令和元年度　医薬品・医療機器等GCP／GPSP研修会

医薬品等の審査及び治験に関する最近の動向について

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

本日のトピック

◆薬機法改正の内容等について

◆最近の治験の動向等について

◆その他

本日のトピック

◆薬機法改正の内容等について

◆最近の治験の動向等について

◆その他

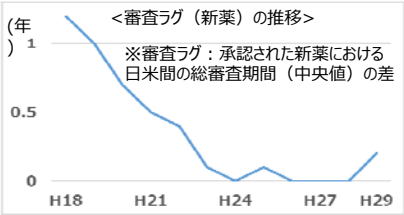
医薬品医療機器等行政をめぐる現状・課題と対応

《施策の基本理念》
1　優れた医薬品、医療機器等の安全・迅速・効率的な提供
2　住み慣れた地域で安心して医薬品を使用できる環境整備

現状

開発から市販後までの規制の合理化

➢ 審査の迅速化（審査ラグはほぼ解消）



（ＰＭＤＡ試算より）

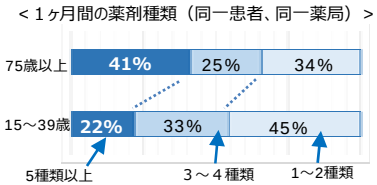
➢ 環境変化
技術進展 → 革新的医薬品等の早期実用化
グローバル化の進展 → 企業が有利な開発拠点を選択

➢ 医療上の必要性が高いにもかかわらず、開発が進みにくい医薬品等の存在

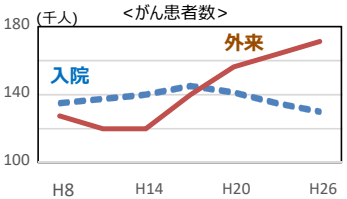
薬剤師・薬局のあり方見直し

➢ 医薬分業に対する指摘
患者が負担に見合うだけのサービス向上・分業効果を実感できない

➢ 在宅を含めた薬物療法の重要性
・高齢化の進展による多剤投与とその副作用の懸念の高まり
・外来で治療を受けるがん患者の増加



（平成28年社会医療診療行為別統計の概要より）



（平成26年患者調査より）

過去の違法行為等への対応

➢ 違法行為等の発生

・承認書と異なる製造方法による医薬品の製造販売事案
・虚偽・誇大広告事案
・医療用医薬品の偽造品の流通事案
・虚偽の申請により受けた薬監証明に基づく未承認医療機器の輸入事案
・同一開設者の開設する薬局間における処方箋の付け替え事案

課題

開発から市販後までの規制の合理化

➢ 必要な医薬品等への患者アクセスの一層の迅速化
・予見可能性・効率性・国際整合性が高く、合理的な制度構築
・安全対策の充実・合理化

薬剤師・薬局のあり方見直し

➢ 在宅で患者を支える薬剤師・薬局の機能の強化
➢ 薬局と医療提供施設等との情報共有・連携強化
➢ 患者が自分に適した薬局を選ぶための仕組み

過去の違法行為等への対応

➢ 再発防止策の整備・実施

主な対策（改正法案概要）

開発から市販後までの規制の合理化

➢ 予見可能性等の高い合理的な承認制度の導入
・「先駆け審査指定制度」「条件付き早期承認制度」の法制化、開発を促進する必要性が高い小児の用法用量設定等に対する優先審査等
・AI等、継続的な性能改善に適切に対応するための新たな医療機器承認制度の導入

➢ 安全対策の充実・合理化
・添付文書の電子的提供を原則化
・医薬品等のバーコード表示の義務づけ

薬剤師・薬局のあり方見直し

➢ 薬剤師・薬局機能の強化
・薬剤師に対し、必要に応じ、調剤した後の服薬状況の把握・服薬指導を義務づけ
・服薬状況に関する情報を他医療提供機関に提供（努力義務）

➢ 特定の機能を有する薬局の認定・表示制度の導入
・地域連携薬局：地域包括ケアシステムの一員として、住み慣れた地域での患者の服薬等を支援する薬局
・専門医療機関連携薬局：がん等の治療を行う専門医療機関と連携し、専門的な薬学管理を行う薬局

過去の違法行為等への対応

・許可等業者に対する法令遵守体制の整備等の義務づけ
・虚偽・誇大広告による医薬品等の販売に対する課徴金制度の創設
・薬監証明制度の法制化及び取締りの強化

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律案の概要

改正の趣旨

国民のニーズに応える優れた医薬品、医療機器等をより安全・迅速・効率的に提供するとともに、住み慣れた地域で患者が安心して医薬品を使うことができる環境を整備するため、制度の見直しを行う。

改正の概要

１．医薬品、医療機器等をより安全・迅速・効率的に提供するための開発から市販後までの制度改善

(1) 「先駆け審査指定制度※」の法制化、小児の用法用量設定といった特定用途医薬品等への優先審査等
　※先駆け審査指定制度 … 世界に先駆けて開発され早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、優先審査等の対象とする仕組み
(2) 「条件付き早期承認制度※」の法制化
　※条件付き早期承認制度 … 患者数が少ない等により治験に長期間を要する医薬品等を、一定の有効性・安全性を前提に、条件付きで早期に承認する仕組み
(3) 最終的な製品の有効性、安全性に影響を及ぼさない医薬品等の製造方法等の変更について、事前に厚生労働大臣が確認した計画に沿って変更する場合に、承認制から届出制に見直し
(4) 継続的な改善・改良が行われる医療機器の特性やＡＩ等による技術革新等に適切に対応する医療機器の承認制度の導入
(5) 適正使用の最新情報を医療現場に速やかに提供するため、添付文書の電子的な方法による提供の原則化
(6) トレーサビリティ向上のため、医薬品等の包装等へのバーコード等の表示の義務付け　　等

２．住み慣れた地域で患者が安心して医薬品を使うことができるようにするための薬剤師・薬局のあり方の見直し

(1) 薬剤師が、調剤時に限らず、必要に応じて患者の薬剤の使用状況の把握や服薬指導を行う義務
　薬局薬剤師が、患者の薬剤の使用に関する情報を他医療提供施設の医師等に提供する努力義務
　} を法制化
(2) 患者自身が自分に適した薬局を選択できるよう、機能別の薬局※の知事認定制度（名称独占）を導入
　※①入退院時や在宅医療に他医療提供施設と連携して対応できる薬局（地域連携薬局）
　　②がん等の専門的な薬学管理に他医療提供施設と連携して対応できる薬局（専門医療機関連携薬局）
(3) 服薬指導について、対面義務の例外として、一定のルールの下で、テレビ電話等による服薬指導を規定　　等

３．信頼確保のための法令遵守体制等の整備

(1) 許可等業者に対する法令遵守体制の整備（業務監督体制の整備、経営陣と現場責任者の責任の明確化等）の義務付け
(2) 虚偽・誇大広告による医薬品等の販売に対する課徴金制度の創設
(3) 国内未承認の医薬品等の輸入に係る確認制度（薬監証明制度）の法制化、麻薬取締官等による捜査対象化
(4) 医薬品として用いる覚せい剤原料について、医薬品として用いる麻薬と同様、自己の治療目的の携行輸入等の許可制度を導入　　等

４．その他

(1) 医薬品等の安全性の確保や危害の発生防止等に関する施策の実施状況を評価・監視する医薬品等行政評価・監視委員会の設置
(2) 科学技術の発展等を踏まえた採血の制限の緩和　　等

施行期日

公布の日から起算して１年を超えない範囲内において政令で定める日（ただし、１.(3)(5)、２.(2)及び３.(1)(2)については公布の日から起算して２年を超えない範囲内において政令で定める日、１.(6)については公布の日から起算して３年を超えない範囲内において政令で定める日）

医薬品・医療機器等に関する承認審査制度について

現状

○　医療上必要性が高い医薬品・医療機器等に対して、優先的に審査する制度や、税制上の優遇措置・助成金の交付を行う制度といった、様々なインセンティブが設定され、対象となる医薬品・医療機器の特性等に応じて適応されている。

【インセンティブの例】

制度名・指定要件	概要
通常 ※現状、小児用法・用量設定は、インセンティブの対象ではない	スクリーニング（非臨床試験）→ 臨床試験（治験）（探索的試験・検証的試験）→ 申請 → 審査（12ヵ月）→ 承認 → 再審査期間
優先審査 ①対象疾患重篤性 ②有効性又は安全性が明らかに優れる	スクリーニング（非臨床試験）→ 臨床試験（治験）（探索的試験・検証的試験）→ 申請 → 審査（9ヵ月）→ 承認 → 再審査期間
希少疾病用医薬品 ①患者数５万人未満or指定難病 ②開発可能性	スクリーニング（非臨床試験）→ 指定 → 臨床試験（治験）（探索的試験・検証的試験）→ 申請 → 審査（9ヵ月）→ 承認 → 再審査期間（10年） 助成金交付・税制措置 市場性加算（Ⅰ）
先駆け審査指定制度 通知 ①画期性 ②対象疾患の重篤性 ③極めて高い有効性 ④世界に先駆けて日本で申請	スクリーニング（非臨床試験）→ 指定 → 臨床試験（治験）（探索的試験・検証的試験）→ 申請 → 審査（6ヵ月）→ 承認 → 再審査期間（８～10年） 優先相談　事前評価 コンシェルジュによる支援 先駆け審査指定制度加算
条件付き早期承認制度 通知 優先審査の要件に加えて、 ①検証的試験の実施が困難 ②他試験で一定の有効性・安全性を確認	スクリーニング（非臨床試験）→ 臨床試験（治験）（**探索的試験**）→ 申請 → 審査（9ヵ月）→ 承認 → 再審査期間 承認条件による製造販売後調査実施

