

第5章 治療効果の不確実性にどう対処するか

本章では、新しい治療か古い治療かに関わらず、効果があると言われている治療にほぼ常につきものの不確実性について検討します。例えば、心臓発作を起こした人が定期的に酸素療法を受けることに疑問をもつ人はおそらくほとんどいませんが、その有用性を示す良いエビデンスは存在せず、有害な可能性があるとするエビデンスもいくつかあります。このような不確実性を伴う治療に対しては十分な検証が行われておらず¹、他の治療効果に関する議論ばかり行われてきました。

劇的な治療効果

まれだが認められている治療がある

ある治療について、効果に疑いの余地がないという非常に明確なエビデンスがあることはとても珍しいことです²。そしてその場合、治療効果はしばしば劇的かつ迅速です。心室（心臓の下側の部屋）の筋収縮の調整がひどく悪くなり、心臓のリズム障害が起こる心房細動を例に考えてみましょう。これは医学的な緊急事態であり、数分で死に至ります。このような場合、胸部に装着した除細動器の直流電流で心臓を「素早く」動かすテクニックを用いて、心臓の適切なリズムを回復させます。上手くいけば、効果は事実上、瞬時に得られます。

劇的な効果（第6章 P70 を参照）が得られる他の処置の例として、膿瘍による痛みを緩和するための痰のドレーン、重大出血で引き起こされたショック時の輸血、糖尿病に対するインスリン（膵臓が分泌するホルモン）などがあります。1920年代になるまで糖尿病患者は寿命が短く、非常に苦しみ、コントロール不能な高血糖のため衰弱していました。しかし、初期の動物試験の結果をもとにインスリンが急速に人に使用されるようになり、治療は目覚ましい成功をおさめました。当時としては、その効果はほとんど奇跡でした。その時代の別の例として、悪性貧血の患者への肝臓由来の薬剤があげられます。肝臓は後に、ビタミン B12 の供給源として知られるようになります。当時、致命的疾患であった悪性貧血においては、赤血球数が徐々に手の施しようもないほど減少し、患者は幽霊のように青白く、ひどく弱っていました。これらの患者に肝臓エキスを与えたところすぐさま回復したことから、今では悪性貧血の患者にはビタミン B12 が定期処方されています。

今世紀の初めにも、同様に驚くような結果が得られた例がいくつかありました。

ポートワイン母斑のレーザー治療

ポートワイン母斑として知られるあざは、皮膚の血管が拡張し、永続的な奇形が残ることが原因で生じます。顔に発症することが多く、持続的で、子どもが成熟するのに伴いし

ばしば色が濃くなっていき、容貌がひどく損なわれることもあります。長年にわたり凍結療法、外科手術、放射線療法等のさまざまな治療が試みられましたが効果はほとんどなく、多くの副作用が生じました。そんな中、レーザー治療の導入は素晴らしい結果をもたらしました。ほとんどのタイプの病変で、通常は1回のレーザー治療後に改善がみられ、レーザーから周辺の皮膚組織に放たれる熱による損傷も一時的なものとなっています^{2,3}。

慢性骨髄性白血病へのイマチニブ治療

慢性骨髄性白血病でイマチニブを投与された複数の患者においても、素晴らしい結果が報告されています^{4,5}。

1990年代後半にイマチニブが発売されるまで、この種の白血病には標準治療はほとんど効果がありませんでした。当初、標準治療では効果がなかった患者にこの新薬が試され、それをきっかけに患者の将来の展望が大きく改善しました。イマチニブ以前の時代と比較して、イマチニブは慢性骨髄性白血病の症状を安定化し寿命を大幅に伸ばすと考えられており、副作用も軽度であることがほとんどです。今では、イマチニブは第一選択治療とみなされています。

