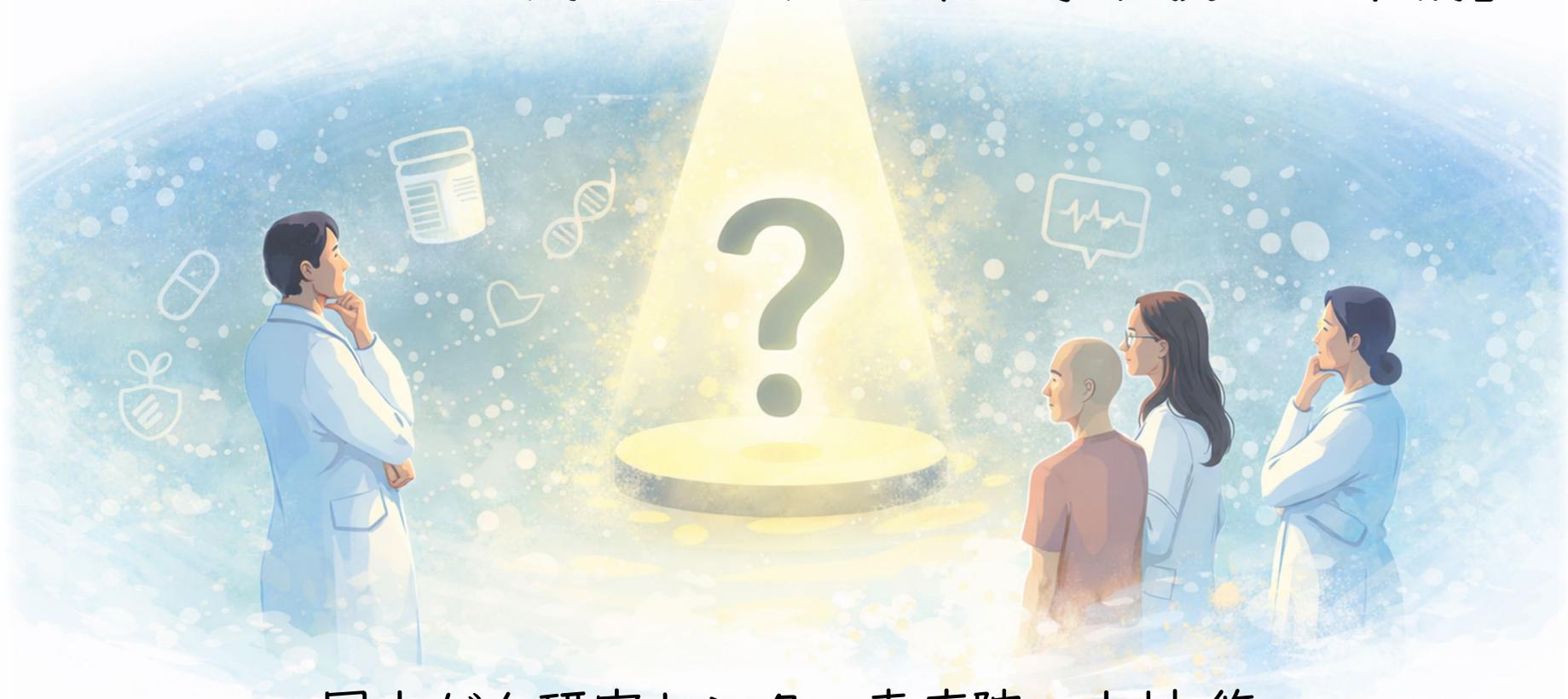


医師主導治験の準備① ～PPI・QMSの視点を含めて～

「その試験、なにを明らかにしたいんですか？」  
～PPIとQMSで問い直す、医師主導治験の「準備」



# 自己紹介

## 国立がん研究センター東病院 小村 悠

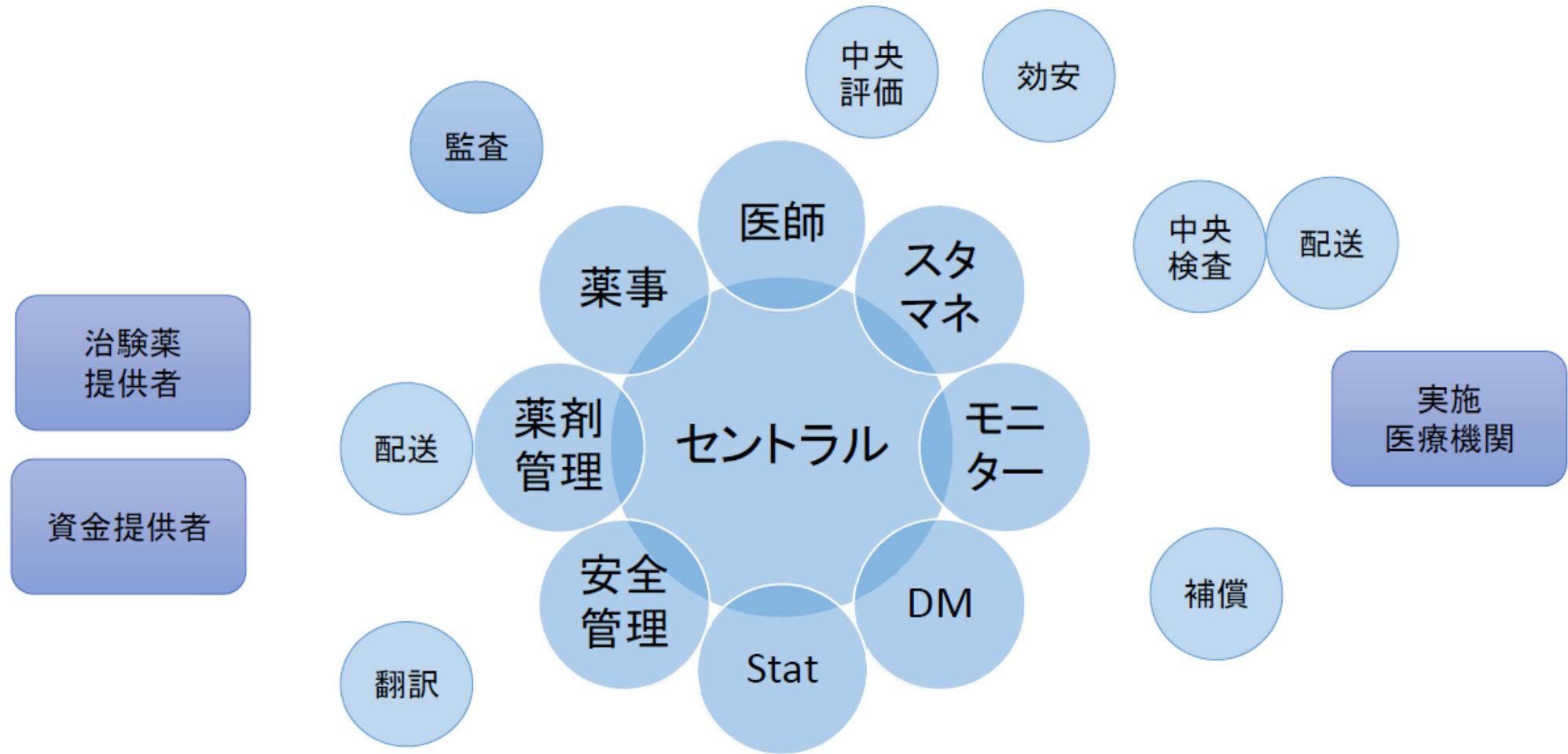
臨床研究支援部門 臨床研究企画部 **研究企画室**室長  
臨床研究支援部門 臨床研究推進部 **研究推進室**（併任）  
医薬品開発推進部門 医薬品開発推進部 **TR支援室**（併任）  
IRCA ISO9001 QMS準審査員  
患者・市民共創プラットフォーム「**Fairy's**」コミュニティマネージャー

