

米国研修ツアー報告

～米国の臨床試験プロセスと患者参画を学ぶ～



中川 圭(広島県)、北村周子(三重県)、五十嵐昭子(千葉県)

臨床試験プロセス(イメージ)と今回の学習



基礎研究

橋渡し研究
フェーズ0, 1 & 2

臨床研究
フェーズ3

申請・
承認

臨床研究
フェーズ4



研修では、この一連の流れと患者参画について学んだ

但し...

- ・ 我々がレクチャーを受けた内容は、米国臨床試験プロセスの一部である = すべての行程ではない
 - ・ 本日の報告は、さらにその一部である
- ことをご承知おきください。

まずはじめに: 訪問施設について

米国がん研究所 (連邦政府機関)
National Cancer Institute (NCI)
日本では、国立がん研究センターに近い

National Cancer Institute
at the National Institutes of Health

ジョンズ・ホプキンス大学病院
Johns Hopkins University Hospital (JHU)
- エイボン財団乳がんセンター
- シドニー・キンメル総合がんセンター



米国食品医薬品局
Food and Drug Administration (FDA)
薬の承認機関・規制当局



日本では、医薬品医療機器総合機構(PMDA) + 厚生労働省医薬食品局審査管理課に近い

米国臨床腫瘍学会
American Society of Clinical Oncology (ASCO)
日本では、癌治療学会、臨床腫瘍学会、癌学会が
その機能を分割してもつ



米国における患者アドボケートとは

アドボケート: 何かアクションをおこす人

患者アドボケート = 患者さんのためにアクションを起こす人

必ずしも患者自身、家族であるわけではない



<例>FDAにおける「患者代表プログラム」の対象者

患者代表とは: ・ 患者本人

- ・ 患者アドボケートグループに属している人
- ・ 地域のアドボカシー活動を行っている人
- ・ 家族、介護者
- ・ 医療提供者 (ナースナビゲーターなど、患者の声を代弁できる医療者)



写真: FDA資料より引用

患者アドボケートには、いろいろなタイプがある

資金集めアドボケート: 資金を集める、研究にお金をつける

患者支援アドボケート: 患者ナビゲーターと呼ばれる医療システム内での患者・家族サポート

普及啓発アドボケート: 一般市民における、がんに関する意識啓発

政策アドボケート: 患者利益のために議員などと協働する

研究アドボケート: 患者視点を提案することで、研究に貢献する

など

なぜ、患者参画を学ぶか

「患者委員の意見が議論の方向や結論に影響を与えることは多い」
「薬の開発の早期ステージからの患者アドボケート参画は、薬/機器の開発および承認期間の短縮に貢献している」
(FDA資料より、一部日本語調整)



FDAでは、オンコロジー医薬品部長 リチャード・パズアー氏他総勢14人が迎えてくれた

臨床研究を管理する

臨床研究の設計段階から患者が参画している



基礎研究

橋渡し研究
フェーズ0, 1 & 2

臨床研究
フェーズ3

申請・
承認

臨床研究
フェーズ4



米国がん研究所(NCI) では、臨床研究に関して各種運営委員会を設けており、各委員会に、最低1人の患者アドボケートが委員として参加している

●フェーズ2&3に関する委員会

- ・ 科学運営委員会
 - 実験的医薬品 運営委員会
 - 対処療法・生活の質 運営委員会
 - 臨床試験の評価と優先順位検討委員会
- ・ 疾病別科学運営委員会
- ・ 患者アドボケート委員会

●患者アドボケート委員の要件など

- ・ 任期 3年
- ・ 要件
 - 臨床試験の流れを理解していること
 - 患者の代表として意見を述べられること
 - 患者にとっての優先順位を考えられること
 - コミュニティレベルではなく、国家レベルで物事を考えられること
- ・ 研修(科学運営委員会の例)
 - 着任後、委員長との一対一研修
 - 最低2か月に1回の電話会議