ママのキス

ローテクなアプローチにもまた劇的な効果があります。幼い子どもは、例えば、プラスチックのおもちゃやビーズ等の小物を自分の鼻に詰めてしまうことがあります。そして、それを取り除こうとしばしば鼻から一生懸命に息を吹き出そうとします。この不快な異物を鼻から取り出すための方法として、塞がれていない方の鼻孔を閉じ、同時に子どもの口に息を吹き込む「ママのキス」と呼ばれる対処法は、それ自体はシンプルですが非常に大きな効果があります。^{2,6}

イチゴ状血管腫の新規治療

劇的な効果のある治療は、時として偶然に発見されるものです。血管腫と呼ばれる乳幼児に発症する症状を例にあげてみましょう。このポートワイン母斑のような症状は、未熟な血管の奇形によってもまた起こります。血管腫では、小さな血管が集合して腫瘤を形成します。ほとんどの場合、血管腫は皮膚（通常は頭部や頸部）に発症しますが、肝臓等の体内の臓器にできることもあります。明るい赤色で隆起していることから、この皮膚病変はしばしばイチゴ状血管腫と呼ばれます。通常、誕生時には目に見えませんが、大抵の場合、生後1週間くらいで現れてきます。そして生後3カ月で急激に大きくなり、その後病変の成長は遅くなる傾向があります。ほとんどの場合、5歳になるまでに自然消退し、かすかにピンク色をした斑や皮膚のたるみが残ります。

しかし、血管腫の中には、例えば目を覆う、あるいは鼻を塞いでしまう等、発症部位によっては治療が必要なものもあります。また、他の合併症で治療が必要になる場合もあります。潰瘍性血管腫では感染が生じたり、病変が大きくなったりと心臓が腫瘍の血管に多くの血液を拍出しなくてはならなくなり、心不全が起こることもあります。

最近まで、問題のある血管腫に対してはステロイドが第一選択治療でした。その後、2008年に何名かの医師が別の治療を行ったことで、極めて偶然に劇的な結果が得られました。この医師達は、顔と右目のほとんどを覆ってしまうような巨大な血管腫ができた新生児の治療にステロイドを使用していました。しかし、治療したにも関わらず、その新生児は心不全を起こしてしまっただけです。驚いたことに、血管腫の外観は24時間以内に改善し始め、腫瘍は1週間以内に新生児が瞼を開くことができるまでに退縮しました。そして治療を開始してから6カ月後、血管腫は次第に消退していきました。その翌年、この医師達は10数人の子どもにプロプラノロールの投与を継続し、治療は同じように上手くいきました。他の医師達も少人数の子どもたちでこれらの素晴らしい結果を再現し、今ではより大勢の乳幼児を対象にプロプラノロールのさらなる研究が行われています^{7,8}。

段階的な進歩は一面の記事には載らない

「科学それ自体は、新しいニュースとしてはほとんど注目されることはないが、まさにその本質から言って『特集』ページのテーマにはなり得る。なぜなら、一般に科学は、突然の画期的な大発見によって前進するわけではなく、少しずつ現れてくるテーマや理論により前進し、多数の異なる説明段階にあるさまざまな分野のエビデンスにより裏付けられるものだからだ。それなのに、メディアはいつも『新しい大発見』ばかりを追っている。」

Goldacre B. Bad Science: London: Fourth Estate, 2008, p 219.

中程度の治療効果

治療効果があまり明白でないことの方が普通である

ほとんどの治療には劇的な効果があるわけではなく、それらの効果を評価するには公正な検証が必要です。また、ある状況では劇的な効果があることもあれば、別の状況ではそうでないこともあります。

ビタミンB12は、明らかに悪性貧血には効果がありますが（上記を参照）、3カ月ごとの治療、あるいはもっと高頻度な治療が必要かどうかは今なお議論が続いています。このような疑問は、治療の選択肢を比較するための注意深い対照試験によってのみ答えが得られます。さらに、股関節置換術は痛みを劇的に緩和する一方、人工股関節には複数の種類が

