

令和5年度 医師研修 WEB版

研究デザインの立案 ～PICOとFINER～

順天堂大学医学部附属順天堂医院
臨床研究・治験センター
出居 真由美



1

臨床試験の大原則

○被験者の保護 大前提
ヘルシンキ宣言を起源とし、人を対象とする全ての医薬品の臨床試験で遵守されなければならない。

○デザイン、計画、実施、解析及び報告への科学的なアプローチ
臨床試験は、目的を達成するために、理に適った**科学的な原則に従って、デザインされ、実施され、解析され、報告されるべきである。**

(ICH E8(R1)「臨床試験の一般指針」の改訂より抜粋)

【臨床研究法の基本理念】 (臨床研究法施行規則(平成30年厚生労働省令第17号)第二章第9条抜粋)
臨床研究は、臨床研究の**対象者の生命、健康及び人権を尊重し**、次に掲げる事項を基本理念として実施しなければならない。
一 **社会的及び学術的意義を有する臨床研究を実施すること**
二 **臨床研究の分野の特性に応じた科学的合理性を確保すること**

2

臨床試験のデザインの要素 ～科学的根拠に基づいた適切なデザイン～

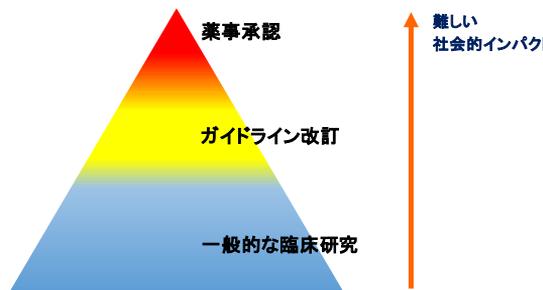
- 科学的疑問に答えるための、**明確に定義された試験目的**
- **適切な被験者の選択**
- ランダム化、盲検化、交絡の制御など**偏り(バイアス)の最小化**
- **明確に定義され、測定可能な、臨床的意義のある適切なエンドポイント**

(ICH E8(R1)「臨床試験の一般指針」の改訂)

3

研究開始前の確認事項

研究のポジショニングを確認する

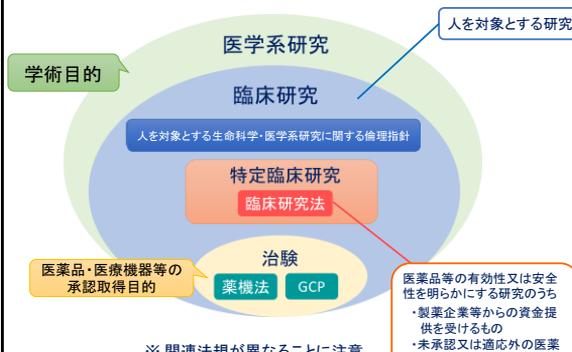


一般的な臨床研究
ガイドライン改訂
業事承認

↑
難しい社会的インパクト

4

臨床研究と治験



医学系研究 (人を対象とする研究)

臨床研究 (人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針)

特定臨床研究 (臨床研究法)

治験 (薬機法 GCP)

学術目的 (臨床研究)

医薬品・医療機器等の承認取得目的 (治験)

※ 関連法規が異なることに注意

医薬品等の有効性又は安全性を明らかにする研究のうち、製薬企業等からの資金提供を受けるもの・未承認又は適応外の医薬品等を用いるもの

5

医薬品開発の流れ

臨床研究(介入研究)においても同様の考え方ができる。



基礎研究 (医薬品の元となる新規物質の合成・発見) → 非臨床 (動物等を対象とした新規物質の有効性と安全性の確認) → 臨床試験(治験) (Ph1, Ph2, Ph3) → 承認申請 → 第IV相試験(製造後完了)に実施

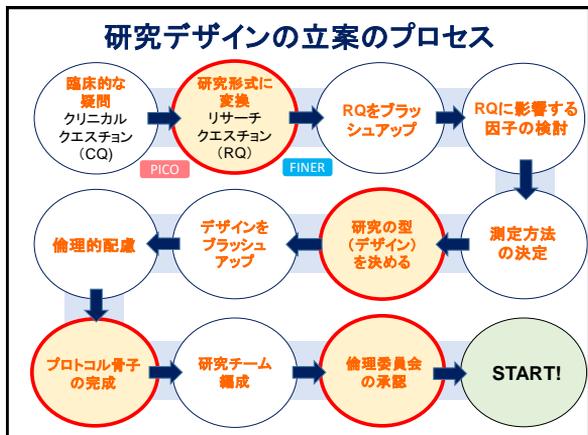
ヒトに対する有効性と安全性の評価

<臨床試験(治験)>
第I相: 通常、ヒト(健康人、又は疾患により患者)に対して治験薬をはじめ投与し、**安全性や薬物動態等を確認**することを目的とする(**臨床薬理試験**等)

