

医師主導治験を実施した立場から －HAL医療用下肢タイプを例に－

中島 孝[†]第74回国立病院総合医学会
(2020年10月17日～11月14日
WEB開催)

IRYO Vol.76 No. 2 (112-116) 2022

要旨

対象が新薬であっても、新医療機器であっても、治験を行う目的は製造販売承認であり病態メカニズムの解明は2次的である。治験とは、それらを患者に適正に使用することで、臨床的結果が改善すること（効果）を統計学的有意差によって検証し安全性の評価と合わせ、化学物質や機器に、医薬品または医療機器としての意味を持たせ、社会・経済システムの中での薬価、診療報酬単価に反映させようとする手段である。治験に要求される科学性は医師主導であろうと企業主導であろうと不変である。医師主導で行う意味は、企業主導では不十分な、患者ニーズに合わせた治験を組み立て実施することにある。医師主導治験を実施した立場からHAL医療用下肢タイプを例にして解説した。

キーワード 新医療機器, 医師主導治験, HAL

治験における臨床試験デザインと実施計画

1. 対象集団とエンドポイント

治験における臨床試験デザインを作る際にはまず、対象集団を一意となるように確定し、次に新しい治療法を実際の臨床で実施できるようにモデル化する。同時に、その治療法が目指している臨床効果を評価するエンドポイント（主要評価項目）を確定する。このエンドポイントは科学評価可能なことと、臨床的意味があることが重要である。臨床的意味とは、単に症状改善だけでなく、生活を改善し、介護者や社会負担が軽減することであり、その場合、標準治療／保険診療に組み込む際に、高い評価を得られる。病気が治る／治らない、健康になる／ならないという概念ではないことを理解する。「ある対象

群において、ある治療が従来の治療に比してある臨床評価指標（エンドポイント）を有意に改善する」という仮説検証が、有効性評価の目的であり、その治療法で改善が見込める一意の対象集団を確定する。

2. 真のエンドポイントとサロゲート

その際に何がその対象集団における真のエンドポイントになりうるか、それを測定可能にするために何が代理指標（サロゲート）になるのかを検討する。真のエンドポイントそのものが本来、主要評価項目としてふさわしいが、真のエンドポイントの計測は難しい。患者の主観評価であるPatient reported outcome（PRO, 患者報告アウトカム）を科学的に正確に評価ができれば本来、真のエンドポイントに

国立病院機構新潟病院 脳神経内科 [†]医師
著者連絡先：中島 孝 国立病院機構新潟病院 病院長 〒945-8585 新潟県柏崎市赤坂町3番52号
e-mail : nakajima.takashi.ud@mail.hosp.go.jp
(2021年7月12日受付, 2021年10月15日受理)
Learning from Conducting Physician-sponsored Clinical Trials of HAL
Takashi Nakajima, Director of NHO Niigata National Hospital
(Received Jul. 12, 2021, Accepted Oct. 15, 2021)
Key Words : New medical device, physician-sponsored clinical trial, HAL