共につくる臨床研究
～患者と研究者の対話から～Ⅱ

公益社団法人
日本網膜色素変性症協会

国立大学法人
東京大学医科学研究所
公共政策研究分野

日本医療研究開発機構（AMED）「再生医療の実現化ハイウェイ」「再生医療研究における倫理的課題の解決に関する研究」（課題 D）

はじめに

東京大学医科学研究所　武藤香織

我々は、日本医療研究開発機構（AMED）「再生医療の実現化ハイウェイ」における、「再生医療研究における倫理的課題の解決に関する研究」（課題 D）を受託し、iPS 細胞をはじめとしたヒト幹細胞を用いる臨床研究の倫理支援や教育、研究を担っている。

本邦では、2014 年に滲出型加齢黄斑変性に対する自家 iPS 細胞由来網膜色素上皮（RPE）シート移植に関する臨床研究が実施され、その後も、複数の疾患に対する臨床研究が計画・実施されてきた。未知のリスクを伴う臨床研究であること、そして、社会的な期待が過度に高まっていることなどを踏まえ、研究計画の立案段階から研究者と対象疾患の患者が対話をすることは望ましい取組みだと考え、本事業の柱として進めてきた。

公益社団法人日本網膜色素変性症協会（JRPS）、理化学研究所の髙橋政代先生とは、第 9 回 JRPS 関東甲信越ブロックリーダー研修会（2013 年 10 月 20 日　於：あゆみ荘 (横浜市)）にて、初めて臨床研究について語らう場をもち、その内容は『共につくる臨床研究～患者と研究者の対話から～』という報告書としてとりまと

めた。

今回、網膜色素変性症に対する臨床研究の実施が近づいてきたことから、再びご縁をいただき、2018 年 11 月 18 日に「JRPS ワークショップ 2018 in 神戸 ～網膜再生医療臨床試験・患者からのアプローチ～」を共催させていただくことになった。今回も髙橋政代先生にご協力いただいて、「臨床試験を成功させるために、患者は何ができるか、何をすべきかを考える」ことをテーマとした企画となった。さらに、神戸会場と東京会場、札幌会場をオンラインでつなぐ３元中継の試みとして開催された。課題 D のメンバーは、各会場でイベントに参加し、運営を支援した。本報告書は、この日の発言録をもとに､読者が追体験できるように再構成したものである。

折りしも、AMED では、「臨床研究等における患者・市民参画に関する動向調査」（平成 29 ～ 30 年度）が実施された。これは、「医学研究・臨床試験における患者・市民参画」（PPI: Patient and Public Involvement）に関する国内外（主に米国・英国）の実態把握を行うとともに、AMED における患者・市民参画に関する基本的考え方を整理し、PPI に関する研修を試行することを目的とした委託調査であり、研究者向けのガイドブックが発表されたところである。また、厚生労働省でも、「臨床研究・治験の推進に関する 今

後の方向性について（2019 年版）中間とりまとめ」において、PPI の取組みの継続の必要性を述べている。再生医療分野では、臨床研究に関する啓発をしながら、研究計画や方向性への意見を陳述するという取組みを JRPS が先駆けとなって実施してきたが、こうした取組みは、今後、ますます重要なものになると考えられる。

なお、本報告書作成にあたり、AMED「再生医療研究における倫理的課題の解決に関する研究」（課題 D）より財政的支援を得ている。ここに御礼申し上げる。

目　次

開会挨拶・趣旨説明　佐々木祐二 …… 5
JRPS 理事長

RP治療法開発に向けて～中長期戦略～　髙橋政代 …… 7
理化学研究所 生命機能科学研究センター
網膜再生医療研究開発プロジェクト　プロジェクトリーダー

患者が研究者のよきパートナーになるために～倫理的観点から～　武藤香織 …… 36
東京大学医科学研究所 公共政策研究分野　教授
日本医療研究開発機構「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」「再生医療研究における倫理的課題の解決に関する研究」（課題D）　研究代表者

グループ討論「研究者のよきパートナーとなるために患者がすべきこと、できることは何か？」 …… 47

グループ討論「研究者のよきパートナーとなるために患者がすべきこと、できることは何か？」発表会 …… 48

閉会挨拶　伊藤節代 …… 73
JRPS 兵庫

グループ討論内容の紹介 …… 74

スタッフの感想 …… 95

用語集 …… 102

巻末参考資料 …… 107

開会挨拶・趣旨説明

JRPS 理事長　佐々木祐二

皆さん、こんにちは。2013 年、JRPS（日本網膜色素変性症協会）では、関東甲信越ブロックリーダー研修会において、今日と同じ髙橋先生と武藤先生をお呼びして「共につくる臨床研究」というテーマで話し合いを行いました。

前回は臨床研究とは何か、研究参加者としてどのようなことを知りたいかを考えましたが、今回は患者からのアプローチをテーマに議論したいと思っています。これまで我々は、一方的に研究者から「治験に参加してくれませんか」と声をかけられるばかりでした。つまり、研究者から提案してもらう研究に参加するという、本当にありがたい立場でした。

しかし、これからは研究者からの提案を受け止めるだけではなくて、研究者にどういうことをお願いして、何を変えてもらい、何を説明してもらうか、ここまで踏み込んで議論しないといけないと思います。今後の日本の臨床研究に影響を及ぼすことのできる活動の第一歩にしていかないといけない。そのために、今日はちょっと高度なテーマを設定しています。これは今までの日本にはなかった試

みだと思います。

今日は、神戸、東京、札幌の各都市を中継でつないでいます。合わせて 180 名ぐらいの人が聞いているわけですけれども、この機会を通じて、治療と臨床試験の違いを理解し、我々から研究者に対して何ができるのかを考えていく機会にしていただきたいと思います。

以上です。今日は私も一緒に勉強していきます。よろしくお願いします。

RP 治療法開発に向けて

～中長期戦略～

理化学研究所　生命機能科学研究センター

網膜再生医療研究開発プロジェクト　プロジェクトリーダー

髙橋政代

はじめに

こんにちは。理化学研究所の髙橋です。いつも患者会にはお世話になっております。先ほど説明がありましたが、今回のワークショップは、日本ではあまりなかった試みですので、ただ話を聞いておけばいいわけではなくて、皆さんも参加していただくことが重要になります。

私の今日の話は、いつも話している内容とほとんど一緒ですけれども、切り口を臨床研究の仕組みに焦点を当てて、それを理解してもらった上で患者会はどうするのか、患者の方たちはどのように研究者に協力していけるのかを議論していただければと思っております。

iPS 細胞を用いる再生医療の特徴

iPS 細胞ができて十数年経ちました。iPS の大きな特徴は、科学

的に画期的なだけではなくて、社会的にものすごく色々なことを引き起こしたということです。私の夢だった施設の神戸アイセンターができたのも、元はと言えばiPSの力がすごく大きいですね。

もう一つの大きな特徴は、治療の開発の仕方が変わってきています。今までお薬は、主に低分子化合物といいますけど、化学物質なわけです。化学物質ができたら、それをいかにたくさんの人に効く形にするか、あるいは効くかどうかをたくさんの人で試して、多くの人に効くと統計学的にいえる、つまり有意差があることを確かめながら進めていく開発の仕方でした。

そして、私たち医者も、製薬企業の方に薬の効果と使用方法を説明してもらって、販売されて初めて患者さんが使う、という流れが主でした。薬だったら、治験という安全性や効果を試す段階を企業はずっと非公開にしています。非公開で治験をして、効いたら初めて、承認販売ができました。販売されるときに病院から「こういういいお薬ができましたよ」と教えられて、できた薬を使うのが今までのやり方でした。

けれども、再生医療はそうではなくて、薬の作り方が違うのに加え、開発の最初の段階から色々な情報が皆さんの目に、耳に入ってきます。ここが大きな違いです。

iPS の再生医療については、もうそのスタート地点から、今までだったら皆さんの目に触れられなかった時期から、皆さんは目撃しているのです。

ですから、皆さんに情報が届くタイミングが、お薬だったらお医者さんから情報をもらうわけですけれども、再生医療は研究室の段階からもう皆さんは情報を得ている。だから、そこで大きな勘違いが出てきます。

その勘違いとは、例えば、私がもう十数年前からずっと経験してきたことですが、動物実験の段階で「治るかもしれない」という情報が皆さんの耳に入ってしまったときです。

「ああ、いい治療ができたんだ、治せるんだ」と勘違いしますよね。だけど全然違うのです。今までの薬であれば知らなかった情報、つまり薬になる 10 年前の段階から皆さんはもう情報を知っている。今までは、治療を作る段階では、患者さんは全く関係なかった。でも、iPS とか再生医療の場合は、もう最初から巻き込まれてしまっている状況です。

だから、いくら新聞記事になっても、「なかなか治療にならないな」と思われると思いますけど、それにはこのような背景があるのです。薬であったら全然情報が出て来ないような段階から、今は全

部公にされて、私たちはすごく厳しい状況下で治療を開発させてもらっていることになります。非常に注目された状態ということです。

さて、前置きというか、言い訳というか、それは置いておいて、ここから、どのように治療が開発されていて、今どの段階にあるかというお話をします。

加齢黄斑変性症に対する iPS 細胞を用いる臨床研究

今日は JRPS 主催ですので、網膜色素変性という病気の治療法をお話しします。その前に、皆さんもご存知の加齢黄斑変性に対する iPS の臨床研究が先行しておりますので、その状況をお話しします。それは、この次に来る視細胞の移植、つまり色素変性のための治療の研究にも非常に関係ありますので、よく聞いておいてください。

加齢黄斑変性も網膜色素変性も網膜の病気です。網膜は眼球の後ろ全体を覆っていて、たくさんの種類の細胞がぎっしり詰まっていて、治せる層構造になっています。我々が治そうとしているのは、広くある網膜の中の１ミリから２ミリの範囲だけですし、層構造といっても主に３層構造になっているのですけども、３層構造のうちの１つを構成している視細胞を治している。視細胞をメンテナンスする色素上皮、それが先に加齢黄斑変性に使えたという状況であ

ります。

ですから、網膜全体を治すのは、難しいわけですね。まず面積的に難しいのと、脳と網膜をつなぐところは治せません。

後で出てくる効果判定、つまり効果をどのように見るかにも関わる話ですが、今の眼科はすごく発達していて、患者さんの網膜の断面図を見ております。外来の大きな病院でしたら断面で見る装置がありまして、痛くもかゆくもない、もう数秒で終わる検査です。知らない間にされているかもしれませんけど、断面図が見えています。

網膜の断面図は７ミクロンの解像度で見ることができるので、我々の視細胞、光を受け取る細胞がどれぐらい減ってきているかとか、どういう状況になっているかを、ものすごく詳しく私たちは見ていることになります。

このように詳しい解像度で見ているのは、他の科にはないですね。私たちは今、７ミクロンで見ていると言いました。PET とか MRI とか CT とかありますよね、あれはミリ単位かセンチメートル単位です。PET というのを眼科領域にも欲しいなと思ったのですが、最小で１センチのものしか見られませんから、７ミクロンで見ている眼科領域では全然それでは使い物になりません。

詳しい解像度で見ることで色々なことがよくわかってきます。私

たちは細胞レベルで見ているので、視細胞がどれぐらい減っているかとか、そういう点を見ております。

効果判定も、 実は視力ではなくて、この網膜の構造で見ています。我々は、このように微細に見ている構造で判定するほうがいいと思っていますし、多くの眼科医は視力も大事と思っております。網膜の構造でどれぐらい見えるかが、ある程度わかりますので、それで判定しております。

加齢黄斑変性は色素変性と逆で、真ん中がぼやっと暗くなったり、見えにくくなる。周りは見えるので歩いたり、普通に生活はできますが、人間の目は真ん中しかはっきり見えていないので、真ん中が見えなくなるだけで、字は見えないし顔も見えません。ですので、真ん中が非常に重要です。

加齢黄斑変性の場合は、その網膜の真ん中が、正常と比べると、網膜の外側から悪い血管が生えてきて、色素上皮がでこぼこになっていますし、色素上皮をやぶって、その新生血管が網膜のほうに突出してきたりします。

この悪いところを取り去って治療するのが根本的な解決なのですが、この悪い新生血管を取ると色素上皮がなくなってしまう。色素上皮は自分ではあまり分裂しないので、一度なくなると修復できな

い。色素上皮がなくなってしまうので、その上に乗っかっている視細胞も減ってしまう。それでは色素変性と同じです。視細胞がなくなると、その部分は見えないということで、真ん中が見えにくくなります。

ですから、治療としては悪いところを取り去った後に正常な色素上皮を補ってあげるのがいい。それも、できれば視細胞がなくなってしまう前でないと意味がないわけですね。ところが、そのリスクとベネフィットと言いますが、効果を出そうと思うと、視細胞が残っているときでないと駄目だけど、視細胞を残していたら、手術でその視細胞が悪くなるかもしれないというリスクがある。リスクとベネフィットのジレンマですね。 ここは後でもう一度話が出てきます。

