

# 臨床試験に関する 基礎知識



## 臨床試験とは

臨床試験は、ヒトの疾病をより効果的に予防、診断、治療する方法の特定を目的とした医療調査研究です。臨床試験では、新薬をはじめ、既存の薬剤や医療機器（ペースメーカーなど）の新たな使用方法、検査や疾病の診断手順など、新規治療の安全性と有効性が評価されます。試験治療がヒトの健康にもたらす有効性を評価するため、参加者は試験治療（および場合によってはプラセボ群）に前向きに割り付けられます。

臨床試験で試験治療や機器、手順をテストするには、その前に実験室試験、動物実験、または小規模なヒト集団を対象とした試験で、その有用性が示されていない限りなりません。参加者の安全を守るため、臨床試験では標準的な医療行為と同様（多くの場合、さらに厳格な）倫理的および法的ガイドラインに従う必要があります。こうした法律は、臨床試験がヒトに害を及ぼさないようにする目的で制定されています。

臨床試験は、「相」と呼ばれる複数の段階で実施されます。臨床試験の各相には、それぞれ異なる目的があります。

### ■ 第1相

小規模集団（20～80人）に試験治療を初めて提供し、その安全性、用量域、副作用を評価します。

### ■ 第2相

中規模集団（100～300人）に試験治療を提供し、その安全性と有効性を評価します。

### ■ 第3相

大規模集団（1,000～3,000人）に試験治療を提供し、有効性の確認、副作用の観察、現行の標準治療またはプラセボとの比較を行います。



第3相試験を無事通過した試験治療は、一般提供に向けて米国食品医薬品局（FDA）に承認申請を行うことができます。通常、FDAの承認プロセスは1年かかります。FDAの審査プロセスは、いくつかの段階で実施され、臨床試験の研究内容とデータの確認を経て、その治療が有用であるかどうか判断されます。

場合によっては、FDAの承認取得後も研究が継続されます。また、FDAが第4相試験の実施を要請する場合があります。

#### ■ 第4相

試験治療の承認後、その治療の長期安全性と有効性に関するすべての情報を収集します。

## 臨床試験への参加を検討すべきかどうか

臨床試験への参加を決定する際には、主治医や家族、介護人、臨床試験チーム、場合によっては保険会社に相談し、その臨床試験が自分に適しているか判断する必要があります。

「主治医から臨床試験への参加を勧められ、試験の内容とプロセスについて詳しい説明を受けました。プログラムへの参加を認められる前に数か月にわたり検査を行い、治験薬の投与後も定期的に検査を受ける必要がありました。来院や検査など、色々と不安なこともありましたが、臨床試験コーディネーターが親切に質問に答えてくれ、安心することができました。私たちがこの試験に参加したことで、いつか治療法が確立されれば嬉しいですね」

コニー

臨床試験の主な利点には、次のようなものがあります。

- 研究中の新規治療を受けることができる
- 専門医や専門家のケアが受けられる
- 人々の役に立つ可能性のある医療研究に貢献できる

臨床試験に関連する潜在的リスクには、次のようなものがあります。

- 重篤な副作用が生じる
- 治療成果が得られない
- 他の臨床試験に参加できない

## 保険適用と臨床試験について知っておきたいこと

米国の多くの州では、臨床試験参加中は最低でも日常的な医療ケアの費用が健康保険制度で補償されるよう法律や協定で定められています。ただし、臨床試験の健康保険適用範囲は、保険会社や

保険制度、臨床試験の場所によって異なる可能性があります。たとえば、保険会社や保険制度によって臨床試験に関連する患者費用が全額または一部補償される場合もあれば、まったく補償されない場合もあります。

そのため、臨床試験に登録する前に保険会社に連絡し、保険の適用範囲について事前に確認しておく必要があります。雇用主から提供された被保険者カードの裏面に記載されている番号に電話し、臨床試験に関する情報を提示して、患者費用が保険適用の対象になるかどうか(全額/一部/対象外など)を確認してください。

また、臨床試験コーディネーターに相談することも重要です。臨床試験コーディネーターは、臨床試験の参加者に重要な情報を提供する役割を担っています。臨床試験に関連する治療費に関する質問にも、臨床試験コーディネーターがお答えできます。臨床試験コーディネーターの連絡先は、各臨床試験の書類に記載されています。

