

VI 医療情報への対処



## 1 臨床試験について

### (1) 特別なことではありません

主治医からお子さんの病名、病状、治療法の説明と共に臨床試験りんしょうしけんに参加することをすすめて戸惑われた経験をお持ちの方も多いかもれません。先生はぜひぶんていねいに説明してくれたのに、お子さんの治療と臨床試験がどのような関係があるのか今ひとつわからなかった、そのような思いを抱いている方のために、ここでは臨床試験について、少し詳しくお話したいと思います。

日本では、小児がん患者の三分の二以上の方が何らかの臨床試験に参加していると言われています。また、小児がん治療の先進国の一つであるドイツでは、小児がん患者の実に97パーセントが臨床試験に参加しています。つまり、小児がん医療の現場では臨床試験は特別なことではないのです。

## (2) 臨床試験の必要性

根拠に基づく医療 (Evidence-based Medicine : EBM) をご存じでしょうか。科学的な根拠に基づいて真に有効な治療を実践していく方法です。新しい薬が安全でかつ有効であるか、また新しい薬を組み入れた治療が患者さんの治療率を上げて、副作用を減らすことが可能であるかを調べるのが臨床試験の目的ですので、とりもなおさず臨床試験で得られた結果こそがEBMにおける根拠に他ならないのです。

つまり、現在お子さんが受けている治療法は、過去において同じ病気になられた多くの患者さんが参加された臨床試験の結果を根拠に改良を加え、現在、私たちがもつとも優れていると考えているものなのです。そして、お子さんが参加されている臨床試験の結果も科学的に検証されて、将来の患者さんのために生かされていきます。

小児がんの患者さんに参加して頂く臨床試験には、大きく次の三つの種類があります。

- ① 企業主導型治療ちがへん
- ② 医師主導型治療
- ③ 医師主導型臨床試験

以下、「治療」と「医師主導型臨床試験」にわけてお話しします。

### (3) 治験について

「治験」の目的は新しい薬の安全性と有効性を確かめることです。また治験は従来製薬会社が主導して行われていました。これに対して医師主導型治験とは、経済的な理由から企業が治験を行わない薬剤の中でも特に臨床的に重要な薬に対して、医師が主導して行う治験のことです。

治験には三段階のステップがあります。

はじめは第Ⅰ相試験<sup>だいき</sup>で、新薬が安全に使用できる投与方法と最大量を定めるために行います。同時にどのような副作用が起こるか、また薬の血中濃度などを調べていきます。試験の性格上、第Ⅰ相試験はごく限られた病院で行われます。また小児の患者さんを対象にすることはまれです。

次は第Ⅱ相試験です。ここでは新薬が第Ⅰ相試験で決定された用法・用量で対象となる疾患に對して臨床的に意味のある治療効果をもつかどうか、そして安全性が確保できるかを確かめます。第Ⅱ相試験は比較的少数の患者さんを対象に行われます。有効性と安全性が証明された場合には次の第Ⅲ相試験に進むのが一般的です。ただし、小児がんのようなまれな病気の治療に用いる新薬の治験の場合、多数の患者さんが必要な第Ⅲ相試験が現実的には不可能なため、ここで承認申請を行う場合もあります。

第Ⅲ相試験では、多数の患者さんを対象に、新薬の有効性と安全性について今まで使用してい

た薬（既存薬と言います）との比較を行います。そして新薬が既存薬より有効性が高いこと、あるいは効果が同等で、より安全性や利便性が優れていることが証明された場合に承認審査を受け、初めて市販されます。

また「市販後臨床試験」といって、市販された薬が実際に患者さんに有効に働いているか、第Ⅲ相試験までに明らかにならなかった副作用がないか等を調べることがあります。これを第Ⅳ相試験と呼ぶことがあります。

以上、治験についてかいつまんで説明いたしました。子どもは大人のミニチュアではありません。薬についても大人と同じ用法・用量では効果が少ない場合もありますし、逆に副作用が強くなる場合があります。また小児期に特有の病気も数多くあります。子どもに使う薬は子どもで治験をしなければなりません。

しかし、海外で子どもに使用されているのに日本では市販されない薬や、小児がんへの有効性が海外から報告されているも日本では成人がんの適応しか認められていないため、適応外用（厚生労働省が認めた効能、効果以外の効能を期待して薬を使うこと。保険が適用されないため費用が多くかかる）としてしか使用できない薬が数多く存在しています。現在このような状況を少しずつ改善しようとする機運が高まっています。結果として、以前より「治験」が身近なものになってきていると言えましょう。小児の治験についてさらに詳しい内容をお知りになりたい