自家移植手術

2014 年の 9 月に、世界で初めて、iPS を用いて自家移植手術を行いました。患者さん自身の皮膚の細胞から iPS を作って、そして色素上皮を作って、純粋に色素上皮だけにすることで安全性を確保しました。

自分の細胞ですから拒絶されないという特徴もありました。もう 4

年がたっていますけど、ずっと落ち着いて、同じ形で生き残っています。ただし、視力は上がりませんでした。これは最初から予想されたことです。けれども、もともと眼球注射の治療をすることで視力が下がっていて、その注射をやめられない状況でしたので、注射治療をやめられたことが患者さんのメリットと我々は考えています。

「視力が上がらないことは最初からわかっていた」と言いましたが、なぜかというと、手術前に悪い血管のところと、その上にある網膜を見ますと、視細胞がガタガタになっているのですね。一番大事な真ん中の視細胞がガタガタになっていますので、この人は色素上皮だけ移植しても視細胞が悪いわけだから視力は上がりません。真ん中しか視力は上がりません。ですので、横のほうがいくら治っても、視力という意味では全然上がらないというのはもともとわかっていたわけですね。

では、何の効果があったかというと、真ん中ではない、少し横のところにある、シートの上に乗っている視細胞は４年間たってもまだ残っている。つまり、ちゃんとメンテナンスされている。しかし、シートの外側は、もう視細胞がなくなっているので、このシートがちゃんと視細胞を守るという働きを４年間し続けていることがわかりました。

でも、これは視力には反映されないので、効果の判定をどこでするのかという話になります。FDA（米国食品医薬品局）も日本も、規制当局は視力に着目するのですが、視力というのは網膜の真ん中２ミリの機能だけですので、眼科医は視力だけでは判断しない。視野、あるいは網膜の感度、周りのところの光、どれくらいの弱い光を受け取れるかという感度、そういう全体的な視機能を見ています。

臨床試験の仕組み

さて、それと仕組みをもう一つ知っていただきたいと思っています。日本の非臨床というのは、本当に安全かを研究して、実際の臨床につなげるところです。臨床研究と治験を併せて臨床試験と言いますけど、非臨床の後には、臨床研究と治験という２つの道があります。これがユニークで、私たちは臨床研究というほうを使いました。世界的には日本の「臨床研究」に当てはまるものはなくて、世界で広く行われている治験とは違うものです。日本には臨床研究という別の道筋があるのですね。ここは重要なポイントです。ただ、その仕組みは複雑なので、医師でもあやふやなぐらいです。

これからの治療や医療は、患者さんとか一般の人が参加しないと駄目です。「専門家に任せておけばいいや」という時代ではなくて、

自分たちでちゃんと考えないといけないので、特に患者会にはそういうところまで知ってほしいなと思って詳しく説明しています。今日は、まさにこの話がテーマです。

世界的に、主に企業が薬を作る際に行う治験は、非常に早くできるようになりましたけども、それでも５年から10年ぐらいはかかる。そして保険収載になって、保険が適用になって治療になるのが普通の道筋ですね。

私たちは臨床研究という道筋を採りました。なぜか。これがあったから世界で初めて自家移植ができました。治験をやろうと思うと、薬の場合は多くの人に一挙にその薬を飲んでもらって、それで統計学的な有意差を見ます。しかし、細胞の場合は、多くの人に一挙に施す準備をしていたら、その準備だけで10年ぐらいかかってしまう。ですが、臨床研究だと「何千人やりなさい」と言われません。比較的早く臨床に入れるので、こちらの道を採りました。

そして、特に臨床研究は医師が主導してやります。医者が研究を進めるための法律の１つに、再生医療等安全性確保法というのがあります。今まで、臨床研究のなかには、企業の人が入り込んで操作するなどの不祥事があって、医者の中でも悪いイメージを持っている人もいるのですが、再生医療に関してはきちんと法律を作って

おりますので、治験と同じレベルの厳しさで運用されています。ただし、医師が主導なので、医師から見てルール的にこれは要らないのではないかいう段取りは省けるという、そういう道筋であります。ですから、臨床研究と治験は、細胞の品質などのレベルは一緒です。一緒だけど、要らないルールは省いて、安全に機能するレベルで行っています。

臨床研究を行った後に治験を行って保険収載というやり方もあります。先進医療とか自由診療というのもあります。この辺りになると、医者でも完全に理解している人は少ない、かなりややこしいレベルですけれども、臨床応用するために色々な方法が使えます。

治験を行い保険収載という道だけですと、時間がかかる上に、いいものが出てきても、なかなか変更できなかったり、あるいは、もしかしたら医療費もこちらのほうが高くなるかもしれない。開発費がすごく高くなったりもしますね。コストが高いのに保険で安く付けられると、企業の人は採算が合わないので治療開発自体をやらなくなります。ですので、色々な道があるのは再生医療にとってはいい。

そしてもう一つ、仕組みを説明します。私たちは臨床研究を行なった後、そこからもう一度研究室に戻すという、リバース・トランスレーショナル・リサーチを行っています。臨床研究を通じて、こう

したほうがいいという部分が色々わかってきますので、それをまた実験室での研究に戻して改良する。そしてまた数例の臨床研究をやる。そして改良する。こういうサイクルに今、私たちは入っています。このように、我々の場合は、治験よりもスムーズに研究開発を進められるという理由から、臨床研究を選んでいます。

先日報道されましたが、パーキンソン病の iPS を用いた臨床試験は、治験で進めると発表されました（巻末参考資料①参照）。

なぜかというと、パーキンソン病は、スウェーデンのすごく偉い先生が胎児のドーパミン細胞を使ってもうすでに 20 年間研究して、ランダム化比較試験まで行い、どういう患者さんに、どういう治療が効くかまで解明しているのですね。今回は、さらにいい細胞にして治験をするということで、治療になる前の最終段階です。臨床試験としてパーキンソン病は 20 年の歴史があるということですね。

それに対して色素上皮は、ちらほら行っていたことはありますが、そのような系統立った臨床研究はしていないので、今はまだパーキンソン病でいうと 20 年前の段階です。治療としては手探り段階なのです。どういう人にどう効くのか、どういう手術をしたらいいのか、まだわかっていない。

それがわかってから全部やるとなると 20 年かかるので、そうで

はなくて安全で機能するところで一度臨床研究をして、そしてまた改良をするというサイクルを今行っています。

パーキンソン病の20年前の段階というと、心臓もそうです。まだどうやったら治療になるのかわからないので、臨床研究で回しているところがあります。

次に、自由診療についてもお話しします。臨床研究の後、自由診療になってもいいかもしれませんが、注意していただきたいのは、再生医療では、研究を経ていない自由診療が結構いっぱいあるのですね。

どういうことかというと、「これは効くよ」というお墨付きが誰からも全くないのです。再生医療等安全性確保法で認定再生医療等委員会が設置され、自由診療も審査の対象となっています。ですが、認定委員会によっては厳しく審査せず、再生医療と称して色々な幹細胞を移植して、「これは治る、あれは治る」と言っている自由診療がまだあります。

それは、あまりいいことではありません。ちゃんと臨床研究なり、色々な審査を経た自由診療であればいいですけれども、そうでない自由診療もありますので、気を付けてください。割と玉石混合の状況です。それは患者会や皆さんがすごく賢くなっていただかないといけないところでもあります。

ということで、世界初の自家移植を行えた理由の一つは、臨床研究という道があったからです。それが大きいです。そして、私たちはアカデミアですので、企業だとまず採算の取れる形でたくさんの人にできる治療法を開発するわけですが、我々は最もいい治療法からやりたいと思って自家移植をやりました。

他家移植手術

自家移植は、確かに拒絶反応は全くなくていいのですが、時間はかかるし、コストもかかる。これはたくさんの人にはできない。それも最初からわかっていたわけですが、まず最高レベルはどういうことかを見て、そこから、ではたくさんの人にするためには、どこをどう崩せば同じレベルの治療ができるのかを考え、今は第２弾の臨床研究を行っています。それが他人の細胞を使う他家移植です。

これについて、今日は詳しくは説明しませんけど、1 種類の iPS で国民の 17％が自分の細胞に似たようなもので治療できる。拒絶反応がほとんどない状況で治療ができるというものです。いわば自家移植は世界最高速の F1 カーを世界で初めて造ったようなものなのですが、今はみんなに行きわたる車を造っているような感じです。

他家移植で実施した第２弾の臨床研究も、５例の予定が全部終

わって、最後の人も１年間見ましたので、今は結果をまとめています。第２弾の目的は、他人の細胞だけれどもHLA（ヒト白血球型抗原）を骨髄移植のときのようにマッチさせますと、免疫抑制剤なしに移植できることを狙っております。それで安全かどうかを見ています。

ということで、第２弾も安全性がだいぶわかってきていますので、次こそ本当にどういう方に効くのかを調べる臨床研究、つまり第３弾の臨床研究を予定しています。これは加齢黄斑変性だけではなく、色素上皮が治せる病気は何かということです。

ですから、安全性を、まず自家移植、他家移植で確認して、これからいよいよ治療として作っていく。どのような人に効果があるのかを確かめていくことになります。

もちろんその次に、網膜色素変性に対して視細胞の移植も予定しております。これは今までお話しした、この臨床研究の経験が全部そのまま活かされるわけですね。視細胞移植のときは「ここをこうしたら良かった」という積み重ねが全部最初からある状態で始められます。

再生医療の安全性

さて、１例目の臨床研究の結果は、『ニューイングランド・ジャー

ナル・オブ・メディスン』(New England Journal of Medicine) という非常に権威のある雑誌に結果を発表しました。驚いたことに同じ雑誌の同じ号に別の幹細胞治療、しかも自家移植、同じ病気、加齢黄斑変性の論文が隣り合って載っておりました（巻末参考資料②③参照)。これは悪い意味で、びっくりしました。おなかから取り出した脂肪の中に幹細胞が少し混じっているので、それを幹細胞治療と称して、加齢黄斑変性の方の両眼に同じ日に注射して移植したのです。それで両眼とも失明したという症例が３例もあったということです。マイアミ大学に失明した人が来て、マイアミ大学の先生がびっくりして、この論文を作られました。

日本は再生医療等安全性確保法という法律があるので、このようなことが起こる前にコントロールしていて、登録制になっています。他の国ではまだそのような法律がないので、事故が起こって初めて規制できる。日本は事故が起こる前に、例えば去年は「登録していない」というだけで逮捕者が出ました（巻末参考資料④参照)。何の健康被害も出ていないけど、医者が登録せずに臍帯血（さいたいけつ）を使ったということで逮捕者が出ている。それだけ守られている。再生医療に関しては非常にいいシステムになっております。

リスクとベネフィット

私たちの第２弾の臨床研究では、合併症として網膜の前に薄い膜が張るという、網膜上膜が生じたと発表しました。これは、この治療だけではなくて正常な人でも起こります。実は、網膜の前に薄い膜が張って、これを剥がす手術は毎週のように行っています。だから、これを発表しても大したことはないと思って発表したのですが、えらいことになりました。「iPS で副作用が出た、えらいことだ」と世界中に情報が広がりました。眼科の先生以外は、これが大したことではないとわからないので、今、世界では、もしかしたら「iPS はやっぱり合併症が出て危ない」という話になっているかもしれない。

なぜこのようなささいな合併症も発表しないといけないかというと、見張られているからですね。他の合併症も報告がだいぶ出そろいまして、ES 細胞を使った色素上皮の治療も企業が世界的に治験を行っております。

それらの論文発表では、網膜上膜は約 20％の確率で起こっています。また、ちゃんと論文でも発表されていますが、シート移植では網膜剥離も起こっているし、免疫抑制剤、ステロイドの徐放剤を眼球の中に縫い付けるのですけど、それが出てきて、もう 1 回手術する、ということを行っています。

そして、免疫抑制剤ですね。なぜ私たちがiPSを使っているかというと、免疫抑制剤をなるべく減らしたいからです。やっぱり70歳、80歳の方には、眼内炎とか、肺炎とか、下痢とか、色々なことが起こります。そのような報告はいっぱい出ておりますが、あまり皆さん知らないのですよね。なぜかというと、治験の場合、登録はされているのですが、すべてを広く発表する必要がないからです。我々は、ささいなことでも発表する義務があり、必要以上の不安を与える場合もあるかもしれない状況です。

「では、どうすればいいのか」と思われると思いますけど、それはこの後のグループ討論のときに、どうしたらいいのか考えていければと思います。その際、表に出ている情報だけではわからないことがあることも考慮していただければと思います。

我々が最初から言っていたことではありますが、色々なリスクが論文で発表され始めましたので、再生医療は細胞の危険だけを考えていてはいけない。薬だと、薬の危険だけを考えて安全を確保すればいいのですが、細胞の場合は治療全体として手術の方法が安全なのか、あるいは免疫抑制剤を使うことが安全なのか、そこまでリスクを考えないといけない。

