

2023年8月26日 第6回JCOG患者・市民セミナー

# 臨床試験に固有の概念

柴田大朗  
JCOGデータセンター統計部門

1

## 本日の内容







- (1)なぜ新しい治療法の効果や安全性を評価しなければならないのでしょうか？
- (2)なぜ新しい治療法の評価をするために、倫理的・科学的に正しい方法を使った「治験・臨床試験」が必要なののでしょうか？
- (3)がんの臨床試験を探す方法は？

2

2

## (1)なぜ新しい治療法の効果や安全性を評価しなければならないのでしょうか？

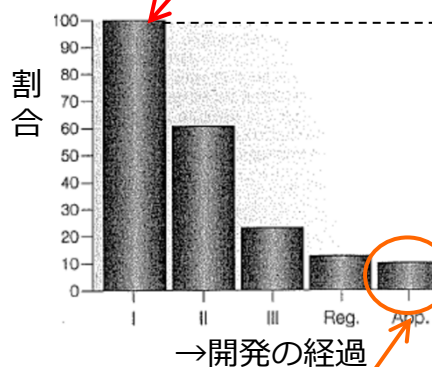
### 残念ながら薬の候補の殆どは効きません


- 「この薬の候補  はがんに効きそうだ」と言われ治験が行われているものが20個あっても、そのうち19個は効かず、薬  にならずに開発が中止されます
- 今、患者さんが使っている薬  は、さまざまなことを調べて効き目があることが証明されて、薬  として認められたものです
- 何回もの臨床試験を行って「薬の候補  」の効きめ（有効性）や副作用の出方（安全性）を調べて、よい成績であったものだけが薬  として認められます