### <所属する研究班>

- AMED臨床研究開発推進事業（医療技術実用化総合促進事業）  
「Risk-based approach（RBA）の実装に係る取組み」
- AMED令和7年度 研究開発推進ネットワーク事業  
「Quality by Designの実装とProportionalityを考慮した Risk-based approach の導入」
- 治験PM/QMSポケット資料集 QMS製作班

2023年版	
治験PM/QMS ポケット資料集	
① 現場で使える治験のプロジェクトマネジメント(概念) 007	
① はじめに..... 008	④ 医薬品開発と治験..... 035
② 治験の流れ..... 010	⑤ 治験におけるプロジェクトマネジメント..... 040
③ 治験の特徴..... 021	⑥ マネジメント対象..... 046
④ プロジェクトとは?..... 024	⑦ 治験(プロジェクト)チーム..... 054
⑤ プロジェクトマネジメント..... 027	⑧ その他資料..... 059
② 現場で使える治験のプロジェクトマネジメント(スコープ、時間、リスク) 061	
① はじめに..... 062	④ 治験におけるリスクのマネジメント..... 089
② 治験におけるスコープのマネジメント..... 064	⑤ その他のプロジェクトマネジメント手法..... 108
③ 治験におけるスケジュールのマネジメント..... 073	
③ チームで働くスキル 115	
① はじめに..... 116	
② チームで働くスキル..... 118	
③ プロジェクトのお悩みあるある①選..... 128	
④ 治験におけるQMSの概念とその要求事項 161	
① はじめに..... 162	⑥ 治験実施..... 199
② 品質マネジメントの原則..... 166	⑦ パフォーマンス評価..... 210
③ QMSの概念..... 170	⑧ 改善..... 213
④ プロジェクトの状況..... 181	⑨ 最後に..... 217
⑤ リーダーシップ..... 185	⑩ お役立ち情報..... 220
⑥ 計画段階..... 189	
⑦ 支援..... 194	
⑤ 付録資料	297
① 便利グッズ..... 298	③ 略語集..... 303
② 参考図書..... 302	④ その他の資料..... 304

# スタディマネジャーとは何者か



⇒ スタディマネジャーは「**専門職をつなげる専門職**」  
高度な専門家同士をつなげ、試験の全体構造を成立させる

# スタディマネジャーとは何者か



⇒ スタディマネジャーは「専門職をつなげる専門職」  
高度な専門家同士をつなげ、試験の全体構造を成立させる

# スタマネに必要な3つの目



## 鳥の目

- 試験全体の構造、GOAL、出口を俯瞰する
- この試験はどこへ向かっているのか
- 何をもって成功とするのかを見失わない



## 虫の目

- 手順、実装、現場運用、実行可能性を見る
- 「理論上できる」ではなく「現場で本当に回るか」を確認する



## 魚の目

- 状況の変化を見極め、臨機応変に柔軟に対応する
- 数年後にこの試験の位置づけがどう変わるかを想像する

# 最初にGOALを



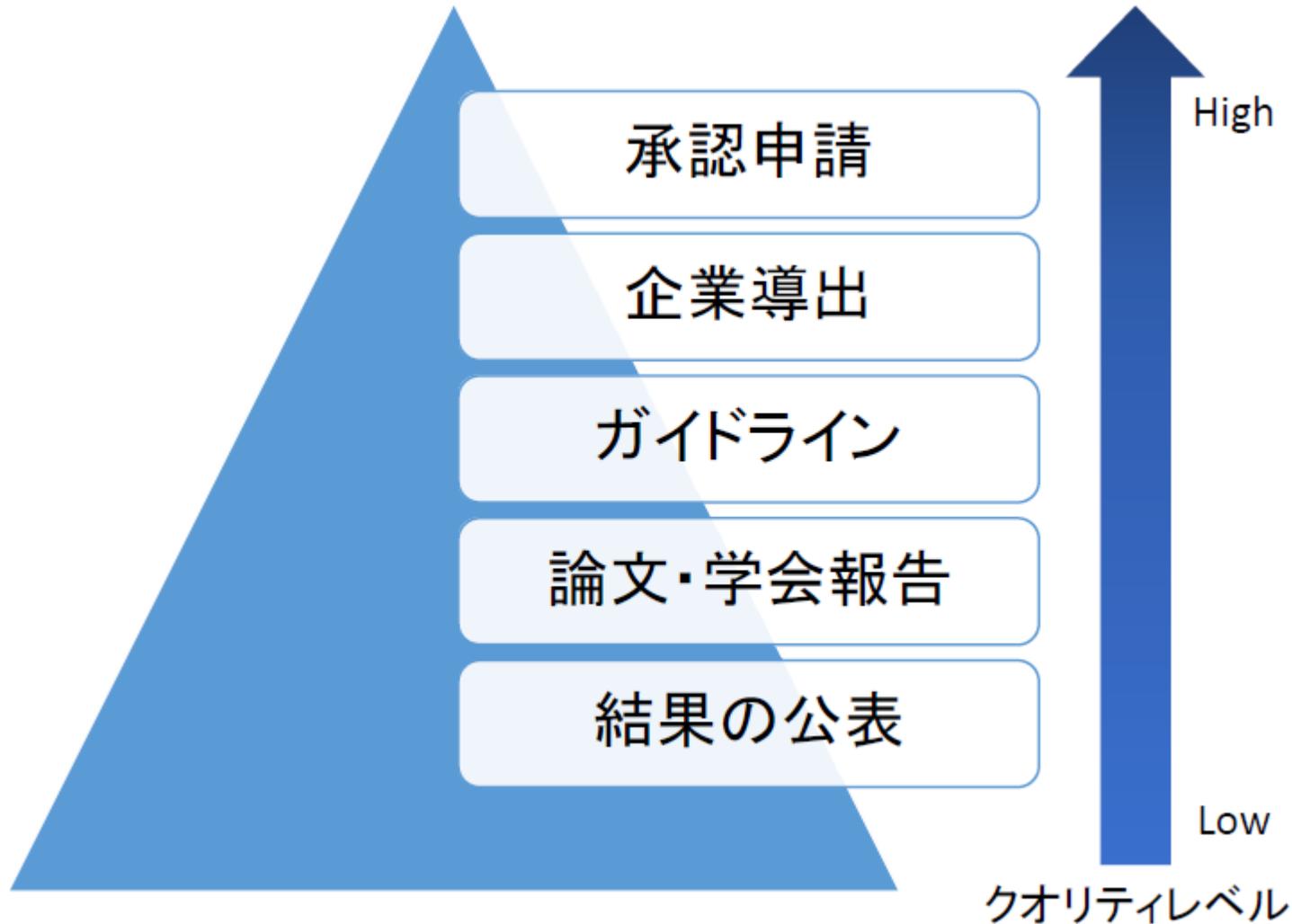
⇒ 医師主導治験では「やりたいこと」から始まりがち  
しかし「やりたいこと」と「到達すべきゴール」は別