患者アドボケートに求められているのは「質問すること」
すべての質問に答えることではない
患者アドボケートの質問は、
研究者に新たな気づきをもたらしてくれる

NCIの臨床試験 フェーズ2&3すべてを統括している 臨床試験コーディネーターセンターの
デボラ・ジャフィー氏、アンナ・T・レヴィー氏

患者アドボケート・国民が求める情報を提供している



基礎研究

橋渡し研究
フェーズ0, 1 & 2

臨床研究
フェーズ3

申請・
承認

臨床研究
フェーズ4

米国がん研究所(NCI) では、様々な情報が開示され、患者アドボケートが利用できる仕組みが整っている

がん科学研究費ポータルサイトでは、NCI が資金提供している研究すべてを、疾病別・内容別に分野分けを行い、公開している

情報公開の目的は2つ

1. 上位組織NIHへの報告
 2. 一般の人にNCIの研究費配分を理解してもらうこと
- ⇒患者・市民は、税金が研究に有効に使われているかどうかを知り、研究に関心を深めることができる
⇒研究への関心が、がん研究アドボケートを育成する

身体部位、トピック、研究場所(州)、研究タイプ(臨床試験を選択)を入力すると、該当する臨床試験の情報(費用含む)を簡単に知ることができる

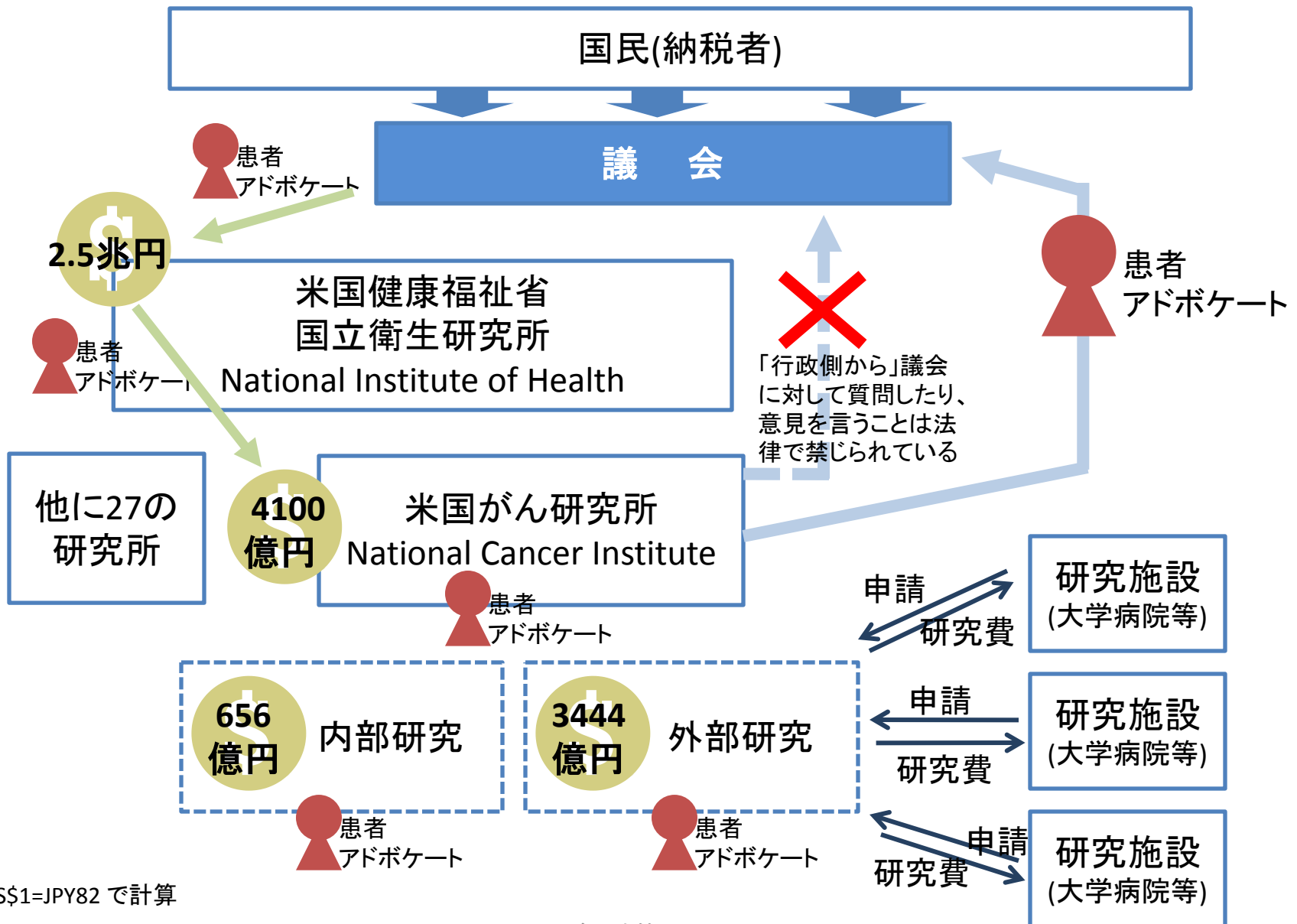
Clipboard Update	Project Title	Project Number	Funded Amount \$	Principal Investigator	Institution
<input type="checkbox"/>	Cancer Center Support Grant	3P30CA072720-1356	\$3,159,662	DIPAOLA, ROBERT	UNIV OF MED/DENT NJ-R. W JOHNSON MED SCH
<input type="checkbox"/>	Cancer Center Support Grant	3P30CA072720-1357	\$113,353	DIPAOLA, ROBERT	UNIV OF MED/DENT NJ-R. W JOHNSON MED SCH
<input type="checkbox"/>	Cancer Center Support Grant	3P30CA072720-1358	\$200,000	DIPAOLA, ROBERT	UNIV OF MED/DENT NJ-R. W JOHNSON MED SCH
<input type="checkbox"/>	Minority-Based CCOP at UMDNJ-NJ Medical School/University Hospital Cancer Center	5U10CA128506-02	\$630,052	WIEDER, ROBERT	UNIV OF MED/DENT OF NJ-NJ MEDICAL SCHOOL
<input type="checkbox"/>	Participation in the Eastern Cooperative Oncology Group	2U10CA107868-07	\$235,746	AISNER, JOSEPH	UNIV OF MED/DENT NJ-R. W JOHNSON MED SCH

