



用語集

臨床研究における一般的な用語

臨床試験の用語を理解する

**BREAKING
BARRIERS**

なぜこれが重要なのでしょうか？

臨床研究で使用される用語を認識し、理解することは、臨床研究への参加率や継続率を高めるために不可欠です。

この用語集では、臨床研究に関する情報や、一般の人々、そして何よりも研究に参加する可能性のある方々にとって、頻繁に使われるものの十分に理解されていないかもしれない用語の一覧をまとめました。

この用語集は、臨床研究の特徴、その計画の立て方、使用される用語、そして臨床研究の参加候補者としてどのようなことを求められる可能性があるかを理解する一助となるでしょう。

臨床研究のライフサイクルは、通常、以下のステップに従います：

1

研究デザインと
登録

2

参加者登録

3

研究終了

4

研究結果の
公表

5

承認申請
※試験の場合

この用語集では、この構成に沿って、さまざまな概念や用語を紹介していきます。



観察研究



この種の研究では、治療や生活習慣の変更といった能動的な介入は一切行われません。その代わりに、研究参加者を一定期間追跡し、時間の経過とともに健康状態が自然にどのように変化するか（あるいは変化しないか）を観察します。

コホート研究

より単純なタイプの観察研究。コホート（集団）を一定期間にわたり追跡し、特定の結果を観察します。この種の研究では、コホートを特定の特性に基づいてグループに分け、各グループを長期にわたり比較することがあります。

コホート研究には前向き研究と後ろ向き研究があります。

前向き研究の例：特定の条件を満たす健康な人々を参加者として募集し、医学的事象を記録した上で、時間の経過とともに何人が乾癬を発症するかを観察します。

後ろ向き研究の例：心筋梗塞を発症した乾癬性関節炎患者を特定し、心血管イベントの既往歴がない乾癬性関節炎患者と比較した上で、すべての医療情報を遡及的に調査し、心筋梗塞と相関する可能性のある要因を特定します。

レジストリ

レジストリとは、たとえば、実臨床現場で行われる治療が時間の経過とともにどのように進行するかを研究者が把握できるよう、作成された前向き長期観察コホート研究のことです。

乾癬レジストリの例：

- **BADBIR** – イギリス及びアイルランド
- **PsoBest** – ドイツ
- **PSOLAR** – 多国籍レジストリ
- **PURE Registry** – カナダ及びラテンアメリカ
- **KPR** – ケニア
- **WJPR** – 日本
- **ADR** – オーストラリア（複数の皮膚疾患）

症例対照研究

2つのコホート（症例群と対照群）が設定され、両方が調査の対象となる。この種の研究はある特定の時点で行われ、参加者グループ内に共通して見られるが、対照群とは異なる健康上の特徴を特定することを目的としています。

例：海辺に住む集団と山間部に住む集団の2つの集団を比較し、地理的環境が乾癬の重症度に与える影響を評価します。この研究は、環境要因が乾癬の重症度と関連しているかどうかを理解するのに役立つでしょう。

横断研究

ある特定の時点で行われ、参加者グループ内に共通し、対照群とは異なる健康情報を特定することを目的としています。参加者の経時的な追跡調査は行われません。

例：乾癬を患っている人々のグループと、乾癬を患っていない人々のグループを比較し、併存疾患の有病率を調査します。この種の研究では、乾癬が併存疾患を発症しやすさに影響を与えるかどうかを評価します。

縦断研究

この種の研究では、参加者に対して長期間（数年、あるいは数十年にも及ぶ）にわたり追跡調査を行い、研究期間中に繰り返しモニタリングを行います。

介入研究



介入とは何ですか？

介入とは、その安全性が確認され、健康状態を改善するかどうかを検証するために試験されている、あらゆる治療、措置、またはアプローチのことです。

この種の研究は、特定の介入や治療に関連しています。

予備的研究

参加者が限られた小規模な研究で、大規模な臨床研究に先立って実施されることもあります。こうした研究は、研究を大規模に実施できるかどうか、研究プロトコルが適切か、あるいは変更が必要か、評価対象となるアウトカムが適切かなど、さまざまな疑問に答えを提供することができます。