# 試験のGOALとは

- 承認される
- 承認申請される
- 次相試験の実施
- 企業への導出
- ガイドラインに載る
- 論文に発表される
- 学会発表される
- 症例報告される
- 試験結果の公開（ネガティブデータも）



# 試験のGOALによって変わるもの



## GOALが曖昧なまま始まると

- 試験デザインが揺れる
- PMDA相談の論点が散らかる
- 品質マネジメントが過剰／不足になる
- 企業・AMED・社会からの評価軸が定まらない

⇒試験が「進んでいるのにどこにも近づかない」状態になる

専門家それぞれが見ている「正しさ」や「成功」は違う

スタディマネジャーは最初にゴールを言語化し、共有することで全体の判断軸をそろえる

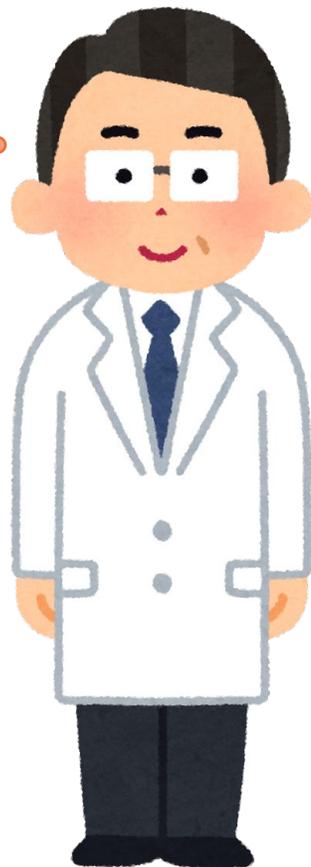
⇒Fitness for Purpose

# 試験立案からプロトコルができるまで



# 試験（プロジェクト）がはじまるとき…

新しい治療を  
提供したい！



医師主導試験を  
実施したい！

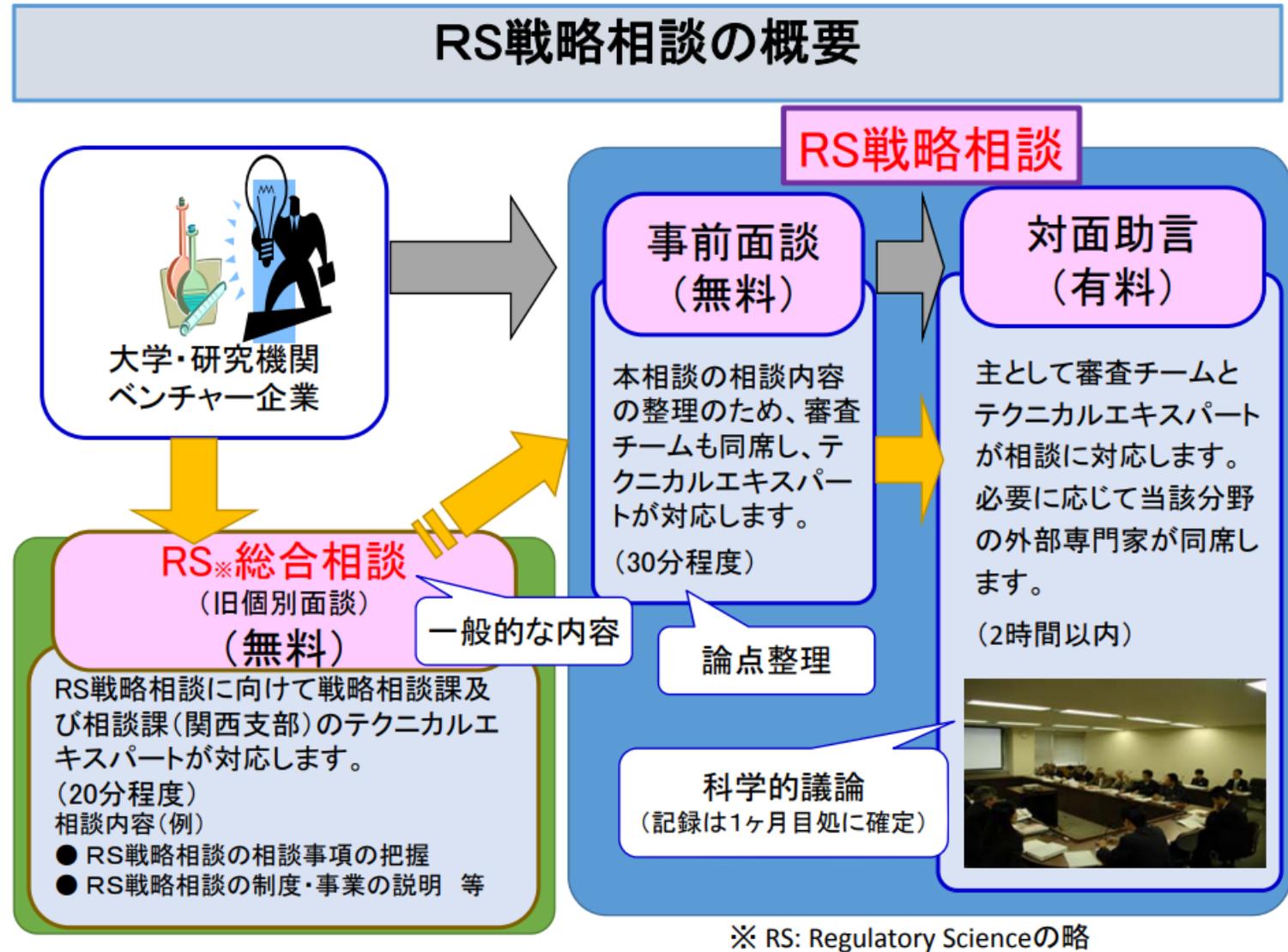
- 資金をどうする？
- 治験薬・治験機器の提供は受けられる？
- どんな試験を実施するか？
- 実施の根拠となるエビデンスは十分か？
- サポート体制は？

．．．．．相談してみよう！

# ヒアリング・ コンサルテー ション

- 試験の意義は？
  - 対象・治療は？新規性・インパクトは？
  - 試験にとっての脅威、リスクは？
- 資金をどうする？
  - 公的資金？企業資金？
- 治験薬・治験機器の提供は受けられる？
  - 企業の協力は得られるか？
    - 治験薬、安全性情報、資金
  - 申請に前向き？
- どんな試験を実施するか？
  - 試験デザインは適切か
  - 実施時期とタイムラインは？
- 実施体制は？
  - サポートは院内で実施orアウトソース
  - 実施施設、協力機関は？

