

＜患者の声を活かした医薬品開発＞  
シンポジウム



なぜ治験について知ってほしいのか  
- 「くすり」と「治験」の紹介 -



日本製薬工業協会  
医薬品評価委員会 臨床評価部会  
継続課題対応チーム5

2023年7月11日



# 本日のお話

---

- くすりの開発 インTRODクシヨN
- 「くすり」と「治験」
  - 治験のステップについて
  - 治験のルールについて
  - 「インフォームド・コンセント」について
  - くすりと副作用について
  - 患者・市民参画（PPI）について
- Q&A集のお知らせ

## くすりの開発 インTRODクシヨN

# 「くすり」ができるまで

くすりの候補の探索

- その病気の原因に対して、効き目（有効性）があると推定される新しい化合物を合成したり、天然に存在する物質から抽出します。



動物を用いた研究

約  
9  
~  
16  
年

- 動物（ネズミ、ウサギ、イヌ、サル等）を対象に、効き目と好ましくない作用（副作用）をくわしく調べます。
- 「くすりの候補」が「くすり」となるためには、**人において有効性や安全性を調べるのがとても大切**であり、これを「**治験**」と呼んでいます。



治験

承認申請・審査

- 国（PMDA/厚生労働省）による厳正な審査を経て、承認されることで初めて、「くすりの候補」が「くすり」となります。



承認

# 新薬を開発する目的

- まだ治療薬のない病気や、新しい感染症に対する薬を開発するため
- 既存の薬をより良くするため
  - ◆ 既存の薬より副作用が少ない安全性の高い薬を開発するため
  - ◆ 新しい技術や治療法を取り入れたより効果のある薬を開発するため
  - ◆ 飲み方を変えたり、飲む回数を減らしたりするなど、患者さんにとって飲みやすくするため



# なぜ治験について知ってほしいのか

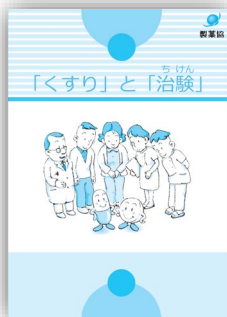
👉 患者さんのニーズに、より適合した、より良い医薬品を、より早く患者さんにお届けしたい

製薬会社は、患者さんの声（意見やニーズ）を聞き、患者さんとともに医薬品開発を進めることが大切だと考えています

そのためにもまず、医薬品の開発プロセスや治験のことを、患者さん・市民の皆さんにより広く知っていただきたい

「治験をより身近に！」「意見交換をより活発に！」

## 「くすり」と「治験」冊子



## 「くすり」と「治験」動画



## 「治験の探し方」資料



(出典) 日本製薬工業協会

「くすり」と「治験」 [https://www.jpma.or.jp/about\\_medicine/shinyaku/tiken/base/chiken/index.html](https://www.jpma.or.jp/about_medicine/shinyaku/tiken/base/chiken/index.html)

「くすり」と「治験」について学ぼう！ (音声説明) [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/chiken\\_081\\_description.html](https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/chiken_081_description.html)

治験の探し方~jRCTのみかた~ [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/message/cl\\_jrct\\_mikata\\_20230407.html](https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/message/cl_jrct_mikata_20230407.html)

# 「くすり」と「治験」：令和3年2月 改訂第5版



- 本資料は、医療機関で、患者さんに治験の内容を説明する際の補助的な資料として、平成9年に初版を発行しました。
- 令和3年2月の改訂では、医薬品開発の最新の情報を盛り込むとともに、患者視点を取り入れるため日本製薬工業協会の患者アドバイザリーボードと協働し、患者さんにとってわかりやすく、知りたい内容が含まれる資料としました。

(出典) 日本製薬工業協会 「くすり」と「治験」

[https://www.jpma.or.jp/about\\_medicine/shinyaku/tiken/base/chiken/index.html](https://www.jpma.or.jp/about_medicine/shinyaku/tiken/base/chiken/index.html)

# 「くすり」と「治験」：目次

---

- 治験のステップについて
- 治験のルールについて
- 「インフォームド・コンセント」について
- くすりと副作用について
- 患者・市民参画（PPI）について



## 治験のステップについて

# 治験のステップ



# 治験の3つのステップ

## ■ 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（はいせつ）されるのかも調べます。



\*抗がん剤など「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。

# 治験の3つのステップ

## ■ 第Ⅱ相試験

次は、**（少数の）患者さんで「くすりの候補」の効き目（有効性）や副作用（安全性）、および適切な使い方（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\*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。



# 治験の3つのステップ

## ■ 第Ⅲ相試験

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。

さらに、「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。

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。



## 治験のルールについて

# 治験のルール

- 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。
- 同時に「くすりの候補」の有効性や安全性を科学的な方法で正確に調べる必要があります。



