

The ethics of compassionate use and the 'right' to try unapproved drugs

Abstract

Generally, patients in the U.S. access unapproved medical products by enrolling in a clinical trial. Pre-approval access does not involve enrolling in a clinical trial. For a variety of reasons, some patients cannot participate in a clinical trial. Terminally ill patients who are not able to participate in a clinical trial and who have no other treatment options may seek pre-approval access. So might those with debilitating non-terminal diseases or conditions, such as blindness, multiple sclerosis, or chronic pain. Also, patients with serious or terminal illnesses who have no other approved treatments available may use expanded access to seek an experimental drug or device that is not yet in clinical trials or for which the clinical trials are full or have concluded. Finally, in some cases, patients can seek access to drugs via compassionate use requests.

In my view, there are better ways for patients to access unapproved drugs than so called right to try. I will described one model—the compassionate use advisory committee or CompAC —which I have pioneered at NYU with Johnson & Johnson and which has been very successful ethically and practically.

Reference

Caplan AL, Teagarden JR, Kearns L, et al. *J Med Ethics*. 2018 Nov; 44(11):761-767. doi: 10.1136/medethics-2016-103917. Epub 2018 Jul 7.

コンパッショネート・ユースと試す‘権利’に関する倫理

要旨：

米国の患者は一般に、臨床試験に登録することで未承認の医療品・医療機器にアクセスする。一方、承認前アクセスには、臨床試験への登録が伴わない。患者の中には様々な理由から臨床試験に参加できない者もいる。臨床試験に参加することができず、他に治療法がない末期の患者は、承認前アクセスを求めることができる。失明、多発性硬化症、慢性疼痛といった、末期ではないものの衰弱を伴う疾患や症状を抱えた患者も同様である。また、承認された治療法がない重度または末期の患者は拡大アクセスを利用し、まだ臨床試験に至っていない、あるいは、臨床試験が十分に行われたか、終了した段階の医薬品や医療機器を実験的に求めることができる。最後に、場合により患者は、コンパッショネート・ユースの要請を通じて医薬品へのアクセスを求めることができる。

私の見解では、患者が未承認の医薬品にアクセスする方法には、いわゆる「試す権利 (right to try)」よりも良いものがある。本講演では、私がNYUでジョンソン・エンド・ジョンソンと先駆けて作った、倫理的かつ実用的に非常に成功しているコンパッショネート・ユース諮問委員会 (CompAC) のモデルについて解説する。

参考文献

Caplan AL, Teagarden JR, Kearns L, et al. *J Med Ethics*. 2018 Nov; 44(11):761-767. doi: 10.1136/medethics-2016-103917. Epub 2018 Jul 7.