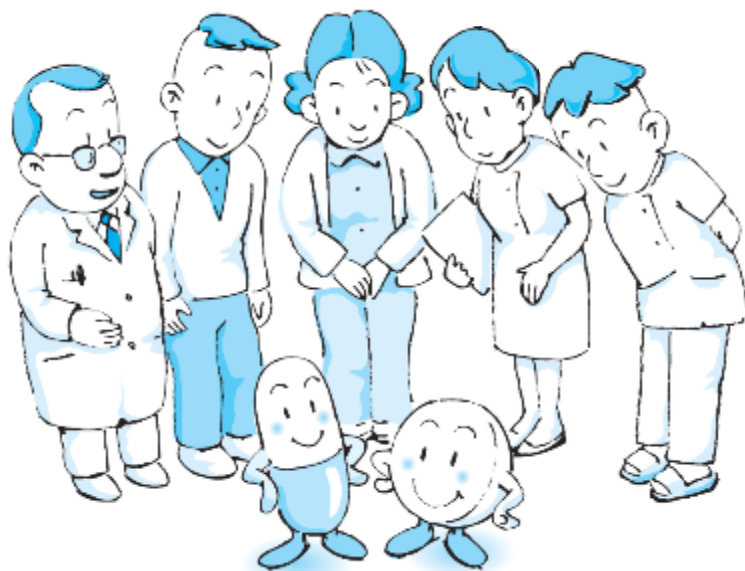


ちけん 「くすり」と「治験」



もくじ

はじめに	2
------	---

I

より良い「くすり」が生まれるまで

1, めざましい「くすり」の進歩	3
2, 患者さんの協力で新しいより良い「くすり」が生まれる	4
3, 「くすり」の開発のはじまり	5
4, 「くすり」の開発に欠かせない「治験」	6
5, 治験のルール	7
6, 治験の3つのステップ	10

II

「インフォームド・コンセント」とは

1, 治験への協力、参加を依頼されたら	13
2, 同意文書に署名する前に	14
3, 説明されること（「説明文書」）	15

III

「くすり」と副作用

1, 副作用のみつけかた	17
2, 副作用と健康被害補償	19

コラム	20
-----	----

おわりに	21
------	----

はじめに

これまでにない新しい「くすり」を、多くの患者さんが安心して使えるようにするために、「治験」はなくてはならないものです。新しい「くすり」は、人での効き目（有効性）や副作用（安全性）を確かめるための「治験」を経て世の中に誕生します。つまり、「治験」がなければ、「くすり」は生まれることができません。いま私たちが使っているくすりも、これまで多くの方々の協力を得て、誕生してきました。「治験」に対する患者さんの理解を深め、円滑に「治験」を実施していくことが、新しい「くすり」をより早く世の中に届けるためにとても大切なことです。そのため、本書を通じて、患者さんや市民の皆さんが治験に対する理解を深めてくだされば幸いです。また、近年、患者さんや市民の皆さんの声を、「治験」を計画する段階から直接活かすことで、患者さんにとってより良い「くすり」を生み出していくことが重要だと考えられています。本書が患者さんや市民の皆さんにとって治験に対する見識を深めることの手助けとなり、これまで以上に患者さんに寄り添った医薬品開発を進めていくことにも貢献できると幸いです。

I より良い「くすり」が生まれるまで

1 めざましい「くすり」の進歩

私たちは、病気になったり、けがをしたりすると、「くすり」を飲んだり、塗ったりします。「くすり」による病気の治療や予防は、20世紀後半から著しい進歩をとげ、それまで治らなかった病気が治るようになったり、手術をしなくてもすむようになりました。また、近年は患者さんの遺伝情報に基づいた診断や治療が行われ、がんゲノム医療では、患者さんひとりひとりの遺伝子異常に適した治療を選択できるような「くすり」の開発も行われています。

しかし、科学が進歩しても、今なお健康や生命を脅かす様々な病気があり、それらを治療する有効な「くすり」が待ち望まれています。そのため、世界中で新しい「くすり」の開発が、日夜続けられています。