治療に関する研究

一般に「臨床試験」と呼ばれます。以下の比較を行うように設計されています：

介入群対対照群：新しい治療と、無治療（またはプラセボ）を比較します。

介入群対介入群：試験のすべての群が何らかの治療を受ける場合（対照群はプラセボではありません）。

例としては次のようなものが挙げられます：

すでに確立されている治療と比較した新しい治療
または治療の組み合わせ、標準的なプロトコルと比較した異なる投与量や投与頻度、あるいは低カロリー食と高カロリー食といった、異なる生活習慣の比較などです。

臨床研究は通常、以下の2つのタイプの研究に分類されますが、これらは重複する場合もあります：

定量的研究：評価対象となる結果やパラメータが数値であり、明確に定義されている研究。例えば、「はい／いいえ」、PASI（乾癬面積・重症度指数）、血圧、血糖値などが挙げられます。

定性的研究：記述を通じて、意味、経験、視点を理解することを目的とした研究。この種の研究は、患者の経験を理解することを目的としています。これらは、たとえば患者へのアンケートや個別インタビューなどを通じて評価することができます。



臨床試験の参加者群

臨床試験における参加者群は「アーム」とも呼ばれ、1つの試験に複数のアームが含まれることもあります。

どの試験にも、少なくとも1つの介入群と1つの対照群（またはプラセボ群）が含まれており、これら2つの群が比較されます。

「介入」とは、参加者に施される特定の変更または治療であり、その有効性と安全性が検証されているものです。

「対照群」としては、たとえば、プラセボ（無治療）や、すでに承認されている治療などが挙げられます。

「プラセボ」とは、有効な治療を行わないことを意味します。新しい錠剤を試験する場合、プラセボは治療用錠剤と外観や形状が似た有効成分を含まない錠剤となることがあります。また、新しい注射剤を試験する場合、プラセボは生理食塩水の注射（有効成分を含まないもの）となることがあります。プラセボは、いかなる介入とも無関係に、研究の対象となっている疾患の自然な経過を明らかにするのに役立ちます。

臨床試験（治験）の段階

治験は4つの段階を経て行われ、前の段階で良好な結果が得られた場合にのみ、次の段階に進むことができます。

フェーズ I

治験薬の安全性を検証するために、少数の健康な参加者が募集されます。安全性とは、その薬に有害性がないことを意味します。

フェーズ II

この疾患を抱えるより多くの人々に、本治験への参加を呼びかけ、最適な投与量を確認するとともに、治験薬に関連する有害事象を把握することを目的としています。

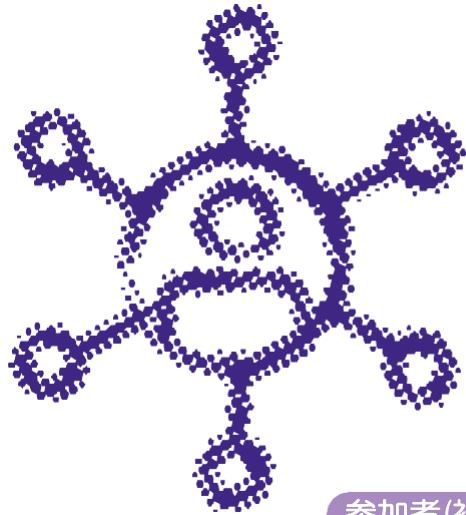
フェーズ III

治験の各群には、数百人から数千人の参加者が募集されます。この段階は、治験の内容に応じて、現在の治療や無治療と比較して、当該薬剤の有効性と実効性を確認することを目的としています。結果が良好であれば、規制当局に承認申請が行われます。