医薬品の先駆け審査指定品目①

指定日	名称	申請者	予定される効能又は効果	備考
H27.10.27	シロリムス **（販売名：ラパリムスゲル）**	ノーベルファーマ(株)	結節性硬化症に伴う血管線維腫（皮膚病変）	**薬事承認：H30.3.23** **薬価収載：H30.5.22**
	NS-065/NCNP-01	日本新薬(株)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	
	S-033188 **（販売名：ゾフルーザ錠）**	塩野義製薬(株)	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症	**薬事承認：H30.2.23** **薬価収載：H30.3.14**
	BCX7353	(株)IDA	遺伝性血管浮腫(HAE)の患者を対象とした血管性浮腫の発作の管理	
	ASP2215（ギルテリチニブ） **（販売名：ゾスパタ錠）**	アステラス製薬(株)	初回再発又は治療抵抗性のFLT3遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	**薬事承認：H30.9.21** **薬価収載：H30.11.20**
	ペムブロリズマブ（遺伝子組換え）	MSD（株）	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	指定取消し（H29.9）
H29.4.21	オリプターゼアルファ（遺伝子組換え）	サノフィ（株）	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠乏症	
	Aducanumab	バイオジェン・ジャパン（株）	アルツハイマー病の進行抑制	指定取消し（R1.9）
	DS-5141b	第一三共(株)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（ジストロフィン遺伝子のエクソン45スキッピングにより効果が期待できる患者）	
	SPM-011	ステラファーマ(株)	・再発悪性神経膠腫 ・切除不能な局所再発頭頸部癌並びに局所進行頭頸部癌（非扁平上皮癌）	
	ニボルマブ（遺伝子組換え）	小野薬品工業（株）	胆道癌	

医薬品の先駆け審査指定品目②

指定日	名称	申請者	予定される効能又は効果	備考
H30.3.27	RTA402	協和発酵キリン（株）	糖尿病性腎臓病	
	JR-141	JCR ファーマ（株）	ムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）	
	タファミジスメグルミン **（販売名：ビンダケルカプセル）**	ファイザー（株）	トランスサイレチン型心アミロイドーシス（TTR-CM）	**薬事承認：H31.3.26** **薬価収載：H25.11.19** **（効能又は効果の追加）**
	MSC2156119J	メルクセローノ（株）	MET エクソン14 スキッピング変異を有する進行（IIIB/IV 期）非小細胞肺癌	
	Trastuzumab deruxtecan	第一三共（株）	がん化学療法後に増悪したHER2 過剰発現が確認された治癒切除不能な進行・再発の胃癌	
	Entrectinib **（販売名：ロズリートレクカプセル）**	Ignyta, Inc	前治療後に疾患が進行又は許容可能な標準治療がないNTRK 融合遺伝子陽性の局所進行又は遠隔転移を有する成人及び小児固形がん患者の治療	**薬事承認：R1.6.18** **薬価収載：R１.９.４**
H31.4.8	Valemetostat	第一三共（株）	再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫	
	イキサゾミブクエン酸エステル	武田薬品工業（株）	ALアミロイドーシス	
	TAK-925	武田薬品工業（株）	ナルコレプシー	
	ASP-1929	楽天メディカルジャパン（株）	頭頸部癌	
	E7090	エーザイ（株）	FGFR2 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌	

「審査指定制度(希少疾病・先駆け・特定用途)」と「条件付き早期承認制度」について

医療上特に必要性が高い医薬品等

厚生労働大臣は、各々の要件に該当する場合、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて、指定ができる。

- 希少疾病用医薬品等
- 先駆的医薬品等
- 特定用途医薬品等
- その他（指定なし）

厚生労働大臣は、十分な人数を対象とする臨床試験の実施が困難な場合、一部の資料の添付を要しないとすることができる。
（条件付き早期承認）

希少疾病用医薬品等	本邦における対象患者が5万人未満又は指定難病	優先審査(9ヶ月) 助成金・税制・再審査期間延長（最大10年）・薬価上の措置の可能性
先駆的医薬品等	以下のいずれも満たす場合 ・日本・外国で承認を与えられている製品と作用機序等が明らかに異なる ・その用途に関し、特に優れた使用価値を有す	優先審査(6ヶ月) PMDAによる相談事業の優先対応、事前評価の実施及びコンシェルジュによる開発支援・薬価上の措置の可能性
特定用途医薬品等	以下のいずれも満たす場合 ・小児用法用量が設定されていない医薬品など特定の用途に属する ・その用途に対するニーズが著しく充足されていない ・その用途に関して、特に優れた使用価値を有す	優先審査(9ヶ月) 助成金・税制

患者数は一定数存在するが、倫理的に困難等の理由で、検証的臨床試験の実施が困難なもの

（例）
・救急救命に用いる医薬品等、比較による臨床試験の実施が困難な医薬品等

患者数が５万人未満等だが、検証的臨床試験が比較的実施しやすいもの

（例）
・国際共同治験によって検証的臨床試験を実施可能な医薬品等

患者数が5万人未満等の疾患に対するもので、短期間では検証的臨床試験の実施が困難な医薬品

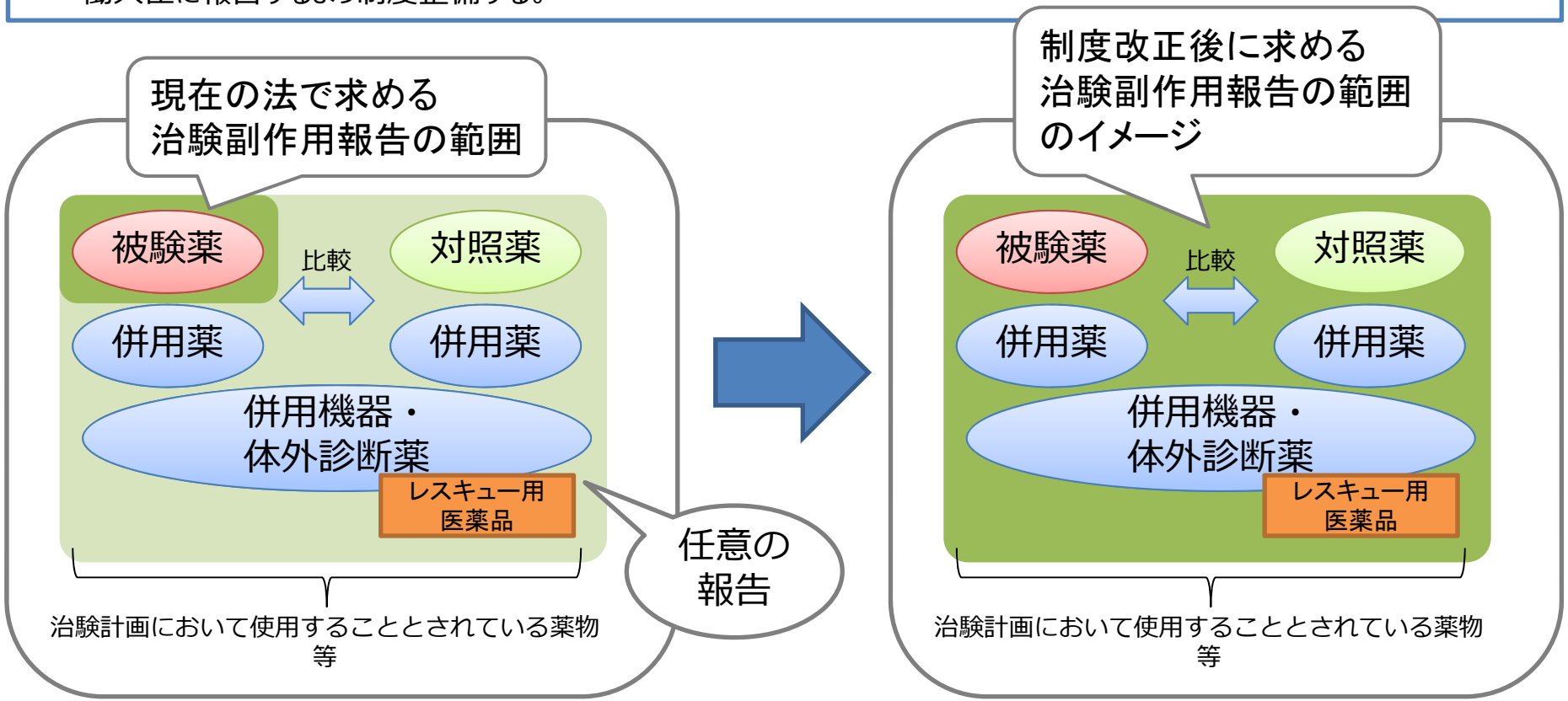
（例）
・希少がん、筋ジストロフィー等、患者集積が困難で、有効性の評価に長期の試験が必要な医薬品

治験副作用報告に関する制度整備

○ 治験実施時において、被験薬等（治験の対象となる薬物、機械器具等）によって生じた副作用については、法第80条の２第６項の規程により、治験依頼者又は治験実施者が厚生労働大臣に報告しなければならないとしている。

○ 近年は疾病治療のために複数の医薬品を同時に用いるケースが増えたことから、被験薬以外の様々な医薬品を同時に用いる治験が実施されるようになったほか、国際共同治験の実施が広がり、国内未承認薬を使用するケースが増加している。

