


2007年12月15日 第3回市民向けがん情報講演会  
論より科学的根拠！ 信頼できるがん情報とは・・・

「最新の治療が最善の治療とは  
限らない」  
—臨床試験—



がん対策情報センター 臨床試験・診療支援部  
薬事・安全管理室長 柴田 大朗





# 本日のお話の内容

- (1)なぜ新しい治療法の効果や安全性を評価しなければならないのでしょうか？
  - 新しいお薬候補  のほとんどは効かないことをご存じでしたか？
- (2)どうして新しい治療法の評価をするために、倫理的・科学的に正しい方法を使った「臨床試験」が必要なのでしょうか？
  - 正しくない方法を使って間違った判断を下したために、効果がなく危険なだけの治療を受けた多くの患者さんが苦しい思いをされたことがあったのをご存じでしたか？



# (1)なぜ新しい治療法の効果や安全性を評価しなければならないのでしょうか？

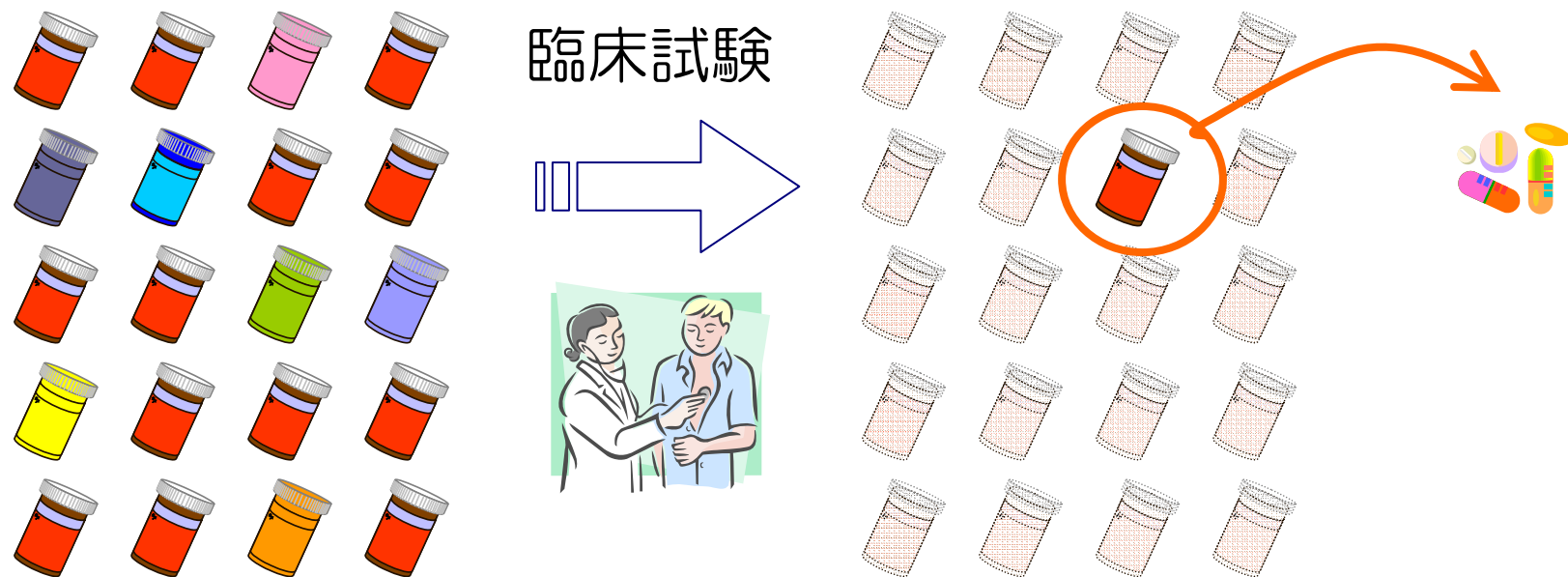
## ■ 質問

- 動物実験で、がんの効果があるお薬の候補  が見つかりました。
- この薬の候補を患者さんに投与する臨床試験が実施されることになりました。
- このような薬の候補は沢山ありますが、たくさんある薬の候補のうち、いくつぐらいが病院で使えるお薬  になると思いますか？
  - ① 7～8割
  - ② 2つに1つ
  - ③ 5つに1つ
  - ④ 20に1つ