そして、さきほど臨床研究は早く進められると言いましたが、早

く進めていいのかと言う慎重派の人はいっぱいいます。日本では特に、最初の治療をするとき、慎重に、慎重にと、ものすごく止められたのですが、それを言っていると患者さんが待っているリスク、これを大阪大学の岸本充生先生は「不作為リスク」と呼んでおられますが（巻末参考資料⑤参照)、どんどん悪くなっていく方がいっぱいいらっしゃる中で、慎重にと言って治療を先延ばしにするリスクもある。早く臨床研究を、ということなら、それはむしろ患者会のほうから言っていただくといいのかもしれません。慎重派の人は「患者さんの安全のために慎重にしなさい」と言います。だけど、それが行き過ぎると治療の機会を逸してしまうことにもつながるかもしれません。ここも議論のポイントかなと思います。

我々もリスクとベネフィットを考えていますが、慎重派の方々は「治療を行う場合は絶対に安全でないといけない」と言います。だけど、リスクがゼロになることはあり得ないので、どれぐらいのリスクなら許容できるか、皆さん自身で考えていただかないといけないですね。

我々は眼科の臨床を行っている上で、普通の臨床と比べてこれぐらいまでは許されるだろうというラインはあるのですけれども、それを医者が言っても納得してくれない。むしろ患者さんのほうは「リスク

を引き受けますよ」と言う方が多いのですけれども、それを医者がいくら代わりに言っても認めてもらえないので、患者会の役割として、どの程度のリスクなら許容できるかぜひ考えてほしいですね。

日本は先にルールを作ってしまうので、リスクがゼロでないと何もできないという考えがずっと今までありました。ただ、常にリスクとベネフィットの両方を考えて議論をしたほうがよいかなと思います。薬害とかワクチンでもリスクのことがよく指摘されますね。しかし、ベネフィットの議論なしにリスクだけを考えると、何もできなくなるし、判断を誤ってしまうこともあります。

リスクとベネフィットを考えますと、さきほど言ったように自家移植も、他家移植も、まだ世界中が「iPS は危険だ」と言っている間は、リスクは絶対冒せないですね。

たしかに視細胞が残っている人のほうが視力は上がる可能性があります。けれども、視細胞が残っている人だとリスクが大きいので、最初の症例ではそういう人を選びません。それなので、最初から視力が上がることはないですね。視力は上がらないことがわかっていてもリスクの低い人から進めなければいけない。それが治療の開発の進め方です。

ですから、最初から「効果はどうですか」と言われると、それは

治療開発をゆがめます。そこを理解していただきたい。

情報の受け取り方

　次に、情報の受け取り方について、お話しします。

今、ES から作った色素上皮のシート移植で加齢黄斑変性の人が字を読めるようになったと、世界的にすごい話題です。でも、その論文をよく見ると、眼科の中でも加齢黄斑変性の専門家でないとわからないけれども、新鮮な出血がある例ですので、放っておいても視力は上がる可能性のある症例です。それを視力が上がった、上がったというのは、ちょっと惑わせる話ですね。

もう１点、よく見ますと、視細胞の層は手術前のほうが厚くて、手術後は減っています。それは手術のせいなのか、色素上皮のシートのせいなのか私にはまだ判断できない。ですから、この治療が本当に効いているのかは、私たち専門家からすると、現段階ではわからない。視力が上がった、上がったと、過熱しないほうがいい気がします。しかし、世界的には「非常に効いた」と言われていて、インターネット上では「ミラクルだ」と称賛されてもいます。

一方で、英国の非常に慎重なチームが、やはりESから作った色素上皮の移植で網膜の感度を見ています。彼らは「網膜の感度が移植によって下がる場合があるから危ないよ」と警鐘を鳴らしています。そうしますと、インターネット上でも「危ないのではないか」と言われます。「危険性があるかもしれない」とインターネット上で流れておりますが、よく見ると５例でちゃんと網膜感度が上がっているのですね。むしろ私たち専門家から見ると、これが、色素上皮移植が効いたという初めての報告なのですが、彼らは慎重に「2例は網膜感度が落ちました」と書いているので、危ないと受け取られる。

標葉隆馬先生達が言っていますが、研究者が論文で発表した内容は、メディア上では、誇張されたり、楽観的に報道されたりする例

は少なくないのです。さきほどの色素上皮シートの人たちは、「効いた、見えるようになった」と言うからすごく盛り上がっているし、実際効いた症例を報告している人たちが「危ないよ」と言ったから危ないものだと話題になるということです。表に出ている情報は、そういうからくりになっているのです。

臨床試験の展望

さて、ここからは、臨床試験の展望に移ります。

視細胞は少し単純なところがありますが、色素上皮のほうは、どのような症例に効くか判断するのは難しい。だから、色素上皮の臨床研究をまだまだ行っていかないといけないのですが、多分視細胞移植は臨床研究を 1 回、治験を 1 回行ったら治療になるかなと思っております。

これもいつも話していることなので省略しますが、笹井芳樹先生、永楽元次先生が、お皿の中で、3D の立体網膜を作る方法を確立してくださいました（巻末参考資料⑥参照）。この立体の網膜をシート状に切って、視細胞がなくなってしまうマウスに移植しました。色素変性というのは視細胞がなくなって見えていない状態ですので、それと同じ状態のマウスに、立体の網膜シートを移植したと

いうことですね。移植後、マウスがずっと生き残ることを確認してきました。そして、ホストの本来の患者さんの２番目のニューロンとつながるということも、ずっと証明してきました。

効果不明な論文はいっぱいありますけれども、我々がとにかく確信しないと臨床には進めないと思っています。いいかげんな論文を出したら自分たちの首を締めるので、私たちは絶対怖くてできないですね。

ですから、何回も確認して、もう 10 年ぐらい確認して、移植した視細胞とホストがちゃんとつながっていることを機能的にも、形態学的にも確認していく必要があります。そして、全く視細胞がなくなって、全く目が見えないマウスが、光に反応して、逃げられるようになったというところまで、行動学的にも確認する必要があります。

その効果判定も、普通だといいかげんに「これぐらいで効いてるだろう」という統計的な操作もできますけれども、さきほどから言っているように、とにかく私たち自身が確信できないといけないので、アルゴリズムなど色々な解析方法を作って行ってまいりました。

今はもう移植した視細胞とホストがつながることは確かだろうと思っています。ものすごくうまくいくと、非常にきれいに視細胞が

移植して、残っていることがわかります。視力がどれくらい出るかは、何度も言いますが真ん中のことだけです。真ん中は、非常に特殊な構造なので視力が出ます。たくさんの錐体細胞が密に存在するのと、錐体細胞とシナプスが全部 1 対 1 できれいにつながっているわけですね。シナプスというのは、つながる結合部分を指します。その数が多ければ多いほど視力が上がると思いますので、今はどれぐらいの数のシナプスができているかを、プログラムを作って、自動的に判定して、どうしたらシナプスが増えるかを探っています。

　そして、次のことを考えて、さらなる実験を始めようとしています。臨床に行くための十分なデータはそろっておりますので、今申請をしようとしているところです。

　だけど、さきほどから言っているように、改良して改良して、いい治療にどんどん近づいていっても、完成までは 20 年ぐらいかかります。白内障手術でもそうです。だから我々もずっとリバース・トランスレーショナル・リサーチを行っていかないといけない。

　もう一つのポイントは、移植される側の網膜の状況が非常に重要だということです。あまり早過ぎても、炎症が起こっていて、移植した細胞がやっつけられてしまう。でも、あまり遅いと、もう瘢痕化しているので受け付けてもらえず、つながることができないこと

があるので、移植する時期が重要です。

移植すべき時期は、視細胞がなくなって割とすぐの頃です。同じ人の目でも、網膜の場所によって視細胞がずっと前になくなった部分と、最近なくなった部分がありますので、最近視細胞がなくなった部分に移植するのかなと思っています。

安全性がわかってきたら、その視野を少し広げる治療をしますが、これには、残っている錐体細胞を守る効果もあると思っています。この治療も 5 年から 10 年ぐらいたてば確立するのではないかなと思っています。

いよいよ臨床に入りますけれども、色素変性は他にも色々な研究開発が 20 年ぐらい並行して行われてきました。私たちも横目でずっと見ていましたが、人工網膜は一足先に FDA に認可されました。人工網膜では視力が 0.03 ぐらいまで出ていると言っているので、我々もその数字を目標にしています。

これからの治療法

最後に、肝心のこれからの治療法についてお話しします。

遺伝子治療もどんどん今は花開いています。遺伝子治療も、治験が 10 個ぐらい行われています。遺伝子治療の場合は、効くか効か

ないかぐらいの段階なので、治験が適しているということで、世界的な治験が進められています。

原因の遺伝子を治すことになりますと、視細胞が残ってないと駄目です。自覚症状がないぐらいの早い時期が一番効果的になります。ですから、原因の遺伝子を治す治療は、初期から中期ぐらいの時期が効果的です。視細胞が残っている間に治療を行い、進行を止める形になります。九州大学が行っている遺伝子治療は神経の保護ですので、進行をゆっくりにするタイプの遺伝子治療です（巻末参考資料⑦参照）。

そして、もう一つ計画されている遺伝子治療は、オプトジェネティクス（光遺伝学）といって、視細胞がなくなった後に、別の細胞で光を感じるよう遺伝子を変えてしまおうという治療です。これは視細胞が完全になくなった場合にできます。ですから、遺伝子治療も種類によって、どの時期に治療するかが変わってきます。

人工網膜は、だいぶ大きい手術で危険も大きいですので、かなり後期の人が対象になります。

視細胞移植に関しては、我々は中期と後期の間ぐらいの患者さんが対象になると思っています。安全性がだんだんわかってきたら、さきほど言ったように、最初はリスクのない人から始めないといけ

ない。その場合は効果も低い。さらにいい効果が欲しいとなると、早期の患者さんにリスクをちょっとずつ取ってもらうわけですけれども、そうしますと、視細胞移植の対象となる時期も変わってくるのかなと思います。

もう10年前、「全く何の治療法もない」という説明しかしなかった外来ですが、今、外来は忙しくてしょうがない。今日お話したことを全部話そうと思っても、すごく時間がかかります。でも、話すことがいっぱいで、いっぱいお土産を持って帰ってもらえる外来になったということでもあります。昔からすると、信じられない時代ですね。

ですので、「子どもさんの世代には、もう治療ができていますよ」という話は、慰めではなくて、私たち自身が信じていることです。

さて、続いて、治療のコストの話ですね。最初のうちはものすごく高い治療です。だけど、効果は少ない。逆転しているわけです。効果があるほうが高くて当然だけれど、早期には高いけど効かない時期があります。これをどうするか。国民皆保険でこれを行ったら絶対破産します。ですから、さきほどの先進医療、自由診療を交えて、再生医療をどうするか、仕組みを考えないといけない。どうしたらいいのか、まだ私にもわかりませんが、手探りで考えていると

ころです。

　それぞれの治療の効果がまだ十分ではないので、リハビリが必要なのはこれまで話してきた通りです。

　今、最新の機械としてはOrCam（オーカム）というのが出てきまして、これは自分の眼鏡に付けるAIの装置です。小さいライターみたいな形をしていて、指を差したところを読んでくれます。看板だと５メートルぐらいの距離まで対応できて、顔の認識では100人の顔を覚えますので、「誰それが来たよ」と耳もとで言ってくれる機械です。このようにデバイスもどんどん発達していますので、デバイスと治療の両輪で、どれを選ぶのかも患者さん自身が選択する時代になっていくのかもしれません。治療だけを考えていてはいけない時代になってきていると思います。

　ということで、今日の話はグループ討論のネタとして色々と考えていただければと思います。どうもありがとうございました。

患者が研究者のよきパートナーになるために

～倫理的観点から～

東京大学医科学研究所公共政策研究分野

武藤香織

はじめに

髙橋先生からは、非常に情熱的で、かつ夢のある治療のお話がありました。私からは、新しい治療を作っていく上での、基本的な倫理の話をさせていただきます。

お話ししたいことは大きく分けて２つです。一つは皆さんが、例えば先ほど髙橋先生がお話しになったような臨床研究や治験、その他まだ治療として証拠、経験が確定していないような新しい治療的な行為に「ぜひ協力してほしい」と言われたら、どういう態度で臨むべきなのかを最初にお話しします。

もう一つの話題は、今日の一番大きなテーマです。このような治療開発を行っておられる先生方のよきパートナーに皆さんがなって、いい研究開発を一緒に進めていくために何をしたらいいのかをお話ししたいと思います。

臨床研究・治験への参加を検討するときの心がまえ

最初のお話は、皆さんがもしも「まだ治療法が確立されていないけれども、これからの患者さんのためにきちんとしたデータを取得したいので、ぜひ研究に協力してほしい」と先生から言われたときの話です。つまり「臨床研究に参加してほしい」とか、「よかったら治験に協力してもらえないか」と言われたときの話です。

臨床試験と治療、あるいは治験と治療は、皆さんから見るとあまり差がないかもしれないです。病院に行って、いつもの先生にも会うかもしれませんし、それから、「いつもよりちょっと丁寧に検査してくれるな」とか、「いつもより優しくしてくれるな」と思うことがあるかもしれません。先生から「ありがとう」と言われることもあると思います。

「ありがとう」と言われるのが嬉しくて治験に協力している方も実際いらっしゃいますけれども、なぜ、お礼を言われるかというと、皆さんがちゃんと研究の計画どおりに通院して検査を受けてくれて、データを取ることに協力してくれていることに「ありがとう」と言われているのですね。