○ そのことを踏まえ、被験薬以外に用いる併用薬、対照薬等の副作用についても、治験依頼者又は治験実施者が厚生労働大臣に報告するよう制度整備する。



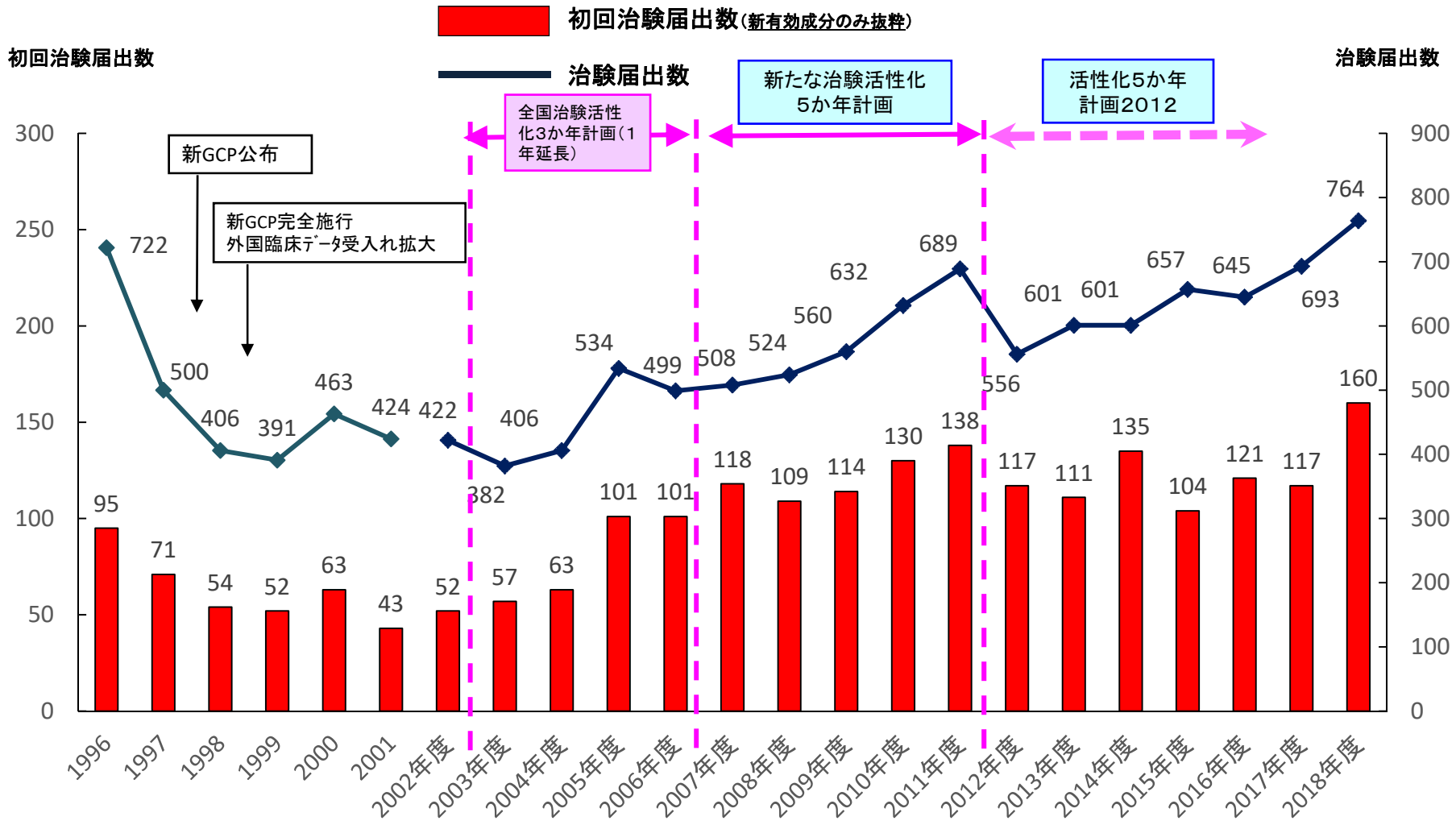
本日のトピック

◆薬機法改正の内容等について

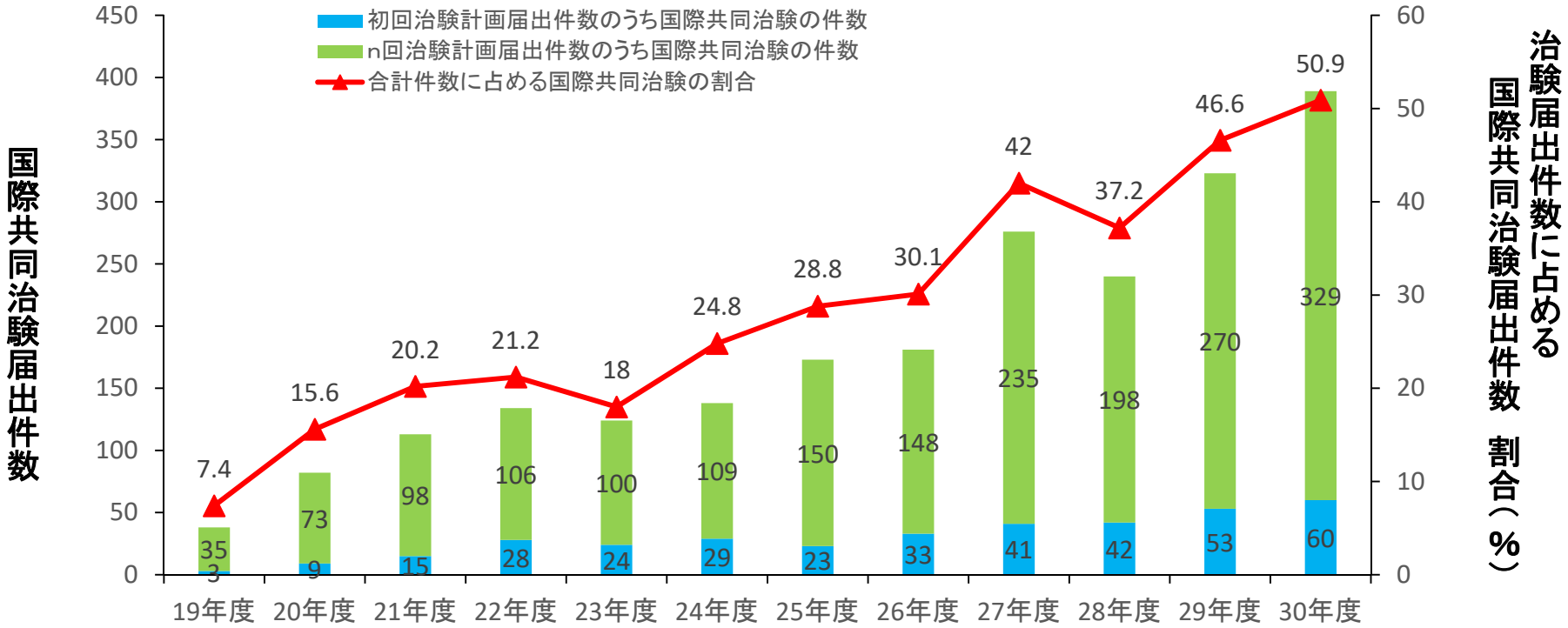
◆最近の治験の動向等について

◆その他

薬物の治験計画届出数の推移



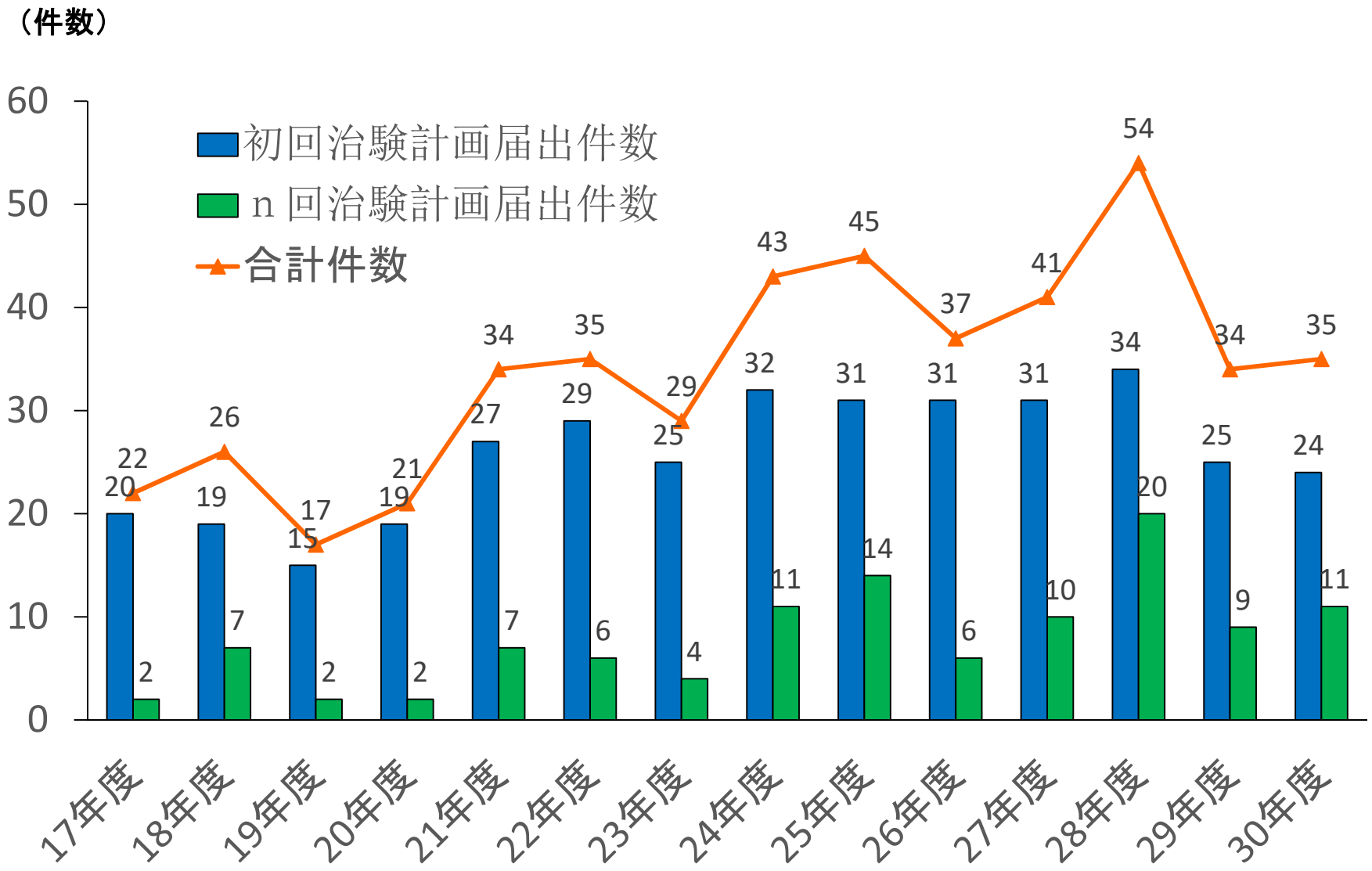
薬物の国際共同治験の届出件数の推移



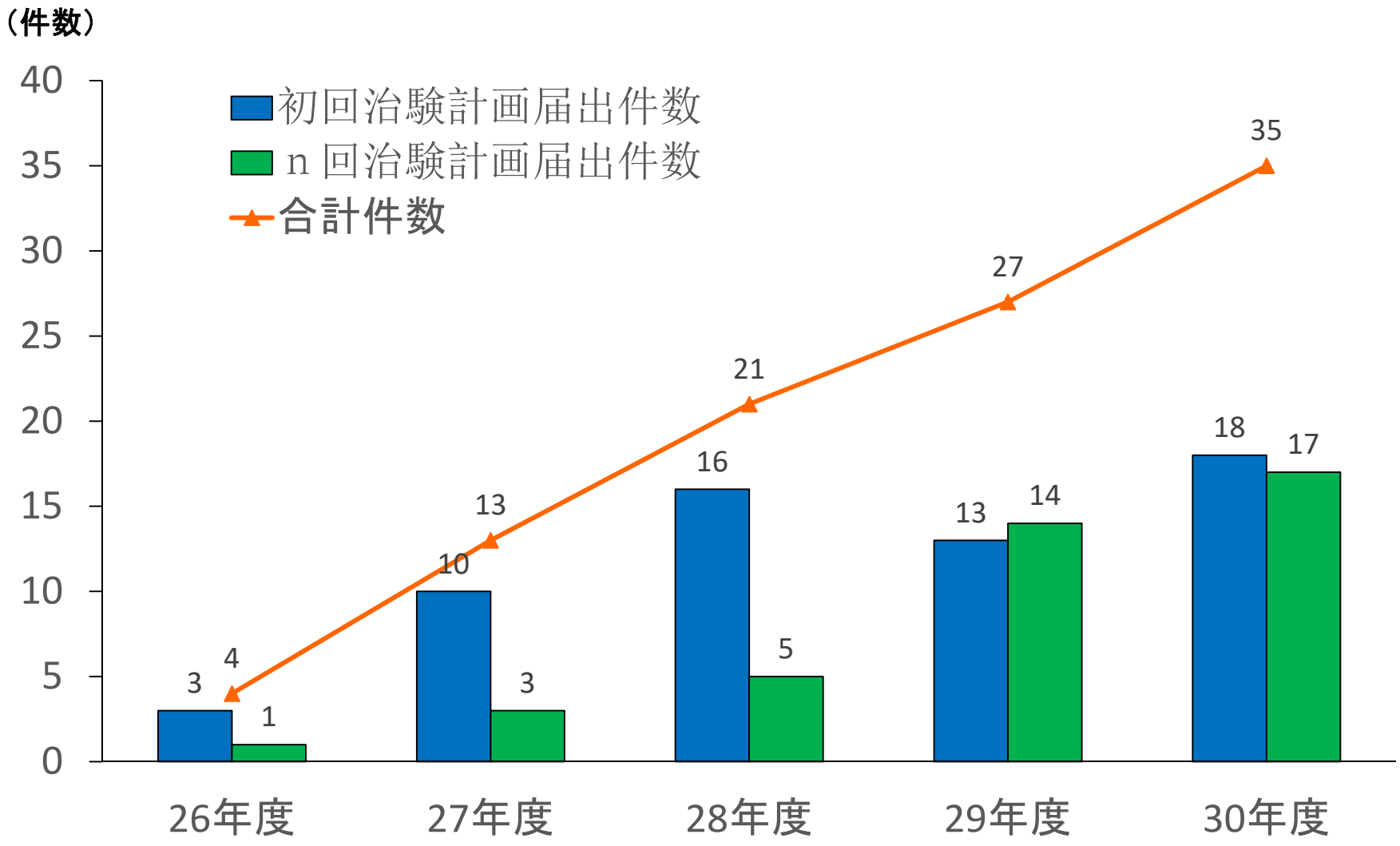
	19年度	20年度	21年度	22年度	23年度	24年度	25年度	26年度	27年度	28年度	29年度	30年度
初回	3件	9件	15件	28件	24件	29件	23件	33件	41件	42件	53件	60件
N回	35件	73件	98件	106件	100件	109件	150件	148件	235件	198件	270件	329件
合計	38件	82件	113件	134件	124件	138件	173件	181件	276件	240件	323件	389件
割合	7.4%	15.6%	20.2%	21.2%	18.0%	24.8%	28.8%	30.1%	42.0%	37.2%	46.6%	50.9%

※「国際共同治験」とは、新薬の世界的規模での開発・承認を目指して企画される治験であって、1つの治験に複数の国の医療機関が参加し、共通の治験実施計画書に基づき、同時並行的に進行する治験をいう。