# PMDA相談



RS戦略相談の概要、プロセス、手続きの流れ

<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/strategies/0003.html>

# プロトコール完成までの道のり (当院の場合)



科学的、倫理的、実施体制  
の観点から審査

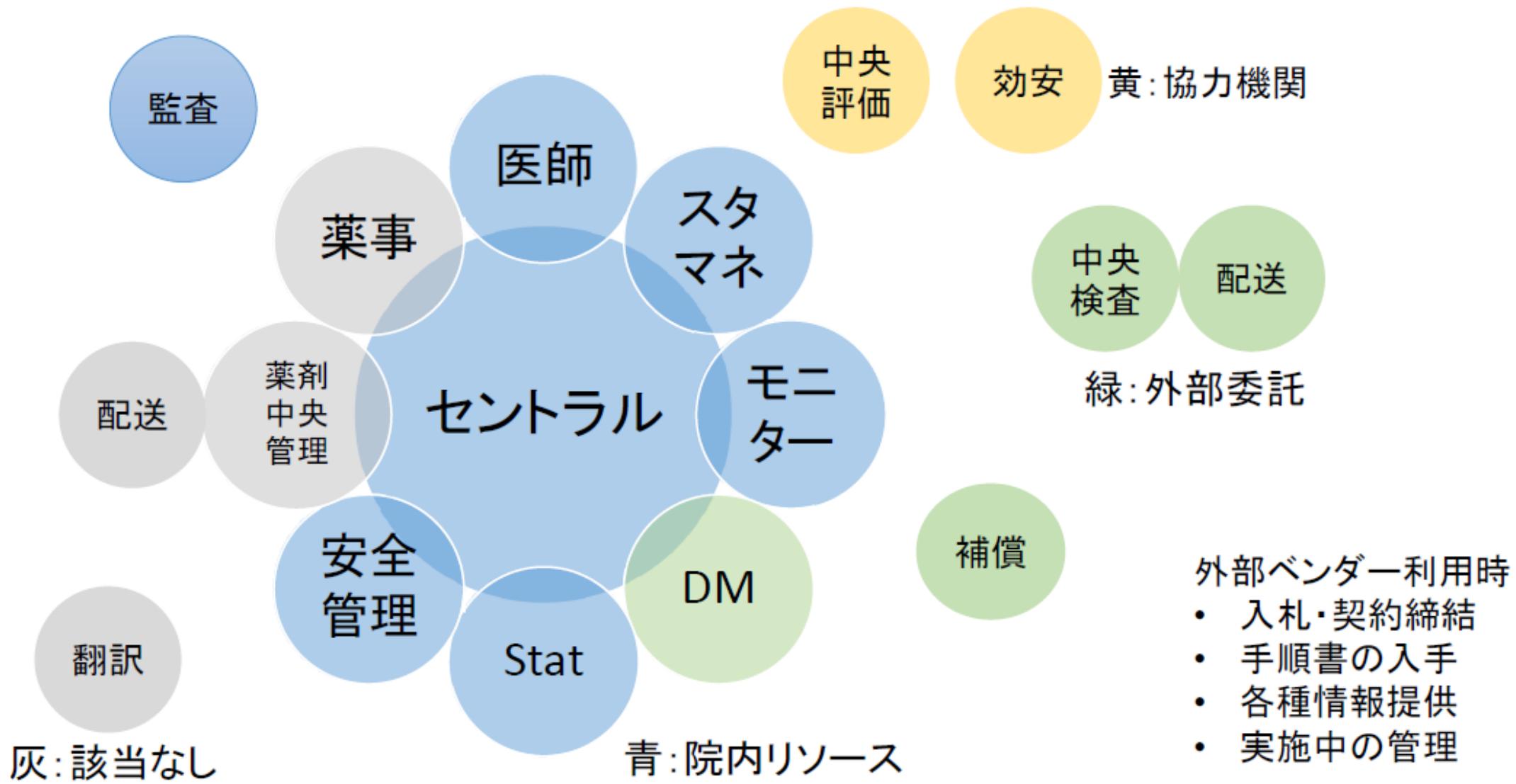
規制要件への適合、試験の品質、  
各担当者目線のレビュー

(薬事、スタディマネジャー、モ  
ニター、DM担当者、解析担当者、  
安全管理担当者、その他関係者)

# 試験開始までの準備



# 実施体制の確立



# 治験薬提供者との契約・協議

## • 治験薬

- 治験薬提供について：  
時期、規格、数量、包装、  
輸入、輸送
- 治験薬概要書、品質に係る  
資料の提供
- 調製の留意事項
- 返却または廃棄方法
- 報告事項（温度逸脱、品質不  
良）と報告方法

## • 資金

- 管理、請求方法

## • 安全性情報

- 安全性情報の提供内容・方法  
（頻度、手段）
- SAEの報告方法（時期、手段）
- その他報告事項（妊娠報告、  
Special Interestなど）

## • 進捗・結果

- 進捗報告
- CSR・データ・資料の提供内  
容・方法・時期
- 成果の取扱い

# 試験に必要な文書の準備

試験固有の文書	調整委員会の手順書
治験実施計画書	治験調整委員会への業務委嘱に関する手順書
治験実施計画書 別紙：実施体制	治験調整委員会の業務に関する手順書
同意説明文書 モデル版	治験実施計画書の作成に関する手順書
健康被害の補償制度について	説明同意文書雛形の作成に関する手順書
治験薬概要書	治験薬概要書に関する手順書
安全性情報	被験者の健康被害補償に関する手順書
補償保険の付保証明書	安全性情報の取扱いに関する手順書
治験薬管理手順書	効果安全性評価委員会に関する手順書
検体取扱い手順書	モニタリングの実施に関する手順書
監査手順書・計画書	総括報告書の作成に関する手順書
リスクレビュー計画書	記録の保存に関する手順書
各担当者の手順書・計画書	治験の計画の届出に関する手順書
各種資材	臨床試験登録に関する手順書
その他	品質マネジメントに関する手順書



日本臨床試験学会

治験・臨床研究の実施に役立つお助けツール  
<https://www.j-sctr.org/tools/index.html>

# 補償の手配

- 補償内容検討・見積り入手
- 契約
- 付保証明書
- ICFへの記載
- 補償の説明資料作成

2018年12月17日

賠償責任保険契約証明書

当社において、下記のとおり保険契約が締結されていることを証明いたします。

保険契約者	住所	〒277-8577 千葉県柏市柏の葉6-5-1		
	氏名	国立研究開発法人国立がん研究センター東病院		
被保険者 ※保険契約者と異なる場合	住所	〒		
	氏名	国立研究開発法人国立がん研究センター理事長および研究責任者、共同研究機関、その業務又は研究に従事する者		
保険の種類	賠償責任保険普通保険約款+生産物特別約款(+自動付帯特約)+治験賠償責任特約+治験補償責任特約+特定危険(既知副作用)補償対象外特約			
保険の対象	同第1/11 相臨床試験			
証券番号				
定例数	患者 54名			
支払限度額		1名につき	1事故につき	保険期間中
	身体障害	100,000千円	100,000千円	100,000千円
	医療費 医療手当	1,000千円 1,000千円	研究あたり(保険期間中) 医療費および医療手当合算にて 10,000千円	
免責金額	なし			
保険期間	2019年2月1日午前0時から			
	2022年1月31日午後12時まで + 波及効(12ヶ月)			
取扱ブローカー				

# 治験届の作成・提出

1. 治験計画届書
2. 治験計画変更届書
3. 治験中止届書
4. 治験終了届書

医薬薬審発 0820 第 1 号  
令和 6 年 8 月 20 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

「治験の依頼をしようとする者による薬物に係る治験の計画の届出等に関する取扱いについて」の一部改正について

治験の依頼をしようとする者による薬物に係る治験の計画の届出等に関する取扱いについては、「治験の依頼をしようとする者による薬物に係る治験の計画の届出等に関する取扱いについて」（令和 2 年 8 月 31 日付け薬生薬審発 0831 第 10 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知。以下「課長通知」という。）等によりお示ししているところです。