新しい「くすり」の開発は、より良い効き目の「くすり」を見つけることだけではありません。「くすり」は、効き目がある反面、人に好ましくない作用を及ぼすことがあります。そうした作用は「副作用」と呼ばれています。

100%安全な「くすり」はあり得ませんが、副作用の少ない、できるだけ安全な「くすり」を見つけることも、新しい「くすり」を開発する重要な目標になっています。



2 患者さんの協力で新しいより良い「くすり」が生まれる

現在、世界中で数多くの「くすり」が開発されています。しかし、研究者や医師だけでは、新しい「くすり」を世に送り出すことはできません。「くすり」を開発するには、患者さんのご理解とご協力が必要です。

いま使われている「くすり」も、世界中の先人の協力によって誕生したものであり、言わば「先人からの贈り物」です。新しい「くすり」を次の世代に贈るために、あなたにもご理解いただければと考えています。



3 「くすり」の開発のはじまり

日夜、世界中の製薬企業などでは病気の原因を解明するための研究をしています。「くすり」の開発は、その病気の原因に対して、効き目があると推定される新しい化合物を合成したり、天然に存在している物質から抽出したりすることから始まります。そうしてできた化合物の数は、何万にもなります。その中から、試験管などを用いた研究により、効き目があると予想される化合物の候補を選び出します。さらに、近年は科学技術の進歩により、ある病気の原因に関連する遺伝子あるいはたんぱく質の特定が可能となり、より効率的・効果的な研究が可能となっています。こうした技術を活用し、人のたんぱく質や抗体などを応用して病気の原因に作用するようにつくられた「バイオ医薬品」や、人の細胞が持つ再生能力を利用して病気を治す「再生医療製品」といった、新しい「くすり」の開発も活発に行われています。また、遺伝子の変異に合わせて患者さんひとりひとりに適した治療を選択する「ゲノム医療」に用いることのできる「くすり」の開発も進んでいます。

次のステップは動物を用いた研究です。ネズミ、ウサギ、イヌ、さらにはサルなどを対象にして、効き目と好ましくない作用をくわしく調べ、「くすり」になる見込みのあるものだけが「くすりの候補」として残されます。

そして最後に、「くすりの候補」が人でどのような効き目や副作用を示すかが調べられます。

4 「くすり」の開発に欠かせない「治験」

「くすりの候補」によっては、動物ではよく効くのにな人にはそれほど効かなかったり、動物では問題がなかったのに人では予想もしていなかった副作用があらわれたりすることがあります。それは、人と動物では体のしくみが違っているからです。

もしも、人での効き目（有効性）や副作用（安全性）を調べずに、動物での研究結果だけで、「くすり」として使われてしまうと、病気を治せないばかりか、多くの患者さんに、思わぬ副作用があらわれることにもなりかねません。

つまり、「くすりの候補」が「くすり」となるためには、人において効き目（有効性）や副作用（安全性）を調べることがとても大切で意味のあるステップになります。

人での有効性や安全性について、調べることを「臨床試験」と言い、「くすりの候補」を国（厚生労働省）から「くすり」として認めてもらうために行う臨床試験のことを、特に「治験」と呼んでいます。



「治療」では病気を治すために「くすり」を使うのに対し、「治験」では人での有効性や安全性を調べる目的で「くすりの候補」を使うため、研究的な側面も含んでいます。（生命に重大な影響があり、かつ有効な治療法がない病気のために、人道的な観点から「くすりの候補」を使うことができる制度の一つとして、「拡大治験」という臨床試験もあります。）



近年は、日本を含む複数の国で同時に治験が行われる「国際共同治験」が多く実施されています。このような取り組みによって、海外で使用されている「くすり」が日本で使用できない「ドラッグ・ラグ」という問題が解消されてきています。

5 治験のルール

治験では「くすりの候補」を人が飲んだり使ったりするため、治験に参加する方の権利（人権）や安全が最大限に守られなければなりません。それと同時に、「くすりの候補」の効き目（有効性）や副作用（安全性）を科学的な方法で正確に調べる必要があります。そのため、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（医薬品医療機器等法や薬機法^{やっきほう}と呼ばれます）」という法律とそれに基づいて厚生労働省が定めた「医薬品の臨床試験の実施の基準」（GCP と呼ばれます）というルールがあります。

