

私はこんな生物統計家になって世に貢献したい

上村鋼平 (医薬品医療機器総合機構)

私の目標は、生物統計家のプロになって他の専門家とうまくコラボレーションし、世に貢献することである。自分が思うプロには、ほど遠いと最近痛感させられている。生物統計のプロとして貢献可能な範囲は多岐に亘る。生物統計学の方法論的問題に留まらず、領域毎に異なるデータの特徴、性質、欠点、及びそれらを踏まえたデータの取り方の問題から、得られたデータの確認のみならずデータが語っているものを探索的に読み取った部分の解釈も併せた総合的判断の問題、解決策の提案まで、一連の臨床評価プロセスへより貢献していくためには、領域毎に異なる専門知識と経験と判断の仕方を心得ておく必要があると考えている。このような領域毎の専門知識と経験と判断の仕方の心得のことを、本稿では「臨床評価を知っていること」と定義したい。臨床評価の要素は無限にある。例えば、エンドポイントを何にしたらよいかを考える場合、臨床的意義の観点(患者さんのベネフィットに直結するものか)、検出力と症例数の観点(信頼性、妥当性、再現性、信憑性、感度、精度といった変数としての性能、性質や結果的に設定される症例数の実施可能性等)、評価時期の観点(二重盲検が現場に受け入れられる期間か、病態の進行と治療目標に相応するに十分か、脱落や後治療の影響を受けやすいか等)等々、様々な観点から立体的に適切性を議論する必要がある(具体例への言及は、これに留める)。私は生物統計学の専門性を高めるのと同時に、臨床評価のプロになりたいと考えている。それは、臨床現場での治療実践と臨床評価とは別物であるように、生物統計学の方法論の専門性と生物統計を用いた臨床評価の専門性は別物であり、臨床家と生物統計家の各々が心得ている臨床評価の部分が互いに重なり合うからこそ、良いコラボレーション(貢献)が産まれるだろうからである。これらの重なり具合は、場によって異なるだろう。場の違いとしては、欧米と日本といった国柄の違い、アカデミック、企業、規制当局といった組織(機関)の違い等が挙げられる。ただ、場の違いに依らず、トップになればなるほど、臨床と生物統計の両者を心得た臨床評価のセンスを持ち合せていると思われる。PMDA 内部研修では、グローバル企業や FDA 等の臨床家のトップの話を聴く機会がある。彼らが生物統計学の切り口でも臨床評価の話を普通にしてくることに驚きを覚えた。欧米では、生物統計学の基本的なリテラシーが高いと捉える話なのだろうか。日本においては、領域によっては臨床と臨床評価の重なり具合が少なく、それに加え自分の生物統計学と臨床評価の重なりが少ない時には、方法論的な貢献すら容易ではなくなる。だからこそ、格好つけた言い方になるかもしれないが、「臨床評価を知っている、ただその切り口は生物統計学である」という感じに、生物統計家のプロとしての貢献がしたい。

臨床評価を学ぶべく、今年の 5 月に開催された米国胸部疾患学会(ATS2011)へ参加させて頂いた。PMDA という職場の最大の魅力は、豊富な臨床データをレビューできるのみならず(解析できればなおいいが)、実は若手でも国際臨床学会への参加を比較的認めて貰える点にあると、密かに思っている。それはさておき、ATS2011 で最も衝撃を受けたのは、FDA 審査官が審査品目についての具体的な意見を述べていた点である。中には審査中の品目すらあり、驚きの発信力、透明力、絶対的自信のなせるアクティビティであろうか。また、FDA と EMA との連携推進についての紹介や、多くの研究組織・グループ・グローバル企業同士、あるいは当局とのコラボレーション(例えば、COPD の急性増悪イベントを測定するために、標準化された PRO ツールの開発プロジェクトである、Exact-PRO Initiative など)が実に盛んであるという実態を目の当たりにし、世界のアクティビティの高さと協力関

係の構築力にまずは圧倒された。「推奨できないものは無理に推奨しない」、「よく解っていないことについては、解っていないという事実を明らかにする」、「発表が終わると質疑応答の列が出来て、議論がざつばらんと活発に行われる」といった世界中の研究者の熱気のようなものにも、強く刺激を受けた。何でもかんでも科学では解決できぬ(実際その通りであることが少なくはないが)と早々に嘯いてしまうのではなく、科学と真摯に向き合い、科学の限界に目を向けられているからこそ、全世界の産官学患が一体となって一歩ずつ前進していくことへ精力的に取り組み続けられるのかもしれない。各パートの責任と役割が明確になっていて、判断すること(患者さんの運命に影響を与えること)のベネフィットだけでなくリスクとのトレード・オフも、患者を含む社会の各パートに合理的に認識されているからこそ、判断の信憑性を科学的に問い続けることに責任を持って皆が貢献しよう(保険制度の違いやコスト話を差っ引いたとしても)ということになるのかもしれない。Late Breakingセッションにて、貴重なエビデンスが公表された。予後の悪い希少疾病に対する有効な治療の証明に成功したことは、治療体系に確実な変化をもたらす。それは、その成功が無ければ救われなかったかもしれない患者さんが間違い無く存在し得るということを意味するだろう。参加してくれた患者さんの勇気と犠牲の精神が称えられた時の拍手喝采と会場の一体感が忘れられない。やはり、世界に目を向け、発信し、コラボレーション(貢献)をしていく中で、潜在的な患者でもある自分自身も含めその恩恵を享受していくのが道と考えるべきなのだろうか。道をリードし世に貢献できるチャンスは、私が目指す臨床評価を心得た生物統計家のプロの手にあると信じたい。