

# 臨床試験、治験とは？

国立がん研究センター中央病院  
臨床研究支援部門 研究企画推進部 多施設研究支援室 室長  
/JCOG運営事務局長補佐

片山 宏



映像提供 ギリアド・サイエンス

## 「レムデシビル」きょうにも承認へ 新型コロナ

2020年5月7日 NHK NEWS WEB

2020年5月7日 4時02分

新型コロナウイルスの治療に効果が期待されている「レムデシビル」について、厚生労働省は7日にも治療薬として承認する見通しです。承認されれば国内で初めての治療薬となりますが、流通量にかぎりがあり、必要な量を確保できるかが課題となります。

「レムデシビル」はアメリカの製薬会社がエボラ出血熱の治療薬として開発を進めてきた薬ですが、新型コロナウイルスの治療にも効果が期待されていて、アメリカでは、今月1日、緊急的な使用が認められました。

厚生労働省は、製薬会社から今月4日に治療薬として申請があったことを受けて、7日夜、審議会を開き、専門家から意見を聞くことにしています。

そのうえで、海外で使用が認められた薬の審査を大幅に簡略化する「特例承認」の制度を適用し、7日にも国内で初めての新型コロナウイルスの治療薬として承認する見通しです。

「レムデシビル」は重症患者への効果が期待されていますが、流通量が限られる中、必要な量を確保できるかが課題で、当面は国が管理し、重症患者の治療にあたる医療機関に優先して提供する方針です。

「レムデシビル」をめぐっては、腎機能の低下など、副作用が指摘されているほか、海外で治療効果への評価がわかれていて、現在、日本も参加して国際共同治験が行われています。



## 新型コロナワクチン 国内初の正式承認 米ファイザー製 厚生労働省

2021年2月14日 17時45分 2021年2月14日 NHK NEWS WEB

アメリカの製薬大手ファイザーが開発した新型コロナウイルスのワクチンについて、厚生労働省は14日午後、安全性や有効性などが確認されたとして、正式に承認したと発表しました。新型コロナウイルスのワクチンが国内で承認されたのは初めてです。

ファイザーが日本国内での使用に向け、去年12月に承認を求める申請をしていたワクチンについて、厚生労働省の専門家部会は12日、有効性や安全性などを審査した結果、発症を予防する効果が期待できるとして、承認を了承しました。

これを受けて厚生労働省は14日午後、正式に承認したと発表しました。

新型コロナウイルスのワクチンが国内で承認されたのは初めてです。

ファイザーのワクチンは、16歳以上が対象で、原則3週間の間隔をあけて2回接種します。

正式な承認を受けて、今月17日にも医療従事者に先行して接種が始まる見通しです。

政府はファイザーと年内に7200万人分の供給を受ける契約を結んでいて、順次、高齢者などへ接種を進めていく方針です。

新型コロナウイルスのワクチンをめぐっては、このほか、

▼イギリスの製薬大手アストラゼネカが今月5日に厚生労働省に対し承認を求める申請を行っているほか、

▼アメリカの製薬会社モデルナも国内で治験を進めています。

ニュース

## 厚生労働省、塩野義の「ソコーバ」を緊急承認 国産の軽症者向け コロナ飲み薬は初めて

2022.11.24

2022年11月24日 科学技術振興機構  
Science Portal

厚生労働省は22日、塩野義製薬が開発した新型コロナウイルス感染症の軽症患者向け飲み薬「ソコーバ」を緊急承認した。緊急承認制度適用の第1号で、12月から初の新型コロナの国産の飲み薬として医療現場で使われる見込みだ。新型コロナの医療費は公費のため現行制度下では患者の自己負担はない。



