

巻 頭 言

万人が願う医療の進歩には、新たな治療法の開発だけではなく、今ある治療法の最適化が必要なことは言うまでもない。前者を推進する手段が新規医療製品に関する臨床試験であり、後者を推進する手段が実地医療下に行われる臨床試験やその他の臨床研究である。実際、実地医療の中でどれだけよいアイデアや仮説が生まれても、臨床研究を通じてその効果と安全性を証明しない限り、医療の進歩にはつながらない。特に、介入を伴う研究である臨床試験は、患者さんの献身の上に成り立つ人類の事業であり、従って、そこでは参加者の人権と安全が何よりも優先されねばならない。また、研究の成果は直ちに医療に還元されるが故、目の前の患者さんに不利益が無ければよいというものではなく、未来の多くの患者さんにも不利益があってはならない。こうした臨床試験／研究の特性に照らして、ICH-GCPをはじめとする国際的なガイドラインが存在する。しかしながら、それらは個々の研究に焦点を当てたものであり、世界各地で行われる研究全体を俯瞰して、不公平や重複、非効率を是正し、もって世界全体の健康福祉を増進させようという視点はない。

こうした状況下、世界保健機関（WHO）は、世界保健総会の決議である WHA75.8（2022年5月）を受け、臨床試験の質を向上させるとともに、世界的な調整を促進することを目的に「臨床試験のベストプラクティス・ガイダンス」を発出した（2024年9月）。本ガイダンスでは、公衆衛生上の優先課題への対応が重視され、とりわけ、患者や地域社会の関与を試験の中心に据えること、取り上げられる機会の少ない集団（小児・妊婦・高齢者等）を対象とする試験を促進すること、リスクに応じた柔軟な研究管理手法を導入すること、発展途上国の医療ニーズに対応すること等について議論されている。また、臨床試験の計画と実施に科学性・倫理性の確保が不可欠な中、本ガイダンスでは、データの透明性、研究デザインの適切性、データ管理のあり方、結果の報告の透明性等を含め、現時点における臨床試験の課題についても深耕されている。

一方で、本ガイダンスでは、WHOが各国の保健業務の強化を支援することで研究開発（R&D）体制を強化し、安全で効果的な健康介入への迅速かつ公平なアクセスを促進すべきことが謳われている。実際、臨床試験は強固なR&D体制を確立する上で欠かせない要素であり、そのエコシステムを強化することによって、地域に適したエビデンスの創出、健康アウトカムの改善、医薬品アクセスの公平化、健康危機への迅速対応、経済成長や雇用創出等、様々な効果が期待される。加えて、本ガイダンスでは、各国の当局に対して、臨床試験を推進するために具体的な支援策を講ずべきことが言明されている点に注目したい。

以上、WHOとしては初となるこの臨床試験ガイダンスは、試験の質を向上させ、国際的な整合性を確保する上での最新の考え方を示すものであり、研究者・研究支援者・各国当局はこの内容を十分に考慮すべきである。本号では、本ガイダンスをそのまま日本語に訳

出しており、これを多くの日本の関係者にお読みいただくことで、グローバルな視点から見た臨床試験のあるべき姿と今後の方向性について見識を深めていただければ幸甚である。

また、本号では、医療経済評価における意思決定分析モデルの開発や、製薬医学分野における人材育成の現状と課題、ワクチンの安全性評価をめぐる議論等、医療技術やそれに関連する課題について多角的な視点から議論がなされている。

具体的には、ISPOR（国際医薬経済・アウトカム研究学会）日本部会とヘルスデータサイエンス学会が共催したシンポジウムの講演録が掲載され、個別患者のデータに基づく臨床予測モデルの構築や、それを意思決定分析モデルに組み込む手法が議論されている。また、近年、医療技術評価（HTA）がますます重視される中、こうした高度な解析手法の開発や関連する意思決定分析モデルの強化は、より精密で質の高い医療の提供に寄与し、患者の治療選択肢の最適化を支援する役割を果たすであろう。

次に、製薬医学の分野においては、企業が関与する Medical Education の在り方や、高度専門人材のキャリア形成とウェルビーイングに関する調査結果の報告がある。医薬品開発における専門人材の育成と持続可能なキャリアパスの整備は、医療の質向上と革新の推進に不可欠であり、産業界とアカデミア、実地医療を跨ぐ課題として継続的な議論が必要である。

一方、ワクチンの安全性評価に関連して、科学的エビデンスに基づく評価の透明性や、社会的な情報提供の重要性が改めて認識される中、COVID-19パンデミックを契機にワクチンの効果と安全性に関する議論が活発化している。ワクチンに対する信頼性を確保するためには、科学的根拠に基づく情報発信が必要であり、本号では、深い洞察に基づく透明性ある議論が展開されている。

加えて、最近話題になった美容外科医による解剖セミナー事件が取り上げられているが、社会の信頼を維持しつつ医療と科学の発展を支える上で、私たちはこの問題を真摯に受け止める必要がある。

以上、本号には、医学・医療分野における up-to-date な話題がいくつも掲載されており、多面的な観点から見識を深める場になるのではないかと。本号が読者各位に新たな知見とインスピレーションをもたらすことを祈念している。

永井 洋士
「臨床評価」編集委員