

6 拡大治験：施設の立場から

よしの たかゆき
吉野 孝之

国立がん研究センター東病院 治験管理室長

コンパッションエッセ制度とは、基本的に生命に関わる疾患や身体障害を引き起こすおそれのある疾患を有する患者の救済を目的として、代替療法がない等の限定的状況において未承認薬の使用を認める制度である。アメリカ、ヨーロッパなどではすでに導入されているが、日本では明確な基準がないため、これまでに様々な検討会等にて「導入のための検討を進めることが必要」との意見が出されていた。国立がん研究センター先端医療開発センター（EPOC: Exploratory Oncology Research & Clinical Trial Center）は、平成25年度にプレ事業「GISTに対するレゴラフェニブの医師主導治験」を経て、「平成25年度医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬のアクセス充実対策等事業」として、コンパッションエッセ制度の一つであるアクセス制度での医師主導治験「前立腺がんを対象としたカバジタキセルの医師主導治験」、「悪性黒色腫を対象としたベムラフェニブの医師主導治験」をパイロット試験として行った。課題として、治験薬ラベルの取り扱い、安全性情報の取り扱い、治験の中止等に関する報告書、総括報告書の作成、治験データの取り扱いなどが問題点として挙げられ、その対応策としてGCPの柔軟な運用が提案された。

その後、日本版コンパッションエッセ制度は「人道的見地から実施される治験の実施（以下、

拡大治験）」として整理され、平成28年1月22日に薬生審査発0122第7号として課長通知が発行された。これを受けて、当院では拡大治験の受託研究経費について、通常の企業主導治験の算定ポイントに0.7を乗じることとし、より安い単価で実施する方針決定をした。平成28年度より「ROS1遺伝子座に転座または逆位を有する進行非小細胞肺癌（NSCLC）日本人患者を対象としたクリゾチニブの拡大治験」が企業主導治験として開始され、現在当院でも実施中である。今後多くの拡大治験が実施されれば、治験下で実施する以上、特にCRC（Clinical Research Coordinator）の人的資源の面で、他の新薬開発への影響が大きくなっていくことが想定される。さらにDTC（direct-to-consumer）アドバタイジングによる治験責任（分担）医師のCOI管理も重要となるであろう。

今後より良いコンパッションエッセ制度にするために、日本の患者さんにとって最も良い制度に成長するためには、そのカギは、厳格かつ保守的に解釈しがちなIRB、医療機関の長、規制当局サイド、企業薬事、監査部門等を含めた、GCPの柔軟な運用への産官学のコンセンサス醸成であろう。