政府・議会活動室では、常時すべての政府・州の法案、議会議事録等の情報収集を行い、公開している

主目的は、NCI が議会動向をつかむことだが、この情報は、がん研究アドボケートがアドボカシー活動をする有用なツールとなっている

米国がん研究所とアドボカシー活動のメカニズム

イメージ図



※US\$1=JPY82 で計算

2011/7/16

がん政策サミット2011

患者アドボケートが患者を臨床研究につないでいる



基礎研究

橋渡し研究
フェーズ0, 1 & 2

臨床研究
フェーズ3

申請・
承認

臨床研究
フェーズ4



エイボン財団乳がんセンター (JHU) では、ナースナビゲーターとサバイバーボランティアが患者に寄り添い、臨床試験参加経験者が今の臨床試験参加者をサポートする仕組みにより、飛躍的な試験参加率が達成されている

臨床試験は、治療の選択肢のひとつとして、治療開始前に患者に紹介される

その任につくのが、ナースナビゲーター(患者アドボケート)

センターのナースナビゲーターは、全員若い乳がんサバイバー(診断最長年齢42歳)で、患者さんに働く姿を見せることで「社会復帰できる」ことを伝えている

また患者には、(公募選考された)サバイバーボランティアが寄り添う

サバイバーボランティアには、継続的な研修が行われる
・3か月に1回の集合研修 (外科医が、臨床試験の計画/ 結果など最新の情報提供を行う)