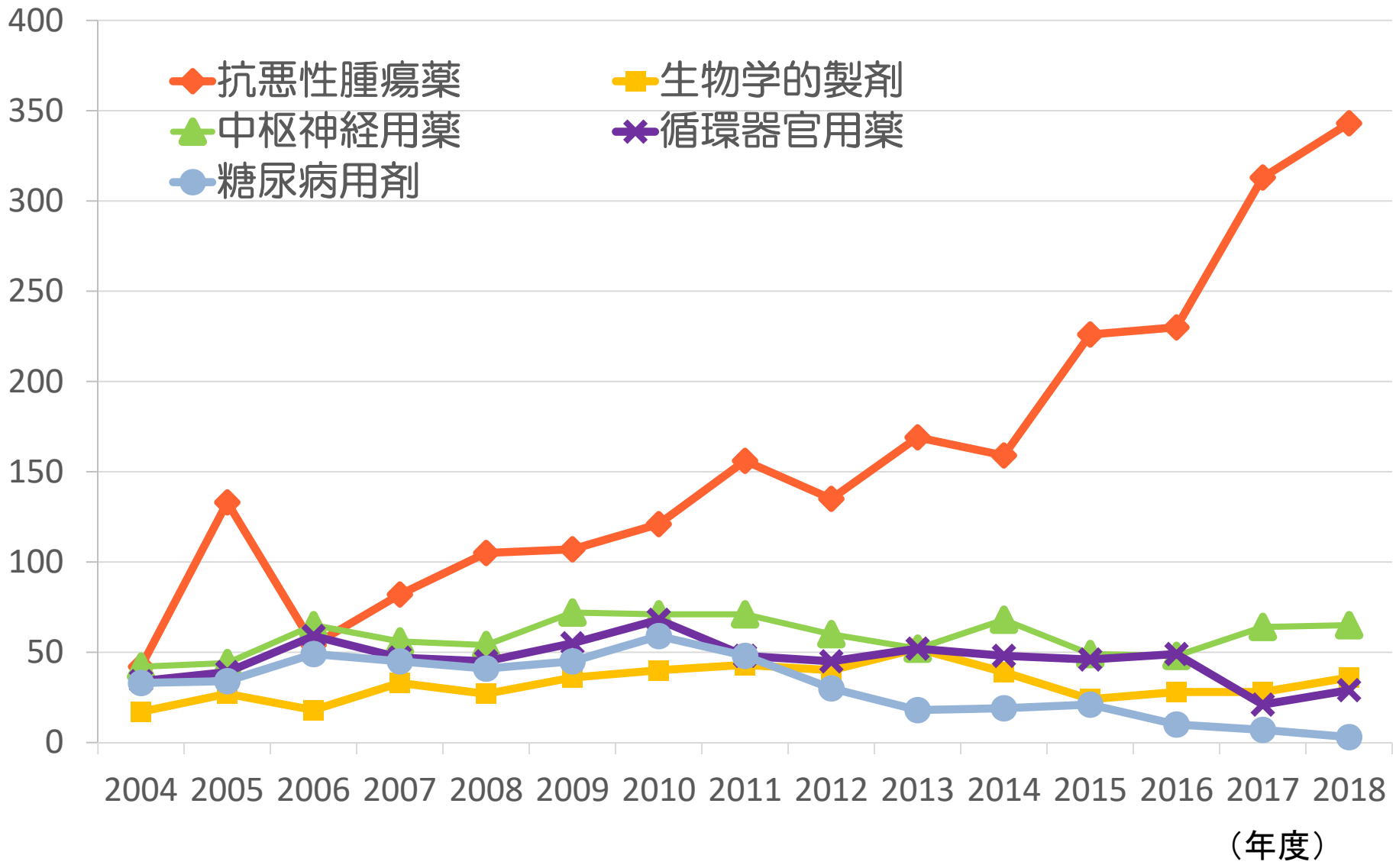
機械器具等の治験計画届出件数



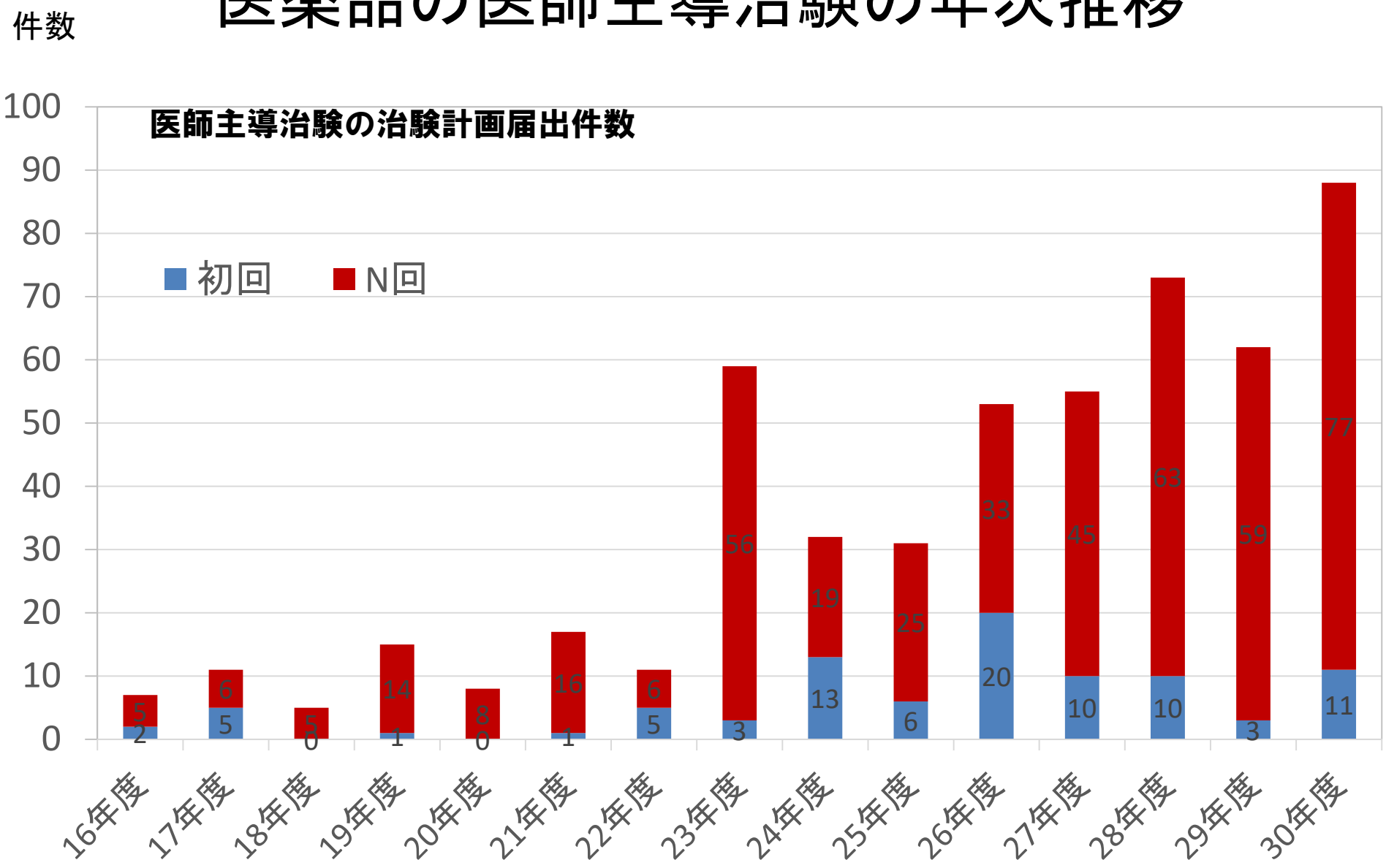
加工細胞等の治験計画届出件数



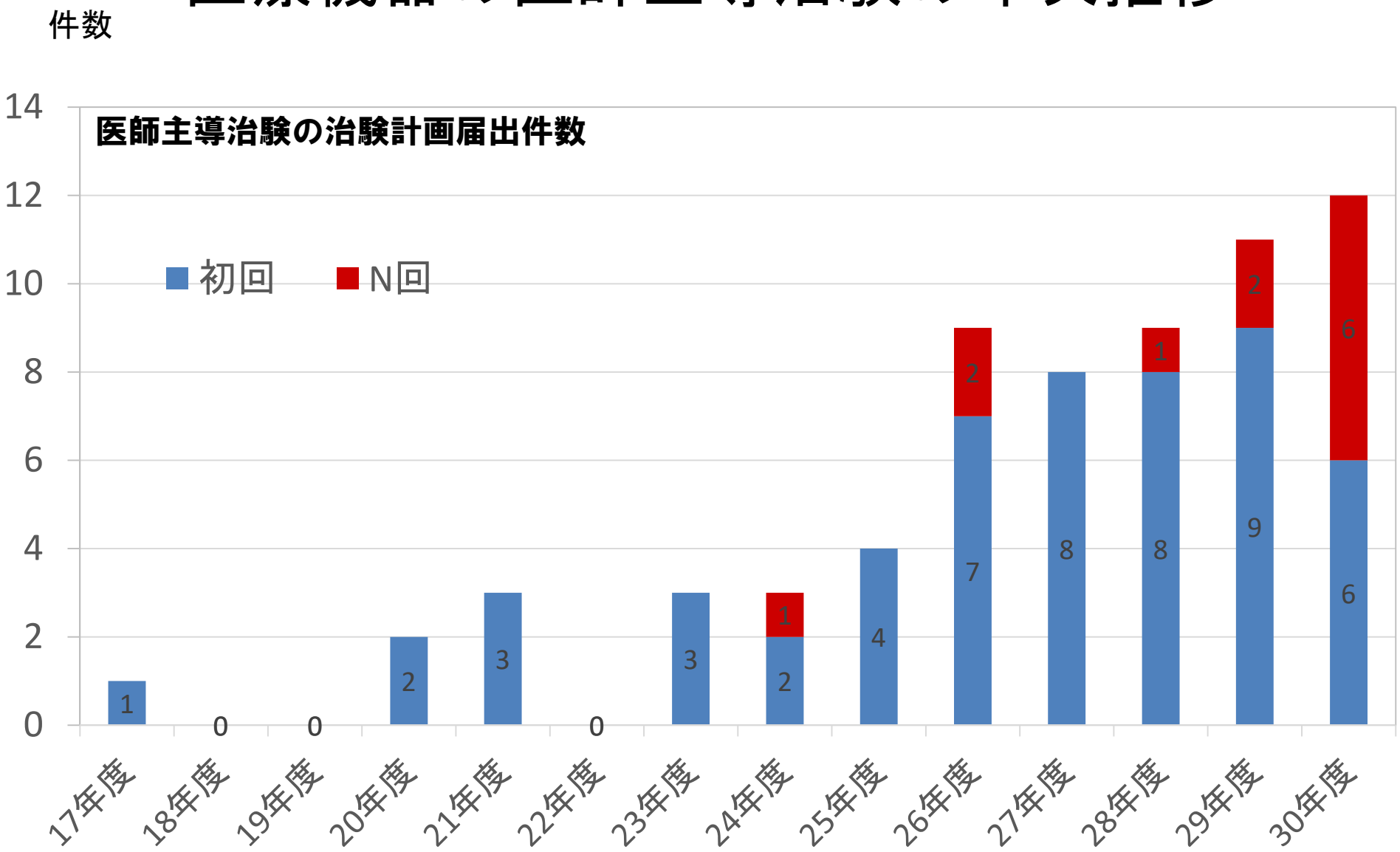
治験届件数の推移（薬効分野別）



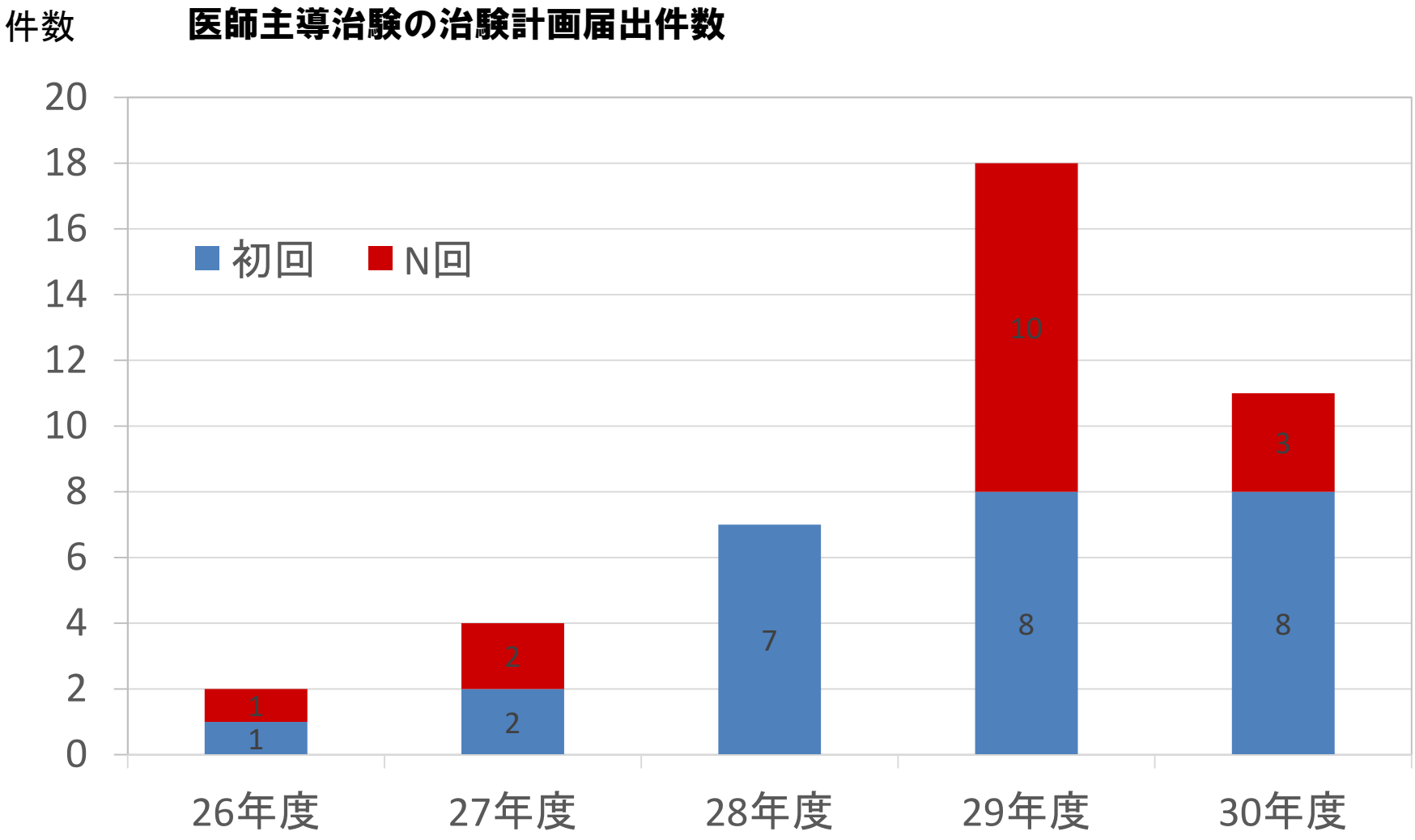
医薬品の医師主導治験の年次推移



医療機器の医師主導治験の年次推移



再生医療等製品の医師主導治験の年次推移



GCPガイダンスの改正について（ICH-E6(R2)）

○　ＩＣＨ（医薬品規制調和国際会議）の合意に基づき、ＩＣＨ−Ｅ６（Ｒ１）ガイドラインが改定され、「ＩＣＨ−Ｅ６（Ｒ２）：医薬品の臨床試験の実施に関する基準のガイドラインの補遺」が取りまとめられたこと等を踏まえ、ＧＣＰ省令（医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令）に適合した治験等の円滑な実施に当たって参考となるガイダンス（ＧＣＰガイダンス）の改正を行った。（以下の通知等を発出）