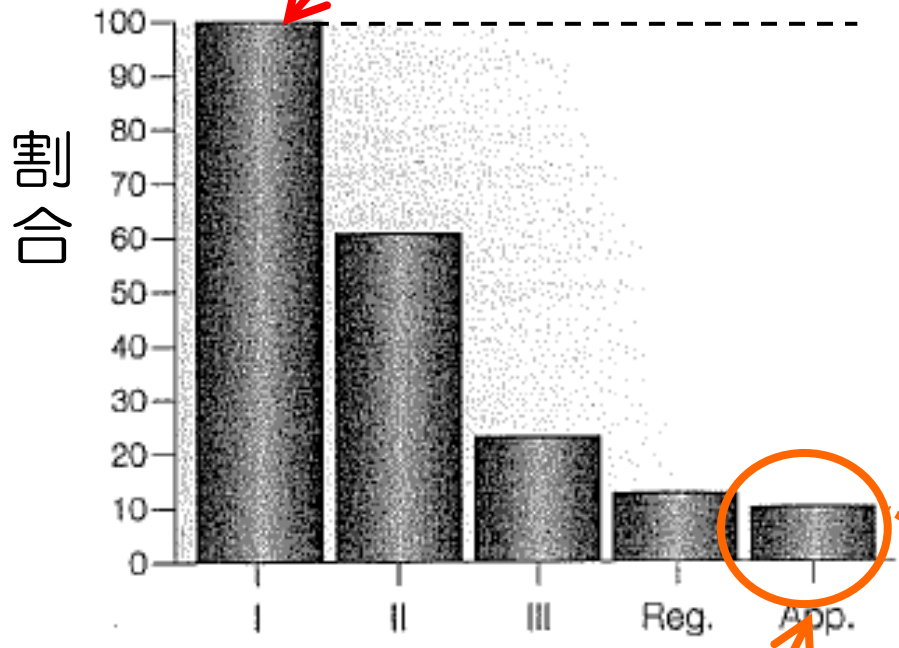
- 実験室で発見されたお薬の候補  のうち、本当にお薬  として使えるものは 1万にひとつ程度 だと言われています
- 動物実験で成績がよい場合には、お薬として使える可能性が高くなりますが、それでも ほとんどのお薬の候補  は、病院で使えるお薬  にはなりません

■ 米国の調査によると・・・

- 動物実験の成績が良く臨床試験が開始されたお薬候補  のうち、病院で使えるお薬  になったのは10個に1つ程度でした
- このうち、がんのお薬だけに限ってみると、20個に1つ程度しかお薬になりませんでした




