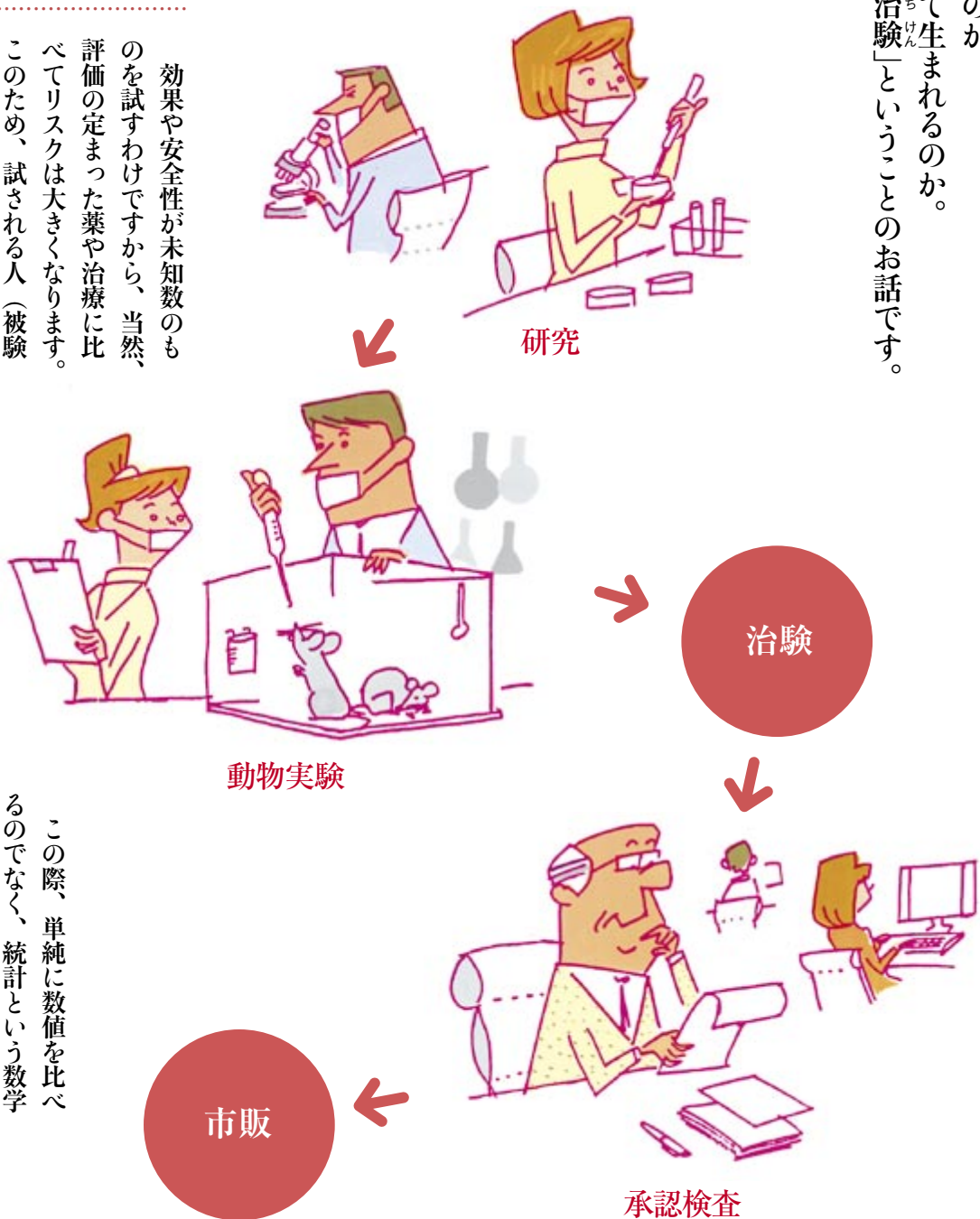
### 皆

さん、闘病にあたって薬や医療器具の恩恵に浴していると思います。当然ながら、そういった薬や器具が天から降ってくるわけではなく、最初に自然界から見つ

け出した人、考えついた人がいて、その有効性と安全性を確かめた人がいて、さらに現在進行形で製造・販売している人たちがいるわけです。

このうち「有効性と安全性を確かめる」の部分にどうしても欠かせないのが、今回のテーマである「治験」です。簡単に言うと、ある物質や治療の効果を人の体で実際に確かめる「臨床試験」のうち、国の「日本国内で販売しているですよ」という承認を得るための成績を集めるもののこと。

