

厚生労働省は科学的精神を無視するのか？

脊髄損傷に対するヒト骨髄由来間葉系幹細胞（商品名ステミラック）が、先駆け審査指定制度によって2月26日に薬価収載された。1回のみ静脈注射で1495万円の費用がかかる。同制度を利用した抗インフルエンザ剤ゾフルーザ（83号 Editorial 参照）では、少なくともプラセボ対照の無作為比較試験（RCT）が行われているが、ステミラックの場合、なんと13例のオープン試験のみであり、論文にもなっていない。

世界的な科学雑誌 Nature が、2019年1月31日号の Editorials で、“Slow down”（あせるな）と当然の助言をしたが、厚生労働省は無視した。

先駆け審査指定の条件は、①新しい作用機序、②対象疾患が重篤、③極めて高い有効性や安全性、④世界に先駆け日本で早期開発・申請、のすべてを満たすことである。ステミラックに関しては、①、②、④の条件は確かに満たしている。だが、③は証明されていない。自然経過での回復をみているだけかもしれないあやふやな有効性と、長期追跡が必要な腫瘍発生の危険性が否定されていない。

脊髄損傷に対する薬物療法に関して、歴史を振り返ることを厚労省には勧めたい。

例えば、1990年3月31日、New York Times 紙に“史上初めて、脊髄損傷の障害を軽減する治療法が見つかった”と、ステロイドの大量療法を紹介する記事が掲載された。著名な医学雑誌での論文にもなり（New Engl

J Med 322:1405,1990）、まさしく一世を風靡した。だが、後付け解析による効果は不確かで、創傷治癒の遅延や糖尿病の増加などの害反応が多く、現在では使用すべきでないとされている（本誌10号15-26頁参照）。

このステロイド大量療法の日本での認可に際しては、“偽性”RCT（封筒法なので、厳密な無作為化ではない）で追試が行われた（大谷ほか、脊髄脊椎 7:663,1994）。全般改善度という主治医の主観が入る評価方法でも非使用群と差がつかなかった。そこで、新たに“有効性”という評価項目をでっちあげて、無理やり非使用群との差をつけて承認したという代物だ。しかし、今回の承認の過程と比べると、当時の厚生省の方がまだましだったと言える。

今回、日本再生医療学会が「患者数が少ない疾患では、統計的に有効性を確認するための治験参加者数を揃えることが難しく、莫大な時間を必要とする」と、厚労省の判断を擁護している。しかし、年間約5000人の新規患者が発生している疫学的事実と、先の大谷らが15か月間で158人をエントリーした実績と合わせて、この主張は意味を持たない。

今すぐ、厚労省はステミラックの承認を取り消し、RCTの実施を求めるべきである。日本の科学の良識が問われている。