・「「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」のガイダンスについて」の改正について（令和元年７月５日付け薬生薬審発0705第３号医薬品審査管理課長通知）

・「治験における品質マネジメントに関する基本的考え方について」（令和元年７月５日付け薬生薬審発0705第５号医薬品審査管理課長通知）

・「リスクに基づくモニタリングに関する基本的考え方について」（令和元年７月５日付け薬生薬審発0705第７号医薬品審査管理課長通知）

・「治験に係る文書又は記録について」（令和元年７月５日付け医薬品審査管理課事務連絡）

○　主な改正点は、以下のとおり。

①　用語の定義の追加（保証付き複写、システムバリデーション、モニタリング計画書）

②　治験に関する全ての情報に係る原則は、媒体によらず（電子媒体を含め）全ての記録に適用することを明確化

③　品質管理（Quality Control）及び品質保証（Quality Assurance）を包括する概念である「品質マネジメント（Quality Management）」の導入

→　治験依頼者等における治験の計画段階からの効率的・革新的な品質確保への取り組みの奨励（被験者保護及び治験結果の信頼性確保に必要不可欠な活動に重点的に取り組む）

④　モニタリングにおけるリスクに基づく取り組みの明記（中央モニタリングの活用　等）

→　適切かつ効率的なモニタリング手法の導入により、治験の円滑な実施につなげる

○　本ＧＣＰガイダンスの改正については、令和２年１月１日以降に新たに治験届が提出される治験から適用することを求めているが、それまでの間であっても適用することは差し支えない。

ICH-E6改訂に係る経緯

2013年11月	ICH大阪会合にて、FDAから新規トピックの提案
2014年4月	「Clinical Trial Qualityに関するAddendum又はQ&AをICH E6(R1)に付録として追加する」旨のdraft Concept Paper等が運営委員会会合で了承（step1）
2015年6月	ICH福岡EWG会合にて、Step2合意
2015年11月16日～ 2016年1月15日	パブコメ（日本、ICH E6(R2)）
2016年6月	ICHリスボンEWG会合にて、Step3合意
2016年11月	ICH大阪会合にて、Step4サインオフ
2016年12月15日	欧州Step5
2018年1月18日～ 2018年2月16日	パブコメ（日本、関連通知3本）
2018年3月1日	米国Step5
2019年7月5日	**日本Step5**

ICH-E6改訂の背景

- ✓ 開発拠点・規模の拡大とコストの増加
- ✓ 品質に関する考え方の変化（新たな概念）
- ✓ 技術革新（特にIT発展による電磁的記録の活用）
- ✓ 業務分担の細分化・複雑化（組織内、外部委託）

↓

- ➢ 効率化の必要性
  - 品質マネジメントに係る考え方（特にリスクベースアプローチ）の整理
  - モニタリングに係る考え方（リスクベースモニタリング、中央モニタリング等）の整理
- ➢ 技術革新・複雑化への対応
  - 既存概念（電子システム・原資料、必須文書管理、委託業務の監督責任、等）における要件の明確化

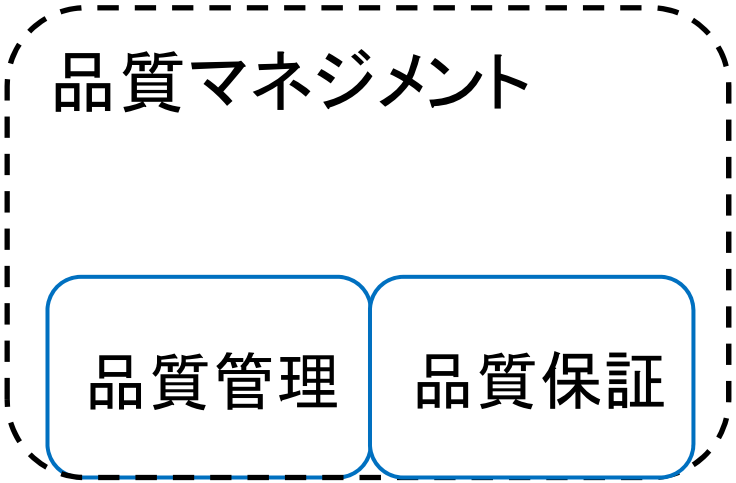
改正内容①

品質管理（Quality Control）及び品質保証（Quality Assurance）を包括する概念である「品質マネジメント（Quality Management）」の導入

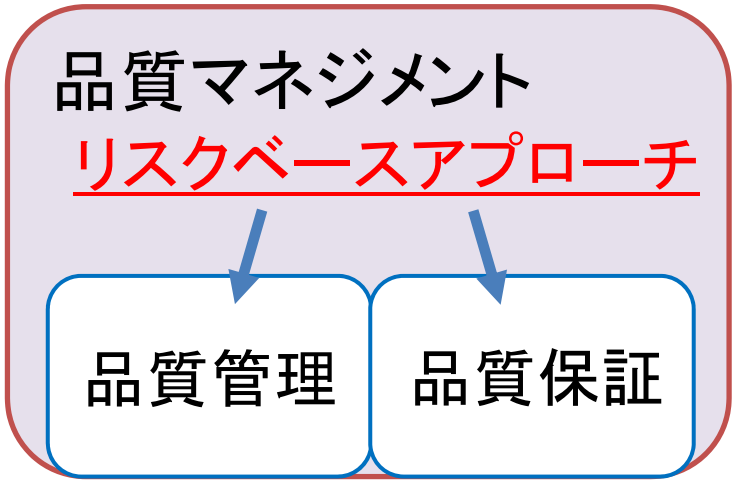
→治験依頼者等における治験の計画段階からの効率的・革新的な品質確保への取組の奨励（被験者保護及び治験結果の信頼性確保に必要不可欠な活動に重点的に取り組む）

品質マネジメント〔考え方〕

E6(R1)



E6(R2)