あり、相対的なメリットの差は非常にわずかですが、摩耗が早い場合もあることから重要な問題となります。

ポートワイン母斑のレーザー治療（上記を参照）についても、いまだ学ぶべきことが多くあります。レーザー治療は依然として「ゴールドスタンダード」ですが、それと同時に、なぜ何年か後にはいくつかの病変が再び濃くなってくるのか、あるいは、皮膚の冷却と組み合わせる等の別のレーザー治療の効果についても、研究が続けられています^{9,10}。

心臓発作を起こしている患者の場合、診断時に速やかにアスピリンを投与すれば実質的に死亡リスクを低下させることができますが、心臓発作や脳卒中の予防のためにアスピリンを投与することについては効果よりも害の方が大きくなるかどうかは、循環器系の基礎疾患があるかどうかによって左右されます。心臓発作、脳卒中、循環器系を原因とする死亡リスクの減少という利益は、出血、特に脳内への出血により起こる脳卒中や、腸からの出血という害とのバランスをとることが必要です。すでに循環器疾患のある患者では、アスピリンの利益は害を大きく上回ります。しかし、その利益は、健康な人々にとっては出血リスクを明らかに上回るわけではありません（第7章を参照）¹¹。

診療医の意見が異なる場合

多くの疾患や症状に対して、治療効果がどの程度あるのか、どの治療がどの患者にとって最善であるのかについては、大きな不確実性を伴います。治療に対して意見が異なっている場合もあれば、非常に強い意見をもっている医師がいる場合もあります。このことは、1つの症状の治療にも大きなばらつきが生じることにつながります。

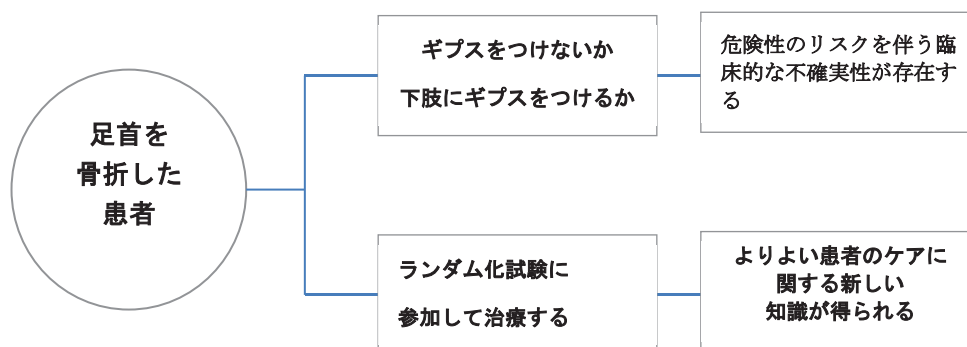
1990年代に、この本の著者の Iain Chalmers 氏は米国での休暇中に足首を骨折し、ある整形外科医の治療を受けました。その外科医は、添え木を彼の足につけ「腫れが引いたら、次は下腿にギプスを6週間つけましょう」と言いました。数日後、Iain 氏は家へ帰る途中に地元の整形外科クリニックを受診しましたが、そのクリニックの英国人整形外科医は「足にギプスをつけるなど、全く不適切なことです」と、ためらうことなくその処置を否定しました。専門家の間でこのような明らかな不確実性が存在したことから、Iain 氏は、どちらの治療がより良いかを確認するための対照試験に参加できないか尋ねました。

その英国人外科医は答えました。「対照試験は、自分達が正しいかどうか確信が持てない人々のために実施されるものですよ。私は自分が正しいことがわかっています」。

なぜ専門家の意見がそこまで顕著に異なり、そしてその場合、患者はどうすれば良いのでしょうか。どちらの外科医も、正しい対処方法についてはそれぞれ明確でした。ところが、一般的な骨折を治療するための最善の方法については専門家間で見解が大きく異なっており、不確実性ははっきりと現れました。どちらの治療が優れているかを示す良いエビデンスはあったのでしょうか。あったのならば、外科医のうちの1人はそれを知っていたのでしょうか。あるいはどちらの外科医もそれを知らなかったのでしょうか。または、どちらの治療がより良いか、誰も知らなかったということなののでしょうか（図を参照）。