治験は、これらの法律とルールに従って、次のような手順で行われます。

「くすり」を開発する製薬企業と医師などの専門家が協議し、「治験の計画」を作成します。現在では、患者さんや市民の皆さんの意見を「治験の計画」に反映する取り組みも始まっています。「治験の計画」は治験に参加される方の人権と安全性に配慮し、「くすりの候補」を正しく評価するために作成されます。その後、「治験の計画」を、医薬品医療機器総合機構（PMDA と呼ばれます。下記参照）に提出します。

提出（届出）を受けた PMDA は、「治験の計画」が人権と安全性に配慮されているか調査します。

PMDA の調査が終了したのちに、製薬企業が治験を依頼した医療機関が、治験を実施します。治験を実施する医療機関には、治験を行うのに十分な設備が整っており、専門の医師をはじめとして、薬剤師、看護師、治験コーディネーター（治験の説明や評価をサポートする方）などのスタッフが揃っていることが求められます。

※医薬品医療機器総合機構（PMDA）・・・医薬品と医療機器の審査・安全対策を行うと同時に、健康被害の救済も行っている厚生労働省所轄の独立行政法人

● 治験の依頼を受けた医療機関は、「治験の計画」が治験に参加される方の人権を保護し安全が確保されているか、および科学的に適切であるかを審査する独立の委員会（治験審査委員会ちけんしんささいいんかいと呼ばれる）の承認と病院長
の了承を得てからでなければ治験を開始できません。

● 治験に参加される方の人権の保護と安全を確保するため、治験審査委員会には、治験の依頼を受けた医療機関とは利害関係のない人や、医師、薬剤師などの専門家以外の立場として、患者さんや市民の立場の方も委員として加わります。また、この委員会は、治験がルールに沿って行われているか、「くすりの候補」に関する新たな副作用の情報を得た場合には、治験を継続するかについても審査します。

● 治験を行う医師は、治験に参加される方に対して治験を開始する前に、治験の目的、方法、予想される効き目（有効性）や現れるかもしれない副作用（安全性）などについて説明し、自ら参加を希望する方から、自主的な「インフォームド・コンセント」（p13 参照）を書面で得なければなりません。

● 治験に参加された方のお名前や住所など、個人を特定できる情報は収集されません。

● 治験に参加された方に副作用が現れた場合は、必要な治療と適切な処置が行われます。また、副作用の情報は、国が定めたルールに基づき、PMDAに報告されます。

-
- 治験によって得られた効き目や副作用の成績は、製薬企業が取りまとめます。これらの成績は「くすりの候補」を「くすり」として国（厚生労働省）に認めてもらうための資料となります。



I より良い「くすり」が生まれるまで

6 治験の3つのステップ

治験は、通常3つのステップ（相）を踏んで進められます。

① 第I相 試験

まず、少数の健康成人の方で、ごく少量から少しずつ「くすりの候補」の量を増やしていき、安全性を注意深く調べます。また、血液や尿などの中に存在する「くすりの候補」の量を測り、どのくらいの速さで、体の中に吸収され、どのくらいの時間で、どのように体外に排泄されるのかも調べます。

「くすりの候補」の種類によっては、健康成人ではなく、効果があると予想される患者さんから治験を始める方が適切なこともあります。この場合には効き目についても予備的に調べます。

② 第II相 試験

次は、患者さんで「くすりの候補」の効き目（有効性）、副作用（安全性）および使い方（量・使用する間隔や期間など）を調べます。

効き目や使い方を調べるには、通常いくつかの量で比較検討しますが、その際にプラセボ（下記参照）や、現在使われている標準的な「くすり」を使った患者さんのデータと比べることがあります。

※プラセボ（偽薬）・・・体に現れた効き目（有効性）や副作用（安全性）が「くすりの候補」によるものかを見きわめるために使う、「くすりの候補」の有効成分は入っていないが、見た目や味などの点で「くすりの候補」と区別がつかないもの。