フェーズ IV

この段階は、医薬品が承認された後に実施されます。患者が継続的に参加し、日常の臨床現場における医薬品の長期的な安全性および有効性をモニタリングします。これは「リアルワールド・エビデンス」とも呼ばれます。

臨床試験における主な関係者



参加者(被験者)

臨床試験に参加する人。参加者については、「被験者」と呼ばれることもあります。

実施施設

臨床試験が行われる場所。多くの場合、病院や診療所です。

研究チーム

臨床試験の計画、実施、および結果の最終報告に携わる人々。彼らは、臨床試験の実施経験を持つ有資格の専門家です。このチームは多職種で構成されており、試験によって構成が異なる場合があります。

試験依頼者

臨床試験を開始し、監視し、資金を提供する団体、機関、または企業。これらには、治療を含め、試験の安全性を確保し、その結果を報告する責任があります。

実施施設のチーム構成員

- ・ **責任医師**
研究チームの責任者
- ・ **分担医師**
治験業務を行う医師
- ・ **臨床研究コーディネーター**
治験の運営を監督し、文書化要件が遵守されていることを確認する
- ・ **看護師**
参加者との接点となる業務の大部分を担当する

倫理委員会又は治験審査委員会

提案された臨床試験が安全に実施されることを保証する、関連する専門知識を有する人々のグループ。これらの専門家は独立しており、試験自体には関与しません。プロトコールは、医薬品の臨床試験の実施に関する基準（GCP）に準拠していること、参加者の権利と安全が保護されていること、および結果が科学的および／または医学的に妥当であることを確認するために評価されます。

規制当局

特定の症状や疾患を治療するための新薬などを規制・承認する政府の公的機関。その薬に関する臨床試験により、患者にとって明確な健康上の利益と安全性が実証された場合に承認が下ります。承認は、第III相臨床試験が成功裏に完了した後で与えられます。規制当局は承認後も安全性を継続的に監視しており、新たなリスクが発見された場合には、当該医薬品の回収や処方停止を命じる権限を有しています。

規制当局の例：

- FDA: Food and Drug Administration (アメリカ)
- EMA: European Medicines Agency (欧州連合)

※日本では厚生労働省や医薬品医療機器総合機構（PMDA）が該当します。

臨床試験の特徴

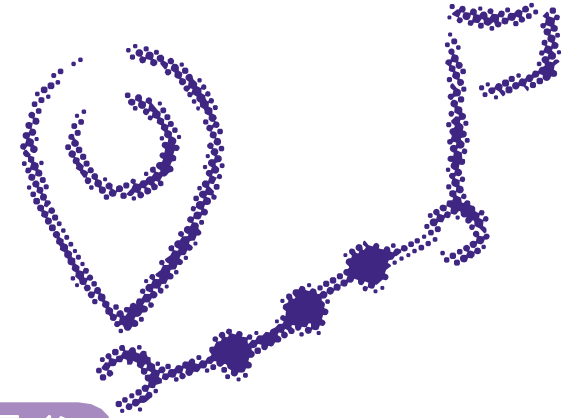
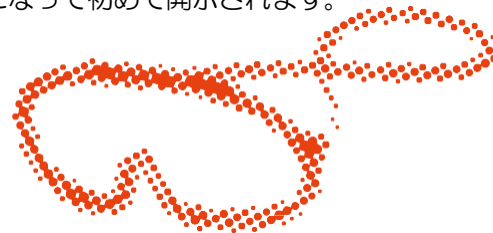


無作為化

無作為化とは、臨床試験の参加者を、コインを投げるのと同じように、偶然によって異なる群に割り当てることを指します。これにより、試験結果に偏りが生じないよう確保されます。各群のバランスを保つため、研究チームは年齢、性別、疾患の重症度、過去の治療歴などの重要な要因が、各群に均等に配分されるように配慮します。無作為化は第III相試験における重要な要件であり、治療法が真に有効かつ安全であるかどうかを研究チームが把握するのに役立ちます。