それは、あなたのために行う治療と、将来の患者さんのために行う臨床研究や治験は全然違う目的のものだからです。その将来のた

めに協力してくださっていることに対してお礼を言われているのです。

　ですので、治験や臨床研究に誘われるのは、最先端の治療をいち早く受けられるという意味で捉えないでほしい。それを、ぜひ今日は必ず持ち帰っていただきたい。

　髙橋先生は、その辺りをいつも非常に慎重に表現されています。最初の自家移植のときも、ライト兄弟が最初に飛行機を飛んだぐらいの距離にしかまだいないということをお話しされていました。治験や臨床研究はとにかく、「協力すれば私のためになる」と思うこと自体が絶対に間違いです。気を付けてください。

　医療者と一緒に、将来の患者さんたちのためにデータを届けるという気持ちで協力してほしいなと思います。

被験者となるために知っておきたい５つのこと

　では、ここで、もしもそのようなお誘いを受けたら何を考えたらいいのかを５つ申し上げます。

インフォームド・コンセント

1点目は、インフォームド・コンセントです。

これから行う臨床研究や治験について、丁寧にわかりやすく説明を受ける。そして、それに対して、誰からも強制力がない状態で、自分で意思決定をする。この一連のプロセスを、片仮名で面倒くさいですが、インフォームド・コンセントと言います。

治療の選択をするときも、同じように丁寧に説明を受けて自分で意思決定をすることは必要ですけども、治験の場合はそれが皆さんの治療のためではなくて、将来の治療の開発のためにすることだから、インフォームド・コンセントがより重要なのですね。よく考えて決定してもらわないといけない。

純粋に「よく説明を聞いて自分で決めればいいんだ」と思うかもしれないですけれども、実際は結構大変だと思います。例えば、髙橋先生が皆さんのところに直接訪れて、「これから視細胞の研究を始めるから、ぜひ協力してくれ」と言われたら断れないですよね。私だったら断れないです。皆さんも、このような熱い講演を聴いた後で、直接研究者が乗り込んできて、「こんな大切なことを行っているから力を貸してくれ」と言われたら断れないと思います。

でも、これは実はあまりいいことではないのです。断りやすい環

境を、ちゃんと作ってもらわないといけない。研究に協力するときには、断りやすい環境を作りつつ、皆さん自身でしっかり判断をすることがすごく重要だし、考える時間をゆっくり持つことも大切になります。まず、これが１点目ですね。

報告と質問をする義務

２点目です。臨床試験や治験が始まってから「体調がちょっと変わったな」とか、「なんとなくわからないことが出てきちゃったな」ということもあると思います。これらを気付けるのは皆さんなので、皆さんのほうに、医者へ報告する義務、または質問する義務があります。「協力すると言っちゃったし、もう始まっちゃったから我慢しよう」という人が日本には結構多いですね。我慢強い患者さんが多いです。先生に「ありがとう」と言われるのも嬉しいし、あまり先生を悲しませる報告をしたくないと思うのか、言いたくないと思ってしまう人がいるのです。

実は真面目な研究者は、そのような報告こそありがたいと思うと思います。「ああ、こういうことが起きるのか、こういう変化があるのか」ということを、絶対報告してほしいと思うと思います。なので、「先生のおかげで本当に治った気がしました」とか思っても

いないことを言うほうが迷惑です。

正しい反応を教えてほしいので、報告をする義務、質問をする義務というのは、皆さんにも発生しますよというのが２点目です。

治験途中での参加の取りやめ

３点目は、一度「協力します」と言ったとしても、途中で「やっぱりやめます」と言っても全然構わないということです。なぜかというと、皆さんは今まで行ってきた治療を１回中断してこの研究に協力していただいている。しかも将来の患者さんのために協力していただいているという事情もあるので、何かあったら、それは申し出てもらってもいいのです。

ただし、髙橋先生に直接言いに行くのはすごく勇気がいると思うので、直接言わなくてもいいようなシステム、そして人材がいます。それはまた後ほど紹介します。

研究に参加する上で、守っていただきたいこと

４点目です。「何とかこれは続けよう」「続けられる状況だな」と思ったら、臨床試験や治験の期間中は定められた回数の通院、検査、それから生活上の制限は、皆さんにはきちんと守ってもらわないと

いけない。なぜ守らないといけないかというと、いいデータが出ないからです。必要なデータをきちんと出すことができないからです。

皆さん自身も、自分の体を使ってデータを出すという意味で、研究の重要なパートナーです。ただ単に言われているから病院に行くだけではなくて、皆さん自身もしっかり自分の体を観察して、いいデータを出すという気持ちを持って協力していただかないといけない。いいかげんな協力の仕方になると、かえって全部台無しになってしまうことがあるので、ぜひ守っていただきたいと思います。

参加した研究の進捗を聞く権利

最後、５点目です。研究に参加された方々は、一定の通院の期間が終わった後、「あの研究どうなったのかな」という疑問を持たれると思います。しかし、通院後の研究の進捗について全然報告がないのが今までの日本の研究体制ですね。

特に企業が行っている治験については、企業は色々な秘密を守らなければいけない事情もあるので、研究に参加した方々は、それがお薬になったのかどうかなど、そのあとの展開を知る機会がなかなかありませんでした。でも、皆さんにはそれを聞く権利があります。あるので、ご自身の通院期間が終わったとしても、全体の研究期間

が終わった後、その研究がどうなったかは、ぜひ率直に質問していただきたいと思います。

臨床試験コーディネーター（CRC）の役割

　ということで、この５点が大事だと申し上げましたが、これを独力でやり遂げるのはとても大変なことです。ですので、そういうことを助けてくださるのが臨床試験コーディネーターです。治験コーディネーターと言ったり、CRC と言ったりもします。私は臨床試験コーディネーターさんとお呼びしていますが、皆さんと研究者や医者の間をつなぐ役割の方です。

　今日もいらしていただいているので、ご紹介したいと思います。東京の会場にも、札幌の会場にもいらしていますし、神戸にも来ていただいています。代表で、国立病院機構の森下典子さんを紹介します。

森下：皆さん、こんにちは。国立病院機構本部の森下と申します。よろしくお願いします。

武藤：臨床試験コーディネーターさんは、どのようなお仕事をされているのですか。

森下：皆さん、耳なじみがあまりないと思いますが、臨床研究コーディネーターというのは、皆さんが「臨床試験や治験に参加しませんか」と声を掛けられたときに、医師は外来でゆっくり丁寧に治験について説明する時間がなかなか持てないので、私たちが医師に代わって臨床試験や治験の内容や仕組みを丁寧にわかりやすく、時間をかけて説明しています。

　その結果、お断りになってもいいですし、良ければ参加していただくことになります。参加するとお決めになった方には、治験や臨床試験が終わるまで、スケジュールであるとか、薬の飲み方であるとか、ささいな質問にも答えていきながら、安心し納得しながら進められるようにサポートさせていただく仕事をしております。

　その結果、お断りになってもいいですし、良ければ参加していただくことになります。参加するとお決めになった方には、治験や臨床試験が終わる最後まで、スケジュールであるとか、薬の飲み方であるとか、ささいな質問にも答えていきながら、安心し納得しながら進められるようにサポートさせていただく仕事をしております。

武藤：教科書のような完璧な回答をありがとうございます。普段、どのような質問を受けますか。ささいとは、どれぐらいのレベルまでささいでいいのですかね。

森下：例えば、ささいな質問ですと、研究計画書で決まっている来院の日にちで、「このとき家族と旅行に行くので都合が悪いのですが、どうしたらいいですか」とか。受診の日付の調整であるとか、「お薬を飲み忘れたらどうなりますか」とか、「町の薬局でお薬を買うときにどうしたらいいですか」といったご相談が多いですね。

武藤：そうなのですね。今日お越しいただいている皆さんには、臨床試験コーディネーターさんがいらっしゃる病院を選んでいただきたいなと思います。こういう方々がいないと、なかなか皆さん方だけでは臨床研究とか治験の期間を乗り越えていくのは大変です。ですので、臨床研究コーディネーターという存在がいることを、ぜひ覚えておいてください。臨床試験コーディネーターさんって、色々な呼び方がありますよね。

森下：一般的には臨床研究コーディネーターと言われているのですが、英語で言うとクリニカルリサーチコーディネーターと言います。臨床研究のことを英語でクリニカルリサーチと申しますので、その頭文字を取って CRC とも呼びます。患者さんもよく CRC さんと呼んでくださいます。あとはコーディネーターさんと呼ぶ人も多いですね。

武藤：コーディネートする人がいてくださることが重要です。その

ような人がいないか、病院の中を探していただくといいですよね。これが、実際に研究に誘われたときのために、皆さんに知っておいていただきたいことです。

以上です。ありがとうございました。

グループ討論「研究者のよきパートナーとなるために患者がすべきこと、できることは何か？」

武藤：今から、グループ討論に移ります。何のお話をしていただきたいかといいますと、まず、髙橋先生と私がお話しした内容、それから CRC の森下さんのメッセージなどを踏まえて、よくわからないことや気になること、感想などを話し合ってみてください。

その後、今日の大きなテーマである、患者は研究者のよきパートナーとなるためにどのようなことをしていけばいいのか？患者にはどのようなことができるのか？ということを話し合ってください。髙橋先生のお話にもありましたが、例えば、患者目線でのリスクの許容範囲や、報道をはじめ情報との付き合い方といった話題は、ぜひ研究者も知りたい内容ですので、ぜひ後半パートで議論していただきたいと思います。

　今回のワークショップは最先端の取り組みだと思います。すぐに結論が出る内容ではありませんけれども、色々なアイデアをぶつけ合う機会は少ないと思いますので、ぜひ話し合ってみてください。

グループ討論「研究者のよきパートナーとなるために患者がすべきこと、できることは何か？」発表会

武藤：それでは、時間になりましたので、グループ討論の結果を発表していただきます。今から、各中継地に回して、そこで発表していただくことにしております。発表順は、最初に東京会場、その次に札幌会場、そして最後に神戸会場という順番です。

東京会場と札幌会場ではすでに入念な打ち合わせが行われ、どこのグループが発表することになったのか決定していると聞いております。どのような駆け引きが行われたのかわかりませんが（笑）。神戸会場は、佐々木会長にくじを引いていただいて、ラッキーなグループがいくつか選定されることになっております（笑）。

それでは、東京会場の皆さんに発表をお願いしたいと思います。

【東京会場　1班】

A：東京の第1班です。メモを取ってくださった方がいましたが、私は視覚障害があり、メモが見えませんので、自分の感じたままをお話しします。

まず、先生方の講演に対して出た質問として、今後予定されている臨床研究や治療の具体的なスケジュールを確認したいという声が

ありました。

次の質問として、臨床研究や治験の実施場所はどうしても神戸が中心になってくるので、例えば患者側が参加したいと思っても、例えば交通費や時間の面で厳しい人がいるのではないかという意見が出ました。そのため、色々な医療機関と提携して、神戸以外でもデータを取っていく連携をしてもらえないかという声がありました。

それと、臨床研究や治験に参加するとき、どのくらいのお金がかかるのかという質問が出ました。80 代の女性が、最後のご奉公でぜひ参加したいと話していましたが、このように積極的に関わりたい方もいらっしゃるので、教えていただきたいと思います。

後半の討論テーマである、患者は臨床研究のパートナーとしてどうあるべきかですが、第 1 班では、患者が取れるリスク、取るべきリスクを中心に議論しました。よくなるのであれば積極的に参加したい方がほとんどでしたが、その一方で、リスクが不確かな中では研究参加が難しいという意見もありました。

ここで少し、私自身の意見を申し上げてもよろしいでしょうか。私は、右目の視力がまだ少し残っていまして、この視力を何とか温存したいと思っています。そのため、視力が温存できない可能性がある場合、リスクが高いと感じます。逆に、左目はもうだいぶ見えて

いないので、こちらを研究に使ってもらうのはいいかなと、非常に身勝手な話ですが、そのような感想を持ちました。

東京会場、第１班の発表は以上です。

【東京会場　２班】

B：東京会場、第２班です。

まず、１つ目の討論テーマでありました、先生方の講演に対する感想や質問に関してご報告します。研究者の皆さんが、それぞれ色々な分野で活躍されていることはとても嬉しいのですが、患者さんにとっては、研究成果を含めた情報にアクセスしづらくて、手探り状態だそうです。まとめて案内してもらえる仕組みがあればとてもいいなという感想がありました。

医学が進歩して、治療に対して少し期待が持てるようになった面もありますが、やはり治療が本当に普及していくのかという気持ちもあるので、少し歯がゆい思いもあるという感想もありました。

次に地域的な問題もあります。今は、神戸アイセンターが中心となって臨床研究を進めていますが、どうしてもそこまで通えない方もたくさんいらっしゃるので、そういった拠点を色々なところに作ってほしいという意見もありました。