第II相: 通常、患者における治療効果の探索を目的とする。
(前期) 臨床用量の範囲、適応疾患の範囲等を探索。(POC試験、実施しないこともある)
(後期) 適応となる少数の患者を対象に**至適用法・用量等を設定**する。(用量設定試験)

第III相: 適応となる多数の患者を対象に**至適用法・用量の確認、有効性・安全性の検証**を行うことを目的とする(**検証試験**)。長期投与を意図した医薬品については、長期投与時の安全性を確認する試験(長期投与試験)も実施される。

6



7

臨床的な疑問

クリニカルクエスチョン (CQ: Clinical Question)

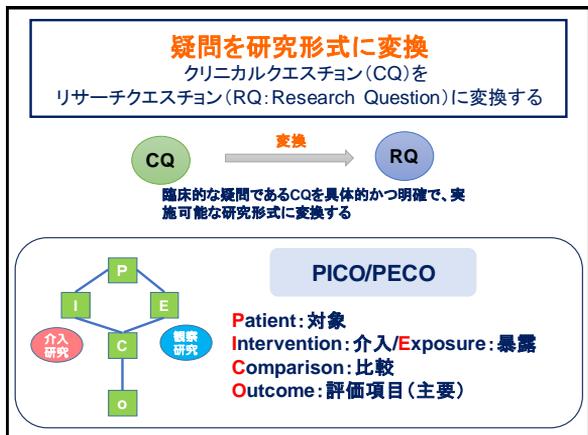
例1) 指定難病Xの患者には、治療薬Aが効くと思うんだよなあ
 例2) 疾患Yの患者には、運動療法が重要に違いない

コレがないと研究はできない、しかしコレではまだ研究はできない。

統計解析手法を駆使しても、不適切な研究計画・実施体制に基づいた研究データからは、優れた研究成果は生まれない。
“Garbage in, garbage out”

- × データを取ってから研究デザインを考える
- × 研究計画が明確でないのに研究をはじめ

8

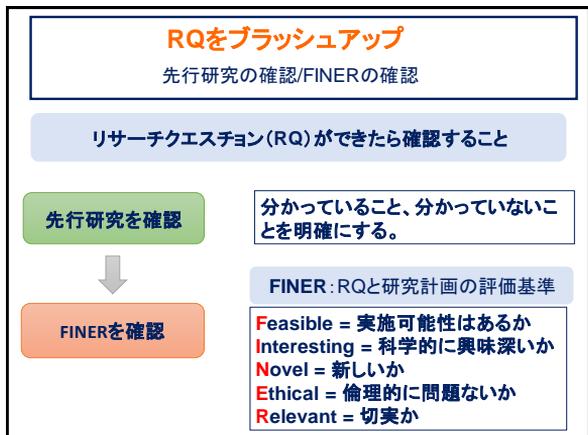


9

アウトカムの分類

	特徴	例
医療者視点	<ul style="list-style-type: none"> 客観的 一般的に測定可能 	<ul style="list-style-type: none"> 5年生存率 心血管イベント発生率 HbA1c変化量 入院日数
患者(家族の)視点	<ul style="list-style-type: none"> 主観的指標 確立されていない指標も存在 	<ul style="list-style-type: none"> 症状(痛み、かゆみ) QOL(SF36, EQ5D) 治療満足度
社会的視点	<ul style="list-style-type: none"> 医療経済・社会負担 	<ul style="list-style-type: none"> 医療費 疾患によって失われる社会的資源