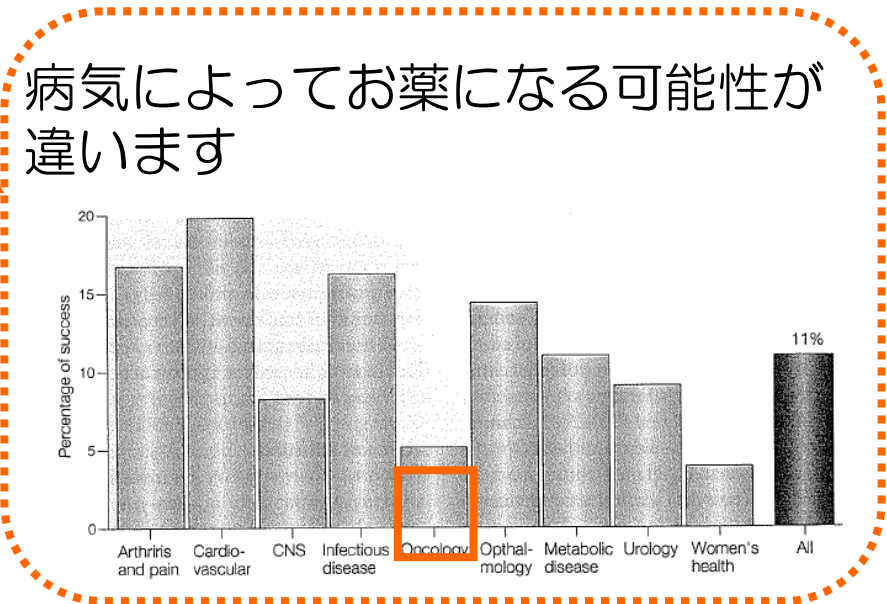
お薬候補  として臨床試験が開始されたもの



→ 開発の経過







効かない、とても危ない、などの理由でお薬  として使えないことが判ったもの

効き目が確認され、国から承認されてお薬  として使えるようになるもの

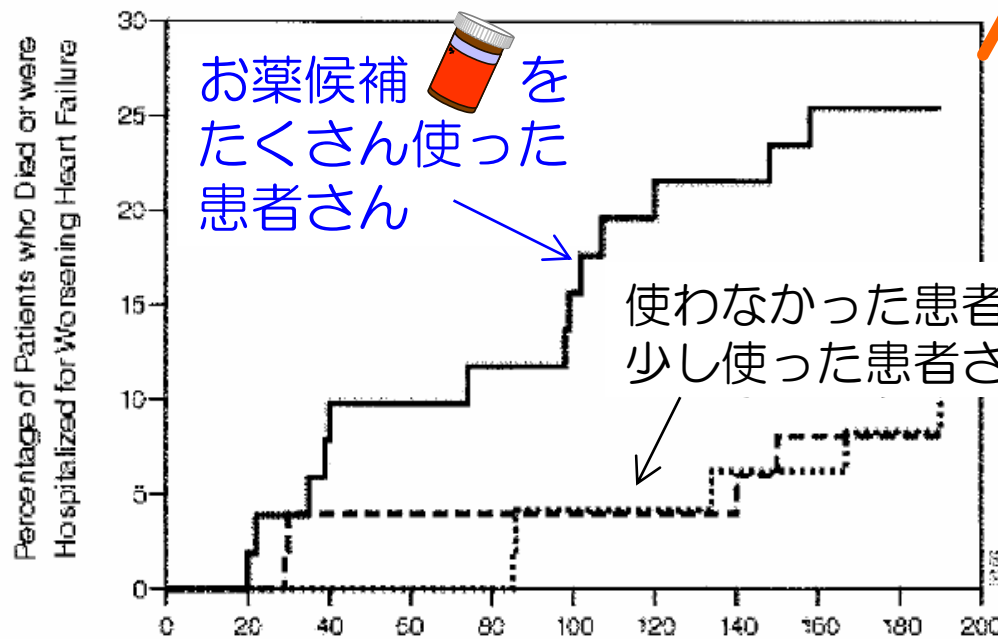


がんではお薬  になるのは5%

# お薬候補の殆どは効かないのです・・・


- 「このお薬の候補  はがんに効きそうだと
- 言われているものが20個あっても、そのうち19個は効かず、お薬  にならずに開発が中止されます
- 今、患者さんが使っているお薬  は、さまざまなことを調べて効き目があることが証明されて、お薬  として認められたものなのです
- 何回もの臨床試験を行って「お薬候補  」の効きめ（有効性）や副作用の出方（安全性）を調べて、よい成績であったものだけがお薬  として認められるのです

A










縦軸は患者さんが亡くなられたり入院された数を表しています（グラフが上にいくほど、病気が悪くなっています）

横軸は観察をはじめてからの日数を表しています

- 基礎研究で、ある病気に効果があるお薬候補  がわかりました
- けれども、患者さんを対象に臨床試験をしてみたら、何も使っていない人よりも病気が悪くなってしまいました
- 人の体のしくみは複雑なため、動物実験の結果と患者さんに使ったときの効き目とが全く逆になってしまうことすらあるのです





# 覚えておいていただきたいこと①

- お薬候補  の殆どは残念ながら効果がありません。
- お薬の候補  が見つかりとニュースになります。けれど、臨床試験をしてみたらそのお薬の候補  は効かなかった・・・という話はあまりニュースになりません。なので、お薬の候補  の殆どが実は効かないことに気づくことが難しいのです。
- 病院で使われているお薬  は、たくさんのお薬候補  を厳しく調べて選りすぐられたものなのです。
- お薬候補  の効き目をきちんと臨床試験で調べないと、効き目がないもの、時には使わなかったときより病気が悪くなるものを間違えて使うことになるのです。