盲検化（マスキングとも呼ばれる）

臨床試験における「盲検化」とは、関与する者（個人または複数）が、自分がどの群に割り当てられているかを知らない状態を指します。参加者のみが自分がどの群に割り当てられているかを知らない場合、その試験は「単盲検」と呼ばれます。また、参加者と研究チーム（研究者、医療従事者）の双方が、参加者がどの群に割り当てられているかを知らない場合、その試験は「二重盲検」と呼ばれます。各群に関する情報は、試験終了後に結果が分析される段階になって初めて開示されます。



ベースライン

試験開始時。多くの場合、試験開始時点における参加者に関する医学的所見を指します。この情報は、試験期間中のさまざまな時点（たとえば、登録から12週間後など）における情報と比較される。ベースライン特性には、人口統計学的属性（年齢、性別、体重）、BSA（Body Surface Area）、PASI（Psoriasis Area and Severity Index）、併存疾患、罹病期間、治療歴などが含まれます。エンドポイントで用いられる特性や患者報告アウトカム指標（PROMs）についても、試験開始前に評価が行われます。

臨床試験の特徴

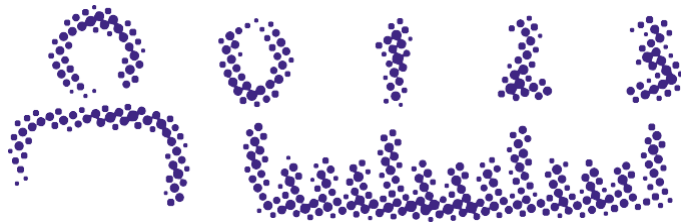
プロトコール

プロトコールは、臨床試験がどのように実施されるかについて詳細に説明したものです。



サンプルサイズ

臨床試験の計画段階において、研究チームは必要な参加者数を決定します。適切なサンプルサイズを設定することで、試験の臨床的および統計的な妥当性を確保すると同時に、過剰な参加者募集を防ぐことができます。必要以上に多くの参加者に治験薬を投与することは非倫理的であるため、不必要な参加者登録を避けることが重要です。



臨床試験データベース

計画中、実施中、および完了した臨床試験を一覧表示する、一般に公開されているデータベース。各試験の目的、スポンサーまたは研究責任者、適格基準、試験デザインと結果、および関連資料など、各試験に関する重要な情報を提供しています。臨床試験は、参加者の募集を開始する前に、データベースに登録することが義務付けられています。このようなデータベースの例としては、clinicaltrials.govやeuclinicaltrials.euなどが挙げられます。



試験参加者

参加者募集

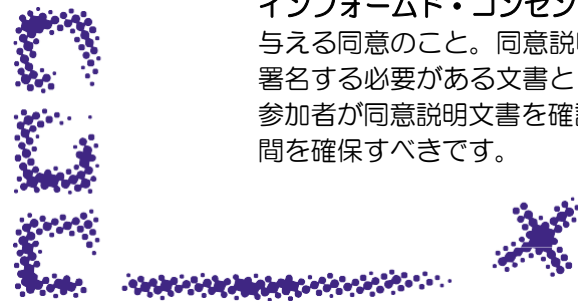
試験参加者が試験に登録または受け入れられるまでのプロセス。

これには、試験に参加し得る対象者の特定、試験の目的についての説明、適格基準を満たしているかどうかの評価、インフォームド・コンセントの提示および取得が含まれます。対象者は、同意書に署名した時点で、研究チームの一員とみなされます。



同意

インフォームド・コンセント：試験に参加する前に参加者が与える同意のこと。同意説明文書は、参加者が内容を理解し、署名する必要がある文書として提示されます。研究チームは、参加者が同意説明文書を確認し、質問をするための十分な時間を確保すべきです。