10



11

FINER: RQと研究計画の評価のための基準

Feasible: 実施可能か

- 研究に費やせる期間
- 研究資金
- 症例数
- 施設数
- 研究実施体制

Interesting: 科学的に興味深いか

- 自分の目的と一致しているか
- 他の人の意見も聞いてみる

Novel: 新しいか

- どんなところが新しいか
- 類似した研究を十分に調査しているか

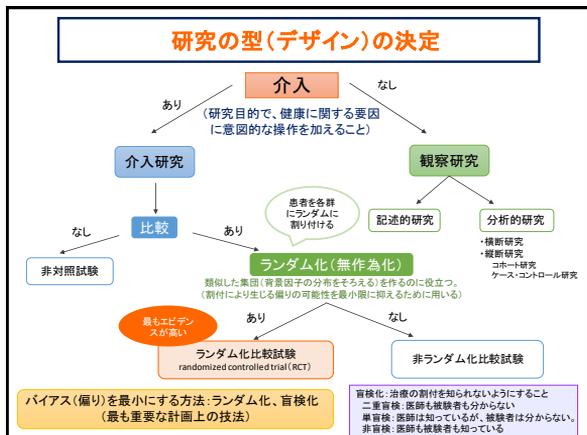
Ethical: 倫理的に問題ないか

- インフォームドコンセント
- 個人情報保護
- 利益相反(COI)
- 被験者保護

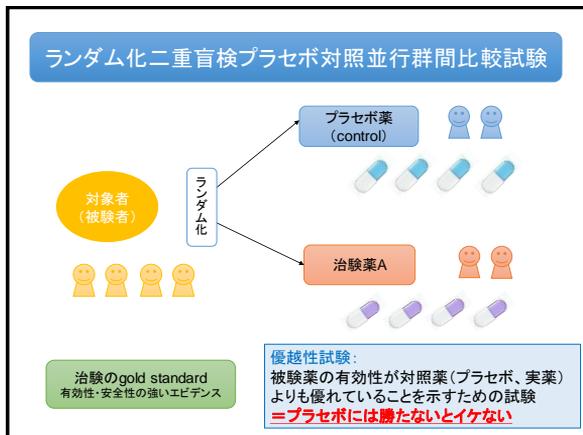
Relevant: 切実か

- 患者にとって重要な
- 社会的な必要性
- 医学の進歩に貢献
- 研究の発展性

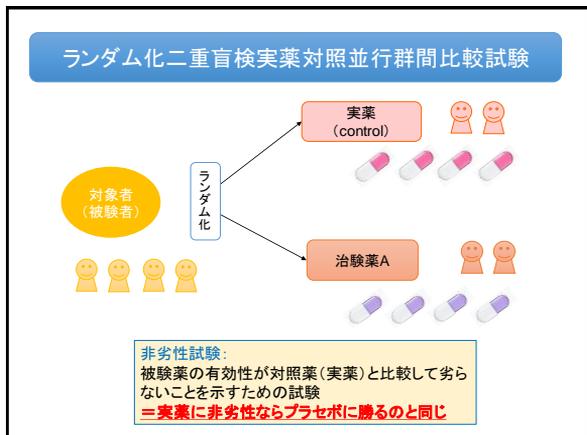
12



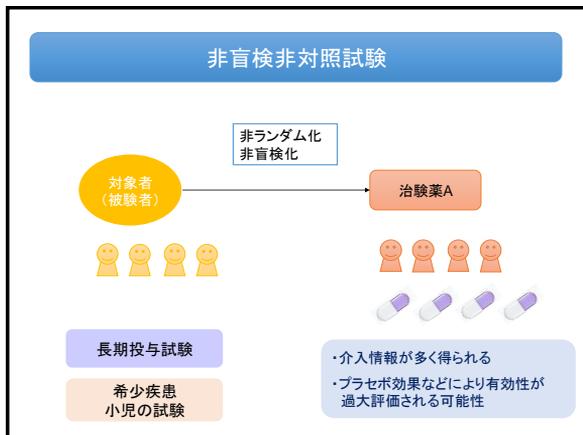
13



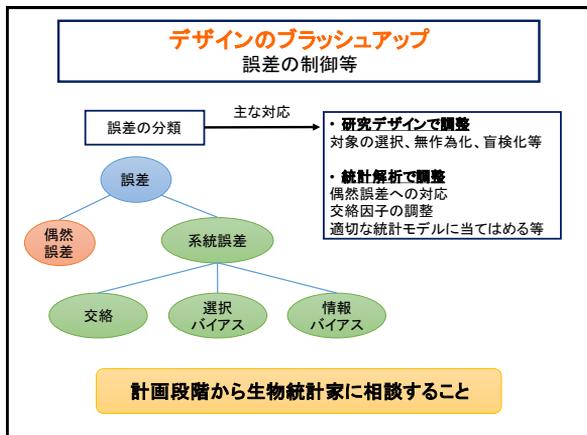
14



15



16



17

Summary

- 研究開始前に、研究の位置づけ及び関連法規について確認する必要がある。
- 研究計画を立案する際には研究目的を明確にすることが重要である。
- 臨床的な疑問(CQ)を研究形式(RQ)に変換するのに、PICOとFINERが有用である。

(参考文献)

- 臨床研究の道標 (福原俊一著、認定NPO法人 健康医療評価研究機構)
- ICH E8(R1)「臨床試験の一般指針」の改訂
- ICH E9「臨床試験のための統計的指針」
- PMDA、厚生労働省等ホームページ

18