- 品質マネジメントは、品質管理/品質保証を包括する考え方
- ICH-E6(R1)には明記されていない（国内ガイダンスでは、関連記載あり）

- 品質担保に係る活動を「品質マネジメント」としてとりまとめ
- リスクベースアプローチを導入し、品質管理/品質保証に適用

品質マネジメント〔RBAの考え方〕

リスクベースアプローチ（RBA）の考え方
（ICH-E6（R2）で解釈を明確化）

限られたリソースです。

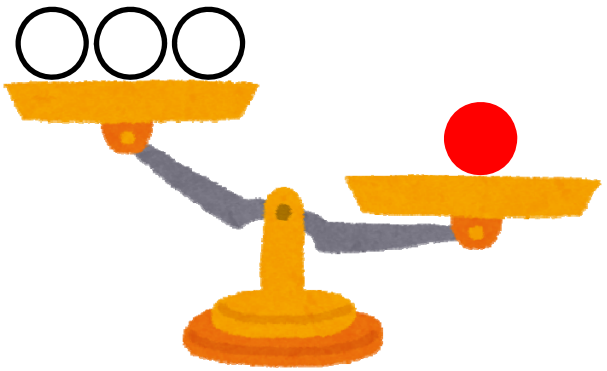
本当に必要なプロセスに力を注ぎましょう。

↓

高リスクなプロセス

↓

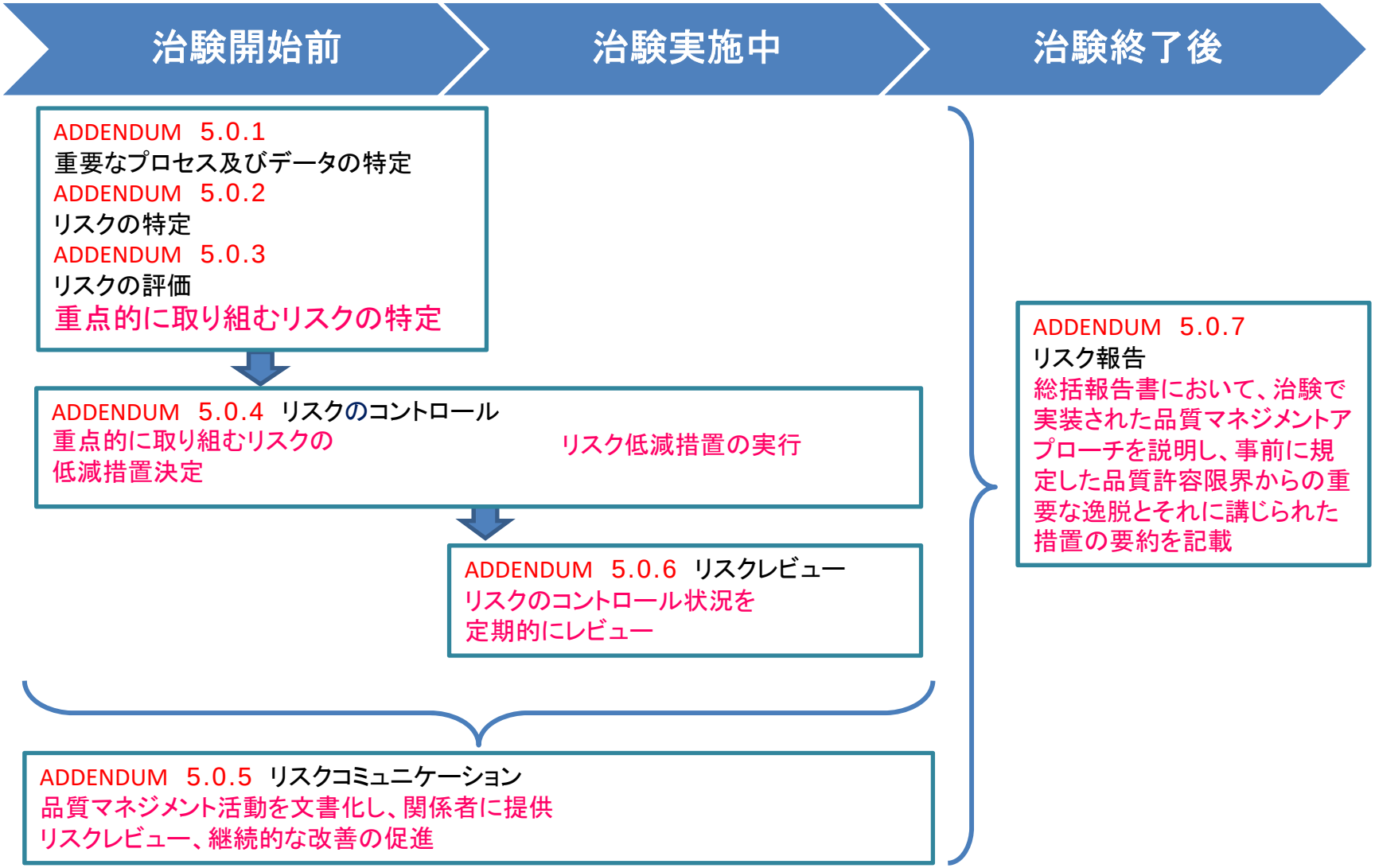
リスク評価のポイントは、



- ✓ 被験者保護
- ✓ 治験結果の信頼性
  （=患者保護）

Risk based approach

品質マネジメントは以下に記載されるRisk based approachを採用しなければならない（ICH-Q9に準じた内容）



改正内容②

モニタリング範囲及び方法

リスクベースモニタリングの導入
（品質マネジメント活動の一環）

中央モニタリングの併用推奨・利用法
（モニター以外の者（DM, Stat. 等）による補助）

選択したモニタリング戦略の根拠の文書化

→適切かつ効率的なモニタリング手法の導入により、治験の円滑な実施につなげる

改正内容②-1

ICH-E6（R2）

5.18.3 ADDENDUM

（モニタリングの実施）

GCP省令第21条 第1項 解説 2（治験依頼者）

GCP省令第26条の7 第1項 解説 2（自ら治験を実施する者）

２ 治験依頼者は、治験のモニタリングの実施に当たって、優先順位を考慮し、リスクに基づく体系的な取組を策定すべきである。リスクに基づくモニタリングについては、「リスクに基づくモニタリングに関する基本的考え方について」（令和元年7月５日付け薬生薬審発0705第７号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）を参照のこと。

モニタリングの有効性及び効率性を改善する様々な取組みを許容することを意図し、本項で説明するモニタリングの範囲及び内容は、柔軟なものとしている。

改正内容②-2

ICH-E6（R2）

5.18.3 ADDENDUM

（モニタリングの実施）

GCP省令第21条 第1項 解説 2（治験依頼者）

GCP省令第26条の7 第1項 解説 2（自ら治験を実施する者）

治験依頼者は、オンサイトモニタリング、オンサイトモニタリングと中央モニタリングの組合せ又は、正当な場合には、中央モニタリングを選択することができる。治験依頼者は、選択したモニタリング戦略の根拠を文書化すべきである（モニタリング計画書への記載等）。

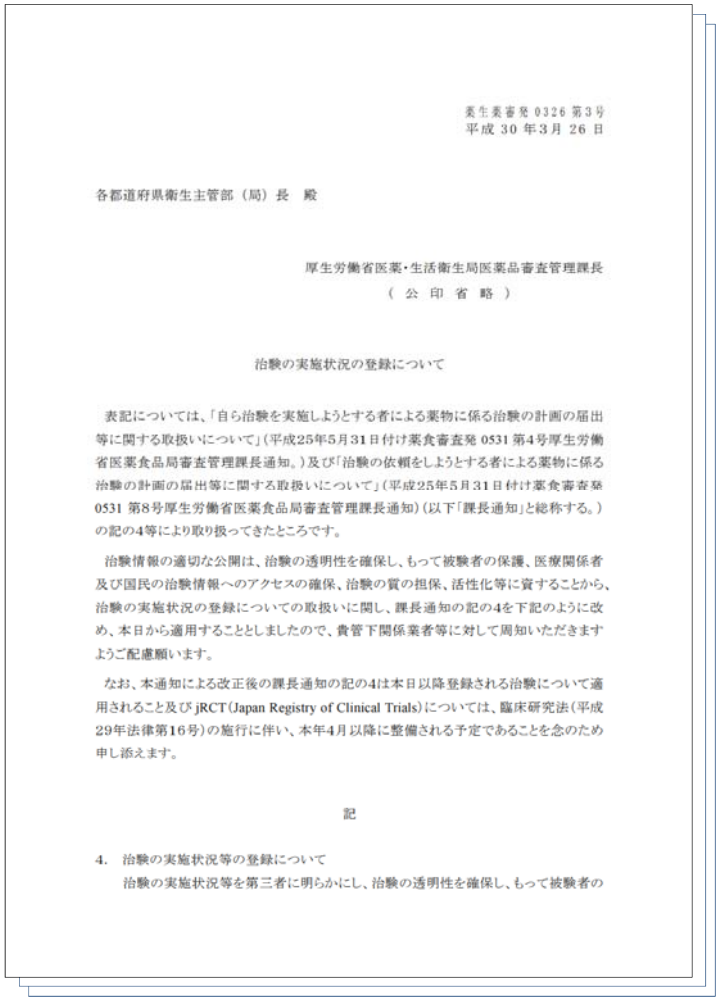
通知
「治験の実施状況の登録について」

通知「治験の実施状況の登録について」

- 平成30年3月26日通知発出
- 治験届けについて規定する「治験の依頼をしようとする者による薬物に係る治験の計画の届出等に関する取扱について」通知（H25.5.31）の部分改定

内容

- 治験情報の適切な公開が以下に資することを示す
  - 治験の透明性の確保
  - 被験者の保護
  - 国民からの治験情報アクセス確保、治験の質の担保、活性化等
- 登録すべき治験情報やその時期などについてより具体的に示す



薬生薬審発 0326 第3号
平成 30 年3月 26 日

各都道府県衛生主管部（局）長　殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

治験の実施状況の登録について

表記については、「自ら治験を実施しようとする者による薬物に係る治験の計画の届出等に関する取扱いについて」（平成25年5月31日付け薬食審査発 0531 第4号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知。）及び「治験の依頼をしようとする者による薬物に係る治験の計画の届出等に関する取扱いについて」（平成25年5月31日付け薬食審査発 0531 第8号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）（以下「課長通知」と総称する。）の記の4等により取り扱ってきたところです。

治験情報の適切な公開は、治験の透明性を確保し、もって被験者の保護、医療関係者及び国民の治験情報へのアクセスの確保、治験の質の担保、活性化等に資することから、治験の実施状況の登録についての取扱いに関し、課長通知の記の4を下記のように改め、本日から適用することとしましたので、貴管下関係業者等に対して周知いただきますようご配慮願います。

なお、本通知による改正後の課長通知の記の4は本日以降登録される治験について適用されること及び jRCT（Japan Registry of Clinical Trials）については、臨床研究法（平成29年法律第16号）の施行に伴い、本年4月以降に整備される予定であることを念のため申し添えます。

記

4.　治験の実施状況等の登録について
　治験の実施状況等を第三者に明らかにし、治験の透明性を確保し、もって被験者の

治験情報登録の新旧相違点

	旧通知	新通知
目的規定	記載無し	情報公開の意義を示す
登録対象	記載無し	臨床試験（ただし健常人を対象とする第Ｉ相試験及び生物学的同等試験は例外）
言語	記載無し	英語・日本語での登録
登録項目	記載無し	WHO国際臨床試験登録プラットフォームで定められた24項目を原則。特に、 ・治験薬　・対照疾患 ・主要な組入れ/除外基準 ・治験の状況（実施中、終了等） ・問い合わせ先　は登録する。
更新	記載無し	最初の患者が参加する前に登録し、患者の募集状況が変化したら更新
結果の登録	記載無し	治験の終了後1年以内（例外規定有り）

治験届出、副作用報告において
留意すべき点について

治験届出書類の作成にあたっての留意点

➢ 届出書について

・届出年月日、届出回数に誤りはないか
・届出書添付資料欄の記載内容と実際の添付資料に齟齬はないか
・添付資料無しの変更届において、届出書添付資料欄が空欄になっているか（治験計画届時の記載が残ったままになっていないか）

等

➢ 電子媒体について

以下のような複数から構成される資料については、枝番ではなく1つの pdf ファイルにまとめてください。

・同意説明文書に「代諾者用」や「小児用」等を用意する場合
・国際共同治験で治験実施計画書に日本語版・英語版がある場合

等

https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0004.html

届出に不備があると受付ができず又は差換え等が発生し、
結果として予定通りに治験が開始できないことも想定されます。
届出前に、上記を含めて十分な点検をお願いします。

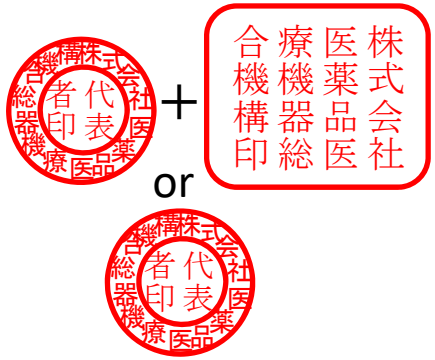
副作用等報告（紙報告・CD等報告）の留意点

以下のように受付等ができない報告書が見受けられます。
受付等ができないことで報告遅延となる場合もありますので、
提出前に十分な点検をお願いします。

➢ 提出形式の不備

例1）別紙様式1、3、5、7、9、11の押印漏れ
（届出代表者印＋社印、又は届出代表者印を押す）

＜正しい押印＞



➢ 提出ファイルの命名及びファイル形式の誤り

例2）再提出されたファイル名が前回報告から変更されていない

例3）ファイル中に文字化け（使用不可文字）が含まれる、又はファイル名に不要な文字が含まれる

例4）提出されたCDにデータが格納されていない

例5）ファイル名のうち、「報告日」とすべきところを「作成日」として作成している

副作用等報告の留意点

SKWサイトをご活用ください！　https://skw.info.pmda.go.jp/index.html

最近の治験の不適切な事例について

不適切行為

➢ CRCによる不適切行為

- 治験実施計画書で規定されている検査の欠測を補うため、担当CRCが単独で、規定日以外の日に検体採取を依頼し、規定日に採取されたものとして測定を依頼した。

➢ ID/パスワードの共有

- 治験に関わるWEBトレーニングの実施について、CRAによって「代理受講やe-learningの回答の提供が行われた」や、「治験責任・分担医師のIDやパスワードを共有していた」といった不適切な事案が報告されている。