同意説明文書には何が記載されていますか？

同意説明文書には、試験への参加に関するすべての重要な情報が記載されています：

- 試験の目的
- 試験の特徴、たとえば、試験の対象となる新しい治療の内容や、その試験方法など
- 試験参加者への要請事項、たとえば、必要な時間、試験施設への来院回数、必要な検査や検体の種類および採取時期、服薬や生活習慣の変更が必要かどうかなど
- 試験期間
- 試験参加に伴うリスク。これには、一般的なものからまれなものに至るまでの副作用とその発生率、ならびに生検やその他の侵襲的検査など、実施される処置に伴うリスクが含まれます。
- 試験への参加による利益
- 該当する場合の金銭的補償
- 機密情報、たとえば、患者情報（氏名、住所、連絡先、および個人を特定できる情報）は収集されますが、試験では代わりに参加者コードが作成され、使用されます。私見結果の公表に先立ち、参加者のプライバシーを保護するため、参加者に属する個人情報はすべて削除または匿名化されます。
- 参加者の権利（例：いつでも試験をやめることができる権利）
- どのような個人情報が収集され、どのように利用・保存されるか
- 試験参加者募集担当者の連絡先



試験参加者



スクリーニング

個人が臨床試験に参加するためには、詳細な評価が行われます。

適格基準：試験に参加できる人を決定するルールです。通常、これらは「選択基準」と「除外基準」のリスト、あるいは候補者が試験に参加できるか否かを決定する参加者の特性として示されます。基準の例としては、年齢、性別、妊娠の有無、疾患の特徴、治療歴、併存疾患、人種、生活習慣などが挙げられます。

選択基準：その個人が試験への参加に適した候補者であることを示す情報。

除外基準：試験への参加資格を失わせる、参加者に関する情報。

継続または脱落

継続：試験が終了するまで、試験参加者を試験に登録したまま維持すること。

脱落：参加者が試験が終了する前に試験から脱落すること。重要な点として、参加者は同意書に署名した直後であっても、いつでも試験への参加をやめることができます。また、登録要件が満たされない場合や、参加者の継続率が低い場合にも脱落が生じることがあります。試験依頼者による脱落は、試験開始前に発生することもあります。

フォローアップ

研究計画書および同意説明文書にしたがって、参加者は経過観察のために臨床試験実施施設へ来院することが求められています。これは、医療従事者による評価、質問票やアンケートの記入、その他の方法を組み合わせて行われます。



試験終了

臨床試験には終了予定日が設定されています。この日付は、試験計画で定められた評価項目、主要評価項目および副次評価項目、ならびに有害事象に基づき、最後の被験者の評価が完了した時点を指します。



アウトカム

アウトカムとは、ある介入が有効かつ安全であるかどうかを評価するために用いられる、測定可能な結果のことです。たとえば、乾癬の新しい治療は、皮膚の炎症が治まり、かゆみが軽減されれば、成功したとみなされるでしょう。



有害事象、重篤な有害事象

試験中に発生する望ましくない事象。これは、試験中の治療によって引き起こされる場合もあれば、そうでない場合もあります。重篤な有害事象は、入院を必要とする場合や、死に至る場合などです。これらの事象は、試験結果報告書、試験依頼者、倫理委員会、および当該試験に基づくあらゆる文書において報告されます。有害事象が試験中の治療によって引き起こされた場合、プロトコルの改訂が必要となるか、あるいは試験自体が中止されることもあります。



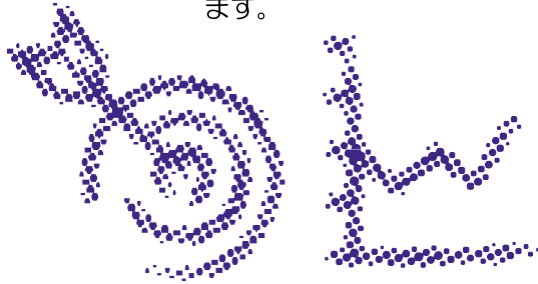
患者報告アウトカム指標（PROMs）

これらは、患者が自身の健康状態について記入する標準化されたフォームや質問票です。PROMsは、症状、感情、健康関連の生活の質（QOL）、治療に対する考えなど、患者の経験を捉えるものです。これらは、「Psoriasis Disability Index」や「Psoriasis Quality of Life Questionnaire」のように特定の疾患に特化したものもあれば、「Short Form Health Survey 36」やその他の健康関連の生活の質（QOL）に関する質問票のように、全体的な健康状態やウェルビーイングを評価するために設計され、さまざまな疾患に適用可能な、より一般的なものもあります。