新しい治療法の効果をきちんと調べる必要があります

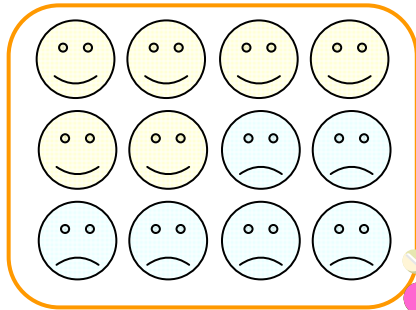
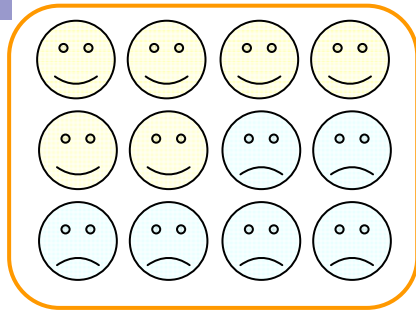
(2) どうして新しい治療法の評価をするために、倫理的・科学的に正しい方法を使った「臨床試験」が必要なのでしょうか？

- お薬の候補  に本当に効果があるかどうかを調べるためには、患者さんを、
  - お薬の候補を使わない人
  - お薬の候補  を使う人にグループ分けして、効果を比べることが一般的です

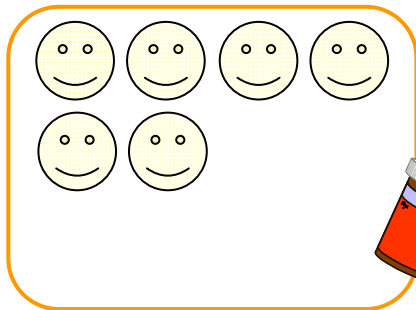
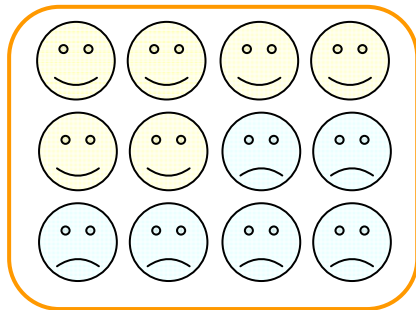
→これを「ランダム化比較試験」といいます

## なぜグループ分けして比べる必要があるのでしょうか？

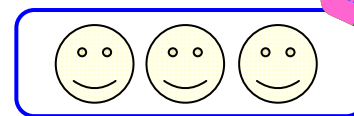
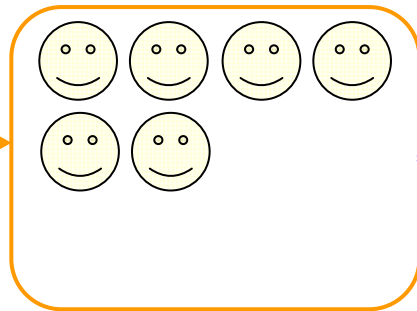
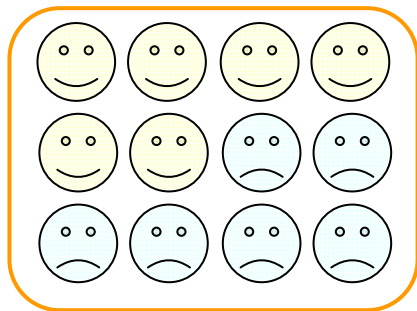
- 全ての患者さんにお薬の候補  を使っていたら、その結果を観察すればよいのではないかと考えてしまいますが・・・
- 患者さんがお薬候補  を使ったから長生きできたのか、もともと病状が軽かったために長生きできたのか、区別ができません
- がんのお薬候補  の中には、副作用が強く、体力のある患者さんにしか使えないようなものもあります。その結果を、昔の患者さんのデータと見比べてみても、お薬候補  が効いたから長生き出来たのか、体力のある患者さんだから長生きできたのかの区別ができません。