- 治験実施医療機関においても、治験責任・分担医師に代わり、治験依頼者やCROがWEBトレーニングを受講することや、IDやパスワードをCRO等と共有することは不適切な治験実施であることを、あらためて御認識いただきたい。

治験、使用成績調査等でのお願い

- 治験、使用成績調査等において、治験依頼者や実施医療機関（又はSMO）の不適切な行為から、申請資料の信頼性が疑われる事案が報告されることがある。

- 厚労省・PMDAでは、報告後、事実関係を確認するとともに、申請資料の信頼性について、依頼者、委託企業（CRO、SMO等）に対して確認を求め、調査結果によっては、申請資料の差し替えを求めることがある。

- このため、円滑な審査が行われないケースが発生。

- 各社には、治験、使用成績調査等に対する関係者の適切な対応をお願いしたい。

本日のトピック

◆薬機法改正の内容等について

◆最近の審査行政の動向等について

◆その他

クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）について

ICHにおける検討

ICH Reflection on “GCP Renovation”
Modernization of ICH E8 and subsequent Renovation of ICH E6

2017年1～3月にICH web siteでパブコメを実施
Real World Data Sources（electronic health records, claim data, patient/disease registries, etc.）の活用について検討

E6　GCP
E8　臨床試験の一般指針

日本再興戦略改訂2015（平成27年6月30日閣議決定）　抜粋

二.　戦略市場創造プラン

（3）新たに講ずべき具体的な施策

⑧クリニカル・イノベーション・ネットワークの構築（疾患登録情報を活用した臨床開発インフラの整備）

諸外国と比べて開発コストが高いという我が国の臨床開発に係る課題を解決し、新たな臨床開発の手法の構築を進めることにより、抗がん剤、難病治療薬、バイオ医薬品などの国内開発の活性化を促すとともに海外メーカーを国内開発へ呼び込む。

このため、国立高度専門医療研究センター（NC）が構築する疾患登録システムなど各種疾患登録情報を活用して、NC、臨床研究中核病院、独立行政法人医薬品医療機器総合機(PMDA)、国立研究開発法人日本医療研究開発機構などを中核とするネットワークを構築し、産学連携による治験コンソーシアムを形成するとともに、併せてネットワーク内の病院とPMDAとの人材交流や臨床評価の手法に関するレギュラトリー・サイエンス研究を行うことを通じて、NC等が蓄積した疾患登録情報の企業による活用を推進する。また、このネットワークをアジア地域にも拡大し、多地域共同治験を進めやすい体制を構築する。

クリニカル・イノベーション・ネットワーク（ＣＩＮ）について

医薬品・医療機器開発を取り巻く環境の変化

○　新薬、新医療機器等の**開発コストが世界的に高騰**　※１新薬当たり約3千億円との試算あり

○　開発の低コスト化、効率化を狙い、**疾患登録システム（患者レジストリ）を活用する新たな臨床開発手法**が登場

▶　国立がん研究センターの取組「SCRUM-Japan」：全国のネットワーク病院でがん患者のゲノムスクリーニングを行い、そのデータを集約し、疾患登録システムに登録。希少がん患者の治験組入れ等を効率化

▶　各ナショナルセンター(NC)、大学病院等でも平成26年から疾患登録システムの構築を開始

そこで

□　**効率的な創薬のための環境整備を進めるため、NCや学会等が構築する疾患登録システムなどのネットワーク化を行うＣＩＮ**を構築、拡充

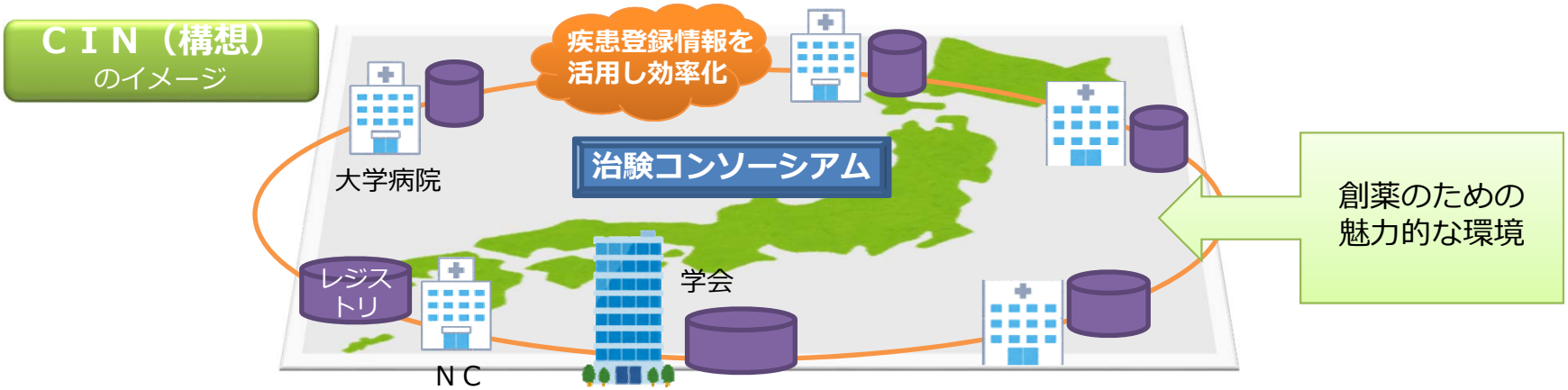
ＣＩＮ構想

具体的には

関係機関のネットワークを構築し、**産学連携による治験コンソーシアム**を形成

疾患登録情報を活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究の体制構築を推進

□　これらの取組により、我が国発の医薬品・医療機器等の開発を促進するとともに、海外メーカーを国内開発へ呼び込む



CIN基本方針

平成29年３月22日
臨床開発環境整備推進会議　了承

目標

○ レギュラトリーサイエンスに基づき、疾患登録システムを活用した革新的な医薬品等の開発環境を整備することにより、我が国の医薬品・医療機器等の開発競争力を強化する。

○ 透明性及び個人情報に配慮した上で、診療で得られるリアルワールドデータを収集・解析する体制・システムを整備し、創薬や医療の場で有効に活用する。

○ 以上により、新薬等を速やかに国民に提供することを通じて、健康寿命を延伸する。

基本方針

○ 疾患登録システムを活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究体制の構築を推進し、我が国発の医薬品・医療機器等の開発を促進するため、以下の取組を行う。

1）我が国で整備が進む疾患登録システムに関する情報を整理するとともに、治験・市販後調査・臨床研究を推進するための課題解決を行う体制を構築する。

2）レギュラトリーサイエンス研究に基づき、海外の規制当局の動向も踏まえて、疾患登録システムを治験・市販後調査に活用するための国際連携等の環境整備を行う。疾患登録システムの要件（用途別）及び信頼性基準の確立とそれに基づいて、薬事承認・再審査に疾患登録システムを用いるためのガイドラインを策定する。

3）検証結果を踏まえ、受益者負担による疾患登録システムの維持管理体制を構築する。

RWDの薬事行政への活用について

実臨床での各種データの活用による革新的医薬品の早期実用化

1. 現状と課題

○ 難病や希少疾病の医薬品開発は、被験者の数が限られているため、比較対照試験などの多くの患者の参加が必要となる臨床試験を実施することが難しく、それが開発の妨げの一因となっている。

○ 欧米では、難病等患者のこれまでの臨床成績など、実臨床における各種データ(リアルワールドデータ)を活用した効率的な臨床試験を行い、医薬品の実用化の促進を図っている。我が国では活用方法が未整備。

2. 対　策

○ 国内にもNC(国立高度専門医療研究センター)の疾患登録システムやPMDA(医薬品医療機器総合機構)の医療情報データベース(MID-NET)等のリアルワールドデータのDBを構築中である。

○ これらのデータを製薬企業等が適切に活用できれば、長期間・高コストの比較対照試験に代えて、少数の被験者による短期間・低コストの臨床試験で、必要な評価が可能となる。

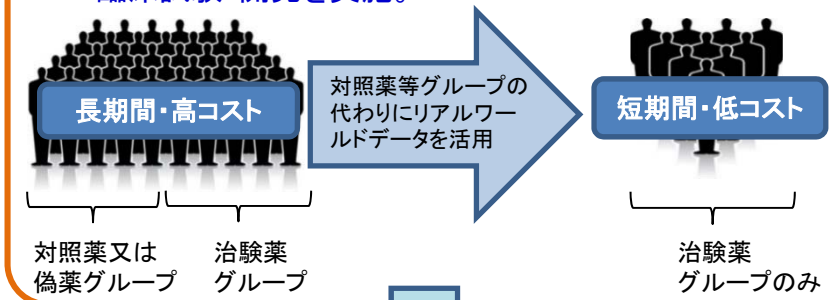
⇒令和元年度要求:レジストリデータについて、医薬品の承認申請等へ活用するためのガイドライン及び信頼性を確保するための考え方に関するガイドラインの素案作成を進め、個々のレジストリに対して相談を開始するための体制を構築する。

3. 期待される効果

厚生労働省(PMDA)
ガイドラインの策定

製 薬 企 業

・ガイドラインを基にリアルワールドデータを活用した臨床試験・開発を実施。



革新的医薬品早期実用化の実現