Outcomes

エンドポイント

臨床試験が達成を目指す成果や結果のこと。試験には、1つの主要評価項目と、1つ以上の副次評価項目が存在する場合があります。副次評価項目とは、主要評価項目以外の追加的な成果を指します。乾癬において、一般的な主要評価項目はPASI 75/90であり、これは、試験開始時のベースラインと比較して、治療により皮疹が少なくとも75%または90%が改善したことを意味します。副次評価項目には、生活の質の向上、かゆみや痛みの軽減、頭皮などの特定の部位における病変の改善などが含まれます。



有効性

ある介入や治療が、理想的な状況下で期待される結果をもたらす場合、その治療は有効性があると言われます。



効果

これは、介入や治療が、望ましい効果をどの程度もたらすかを測定するもので、多くの場合、日常的な臨床現場において行われます。治療によってこの効果が達成されれば、その治療は効果があると言われます。

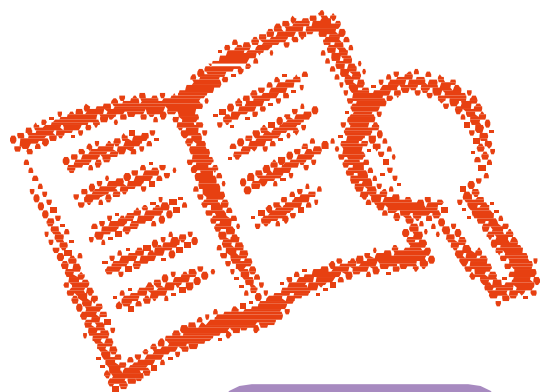


統計学的有意差

各群（介入群対対照群）間で観察された差異が、偶然によって生じた可能性は低いことを示す統計学的手法。乾癬の新しい治療を検証し、皮膚の症状改善を評価する臨床試験において、治療群と対照群の間に統計学的に有意な差が認められた場合、その治療が、極めて高い確率で、両群間で観察された差異の原因であるということになります。



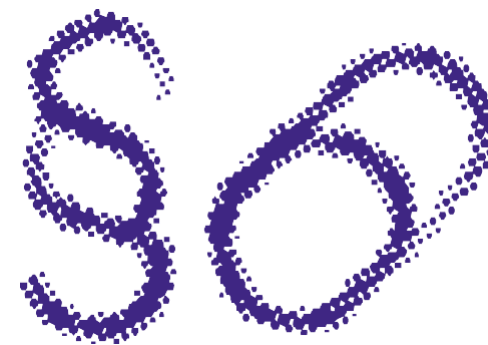
研究終了



試験結果の公表

臨床研究の結果は、論文などを通じて社会に発信されます。臨床試験などの結果は、論文という形で発表されます。論文の発表プロセスでは、研究の質と妥当性を保証するために、他の研究者がその研究内容や結論を評価します。また、研究結果をより幅広い層に伝える手段として、プレスリリースもよく活用されます。

