

2025年8月23日 第11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？

2025/8/23

第11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ぬのでしょうか？

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（時代によって多少の違いはあります）
- 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

覚えておいていただきたいこと

- 薬の候補  が見つかりニュースになりますが、臨床試験をしたらその薬の候補  は効かなかった・・・という話は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・偏りがあります）。
- 薬の候補  の効き目を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時より病気が悪くなるものを間違っ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

4

4

(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？

- 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)

5

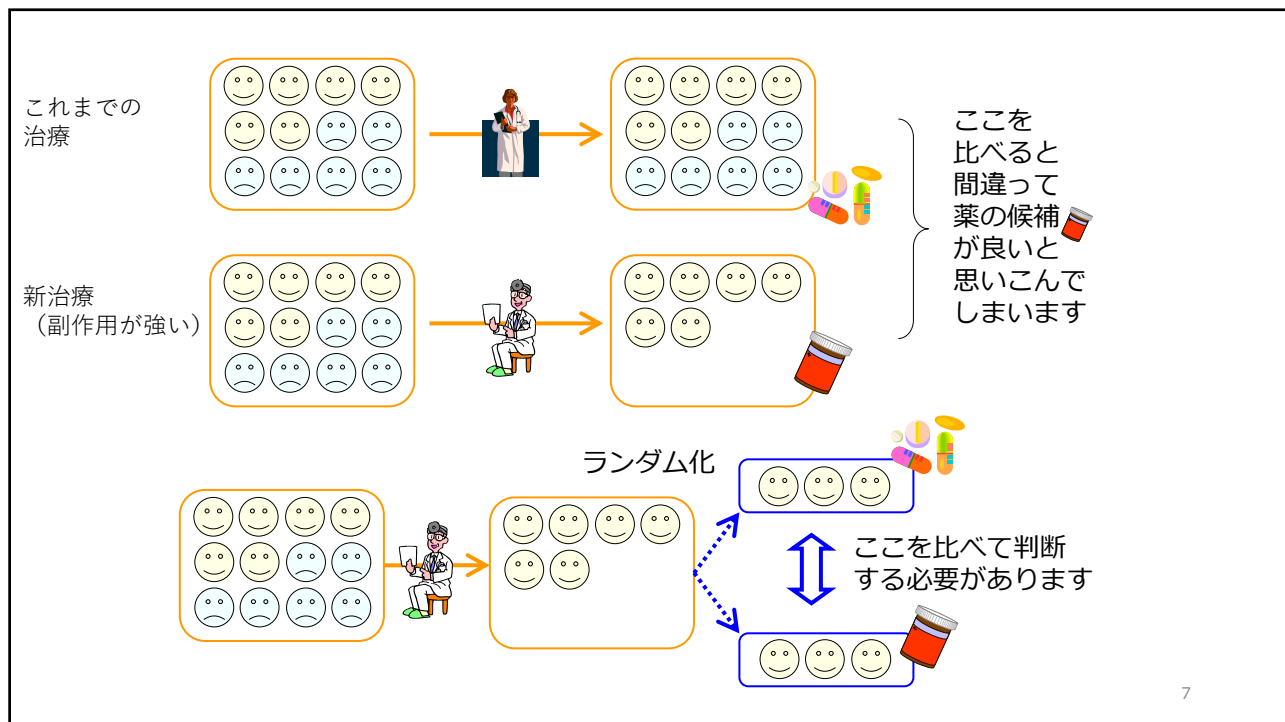
5

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、その結果を観察するのでは評価が難しいです
- なぜなら、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、区別ができないからです

6

6



7

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

けれども、**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

8

8

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に（偶然の要素を使って）分けること。患者さんの状態などが似たグループを作り、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。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。思い込みを排した評価ができます。

9

9

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}**になったという調査結果もあります
 - ^{*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**ですが、**確実なエビデンスがない状況で承認することの害**もあり、ジレンマ・トレードオフがあります
- 「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https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/withdrawn-cancer-accelerated-approvals>¹⁰

10

10

がん情報サービスでの解説

- ・「がんに関する用語集」
- ・ https://ganjoho.jp/public/ga_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

11

11

(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 collage illustrates the user experience on the Ganjoho Cancer Information Service. On the left, a chatbot interface shows a search history for 'がんの臨床試験' (cancer clinical trials). The central window displays search results for '肺癌' (lung cancer), listing 672 cases and providing filters for organ (肺がん), stage (肺癌), and biomarkers (EGFR, ALK, ERBB2/HER2). The right window shows the detailed profile of the National Cancer Center Hospital, including its mission, clinical trial information, and contact details.

12

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「がん治験情報サイト」
<https://www.fpcr-joho.jp/>

13

13

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」

14

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)

15

15

まとめ

- 新しい薬の候補  を評価する必要があるのは・・・
 - 新しく作られた薬の候補  は効かないものの方が多いため
(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)
- そのために効果や副作用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
- がんの臨床試験ではプラセボを使う群でも日常診療に劣ることはありません
- 臨床試験を探す方法は少しずつ改善してきています

2025/8/23

第11回JCOG患者・市民セミナー

16

16