

2024年8月24日 第9回JCOG患者・市民セミナー

講義6 臨床試験に固有の概念

JCOGデータセンター
副データセンター長・統計部門
柴田 大朗

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」が必要なのでしょうか？

(3)がんの臨床試験を探す方法は？

2024/8/24

第9回JCOG患者・市民セミナー

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？

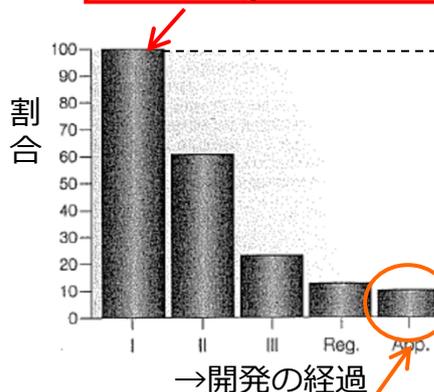
残念ながら薬の候補の殆どは効きません

- 「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

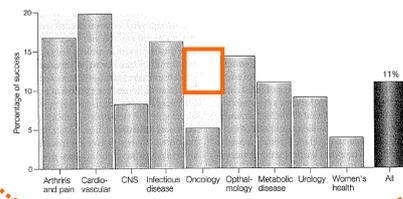
3

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



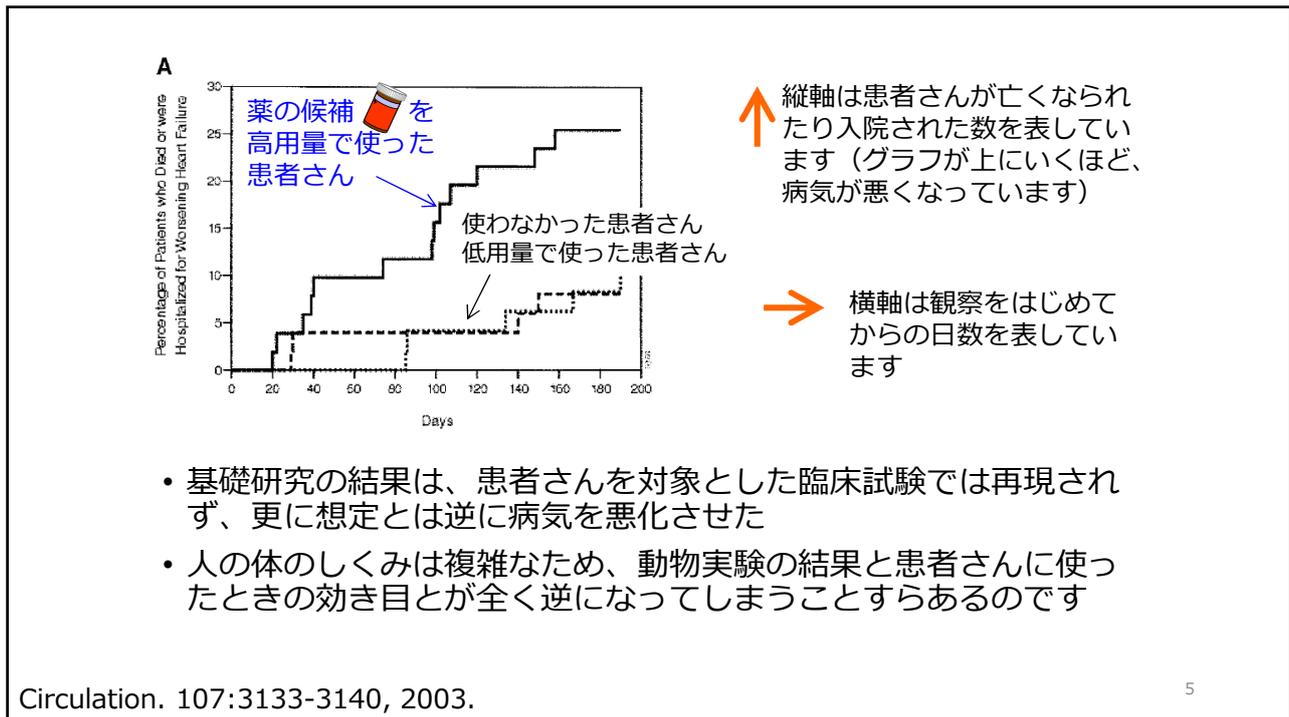
がん領域では薬  になる確率は約5%

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

Kola et al. Nat Rev Drug Discov 3(8), 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 が見つかりニュースになります。けれど、臨床試験を試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