また、質問も一つ上がりました。治験や臨床研究に参加した場合の、患者さん側のコストについて詳しく知りたいという内容です。

２つ目の討論テーマは、患者さんは、臨床研究のパートナーとしてどうあるべきかというものでした。まずリスクについて話し合いました。治験や臨床研究に、自分だったら参加するかしないかという話をしたのですが、どちらの意見もありました。人それぞれに背景や現状が違いますので、個人的な状況によって参加したいかどうかの判断が決まっていくのかなという意見でまとまりました。

次に、情報の扱い方についても話し合いました。治験や臨床研究に参加する場合に、患者さんとしてどうしたらいいのかわからないという意見がありました。例えば、守秘義務についてもっと知りたいとのことです。それから、情報がたくさんあって、どの情報を信用していいのか大変わかりにくいという声も上がりました。

武藤：ありがとうございました。それでは、札幌会場の方、発表をお願いします。

【札幌会場　１班】

C：札幌会場第１班、発表させていただきます。

大きく分けて２つのことを話し合いました。最初に、講演の感想を中心に話しました。次に、臨床研究への参加の声が掛かったらどうしたらよいかを話し合いました。

まず、講演の感想です。第１班の皆さんはお仕事をしている方がほとんどで、今の目の状態をどうしたら維持できるかも含め、同じ病気の人の将来を考えて臨床研究に参加したいという声がありました。今回、CRC さんの仕事の内容を初めて知った方もおりました。臨床研究に参加する際も、CRC さんがいれば、研究の内容や、自分がすることをよりよく理解できるのではないかという意見がありました。

次に、臨床研究への参加の声が具体的に掛かったらどうしたらよいかですが、一つは、自分で判断することが大切だという話が出ました。けれども、主治医の先生から直接声を掛けられたら、実際、断るのはとても難しいという意見もありました。それから、すぐにはやっぱり答えることはできないので、考える時間はとても大切という声もありました。

臨床研究への参加に関して要望が２点あります。それは患者と研究者のよりよい関係を築く上でも大切なことだと思って発表します。１点目は、CRC さんがいたとしても、すぐに自分で判断する

のは難しいので、個々の見え方に合った資料を作成して渡してほしいということです。それがあれば、私たちもじっくり考えることができるという話が出ました。

２点目の要望は、リスクに関することです。病状が悪化したり、副作用が出たとしても、視覚障害者の方々はこれまで通りの生活をしていかなければいけません。ですので、例えば前よりも見えなくなってしまった、歩行ができなくなってしまったときに、視覚障害リハビリテーションをもう一回受けられるとありがたいです。研究する側の人たちも、そのような仕組みを作って、具体的に色々な支援につなげてほしいという要望が出ていました。

札幌会場、第１班からは以上です。

【札幌会場　４班】

D：札幌会場、第４班です。

まず私たちの班では、先生方のお話を聞いて、わかったこと、わからなかったことを話し合いました。わかったことは、例えば治療と治験の違いです。治験とは、最先端の医療を受ける機会だと誤解していた方がいました。

わからなかったことは、次のようなことです。臨床研究や治験に

は、どういう人が選ばれるのか。それらに手を挙げる人がどれぐらいいるのか。参加してもらう患者さんを選ぶ基準がわからない。参加したいけれども、どうしたらいいのかわからないといった声が上がりました。

臨床研究や治験に関する情報の入手方法として皆さんがされているのは、先生に聞いたり、インターネットで調べたり、JRPS のニュースレターを読んだり、あとは神戸アイセンターから情報を入手するということでした。ただ、今、色々な情報が出回っているので、どの情報が信用できるのか判断することが難しいという声もありました。

「患者さんが研究者のよきパートナーとなるためには」という討論テーマですが、第 4 班からは、自分自身覚悟を持って参加することや、リスクなどについて自分たちも勉強する努力が必要という意見が出ました。あとは、先生からお声掛けいただいても、もし自分に合わないのであれば、断る勇気も必要だという話にもなりました。以上です。

武藤：では、最後に、神戸会場からは第 16 班、第 17 班、第 19 班、3 つのグループにご発表いただきたいと思います。

【神戸会場　16 班】

E：神戸会場、第 16 班です。よろしくお願いします。

まず、講演の感想を要約いたします。髙橋先生のお話は何度も聞いたことがあるけれども、どんどん言葉が現実味を帯びてきており、とても希望が持てましたという意見が多かったです。すぐに良くなるとは思いませんが、光や希望を感じられました。

また、インフォームド・コンセントなどのお話を聞いて、治験や臨床研究に参加したとしても、途中でやめてもいいのだと初めて知ることができて良かったですという声もありました。

もし自分が治験や臨床研究の対象になった場合にどうするかという話では、そのときになってみないとわからないという意見もありましたが、多くは未来のために役に立つのであれば参加したいという意見でした。やっぱりちょっと人体実験的なイメージもあるけれど、データを取ることは必要だし、患者としても、治験や臨床研究のことをもっと理解していかないといけないという意見もたくさん出ました。ただ、自分が参加したいと思っても、通院などにはヘルパーさんや家族のサポートが必要になるので、1 人ではやはり決められないという声もありました。

リスクをどこまで許容できるかという話では、やはりリスクが高

かったら積極的に受けたいとは思えないかもしれないという方もいた一方、リスクが五分五分なら考えますが六対四なら行ってみたいですという方もいました。

神戸会場、第 16 班からは以上です。

【神戸会場　17 班】

F：神戸会場、第 17 班です。

まず、治験や臨床研究の参加について協力を求められれば、信頼する先生にはぜひ協力したいと皆さん言っておられました。その中で、「自分はもう年老いて先が短いから、リスクがあっても治験や臨床研究に協力したい」と話す方もいらっしゃいました。ただ、若い人は、違う意見の方もいるかもしれないという声も上がりました。

また、治験、臨床研究には参加したいけれども、どうすれば参加できるのかわからないので、とにかく情報が欲しいとのことです。それについては、討論の中で、主治医の先生が治験や臨床研究を行う研究者とつながりを持っておられる場合もあるので、先生に相談したらいいのではないかという意見がありました。

目以外に病気を持っていたら参加できないのではないかという意見もありましたが、研究に参加するには確かに基準があるけれど

も、参加するにあたり健康状態は非常に重要な情報なので、とにかく先生にしっかりと伝えることが大切であるという意見が出ました。

あと、参加するにあたっては、いいことばかりではなくて、ありのままのことを先生に言わないといけない。「こんなことを言ったら悪いかな」と思わずに、自分の状態をしっかりと先生にわかってもらえるように話さなければいけない。そのような意思疎通が非常に大事であるという意見が多く聞かれました。

インターネットでは情報が非常に多く出ていますけれども、相当怪しいものもあって、疑わなくてはならないものも多い。JRPS の情報が一番信頼できるので、もっと情報を出してほしいという意見がありました。第 17 班からは以上です。

【神戸会場　19 班】

G：神戸会場、第 19 班です。治験への参加を考えたとき、自分にリスクがあると、やっぱり参加できないという人が多かったです。被験者の方が参加しないと医療が進まないので、そういう面が問題だと思いました。

質問として、治験や臨床研究に参加すると、日常生活がどこまで

規制されるのかという声が出ました。第19班からは以上です。

武藤：ありがとうございました。発表はここまでにさせていただきます。それでは、これからまとめに入ります。髙橋先生、有松靖温理事、武藤からそれぞれお話ししたいと思います。

まず、髙橋先生から、今まで出てきた質問にお答えいただいたり、意見を言っていただきたいと思います。よろしくお願いします。

髙橋：このように、患者さんの生の声を聞ける機会は、私たち研究者にとって本当にありがたいかぎりです。外来で聞いてはいるのですが、やはり本音で言っていただくことが非常に重要ですので、よい機会になりました。なかなか、外来の場では私には言えないこともあるのかなと思います。

少し講演を振り返ると、一番最初に話したのは、今までの治療や薬でしたら、企業の人がずっと何十年も開発して、治療法が確立されて、承認されて販売となった後に、初めて患者さんに情報が届くわけですね。つまり、病院で初めて「この薬ができました、使いますか」と患者さんは聞かれる。

けれども、再生医療の場合は、もっともっと早くに情報が社会に出てしまっているために、まだ全然治療にはない段階で、皆さんは

もう情報に触れている。これは、いいことでもあり、問題でもある。いいこととしては、一緒に治療を作ることについて、JRPS のように考えてもらえるからです。ただ、問題点としてよく出てくるのは、やはり、臨床試験と治療を分けて考えられないことです。なので、先ほどの発表で出ていた質問の多くにも、「臨床試験と治療は違う」と、お答えしたいなという気持ちもあります。

それでは、いただいた質問にお答えしていきたいと思います。まず、臨床試験に参加する患者さん側のコストが出てきましたね。患者さんの払うお金については、何回も言いますけど治療ではありませんので、患者さんがお金を払うことはありません。患者さんの体から出てくるデータを、こちらがいただいているのであって、お金を払って治療してもらう行為とは全く逆の話であるということです。

次に、どうすれば臨床試験に参加できるのかについてです。ただ、まだ、効くかどうかを試している段階でさえないです。安全かどうかをまず見るという段階を、５年ぐらいかけて、やっと加齢黄斑変性という病気の方で確認したところです。ようやく、次に、効くかどうかを試すところです。

それが終わって、ここから２年から５年ぐらいかかって、初めて加齢黄斑変性の治療と呼べるようになるわけですね。だから、1

例目をやりましたという段階から、やっぱりトータル10年ぐらいかかります。

視細胞、つまり色素変性のほうは、これからがその１例目の方で、安全かどうかの確認が始まりますので、まだ全然治療の段階ではない。効くかどうかを聞かれても困るという状況です。

３万人ぐらい網膜色素変性の人が日本にいると言われていて、その中で、多分これからやる臨床研究に参加してもらう人は５～６人ですね。だから、全国から募るかというと、それはなかなか難しい。

神戸以外でも行ってほしいと言われるのですが、それは難しい。なぜなら、参加者がばらけるとすごくお金がかかってしまうからです。実は、こういう臨床研究というのは、１人１人のデータをもの

すごく厳密にモニタリングして、正しいデータとして集まっているか、確認しながら進めます。モニタリングするだけで、患者さん１人当たり、何千万円もかかります。

１～２人の患者さんのデータをきちんと管理するのと、５～６人を管理するのでは、それほどコストは変わりません。ただ、データをきちんと管理するのには､数千万円かかるわけですね。ですので、病院がばらけてしまうと、それぞれの病院で１人数千万円ずつお金が必要になり、全体でものすごくお金がかかってしまう事情があります。

だから、３万人の中の５～６人を募る際は、もう神戸だけとか、多くても２つの病院とかになってしまいます。近くで行ってほしいというのは、治療になったら言っていただいたらいいのですが、臨床試験の間はそれは無理です、とはっきり申し上げておきます。

それから、臨床試験に参加しながら働いていても大丈夫ですかとか、色々な制限はありますか、という質問もありました。それは、データを取るために、１カ月後、３カ月後、と必ず来ていただけるという約束の下にやりますので、それができる方が条件です。研究参加者として「今日は仕事が休めなくなってしまったので、３カ月目のデータはスキップしてください」と言われると、それは研究参

加者の責任として困ります。そうすると、数千万円とお金をかけて、私たちが 10 年間行ってきた研究が、そこでデータが取れなかったという話になってしまって非常に困ります。ですので、参加できる方は、しっかりデータを取れる状況にある方ということになります。

それと、どのような方が参加できるのかと多くの方から質問がありました。これは、病院のホームページで情報を出しています。1 次情報なので、私たちの臨床試験に関しては、病院のホームページが一番正しい。 条件も結構書いてあります。 これだけ患者さんが「どこを見たらいいの」と言っているので、患者会として、もうちょっと臨床試験に関する周知を頑張っていただきたいなとも思います。

ご自身が参加したいと思っても、条件に当てはまるか、当てはまらないかの判断はすごく厳密なので、そこは医師にしかわからないです。ですから、自分から「参加します」と言われても困ってしまいます。紹介状という形で、お医者さんに、この方は当てはまると判断してもらった方に応募していただく形になっております。

条件についてもう少し話すと、臨床試験は治療ではないので、他の病気のない方が第一の条件になります。特に、目に他の病気が重なっていないのは最低限の条件です。私が講演で話したように、この時期の患者さん、あるいはこの時期の網膜の状態、と条件ははっ

きり決まっていますので、参加したいからとか、視力がどうだから、ということだけでは参加いただくことは難しいです。

やっぱり、遠くにいる方がなかなか臨床試験に参入してもらいにくいことはあるにしても、「参加するとしたらどうだろう」と考えてもらうことがすごく重要です。今日の会がありがたかったのは、やっぱり自分事として考えていただきたいと思うからです。また、臨床試験と治療は違うということをはっきりわかっていただくこともすごく重要です。患者会はいつも「私たち、何をしたらいいでしょうか」「応援します、何かします」と言ってくださるのですが、臨床試験と治療をみんなに区別してもらえれば、こちらはものすごく助かるので、ぜひそこをお願いしたいです。今回のようなワークショップを通じて、臨床試験と治療の区別や理解がだんだん広がっていくのが非常に嬉しく、私たちの助けにもなります。

