

5 拡大治験：企業の立場から

ひろはし ともこ
廣橋 朋子

ファイザー株式会社 クリニカルリサーチ統括部
オンコロジー領域部長

欧米では、「Expanded Access Program」あるいは「Compassionate use」制度として、代替治療薬の存在しない致死的な疾患等の治療のため、人道的見地から未承認薬の提供を行う制度が整備されていたが、一方日本ではCompassionate use制度の整備が長い間なされていなかった。本邦でも日本版Compassionate use制度の導入をめざし、平成25年度に「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」が発足し、パイロット試験などが実施されていた。その後、本制度は「人道的見地から実施される治験の実施（以下、拡大治験）」として整理されることが決まり、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、日本版Compassionate use制度の幕開けとなった。

ファイザー株式会社では、現在本通知に従った、癌患者さんを対象とした「拡大治験」の実施を決定し、現在も実施中である。拡大治験の実施に向けて、2014年のパイロット事業の実施の際から本社および日本支社で議論を行ってきたが、日本の保険制度の違いおよび欧米の「Expanded Access Program」制度の違いから、本拡大治験実施に際し、社内のSOPの整備を含め多く時間を要した。例えば、拡大治験の適応範囲（新規化合物VS適応拡大）、対象患者、実施方

法（企業治験VS医師主導治験、あるいは医師主導臨床研究）、治験のタイプ（国際共同EAP VS検証的治験の拡大コホートVS国内拡大治験の新たな立ち上げ）、評価項目の設定、施設選定、費用などである。また、拡大治験の実施は、治験下で実施する以上は人材配置の面で、他の新薬開発への影響も大きく、それは企業だけではなく医療機関においても同様の悩みである。

本制度発足により日本がCompassionate use制度の第一歩を踏み出したことは言うまでもない。しかし、実際に実施してみると多々課題が見えてきたもの事実である。今後より良いCompassionate use制度にするために、日本の制度にあった、日本の患者さんにとって最も良い制度に発展できるよう、弊社が経験した内容を共有し、産官学でさらに議論を進めていきたい。