

1. 予後改善のための事業としての臨床試験

さて、臨床試験と臨床研究の支援に関する具体的な話を進める前に、まずその目的をはっきりさせる必要がある。臨床試験/研究の最終目的は、疾病の予後の改善であり²⁾、言い換えれば、治療成績の向上である。それは、生存率の向上やイベント発生率の低下、死亡率の低下といったエンドポイントで評価されるべきものであり、したがって、臨床試験/研究はそうした成果につながるように企画され、実行されねばならない。さもなければ、多大な人的・経済的資源の労費にしかならないであろう。その典型的な例として、第Ⅲ相比較試験の具体的ビジョンがないままに第Ⅱ相試験を繰り返すこと、非劣性を証明しようとする第Ⅲ相試験、実は販売促進を狙った大規模試験など、枚挙にいとまがない。最初のものは、臨床試験への理解が浅い研究者の思い込みや未熟な仮説に基づく利己的研究ベースの発想によるものであり、後2者は、もっぱら企業のビジネス戦略によるものと言えよう。しかし、資金面からどのような臨床試験が実行可能かと問うた場合、多くは企業側の利益を無視しては実行できないのも事実である。一方で、臨床試験に必要な資金的支援規模とそのあり方について、国家予算を握る省庁レベルでの理解は依然として貧弱であり、旧来の科研費の枠中で扱っている現状がある。

すでに触れたように、臨床試験は対象とする疾患の向上を目指す継続的な事業であり、研究の延長線上にあるものではない。むしろ、個々の研究成果は1つの予後向上のマイルストーンになることもあるが、予後向上という国民レベルでのアウトカムを長期的かつ戦略的に得ない限り、ROI (Return on Investment: 投下資本利益率) を算出できないことをよく理解すべきである。これは、臨床試験の目的が予後の改善であり、実施上の位置付けが事業であるという点からすべて演繹できよう。

以下、臨床試験の支援のあり方について、これまでの経験をもとにきわめて簡単に記す。

2. 今日における臨床試験の基盤（インフラ）とは何か？

臨床試験のインフラとしてはデータセンターやCRCがすぐにあげられ、人材不足や技術的な基盤整備の遅れがとりざたされてきた。それらは臨床試験の促進に必要な条件の1つには違いないが、それがないため臨床試験ができないとか、それさえあれば速やかに試験が進むというものでもない。複数の臨床試験支援機関がある今日、10年前とは事情が異なり、支援の仕組み作りから始める必要はない。結局のところ、臨床試験の主体たる医師研究者にボールは投げ返されているのである。臨床試験を遂行せねばならぬと研究者が本気で思うなら支援者は必然的についてくるものであり、私たちの経験でも実際にそうであった。

思い起こすに、1998年にサンフランシスコで行われた、われわれとSWOG (South West Oncology Group) とのミーティングの中で、日米の共同研究としてCommon Arm Trialの実施が合意された。これは、その後のグローバルな臨床試験モデルの1つとして、きわめて重要な企画であったと言ってよい。われわれは、文字どおり「ゼロ」からこの日米共同研究を立ち上げねばならなかったのである。そのため、1999年にSWOG-Japan Clinical Trial Summit Meeting³⁾の会員に呼びかけて試験を行うための研究者組織を立ち上げ、これをJMTO (Japan-Multinational Trial Organization 日本多国間臨床試験機構) と名付けた。SWOG-JMTOのプロジェクトの1つとしてCommon Arm Trialの実施に向けた準備を始めたわけである。本臨床試験は非小細胞肺癌 (NSCLC) を対象とするものであり、SWOG側はティラパザミンによる効果増強を検証する比較試験を行う一方⁴⁾、われわれはTJ療法 (CBD-CA+PTX) をControl Armとして全く独自の仮説の検証に挑むことにしたのである。そこで遭遇した重大な問題の1つが医薬品の適応外使用であり、これは今日になっても根本的には、依然として未解決である。当時、「全くバカげたことに！」カルボプラチンはNSCLCに対する保険適