## 臨床試験への参加条件

各臨床試験では、その目的に応じて参加者の条件を示したガイドラインと要件が定められています。

さまざまな臨床試験で、異なる背景を持つ人を対象とした研究が行われています。臨床試験によっては、各種検査を実施し、特定の疾病を持つ人への効果を調査します。また、特定の年齢、性別、人種、民族を対象とする試験もあれば、特定の疾病、病期、治療歴を対象とした試験もあります。他にも、重篤な健康問題のない人を対象としている試験もあります。

## 臨床試験の参加前に提供される情報

臨床試験の参加要件を満たしている場合、試験を開始する前に臨床試験チームとの面談が行われます。臨床試験チームは、医師、看護師、ソーシャルワ

一カ一、その他の医療専門家で構成されており、参加者と一緒に試験実施計画書を確認します。試験実施計画書には、研究目標や試験デザイン、実施方法が記載されています。試験実施計画書に含まれる主な項目は、以下のとおりです。

- 臨床試験のプロセス（実施する可能性のある検査を含む）
- 試験治療に関する既知のリスクと利点
- 臨床試験の期間
- 臨床試験に関する連絡先
- 臨床試験実施チームの連絡先

インフォームドコンセントのプロセスでは、上記の情報に加え、臨床試験参加者の権利に関する説明も行われます。これらの情報をすべて受け取り、臨床試験について完全に理解したうえで、臨床試験への参加を自発的に希望する場合、同意書への署名が求められます。

臨床試験の参加者は、同意書に署名した後であっても、いつでも参加を取りやめることができます。臨床試験への参加を継続する場合も中止する場合も、同意書のコピーを必ず保管しておいてください。

## 臨床試験中に行われること

通常、臨床試験の開始時に各参加者の健康診断が実施され、臨床試験チームから参加者に指示が出されます。臨床試験中は参加者の状態が綿密に観察され、臨床試験完了後に各参加者へのフォローアップが行われます。

臨床試験チームは測定項目を参加者に伝える必要がありますが、検査の実施理由は必ずしも説明されるわけではありません。測定可能な検査には、血

「この臨床試験のことは  
ウィルソン病のウェブサイトで知りました。  
この試験が現在、そして未来の患者さんの  
治療に役立つかもしれない。そう思った私  
は、不安や疑問をすべて解消したうえで、参  
加に同意しました。臨床試験は医学の進歩  
にとって不可欠なもので、人と社会に大き  
な価値をもたらします。参加できる人はぜ  
ひ検討すべきだと思います」

エレニ

圧測定、心拍数測定、血液検査の結果、レントゲン、  
場合によっては組織採取（肝生検など）が含まれま  
す。検査結果の精度を保つため、これらの検査は何  
度も繰り返されることがあります。

## 現行の臨床試験に関する情報の入 手先

お住まいの地域または国内における臨床試験の  
情報は、以下で入手できます。

- 医療提供者または地元の病院
- Antidote社の臨床試験検索ページ  
([www.antidote.me/](http://www.antidote.me/))
- 国立衛生研究所の臨床試験情報ページ  
([www.nih.gov/health-information/  
nih-clinical-research-trials-you](http://www.nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you))
- Medline Plus  
([www.medlineplus.gov/clinicaltrials.html](http://www.medlineplus.gov/clinicaltrials.html))

「臨床試験の話が出たとき、病気に苦しむ一人の患者であると同時に、症状を改善または完治する方法を見つける助けになれるかもしれないと思いました。試験に参加することで将来誰かの役に立てると思うと、力が湧いてきます。私が参加した試験はとてもよく計画されていて、専任の担当者がどんな質問や懸念にもすぐに答えてくれました。私の病歴をすべて把握し、この病気に精通した人が対応してくれるということが、何よりも心強かったです」

ジェス

## 臨床試験に関心がある場合の手順

まず、主治医に相談してください。臨床試験に参加する意思があり、詳細を入手したい場合は、臨床試験コーディネーターに連絡し、参加要件を満たしているか確認します。臨床試験コーディネーターの連絡先は一般公開されており、臨床試験に関する通知に記載されています。

初期要件を満たしている場合、事前スクリーニングで参加者の適性を判断する各種検査が行われます。事前スクリーニングは、利点やリスクをはじめとする臨床試験の詳細を確認する機会でもあります。スクリーニングは、電話インタビュー、オンライン問診票、対面検査を組み合わせで行われる場合があります。



## 臨床試験の結果公開

試験のデータは確定された後公開され、臨床試験のページにリンクされます。試験結果は「Results Posted」というタブで閲覧できます。試験結果がまだ公開されていない場合、タブの名前は「No Results Posted」となります。

