

[Brief Report]

治験・臨床研究相談窓口への相談案件記録からみた アンメット・メディカル・ニーズの検討

Unmet Medical Needs Revealed from Consultation Cases with the Clinical Studies Consultation Service



川上 愛^{*1} 栞原 佳宏^{*1,*2} 上嶋 健治^{*1}

ABSTRACT

Background There have been almost no systematic reports that examined unmet medical needs based on the content of inquiries to the clinical studies consultation service.

Method From April 2018 to November 2020, among the inquiries received at the clinical studies consultation service of the Kyoto University Hospital, the number of clinical trial survey requests was totaled and the disease areas with high patient needs were examined.

Results During the study period, there were 123 survey requests regarding clinical trials that could be participated. Of these, the largest number of consultations was regarding cancer (60 cases, 49%). Other than that, there were 15 consultations (12%) regarding nervous system diseases. Among the consultations on cancer, the most common was diseases of the digestive system (25 cases, 42%). Among the consultation cases for which information on clinical trials that could be participated was not found, nervous system diseases were the most common.

Discussion The high proportion of cancer and nervous system diseases in the disease areas requested to be investigated in clinical trials was similar to the results of investigations by other methods in the past. Our study reaffirmed the high medical needs in these disease areas.

Conclusion To clarify the effectiveness of examining unmet medical needs from the survey contents of the consultation service should be followed by further examination.

(Jpn Pharmacol Ther 2022 ; 50 suppl 1 : s21-26)

KEY WORDS unmet medical needs, consultation service, information on clinical studies, eligibility, patient needs assessment

はじめに

アンメット・メディカル・ニーズは、いまだ満たされていない医療ニーズを意味する言葉であり、これにこたえる新たな医薬品や医療機器を開発することが製薬企業

等、医療開発分野の大きな使命である。適切な医療開発のためには、満たされない医療ニーズをいかにもらさず拾いあげていくか、その方法もまた重要であると考えられる。

アンメット・メディカル・ニーズについては、たとえ

^{*1}京都大学医学部附属病院 相談支援センター ^{*2}大阪国際がんセンター がん対策センター

Ai Kawakami^{*1}, Yoshihiro Kuwabara^{*1,*2}, Kenji Ueshima^{*1}: ^{*1}Center for Accessing Early Promising Treatment, Kyoto University Hospital, Kyoto, Japan; ^{*2}Cancer Control Center, Osaka International Cancer Institute, Osaka, Japan

ば公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団による調査結果¹⁾などが報告されているが、医療機関の相談窓口における相談案件に基づく系統的な報告はこれまで確認できない。わずかに服部らが臨床研究被験者のための相談窓口に関する実態調査の一環として、窓口での相談内容に関連する疾患に関するアンケート結果について述べており、がんに関するものが中心であったと報告されているが、詳細は不明である²⁾。

京都大学医学部附属病院相談支援センター（以下、当センター）は、特定機能病院・臨床研究中核病院である京都大学医学部附属病院（以下、京大病院）が、質の高い臨床研究・治験を推進する一環として、治験・臨床研究に関する患者からの問い合わせ対応を適切に行うために2018年4月に開設された。当センターでは治験・臨床研究一般に関する相談対応を行っているが、そのなかでも特に、保険診療範囲内の治療で改善が見込めないような状態の患者の治療の選択肢として、国内で実施中の治験や臨床研究などに関する情報提供等を行っている。なお、当センターでは相談対応の対象は、京大病院通院中の患者に限定していない。電話・メール・webページの問い合わせフォーム等を活用しており、日本全国・海外も含めた広い範囲から問い合わせを受けている。

治験・臨床研究などに関する調査依頼とは、すなわち既存治療・保険承認範囲内の治療にて治癒が見込めない患者のニーズを反映しており、この調査依頼の内容を吟味することは、アンメット・メディカル・ニーズを評価するひとつの手法と考えられる。そこで、2018年4月～2020年11月の期間中の当センターへ問い合わせのうち治験・臨床研究の調査依頼のあった相談を集計し、患者ニーズの高い疾患領域等に関する検討を行った結果について報告する。

相談案件の集計に当たっては、疾患種別の標準的な分類として国際疾病分類第10版（以下、ICD-10）を用いた。

対象と方法

1 対 象

2018年4月～2020年11月に当センターに治験・臨床研究の調査依頼のあった相談案件を集計の対象とした。

2 方 法

上記相談案件のうち、参加可能な治験・臨床研究の調査依頼のあった相談案件において対象となった疾病について、国際疾病分類第10版（以下、ICD-10）に基づいて分類した。