人体は非常に複雑にできているので、試験管レベルや動物実験レベルで効果があったり安全だったからといって、人体で同じ効果が出るとは限らず、思いも寄らぬ副作用が出ることもあります。広く使われるようになる前に、どうしても人体で試して確かめる必要があるのです。試す、確かめる、が治験の大切な役割です。



## 医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令

- 医療設備が十分に整っていること
- 責任を持って治験を実施する医師、看護師、薬剤師等がそろっていること
- 治験の内容を審査する委員会を利用できること
- 緊急の場合には直ちに必要な治療、処置が行えること

効果や安全性が未知数のものを試すわけですから、当然、評価の定まった薬や治療に比べてリスクは大きくなります。

このため、試される人（被験者）が極力不利益を被らないよう、治験に関しては様々なルールが定められています。まず、治験を行う医療施設

は、表のような一定の基準を満たす必要があります。参加する医療施設、製薬会社、医師は次項で説明するGCP（Good Clinical Practiceの頭文字）という規則を守ることもなっています。

また、確かめる、と言うからには、誰が見ても納得のいくような客観的・科学的なものでなければいけません。

健康食品などで「効いた人がいる。だから、効くに違いない」と言う人が時々います。しかし、プラセボ（偽薬）効

果と違って、薬だと信じて飲めば、たとえ小麦粉でさえも効いてしまう例が、一定の割合であります。つまり、効いた人がいるだけでは、まったく根拠にならないのです。

科学的に確かめるといふ場合、何人に使って何人に効果があったかということの数値で示す必要があります。また、新しい薬や治療の効果を確かめるには、プラセボや今ある薬・治療などと治療成績を比較して、有効性が優れているか、劣っていないと言えるか、何らかの意義ある特徴があるか、などを分析する必要があります。悪影響（副作用）についても同様です。

この際、単純に数値を比べるのではなく、統計という数学を使って比較する（次項コラム参照）必要があります。

科学的な検討をするためには、試験に適した被験者の最低数を超えなければなりません。たとえば、新しい薬・治療の有効性がプラセボや既存のものに比べて僅かの場合、その差が「ある」と分かるために、大きな人数が必要になります。一方、劇的に有効な場合、人数が少なく済みます。つまり、試験に必要な被験者数は、薬・治療の持つ特徴や、どの有効性を検討したいかによって変わります。

国内で「承認」されるには、このように科学的なデータが必要なのです。







# どんな人が受けられるの？

**お** 待たせしました。患者にとつて、治験はどんなメリット・デメリットがあるかをご紹介します。

まず被験者は原則としてボランティアになります。他に関与する機関が対価を受け取るのに不公平だと思いかもしませんが、こうなっているのは貧乏なお金目当てに、不要な治験を受けることのないようにとの配慮からです。輸血用の血液が、売血から献血に切り替えられたのと同じ発想ですね。

とはいえ、何のメリットもなければ被験者が集まりませんので、治験で使う薬の代金や薬の使用に関連する検査の代金、交通費補助など、治験参加施設の治験審査委員会が

審査承認した方法による、ある程度の金銭授受はあります。では、治験の進め方を順に説明します。治験は通常3段階で行われます(図)。

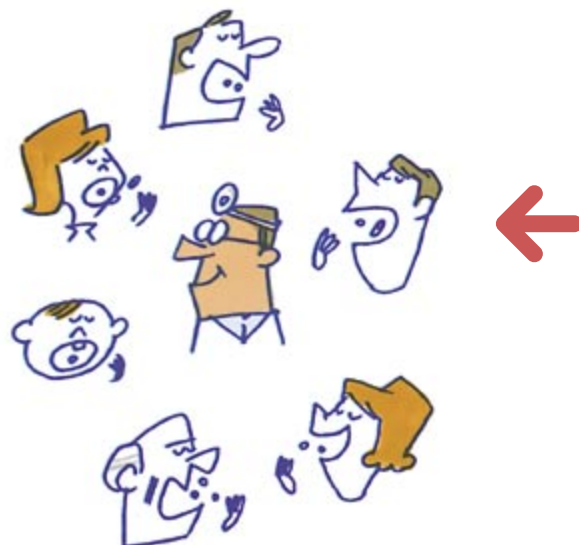
それぞれを第I相(フェイズ1とも言います) 試験、第II相(フェイズ2) 試験、第III相(フェイズ3) 試験と言いい、調べる内容と被験者の条件とが異なります。