この仕組みを作り上げた、リリー・ショックニー氏
ナースナビゲーターとして仕事をしているとき、自身が乳がん
に罹患。その経験と「思い」を、このシステムとして作り上げた。
「患者さんにとって有用な臨床試験であっても、患者さんの
QOLを下げる場合は、すすめない。臨床試験の説明をする
ときは必ず対面で行い、“あなた個人に”何がもたらされるか、
次世代への貢献であるということを伝えるの。」と言う。一方、
不参加でも不利益にならないことの説明や、家族・介護者へ
の説明・説得も重要なこと、と語る。

承認プロセスへ

薬の承認プロセスにも患者アドボケートが参画している



基礎研究

橋渡し研究
フェーズ0, 1 & 2

臨床研究
フェーズ3

申請・
承認

臨床研究
フェーズ4



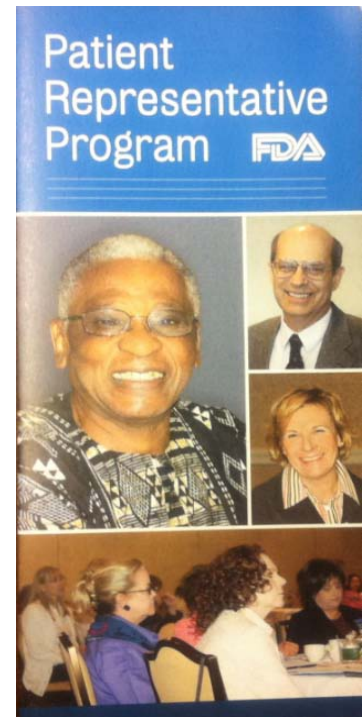
米国食品医薬品局(FDA)では、「患者代表プログラム」と称し、(現在49ある)各種諮問委員会に患者アドボケートが参画する仕組みが整っている。薬の承認可否を決める場面でも、その1票を患者アドボケートが持っている。

患者代表になる条件:

- 諮問委員会で、病気や症状に関して自分の経験や知識を述べることができる
- 患者視点を明確に述べることができる
- 患者アドボケートとしての経験がある
- 多くの患者との対話を通じて、問題点を整理し指摘することができる
(研究者なみの専門知識は必要ないが、疾患に関する基礎知識、科学や統計の基礎知識は必要)

患者代表への研修プログラム:

- 着任時、FDA職員による一対一研修
- 月1回の電話またはウェブ研修(薬の承認プロセス、データの読み取り方、臨床試験の限界、統計分析など)
- 年1回のワークショップ研修(諮問委員会の役割、薬の安全性、患者代表同士のネットワーキング、患者代表の好事例共有など)
- 先輩患者代表によるメンター制度



公募のプロセスを経て選考された委員は、連邦政府の臨時職員として、その任務を果たす。

薬の承認プロセスにも患者アドボケートが参画している



基礎研究

橋渡し研究
フェーズ0, 1 & 2

臨床研究
フェーズ3

申請・
承認

臨床研究
フェーズ4



患者代表に求められる役割:
FDAの諮問委員会において、問題点を指摘したり、質問をすること

具体的な質問例:

- 提案されている臨床試験計画では、リスク情報に関して患者に分かりやすい形で説明されますか？
- 研究結果のデータでは、この薬は安全で効果的ですか？
- 今この医療機器が販売されたら、使用中に事故が起きるリスクはありませんか？

●患者アドボケートの貢献

医療機器の例:

素晴らし技術の機器が開発された

⇒患者代表の意見「機能は素晴らしいが、持ち歩けるサイズでないと使えない」

⇒開発の再着手

薬の開発の例

試験計画の投薬回数を見て

⇒患者代表の意見「こんな頻回に通院することはできない」

⇒計画の見直し



「患者代表が変化をもたらす」と書かれたバッグ 13

研究が発表される
標準治療が変わる

新たな標準治療が“創造”される場 - 患者も参加できる



基礎研究

橋渡し研究
フェーズ0, 1 & 2

臨床研究
フェーズ3

申請・
承認

臨床研究
フェーズ4



第47回 米国臨床腫瘍学会総会 <抄録 4000以上, 参加者: 30,000人以上>

「米国の標準治療を翌日から変える」とまで言われている米国臨床腫瘍学会

発表のトピックスは、その日のうちに患者アドボケートラウンジで解説が行われ、翌日には活字となって配布される(日本語版もあり)

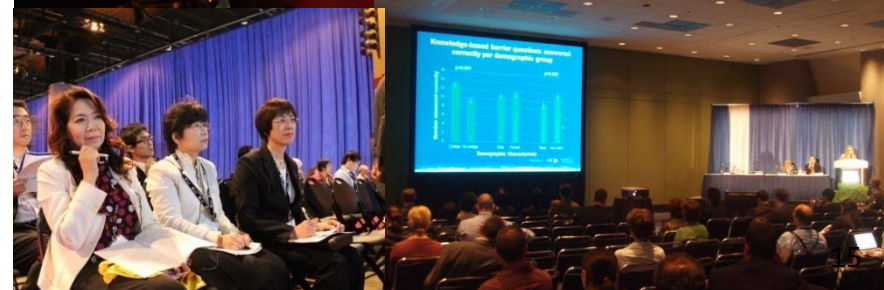


ASCO プレジデント
ジョージ・セルジュJr.氏

- ゲノム研究の進化により、今後のがん医療の世界に変化をもたらす可能性がある
- がんの多様化⇒ 個別化医療が必要
- それにより、薬の開発・承認の仕組みも変わる可能性がある



巨大なコンベンションセンター
注目発表が行われるメインホールは、1万人程入る



学術集会の場で行われる、患者アドボケートプログラム

■ 医師による本日のハイライト解説

医師が、当日ASCOで発表された研究結果のハイライトを患者アドボケートに解説するセッション



■ 国際アドボケート集会

アドボケートが集まり、互いの活動を紹介しあい、ネットワークを作ることを目的としたセッション
今回初の試み



■ 米国がん研究所(NCI)から講師を招いて行われた、NCIの患者参画プログラムの紹介

■ 患者アドボケートラウンジ
患者アドボケートの交流の場
ASCOスタッフが常駐しサポート

■ 展示ブース
患者団体の活動を紹介する
展示ブース (有償/ 無償)



学会は患者アドボケートを積極支援している

ASCO患者アドボケートプログラム

「学会は医療者(研究者)の成果発表・情報交換の場、研究者は患者さんを必要としている、つまり患者支援は、ひいては医療者支援につながる」

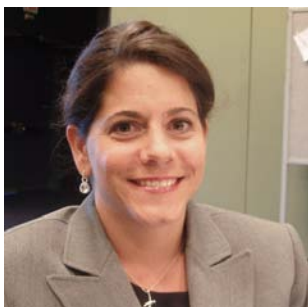
ミッション:

「患者さんは研究の一役担う」という考えに基づき、医療者サイドから、患者アドボケート教育を行うこと

- Cancer.net の企画・運営
- 印刷マテリアルの開発
- イベントの実施
- 患者ネットワークの育成

組織:

フルタイム職員2人、パートタイム職員8人



ジョニー・サレモア
シニアプログラムマネジャー

- ASCO Patient Program の責任者
- 乳がんサバイバー
- 11年の広報業務経験を生かしてこの職に就く

RESEARCH REVIEW SESSIONS—SPEAKER BIOGRAPHIES

Saturday, June 4 from 5:15 to 6:30 PM in the Patient Advocate Lounge – Room 5402



Small Smith, MD
Associate Professor of Medicine
University of Chicago Medical Center
Dr. Smith is an expert in the care and treatment of adults with all types of malignant lymphomas. Her research interests include the development of new agents for lymphomas, as well as stem cell transplantation and its role in improving the survival of people with treatment lymphomas.