治験・臨床研究の調査は、当センターで相談受領時に収集した範囲の患者情報を公開データベースの治験・臨床研究の情報（適格基準等）と照合、参加可能性が除外されないと判断した治験・臨床研究をリストアップするというかたちで行った。相談者にはリストアップされた治験・臨床研究の治療内容や実施医療機関などに関する情報を提供し、実施医療機関への問い合わせや受診など、以後の対応は相談者に委ねた。

結 果

1 当センターへの治験・臨床研究の調査依頼について

当センターでは2018年4月～2020年11月の期間に、118人の相談者から治験・臨床研究の調査依頼を受領した。複数の疾患の調査依頼をする相談者もいたため、調査依頼の対象となった疾病は合計123件であり、これをICD-10に基づき分類を行った（表1-1）。新生物（腫瘍）（ICD-10コード：C00-D48、以下「がん」と表記）についての調査依頼が60件、それ以外の疾患についての依頼が63件で、約半数の調査依頼ががんに関するものであった。当センターの調査で、参加可能性が除外されないと判断した治験・臨床研究の情報を入手できたのは89件であった。34件については、参加可能性が除外されないと判断できる治験・臨床研究の情報を得ることができず、当センターから情報提供することができなかった。情報提供できなかったものは、多い順に、神経系の疾患が9件（26%）、がんが6件（18%）、循環器系の疾患が5件（15%）であった。

そのうち、がんについてICD-10コードの中分類・小分類に基づき集計したものを表1-2に示した。消化器の悪性新生物の調査依頼が最も多く（42%）、次いで呼吸器および胸腔内臓器の悪性新生物（10%）、中皮および軟部組織の悪性新生物（10%）の順であった。治験等に関する情報提供ができなかったのは60件中6件（10%）であった。

また、がん以外の疾患について大分類・中分類に基づいた集計を表1-3に示した。神経系の疾患の調査依頼が多く（24%）、次いで筋骨格系および結合組織の疾患（14%）、眼および付属器の疾患（13%）の順であった。治験等に関する情報提供ができなかったのは63件中28件（44.4%）であった。

考 察

当センターへの治験・臨床研究の調査依頼のうち、がんに関する問い合わせは全体の半数を占めており、標準

表 1-1 京都大学医学部附属病院相談支援センターへの治験・臨床研究の調査依頼件数
(ICD10 国際疾病分類第 10 版に基づく)

分類	ICD コード	件数	情報提供可	情報提供できず
感染症及び寄生虫症	A00-B99	0	0	0
新生物＜腫瘍＞	C00-D48	60	54	6
血液及び造血器の疾患並びに免疫機構の障害	D50-D89	0	0	0
内分泌、栄養及び代謝疾患	E00-E90	0	0	0
精神及び行動の障害	F00-F99	2	2	0
神経系の疾患	G00-G99	15	6	9
眼及び付属器の疾患	H00-H59	8	4	4
耳及び乳様突起の疾患	H60-H95	4	1	3
循環器系の疾患	I00-I99	7	2	5
呼吸器系の疾患	J00-J99	1	0	1
消化器系の疾患	K00-K93	2	2	0
皮膚及び皮下組織の疾患	L00-L99	4	4	0
筋骨格系及び結合組織の疾患	M00-M99	9	6	3
尿路性器系の疾患	N00-N99	0	0	0
妊娠、分娩及び産じょく＜褥＞	O00-O99	0	0	0
周産期に発生した病態	P00-P96	0	0	0
先天奇形、変形及び染色体異常	Q00-Q99	1	1	0
症状、徴候及び異常臨床所見・異常検査所見で他に分類されないもの	R00-R99	3	3	0
損傷、中毒及びその他の外因の影響	S00-T98	7	4	3
傷病及び死亡の外因	V01-Y98	0	0	0
健康状態に影響を及ぼす要因及び保健サービスの利用	Z00-Z99	0	0	0
特殊目的用コード	U00-U99	0	0	0
合計		123	89	34

治療がなくなり次の治療を求める患者が治験・臨床研究への参加をひとつの選択肢として視野に入れ、治験薬の有効性を期待していることが推測される。このことは、相談窓口への相談内容においてがんに関する研究の相談が大多数を占めていたとする服部らの報告²⁾とも矛盾しない。

また、治験・臨床研究の情報提供が可能であった問い合わせの割合も、がん (C00-D48) にあつては 60 件中 54 件 (90%)、それ以外では 63 件中 35 件 (55.6%) と、がん領域において高い結果であった。

実際、公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団 (以下、HS 財団) による医療ニーズに関する調査結果¹⁾をもとに、新薬の承認および開発パイプラインに関するデータを集計し、アンメット・メディカル・ニーズに対する製薬企業の取り組み状況を継続的に分析した報告³⁾では、製薬会社 20 社の 2020 年 8 月末日時点における国内開発品目 (フェーズ 1~申請中) を対象とした集計がされている。該当の開発品目数は 284 件で、そのうち新規有効成分 (NME) の数は 122 件 (43%) で、60 疾患開発品目数におけるがん疾患の開発品目割合が非常に高