塩野義製薬の「ソコーバ」（塩野義製薬提供）

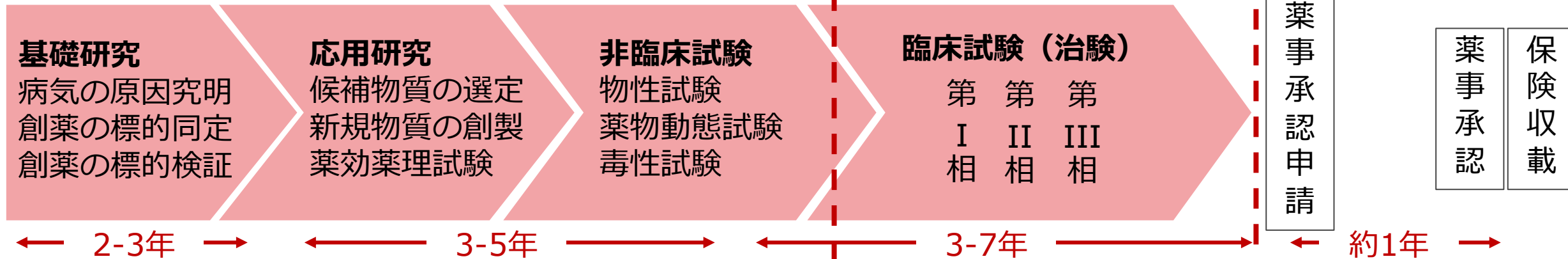
ソコーバは塩野義製薬が開発した低分子の飲み薬（経口薬）。新型コロナウイルスが増殖する時に必要な「3CLプロテアーゼ」という酵素が働くのを選択的に阻害してウイルスの増殖を防ぐ仕組みだ。軽症者に使える飲み薬としては、米メルクのモルヌピラビル、米ファイザーのパキロビッドに続き3種類目。先行2薬は重症化リスクのある人など服用対象が限られているのに対し、ソコーバは重症化リスクのない人も対象に含まれているのが特徴だ。

中間段階の臨床試験（治験）では有効性を示せず、7月に開かれた厚生労働省薬事・食品衛生審議会の薬事分科会と専門家部の合同会合では承認が見送られ、継続審議になっていた。22日開かれた会合では、軽症と中等症の患者約1800人を対象にした最終段階の治験結果で薬の有効性を示すデータが出され、委員の賛成多数で緊急承認が了承された。