Andrew D. Soldman, MD
Attending Physician, Memorial Sloan-Kettering Cancer Center
Professor of Medicine, Jones and Sanford L. Weill Medical College of Cornell University
Dr. Soldman is a medical oncologist with expertise in the management of both early stage and advanced breast cancer. His research interests include the clinical investigation of novel chemotherapeutic and targeted agents in the treatment of metastatic breast cancer.

Sunday, June 5 from 5:15 to 6:30 PM in the Patient Advocate Lounge – Room 5402



Lisa Diller, MD
Chief Medical Officer, Dana-Farber/Children's Hospital Cancer Center
Clinical Director of Pediatric Oncology, Dana-Farber Cancer Institute and Children's Hospital Boston
Dr. Diller is a pediatric oncologist with a research focus on the late effects of treatment for childhood cancer and genetic cancer predisposition syndromes in childhood. She investigates novel treatments for pediatric solid tumors.



Mianetta C. Liu, MD
Associate Professor, Medicine and Oncology
Lombard Comprehensive Cancer Center
Georgetown University Medical Center
Dr. Liu is an expert in the care and treatment of women with breast cancer. Her primary research focus is on the efficient development of reliable predictors of treatment response through tumor gene expression profiling and circulating tumor cell analysis. Her clinical goals are to provide multidisciplinary breast cancer care and offer patients access to appropriate novel therapeutic agents and diagnostic tools.

For questions related to ASCO Annual Meeting Patient Advocate Programs, please contact patientadvocate@asco.org or 774-489-1389

ASCO | Conquer Cancer Foundation | Journal of Clinical Oncology | Journal of Oncology Practice | ASCO University

Oncologist-approved cancer information from the American Society of Clinical Oncology

Search: [Blank] SEARCH

Support Cancer.Net

Cancer Types
All About Cancer
Coping
Survivorship
Advocacy and Policy
Publications and Resources
Cancer News and Meetings
Multimedia
Cancer.Net En Español

Download the Cancer.Net iPhone App

Melanoma Targeted Therapy Finder

Featured Video: Subtyping of Non-Hodgkin Lymphoma

Find a Cancer Doctor

Cancer.Net Podcast: Cancer Research News

Listen to an audio podcast with Dr. Richard Goldberg to find out more about research presented at the 2011 ASCO Annual Meeting on neuroendocrine tumors and stomach, bile duct, and colorectal cancers.

1/5

ASCO

Cancer.Net
Doctor-Approved Patient Information from ASCO

GUIDE TO BREAST CANCER

CONQUER CANCER FOUNDATION

基礎研究

橋渡し研究
フェーズ0, 1 & 2

臨床研究
フェーズ3

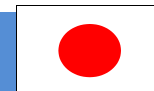
申請・
承認

臨床研究
フェーズ4



- 米国では臨床研究の設計から、薬の承認に至るすべての段階で、患者アドボケート* が参画している
*ここで言う患者アドボケートとは、患者・経験者のみをさすのではない。スライド4参照のこと。
- 医療者(研究者)や関係者が患者アドボケートを必要とし、支援している
- 患者側も、意識を持ち、勉強し、積極的に参加している
- 患者アドボケートと医療者(研究者)、行政、規制当局、が常に Win Win の関係で成り立っている
- 米国でも、30年前は、行政が患者を受け入れる素地がなかったが、患者アドボケートの活躍が歴史を開いてきた
- 日本でも・・・