今般、課長通知における治験の計画の届出について、その取扱いの一部を下記のとおり改めましたので、貴管内関係業者等に対して周知いただきますよう御配慮願います。改正後の課長通知は別添のとおりです。

なお、本通知の写しについて、別記の関係団体、独立行政法人医薬品医療機器総合機構及び各地方厚生局宛てに発出するので、念のため申し添えます。

<https://www.pmda.go.jp/files/000270151.pdf>

⇒ 2023/4/1 ~ 神戸医療産業都市推進機構  
新治験計画届作成システム（有料）

# 臨床試験登録は「準備の最終チェックポイント」

## ● 結果の公表

- ポジティブな結果、ネガティブな結果

## ● 倫理的義務

- 重複する臨床研究は患者に不利益をもたらす

## ● 臨床試験参加者募集の促進



臨床研究等提出・公開システム



ClinicalTrials.gov

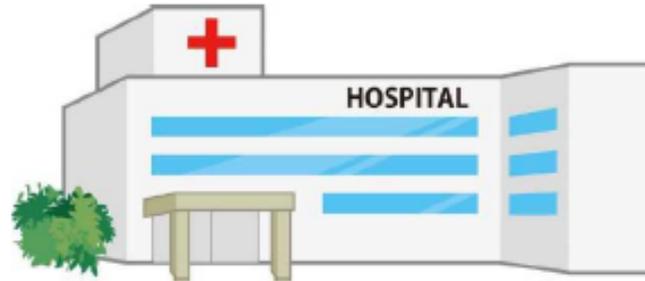
その試験、社会に説明できていますか？

# 実施施設との契約・費用提供

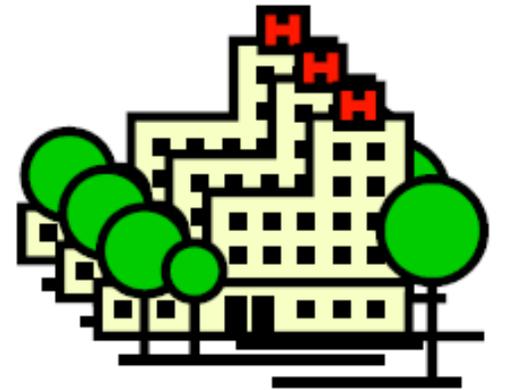
治験薬提供者



主幹施設



参加施設



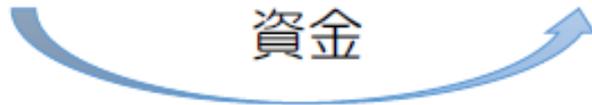
契約締結



契約締結



資金



資金



- 各施設へ提供する試験準備金、症例登録費等を取り決める



## Kick-off Meetingの開催

# 実施中のスタディマネジメント



# 試験の実施管理

進捗管理

FAQ管理

リスク/  
イシュー管理

文書改訂・  
管理

実施体制の  
管理

ベンダー管理

資材・検体の  
管理

資金の管理

モニタリング

データ  
マネジメント

治験薬の  
管理

安全性情報  
の管理

# 安全性情報の管理

## < 治験薬提供者から入手した安全性情報 >

個別症例報告・措置報告・研究報告・定期報告

- 治験薬提供者 → 治験調整委員会 → 実施医療機関  
(治験薬提供者が先に当局報告をしている場合、PMDA報告不要)

## < 当該試験の安全性情報 >

- 実施医療機関 → 治験調整委員会 → 治験薬提供者  
→ 全ての実施医療機関  
→ PMDA

PMDAへの報告要である場合はPMDAへ報告

- SAE (未知、死亡・死亡のおそれ) 7日
- SAE (未知、死亡・死亡のおそれ以外) 15日
- SAE (既知、死亡・死亡のおそれ) 15日

# 試験終了時の実施事項



# 治験終了時の実施事項



# 総括報告書に記載される事項

～それは計画・実施時から意識すべきこと

## ✓同意

## ✓重要な逸脱

- 組み入れ基準を満たしていないにもかかわらず、治験に組み入れられた患者
- 治験期間中に中止基準に該当するようになったが、中止されなかった患者
- 治療方法や用量が不適切であった患者
- 禁止されている併用療法を受けた患者

## ✓重要な有害事象

- 死亡
- その他の重篤な有害事象
- 他の重要な有害事象
  - 著しい血液学的異常や他の臨床検査値異常（重篤という定義を満たすもの以外）
  - 治験薬治療の中止、減量をせざるを得なかった全ての事象
  - 重要な併用療法の追加を含む処置をせざるを得なかった全ての事象

## ✓治験薬

- 有効期限の過ぎた治験薬が使用された場合
- 付録：ロットごとの薬剤を投与された患者一覧表

# GOALに戻る



「その試験、なにを明らかにしたいんですか？」

～PPIとQMSで問い直す、医師主導治験の「準備」



# PPIやQMSをどの工程に入れ込むか？

- PPIもQMSも大事とは言われるけど、「自分の仕事」としてどう扱えばいいかわからない
- PPIについて、理屈や必要性は理解できるが、アカデミアにおいて具体的にどのような形で実装していくことが可能なかわからない