この2人の外科医は、おそらく、重視する治療の目標が異なっていたのかもしれませんが。米国人外科医は、痛みの緩和をより重要視してギプスをつけることを推奨したのかもしれませんが、英国人外科医は、このような処置で足を固定する際に起こる筋委縮の可能性をより心配していたのかもしれませんが。だとすると、その外科医たちはなぜ Iain にどちらの転帰がより問題であるかを尋ねなかったのでしょうか。その後 20 年経ってもまだ、この非常に一般的な骨折の状態をどう管理すべきかについては不確実なままなのです¹²。

そしてここに、またいくつかの別の問題があります。まず、この推奨された2つの非常に異なる治療アプローチを比較する信頼性の高いエビデンスはあったのでしょうか。あったのなら、そのエビデンスは、Iain 氏あるいは、彼とは異なる希望をもっていた可能性のある他の患者が重要視したであろう転帰（痛みの緩和、筋委縮の軽減など）に関して相対的な効果を示していたのでしょうか。あるいは、必要な情報を提供してくれるエビデンスがなかった場合にはどうなるのでしょうか。



医師はどうすべきか

不確実性に立ち向かう

生と死にまつわること

「治療効果の不確実性に取り組まないと、回避できたはずの多くの苦痛や死につながることもある。ジアゼピンやフェニトインが子癇への抗けいれん薬として導入された際、何十年も使われていたマグネシウム硫酸塩との比較がされていれば、苦痛を経験したり死亡したりする女性は何十万人も減っていただろう。同様に、全身ステロイド療法の脳の外傷性傷害への効果が評価されてこの治療が広まっていれば、何万もの不必要な死を回避できたことだろう。これらは、医師には治療効果の不確実性に取り組むという職業上の責任があることを示した数多くの例の2つである」。

Chalmers I. Addressing uncertainties about the effects of treatments offered to NHS patients: whose responsibility? *Journal of the Royal Society of Medicine* 2007; 100:440.

治療選択肢に関して信頼性の高いエビデンスがない場合でも、どう対処するか明確にし、その不確実性について患者と話し合う準備ができている臨床医もいます。例えば、脳卒中のケアを専門にしているある医師は、「研究のエビデンスでは、私の患者にとって脳卒中ユニットで治療する方がはるかに結果がよいことが示されていますが、多くのタイプの患者にとって、血栓溶解薬を服用すべきかどうかは不確かなままです（第11章も参照）」とコメントしています。彼は、患者と治療選択肢を話し合う際に、次のように説明しました。「これらの薬剤は害よりも利益の方が大きい可能性があります、まれに害の方が大きくなる患者さんもいます」。また、害と利益のバランスがはっきりしない患者に対しては、公正な比較対照試験の裏付けがある治療法ならば、不確実性は軽減され、推奨することができる¹³。血栓溶解剤のいくつかの側面には、不確実性が残っています¹⁴。

プロフェッショナルとは不確実性に対応する人

「プロフェッショナルであることの 1 つの重要な条件は (中略) 医学の不確実性を見極め、それに対応する能力をもっていることだろう。専門家は日々、病気の起こる理由、診断、治療についての不確実性に直面し、対処している。しかし、これらの医学的活動のあらゆる分野に内在する不確実性ははっきりと認識されることがあまりなく、専門家の中には、とりわけ患者対応において、不確実性を受け入れることに依然として抵抗を感じる人々もいる。不確実性は、人の健康を改善するために行われる医学研究の最大のきっかけであり、それが英国医学研究所の役割の中心を成す。将来的には、医学の専門家は、どこにまだ不確実性が存在し、それらへの対応に必要な継続的研究はどんな研究なのかを知るために、自身の診療分野に関連のある蓄積された研究結果を理解することがますます重要になるだろう。まとめると、患者の利益につながる研究を認識できている人が今後は真の専門家と言えよう。医学専門家の中には、研究に積極的に参加する人々もいるだろうが、研究には全員が参加すべきであり、必要に応じて、その研究結果を自身の専門診療で実践するために患者を関与させるようにすべきである」。

