

希少疾患に対する臨床試験デザインー検証とは何か？

2019年7月24日

京都府立医科大学生物統計学 手良向 聡

希少疾患に対する臨床試験のあり方、特に検証とは何かについて、最近の事例を基に考えてい。1つは、希少がんの検証的臨床試験の実施中に目標症例数を変更したという事例、もう1つは、小規模単群試験での成績に基づいてある再生医療製品が条件及び期限付承認を受けたが、効果の検証がなされていないのではないかと海外から批判を受けた事例である。また、再生医療製品に関する製造販売後承認条件評価計画についても触れたい。

参考資料

1. PMDA 科学委員会 希少がん対策専門部会. 希少がんの臨床開発を促進するための課題と提言 2017ーアカデミア及びレギュラトリーサイエンスの視点からー. 2017.11.
2. 第83回先進医療技術評価部会（平成31年3月14日）資料8
3. 第83回先進医療技術評価部会（平成31年4月17日）議事録
4. 厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課. ステミラック注審査結果報告書（平成30年11月21日）
5. Nature 565, 535-536, 2019.
6. Nature 565, 544-545, 2019.
7. Nature 569, 40, 2019.
8. 厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課. コラテジェン筋注用 4mg 審査結果報告書（平成31年2月20日）