臨床試験と治療を混乱した状態で受ける質問は、やはり非常につらいものがあります。自分の状態を治したいと思う方は、治療になるまで待ってくださいということですね。臨床試験と治療を混同しないでください。もうそれが唯一のお願いですね。

武藤：ありがとうございました。臨床試験に参加する気持ちとして

は、発表の中で何度か出てきましたが、もう高齢だから最後のご奉公と思って使ってほしいという、あの感じが大切ですね。つまり、自分のためと思って行うことではない、ということなんですよね。そこを理解するのはやっぱり難しいかなと思います。

なので、正直、患者さんからしたら、本音は、リスクがなかったら参加したいけど、リスクがあるなら参加したくないのは当然だと思うのですが、そういうお気持ちで参加すると、後でつらいことになってしまうかもしれないので、しっかり事前に考えていただけたらなと思います。

髙橋：ちょっとリスクについて補足します。私たちも、リスクについてはものすごく考えていますので、許容できないようなリスクをお願いしているつもりはありません。

だけど、どのような治療でも、普通に行われている手術でも、最悪見えていた目が見えなくなるリスクはあります。ですから、「リスクはゼロでないといけない」と言われると、それはもう何もしないのがベストということになります。普通の眼科治療も、全くしないのがベストです。普通の手術であってもリスクはもちろんあります。見えていた目が全く見えなくなるというリスクも、1％よりももっと低いですけれども、あるということです。リスクはどのよう

な手術を受けるときでもありますので、ぜひこの点を踏まえて考えていただきたい。

さらに付け加えると、「この治療だから危険」ということは、もう極力ないようにしてあります。ただ、最初の症例、つまりiPS細胞の世界初の例というのは、最悪腫瘍になって、がんの細胞になると信じ切っている方も世界にはいっぱいいました。私たちは、そのようなことはないと信じていましたけども。なので、目が見えなくなるどころではなくて、転移して命を失うというリスクまで説明はしておりました。「ゼロでないリスクは全て話せ」と言われていたのでお話ししましたが、それもどうかなと思います。

もちろん私たちは確率としてはほぼゼロだと思ってますけど、リスクはゼロではないという説明をいたしました。1例目の方は非常に悩まれましたけれども、色々な説明を何回も聞いてくださって、「参加する」と勇気を出してくれた。それぐらいの覚悟で参加していただいたということですね。

だから、参加できる資格の一番は、理解できることです。だから、治療と臨床試験の区別がついてない人は、まず無理かなと思います。

武藤：ありがとうございました。今の髙橋先生の解説を受けて、東

京、札幌、神戸とそれぞれの会場で何か新しい質問や意見がないか伺ってみたいと思います。
どなたかいらっしゃいますか。

H：臨床研究への参加者は５～６人と伺いましたが、今の段階で、どなたが参加するかは決まってるんでしょうか。それから、次の予定はどうなってるんでしょうか。
髙橋：すみません、誤解を呼ぶような発言をしました。視細胞、網膜色素変性の方については、まだ始まってもいない段階です。来年ぐらいから始めたいですが、まだ全く決まっていないです。
　参加したい方は、主治医に紹介状を書いてもらいます。神戸アイセンター病院のホームページに、条件とか、どういう情報が必要であるか、全部書きます。まだ載せていないのですが、加齢黄斑変性のときもこのような形で進めたので、恐らくそうなります。

武藤：では次の方、どうぞ。

I：私からはコメントです。皆さんと一番話し合ったのは、パートナーって何だろう、ということです。横文字に弱い年代ですから、

パートナーって一体何だろうと思いました。患者と研究者はパートナーになれるのだろうか。それが一番のわが班の疑問でした。このような場をもっともっとたくさん設けていただきたいなと思いました。ありがとうございました。

武藤：素晴らしいコメントでした。最後の、そもそもパートナーになれるのかと言われて、こちらも苦笑いしておりました。非常に鋭い本質的なご指摘、ありがとうございました。では次の方、どうぞ。

J：患者会のあり方に関することで、前から思っていたことをお話しします。髙橋先生の講演内容そのものは、もう何年も前から同じことを話されています。けれども、それを理解している方がどれだけいるかというと、実はそこまでいないと思います。そうだとしたら、もう少し患者会がかみ砕いて補足説明しないといけないなと思いました。

　だから、「治療と治験は違いますよ」と、髙橋先生に言っていただいて、「ああ、そうなんだ」と気付く方がいる。やはりそこは患者会がかみ砕いて、わかりやすいような形で色々な方に手ほどきをしてご理解いただけるような話ができたらいいと思いました。以上です。

武藤：ありがとうございます。では、満を持して、有松さん、コメントをお願いします。

有松：JRPS の有松です。よろしくお願いします。
まず一つ、最初に言いたいのは、このような会をもっと行ってほしいという声があったことは、企画の一端を担った者としてはすごく嬉しかったです。

あと、これはぜひ持ち帰っていただきたいことなのですが、「治療と臨床試験は違いますよ」と何回も言っているつもりですけれども、髙橋先生が実際お話になって初めてわかったという方が多い。やっぱり、これは具体的に例を出しながら話していただいたからこそ、わかってもらえたと思うので、そういう意味で、今回の会はとても良かったと思います。

このような情報発信の一端を僕らは行っているつもりですけれども、これからもしっかりやれと、背中を押されたと受け止めました。

今回、患者と研究者がパートナーになるためにはどうしたらいいかという、なかなか難しいテーマを頂戴しました。自分自身もなかなかこうですよと言えないですね。ただ、やはり一つ言えることは、賢い患者になるということです。先生の話を聞き、実際に行われて

いる臨床試験や制度を知り、それから実際に臨床試験に参加するときに起こることをある程度知っていないといけないと思います。今、会場からのお話の中でも、「どうやったら参加できますか」とか、「なかなか遠いから参加できないです」とか話がありましたけど、参加すると決まった後のことはまだ考えていないわけですよね。

今日は、参加するとしたらどうするのか、半日皆さんに考えていただいて、すごく意義があったと思います。どうやったら参加すると決められるのか、決めたらどうするのかを考えてきました。例えば、説明同意文書や、インフォームド・コンセントというものがあります。ちょっと見せてもらうと 30 ページも 40 ページもあって、「何これ、すぐサインできませんよ」という内容がいっぱい書いてあるわけです。なので、やはり「あらかじめ知識を蓄えて、勉強してくださいね」と皆さんに申し上げたいです。そして、参加を決める段階になったら、その日に「はい、やります」と言うことだけはやめてほしいです。つまり、うちへ持って帰って、よく内容を考えて、わからないところは CRC さんなり、先生に納得いくまで聞くという手続きがどうしても必要です。最後に参加を選択する段階ではぜひそうしてほしいと思います。

患者にできることは何かという問いがありましたが、賢い患者に

なって、臨床試験を成功させるということですね。よくわかっているからこそ、試験の決まり事が守れるし、成功させることができると思います。だから、やっぱり良いパートナーの第一条件は、よくわかって参加することだと思います。

もう一つ、今日は、患者の立場から考えるとか、患者からのアプローチということがうたわれています。「患者の立場とか、患者からのアプローチって、何だろう」と思う人が多分ほとんどと思いますが、今申し上げた、賢い被験者になることに加えて、多分今回はあまり話題にならなかったというか、まだ僕らも全然わからない部分がありますので、それをお話しします。今日は、被験者になったらどうするか、つまり自分が参加するかしないかということを一生懸命考えました。ただ、さきほど髙橋先生がおっしゃったように、例えば、何万人に５人しか参加できないとすると、ほとんどの患者は、実際の臨床試験には参加しないわけですね。参加しない患者にどんな役割があるのかを、ちょっと考えてほしいと言われています。なかなか回答できませんが、１つは、隣の人が被験者になるときに、自分はその方に何かしてあげられるのかしら、すべきかしら、と考えることだと思います。そこもよく話してみないといけない。あまり余計なことを言うと臨床試験の成績がゆがむからやめたほう

がいい、一切手を触れないほうがいいと言う方もいます。いや、心配だからその人の立場になって相談に乗るべきだと言う方もいて、色々な人がいます。だけど、これからどんどん被験者が増えてきたときに、では、周りの人は何をしたらいいかなということをみんなでちゃんと話したことはあまりないですね。

今回は、患者の立場として、被験者の立場をメインに考えたけれども、そうではない人たちの役割が絶対あるはずです。今後はそれも一緒に考えていきたいなと思っています。

武藤：ありがとうございます。私からも一言だけ。

今日、長時間にわたってたくさん色々な議論や意見交換をしていただいたことを大変ありがたく思っております。本当にありがとうございました。

とにかく、わかりやすく色々な情報が欲しいというご要望をたくさんいただいたように思いますけれども、臨床試験の話は簡単ではない、というところが難しくて、多分、わかりやすく解説しても難しいです。なので、わかりやすさばかりを求めていくと、いい情報に出会えなくなってしまうかもしれないので、考えることを諦めないでほしい。わからなくても考え続けたり、理解しようとする気持

ちをぜひ持っていただきたい。

そうすれば、髙橋先生がおっしゃっていたように、臨床試験と治療の区別ができるようになると思います。そうして初めて、臨床試験に参加する資格というか、第一歩を得られるということもあります。

なので、誰もわかりやすく解説してくれないから、もうしょうがないという気持ちにぜひならないでいただきたいなと思います。私は色々な患者会とお付き合いがありますが、JRPS さんは本当にこの研究開発に関して一番熱心に取り組んでいる団体だと思っておりますので、どうかそのリーダーの下、皆さんもぜひ輪を広げていっていただきたいなと思っております。

私からは以上です。では、これにて、ワークショップは終了します。

閉会挨拶

JRPS 兵庫　伊藤節代

皆さん、今日は長い時間ありがとうございました。お疲れさまでした。いっぱい勉強したと思います。私も、色々なことを考えることができました。わかりやすくお話しいただいた髙橋先生、武藤先生、本当にありがとうございました。

また、各会場に足を運んでいただいています CRC の皆さんにも大きな拍手をお願いいたします。ありがとうございました。

そして、東京会場、札幌会場、神戸会場にお越しのボランティアの皆さん、ご協力本当にありがとうございました。地方にはなかなか情報が届かない、という声からこうして北海道と東京と神戸で中継することを企画しました。これは、すごく画期的な事と思います。これからも頑張って続けたいと思います。

それから、神戸会場で書記をしたり、参加者の移動のサポートをしてくれました神戸総合医療専門学校視能訓練士科の皆さんも、本当にありがとうございました。

それでは、これをもちまして「JRPS ワークショップ 2018 in 神戸」を閉会いたします。

グループ討論内容の紹介

当日発表した班を除き、札幌会場、東京会場、神戸会場の各班にて出た討論内容を、グループ番号順にご紹介します。

【札幌会場　第２班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 臨床試験と治験の違いは。
- 視神経そのものを回復させることはできるのか。
- 治験と臨床研究にどのような人が関わっていて、どれくらい、そしてどんなふうにお金が使われているのか。
- どのような人が参加できるのか。研究に参加する人は、どのように選ばれるのか。
- 治験への協力要請を受けたとき、その治験について説明してもらえるのか。
- 自分のために治験をやりたいと思っていたが、今後の治療のためにということを聞いて、寂しい気持ちになった。
- 視力が残っているときには参加したくないが、リスクはどうなのだろう。

- 治験に参加すると、体や精神面、仕事にどういった負担があるのか。
- 治験に参加して何か問題が発生した場合、補償はされるのか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 五分五分のパートナーになるためには、医療の知識以外で何が必要なのだろうか。
- 様々な情報を目にして混乱することがある。情報収集をどのようにすべきか。
- 自分で考えてみて、参加するかどうか迷ったら、CRC さんなどに相談してもよいかもしれない。
- 受け身ではなく、社会貢献をする心構えとともに研究に参加すべき。
- 効果を期待しすぎず、次世代のためだと意識して参加すべき。

【札幌会場　第３班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 治験を行える病院は決まっているのでは。そうなると、参加したくてもできない人もいるのではないか。

- 誰でも治験に参加できるのか。
- 説明文書は、いつでも見られるのか。
- 現在内服している薬がある場合、治験に参加しても大丈夫なのか。
- 治験に参加する場合、費用はどれくらいかかるのか。
- 治験に参加する場合、どのくらい自分の健康状態を見てくれるのだろうか。
- 精神面のサポートはあるのだろうか。
- 実際に治験に参加した人からの意見や感想を聞いてみたい。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- そもそも医者と患者はパートナーになれるのだろうか。

- 医師と患者の間に距離があって、パートナーと言われても考えられない。
- 医師に対して言いにくいこともある。寄り添うといっても、私たち患者の話は聞いてくれないのではないか。
- 臨床研究、治験という言葉を初めて聞いたので、いきなり研究者のパートナーとしての患者と言われてもピンとこない。自分自身、もう少し臨床研究、治験について理解する必要がある。
- こういった対話の機会をもっと増やすことで、研究者と患者の距離が縮まり、パートナーについて考えられるのではないか。