表 1-2 京都大学医学部附属病院相談支援センターへの治験・臨床研究の調査依頼のうち新生物＜腫瘍＞(C00-D48) 領域の疾患に関する問い合わせ

中分類	件数 (%)	細分類	件数	情報提供できず
口唇, 口腔及び咽頭の悪性新生物＜腫瘍＞ C00-C14	2 (3%)	耳下腺の悪性新生物＜腫瘍＞ C07	2	0
消化器の悪性新生物＜腫瘍＞ C15-C26	25 (42%)	食道の悪性新生物＜腫瘍＞ C15	2	0
		胃の悪性新生物＜腫瘍＞ C16	1	0
		小腸の悪性新生物＜腫瘍＞ C17	3	0
		結腸の悪性新生物＜腫瘍＞ C18	1	0
		直腸の悪性新生物＜腫瘍＞ C20	1	0
		肝及び肝内胆管の悪性新生物＜腫瘍＞ C22	5	1
		胆のう＜囊＞の悪性新生物＜腫瘍＞ C23	1	0
		その他及び部位不明の胆道の悪性新生物＜腫瘍＞ C24	4	0
		膵の悪性新生物＜腫瘍＞ C25	7	0
呼吸器及び胸腔内臓器の悪性新生物＜腫瘍＞ C30-C39	6 (10%)	気管支及び肺の悪性新生物＜腫瘍＞ C34	5	0
		胸腺の悪性新生物＜腫瘍＞ C37	1	0
皮膚の黒色腫及びその他の皮膚の悪性新生物＜腫瘍＞ C43-C44	2 (3%)	皮膚のその他の悪性新生物＜腫瘍＞ C44	2	0
中皮及び軟部組織の悪性新生物＜腫瘍＞ C45-C49	6 (10%)	中皮腫 C45	1	0
		その他の結合組織及び軟部組織の悪性新生物＜腫瘍＞ C49	5	2
乳房の悪性新生物＜腫瘍＞ C50	2 (3%)	乳房の悪性新生物＜腫瘍＞ C50	2	0
女性生殖器の悪性新生物＜腫瘍＞ C51-C58	5 (8%)	子宮頸部の悪性新生物＜腫瘍＞ C53	3	0
		卵巣の悪性新生物＜腫瘍＞ C56	2	0
男性生殖器の悪性新生物＜腫瘍＞ C60-C63	1 (2%)	前立腺の悪性新生物＜腫瘍＞ C61	1	0
腎尿路の悪性新生物＜腫瘍＞ C64-C68	1 (2%)	膀胱の悪性新生物＜腫瘍＞ C67	1	0
眼, 脳及びその他の中枢神経系の部位の悪性新生物＜腫瘍＞ C69-C72	3 (5%)	脳の悪性新生物＜腫瘍＞ C71	3	2
甲状腺及びその他の内分泌腺の悪性新生物＜腫瘍＞ C73-C75	2 (3%)	甲状腺の悪性新生物＜腫瘍＞ C73	1	0
		副腎の悪性新生物＜腫瘍＞ C74	1	0
部位不明確, 続発部位及び部位不明の悪性新生物＜腫瘍＞ C76-C80	2 (3%)	悪性新生物＜腫瘍＞, 部位が明示されていないもの C80	2	1
リンパ組織, 造血組織及び関連組織の悪性新生物＜腫瘍＞, 原発と記載された又は推定されたもの C81-C96	1 (2%)	非ホジキン＜non-Hodgkin＞リンパ腫のその他及び詳細不明の型 C85	1	0
性状不詳又は不明の新生物＜腫瘍＞ D37-D48	2 (3%)	脳及び中枢神経系の性状不詳又は不明の新生物＜腫瘍＞ D43	2	0
合計			60	6