 PPI？

 QMS？

- PPIもQMSも「やる工程」ではない
- 工程表に1マス追加する話ではない
- 書類を1枚増やす話でもない

Q：PPIやQMSをどの工程に入れ込むか？

A：試験全体を貫く

この試験は誰のために、なにを明らかにするのか？

アウトカム、負担、説明の納得性に影響

 PPI：価値判断の軸 



試験立案

計画

準備

実施

終了

GOAL



 QMS/QbD/CTQ：設計思想 

この試験で絶対に壊してはいけない要素は何か

それをプロトコルコンセプト段階で決める

守るためにどこにリソースを使い、どこを捨てるか

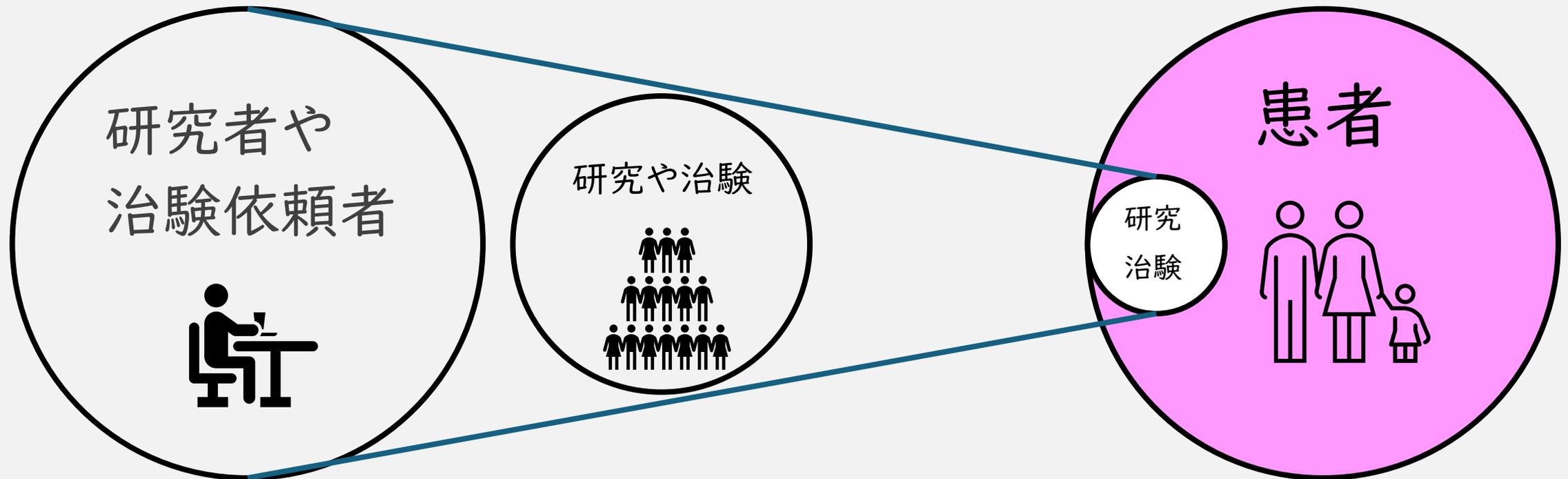
# PPIは過程であり、終始「プロセス」である

「PPIは、患者が一方的に自身の意見や考えを伝えるものではなく、研究者も患者の意見や考えを一方的に取り入れなければならないということではない。

PPIは、研究者と患者の対話の過程であり、相互理解の過程でもある。」

(天野慎介 <https://www.jmedj.co.jp/journal/paper/detail.php?id=19599>)

# 研究者にとっての研究と患者にとっての研究



患者は患者である前に一人の人間であり、それぞれの人生がある。

# 計画立案時にPPIは何を変えるか

## PPIが介入するポイント

- この試験で明らかにしようとしていることは、  
患者の人生にとって本当に意味のある問いか
- 主要評価項目は生活や意思決定にどうつながるか
- 試験参加の負担は説明すれば納得できる設計か

👉 重要なのは「意見を聞いた事実」ではなく「設計が変わったかどうか」

## (実装の最小単位の例)

- 計画立案時に患者・市民1~2名に構想段階の話をする  
その結果
- 評価項目を一つ減らした
- 説明文書の構成を変えた
- 試験期間の設定を見直した

👉 これも立派なPPI

# GOZILA Study レイサマリー作成

## <患者・参加者向け>

**GOZILA Study**  
試験にご参加いただいた皆さま、ありがとうございました！

**GOZILA Study<sup>※1</sup>で調べたこと**

手術で完全に取り除くことができない進行固形がん<sup>※2</sup>の患者さん4,037人 → リキッドバイオプシー<sup>※3</sup> → 遺伝子変化の解析/治療 → がんの種類と遺伝子変化の関係・異常な変化の発現頻度・遺伝子変化に基づく治療の効果

※1 GOZILA study: 正式名称は「結腸・直腸癌を含む消化器・腹部悪性腫瘍患者を対象としたリキッドバイオプシーに関する研究」 UMIN 試験ID: UMIN00029315  
 ※2 固形がん: 乳がん、肺がん、前立腺がん、大腸がんなど、かたまり状のがんのこと。血液がんは含みません。  
 ※3 リキッドバイオプシー: がんが疑われる部位から細胞を直接採取する「組織生検」とは異なり、患者さんから採取した血液などの体液を用いて検査・診断する方法

**がんゲノム医療の流れ**  
 組織生検とリキッドバイオプシーの違い

**がん患者さん** → 従来の組織生検 → 遺伝子変化の解析 → 治療

**がん患者さん** → 採血 (リキッドバイオプシー) → 遺伝子変化の解析 → 治療

**組織生検の問題点**  
 腫瘍の体への負担が大きい / 感染や大量の出血などの危険性がある / 繰り返し検査することが難しい / 組織を採取できない可能性がある / 過去の組織の場合、現時点の遺伝子情報を得られない / 結果が出るまでに時間がかかる

**GOZILA Studyでわかったこと**

がんゲノム医療を受けることができた患者さんの割合は、従来の組織を採取する方法では10%前後\*と報告されていましたが、今回のGOZILA Studyでは**24%まで増加**しました

リキッドバイオプシーで見つかった遺伝子変化に対応した治療を受けることで、**生存期間が約2倍まで長くなり**ました

**遺伝子の変化に対応した治療を受けた患者さんの割合**

がんの種類	割合 (%)
大腸	24%
胃	38%
食道	4%
肝	8%
胆道	14%
膵	18%

患者さんの数 4,037 (2,820 男性 363 女性 2,294 人)  
 全体および患者さんの数が100人以上のがん種について示しています  
 ※日本の報告では13.3%  
 (https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/cps.13969)

**生存期間中央値<sup>※4</sup>**

治療法	生存期間中央値 (か月)
従来 (組織生検)	9.9
GOZILA (リキッドバイオプシー)	18.6

※4 生存期間中央値: 統計で使う言葉です。生存している人の割合が50%になる時点のことになります。

より多くの患者さんに最適な治療を届けたく、私たちはリキッドバイオプシーという新しい技術を取り入れました。今回の研究結果をもとに、リキッドバイオプシーが世界中のがん患者さんに広く役立てられることが期待できます。

さらに詳しく知りたい  
 原簿論文: <https://www.nature.com/articles/s41591-024-03244-8>  
 プレスリリース: [https://www.ncc.go.jp/jp/information/ppi\\_release/2024/0917\\_2/index.html](https://www.ncc.go.jp/jp/information/ppi_release/2024/0917_2/index.html)  
 GOZILA Study HP: <https://www.ncc.go.jp/html/scrum-japan/gozila-ppi/index.html>  
 国立がん研究センター集研院 SCRUM-Japan事務局  
 Eメール: [scrum\\_office@east.ncc.go.jp](mailto:scrum_office@east.ncc.go.jp)

レイサマリー作成: メディカルグローン株式会社

## <一般市民向け>

**GOZILA**

**消化器がん患者を対象としたリキッドバイオプシー/がんゲノム医療に関する研究 (GOZILA Study)**

**はじめに**

がんの治療方法を新しい視点から研究する目的で、国立研究開発法人国立がん研究センター集研院の吉野孝之副院長らの研究グループは、2018年1月から「GOZILA Study (ゴジラ・スタディ)」(UMIN ID: UMIN00029315) という臨床研究<sup>※1</sup>を行っています。このたび、試験の結果が「Nature Medicine」(ネイチャー・メディシン) という国際学術誌に掲載されましたので、その要点をお知らせします。なお、GOZILA Studyの「GOZILA」はGurdant Originates in Zipangu Liquid biopsy Arrivalの略称です。日本語での正式名称は「結腸・直腸癌を含む消化器・腹部悪性腫瘍患者を対象としたリキッドバイオプシー<sup>※2</sup>に関する研究」です。本研究にご協力いただいた患者さん、ご家族の皆さま、関係者の皆さまに心から感謝申し上げます。

※1 臨床研究: 患者さんや健康なボランティアの方の協力、参加により、医薬品、医療機器、治療方法などの病気に対する効果、副作用などの悪い影響、身体に対する作用について研究すること  
 ※2 リキッドバイオプシー: 血液を用いて、がんと関連する遺伝子の変化などを見つける検査方法

**がんとの関係**

には、遺伝子にさまざまな変化が起きています。この遺伝子の変化ががんによって異なります。などのがんの部位や進行の程度に基づいて治療法を決めていました。ひとりのがんの遺伝子についての情報を調べ、それぞれの遺伝子の異なるようになってきています。