第I相試験は、ヒトに対して我が国で初めて使用する薬剤の安全性や、副作用と薬の量との関係を見るものです。通常は健康な人が被験者になるため、ボランティアという建前はすっかり形骸化し、協力金目当てのアルバイトとして捉えられていることが多いようです。インターネットな



フェイズ1

健康な人で安全性を調べます。



フェイズ2

薬剤と効果と副作用のバランスの良い量を検討します。



フェイズ3

薬の有効性を偽薬や標準薬と比較します。

どでも、日常的に参加者を募集しています。ただし、抗がん剤の場合は患者さんが被験者となるのが一般的です。

第II相は、実際の患者さんに被験者になってもらい、効果と副作用の案配がちょうど良い用法・用量の検討をつけます。ここまで通過すると、いよいよ偽薬や今標準的に使用されている薬との比較試験である第III相です。有効性や安全性を真に確かめるために、被験者数も一気が増え、いわば治験のヤマ場です。この際、最も厳密に検討するためには、患者さんにも医師にも、使う薬が治験対象薬なのかそうでないのか、分からないようにします(二重盲検法と言います)。この方法を使うかは、薬の性質や患者さんの病気によります。

もつとも、すべての薬が3段階の治験を要求されるわけではなく、抗がん剤や患者さんが少ししかいない病気の場

合や劇的に効く薬の場合などは、第II相が済んだところで承認してしまい、市販後に追加で有効性や安全性のデータを集めることもあります。

治験を受ける患者は、まだ承認されていない新薬候補を投与してもらうことができず。難治がんなど他に治療の選択肢がない場合、大きなメリットと言えるでしょう。治験に関連する医療費が免除されるほか、若干の協力金など

が支払われることもあります。また少し視野を広げれば、献体と同じように医学の進歩に貢献できると考えることもできます。

ただし新薬だからといって必ずしも画期的とは限りませんが、通常の薬よりはリスクが高くなくなります。また、薬の効果を厳密に測るために、血

液など検査の回数が増えたり、薬の内服時間を記録する必要があったり、決められた日に必ず通院しなければならなかったり、と通常の治療よりも生活上の制約が増える可能性があります。

さらに薬効を正確に評価するため、当該疾病以外は状態が良く体力もある「患者の中の五輪選手」しか治験を受けられない傾向があります。



# 治験の課題。 受けたいと思つたら。

**こ** こまで読んできて、果たして自分に関係あるだろうか、と思つたかもしれませぬ。

実際、治験のことが世の中に広く浸透しているとは言えませんし、一生関係ないまま過ぎる人の方が多いはずですが、しかし、どんどん新しい薬・療法に登場してほしいと考えているなら、やはりこの問題についても少し考えていただければ幸いです。

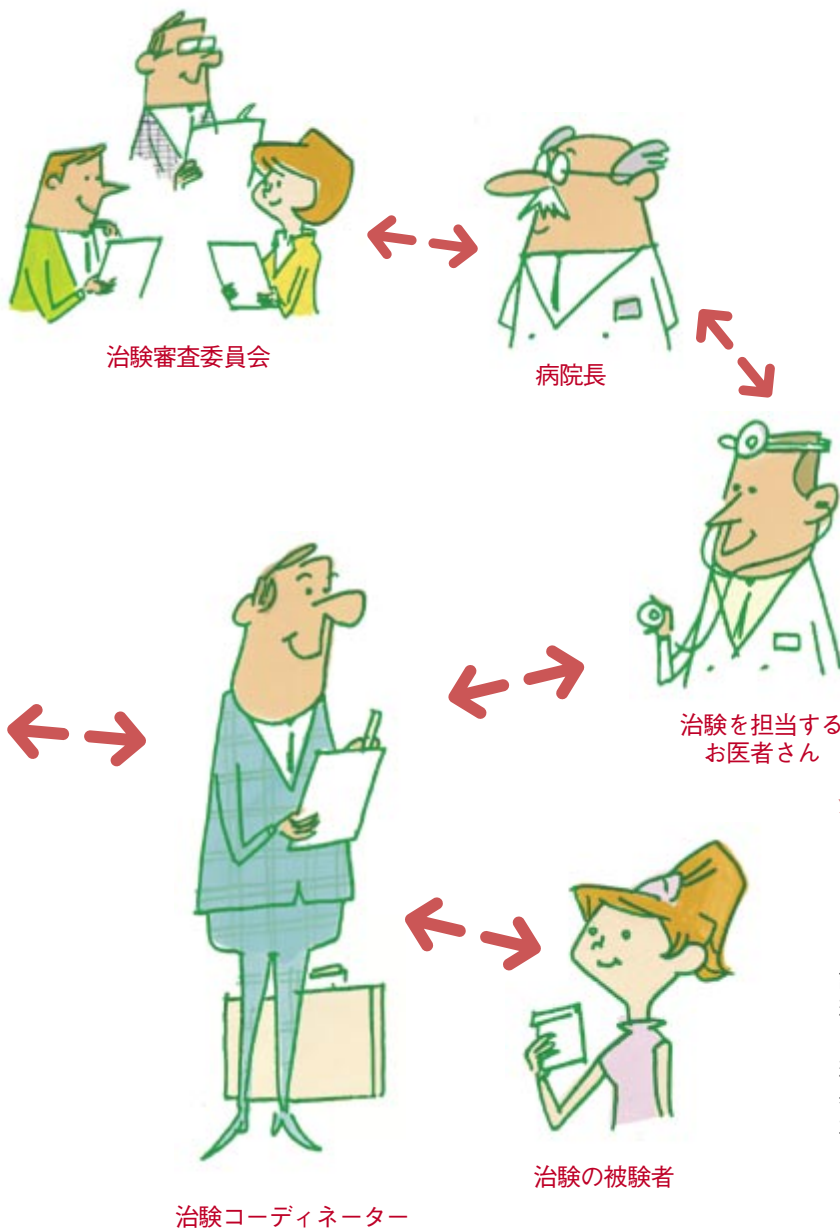
というのも、日本では欧米に比べて被験者が極端に集まらず治験のコストが高くつくため、日本での治験・承認申請を後回しにする製薬会社が増えているからです。ただし、被験者が集まらないのは、日本の医療が悪いからではありません。