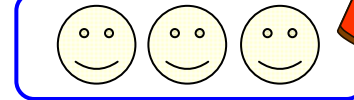
ここを  
比べると  
間違っ  
てお薬  
候補が  
良いと  
思いこ  
んでし  
まいます








ランダム化



ここを比べて判断  
する必要があります



# 米国での苦い経験

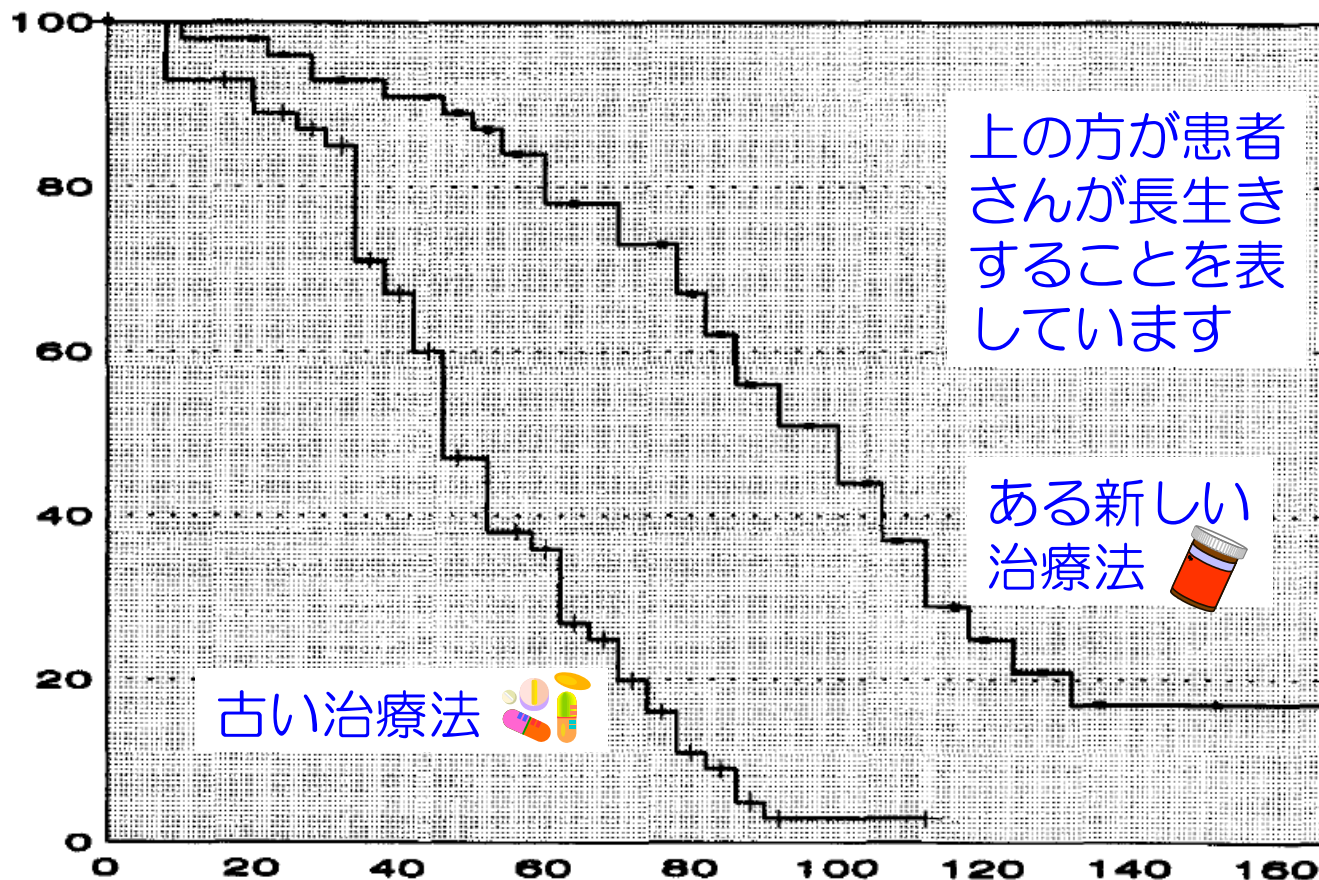
- 米国の患者団体の方が書かれた論文によると・・・
  - 90年代の米国では、乳がんに対して、ある治療法がよく効くと考えられていました
    - 過去の患者さんとを比べてみると、その治療を受けた患者さんの方が長生きしていました
    - 小規模なランダム化比較試験が行われて、ある治療法を受けた患者さんの方が、古い治療法を受けた患者さんより長生きしていました
  - 4万人以上の乳がん患者さんがこの治療を受けました