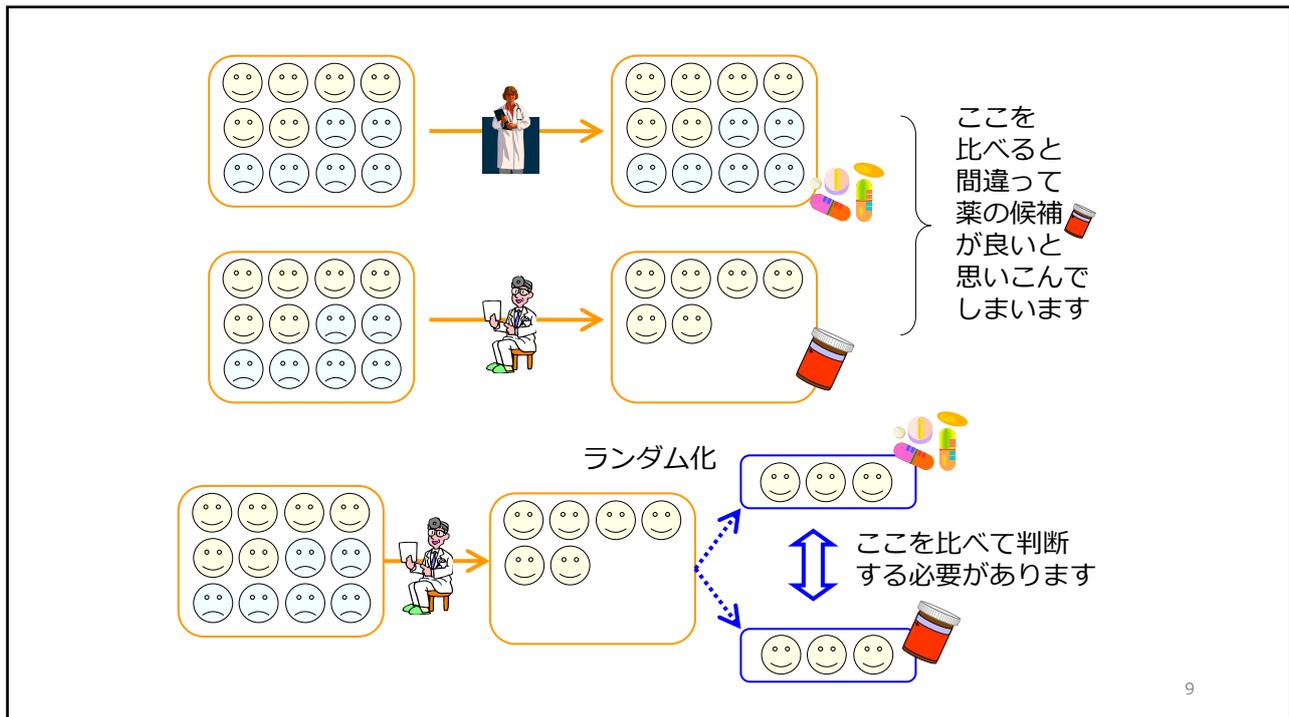
7

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

プラセボと比べる場合がある理由

- 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が行われることが多いです
- 「プラセボって効かない薬のことでしょう？」
→はい。ただし、**プラセボ群は「無治療」ではありません**
- 病気によっては、「日常診療より劣る」対照群や「無治療」群を置いて治験・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

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。

11

11

新薬早期導入のジレンマ・トレードオフ

- 米国FDAが**迅速承認**したがん領域の医薬品のうち、**2割程*1が承認取り下げ*2**になっている
 - *1 2013-2017年に迅速承認され、承認後5年経過している46件中10件
 - *2 FDAのWebサイトでは取り下げられた30件の情報が公開されている
- **新薬の早期導入は重要**だが、**確実なエビデンスがない状況で承認することによる害**もあり、ジレンマ・トレードオフがある
- 「ランダム化」「盲検化」などが重要視される理由

*1 Liu,ITT et al. JAMA 331(17), 2024.

*2 <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/withdrawn-cancer-accelerated-approvals>

12

12

がん情報サービスでの解説

- 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 (ぴーえす)
- 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 screenshot shows the Ganjoho website interface. On the left, there is a chatbot window with a search bar and a list of search results. The main content area displays a list of clinical trials with filters for cancer type (e.g., 肺がん, 膵臓がん), location (e.g., 順天, 東京, 日本), and treatment status (e.g., 試験中, 試験終了). The top right corner features a search bar and a link to the chatbot search page.

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例**

**→この例に限らず、
jRCT IDを用いた「分業と統合」で
提供できる情報の質・量が増える**

**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ます
- 「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
- プラセボが使われていても、がん領域の臨床試験で対照群が日常診療に劣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改善の余地ありますが、少しずつ状況が変わってきています

2024/8/24

第9回JCOG患者・市民セミナー

18

18