場合は、日本医師会治験促進センターホームページ内の小児疾患研究事業のサイトをご覧ください (<http://www.jinacclinmed.or.jp/pediatric/ippan/index.html>)。お子さん向けの治験についてのパンフレットも用意されています。

#### (4) 医師主導型臨床試験とは

実際、多くのお子さんが参加することになる臨床試験は、この医師主導型臨床試験です。多数の病院が集まって臨床試験をおこなうことから「多施設共同試験」とか「グループスタディ」と呼ばれることもあります。治験が新薬の開発を目的にしているのに比べて、この医師主導型臨床試験は患者さんの治癒率の向上を目的としています。ですので小児がんを対象とした医師主導型臨床試験では、診断法や化学療法、手術療法及び放射線療法とそのスケジュールなど長期にわたる治療の全体を詳細に規定した試験計画書（プロトコル）を作成し、その中に新規の有望な治療を組み入れてその有効性と安全性を調べていきます。この医師主導型臨床試験は第Ⅱ相試験として行われるケースが多く、治験では新薬に当たる部分が新規の治療法となります。

#### (5) 知ってほしいこと

臨床試験にお子さんが参加するにあたって、何か危険性があるのではないかとご心配の方もい

らつしゃると思います。その問いに対するわたしたちの考えを述べたいと思います。

臨床試験がヒトを対象にした試験である以上、その実施には必要性、倫理的、科学的正当性が求められます。そのため臨床試験はヘルシンキ宣言（一九六四年世界医師会総会で採択、二〇〇〇年修正）や、政府が定める各種の臨床試験倫理指針に則って実施されます。

ヘルシンキ宣言は言わば医師倫理の憲法ですが、そこには医学の進歩のためにはヒトを対象にした試験が不可欠であることを認めた上で「被験者の利益と福祉」を「科学のおよび社会的利益」よりも優先すべきであるという原則が述べられています。具体的には左記の三点の必須条件の重要性を強調しています。

①倫理的、科学的に適切な試験計画書（プロトコル）を作成し、遵守すること。

②試験担当医師およびスポンサーから独立した倫理委員会などで、試験計画書および被験者の同意説明書が適正であることの承認を得ること。

③試験実施にあたり、被験者から適切なインフォームド・コンセントを文章で得ること（被験者が未成年者の場合でも、研究参加について意志を表す事ができる場合には、代諾者の同意の他に本人からの同意も必要です）。

すべての臨床試験はこの原則に則って行われています。これ以外にも詳細な取り決めがなされていますが、このような努力を通して、臨床試験に参加される患者さんの安全性を保証すること

ができると考えています。

## 2 補完代替医療についての考え方

補完代替医療とは聞き慣れない言葉かもしれませんが、日本補完代替医療学会では「現代西洋医学領域において、科学的未検証および臨床未応用の医学・医療体系の総称」と定義しています。これにはいわゆる伝統医学、民間療法、サプリメント、鍼灸、整体等々多種多様なものがあります。現代西洋医療（通常医療）の体系の中で働いている私たちは、科学に基づいた西洋医療の実践こそが小児がんの患者さんを治療に導ける最も有効な手段であると信じています。

一方で補完代替医療が、がんを始めとする多くの難病の患者さんに広く浸透している事実を背を向けるわけにはいかないと考えています。高額な費用のかかる補完代替医療を受け、経済的にも大きな負担を負いながら、不安な気持ちのまま続ける人がいます。一方、体に合った補完代替医療と出会い、医師の行う治療を受けながら、より快適な生活を維持している人もいます。しかし、補完代替医療には通常医療と相互作用を来すものがあり、副作用がより重篤化する場合



もありません。

もし、補完代替医療の必要性を感じたら、その必要性や内容について、まず主治医に相談することを勧めします。

### 3 医療情報の収集について

インターネットが普及したため、さまざまな情報がたちどころに得られる便利な世の中になっています。しかし、こと医学情報に関して言えば、本当に有益な、価値のある情報はなかなか手に入らないのではないのでしょうか。ここでは小児がん関連の代表的な二つのリソースをご紹介します。

#### ○財団法人がんと子供を守る会

<http://www.ccaj-found.or.jp/>

当会のホームページです。小児がんの当事者や保護者の相談窓口や宿泊施設・専門資料の紹介など多彩な情報が提供されています。

○がん情報サイト

<http://cancerinfo.tri-kobe.org/index.html>

米国国立がん研究所が提供する包括的ながん情報である PDQ<sup>®</sup> (Physician Data Query<sup>®</sup>) の日本語版が公開されています。患者さん向けの疾患解説には小児がんも数多く紹介されており、充実した内容になっています。

(小川 淳)