From: Medical Research Council response to Royal College of Physicians consultation on medical professionalism.2005

未熟児の呼吸障害に対するカフェイン

特定の疾患に用いられる治療の種類に大きなばらつきがあるということは、治療間の相対的な効果について、専門家間の認識に不確実性が存在するという明らかな証拠です。そして確立された治療があるということは、公正な検証によってこのような不確実性を解決しようとするには非常に長い時間がかかるということを示すのかもしれませんが。未熟児に対するカフェインの使用が分かりやすい例です。未熟児は、多くの場合適切に呼吸ができず、一時的に呼吸が止まることもあります。この症状は、未熟児無呼吸発作として知られており、妊娠期間 34 週未満で生まれたほとんどの新生児に発症します。1970 年代後半に、カフェイン治療によってこのような症状が緩和することが示され、その後一部の小児科医によって用いられるようになりました。

しかし、カフェインの効果については依然として議論の余地がありました。公正な検証で、カフェインによって無呼吸発作が減少することが示されましたが、多くの小児科医は、この症状がカフェインの使用を正当化するほど重篤だとは考えず、さらに一部の小児科医は、このような小さな新生児には安全でないかもしれないと懸念していました。このことは、カフェイン治療が行われた新生児と行われなかった新生児がいたことを意味しています。治療が導入されてから 30 年以上経ってこの大きな不確実性が、大規模な国際臨床試験によって最終的に評価されると、この単純な治療によっては呼吸困難を緩和するだけでな

く、非常に重要なことですが、脳性麻痺や幼児発達の遅延を伴わない長期生存の可能性を有意に改善することがわかりました。この治療が導入されたときにこの不確実性を検証していれば、障害を発症する新生児は少なくなっていたと考えられます^{15,16}。

早期分娩に対する抗生物質

有益な効果があると思われる治療も、また無害という思い込みがある治療も公正な検証によってどちらも誤りであると示される可能性があります。医師は、特に絶望的な状況で希望を与えることができる場合は、誠意をもって治療を行います。例えば、「無症候性」感染は早期陣痛および早期分娩を誘発する可能性があるということを示唆する説がありました。この説に基づいて、医師は、妊娠期間を延長する可能性があることを期待し、一部の妊婦に対して抗生物質を処方しました。このような抗生物質の使用が深刻な問題を引き起こすと真剣に考えた人はいませんでした。実際に、「害にはならないだろうから、これを試してみよう」という気持ちで、女性自身が抗生物質を強く望んでいたという例がいくつかあります。

処方時の見込みについて話す 2 人の医師

架空の 2 人の医師の会話の中で、一般開業医は以下の点を指摘している：「私たちは多くの作業を見込みで行っているが、君もわたしも喜んでそれをやっているわけではない。効果があるものを調べる唯一の方法は適切な試験だが、その箱は膨大だ。ではどうすればいいのか？ したいようにするのだ。そうすれば、臨床経験によって上手くいくこともあるだろう。上手くいかなくても、私たちがしたことを正しいことだと勘違いをしていることもあるだろうが、私たちが行っているのは臨床試験と呼ばれるものではないため、それを規制する人もそこから学ぶ人もいない」。

Adapted from Petit-Zeman S. Doctor, what's wrong?
Making the NHS human again. London: Routledge, 2005, p79-80.

最終的にこの治療の公正な検証が行われると、その結果には明らかな臨床的な意味合いが認められました。まず、有益性が認められませんでした。さらに、抗生物質に曝露された新生児は、比較群の新生児と比べて、脳性麻痺および発語、視覚、歩行に障害がある可能性が高かったことが、この試験に参加した新生児の長期追跡調査によって示されました。このような抗生物質の害は、抗生物質が女性に処方されてきた数十年にわたり認識されていませんでしたが、その効果についての公正な検証による十分なエビデンスもありませんでした。よくあることですが、「通常の」診療で適切に評価されていない治療を受けた場合、研究において同じ治療を受けた場合よりも不利益を受ける可能性が高いのです。言い換えれば、公正な検証の一環として薬剤を服用しなかった場合、一般的に危険性は上がるのです^{17,18,19}。

