

治療法の開発・評価に対する時代の要請にどう応えるか

柴田大朗 (国立がん研究センター)

昨今の臨床研究実施体制の整備の流れもあり、生物統計学の専門家の需要はますます高まっています。私は国立医薬品食品衛生研究所 医薬品医療機器審査センター(現 独立行政法人医薬品医療機器総合機構)での生物統計担当の審査官を経て、その後、独立行政法人国立がん研究センターでがんの多施設共同臨床試験の計画・実施・解析に関与して来ましたが、その短い社会人経験の間ですら、生物統計学を専門とする方々が身近なところで相当に増えてきたことを実感します。

現在、国立がん研究センターには 5 名の常勤の生物統計家(管理職 2 名を含む)がおり、経験・経歴や得意分野が異なるメンバーがお互いの長所を生かし、各々の苦手なところを補うなどしつつ仕事をしています。主な仕事は恒常的多施設共同臨床試験グループにおける臨床試験の立案・計画の段階から結果の公表に至るまでの一連の経過に関与することですが、それと共に、国立がん研究センター内部の研究者を対象とした生物統計学に関するコンサルテーションの仕組みを昨年からは設けています。また、試行的に一部の診療科の journal club に参加し、論文を読み解く際に生じる統計学的な論点についてディスカッションをするなどしています。その他にも、弊センターには、生物統計学の専門家とは別に疫学やバイオインフォマティクスなどの専門家も多数在籍していますので、計量生物学領域の専門家を擁する研究機関としては恵まれた環境であると日々感じています。

そのような良い環境にいながらこれまで自分が何をしてきたのかと自問自答してみると、「未来に向けて」何かを語る資格があるか逡巡するところもありますが、最近気になっていることを取りあげ綴ってみたいと思います。

これまで一貫して治験を含む臨床試験に係わる仕事に携わってきましたが、同じ臨床試験といっても、評価しようとするものは多様です。臨床試験というとほとんどの方は医薬品や医療機器の評価を行うものをイメージされると思いますが、実際にはそうではありません。手術や放射線治療を評価する臨床試験もありますし、医薬品を用いる臨床試験であったとしても手術や放射線治療との組み合わせを評価する試験も多く行われています。また、医薬品を評価する臨床試験の場合であっても、単に薬事承認を得るために有効性の有無を確認するのみならず、既存の他の治療法との関係を調べるもの(いずれの治療法を第一選択として用いると良いかを調べる試験等)もあります。

特に最後の点は古くから指摘されてきたことではありますが、昨今の医療を取り巻く経済的な環境の変化に伴い改めて議論の対象となってきた感があります。一例としては、医薬品の価格をどのように定めるべきかという議論をするにあたって、単に薬事承認を取得するためのエビデンスでは不十分であるとの指摘が諸外国でなされるようになってきています。本邦では、ある医薬品の使い方に関する薬事承認と公的医療保険制度の適用となることとがほぼ一対一に対応していることからこれまで曖昧にされてきた感がありますが、そのような本邦においてすら、薬事承認を取得した医療機器の一部は保険診療下での使用が認められず、その可否判断のための「評価」を先進医療制度の下で行っているという事例もあります。すなわち、薬事承認を得るために必要なエビデンスと、保険適用の可否判断・保険適用に際しての経済的価値判断に必要なエビデンスとは異なるということです。私たちはこれまでこの点について少し無頓着だったのではないのでしょうか？

常々、日本の薬価は諸外国に比較して安いと言われてはいますが、実はその医薬品の価格の定め方が英国、ド

イツ、フランスなどでは厳しくなっており、既存薬に優るメリットを基礎研究ではなく臨床効果として示すことができなければ先行する同効薬よりも安い価格しかつけられないであるとか、時には、新規作用機序の医薬品であっても後発品レベルの価格しかつけられないという「事件」すら起きています。

手短かに言うと、医薬品に係わる経済評価が求められるようになってきた、とまとめることができますが、これは臨床試験や薬剤疫学・臨床疫学研究等を通して何らかの形で「価値」の評価が求められているということです。

ここでは「事件」と書きましたが、例えばプラセボ対照試験によって薬事承認を取得した医薬品が、既存薬に優るエビデンスがないために低い価格しかつけて貰えないと判断されたとして、よく考えてみればそれは当然のことではないかとも思います。高い価格がつけられるべきであると主張するのであれば、その主張の根拠を自ら提示することが必要です。臨床試験を実施するにあたって生物統計家の関与が必須であるということは(実態はまだまだではありますが)認知されてきていますが、一方で、私たちは個々の臨床試験によって得られたエビデンスがどのような形で社会的な判断なり意思決定に寄与するのかということについても無頓着ではいられない状況になってきたと感じます。

科学的な実験は価値観や価値判断からできる限り距離を取って行われるものですが、こと治療法の評価に関しては科学的な実験の方法論を下敷きにしつつもプラス α (価値判断)が求められているという現実から目を逸らし続けることはできないのではないかと、ということです。

私たちはそのような社会的要請に応える準備(あるいは覚悟)ができていますでしょうか？

・・・などと書くと、何となく息苦しくなってしまうますが、新しい治療法を評価するための研究の方法論に関してまだまだ開拓すべき領域が目の前に広がっているというように前向きに捉えれば良いのかもしれない。応用の場面で臨床医などの他職種の専門家と共に日々の仕事に取り組みつつもそれに留まることなく、このような時代の要請に対して計量生物学の領域の専門家同士で議論を深めていくことができれば、と考えています。