Mayer, M., Clinical Trials 3(2): 149-153, 2006.



<http://ctj.sagepub.com/cgi/content/abstract/3/2/149>


# 小規模なランダム化比較試験の結果

↑  
縦軸は  
生存され  
ている  
患者さん  
の割合を  
示して  
います

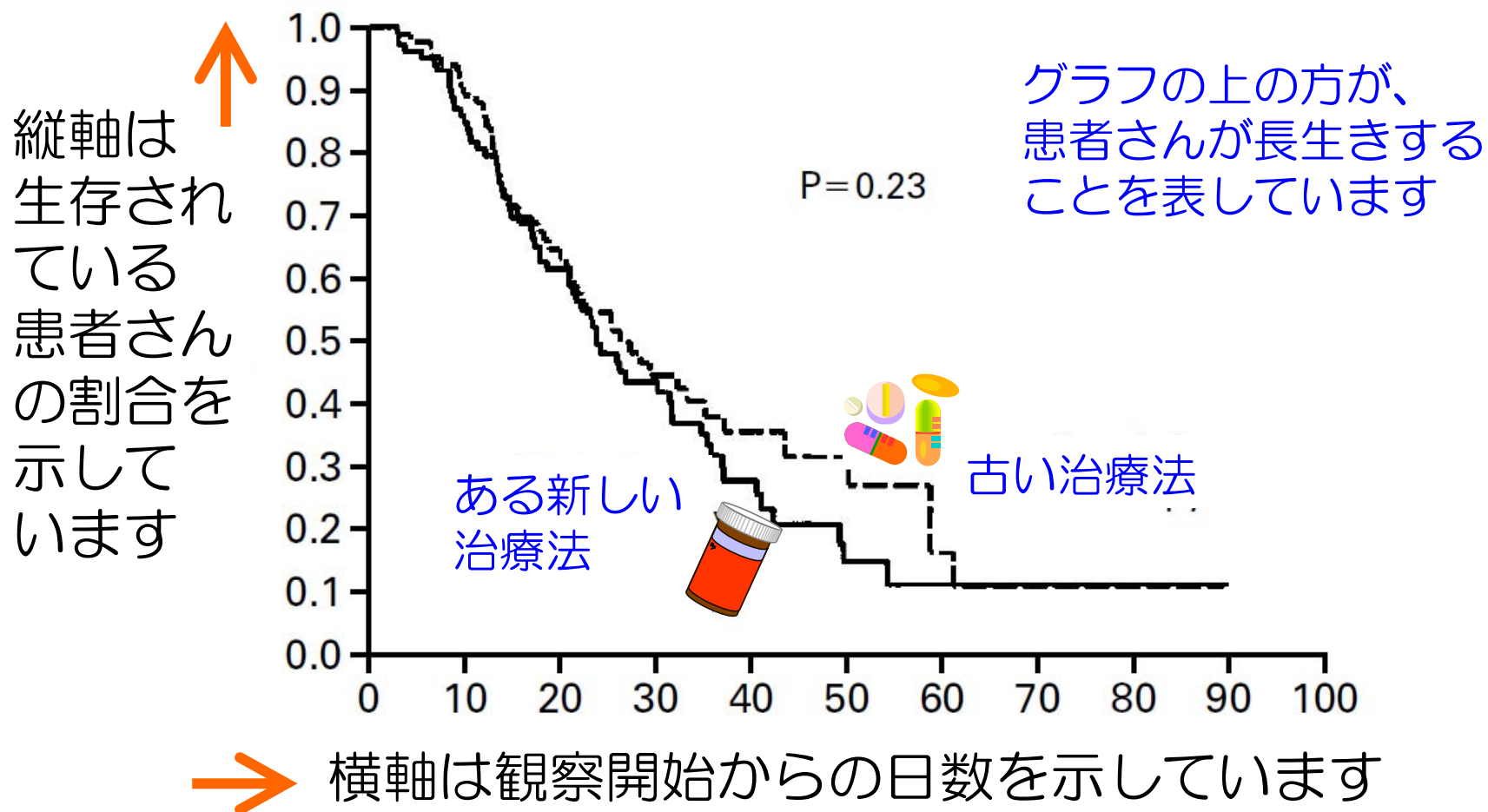


→ 横軸は観察開始からの日数を示しています

- この治療法  は非常に副作用が強く、考え出された当初は5人に1人が、その後も2~5%の患者さんが副作用で亡くなってしまいました
- 2000年に公表された、大規模なランダム化比較試験の結果、この治療法  は延命には全く効果がないことが判りました

4万人以上の患者さんたちが辛い副作用に耐え、しかもその中の2~5%の方は副作用のせいで亡くなってしまったにもかかわらず、実は、その治療  では延命できなかったのです

# 2000年に公表された 大規模なランダム化比較試験の結果







# なぜ間違ってしまったのでしょうか？

- 過去の患者さんと比べて長生きしていたという成績は、研究者が統計学を間違って使ってしまったために起こった誤りでした
- 小規模なランダム化比較試験で長生きしていたという成績は、心ない研究者がデータを捏造・改竄して作り上げたウソでした

- 心ない研究者は、その後解雇され、その研究者が書いた論文も取り下げられました。

The New York Times  
nytimes.com

March 11, 2000

## Cancer Researcher in South Africa Who Falsified Data Is Fired

By HENRI E. CAUVIN

ニューヨークタイムズ 2000/3/11  
「データ改竄をした南アフリカのがん研究者が解雇される」

This article was retracted in June 2001.

**Chemotherapy With [REDACTED]  
as Primary Treatment for Metastatic Breast Cancer:  
