

「試用する権利」は「患者の権利」か？

ランダム化比較試験（RCT）は、薬剤が有効で安全であるかどうかを最終的に判定するために必要な科学的な手続きである。それを根本から揺るがせる出来事が、2017年に始まっている。その前に医薬品の規制を今一度振り返る。

かつて世界的に起こったサリドマイド薬害を経て、1960年代以降、多くの国の規制当局は、RCTで有効性と安全性を確認して医薬品を承認する制度を作り、適用してきた。中でも米国は、RCTを二つ要求するなど厳しい規制をしてきた。ところが、1990年代になって科学技術の進歩により新規物質が続々と発見・発明され、医薬品として登場してきている。

降圧剤、コレステロール低下剤、血糖降下剤など新規薬剤は、それぞれ「数値を下げる作用」はあるが、重症高血圧に対して以外、寿命を延長する効果をRCTで示せなかった。そのため、心臓病や脳卒中を少なくするなど、個々の病気を減らすことがRCTで証明されれば、医薬品として認められてきた。しかもRCT一つで可とするなど、規制緩和が進められた。現在使われている医薬品の大半が、この手法で承認された物質である。

2000年以降に開発され、緩やかな手法で承認された薬剤、たとえば降圧剤のひとつアリスキレンは、心血管疾患死亡を増やすことがわかり欧州では健康保険対象から外された。コレステロール低下剤で開発が中断され

た薬剤も少なくない。2000年以降に承認された血糖降下剤は、心血管疾患を減少させることもできないために、米国では、擬薬（プラセボ）に劣っていないならばよし、とすることまで行われるようになった。しかし、さすがにこの方法をどの薬剤でも適用するには、大きな抵抗があるのであろう。

そこで考えられたのが、第I相を終えた未承認物質を患者が「試用する権利」法。米国で2017年8月に上院を通過し、2018年2月現在、下院で審議されている。未承認物質の試用によって被害が生じて、企業は責任を取らない。つまり「患者の権利」を前面にだした、企業の責任回避策である。

日本では、それを法律によらず、可能としてしまった。2017年10月20日の厚生労働省の課長通知「条件付き早期承認制度」により、承認後の観察研究による有効性・安全性確認を条件に少人数で早期に承認を得ることが可能になった。RCTによらない錬金術的「薬剤承認」手法の採用である。

「観察研究」が、ランダム化比較試験の代用にならないのは、火を見るより明らかである。ところが、「観察研究」を「リアルワールドデータ」と称して、「ランダム化比較試験は多数が必要だが、リアルワールドデータは少数で済む」と、ランダム化比較試験の代用に使う。この信じがたい論理で、この方法が推し進められようとしている。

このような暴挙は、決して許してはならない。