ません。

自分の身に置き換えてみると分かることだと思いますが、既にある程度有効な治療法・薬がある場合、治験を受けたいと考えないはず。なぜなら国民皆保険によつて、お金のあるなしにかかわらず、一定レベルの治療は保証されるからです。米国などでは、無保険の人々が無償で医療を受けるために治験対象になる例が多いようです。

他に選択肢がない場合、今度は患者の状態が悪いことも少なくありません。状態が悪くて被験者になり損なつた人は、薬が海外で流通している場合、高い費用を払って個人輸入するかどうかの選択を迫られます。これが、海外で使われている薬が日本で使えないという「未承認薬問題」の一つの構図です。

特に抗がん剤を中心にアメリカやヨーロッパで承認された薬については、国内で早く治験し早期申請するよう国が



ら製薬会社に促すという「未承認薬使用問題検討会議」が昨年から設置されました。元々、抗がん剤では、日本のデータにこだわらず海外のデータも利用して申請・承認されることも多く、海外データのある薬がより有利になったとも解釈できます。

これは海外の薬を日本でもいち早く使えるようにする一つの方法ではありますが、緊急避難的な要素は拭えませんが欧米人とアジア人とで異なることは有名で、欧米人のデータ通りの結果が出るとは限りません。最近抗がん剤の有効性や安全性も、遺伝子の差によって異なるとの報告が多く出ています。

そもそも海外で承認された後に「検討会議」にかかるのでは、どうしても日本での申請・承認が遅れるのは避けられませぬ。したがって、最近海外で申請が出される時、その国に提出される試験に日

## 治験コーディネーターと インフォームドコンセント

治験実施施設の中で、治験をGCPに沿う形で円滑に進めるのが「治験コーディネーター」(CRC)です。看護師や薬剤師、臨床検査技師などが務める場合が多いようです。被験者の心のケア、スケジュール調整や事務作業なども行いますが、特に被験者のインフォームドコンセントが重要な職務です。治験内容の説明は必ず文書で、被験者がメリット・デメリットを十分理解したうえで、自由意思で参加に同意することが必要です。



製薬会社

ているかもしれませんが。

どの病気に関する治験が行われているか、最近では新聞やインターネットなどで広告できるようになっています。また医師には、情報が入っていることが多いです。その医療施設で治験を行っていない場合は積極的に教えてくれないと限らないので、まずは主治医に「もし該当する治験があったら知りたい」と伝えてみてください。

もちろん、事は自分の命に関わります。迷いがなくなるまで、医師や医療施設の説明を聞いてください。迷いがあるのに治験を受ける必要はありません。どうやったら迷わずに治験を受けられるのか、そんな議論を始めてもよい時期なのかもしれませぬ。