

特定臨床研究の研究代表医師としての立場から

松村 剛[†]第72回国立病院総合医学会
(2018年11月9日 於 神戸)

IRYO Vol. 74 No. 6 (279–282) 2020

要旨

筋ジストロフィー心不全に対する治療開発を目的とした臨床試験を計画した。抗アレルギー剤として市販されているトラニラストの適応拡大を目指すもので、審査期間中に臨床研究法が施行されたことから、先進医療による特定臨床研究で実施することとなった。先進医療による介入試験（特定臨床研究）は、（認定）倫理審査委員会と先進医療の双方で審査を受ける必要があり、本研究は統一倫理指針から臨床研究法への移行審査も経験した。複数機関で審査を受けることはプロトコルがより洗練される利点がある反面、審査機関ごとに異なる指摘を受けた場合、修正内容が一致するまで審議を繰り返すため時間を要す欠点があり、試験期間中に重要な変更が生じた場合、審議期間中のプロトコル版管理が複雑化する問題もある。臨床研究法では企業の資金提供を受けた試験だけでなく、医薬品・医療機器を用いた介入試験が対象となるため、利益相反管理や試験期間中のモニタリング・監査、重篤な有害事象報告等にこれまでより厳密な対応が求められるほか、認定倫理審査委員会の審議にコストが必要となるなど、介入試験のハードルが高くなることが懸念されている。高品質の臨床試験実施を目指した法の理念を踏まえて着実に介入研究を進めて行くには、臨床研究教育やアイデア段階からの研究計画・資金獲得支援、倫理審査や実施段階の実務支援などの支援体制の充実が求められる。

キーワード 先進医療, 臨床研究法, 特定臨床研究, 適応拡大

背景

治療薬開発には、新規薬剤に加え、市販薬の適応拡大を図るものがある。既存薬は、ヒトでの安全性情報が豊富な一方、企業の開発意欲がなく医師主導での開発を余儀なくされる場合が多い。適応拡大を目指した臨床研究は、先進医療による特定臨床研究での実施が基本となる。今回、代表医師として開発に携わったため、その経験を報告する。

開発治療の概要

Transient receptor potential cation channel subfamily V member 2 (TRPV2) は、ストレッチ感受性Ca²⁺チャネルの一種で、通常は心筋・骨格筋の細胞質に存在するが、細胞の損傷にともない細胞表面に移行しCa²⁺を細胞内に取り込み、細胞変性を生じさせる。TRPV2を心筋細胞膜に過剰発現させたマウスは心筋症を呈し¹⁾、心筋症モデル動物や心筋症患者では心筋細胞膜でのTRPV2発現が

国立病院機構大阪刀根山医療センター 神経内科 [†]医師

著者連絡先：松村 剛 国立病院機構大阪刀根山医療センター 神経内科 〒560-8552 大阪府豊中市刀根山5-1-1

e-mail : tmatsumura-toneyama@umin.org

(2019年2月21日受付, 2020年4月10日受理)

The Principal Investigator's Perspective of a Specific Clinical Trial

Tsuyoshi Matsumura. NHO Osaka Toneyama Medical Center

(Received Feb. 21, 2019, Accepted Apr. 10, 2020)

Key Words : advanced medical treatment, Clinical Trial Act, specified clinical trial, additional indication