

## はじめに

---

「自然界のあらゆる複雑な出来事をすべて観察する方法はない。私たちの知識は有限だと Karl Popper 氏は強調したが、私たちの無知は無限だとも言える。医学において、治療介入の結果を確信することは決してできない。私たちにできるのは、不確かさの範囲を狭めることだけだ。この認識は、それほど悲観するべきことではない。何度も手ごわい批判を受け、それに耐えている主張は信頼できる。こうした『実際的な真実』が日々の臨床活動をしっかりと支える基礎的要素である」。

William A. Silverman. *Where's the evidence?*

Oxford: Oxford University Press, 1998, p165

---

現代医学は、大きな成功を収めてきました。抗生物質がない生活を想像するのは困難です。その他にも有効な薬剤の開発は、心臓発作および高血圧の治療に革命をもたらし、統合失調症を持つ多くの人々の生活を変えてきました。小児期の予防接種は、ほとんどの国でポリオとジフテリアを遠い過去の問題に変え、人工関節は無数の人々が抱える苦痛や障害を和らげました。超音波、コンピューター断層撮影 (CT)、磁気共鳴画像 (MRI) などの最新の画像技術は、患者が正確に診断され、適切な治療を受けることに役立ってきました。さまざまながんの診断もかつては死の宣告でしたが、今では生死をさまようことなく、普通に日常生活を送る患者も多くいます。そして HIV/AIDS (ヒト免疫不全/後天性免疫不全症候群) は、死の病から (長期的に続く) 慢性の病気に大きく変わりました。

もちろん、水道による安全な水の供給、衛生設備、より良い住宅など、社会的な、そして公衆衛生の進歩により、健康における多くの改善が実現しました。しかし、どんなに疑り深い人でも、現代医療の大きな影響を否定することは難しいでしょう。過去半世紀ほどで、より優れた医療は寿命の延長に大きく貢献し、特に慢性的な病気を抱える患者の QOL (生活の質) を向上させています<sup>1,2</sup>。

しかし、現代医学の大きな成功の陰で、現存する多くの問題が見落とされています。今日でも、あまりにも多くの医学上の意思決定が貧弱なエビデンスに基づいています。患者に害を及ぼしている治療法はいまだ多く、実証されていないか有益ではないものもあれば、価値があるのに十分に使用されていないものもあります。毎年、治療の効果に関する研究が多数の結果を生み出しているのに、なぜこのようなことが起こるのでしょうか。残念なことに、エビデンスはしばしば信頼できず、さらに、行われた研究の多くは、患者が求めている質問に答えていません。

治療の効果が明らかに確かであったり、あるいは症状が劇的に良くなったりすることが滅多に見られないのも問題の一端です。このため普通は、新しい治療法でどれほど良くなるのか、実際に有害性よりも有益性が上回るのかどうかに不確かさが存在するのです。バイアス（偏り）を減らし、偶然性も考慮に入れた慎重な設計による公正な検証が（**第6章**を参照）、治療効果を確実に見極めるために必要です。

病気にかかり治療を受けるときに、何が起こるのかを正確に予測することはできないことを Franklin の法則と呼びます。これは 18 世紀の米国の政治家 Benjamin Franklin 氏による「この世界で死と税を除いては、確信できるものは何もない」という言葉が由来です<sup>3</sup>。しかし、この Franklin の法則は、社会における第 2 の習性にとらえられていません。不確実性が残ることはやむを得ないとする考えは学校で十分に教えられておらず、エビデンスの入手と解釈の方法、確率やリスクに関する情報を理解する方法など基本的な概念を学びません。ある評論家は、「学校では、試験管内の化学物質、動きを表す数式、光合成に関するちょっとしたことを教えられた。しかし、死に関すること、リスク、統計、そして科学で人が死に至る、あるいは治癒することについては何も教えられなかった」と書いています<sup>4</sup>。健全な科学的エビデンスに基づく医学の実践が無数の命を救ってきたのにもかかわらず、科学的研究の主要な原理を説明する展示をしている科学博物館はないのです。

#### 過信してはいけない

「探究すれば、私たちはより多くを学び、知識を得ることができる。しかし、確実な真実については誰にもわからない。すべてはクモの巣のように織りなされた推測でしかないのだから」

クセノパネス, 6th century BCE'

「確実に言えることは、すべては誰かの意見だっていうこと」

チャーリーブラウン（ピーナッツ）, 20th century CE

「因果推論で見られる多くの過ちは（中略）科学の問題ではないことにある。分析技術、統計的方法と慣例、論理的基準を活用しても、我々が達する最終的結論は判断の問題なのだ」

Susser M. Causal thinking in the health sciences.  
Oxford:Oxford University Press, 1983.