【東京会場　第３班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 臨床研究や治験は、大きな病院でしか実施されないのか。
- 臨床研究に参加するとなると、どのくらいのリスクがあるのだろう。
- リスクを説明してもらったとしても、どう判断するかが難しい。そのときの病状や年齢、生活スタイルによって、許容できるリスクは変わってくるのではないか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 研究は治療ではないという話があったが、勘違いしてしまうことも多い。研究と治療の違いをきちんと理解しないといけない。
- 医師は患者が育てていかなければならない。そのためには、患者も勉強していかなければならない。
- 聞きたいこと、知りたいことが出てきたら、きちんとメモしてまとめておいて、医師や CRC に聞くべき。
- このようなワークショップを開催するということは、実際に患者が研究について考えていかなければいけない時期に来ているということだと思う。
- 医師を信頼しているからといって、納得せずに同意するのはダメなのではないか。説明された内容を理解して、リスクについても疑問点はきちんと確認すべき。臨床研究や治験に参加することで、これから出てくる別の治験などを受けられなくなることにもなるので、選択肢を確認する必要がある。

【東京会場　第４班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 検査データなどをしっかり蓄積している人でないと、研究に参

加できないのか。

- （CRC より）研究に参加してもらうにあたり不足しているデータがある場合、検査してくれるので問題ない。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 患者としてリスクをどこまで許容できるかという話があったが、命のリスク、お金のリスクなど、人によって重要なリスクは異なる。私個人としては、目が見えなくなるリスクは受け入れられても、生命の危険が脅かされるリスクは受け入れられない。
- 我々も、患者として、どのようなリスクがあるのか勉強しなく

てはいけない。

- 自由診療があふれていたり、インターネット上でも様々な情報が飛び交っていたりして、情報の取捨選択が難しい。患者会などから「これは怪しい」と教えてもらえると、勉強する身としても助かる。
- 研究が進んでいくことを、他人事と見なしてはいけない。しっかり自分で考えることが重要。

【東京会場　第５班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- いつ、だれが、どこで、臨床研究や治験の情報を公開しているのか。
- 臨床研究や治験に参加する場合、無料で参加できるのか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 医師に言われたことに何でもOKを出すのではなくて、我々も臨床研究や治験、医療について勉強する必要性がある。
- 自分の病気を知ることからスタートすべきではないか。「もう治らないから知る必要はない。病院にも行かない。」ではなく、知

ろうとする姿勢が大事。

【神戸会場　第１班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- No と言える権利があると聞いて安心した。断ったら医師に悪い、頑張らないといけないと思っていた。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 医師と患者が二人三脚で進んでいける関係が理想的だと思う。そのために、よいコミュニケーションをとっていくべき。
- これからは患者からも「こんなのがありますよ」と提案ができるようになるべきではないか。
- 当事者の声を社会に届けることが大切なのではないか。
- 患者も、医療がどこまで進歩しているか、自分で情報を集めないといけない。
- 情報収集においては、病院で情報を集めたり、患者間で連携したりすることが有効だと思う。

【神戸会場　第２班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 治験や臨床研究は、どのように始まるのだろうか。
- どこでどのような内容の臨床研究や治験が実施されるのか、それらのリスクはどこにあるのか、治療として確立すればどのような効果があるのか、といった情報をもっと広く知りたい。こうした情報はどこで入手できるのだろうか。
- 臨床研究や治験に参加することになった場合、そのことを周りに言ってよいのか。
- 「自分は臨床研究や治験の参加者に選ばれない」と悲観せずに、患者みんなで協力して、一つの治療を作っていくことが大事だとわかった。
- 話を聞けてよかったと思う一方で、何を協力すればいいのか、いまいちピンとこない部分もある。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 患者が自分で情報収集をするには限界があるので、医師や研究者が患者会に出向いて説明をしてもらえると、正しい情報を得られてありがたい。そういった形で、患者も勉強していけるとよい。

- 臨床研究や治験に参加する場合、患者としてどれくらいのリスクを許容できるかという話があったが、そもそもどのようなリスクがあるのか、わからない。
- リスクについては、治験に参加して見え方が変わるのは仕方ないが、全く見えなくなるのはショックが大きい。

【神戸会場　第３班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 治療と治験は別物であることが、どれぐらいの人に伝わっているのだろうか。もっと多くの人に知ってもらいたい。
- 本音を言うと、治療ではなく治験だとわかっていても、治療のような効果を期待してしまう気持ちもある。
- 患者も臨床研究や治験についてよく知らない人が多いので、参加するとなった場合に患者がどう関わっていくのか、知ってもらう方策を考えるとよいと思った。
- どこで、どのような研究や治験が行われているかを知る機会が必要だと思う。
- 医師が患者に「研究に参加してみませんか」と声をかける際、どのような声のかけ方、説明の仕方が適切なのだろうか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 臨床研究や治験に参加する場合、通院のタイミングなど約束事は守って、正しいデータを提供できるよう協力することが重要。
- 要望や質問など、何か思ったことがあれば、遠慮なく医師に伝えることが重要。専門用語など、わからないことがあれば、医師に聞いて、時間をかけてでも理解するべき。理解しようとする姿勢が不可欠である。

【神戸会場　第４班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 将来の世代のために研究を進めてほしい、という気持ちがある。
- どうすれば正しい情報が入手できるか、わからない。インターネットだと、情報量が多すぎるし、どれが正しい情報なのか判断ができない。
- 臨床研究や治験への参加を検討したいが、正しい情報を得られる機会が少ないので、iPS 細胞をはじめ色々なことが理解できていない。
- 臨床研究や治験への参加を断ったり、意見を言ったりする際、や

はり医師には言いにくい。コーディネーターがいてくれたほうがいい。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 患者同士で情報交換をして、勉強していくことが重要。ただ、会報誌を長いと感じてしまったり、研究発表となると難しくて理解できなかったりするので、勉強の仕方も模索する必要がある。

【神戸会場　第５班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- インフォームド・コンセントで説明してもらった内容は、紙や音声など、後で読み返せる形式でもらえるのか。
- わからないことがあったら聞いてもよいという話があったが、こんな小さなことを聞いてよいのか、と迷ってしまう。
- CRC さんと話したいときは、どうしたらよいのだろうか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 自分のおかれている状況を把握して、自分ができること、協力できることは何かを考えていくべきだと思う。これに加えて、情

報収集をして、研究や医療の現状も把握できるとよい。

【神戸会場　第６班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 臨床研究や治験に参加するためには、現在飲んでいる薬をやめないといけないのか。
- 臨床研究や治験に参加する場合、通院頻度がどれくらいになるのか、気になる。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 臨床研究や治験に参加する場合、心構えとして、孫の世代のために社会貢献をするという意識を持つことが重要。

【神戸会場　第７班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 臨床研究や治験に興味がある患者は、どうすればよいのか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 患者自身も情報収集をする必要があるが、情報収集の入り口が

課題。患者会や機関誌といった、信頼できる情報源にアクセスすることが重要である。

【神戸会場　第８班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

・「臨床研究や治験は治療ではない」とわかっていても、つい期待してしまう気持ちはわかる。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

・ 患者側も、年齢に関係なく、臨床研究や治験の意味を理解しないといけない。自分の病気についても、勉強する必要がある。
・ 勉強するために、正しい情報を得られる媒体がもっと欲しい。

【神戸会場　第９班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

・ 治験の段階で過度な期待をしてはいけないと学んだ。
・ 臨床研究や治験に参加する人は、どのように募集・選定されるのだろうか。
・ 臨床研究や治験に参加する場合、やめなければいけない薬はあ

るのだろうか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 研究者の努力があるからこそ、ここまで研究や医療が進んできた。患者としても、どのようなことができるか前向きに考えていきたい。
- 情報収集をする際、メディアだけを信じるのではなく、研究者の生の声を聞いたり、講演に参加したりするなどして、自分から動いていくことも重要。
- 患者としてどこまでリスクを許容できるか考えることも重要だが、個々人で許容できるラインが異なる。
- 臨床研究や治験に参加する場合、通院のタイミングなど、依頼されたことは責任を持ってきちんと対応するべき。

【神戸会場　第 10 班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 臨床研究や治験に参加する場合、依頼されたことはきちんと守って、研究がスムーズに進むよう協力すべき。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- わからないことは素直に聞いて、納得することが重要。
- 患者としてどの程度までリスクを許容できるかについては、一人一人の意見が異なると思うので、まとめるのが難しそう。ただ、最大のリスクを教えてもらうと、判断しやすいかもしれない。
- 患者側も情報を理解すべきだが、信頼できる人や機関が、専門用語などの難しい内容を、自分たちにもわかるように発信してほしい。

【神戸会場　第 11 班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- かかりつけ医からは最新情報を得られないので自分は JRPS に会員登録しているが、会員でない人たちはどうやって情報収集しているのだろうか。
- 臨床研究や治験に参加する場合、どういったフォローアップが受けられるのか。
- リスクの許容範囲は、人によって違うのではないか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 自分のためというよりは、将来の子供達のためにという意識を持って、研究者と協働していくとよいのではないか。
- 自分から出ていかないと新しい情報はなかなか得られない。積極的な姿勢で情報収集をすべき。

【神戸会場　第 12 班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- リスクをどこまで許容できるかを考える上で、具体的にどのようなリスクがあるのか、細かい点まで教えてほしい。
- 断る勇気も大事だと思ったが、断ったら冷たい対応をされないか、不安。
- 臨床研究や治験に参加する患者には、報酬が渡されるのだろうのか。
- 臨床研究や治験に参加すると決まった場合、今の主治医との関係はどうなるのか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 患者が情報収集しようにも、情報が少ない。講演会にたくさん

行って知識を得るという方法では、時間かかる。

- 患者が選べる、選択肢を持てる制度・環境が必要である。

【神戸会場　第 13 班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 情報収集が重要なのはわかるが、その術がわからない。
- 臨床研究や治験に参加する場合、気軽に誰かに質問できる環境が整っていてほしいと思った。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 今までは、患者が医者のいいなりのような存在になってしまっていた。今後は、患者自身もむやみにサインをせず、持ち帰って家族と話したり考えたりすることが必要。
- 自分のためではなく、将来のために、研究者と協働して研究を進めていくべき。

【神戸会場　第 14 班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 個々の臨床研究や治験が、どういった人を対象にしているのか、

どういったリスクがあるのか、といったことが気になる。情報が、正確に末端の患者まで届く仕組みが欲しいと思った。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 臨床研究や治験の情報をもっとわかりやすく得られるようになるとよい。そうすれば、自分でも情報収集できるようになる。

【神戸会場　第 15 班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 治験と言われるとつい「治るのかな」と期待してしまう。
- 断ってもいいという話があったが、臨床研究や治験への参加を断ったり、途中で参加をやめたりするのは勇気がいる。やはり、言いにくい。
- 臨床研究や治験に参加する場合、リスクを負う勇気も必要だと感じた。ただ、リスクが現実になったときのフォローアップがどうなっているのか気になった。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 臨床研究や治験に参加する場合、自分のためではなく将来のた

めに参加するという意識を持つ必要がある。

【神戸会場　第 18 班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 臨床研究や治験には、参加できる人の条件が設けられているのか。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 自ら行動して、情報収集をすることが重要。
- どこまでリスクを許容できるかと考えたとき、臨床研究や治験に参加することで視力が悪化するという展開には恐怖心がある。治らなくても、これ以上悪くならないという確実性があればありがたい。

【神戸会場　第 20 班】

1. 講演を聞いて気になったこと、わからなかったこと

- 患者が意見を言っていい、ということを知った。
- 情報収集が難しいので、臨床研究や治験に関する広報がもっと広く行われるようになるとよい。

2. 患者は、研究者のよきパートナーとなるために何ができるのか

- 医療関係者と患者が話す機会をもっと持つことが重要か。
- 患者が意見を言ったり、断ったりしてもいいということは、患者も自分で考える必要がある、考えてもよいということ。

スタッフの感想

当日参加したスタッフの感想を 50 音順でご紹介します。

○もっとも印象に残っている瞬間は、神戸･東京･札幌会場にて「研究者のよきパートナーとなるために患者がすべきこと、できることは何か？」という観点からグループ討論の結果を発表していたときです。今も頭の片隅にある、あのときの言葉は、患者の方が発言されていた「パートナーって何だろう」という言葉です。グループ討論の題名として掲げられている「パートナー」が意味することは何かを問うている質問です。患者・市民参画を考えていく上で、非常に本質的で重要な質問に感じました。医学研究者と患者の対話によって、患者の方々により役立つ研究成果を創出することを目指すこと自体は、必要なことだと思います。しかし、研究者と患者は医学的知識において非対称性があります。確かに患者はそれぞれに固有の経験や知識を有しており、それは研究者が把握しづらいものの一例ですが、この経験や知識をどのようにして医学研究に還元していくのか、その方途にはやはり課題があることを認識させられました。また、「パートナー」が意味することは何かを理解し説明する

ために、患者の方に対してどのような語り方があるのかを考える必要性も感じました。そして何より、患者の方が発する言葉の重みを再確認した一日でした。

木矢幸孝

○北海道サテライト会場担当スタッフとして参加させて頂きました。JRPS の研修は今回で２度目になります。北海道サテライトは、今回初めての試みということもあり課題も残りましたが、参加者とスタッフが全員でつくる研修となったことや、臨床研究への患者参画の取り組みを地方にまで広げる活動になったという点で、とても大きな意義があったと思います。

一番印象に残っているのは、会場の方からいただいた質問で「患者さんが研究者のパートナーになるために必要なこと」とは言うけれど、そもそも患者がパートナーになるとはどういう意味なのか、という問いでした。Singler ら (2018) は、“患者パートナーが、病気からくる日々の負担についての経験や、未だ満たされていないニーズ・治療の負担や危険や利益のバランス・患者にとって重要な研究上の問いの分類に関する見方を共有することで、患者パート

ナーは、臨床開発のプロセスを、スポンサーや研究者による一方向のプロセスから、患者や介護者のニーズによって動かされるプロセスへと転換することができる”と言っています。

日本の臨床研究を患者・介護者ニーズに基づく活動とするためにも、患者パートナーの存在は重要であり、臨床研究への患者参画の裾野をいかに地方レベルにまで広げていくかが今後の課題だと感じました。

参考文献：

Singler, Lindsay, et al. "Models of Engagement: Patients as Partners in Clinical Research."Applied Clinical Trials, vol. 27, no. 6, 2018, pp. 28-31.