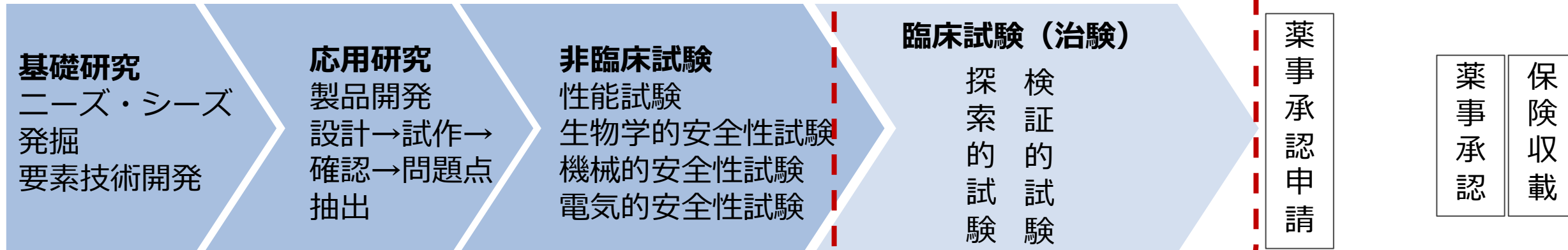
# 実用化までの道のり



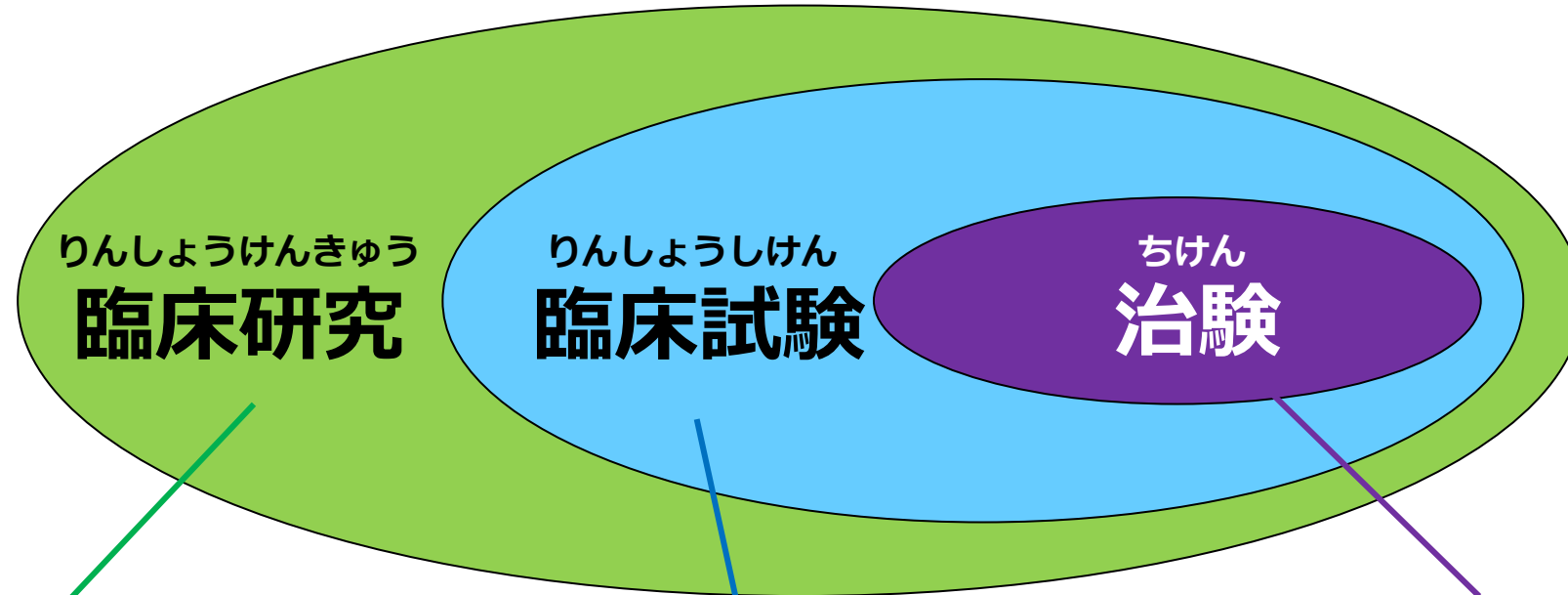
## 医薬品の場合



## 医療機器の場合



# 臨床研究・臨床試験・治験



患者さんや健康な人に参加してもらう研究  
日常診療の観察結果をまとめた研究 (= 観察研究) も含む

研究目的で日常診療では行わない介入 (治療・診断・予防など) を加えた後の結果をまとめた研究 (= 介入研究)

医薬品・医療機器の承認申請のための評価  
データ収集を目的とする臨床試験  
企業主導治験・医師主導治験

# 臨床試験の原則

## • 臨床試験は“比較”

標準治療

試験治療



- 科学的根拠（エビデンス）に基づいて患者さんに一番お奨めする治療

- よりよい治療であることを期待
- 本当によいものかはわかっていない段階の治療
- 比べる相手は“標準治療”