3

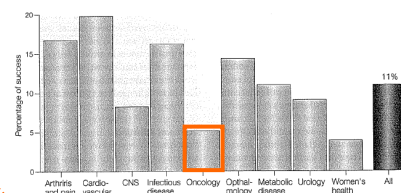
3


### 薬の候補 として臨床試験が開始されたもの



効かない、とても危ない、などの理由で薬  として使えないことが判ったもの、開発を断念したもの

病気によって薬になる可能性が違います



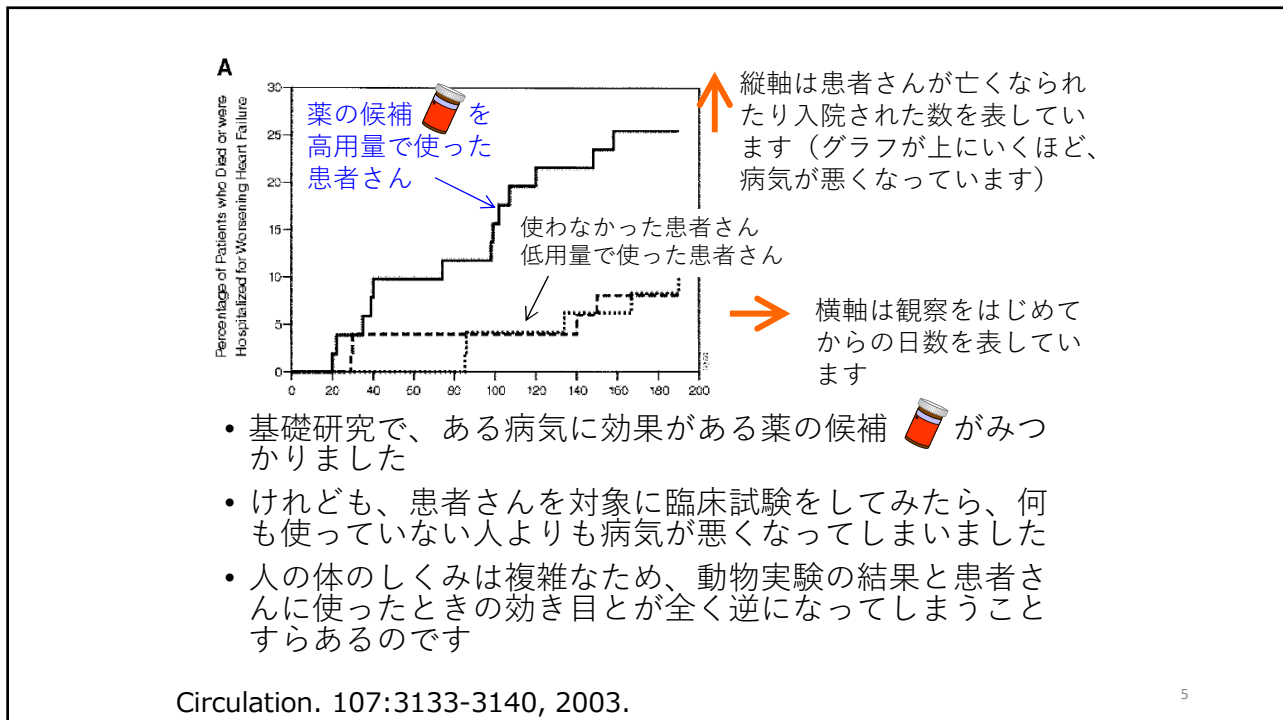
効き目が確認され、国から承認されて薬  として日常診療で使えるようになるもの

がんでは薬  になるのは5%

Nature Reviews Drug Discovery 3(8):711-715, 2004.






4

4



5

## 覚えておいていただきたいこと①

- 薬の候補  の殆どは残念ながら効果がありません。
- 薬の候補  が見つかりとニュースになります。けれど、臨床試験をしてみたらそのお薬の候補  は効かなかった・・・という話はあまりニュースになりません。なので、薬の候補  の殆どが実は効かないことに気づくことが難しいです（私達の認知にはバイアスがあります）。
- 薬の候補  の効き目をきちんと臨床試験で調べないと、効き目がないもの、時には使わなかったときより病気が悪くなるものを間違えて使うことになります。



### 新しい治療法の効果をきちんと調べる必要があります

なぜこんな、場をしらけさせるような話をするのか？  
→実態を把握すること、私達が抱え込みがちな認知のバイアスを知ること、  
“目標”を達成する可能性が高まると思うから

6

6

## (2)なぜ新しい治療法の評価をするために、倫理的・科学的に正しい方法を使った「治験・臨床試験」が必要なのでしょう？





- 薬の候補  に本当に効果があるかどうかを調べるためには、患者さんを、
  - 薬の候補を使わない人のグループ と
  - 薬の候補  を使う人のグループとに分けて効果を比べることが一般的です

→これを「ランダム化比較試験」といいます  
(「無作為化比較試験」と呼ぶこともあります)

