

## Letters to the Editor

### To the Editor

#### Compassionate use (CU) 論文に関する 腫瘍内科医の感想と今後への期待

2024年11月号の寺岡・津谷による compassionate use (CU) に関する論文<sup>1)</sup>は、患者数(約100万人、出典：がん情報サービス)と疾病の性格の2つの観点から、がん治療において大きな意味を持ちます。たとえば免疫チェックポイント阻害薬は多くのがん治療医にとって「革新的」であり、一刻も早く目の前の患者に使ってあげたいという“compassionate”な心が芽生えます。一方、副作用のケアである支持療法が必須です。

これまで「がん難民」を多く診てきた経験から、死へ向かう悲壮な状況では、日本で開発すら開始されていなくても欧米ですでに使われている、あるいは第1相試験が終了している薬剤を、患者が希望すれば、米国のように使える特別な枠組みがあれば、患者にとって福音となるでしょう。「がん難民」を減らすことにつながり、高額で無効な怪しい治療に患者が迷い込むことを防ぐ効果もあるでしょう。一方、終末期のがん患者のケアには、こうした薬剤承認とは別の「スピリチュアル・ケア」が必須です。残された生命をどう生きるかという人生の根本に関わるからです。治療薬を追い求める「薬剤ハンター」へと患者を追いやるような方向性には反対です。

米国の Right to Try 法はいかにも個人の権利を重視する国らしいですが、米国以外とはかなり異なります。CU 論文では英国から始まり、各国の CU に関する状況が記述されています。日本は米国とも欧州とも異なる国民性・文化を持っているので、それらが反映された制度を作るべきです。CU に世界共通の定義がないのは議論を進める上で問題です。がん治療薬や支持療法薬については、米国臨床腫瘍学会 (ASCO)、欧州臨床腫瘍学会 (ESMO)、国際がんサポーターティブケア学会 (MASCC) などが協働して、世界共通の定義を決定すべきです。

治験途上にある薬剤を診療に使うことは研究倫理上の懸念があり、また、安全性が問題になる場合があるでしょうが、これらは共同意思決定 (shared decision making: SDM) により解決できると思われるます。

筆者に本稿に関する利益相反はありません。

福井県済生会病院内科部長・集学的がん診療センター顧問  
金沢医科大学名誉教授、米国内科学会最高荣誉会員  
元雄 良治 Yoshiharu Motoo, MD, PhD, MACP

### 文 献

- 1) 寺岡章雄, 津谷喜一郎. 日本の「ドラッグ・ロス」に「未承認薬のコンパッションエート使用」(CU)をつかう: CU 目標の具体化を目指した経緯と成果が薬事規制面での対応に有用. 薬理と治療 2024; 52 (11): 1283-301.

### In Reply, to the Editor

このたびは腫瘍内科医の立場からの貴重なご意見をいただき感謝いたします。CU がその目標の具体化を目指した国際的な歴史的経緯においても、がん治療はそれらに関係する医学領域において中心的位置にあります。

元雄先生が述べられたように、日本は米国とも欧州とも異なる国民性・文化を持ち、それらが反映さ

れた制度を作るべきであり、また CU に世界共通の定義がないのは議論を進める上で問題であり、複数の国際的な学会などが協働して世界共通の定義を決定すべきである、との指摘に、とりわけ共感いたしました。

臨床試験は 1990 年に始まる ICH (医薬品規制調和国際会議)<sup>1)</sup>により米国・欧州・日本などの地域を越えて実施されるにもかかわらず、国際的に CU を定義する努力がなされなかったことが、現在に繋

がる混乱をもたらした大きな一因となっています。がん治療分野などに限定してでも、CUの国際的な定義がなされることが、切に希望されます。

治験途上にある薬剤を診療に使うことは研究倫理上の懸念があり、また、安全性が前提と考え問題になる場合がありますが、これらはSDMにより解決できるであろうと述べられています。これも心強い提言です。

Hee SWら<sup>2)</sup>は100万人に1人未満の希少疾患であってもRCTが可能であることを示しています。日本においても、希少疾患レジストリの整備が進められています<sup>3,4)</sup>。がん患者は地域の基幹専門病院に集まっており、その地域での患者・医師関係も良好と期待できます。希少疾患であるからRCTは不可能というのは必ずしも正確ではないと考えられます。

今後 unmet medical needs を充足する 革新的新薬へのアクセスについて、CUの歴史的経験からの学びが活かされる議論が発展するよう願っております。ありがとうございました。

著者らの利益相反開示：この原稿内容に関連し特

に申告はありません。

<sup>1</sup> 公益財団法人生存科学研究所

<sup>1,2</sup> 元 東京大学大学院薬学系研究科医薬政策学

寺岡 章雄<sup>1</sup> 津谷 喜一郎<sup>1,2</sup>

## 文 献

- 1) ICH 医薬品規制調和国際会議  
<https://www.pmda.go.jp/int-activities/int-harmony/ich/0014.html> (accessed 2025.1.6)
- 2) Hee SW, Willis A, Tudur Smith C, et al. Does the low prevalence affect the sample size of interventional clinical trials of rare diseases? An analysis of data from the aggregate analysis of clinicaltrials.gov. *Orphanet J Rare Dis* 2017; 12 (1) : 44. doi: 10.1186/s13023-017-0597-1.
- 3) 山野嘉久. 難病領域におけるレジストリ活用の動向：難病プラットフォームについて. 第43回日本臨床薬理学会学術総会教育講演 (横浜, 2022.11.30)  
[https://www.jstage.jst.go.jp/article/jsptsuppl/43/0/43\\_1-C-EL01/\\_pdf/-char/ja](https://www.jstage.jst.go.jp/article/jsptsuppl/43/0/43_1-C-EL01/_pdf/-char/ja)
- 4) 国立がん研究センター中央病院. Overview. MASTER KEY project.  
<https://www.ncc.go.jp/jp/ncch/masterkeyproject/outline/overview/index.html> (accessed 2025.1.6)