乳がん

専門家の間に存在する不確実性についての別の例が、乳がんの治療（第3章参照）によって示されています。手術、放射線療法、および化学療法の使用にはかなりのばらつきがあります。超早期乳がんや「仮性」乳がんの最善の治療法については、脇の下から切除するリンパ節の理想的な数、あるいはすべてを切除する必要があるのかどうかと同じように未解決です²⁰。加えて、治療に伴う疲労の緩和や、腕のリンパ浮腫（脇の下の手術や放射線療法による苦痛を伴う重症の後遺症）治療の最善の方法など、患者にとって特に関心のある話題はまだ十分に検討されていません。

治療の効果に関する不確実性への対処

ここからどこに向かうのでしょうか？臨床医は、大人数を集めた信頼性のある研究試験の現存する系統的レビューから得られた、治療に関する最新のエビデンスを利用する必要があります。その上で、治療に関する不確実性が残っていることが明らかになった場合は、このことについて患者と話し合い、なぜそうなのかを説明するための準備をする必要があります。そうして初めて、患者と臨床医は、患者の希望を考慮し、選択肢について一緒に話し合うことができます。このような話し合いによって、認識し、対処することが必要なさらなる不確実性が明らかになる場合があります。不確実性が依然として存在することを一緒に認識することによってのみ、治療がより適切で安全なものになるように着実に進めることができます。したがって、不確実性は進歩の必須条件であり、「失敗」を認めることではないのです。不確実性に対処するこの前向きな姿勢は、現在一部の専門家による指導に反映されています。英国では、General Medical Council（英国医事委員会）の「Good Medical Practice（良質の医療のための原則）ガイダンス最新版」において、医師に対し、能力を維持し向上させる一環として、「治療の効果に関する不確実性について対処しなければならない」と指導しています²¹。そのためには、患者と臨床医はより良い研究をデザインするために協力しなければなりません（第11章を参照）。

公正な検証の一環としての治療の実施

では、昔からあるにせよ最近のものであるにせよ、適切に評価されていない治療の効果について重大な不確実性がある場合にはどうなるのでしょうか？答えは、すでに説明したように、脳卒中患者のケアを行った医師の例にならうことです。すなわち、不確実性を解消するためには、適切な評価がなされていない治療は、望ましい効果および望ましくない効果の両方を検証する目的でデザインされた研究の中だけで行われるべきだということです。

医学倫理学者はこのような言い方をします：

「(異なった)治療間の相対的で重要な違いが不確実な場合、患者ごとに治療効果を確信することができないように、それらのうちのどの治療を用いるのがよいか、確信を得ることはできません。したがって、適切な試験の完了前にあれこれと主張することは、非合理的かつ非倫理的なように思います。このように、『患者にとって最良の治療は何ですか?』という質問に対する答えは、『臨床試験』です。試験治療として治療を行うことなのです。これは実験ですか?はい。しかし、それは不確実性の下での選択と、データ収集という意味です。選択が『ランダム』であることは重要ですか?論理的には、いいえ、です。結局のところ、不確実性の下での選択のためのより良いメカニズムは何なのでしょう?」²²

公正な検証のプロセスとして、つまり臨床試験として治療を行うことにより、患者の転帰に大きな違いを生む可能性があります。小児白血病の話は、このことの非常に顕著な例を示しています。1960年代までは、事実上すべての白血病の小児が、診断された直後に亡くなりました。現在では、100人中約85人の小児が生存しています。これは、現在の標準治療とそれとは別の新たな治療とを比較したランダム化試験に、ほとんどの白血病の小児が参加したため達成されています²³。ほとんどの小児がん患者のための最良の治療選択肢は、そのような試験への参加によって決まります。

患者は不確実性に対処することができるか?