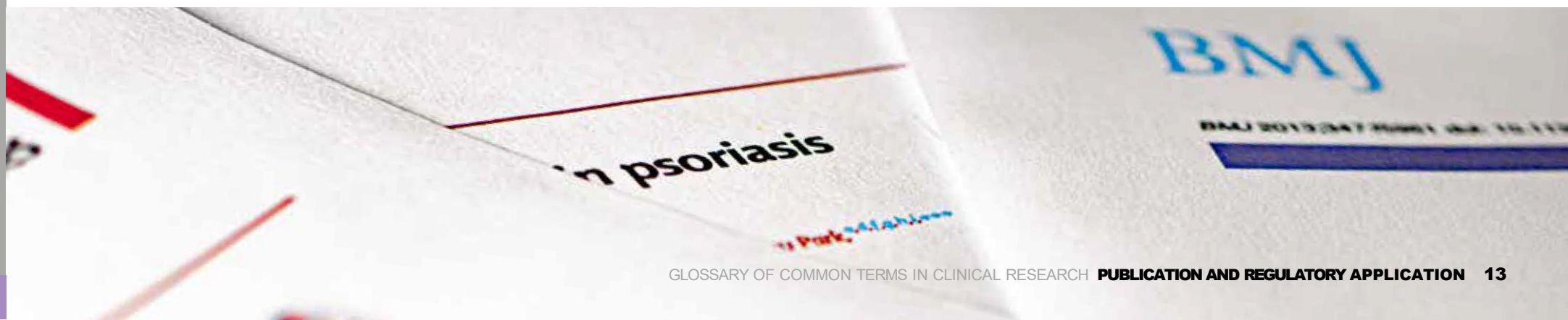
※近年では「レイサマリー」として研究結果が公表されることもあります。



承認申請

新薬については、FDA（米国）やEMA（欧州）などの政府規制当局が、臨床試験の結果を審査することが義務付けられています。これらの当局は、その医薬品が患者や医療制度に有意義な利益をもたらすかどうかを評価し、その使用を承認すべきかどうかを決定します。

※治験の場合



IFPA in brief

IFPAは、情報やさらなるリソースを見つける最善の方法は、患者団体とつながることであると強く信じています。私たちの最優先事項は、世界中のIFPA加盟団体をつなぐことです。加盟団体のリストについては、IFPAの加盟団体ページをご覧ください：ifpa-pso.com

乾癬性疾患と向き合う上で、地域の団体に支援を求めることをお勧めします。IFPAは、治療に関するあらゆる決定を行う際には、患者と医療提供者の関係が重要であることを引き続き強調しており、意思決定のプロセスにおいては常に患者を中心に据えるべきであるとしています。治療法の変更に関する決定は、個々の状況に応じて行われるべきであり、患者と医療提供者の双方が十分な情報を得た上での同意が得られた場合にのみ行われるべきです。

IFPAは、世界中の国別および地域別の乾癬患者団体を結集する非営利団体です。

IFPAでは、乾癬による苦しみがなく世界の実現を目指しています。この目標を達成するため、私たちは会員のエンパワーメント、乾癬患者の生活環境の改善、そして啓発活動に注力しています。

詳しくはこちらをご覧ください：ifpa-pso.com



障壁を打ち破る

乾癬性疾患を対象にした治験における格差の解消、スティグマの軽減、および参加者の偏りの是正

乾癬性疾患の治験において多様性は重要ですが、依然として多くの患者集団が治験において十分に代表されていないのが現状です。

「Breaking Barriers」は、IFPAが新たに立ち上げたグローバルプロジェクトであり、参加格差がなぜ解消されないのか、そしてそれをどのように解消できるかを探求するものです。乾癬性疾患を抱える人々、研究者、医療従事者の協力を通じて、治験への参加を妨げる社会的、文化的、構造的な障壁を特定し、その解消を支援することを目指しています。本プロジェクトの一環として、治験と参加者の組み入れに関する、誰もが利用しやすい教育資料を作成しました。詳細については、QRコードをスキャンしてください。



※本パンフレットに関するお問い合わせは一般社団法人日本乾癬性疾患協会（info@japd.org）へお願いします。



一般社団法人
日本乾癬性疾患協会



www.ifpa-pso.com | info@ifpa-pso.com

**BREAKING
BARRIERS**