③ 第Ⅲ相^{そう}試験

最後に、第Ⅱ相試験の結果から得られた「くすりの候補」の効き目（有効性）や副作用（安全性）および最も適した使い方を、多数の患者さんで確認します。

方法としては、現在使われている標準的な「くすり」がある場合には、その「くすり」との比較、標準的な「くすり」がないときには、プラセボ（前ページ参照）との比較により治験を実施することもあります。

これとは別に、「くすりの候補」を長期間使用したときの効き目（有効性）や副作用（安全性）について、調べることもあります。

I より良い「くすり」が生まれるまで

①～③において、治験は、通常3つのステップを踏んで進められること、「くすりの候補」をプラセボや標準的な「くすり」と比較する治験、あるいは「くすりの候補」の異なる用量を比較する治験があることを述べました。

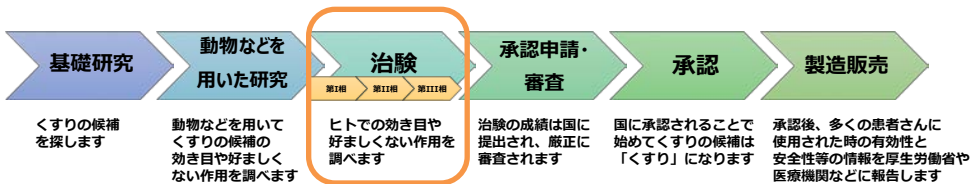
「くすりの候補」の効き目（有効性）や副作用（安全性）を科学的に評価するうえで、こうした比較試験は大変重要です。

なお、「くすりの候補」の比較試験では、効き目と副作用を先入観なく、客観的に評価するために、多くの場合、患者さんはもとより、治験を行う医師などの誰にも、「くすりの候補」、プラセボ、標準的な「くすり」のいずれかが使われているのかが分からないようにする方法が採られます。

これらの3つのステップが終了したところで、「くすりの候補」を開発している製薬企業がそれらのデータを全てまとめて国（厚生労働省、PMDA）に提出し（承認申請）、「くすり」として認めてもらえるかどうかを審査してもらいます。

国（厚生労働省、PMDA）の厳正な審査を経て、承認されることで初めて、「くすりの候補」が「くすり」となるのです。また、「くすり」として承認を受けた後も、製薬企業は多くの患者さんに使用された時の有効性と安全性等の情報を厚生労働省や医療機関などに報告しています。

<「くすり」の開発の流れと「治験」の位置づけ>



II

「インフォームド・コンセント」とは

1 治験への協力、参加を依頼されたら

「インフォームド・コンセント」とは、患者さんが治療を受けるに当たって、「自分の病気のことやその治療方針について、医師などから十分説明を受け、患者さんが説明の内容をよく理解し納得したうえで、患者さん自身の意思で治療を受けることに同意（承諾）する」という意味です。これは、一般の診療でも必要な手続きですが、特に治験においては研究的側面もあるだけに、参加していただく患者さんの人権の保護と安全を確保する意味で欠かすことのできない重要な手続きです。なお、同意の説明に用いられる文書は「説明文書」、治験への参加に同意することを確認する文書は「同意文書」とよばれます。

治験における「インフォームド・コンセント」は次のように行われます。

まず、治験を行う医師が「治験の計画」で定められた基準にあいそうな患者さんに、治験へのご協力をお願いします。そのときには、治験の目的、方法や「くすりの候補」の性質（予想される効き目や副作用）、治験のための検査内容やスケジュールなどが書かれた「説明文書」が手渡され、その内容をくわしく説明します。この際に「治験コーディネーター」が補足説明をすることがあります。「治験コーディネーター」は治験を行う医師をサポートし、患者さんの相談の窓口となる役目を担っています。

説明した内容に限らず、よく分からないこと、確認したいことなどがあれば、どんなことでも遠慮せずに担当医師や「治験コーディネーター」に何度でも質問することができます。