## 医療提供者に質問すべきこと

- 臨床試験を検討すべきでしょうか。どのような種類の試験が私に合っていますか。
- 私にとってプラスとなる臨床試験は行われていますか。
- 臨床試験に参加するリスクと利点は何ですか。
- プラセボ群に割り付けられた場合、試験終了後に治療を受けることはできますか。
- 試験治療によって有益または有害な効果が出ているかどうか、どうすればわかりますか。
- 臨床試験に参加することで、その他の健康状態にどのような影響が生じますか。
- 臨床試験に参加している間も通常の治療を継続することはできますか。
- 臨床試験中のフォローアップは誰と行いますか。先生ですか、臨床試験チームですか。

## 臨床試験チームに質問すべきこと

- この臨床試験の目的は何ですか。
- 試験治療に効果があると考えられる理由は何ですか。
- この臨床試験に関連付けられているリスクと利点は何ですか。
- この臨床試験の潜在的な利点とリスクは私の現在の治療と比べてどうですか。
- この臨床試験が日常生活に及ぼす短期的および長期的な影響は何ですか。

- この臨床試験に参加する場合、どのようなことを求められますか。
- どのような検査が行われますか。
- この臨床試験の期間はどれくらいですか。
- プラセボを受ける可能性はありますか。
- この臨床試験に参加すると自己負担の費用はありますか。
- 試験治療が効いているかどうか、どうすればわかりますか。
- 臨床試験中に症状が悪化したらどうなりますか。
- 臨床試験を途中で中止したい場合、誰に連絡すればいいですか。連絡方法はありますか。
- 私のケアは誰が担当しますか。
- 臨床試験中も主治医の先生にみてもらうべきですか。
- この臨床試験では、どのような長期的フォローアップケアが必要ですか。
- 臨床試験が終了したらどうなるのですか。
- 臨床試験の結果は教えてもらえますか。それはいつですか。

## 用語集

**臨床試験**: 検査や治療を一般に提供する前に、ヒトを対象としてその有効性と安全性を確認するために行われる調査・研究のことです。

**対照群**: 既存の治療またはプラセボを受ける参加者で構成されます。対照群は、他の参加者が受ける試験治療の有効性を測定するための比較対象として用いられます。

**二重盲検試験**: 参加者がどの治療を受けているのか、試験終了まで参加者も研究者も知らない状態で行われる臨床試験です。

**米国食品医薬品局 (FDA: Food and Drug Administration):**すべての医薬品、ワクチン、医療機器の安全性と有効性を監督する政府機関です。

**インフォームドコンセント:**臨床試験に関する十分な説明を受け、理解したうえで臨床試験への参加を決定するプロセスです。

**治験審査委員会 (IRB: Institutional Review Board):**医療専門家と地域社会の代表者で構成される委員会で、潜在的リスクを最小限に留め、臨床試験が医療行為の倫理的・法的基準に従っていることを確認するために、臨床試験を審査、承認、監視する役割を担っています。

**プラセボ:**試験治療薬に似た形状(錠剤、液滴、粉末)で体に影響しない不活性物質です。一部の臨床試験では、試験治療とプラセボを比較することで、試験治療の有効性を評価します。

**試験実施計画書:**臨床試験の目的とプロセスを説明した文書です。参加者の基準、関与する治療計画、検査の種類と実施頻度、結果の測定方法、臨床試験を中止する状況、研究者が試験治療の停止を指示する状況、試験治療の既知および潜在的な副作用、試験治療の潜在的な利点といった情報が含まれています。

**無作為化:**すべての参加者を治療群と対照群に平等に割り付けるためのプロセスです。

**単盲検試験:**参加者がどの治療(試験治療 vs. 既存の標準治療またはプラセボ)を受けているのか、試験終了まで研究者だけが知った状態で行われる臨床試験です。

**治療群:**FDAの承認前に研究者が試験を行うワクチンや医薬品を受けるグループです。



*Your Liver. Your Life.*

American Liver Foundation

LiverFoundation.org

**1-800-GO-LIVER**

(1-800-465-4837)

 /Liverinfo

 /LiverUSA

 /AmericanLiver

本冊子はBristol Myers Squibbの支援により作成されました。  
本書の内容については、American Liver Foundationが単  
独でその責任を負うものとします。

 Bristol Myers Squibb™