PMDA ワークショップ
「炎症性腸疾患治療薬の臨床開発の展望－国際開発が進む中での日本の臨床評価－第 2 回」

３．新薬開発のスピードアップのための試験デザイン

■ 臨床現場からの意見

防衛医科大学校 消化器内科　穂苅　量太

生物学的製剤の炎症性腸疾患への応用は強力かつ副作用も少ない治療であり治療方針を大きく変え、難治性の患者に恩恵をもたらした。生物学的製剤は製造にコストがかかり、患者数の増加も考慮すると医療資源面からの問題は小さくない。そこで合成・量産により低コストである低分子化合物の開発が期待される。位置付けとしては現在の低分子化合物と生物学的製剤の中間の効果を有する薬剤が期待される。しかし生物学的製剤の普及が進んだ本邦で薬効が劣る薬剤の開発には種々の面で問題点が想定される。まずはこの面を議論したい。

試験デザインにおいては寛解導入及び寛解維持効果を検証することが一般的に行われてきた。しかし、オーファンドラッグの時代と異なり、生物学的製剤や低分子分子標的薬など時代は標的治療中心に変遷している。薬剤の効果が病態診断にも有用な時代になりつつある。その一方で潰瘍性大腸炎は多因子疾患であり全員に効く万能薬はないことも想定される。例えば 5ASA 製剤で寛解維持できるものとステロイド抵抗性のものでは機序が異なることも想定される。この時代の治験のあり方として従来のような寛解導入率、寛解維持率を検証することで良いのだろうか。その比率の比較は単に潰瘍性大腸炎患者の病因の多寡を見ているに過ぎなくはないだろうか。テーラーメード時代の臨床試験のあり方、特に多因子疾患での問題点について議論したい。

また、最後に本邦ならではの国民皆保険や特定疾患医療受給者制度のある中での国際共同治験のあり方も議論したい。