

疾患レジストリを活用した臨床試験デザイン

群馬大学大学院保健学研究科 林 邦彦

1. はじめに

難病，希少疾患，医療機器などの領域では，疾患の重篤性や対象患者数の限界のために，適切な規模でのランダム化比較試験による治療法評価ができない。その場合，試験治療法のみ単群試験が実施されるが，比較対照群がないため結果の解釈は難しい。そこで，外部対照として他治療法での情報を得て比較しようとするが，事後的なデータ収集は極めて困難となる。このような領域の治療法開発では，典型的なランダム化比較試験の代替となる研究法を考えざるを得ないが，近年，患者レジストリを積極的に活用した研究が行われている。

2. 外部対照としての利用

患者レジストリ（患者コホート研究）は，従来から，疾患自然史の把握やヒストリカル外部対照として利用されてきた。近年は，比較可能性を増すために，単群試験が実施された同時期の患者レジストリ・データを外部対照として，観察研究で応用されている傾向スコアでの解析などから評価が行われている。そのため，上記の領域での単群試験では，その計画の段階から，外部対照となり得る患者レジストリと相応する観察測定項目や解析法を考慮しておくことも重要となる。

3. 患者レジストリ内臨床試験

また，最近では，従来の生理学的・臨床的な仮説を検証する検証的試験（confirmatory trial）に対して，現実社会（real-world）の臨床現場の状況に即したエビデンスを提供して，医療政策や臨床的意思決定に寄与するような実践的試験（pragmatic trial）の積極的な利用が提唱されている。この具体的な例のひとつが，患者レジストリ内でデザインする臨床試験であろう。いくつかの事例を紹介するとともに，患者レジストリを活用した臨床試験デザインについて議論する。