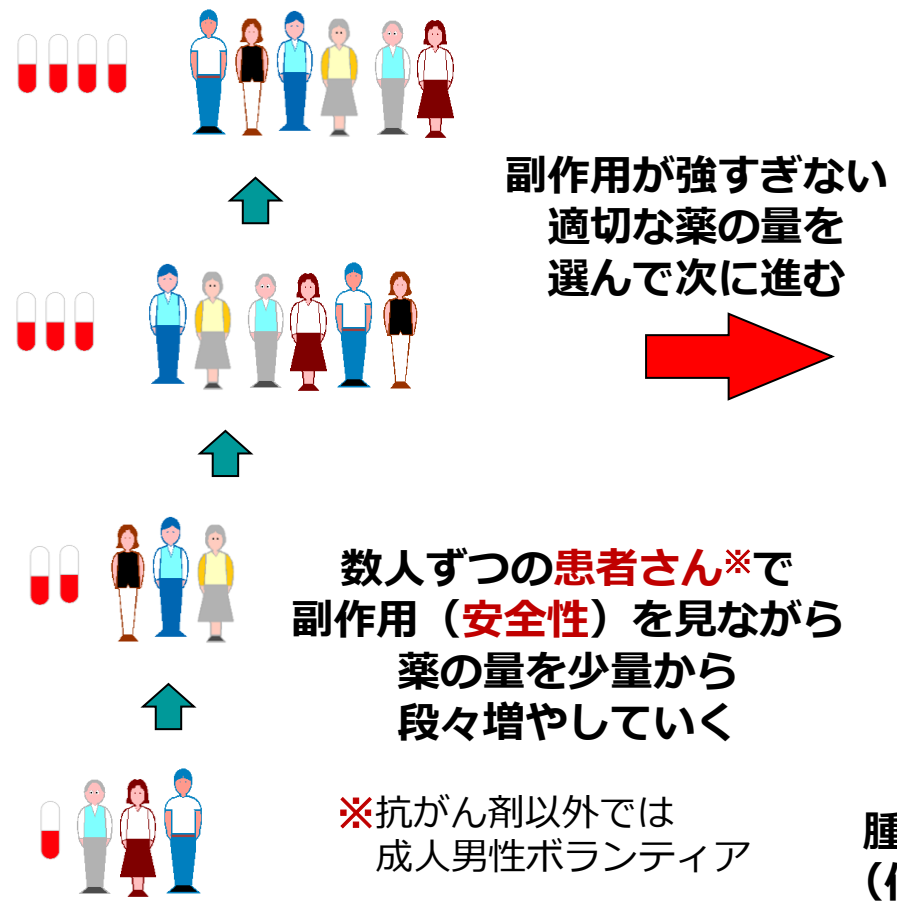
## • 安全性と有効性を評価

- 第I相試験：安全性のスクリーニング
- 第II相試験：有効性のスクリーニング
- 第III相試験：標準治療と決勝戦（有効性と安全性の総合評価）



# 抗がん剤の臨床試験：どうやって進むのか？

## 第I相試験

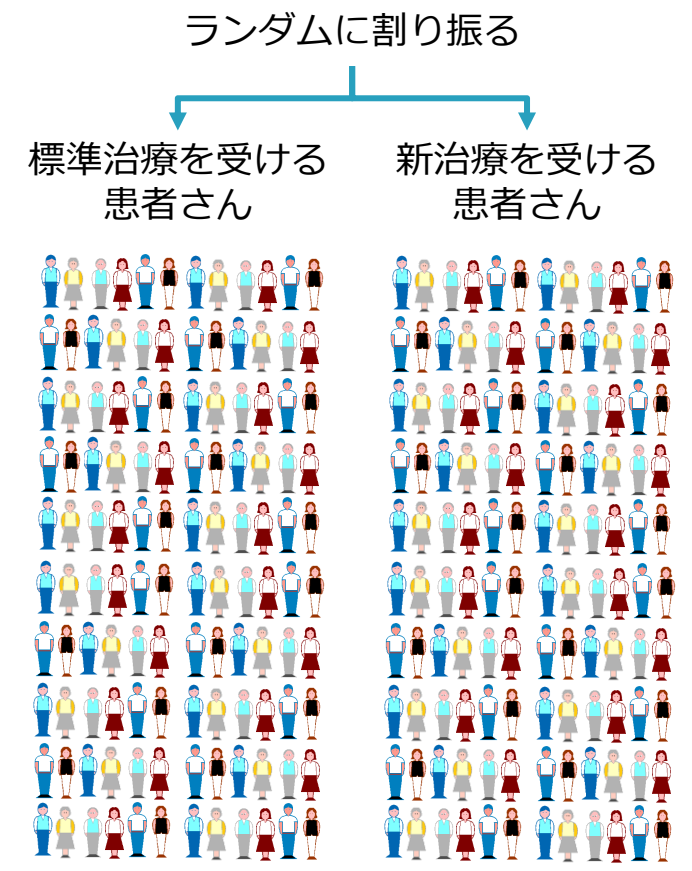


## 第II相試験



数十人の患者さんで腫瘍縮小効果（有効性）を見る（何割の患者さんでがんが小さくなる効果が見られるか）

## 第III相試験

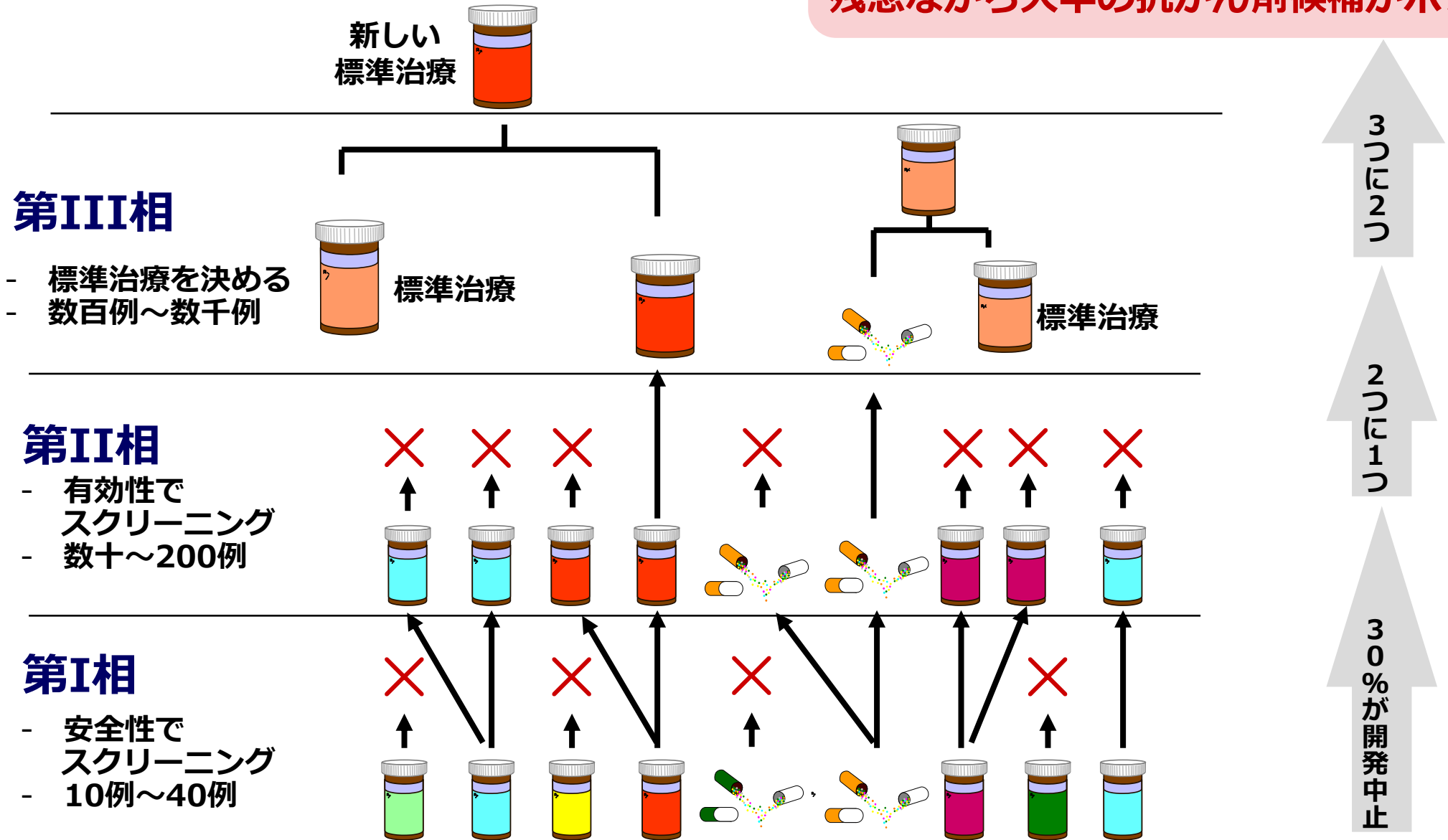


数百人ずつの患者さんで新治療が標準治療に優るかどうかを見る

# 抗がん剤開発：成功確率は？

抗がん剤開発の成功確率

～2000年は5%、2000年～は10%強  
残念ながら大半の抗がん剤候補がボツに



企業主導試験の成功確率のデータは、DiMasi JA et al. Clinical pharmacology and therapeutics. 2013;94(3):329-35.より

# 臨床試験：誰が行うのか？

## • 製薬企業が行う

- 製造販売承認申請のための**治験**
- 製造販売後の再審査のための**製造販売後臨床試験**/調査
- データが厚生労働省への承認申請資料に使われる

## • 研究者（医師）が行う

- 新しい治療法を生み出すための臨床試験