7

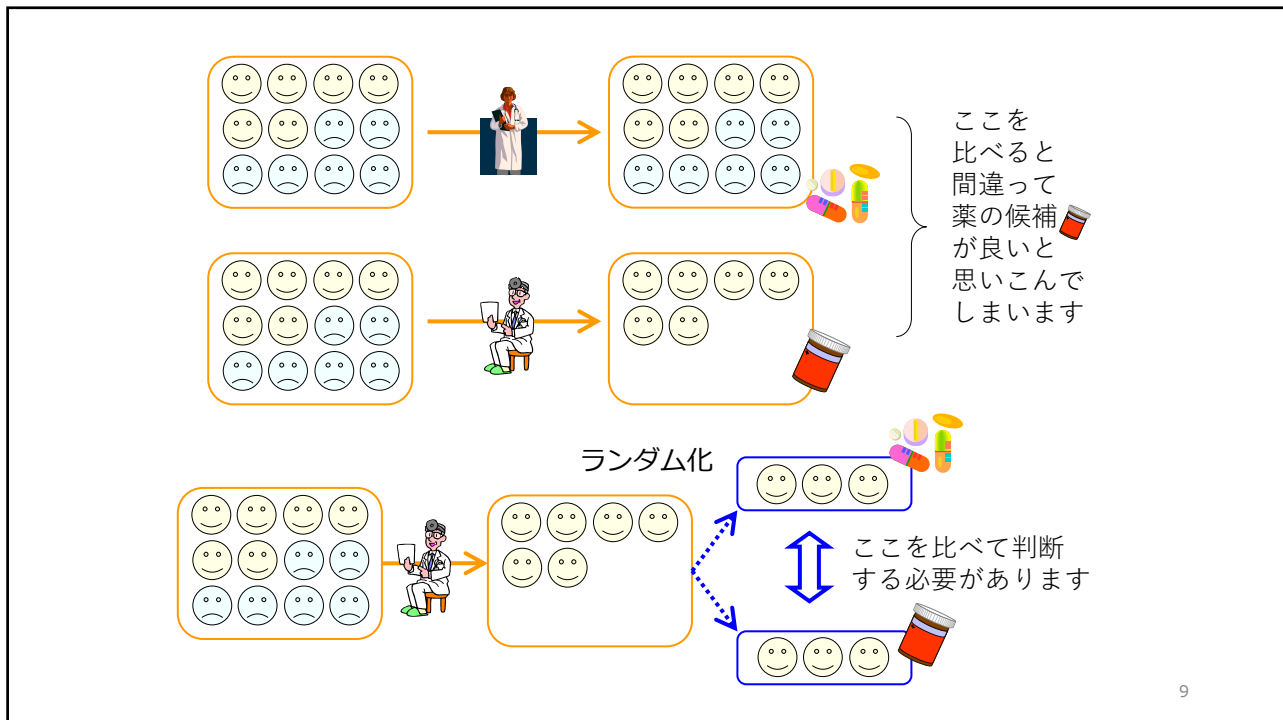
7

## グループ分けして比べる理由は？

- 全ての患者さんに薬の候補  を使っていただいて、その結果を観察すればよいのではないかと考えてしまいますが・・・
- 患者さんが薬候補  を使ったから長生きできたのか、もともと病状が軽かったために長生きできたのか、区別ができません
- がんの薬の候補  の中には、副作用が強く、体力のある患者さんにしか使えないようなものもあります。その結果を、昔の患者さんのデータと見比べてみても、薬の候補  が効いたから長生き出来たのか、体力のある患者さんだから長生きできたのかの区別ができません。

8

8



9

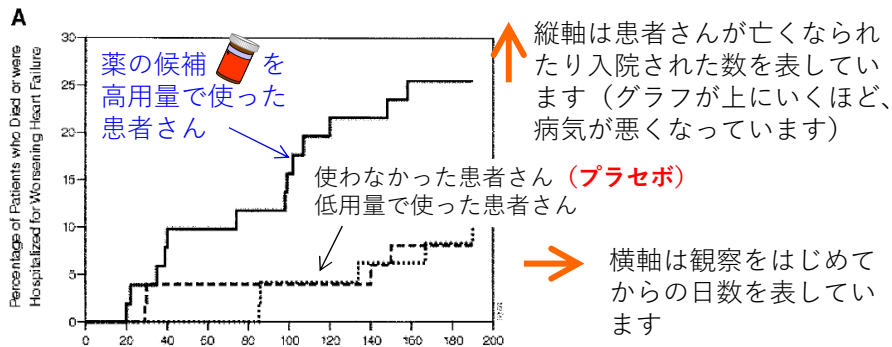
## プラセボと比べる理由


- 薬の効果を調べるためにはプラセボを比較の対照としてランダム化比較試験を行うことが一般的です
- 「プラセボって効かない薬のことでしょう？」
- はい。ただし、プラセボを使うグループに入っても、がんの治験・臨床試験の場合、日常診療で行われている治療より劣る治療がなされることは通常ありません
  - 病気によっては、日常診療で行われている薬を使わずに治験・臨床試験が行われるケースもありますが、**がん領域では、その時点でのベストな日常診療 + プラセボ** のグループ と **その時点でのベストな日常診療 + 新薬候補** のグループ の比較をすることが大原則です

10

10

## 再掲



- 基礎研究で、ある病気に効果がある薬の候補  がみつかりました
- けれども、患者さんを対象に臨床試験をしてみたら、何も使っていない人よりも病気が悪くなってしまいました
- 人の体のしくみは複雑なため、動物実験の結果と患者さんに使ったときの効き目が全く逆になってしまうことすらあるのです

Circulation. 107:3133-3140, 2003.