不確実性とリスクの概念は本当に重要です。例えば、「存在しないことを証明する」ことは論理的に不可能です。つまり、何かの存在を否定することや、治療に効果がないことを示すことはできません。これは単なる哲学的議論ではありません。それは、ベンデクチ

ン（活性成分ドキシラミン、ピリドキシリンまたはビタミン B6）と呼ばれる複合薬の出来事が示すように、実際に重大な影響が生じたことでもわかります。ベンデクチン（市販名は Debendox と Diclectin）は、妊娠初期の吐き気を和らげるために女性に広く処方されてきました。その後、ベンデクチンが先天性障害を引き起こしたとの主張が出て、すぐに訴訟の標的となりました。ベンデクチンの製造者は、山のような訴訟の圧力を受けて、1983 年にこの薬剤の販売を中止しました。その後、エビデンスのいくつかをレビューしたところ、先天性障害との関連性を裏づけるものではなく、結論的に有害ではないことを示すことはできませんでしたが、害を及ぼすエビデンスもありませんでした。皮肉なことに、ベンデクチンが回収された結果、妊婦のつわり症状のための治療は、先天的障害を引き起こす可能性について詳細が判明していない薬だけが使用できる結果となりました<sup>5</sup>。

通常、研究で可能なことと言え、少しずつ不確実性を取り除くことです。医療は有害でも有益でもあります。適切に実施された良い研究は、健康課題に対して治療と、他の治療や無治療とを比較することによって、その治療が有益となるか、有害となるかの確率（見込み）を示すことができます。不確実性は常に存在するため、白か黒かのどちらかで物事を判断することは避けるべきです。確率論的に考えることが力となります<sup>6</sup>。人々は病気の転帰について見込みを知る必要があります。例えば、高血圧による脳卒中に関して、脳卒中の発症率に影響する要因、そして、脳卒中の発症率を変える治療の可能性などです。信頼できる情報が十分にあれば、患者と医療従事者は協力して、治療による有益性と有害性のバランスを評価することができます。患者の好みや個々の状況に応じて最も適切な選択肢を選ぶことができます<sup>7</sup>。

本書における私たちの目的は、コミュニケーションを改善し、医療に対する患者の信頼を高めることであり、損なうことではありません。しかし、これは、患者自身と医療従事者が治療の選択肢を批判的に評価できるときに成立する話です。

第 1 章では、治療の公正な検証が必要な理由と、新しい治療法で予期しない有害な影響がどのように起きるのかについて簡単に説明します。

第 2 章では、その他の治療法で期待された効果がなぜ実現しなかったかを述べ、よく使われる多くの治療法が適切に評価されていないという事実に注目します。第 3 章では、より集中的な治療が必ずしも優れていない理由を説明します。第 4 章では、病気の早期徴候について健常者をスクリーニングすることが、有益なこともあれば有害でもある理由を説明しています。第 5 章では、医療を取り巻くすべての側面に広がる多くの不確実性のいくつかに注目し、それらに取り組む方法を説明します。

第 6 章、第 7 章、および第 8 章では、「技術的な詳細」を専門的な表現を用いずに説明しています。第 6 章では、治療法の公正な試験の基礎を概説し、似たようなもの同士を比較することの重要性を強調します。第 7 章では、「偶然の作用」を考慮する重要性を強調しています。第 8 章では、すべての信頼できるエビデンスを系統的に評価することが重要である理由を説明します。

第9章では、研究倫理委員会やその他の機関による治療効果研究を規制する制度が、なぜ研究を進める上での障害になるのか、その結果、なぜ規制が患者の利益追求を促進できないのかを説明しています。第10章は、良い研究、悪い研究、そして不要な研究が治療効果にもたらす主な違いを示します。研究は商業的および学問的な優先事項によってしばしば歪められ、患者の健康的な生活に実際に貢献しうる問題に取り組めていないことを示します。

第11章では、治療に対するより良い検証を確実に行うために、患者や一般の人々に何ができるかを示しています。第12章では、個々の患者のためのより良い医療のために研究から得られた堅実なエビデンスを本当に役立てる方法を検討しています。そして第13章では、より良い未来のための青写真を提示し、行動計画を完成させます。

各章はいくつかの主な資料を参照して、それとは別に「追加資料」セクションが本の末尾に含まれています。問題をより詳細に探究したい人は、James Lind Library ([www.jameslindlibrary.org](http://www.jameslindlibrary.org)) を参照するところから始めてみてください。

本書の第2版の無料電子版は、新しいウェブサイト - Testing Treatments Interactive ([www.testingtreatments.org](http://www.testingtreatments.org)) に掲載されています。今後、翻訳版やその他の資料もこのサイトに追加される予定です。

私たち著者は、人々のニーズに応えられる効果的な医療への平等なアクセスの原則を実現させるために尽力しています。これは社会が果たすべき責任であり、健全な研究から得られた試験や治療の効果に関する、信頼性が高いアクセス可能な情報に依存します。医療資源はいずれも限られているため、人類全体が医療の進歩から恩恵を受ける機会を得ようとするなら、治療は確固たるエビデンスに基づいて、効率的かつ公正に使用される必要があります。ほとんど有益性が認められない治療に貴重な資源を浪費したり、ほとんど知られていない治療を評価する機会を正当な理由なく却下したりすることは無責任なことです。したがって、治療の公正な検証は、私たち全員に平等な治療選択を可能にする上で、根本的に重要なことなのです。

読者の方々も本書のテーマに対する私たちの熱意に同意してくださることを願ってやみません。どうか治療についてどんな質問でもして、医学知識を身につけ、自分自身そして他の人の利益になる答えを見つけるために研究に関わってください。