

特別講演

主催 医学教育センター 卒後教育委員会

後援 国際医療センター 臨床試験支援センター

平成23年3月2日 於 保健医療学部C-302,

本部棟1階 大学院講義室(テレビ会議システム),

総合医療センター2階 大学院講義室(テレビ会議システム)

臨床試験にかかる政策の国際動向

川上 浩司

(京都大学理事補・教授 大学院医学研究科 薬剤疫学)

内閣府により2009年に行われた最先端研究プロジェクトに関するアンケートでは、国民は「医療・健康・介護」への期待を高く保持していることが分かった。中でも特に期待される分野は、癌や認知症など、高齢者が多く罹患する疾患であった。一方、日本における医療開発費への予算配分は、欧米諸国と比べると低く設定されている。米国政府による2009年に制定された景気対策法では、医療および医学研究に対し国家予算の約50%を投資しているのに対し、日本ではきわめて少ない。このように、わが国において、国民が高く期待する医療の分野に、政府による費用投資が十分行われていないのが現状である。

医薬品産業が一般産業と大きく異なるのは、前者が効果を実証する為の臨床研究を必須としていることである。臨床研究には大きく観察研究と介入研究がある。介入研究のうち、医薬品、医療機器および生物製剤を使用した臨床研究は臨床試験(Clinical Trial)と位置づけられる。また、医薬品などの介入に限らず、診療におけるエビデンスを得るための研究は、臨床疫学研究(Clinical epidemiology,あるいはアウトカム研究)と位置づけられる。このような臨床研究は「人を対象とした研究」であるため、臨床研究の倫理指針等を遵守し、倫理的配慮を十分考慮して実施する必要がある。また、近年、新たな分野である開発型臨床研究(Translational research; TR)が注目されているが、TRはプロトコルを作成する段階に関わる臨床疫学の概念に加え、介入する薬剤の製造に関わるGMP(Good Manufacturing Practice)および動物実験に関わるGLP(Good Laboratory Practice)等の省令も遵守して実施

する必要がある。

日本において医薬品の製造・販売の認可を得るためには、製薬企業が主導の臨床試験を薬事法に基づいて行い(薬事法の用語で「治験」という)、厚生労働省からの承認を得る必要がある。しかしながら、大学などが主導で行う「臨床研究」は、薬事法の規制外であり、製造・販売の認可を得ることを目的として実施しない。この場合の最終的な目標は、先進医療のように当該医療施設だけで保険医療との併用を認められることである。一方、米国では、新規の医薬品候補品などを用いた臨床試験は全て連邦政府食品医薬品庁(FDA)による審査・認可を受けることが可能である。FDAは、申請主体が大学および製薬企業などの形態にとらわれることなく審査・認可を行っている。このように、日本の薬事法は製造販売業を規制することが主な目的であるのに対し、米国の規制要件は国民の健康を保護することを第一の目的としている。

米国では、医薬品および生物製剤の臨床研究を計画する全ての申請者は、試験開始前に、FDAによる審査と認可を受けることが義務付けられている。申請者は所定のIND(Investigational new drug)申請パッケージを準備し、臨床試験の概要および物理化学的特性等の情報を規定の書式で申請し、科学的な審査を終えた後、臨床試験開始の認可を受けている。このような手順を導入することにより、より有意義な薬事的支援を可能にしているといえる。

さて、治験と臨床研究という2つの道筋の存在により、日本の臨床研究には5つの特徴があるといえる。

1. 日本は臨床試験の実施に際して手続きに混乱が

ある。2. GCP 遵守と非遵守の臨床研究に被験者保護の差がある。3. 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) の審査事例が蓄積しないため経験値が不足する。4. 臨床試験の国内データベースが完備されていない。5. 特許の取得から実用化後の商業年数が減少してしまう。これらが米国をふくむ国際的な制度設計に比べて日本の制度がもたらした諸問題である。

日本において、臨床応用という共通課題を促進するためには、今後わが国の認可行政において、新規医薬品候補品を用いた治験と臨床研究という区別をなくし、臨床試験を一本化し、PMDAにて全面的、シームレスな科学的審査と開発の支援を企業のみならず大学などアカデミアに対しても行うことが可能な人員と制度の強化が必要と思われる。また、英国 NICE (The

National Institute of Health and Clinical Excellence) では、アービタックス、ネクサバールおよびスーテントにおける大腸癌および腎細胞癌の使用に関して、費用対効果の解析結果に基づき、「推奨しない」と評価した。近年、このように医療費や薬価などが適正であるか否かを評価する Health Technology Assessment (HTA) の考え方が注目されるようになってきた。HTAは、エビデンスに基づく医療 (Evidence Based Medicine; EBM)、費用便益分析 (Cost Benefit Analysis; CBA)、比較効果分析 (Comparative Effective Research; CER) のプロセスを全て含んだ評価方法であり、今後は社会保障対策の中においても世界的に重要な位置を占めるようになってくるとと思われる。

(文責 佐々木哲哉)