**がんに関連した遺伝子の変化を特定** → **遺伝子の変化に対応した治療を提供**

さまざまな問題点が明らかになってきました。子の変化を調べるための検体の採取方法です。

**がんゲノム医療**

の組織を採取して検査する方法

変化A (遺伝子A) → 変化B (遺伝子B) → 変化C (遺伝子C)

発見が大きい / がんの発生などの危険性がある / 検査することが難しい / 採取できない可能性がある / 検体の場合、現時点の遺伝子情報を得られない / 結果が出るまでに時間がかかる

化を調べるためには、手術や内視鏡生検などで、がんを発症している方法を一般的でした。しかし、この検査方法には、次のような

繰り返し検査することが難しい。ため、その間に体調を崩す患者さんもある。

・がん細胞の遺伝子は抗がん剤治療とともにさらに変化していくことも知られており、検査をして遺伝子の変化に基づいた治療法が見つかることも、治療を始めるときには既にその患者さんにとって一番よい治療法ではなくなくなってしまいう可能性もある。

※3 DNA: 遺伝子の情報を持っている物質

**た患者さんで、全生存期間が8.7か月延びました**

ブ①では、治療につながる遺伝子の変化が見つからなかった患者さん(グループ②)と比べて、全奏効率<sup>※6</sup>、と治療効果を示しました。変化に対応した治療を受けた患者さん(グループ①)で、ブ②)に比べ8.7か月の延長がみられました(図2)。

**無増悪生存期間** (4.7か月) vs **全生存期間** (18.6か月)

指標	グループ① (n=949)	グループ② (n=4,549)
無増悪生存期間	4.7か月	2.8か月
全生存期間	18.6か月	9.9か月

子の変化が見つかったもの、さまざまな理由により亡くなった患者さん  
 治療につながる遺伝子の変化が見つからなかった患者さん

の変化が見つからなかった患者さん (両グループでがんゲノム医療を受けた患者さん (両グループ)の経過が比較的良好いことがわかりました。

さらに、治療による効果があった患者さんの割合を示しています。  
 ※6 無増悪生存期間: 治療を始めてから、がんが進行せず状態が安定している期間  
 ※7 全生存期間: 治療を始めてから、患者さんが亡くなるまでの期間  
 ※8 全生存期間の中央値: 統計で使う言葉です。生存している人の割合が50%になるときのことをいいます。

⇒ PPI Japan 「レイサマリー作成の手引き」を参照し、患者・市民と共に作成

# レイサマリーやレイプロトコルシノプシス を作ってみる

患者向けにレイ資料を書いてみると、詰まりがちなところ

- 主要評価項目の意味が説明できない
- なぜこの対象集団なのか言えない
- 代替手段との違いが曖昧
- 不利益の説明が抽象的になる

 **ここがPPIの入り口**

レイ資料が書けないところは多くの場合、**CTQ**が未整理

- 何が壊れたら致命的なんですか？ →答えられない ⇒QMSが始まっていない
- どこは多少揺れてもいいんですか？ →患者に説明できない ⇒PPIが始まっていない
- この試験、なにを明らかにしたいんですか？

**この試験は「患者にとって意味のある問い」になっていませんか？**

# ICH-E8(R1)とICH-E6(R3)

## • E8 modernization

- 臨床開発全体を俯瞰する視点
- **Fitness for Purpose** (目的に合致した) 品質管理の実施
- **CTQ要因** (Critical to Quality Factors)



## • E6 renovation

- **Proportionality** (ちょうどよさ)
- **Quality by Design (QbD)** への対応とQMS・RBAの推進
- 個別研究の最適化



原則を踏まえて、考えさせるGCP

# 研究品質に重要な3つのポイント

- **Fitness for Purpose**
- **Proportionality**
- **Estimand**

# Fitness for Purpose (目的に合っているか?)

「臨床試験における質を目的への適合性と捉え……」  
(ICH-E8R1 「臨床試験の一般指針」)

- ✓ 研究品質がそもそも目的に合っているか?
- ✓ 最終的に何を達成したいのか見極めているか?  
(Clinical Question、患者・社会のニーズ)



# Proportionality (ちょうどよさ)

やりすぎず、やらないさすぎず、ちょうどよいリスク管理



どろぼうを捕まえるのに軍隊を使わない



クルミを割るのに大ハンマーを使わない

# Estimand (結果のものさし)

治療の効果をどう定義し、どう測るかを明確にする枠組み

**Treatment**  
どの治療を比べる？

**Population**  
誰を対象にする？

治療の効果  
**Treatment Effect**

**Variable**  
なにを測る？

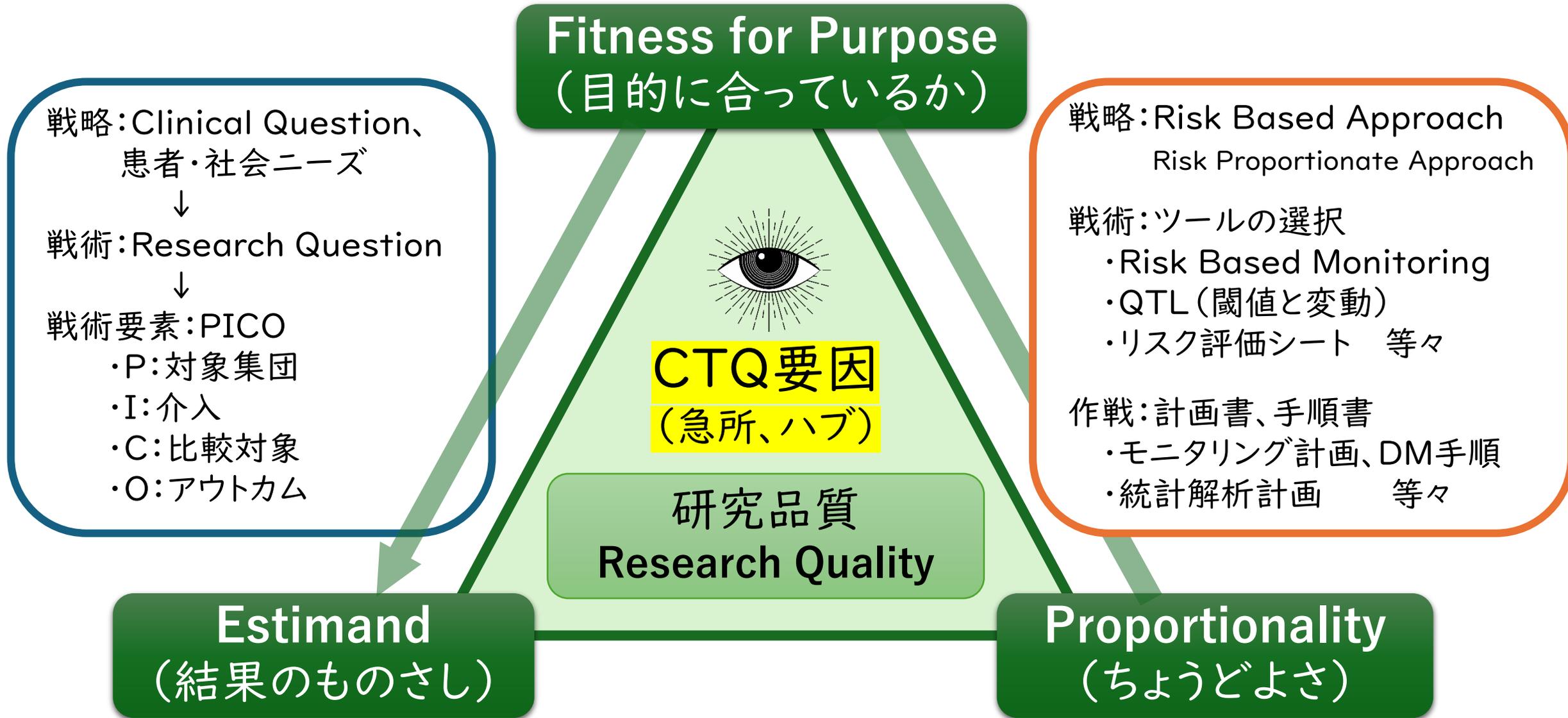
**Intercurrent events**  
途中の出来事をどう扱う？

**Summary measure**  
どう表現する？

研究で本当に知りたいことと、最終的に出てくる結果がずれないようにするため

# 相互に関連する研究品質トライアングル

静的な概念図



# CTQ要因



## CTQ要因

重要なプロセス及びデータの特特定→リスクの特特定では多くのProtocolに共通するリスク、Protocol特有のリスクが混在していたし、重要度については“雪だるま式”になりがちでした