2 同意文書に署名する前に

「説明文書」を持ち帰りご家族などと十分相談し、治験について理解できたら、治験に参加するか、参加しないかを、患者さん自身の自由な意思で決めることができます。誰からも強制されることはありませんし、誰に対しても気をつかう必要もありません。参加しなくても不利な扱いを受けることはなく、適切な治療が行われます。また、いったん参加を決めても、その後いつでもやめることができます。その際にも、患者さんの安全を確保することはとても大切なことですので、参加を決めたあとでも、よく分からないこと、確認したいことなどがあれば、どんなことでも質問することができます。

参加する場合は、同意文書に自分で日付を記入し、署名することで、治験参加への同意の意思を示します。

なお、治験が未成年の患者さんを対象にした場合や、患者さん本人が説明文書を理解することが難しい病気の患者さんを対象とした場合などは、患者さんの親や配偶者など、「治験の計画」で定められた人（代諾者^{だいたくしゃ}と言います）も治験の説明を聞き、同意文書に署名をする場合があります。



3 説明されることがら（「説明文書」）

前に述べた治験のルールである GCP（7 ページ参照）では、治験を行う医師が、治験に参加される患者さんに、治験について説明をする際に手渡す「説明文書」の記載事項について次のように定めています。よりくわしく知りたいことがあればどんなことでも気軽に、医師や治験コーディネーターに質問することができます。

- ① 治験は研究を伴うことについて
- ② 治験の目的と方法およびその治験に参加される予定の患者さんの人数について
- ③ 治験の時期と期間について
- ④ 治験に使用される「くすりの候補」には、患者さんの病気に、どのような効き目（有効性）があり、どのような副作用（安全性）などの不利益があると予想されるかについて
- ⑤ 患者さんの病気にとって、「くすりの候補」のほかに、どのような治療方法があり、それには、どのような効き目（有効性）と副作用（安全性）などの不利益があると予想されるかについて
- ⑥ 治験に関連して、健康を害するようなことが、もしおきた場合には、必要な治療が行われること、およびその場合の補償（治療に要した医療費等の補填）について
- ⑦ 治験への参加は、患者さんの自由意思によるものであり、また参加を何時でも、自由にやめることができること、さらに、治験に参加されなかったり、参加を取りやめても、不利な扱いを受けたり、通常の診療において受けることのできる利益を失うことがないことについて
- ⑧ 治験に参加されたのちに、継続して参加するか、患者さんの意思に影響があると考えられる新しい情報が得られた場合は、速やかにその情報を患者さんに伝え、参加を継続するか意思を確認させていただくことについて

II

インフォームド・コンセントとは

- ⑨ 治験を行う医師が、患者さんに治験への参加を中止してもらう場合があること、およびその条件または理由について
- ⑩ 治験審査委員会の種類と役割（通常の治験審査委員会か、特定の専門的事項について審査する専門治験審査委員会なのかどうか）について
- ⑪ 治験を依頼している製薬企業の関係者、治験審査委員会、および国の機関（厚生労働省など）が、治験に参加された患者さんの診療記録（カルテやレントゲン写真などを^{えつらん}閲覧）できること、患者さんが治験への参加の同意文書に署名することにより、この閲覧を認めたことになること、しかし、その場合であっても、患者さんの氏名など、個人を特定できる情報はわからないようにし、患者さんのプライバシーは守られることについて
- ⑫ 治験の結果が公表されるか否かにかかわらず、治験に参加される患者さんのプライバシーは守られることについて
- ⑬ 治験に参加される患者さんが負担する費用の内容について
- ⑭ 治験に参加される患者さんに、金銭などが支払われることがある場合には、その内容について
- ⑮ 治験を行う医師の氏名、職名、および連絡先について
- ⑯ 治験や治験に参加される患者さんの権利に関してさらに知りたい場合、あるいは治験に関連する健康被害がおこった場合に連絡や相談をする医療機関の連絡先または相談窓口について
- ⑰ 治験に参加される患者さん自身に守っていただきたい事項について