A Randomized Trial**

By W.R. Bezwoda, L. Seymour, and R.D. Dansey



「この論文は2001年6月に取り下げられました」

## 覚えておいていただきたいこと②




- 間違った方法で行われた研究や、心ない研究者が行ったデータの捏造・改竄が、患者さんを苦しめることになってしまいました

※間違った方法で研究を行わないようにしなければなりません



※データの捏造や改竄をするような心ない研究者が現れないように、研究が信頼できるものであるようにするための仕組みが必要です

新しい治療法の効果を調べるには倫理的・科学的に正しい方法を使った臨床試験を行う必要があります

# まとめ

- なぜ新しい治療法を評価する必要があるのでしょうか？
  - 新しく作られたお薬の候補や治療法は効かないものの方が多いのです（最新の治療は最善の治療とは限らないのです）
    - 新しい治療法に本当に効果があること、どのような副作用が出るのか、などを調べる必要があります
- どうして正しい方法で実施される臨床試験が必要なのでしょうか？
  - いい加減な臨床試験や治験を行うと、その臨床試験に参加する患者さん、将来その治療を受ける患者さんが被害を被るのです
    - ただ臨床試験をすれば良いというわけではなく、倫理性、科学性の高い臨床試験を実施することが重要です

# おわりに

- 紹介した米国での苦い経験について論文を書いた患者団体の方は、その論文の中でこう訴えています。
  - 一緒に闘病していた患者の友人がその治療で亡くなったことをきっかけに色々調べた
  - 調べたらこの治療法の科学的根拠が十分でないことが判ったのでこれを患者仲間に伝えようとした
  - けれど、当時みんなが求めていたのは、治療が効くという情報であって、本当は効かないという情報ではなかったため、どうしても言い出せなかった
- 信頼できるがん情報とは、正しい方法で得られた研究結果に基づくものです。
- 「正しい」知識を得るためには、冷静に情報を吟味することが大切です。