「ではわれわれは、治療の効果に関する不確実性にどのように取り組んでいるのか? (中略) 患者は医学研究や医療上の決定におけるパートナーであるという一般的な認識にもかかわらず、治療の不確実性について議論することは難しいと一部の医師は消極的である。単に不安を招くことを恐れている医師もいる。心からの心配であることに間違いはないが、パターンリズムである。真実を伝える倫理的義務があるからといって不確実性を明示することまで及ぶかどうか、また、精神的負担から患者を守るための道義的責任がある、という2つの倫理的議論の間のバランスを理由に自らの行動を正当化しようとする医師もいる。患者は不確実性を受け入れる心構えができているかを私たちは知る必要がある。おそらく、患者は医師が思うよりもはるかに適応力がある。」

Evans I. More nearly certain. Journal of the Royal Society of Medicine 2005;98:195-6

臨床試験が実施できないならば、その新しい治療について、標準的な方法、例えば、疾患の診断に用いられる臨床検査あるいはその他の検査、および治療効果測定のための検査を含むチェックリストを用いることによって、その結果を最低限記録する必要があります。この記録調査の計画は、臨床試験の場合と同様に、データベースに登録することもできます(第8章を参照)。そうすることで、その結果は、未試験の治療を受けている患者やあらゆる状況にある患者の利益となる知識体系に役立つ可能性があります。医療ITシステムにはすで

に莫大な資金が投入されており、患者や一般社会の利益のための情報収集に、いつでも利用することができます（第 11 章も参照）²⁴。

治療効果に関する不確実性の解消には、効果的かつ効率的に対処するための進歩が必要です。本書の後半で、それらの一部、特に患者の参画について議論します（第 11 章および第 12 章を参照）。しかし、先に述べたように、ここで強調したい特別な問題があります。治療効果に関する情報が不十分な場合、その価値と不利益の可能性についてより多くのことがわかるまで、臨床医は、正式な評価の一環として臨床試験のみで治療を行うべきです。それによって知見を増やすことができます。しかし、実際には、研究規制のシステム（第 9 章参照）など一部の一般的な流れにより、リスクを制限するこの方法が妨げられています。

英国のある小児科医は、30 年以上前、患者の半分に治療を行う（すなわち、その効果について調べるため、比較対照試験において患者の半分に新しい治療を、もう半分に既存の治療を行う）ためには許可が必要でも、同じ治療を標準的な処方としてすべての患者に行いたい場合には許可が必要ないという要点ごと気づき、悩みました²⁵。この非論理的なダブルスタンダードはいまだに繰り返され、臨床医が治療の効果に関する不確実性を解消する取り組みを妨げています。全体的な効果は、医療従事者が患者の治療経験から知識を生み出すのを邪魔しています。米国の社会学者 Charles Bosk 氏はかつてこう述べました。「経験から学ばないとするならば、何でもありになってしまう」。

不確実性について説明するには、医師のスキルとある程度の謙虚さが明らかに必要です。どれが最善の治療法か誰もわからないということを臨床試験の参加者に説明しようとする場合、多くは不安を感じます。しかし、一般社会の意識が変わり、神のように振る舞う横柄な医師は次第に相手にされなくなりました。医師として自分たちも人間であることを率直に認め、治療の選択肢をより確実に提供するための研究に患者の支援と参加を必要とすると認める教育をする必要があります（第 11 章および第 12 章を参照）。

多くの臨床医や患者にとっての主な障害は、治療の公正な検証の方法に精通していないことです。次の章でこの課題を議論しましょう（第 6 章を参照）。

キーポイント

- 劇的な治療効果はまれである。
- 治療効果に関する不確実性はごく一般的にみられる。
- さまざまな治療の間の効果は通常わずかな差であり、それらを確実に検出することが重要である。
- 治療効果に関する重大な不確実性への答えが誰にもわからない場合は、不確実性を減らすための措置を講じる必要がある。
- 治療の効果に関する不確実性を減らすことに貢献するために患者自身がかつと多くのことができるだろう。