上記を満たすため、以下のルール、法規制が整備されています。

- **ヘルシンキ宣言**
- **医薬品医療機器等法（薬機法）**
- **医薬品の臨床試験の実施の基準（GCP）**

# 法規制で定められている治験のルール

- くすりを開発する製薬会社と医師などの専門家が協議し、「治験の計画」を作成します。
- 治験の計画を、事前に国の機関（PMDA）に提出し、内容の確認を受けます。
- 治験の依頼を受けた医療機関においても、治験審査委員会\*で治験の内容をあらかじめ審査します。
- 患者さんは、治験の説明と同意（承諾）について、十分に説明を受けた後、治験に参加する・しないを自由に選べます。
- 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なされます。
- 製薬会社は、副作用の情報を、国が定めたルールに基づき、国の機関(PMDA/厚生労働省) や医療機関へ報告します。
- 製薬会社は、治験が適正に行われていることを確認します。
- 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適切に保護されます。

\*「治験審査委員会」：「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





## 「インフォームド・コンセント」について

# 「インフォームド・コンセント」について

- 「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。



# 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。**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できます。



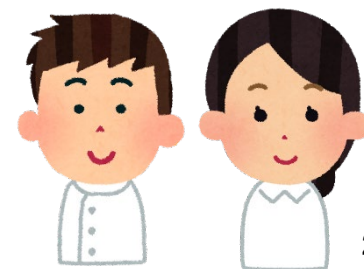
 くすりと副作用について

# 「くすり」と副作用について

- 「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。



# 「くすり」と副作用について

- 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。
- 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です。
- しかし、検査だけでは十分にみつけることができないため、**患者さんからの申し出が大切**になってきます。
- 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、製薬会社から補償が受けられます。  
(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)
- 製薬会社は、副作用の情報を、国が定めたルールに基づき、国の機関(PMDA/厚生労働省) や医療機関へ報告します。



## 患者・市民参画（PPI）について

# 患者・市民参画(PPI)について

## ■ 患者・市民参画（PPI）とは何でしょうか？

- ◆ 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。
- ◆ 「くすり」の開発では、製薬会社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。



出典：<https://www.amed.go.jp/ppi/>



# 患者・市民参画(PPI)について

- **なぜ、患者・市民参画（PPI）という考え方が「くすり」の開発に必要なのでしょうか？**
  - ◆ **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ています**（より参加しやすい「治験の計画」の作成や、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、など）。
  - ◆ 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ると考えています。



# 「くすり」と「治験」のまとめ



- 治験とは、患者さんたちのご協力のもと、「くすりの候補」の効き目や副作用を確認することです。
- 患者さんの人権や安全を守るため、様々な法が整備され、そのルールのもとで治験は実施されます。
- 最近では、治験に参加するだけではなく、治験の計画段階から患者さんが参画する動きも活発化してきています。
- 是非、「くすり」と「治験」をご覧ください！

## Q&A集のお知らせ

# 「くすり」と「治験」Q&A 作成中！

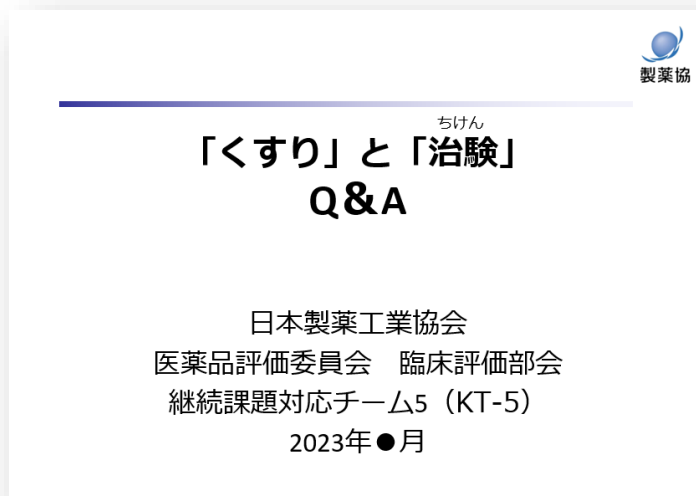
## 「くすり」と「治験」Q&Aについて

- 治験や医薬品開発について知りたいことがある時や、より詳細な情報を確認したいと思った時に、Q&A形式で情報を得られるような資料の作成を進めています。
- 『「くすり」と「治験」』とともにご覧いただけるように製薬協HPに掲載予定です。

## 掲載予定の質問の事例

- 海外のくすりはそのまま日本で使えますか？
- どのように治験に参加する人を選んでいるのでしょうか？
- 他の医療機関や歯医者を受診していても治験に参加できますか？

など



**より良い医薬品を より早く患者さんのもとに！**

**ご清聴ありがとうございました**