我々患者関係者自身が意識を持ち、考え、
周りのステークホルダーと協働していくことの大切さを
改めて実感しました



ポーラ・キム氏

すい臓がん患者会 パンキャンの創始者

現在は、自らのアドボカシー活動に加え、コンサルタントとして、国内外の患者アドボケート活動を支援している

本ツアー全体のコーディネーションと、我々の指導にあたってくれた



事前勉強会の講師をお務めいただいた

佐藤 岳幸 氏

厚生労働省 医政局 研究開発振興課 治験推進室長

野田 哲生 先生

公益財団法人がん研究会 がん研究所 所長

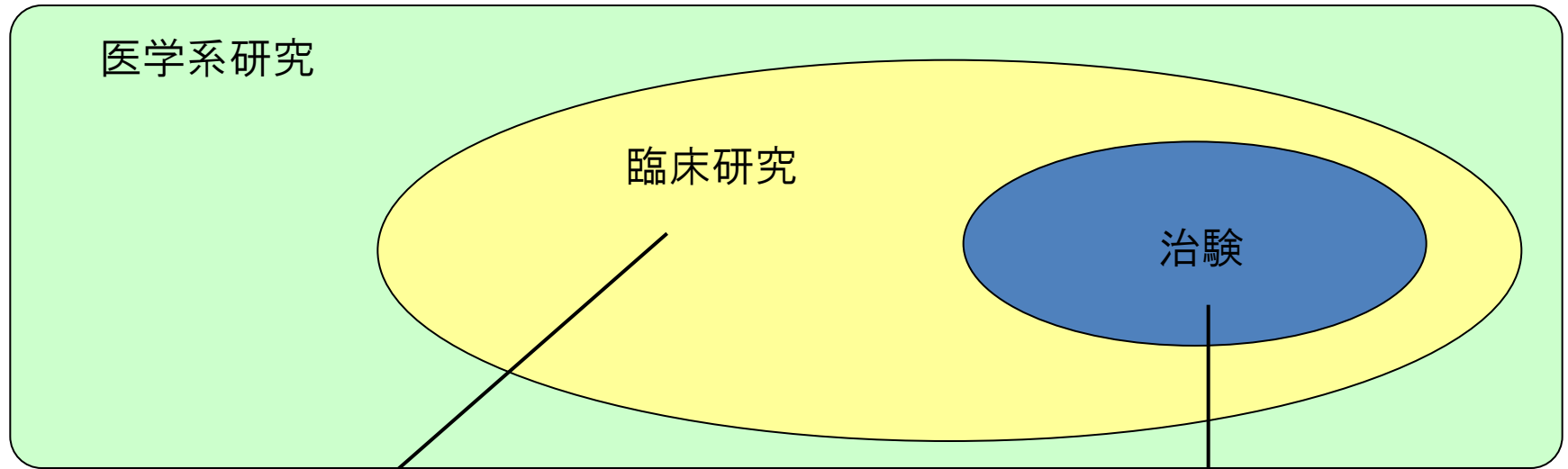
学びと共有の機会をありがとうございました

以下、参考資料

事前勉強会

「治験・承認審査の基礎知識」(用語解説等) より抜粋

「治験」・「臨床研究」とは



人を対象とする介入研究※／観察研究

(医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解並びに患者の生活の質の向上を目的として実施されるものに限る。)

臨床研究に関する倫理指針

ただし、次のいずれかに該当するものは対象外

- ・ 診断及び治療のみを目的とした医療行為
- ・ 他の法令及び指針の適用範囲に含まれる研究
- ・ 試料等のうち連結不可能匿名化された診療情報(死者に係るものを含む。)のみを用いる研究

医薬品等について薬事法に基づく承認を受けるための臨床試験

GCP

(医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令)
(医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令)

※)ここでいう介入とは、

- ・ 通常診療を超えた医療行為であって、研究目的で実施するもの
- ・ 通常診療と同等の医療行為であっても、被験者の集団を群間比較するもの

がん政策サミット2011

■ 「治験」とは・・・

□ 薬事法第2条第15項

この法律で「治験」とは、第14条第3項の規定により提出すべき資料のうち臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的とする試験の実施をいう。