楠瀬まゆみ

○「臨床試験を成功させるために、患者は何ができるか、何をすべきかを考える」というワークショップのテーマを伺った時には、この会がどのような展開になるのか想像がつかず、ただ、貴重な試みになるであろうことは感じていました。

当日、私が参加した神戸会場では、視能訓練士科の学生の方々と

ともに、経験豊富な CRC の皆様と髙橋先生の研究チームの先生達が、グループ討論にご協力下さいました。各グループの議論を少しずつ聞かせていただきながら会場をまわっていたのですが、髙橋先生や武藤先生のお話に加えて、専門家との質疑を交えながら議論をすすめるグループができたことで、会全体での討論内容の幅が広がったように感じました。

とりわけ印象的だったのは、終了後に CRC の皆様から、病院の外で患者さんから臨床試験に関する思いや意見を伺うことの大切さについて、目を輝かせながら感想をいただいた事でした。研究や医療に関わる様々な職種の方々と患者さんやそのご家族が、病院や研究で繋がる関係を離れて、医療や研究について直接話し合い、お互いの思いを知る事の意味を体感することは、研究を成功に導く第一歩なのかもしれないと改めて感じました。今回の会は、そのような意味でも「臨床試験を成功させるために、患者ができること」として、一つの成果を挙げたのではないかと思っています。

高嶋佳代

○私自身、病は違えど患者当事者を経験した者として、とても興味深くこのワークショップに参加させていただきました。神戸、東京、札幌の各会場ともに参加者も多く、グループ討論でも活発に意見交換されており、患者会の皆さんの臨床研究に対する期待と関心の高さを肌で感じることができました。

治験・臨床研究＝最先端治療との認識をもつ患者当事者はまだまだ多いと思います。治験・臨床研究は「将来の患者さんのため」に行うもので、「自分のためではない」ことを理解し、研究開発に協力するにはどうすべきか、賢い患者になるには何が必要かを学べるこのような機会は、とても意義あるものだと思いました。

また、参加者の誘導や介助を、スタッフとして参加していた神戸総合医療専門学校視能訓練士科の学生さんたちが担当しましたが、そのサポートぶりはさすがに素晴らしく、私にとっても学ぶことの多い一日となりました。

山西たか子

○東京会場のスタッフとして参加させていただきました。

ディスカッションを伺った感想といたしましては、病気のことにつきましても、研究の現状や研究を取り巻く仕組みなどにつきましても、正確で詳細な知識を持っている会員さんが多くいらっしゃって、各グループで疑問点を出し合いながら知識を共有し、ときには不安や悩みも出し合う、といった場面に立ち会わせていただけまして、とても勉強になりました。

移動の介助などにつきましては、ほとんど経験がなかったもので、正直に申し上げますと少し緊張しておりましたし、お役に立てていたかどうか、心もとないのですが、みなさん、お一人で問題ないこと、お手伝いが必要なことを、わかりやすく伝えてくださり、丁重に接してくださったので、スタッフといたしましても、とてもありがたかったです。

吉田修馬

○髙橋政代先生のご講演をお聞きして再生医療の現状と展望について、大いに勉強になりましたし、JRPS 会員の皆様とテーブルを囲んで率直なお考えを伺う貴重な機会となりました。患者さんの声として、まずはどのような臨床試験・治験がいつどこで行われているかなど、基本的な情報を求める声が多数上がったことが印象に残りました。実際、信頼のおける情報にアクセスする環境があって初めて、研究者と対等にパートナーシップを結び、安心して次のステップに進めるものと思います。同時に、混同していた臨床試験と治療の違いがわかった、患者自身も積極的に勉強し、社会に向けて発信したい、という前向きなご意見も多く集まりました。また、患者さんが受け入れられると考えるリスク・負担は、ご本人の価値観や重視する点（視力の温存など）によって様々だとわかりました。

短い時間ながら会員の皆様と交流できたことも良い経験となりました。晴眼者として道案内をした際に、当たり前のように歩いていた道に障害が存在することに初めて気付かされました。研究に参加・参画してもらう上でも同様に、ハードルを取り除く試みが必要ではないかと考えています。私自身も分からないことだらけですが、「自分だったらどうするか？」と諦めずに考え続けていきたいと思います。

李怡然

用語集

本文に出てきた用語を 50 音順に 15 個説明します。

1　遺伝子治療

疾病の治療や予防を目的として、遺伝子または遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与する治療。

厚生労働省ホームページ　2017 年一部改正「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」

https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-Daijinkanboukouseikagakuka/0000161224.pdf

2　再生医療等安全性確保法

再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物の許可等の制度等を定めることにより、再生医療等の迅速かつ安全な提供を図ることを目的に制定された法律。また、本邦において初めて医療行為および医学研究の実施を、その内容と手続きにおいて制限する法律である。ただし、治験は含まれない。

厚生労働省ホームページ「再生医療等の安全性の確保等に関する法律について」

https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10800000-Iseikyoku/0000079192.pdf

3　自家移植

ある個体由来の細胞や組織を、同一個体の体内に移し変えること。

4　自由診療

保険外診療のことであり、国の医療保険制度において、保険適用されていない診療を意味する。

5　先進医療

保険給付の対象とすべきものであるかどうかについて、適正な医療の効率的な提供を図る観点から評価を行うことが必要と厚生労働大臣が定める高度の医療技術を用いた治療。

厚生労働省ホームページ「先進医療の概要について」

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryou/iryouhoken/sensiniryo/index.html

6 他家移植

ある個体から取り出した組織や細胞を別の個体に移し変えること。

京都大学 iPS 細胞研究所（サイラ）ホームページ

http://www.cira.kyoto-u.ac.jp/j/faq/glossary.html

7 治験

医薬品・医療機器の製造販売に関する国の承認を得るために、人における有効性と安全性を証明するデータ収集のための臨床試験。治験は「医薬品医療機器等法」という法律と、これに基づいて国が定めた「医薬品の臨床研究の実施の基準に関する省令」（GCP 省令）という規則のもとで行われる。

厚生労働省ホームページ「治験について（一般の方へ）」

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/fukyu.html

8 ランダム化比較試験（randomized controlled trial）

被験者をランダム（無作為）に試験群と対照群に分け、両群を比較することによって、治療法を適切に評価する研究手法。

9 リバース・トランスレーショナル・リサーチ

臨床応用で明らかになった課題をもう一度基礎研究に戻して検討する研究手法。

10 臨床研究

人における有効性と安全性を証明するデータを集める目的で人に対して投薬等の医療行為が実施される研究。再生医療における治験以外の臨床研究は「再生医療等安全性確保法」のもとで行われる。

11 CT（コンピュータ断層撮影）検査

放射線を使用し、体の深部に発生した腫瘍の位置や大きさ、血管、神経など重要な組織との関係を断面図として見ることができる検査。

12 FDA : U.S. Food and Drug Administration（米国食品医薬品局）

医薬品や医療機器等の治験審査や承認業務を担う米国の政府機関。医薬品等の安全性・有効性を確保することで、国民の健康福祉（public health）を守っている。

米国食品医薬品局ホームページ

https://www.fda.gov/about-fda/what-we-do

13 iPS 細胞 : induced pluripotent stem cell（人工多能性幹細胞）

人間の皮膚などの体細胞に、複数の因子を導入し、培養することによって、様々な組織や臓器の細胞に分化する能力とほぼ無限に増殖する能力をもつ多能性幹細胞のこと。

京都大学 iPS 細胞研究所（サイラ）ホームページ

http://www.cira.kyoto-u.ac.jp/j/faq/faq_ips.html

14 MRI（核磁気共鳴画像）検査

磁気共鳴法という強力な磁力を用いて、体内をさまざまな角度（体の輪切り像、前後や左右に縦割りにした像など）の断面を見ることができる検査。

15 PET（陽電子放出断層撮影）検査

FDG（放射性ブドウ糖類似物質）というブドウ糖に似た薬剤を注射し、体内でブドウ糖代謝が盛んな部位を描出することによって、がんの大きさや広がりに加え、がん細胞の活動状態を調べる検査。

巻末参考資料

① 京都大学 iPS 細胞研究所（サイラ）ホームページ　2018 年研究活動報告「iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞を用いたパーキンソン病治療に関する医師主導治験」開始について

https://www.cira.kyoto-u.ac.jp/j/pressrelease/news/180730-170000.html

② 理化学研究所ホームページ　2013 年研究活動報告「滲出型加齢黄斑変性に対する自家 iPS 細胞由来網膜色素上皮シート移植に関する臨床研究」の研究開始について

http://www.riken.jp/pr/topics/2013/20130730_1/

③ ハザードラボホームページ　2017 年ニュース記事「脂肪から作った幹細胞治療で失明　米フロリダ州で３人　安全性が未確認」

https://www.hazardlab.jp/know/topics/detail/1/9/19475.html

④ 一般社団法人日本免疫治療学会ホームページ　2017 年学会ニュース報告「再生医療等安全性確保法違反事案について」

https://jrai.gr.jp/archives/810

⑤ 日本再生医療学会ホームページ　2017 年シンポジウム報告書「再生医療・遺伝子治療についてかんがえる　先端医療のリスクとベネフィットを知ろう」

https://www.jsrm.jp/cms/uploads/sites/3/2018/03/RCSymp-20171203.pdf

⑥ 理化学研究所ホームページ　2011 年研究活動報告「ES 細胞から人工網膜組織の 3 次元形成に世界で初めて成功ー画期的な自己組織化技術で、組織移植による臓器再生を目指す次々世代の再生医療実現へー」

http://www.riken.jp/pr/press/2011/20110407/

⑦ 総合医学週刊誌「医学のあゆみ」 2018 年発行　265 巻 5 号 439 頁から 443 頁 「遺伝性網膜変性疾患に対する遺伝子治療の現状」池田康博

https://www.ishiyaku.co.jp/magazines/ayumi/AyumiArticleDetail.aspx?BC=926505&AC=18475

協　力

阿部直之　阿部八千代　石山　薫　伊東孝子

大隅蓉子　加納猛彦　上光陽子　木島かおり

木矢幸孝　楠瀬まゆみ　黒部麻代

神戸総合医療専門学校視能訓練士科の皆様

小林久子　坂本直之　佐々木由紀　笹山洋子

白崎正彦　鈴木洋史　曽余田兼代　高嶋佳代

出合美帆　土井健太郎　仁谷めぐみ　野村明紀

野村佳代子　羽田かおる　平井啓一　藤澤空見子

別府あかね　堀口浩幸　前川喜美恵　松森　斉

南美千代　村上　守　森下典子　森田三郎

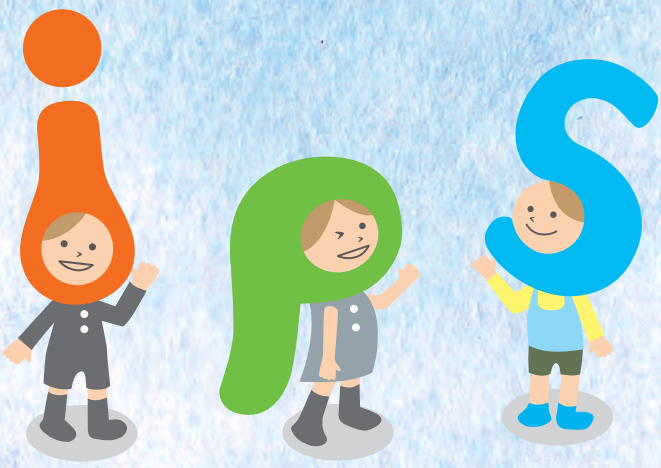
山口昌彦　山口みゆき　山田千佳子　山西たか子

吉田修馬　李　怡然

（五十音順）

発行日　2019 年 11 月 1 日

編集・発行

公益社団法人　日本網膜色素変性症協会

国立大学法人　東京大学医科学研究所　公共政策研究分野