表 1-3 京都大学医学部附属病院相談支援センターへの治験・臨床研究の調査依頼のうち新生物く腫瘍>(C00-D48)以外の領域の疾患に関する問い合わせ

大分類	件数（％）	中分類	件数	情報提供できず
精神及び行動の障害　F00-F99	2（3％）	統合失調症，統合失調症型障害及び妄想性障害　F20-F29	1	0
		気分〔感情〕障害　F30-F39	1	0
神経系の疾患　G00-G99	15（24％）	主に中枢神経系を障害する系統萎縮症　G10-G14	3	1
		錐体外路障害及び異常運動　G20-G26	4	1
		神経系のその他の変性疾患　G30-G32	3	2
		多発（性）ニューロパチ＜シ＞ー及びその他の末梢神経系の障害　G60-G64	1	1
		神経筋接合部及び筋の疾患　G70-G73	2	2
		脳性麻痺及びその他の麻痺性症候群　G80-G83	1	1
		神経系のその他の障害　G90-G99	1	1
眼及び付属器の疾患　H00-H59	8（13％）	脈絡膜及び網膜の障害　H30-H36	7	4
		緑内障　H40-H42	1	0
耳及び乳様突起の疾患　H60-H95	4（6％）	耳のその他の障害　H90-H95	4	3
循環器系の疾患　I00-I99	7（11％）	脳血管疾患　I60-I69	4	4
		動脈，細動脈及び毛細血管の疾患　I70-I79	3	1
呼吸器系の疾患　J00-J99	1（2％）	慢性下気道疾患　J40-J47	1	1
消化器系の疾患　K00-K93	2（3％）	口腔，唾液腺及び顎の疾患　K00-K14	1	0
		胆のう＜嚢＞，胆管及び膵の障害　K80-K87	1	0
皮膚及び皮下組織の疾患　L00-L99	4（6％）	皮膚炎及び湿疹　L20-L30	2	0
		皮膚付属器の障害　L60-L75	1	0
		皮膚及び皮下組織のその他の障害　L80-L99	1	0
筋骨格系及び結合組織の疾患　M00-M99	9（14％）	関節障害　M00-M25	1	0
		全身性結合組織障害　M30-M36	1	0
		脊柱障害　M40-M54	3	0
		軟部組織障害　M60-M79	2	1
		骨障害及び軟骨障害　M80-M94	2	2
先天奇形，変形及び染色体異常　Q00-Q99	1（2％）	筋骨格系の先天奇形及び変形　Q65-Q79	1	0
症状，徴候及び異常臨床所見・異常検査所見で他に分類されないもの　R00-R99	3（5％）	消化器系及び腹部に関する症状及び徴候　R10-R19	1	0
		皮膚及び皮下組織に関する症状及び徴候　R20-R23	1	0
		認識，知覚，情緒状態及び行動に関する症状及び徴候　R40-R46	1	0
損傷，中毒及びその他の外因の影響　S00-T98	7（11％）	頸部損傷　S10-S19	1	0
		腹部，下背部，腰椎及び骨盤部の損傷　S30-S39	1	1
		部位不明の体幹もしくは（四）肢の損傷又は部位不明の損傷　T08-T14	3	1
		薬用を主としない物質の毒作用　T51-T65	1	1
		外因のその他及び詳細不明の作用　T66-T78	1	0
合計			63	28

く、その割合は50% (143/284) であったと報告している。われわれのデータと合わせ、がん患者を対象とした治験等ががん以外の疾患と比較しても活発に行われており、製薬会社が患者の期待にこたえるべく取り組んでいることが示されていると解釈することもできる。

一方で、当センターから相談者へ治験・臨床研究の情報提供ができなかった問い合わせもあり、そのなかでも神経系の疾患が26%、がんが18%と多かった。HS財団の報告での2019年度の総合内科専門医を対象としたアンケート調査によると、新たな治療法や治療薬の開発が急務と考えられる疾患として中枢・神経系(27.0%)および新生物(15.6%)が上位を占めていた¹⁾。神経系の疾患は、いまだ原因が解明されていなく根治的な治療がないものもあること、患者数が多いこと、患者のQOLの低下、患者の介護の負担などが問題になると考えられる。今回の当センターの集計とHS財団の報告から、患者側も医療側も神経系の疾患に対する新たな治療法や治療薬の開発ニーズを認識しながら、まだ十分に満たされていない現状が再確認されたと解釈でき、こういったアンメット・メディカル・ニーズにこたえていく必要があると考えられる。

結 論

当センターへの治験・臨床研究の調査依頼においてはがんに関するものが多く、また治験等の情報提供ができなかった疾患としては神経系疾患が主たるものであった。これらの疾患領域は、患者ニーズの高いアンメット・メディカル・ニーズと考えられるが、これは過去の別形態での調査内容とも類似しており、その重要性が改めて裏付けられた。

相談窓口での相談案件に基づくアンメット・メディカル・ニーズ調査の意義については、今後継続的に検討を行う必要があると考える。

文 献

- 1) 公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団. 令和2年度(2020年度)国内基盤技術調査報告書「60疾患に関する医療ニーズ調査(第6回)」【分析編】
- 2) 服部佐和子, 會澤久仁子, 山本晴子ほか. 「臨床研究・治験活性化5か年計画2012」における臨床研究被験者のための相談窓口に関する実態調査. 臨床薬理 2018; 49 (3): 127-34.
- 3) 中尾朗. 目で見える製薬産業 アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発状況—2020年の動向—. 政策研ニュース No. 61 2020年11月.