III

「くすり」と副作用

1 副作用のみつけかた

「くすり」には、その種類によって、さまざまな好ましい効き目がある反面、好ましくない作用（副作用）もあります。また、すべての副作用の種類を予測することはできません。また、副作用の全くない「くすり」は存在しません。例えば「かぜぐすり」を飲んだ時に、眠くなることがあります。そのような症状は副作用である可能性があります。

副作用には、軽いものから生命にかかわる重いものまであります。これらは、動物を用いた研究などからある程度予測できるものや、できないものもあります。

通常の治療においても、副作用が起こる場合がありますが、人での使用経験が少ない「くすりの候補」では、どのような副作用が出るかわかりません。ただ、「くすりの候補」によっては出やすい副作用や症状があります。治験に参加される場合は治験を行う医師、薬剤師、看護師や治験コーディネーターの説明を十分理解し、その指示に従ってください。

治験においては、より注意深く、慎重に診察、検査を行います。それは副作用を未然に防止する、または、副作用が起きてしまってもそれらを早くみつけ、症状を最小限におさえることも目的としています。

しかし、検査だけでは十分にみつけることができません。一番大切なのは、患者さんからの申し出です。「くすりの候補」を使用していて、いつもと違う気分になったなど、どんな些細なことでも申し出るようにしてください。また、近年は、患者さんが些細なことでも気づいて申し出やすくするために、いつもと違う気分や症状をスマートフォンやタブレット端末に入力することもあります。

このように「くすりの候補」では、人での使用経験が少ないため、どのような副作用が出るかわかりません。したがって、患者さんの安全性を確保するための検査などが必要になる場合がありますので、治験を途中でやめたい場合でも、医師の指示に従ってください。



2 副作用と健康被害補償

万が一、「くすりの候補」の副作用により健康被害が生じた場合は、治験を依頼している製薬企業から補償が受けられます。なお、補償の内容は治験により異なる場合がありますので、治験を行う医師、薬剤師、看護師や治験コーディネーターにご相談ください。

気軽に相談してね。



患者・市民参画（PPI）って知ってますか？

● 患者・市民参画（PPI）とは？

「くすり」の開発では、製薬企業と医師などの専門家が協議して「くすりの候補」の評価を行い、「治験の計画」を作成しています。最近では、患者さんには治験に参加いただくだけでなく、市民の皆さんとともに「治験の計画」の作成の際に、自らの実体験を活かした意見を述べてもらうことなどが必要だと考えられるようになってきました。

そういった考え方を表す言葉の一つとして「患者・市民参画（PPI）」が使われています。PPIとは「Patient and Public Involvement」の略で、患者さんや市民の皆さんの意見を取り入れて、医療や研究を進めることを指しています。

● なぜ、患者・市民参画（PPI）という考え方が「くすり」の開発に必要なもの？

これまでの「くすり」の開発は、製薬企業と医師などの専門家によって進められることが多く、患者さんの意見を「くすり」の開発に直接活かす機会があまりありませんでした。

患者さんや市民の皆さんの意見を取り入れることで、より参加しやすい「治験の計画」を作成することや、患者さんからの症状に関する報告を「くすり」の評価に使用することなどが可能になり、より患者さんから求められる「くすり」を開発することにつながると考えられます。また、患者さんや市民の皆さんにとって「くすり」の開発がより身近なものとなり、「くすり」の開発や治験について理解を深めていただくことにつながると考えられています。

おわりに

治験は、治験に参加される患者さんの人権と安全の保護を最大限に配慮しながら、「くすりの候補」の効き目と副作用などを慎重に調べることです。

医師から診療の中で治験の話が出た場合には、その治験について十分な説明を聞いてから、治験に参加するかを患者さん自身の自由な意思で判断することができます。

本書が患者さんのご検討の際の一助になれば幸いです。





製薬協

「くすり」と「治験」 改訂第5版

企画・編集

日本製薬工業協会 <http://www.jpma.or.jp>
医薬品評価委員会 臨床評価部会

発行年月

平成9年9月 初版
平成10年10月 改訂第1版
平成13年11月 改訂第2版
平成17年10月 改訂第3版
平成19年6月 改訂第4版第1刷
令和3年2月 改訂第5版