11

11

## キーワード

- **ランダム化**：治験・臨床試験に参加する患者さんを2つかそれ以上のグループにランダム（偶然の要素を使って）に分けること。患者さんの状態などが似たグループを作ることができ、効果を調べたい薬以外の影響を除いた公平な比較ができます。
- **盲検化・二重盲検化**：比較している薬のどちらを使っているかわからない状態にして治療を受ける、効き目や副作用などの評価を行う方法で、患者さんにも医師にもわからないようにして行う場合は二重盲検と言います。

12

12

# がん情報サービスでの解説

- [https://ganjoho.jp/public/qa\\_links/dictionary/dic01/index.html](https://ganjoho.jp/public/qa_links/dictionary/dic01/index.html)
- RCT (あーるしーていー)
- ランダム化比較試験 (らんだむかひかくしけん)
- インフォームドコンセント
- 拡大治験 (かくだいちけん)
- 患者申出療養 (かんじゃもうしでりょうよう)
- クオリティ・オブ・ライフ
- CRC (しーあーるしー)
- 奏効率 (そうこうりつ)
- 治験 (ちけん)
- PS (ピーえず)
- パフォーマンスステータス (ぱふおーまんすすてーたす)
- 標準治療 (ひょうじゅんちりょう)
- 副作用 (ふくさよう)・・・など

13

13

## (3)臨床試験を探す方法は？

がんの臨床試験を探す チャットで検索  
<https://ct.ganjoho.jp/bot/search>

The image displays a multi-step search process. On the left, a chatbot interface is shown with a search bar and buttons for 'がん' (cancer) and 'がんの臨床試験' (cancer clinical trials). The main part of the image shows the website's search results page for 'がん'. The page includes a search bar, a list of filters (e.g., 'がんの種類', 'がんの種類 (成人)', '希少がん'), and a list of search results. The first result is for '国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院' (National Cancer Center Central Hospital), with details on the number of trials and filters.

14

# 内容の難解さへの対処の例

臨床試験登録DBにはない、  
治験薬の作用機序の解説、  
治験の概要の解説  
(一般の方を想定した文章)を  
企業から提供していただいて公開

がん研究振興財団 患者本位の「がん情報サイト」  
<https://www.fpcr-joho.jp/>

15

# 複数の情報源を臨床試験登録IDでつなぐ

がん研究振興財団  
患者本位の「がん情報サイト」

JRCT IDの利用による  
容易な相互連携の実現

国立がん研究センター  
がん情報サービス「がんの臨床試験を探す」

16






## その他の情報

- 日本製薬工業協会(JPMA)のWebサイト (<https://www.jpma.or.jp/>)
  - >患者さん・一般の方 (くすりについて) >治験の情報>治験について>治験を探す
  - 企業ごとのサイトを含む様々なDBへのリンクや検索方法の解説資料等が公開されている
- 「治験の探し方～JRCTのみかた～」
  - 治験の探し方、製造販売後臨床試験、その他臨床研究の探し方
  - JRCT以外の情報サイトの紹介
  - 基本用語
- 「ClinicalTrials.govのみかた」
  - 米国研究製薬工業協会 (PhRMA) による、米国ClinicalTrials.govの使い方の解説文書へのリンク (文書は日本語、ClinicalTrials.govは英語)

17

17

## まとめ

- なぜ新しい薬の候補  を評価する必要があるのでしょうか？
  - 新しく作られた薬の候補  は効かないものの方が多いです  
([最新の治療は評価が確立するまで最善の治療とは限りません](#))
  - 新しい薬の候補  に本当に効果があること、どのような副作用が出るのか、などを**比較して**調べることが必要です
  - キーワード：**ランダム化、盲検化・二重盲検化**
- プラセボを比較対照とした試験・実薬（既に使われている薬）を比較対照とした試験にかかわらず、対照群が日常診療に劣る試験ががん領域で行われることは原則ありません
- 治験・臨床試験を探す方法はまだまだ改善の余地がありますが、少しずつ状況が変わってきています

18

18