



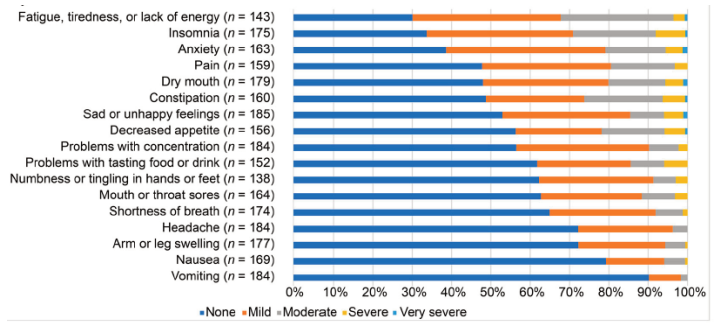
# 演題名: 患者報告アウトカムを用いた臨床研究の実装

演者名: 宮路天平、後藤真里、黒崎美雪、山口拓洋、木内貴弘

## 患者報告アウトカムが臨床研究において重要視される背景

- 患者報告アウトカム(PRO)は、「患者の回答について、臨床医や他の誰の解釈も介さず、患者から直接得られる患者の健康状態に関するすべての報告」と定義される。(FDA 2009、ISPO 日本部会WG訳)
- 医療者は、患者の主観的症候(痛み、不安、倦怠感など)に対して過小評価する傾向があり、患者視点の評価によって、評価の質の補完が期待されている。(表1.)
- Patient Centricityの高まりにより、生活の質(QOL)を有効性の指標に設定する試験が増えてきている。
- 一方で、PROを臨床研究に実装するための方法論(尺度開発、評価、解析、解釈、報告)はまだ十分に浸透しているとは言えない状況がある。

表1. 有害事象評価における医療者評価と患者評価の不一致



Kawaguchi T, Miyaji T, Yamaguchi T et al. Journal of Patient-reported outcomes. 2018

## 当講座によるPROの普及の取り組み

### ガイドラインの翻訳

- PROに関連したガイドラインについては、海外の規制当局や国際QOL研究学会(ISOQOL)や国際医薬経済・アウトカム研究学会(ISPOR)などの関連学会から多数発出されている。
- 国内においてガイドラインの発出はなく、海外のいくつかのガイドラインが日本語訳されている状況にとどまっている。
- PROを用いた臨床研究におけるプロトコール作成ガイドライン「SPIRIT-PRO」(表2.)と結果報告論文作成ガイドライン「CONSORT-PRO」(表3.)においては、プロトコール論文や結果論文の投稿時の標準的なガイドラインとして国際的な普及が期待されるため、当講座が窓口となって、原著者(Prof. Calvert)と出版社(JAMA)から承諾を得て、日本語訳を作成した。

表2. SPIRIT-PROのチェックリスト項目

SPIRIT項目	番号	SPIRIT項目	番号	SPIRIT項目	番号
管理的情報		方法: 介入の割付け (比較試験における)		倫理と普及	
タイトル	1	割振り: 順序の作成	16a	研究倫理承認	24
試験登録	2a,b	割振り: 割り振りの隠蔽手法	16b	プロトコールの修正	25
プロトコールのバージョン	3	割振り: 実施	16c	同意または賛意	26a,b
資金提供	4	割振り: ブラインディング (マスクング)	17a,b	機密保持	27
役割と責任	5a-d	方法: データ収集・管理・解析			
はじめに		データ収集方法	18a,b		
背景と論拠	6a,b	データ管理	19	利害の申告	28
目的	7	統計学的手法	20a-c	データへのアクセス	29
試験デザイン	8	方法: モニタリング		付随的・試験後のケア	30
方法: 参加者・介入・アウトカム		データモニタリング	21a,b	普及の方針	31a-c
研究のセッティング	9	審	22	付記	
連絡基準	10	監査	23	インフォームドコンセントに関する資料	32
介入	11a-d			生物学的試料	33
アウトカム	12				
参加者のスケジュール	13				
サンプルサイズ	14				
募集	15				

Calvert M et al. JAMA. 2018 Feb 6;319(5):483-491.  
Translation: Miyaji T et al. Jpn Pharmacol Ther. 2020;48(10):1697-712.

表3. CONSORT-PROのチェックリスト項目

CONSORT項目	番号	CONSORT項目	番号	CONSORT項目	番号
タイトル・抄録		結果		その他の情報	
	1a,b	参加者フロー (ダイアグラムを推奨)	13a,b	登録	23
はじめに		募集	14a,b	プロトコール	24
背景および目的	2a,b	ベースラインデータ	15	資金提供者	25
方法		解析された人数	16		
試験デザイン	3a,b	アウトカムと推定	17a,b		
参加者	4a,b	補助的解析	18		
介入	5	有害性	19		
アウトカム	6a,b	考察			
症例数	7a,b	限界	20		
ランダム化		一般化可能性	21		
照査の作成	8a,b	解釈	22		
割付け秘匿の方法	9				
実施	10				
盲検化	11a,b				
統計学的手法	12a,b				

Calvert M et al. JAMA. 2013 Feb 27;309(8):814-22.  
Translation: Kawaguchi T et al. Jpn Pharmacol Ther. 2020;48(11).

### 臨床研究方法論セミナー(一般公開講座)の開催

- 2018年度と2020年度の臨床研究方法論セミナーにおいて、「患者報告アウトカム(PRO)を用いた臨床研究のデザインと実践」というテーマで、一般公開講座を開催した。(表4.)

表4. 臨床研究方法論セミナーの開催概要

	2018年度	2020年度
	平成30年9月	令和2年11月27日(金)
場所	国立がん研究センター	オンライン形式
参加者	200名	163名
	PRO概論、COA選定	PRO尺度のValidation
	PRO-CTCAE	研究計画
	Minimal Important Difference	結果報告論文
	統計解析と欠損データ	Estimands、欠損取り扱い
	eConsent	結果の図示化
トピック	Virtual Trial	国際共同PRO尺度開発
	日常臨床でのPRO収集	日常臨床におけるPRO評価
	企業治験のePRO運用	実地臨床でのPROのニーズ
	デジタル医療機器開発	ePROの実臨床への応用
	QOL研究の歴史	

## 今後の課題

- PROを用いた臨床研究のプロトコール作成と結果論文報告においては、SPIRITやCONSORT Statementに加えて、SPIRIT-PROやCONSORT-PROへの準拠が推奨されており、PROを主要評価項目として取り扱う、国内のがん支持療法、緩和ケア分野の臨床研究グループなどに普及活動を行う。
- PRO評価、データ収集においては、ePROが主流な方法となる事が予想され、システム構築や運用についての知識、経験をセミナーや学会活動を通して、研究者に共有を行う。