- 標準治療をよりよくするための臨床試験
- **結果の論文が診療ガイドラインに引用されて日常診療に反映**
- 適応拡大のための**医師主導治験**（製薬企業と協力して実施）



# がん治療の特徴：集学的治療

早期胃癌・早期大腸癌

外科的切除（手術）



乳癌

術後補助照射

乳癌・胃癌

大腸癌・食道癌

術前補助化学療法  
術後補助化学療法

術前化学  
放射線療法

放射線治療



化学放射線療法



薬物療法  
（化学療法・遺伝子治療）

肺癌

早期  
頭頸部癌

肺癌

免疫療法



小児白血病  
・リンパ腫

抗がん剤単独ではなく、手術・放射線治療の併用療法の（研究者主導）臨床試験が必要

# まとめ

- 医薬品が候補物質のスクリーニングから日常診療で使用できるようになるまでには非常に時間がかかる（約10年）
- 治験は、臨床試験のうち薬事承認申請の評価データ収集を目的としたものである
- 製薬企業が行う臨床試験と研究者が行う臨床試験があり、がん領域では研究者主導臨床試験が不可欠である



国立がん研究センター  
中央病院  
National Cancer Center Hospital

★  
★  
★  
★  
★

**WORLD'S BEST  
SPECIALIZED  
HOSPITALS**

2023

**Newsweek**

POWERED BY  
**statista**

**NATIONAL CANCER CENTER HOSPITAL**

ご静聴ありがとうございました。

