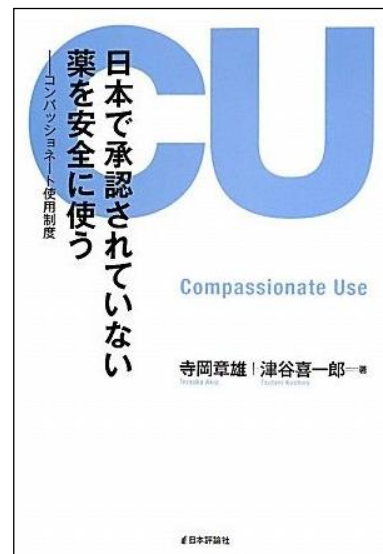


●井上さんの書籍紹介

「日本で承認されていない薬を安全に使う
ーコンパッションネート使用制度」
寺岡章雄 津谷喜一郎 著
日本評論社 2011年6月初版



はじめに

欧米で、テモダールという抗がん剤を用いて、悪性神経膠腫(脳にできるがん)の臨床試験(治験)が行われていた。2004年米国臨床腫瘍学会(ASCO)で、テモダールに放射線療法を併用した療法の有効性を調べた臨床試験の結果が報告された。放射線治療単独群と比較すると、増悪停止期間、生存期間中央値などすべて、併用群の方が優れていた。日本で承認されたのは、2006年である。

その間、日本では、どのようにして、このような未承認薬を入手していたか。医師、または、患者が、個人輸入代行会社に依頼し、「個人輸入」して用いる。この方法は薬事法で認められている。ただし、費用、安全性の問題などある。

あまり知られていないが、方法は個人輸入だけではない。欧米には、治験中の未承認薬を入手できる「未承認薬の人道的供給システム(コンパッションネート使用制度; CU (Compassionate Use) 制度)」が確立されており、それを利用する方法だ。コンパッションネートとは、「思いやりのある」という意味である。

実際、帝京大学医学部付属病院脳神経外科、藤巻高光医師は、FDA(米食品医薬品局)に申請し、CU制度を用いて、テモダールを入手されていた。1~2週間で入手可能な個人輸入と比べると、約2か月かかるのが問題だ。ただし、薬代は無料となり、通関手数料や運送費のみの数万円で入手できる。

この制度は、名称、内容は様々だが、アメリカ(1987年法制化)だけでなく、EU(欧州連合)加盟国すべてにもある。隣国韓国にも、2002年できた。

私は、本書により初めて、この制度を知り、日本も早急に、創設が必要だと痛感した。よって今回は、本書を紹介する。

著者の紹介

寺岡章雄 1995年(株)武田薬品工業退社。2010年京都大学医学部大学院卒業。日本社会薬学会常任幹事。
津谷喜一郎 1983年東京医科歯科大学大学院修了。現在、東京大学医薬政策学特任教授。

本書の内容・まとめ

がんなど命を脅かされる疾患に罹患し、他に治療手段がない患者が、自分の命を救うかもしれない開発段階の薬を試したいという要望を強くもつのは自然なことである。それと同時に、それらの新薬の副作用に心配を抱くのも自然なことである。新薬なら何でもいいというのではなく、安全性・有効性などについて専門家によってその時点で可能な評価がなされ、そうした情報をもとに、できるうるかぎり確かなものにアクセス(近づく、入手)できるよう願っているのが、患者の真の願いと考えている、と著者は述べている。

これを解決する方法として、よく「承認の迅速化」といわれるが、イレッサの事案をみるとわかるように、

「早い承認」と「安全性の確保」は相反する。安全性の確保には、「臨床試験を正確に行う」ことが必要となる。だったら、上記の患者の願いをかなえるには、どのようにしたらよいのか。それは、「CU 制度」を導入することだ、と著者は主張する。

著者は、CU 制度を「命を脅かされる、ないし衰弱性の重篤な疾患に罹患して、ほかに治療手段のない患者が、人道的見地から公的な例外的措置として、一定のルールのもとで未承認薬にアクセスできる制度」、また未承認薬が国内で治験中の場合は、これに、「臨床試験に参加できない場合に」の前提条件が加わる、とまとめている。(薬理と治療 38(2). 2010 より引用)

本書には、世界各国の現状の報告と、日本の CU 制度創設への提言がまとめられている。今回、日本について、簡単に紹介する。

日本には公的な CU 制度は存在しない。しかし、生命を脅かし他に代替する治療手段がない疾患に対して、人道的観点から未承認薬の管理・供給が公的に行われてきている例もある。その一つがエイズ治療薬である。(「限られた治療域で公的に行われてきた人道的供給」より)

1996 年、「HIV 感染症治療薬の開発促進に係る研究班(厚労省)」が組織化された。代表研究者が個人輸入した未承認薬を、担当医からの要請に応じて、治療研究のため無償で交付している。その担当医師は、登録される。薬剤と治療法についての情報は、インターネット上に公開されている。さらにそこには、賠償責任が生じた場合を想定して、医師賠償責任保険も紹介してある。

これらの経験をふまえ、2007 年 7 月、「有効で安全な医薬品を迅速に供給するための検討会(厚労省)」は、CU 制度の導入を検討するように提言した。「薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会(厚労省)」では、CU 制度の導入にふれ、「安易な導入によってかえって薬害を引き起こすことにならないよう、慎重な制度設計と検討が必要である」としている(2010 年 4 月)。しかし、具体的な方針には触れられていない。

他方、本書では、具体的に、提言している。タイトルだけを列記する。「制度の基本」「対象とする未承認薬」「対象とする患者」「患者指名タイプの CU の制度設計」「患者集団タイプの CU の制度設計」「安全性・有効性の可能なかぎり最大限の確保と患者保護、副作用被害の補償」「患者の自己負担の軽減」。(第 5 章 日本における CU 制度創設への七つの提言)

これらを踏まえ、著者は、「おわりに」で次のように述べている。

「医薬品は有効性と安全性を確認して販売承認されるまで長い時日を要する。それを待てない患者が未承認薬に公的なアクセスをできるようにする CU 制度は、社会にとって不可欠の制度である。日本は CU 制度について世界に遅れをとったが、後から進む者には先進例に学び、その経験・教訓を生かして短期間によりよい制度をつくれる利点がある。本書がそのことに役立てればと願っている。」

CU 制度をつくることは、国にしかできないが、つくるように働きかけることは、がん患者にもできる。日本にもこの制度ができ、一人でも多くのがん患者が満足できる治療を受けられるようになること、これが私の今年の願いである。

会員 井上 林太郎