

## マスタープロトコル試験、年度内にGL案策定へ AMED研究班、「国内環境整備しないとラグ・ロス広がる」

2023/10/11 04:30

がんや感染症領域などの臨床試験を効率的に行う手法として注目されている「マスタープロトコル試験」に関するガイドライン（GL）作成を目指す研究が今年度、日本医療研究開発機構（AMED）の研究班で始まった。欧米を中心にマスタープロトコル試験を用いた医薬品開発が広がりを見せている。一方、日本では抗がん剤に関するGLで言及があるだけで、研究代表者の平川晃弘氏（東京医科歯科大学大学院・臨床統計学分野教授）は「日本でも規制、統計、実務の観点からマスタープロトコル試験の環境を整備しないと、ドラッグ・ロスがさらに広がる」と警鐘を鳴らしている。年度内にGL案をまとめたい考えだ。

### ●開発効率化の新技术、CP阻害剤やコロナ薬で活用

マスタープロトコル試験は主に▽複数の疾患やサブタイプに対して単一の治療法を評価する「バスケット試験」▽単一・共通化できる疾患に対して複数の治療法を評価する「アンブレラ試験」▽単一・複数疾患に対して複数の治療法を継続的に評価する「プラットフォーム試験」一に分類される。

臨床試験を効率化する新たな臨床試験法で、免疫チェックポイント（CP）阻害剤など抗がん剤領域を中心に欧米で広がりを見せてきた。近年では、新型コロナウイルス感染症治療薬の開発でも活用された。日本でも動きがあり、国立がん研究センター中央病院が中心となり「MASTER KEYプロジェクト」を展開しているほか、感染症分野では国立国際医療研究センター主導の「国際感染症治療戦略イニシアティブ（GLIDE）」が始動している。平川氏はこれらのプロジェクトにも参画しており、日本のマスタープロトコル試験促進に尽力している。

### ●米国は策定済み、日本は存在せず

一方、日本にはマスタープロトコル試験に関するGLが存在しない。米FDA（食品医薬品局）は2021年5月にCOVID-19、22年3月にがん領域のガイダンスを発売したが、

日本では「抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するGL」に試験法の紹介があるだけだ。GLがなく課題や留意点が不明確だと、同試験を活用してグローバル開発を行う場合に日本を選択肢に入れない企業も出てくる。平川氏はこうした現状に対し「ドラッグ・ロスが広がる」と危機感を抱き、「症例集積が課題の日本では、マスタープロトコルは医薬品開発の有力なアプローチ」と今回の研究を提案した。

### ●GLで国内開発や国際治験参加促進

研究期間は25年度まで。アカデミアや日本製薬工業協会、医薬品医療機器総合機構（PMDA）と規制的、統計的、実務的課題を検討し、▽GLの作成▽試験デザインや統計解析法の開発▽試験実施体制や教育プログラムなど試験運用モデルの提案—を目指す。GLでは、バスケット試験やアンブレラ試験など各デザインの特徴を整理し、その利用に関する留意事項をまとめる。GL案策定後は、厚生労働省の通知やPMDAの基本的考え方として発出されるよう、産官学で協議を重ねたい考えだ。患者団体との意見交換も検討している。

すでに製薬協の加盟企業と日本臨床試験学会に対し、アンケートとヒアリングを実施した。「マスタープロトコル試験に対する規制当局の考え方が分かると、国内開発での利用を検討できる」などの声が集まっているという。平川氏は「米国のように規制当局からのガイダンスがあれば共通理解の下で話が進むので、国内開発や国際共同治験への参加が促進される」と考えている。「日本ではどういふリスクヘッジをすればよいか分からず、企業は相談にすら行かない場合もある。留意点をまとめ、事前に相談すべき論点をまとめるだけでも意義がある」と強調した。

今回の研究はマスタープロトコル試験に焦点を当てているが、平川氏は「マスタープロトコル試験に限らず、日本でも医薬品開発を効率化する臨床試験法のレギュラトリーサイエンス研究を推進し、国際社会に向けて情報発信していきたい」と展望を語った。  
(安藤 出)