- そこで、GCP Renovation では、Critical to Quality factors (CTQ要因) が導入され、CTQ要因に関連するリスクに優先的に取り組むという指針が示されています

『これらCTQ要因は、

✓ 参加者の保護、

試験結果の信頼性と解釈の可能性及び試験結果に基づく意思決定の根本となる試験の属性である。

これらの質に関する要因は、そのインテグリティが試験デザイン又は実施上の誤りにより損なわれた場合に、意思決定の信頼性あるいは意思決定の倫理性もまた損なわれることから、極めて重要と考えられる。』

【ICH-E8(R1) 3.2 CTQ要因】より

多くのProtocolに共通する重要なプロセス

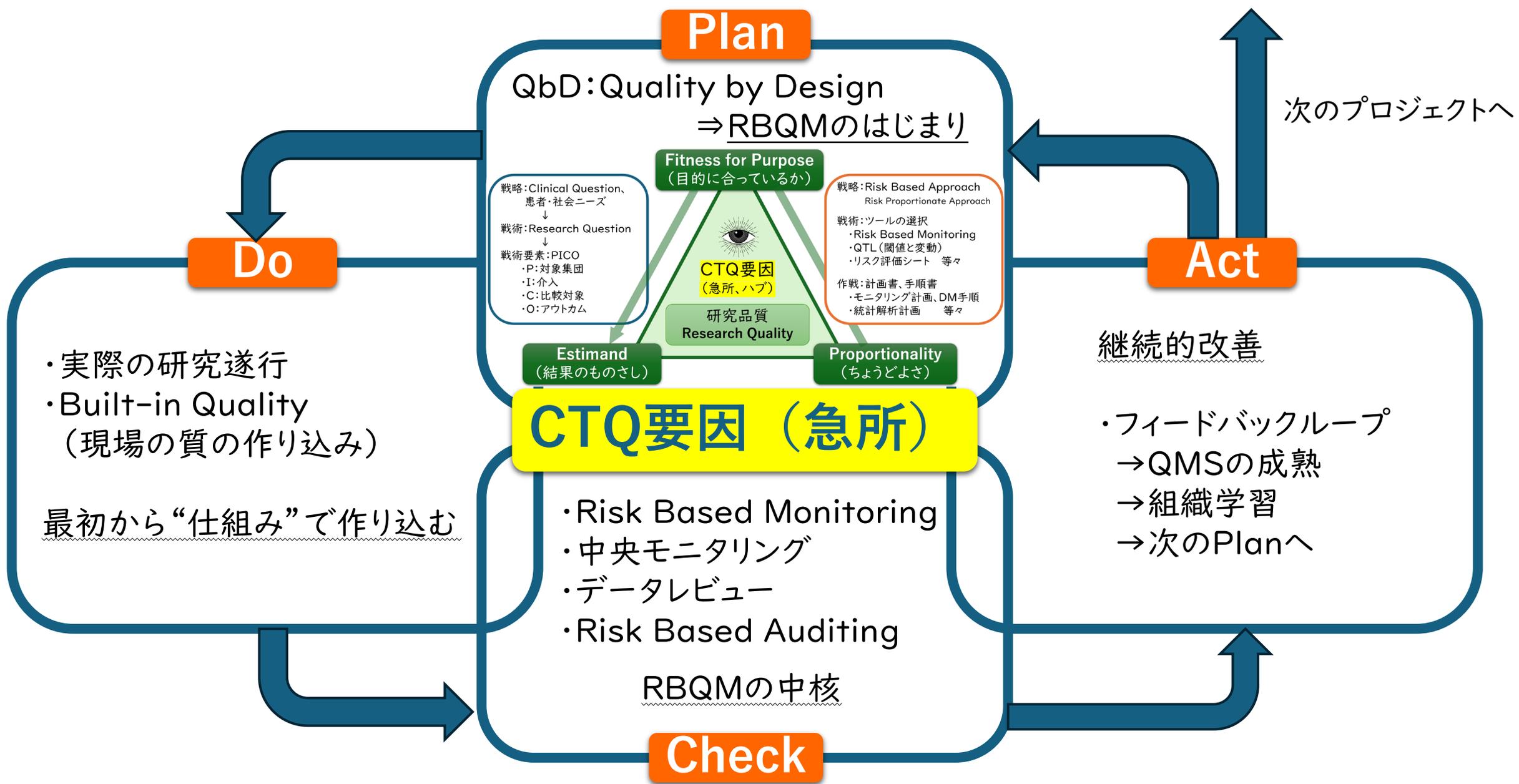
これらを分けて考える

そのProtocolに特有の重要なプロセス

CTQ要因

- CTQ要因は、Protocolの弱み、脆弱さがどの属性あるいはプロセスにあるのかを試験実施関係者に周知させるものとも言えます

日本臨床薬理学会総会2023 教育講演5  
日本製薬工業協会医薬品評価委員会データサイエンス部会  
小宮山 靖 先生のスライドより引用・改編



実際の運用はトライアングルを起点にPDCAと組み合わせて循環的に回す

「その試験、なにを明らかにしたいんですか？」

「それは患者にとってどんな意味があるんですか？」

「そのために絶対壊しちゃいけないことって何ですか？」

### 医師・研究者がやること

- 何を明らかにしたいか考える
- 科学的・医学的な問いを立てる

### スタディマネージャーがやること

#### その問いが

- 患者にとって意味のある言葉になっているか
- 試験設計にちゃんと反映されているか
- 実施する中で壊れていないか

ずっと問い続けること

調整事務局業務とは、単に工程を回すことではない  
最初に立てた問いが、終わる瞬間まで同じ意味を持ち続けるように、  
関係者全員をつなぎ、試験を支え続けること

# 今日のまとめ

- スタマネは、専門職をつなげる専門職
- スタマネに必要な3つの目：「鳥の目」「虫の目」「魚の目」
- 最初にGOALを考える
- 計画立案→計画→準備→実施→終了→GOALの工程
- PPI：価値判断の軸（患者にとって意味があるかを問い続ける）
- QMS：設計思想（壊さないための考え方）
- 治験調整事務局のスタマネは、問い・価値・品質が最後までつながっているかを見続ける役割を担う

# ありがとうございました



国立がん研究センター東病院  
スタディマネージャー 小村悠  
ykomura@east.ncc.go.jp