

## II. 各論

# 3. ゲノム情報に基づいた臨床研究のデザイン

東海大学医学部内科学系循環器内科学 教授  
後藤 信哉

### [Summary]

現在の医療ではランダム化比較試験のエビデンスレベルが高いとしている。世界人類は均質で、年齢、性別、糖尿病の有無など少数のパラメーターのみが個人差のパラメーターとされている。臨床医は家族歴を重視する。今後パーソナルゲノム情報取得を前提とすると、個人を識別するパラメーターはゲノム情報、バイオマーカー情報など爆発的に増加する。数万例をランダムに割り振っても、膨大なパラメーターは均質に分布しない。ランダム化比較試験による仮説検証能力が減少し、識別された個人に対する最適治療を見出す新規の臨床試験が必須となる。

### Key Words :

ランダム化比較試験 □ エビデンス □ 平均的症例 □  
標準治療 □ プレシジョンメディシン

### プレシジョンメディシンとは？

プレシジョンメディシンは、現在のエビデンスベースドメディシン (evidence based medicine: EBM) と対立する概念ではない。オバマ大統領の precision medicine initiative に対するステートメントには (<https://www.whitehouse.gov/precision-medicine>)、「平均的症例」の「標準的治療」から、「特殊な症例」の「個別最適化治療」への転換がみえる。「平均的症例」の「標準治療」のシステムの改善を目指す EBM では、均質な世界の症例をランダムに2群に分け、臨床的仮説を検証するランダム化比較試験が重視された。ランダムに分けた2つの治療以外では、2群は均質となるように大規模の試験が施行された。2群の均質性はエンドポイントの発現率について担保できればよい。循環器領域では、心血管死亡・心筋梗塞・脳卒中が有効性エンドポイントとされた。これらのエンドポイントに影響を与える因子は、年齢、性別、血圧、糖尿病の有無、症例登録地域、体重、などとされた。数万例集めれば、これらのパラメーターは、両群において均質となっていた。群間の均質化を目指すパラメーターが古典的なフラミンガムリスク因子など数十程度であるため、数万例を対象としてランダム化比較試験による臨床的仮説の検証が妥当性をもっていたのが今までの時代であった。

医師は家族歴を重視する。今後、個人特有のパーソナル