

申請電子データに関する FAQ（令和 4 年 4 月 1 日公開）の改訂箇所について

令和 4 年 4 月 1 日

申請電子データに関する FAQ（令和 4 年 4 月 1 日公開）において改訂した箇所は以下のとおりです。

1. 新たに追加した質問

Q1-34、Q1-35、Q3-7-1、Q4-13-1、Q4-13-2、Q4-22-1、Q4-36

| 連番 | |
|-------|---|
| Q1-34 | <p>Q1-34: 申請電子データ提出時のデータ標準について、申請電子データ通知 4(1)において「対象となる臨床試験のデータについては、CDISC 標準に準拠した形式で提出すること。ただし、希少疾病用医薬品等について、令和 2 年 4 月 1 日より前に開始した試験については、その限りではない。」と記載されていますが、希少疾病用医薬品等について、統合解析のデータを提出する場合の取扱いを教えてください。</p> <p>A: 統合解析のデータについても、解析報告書の作成日が令和 2 年 4 月 1 日より前であれば、CDISC 標準以外の形式で提出することで差し支えありません。</p> |
| Q1-35 | <p>Q1-35: 承認申請時に、レジストリのデータ(以下、「レジストリデータ」)を臨床成績に関する資料として活用する場合の、電子データの提出内容について確認したい。</p> <p>A: レジストリデータを臨床成績に関する資料として活用する場合であっても、基本的に、臨床試験の場合と同様、承認申請時に有効性、安全性及び用法・用量の主要な根拠となると考えられる資料の電子データを CDISC 標準に準拠した形式で提出いただくことが重要であると考えます。</p> <p>一方で、レジストリデータに関する電子データの提出範囲、提出内容及び提出形式については、レジストリデータの内容や活用目的により個別の判断を要すると考えられるため、対応する対面助言等において事前に PMDA に相談してください。</p> <p>なお、データの提出形式に関しては、少なくともレジストリデータを臨床試験における外部対照として有効性等の評価に活用する場合*、レジストリデータを利用した解析の内容が技術的ガイド 4.1.1.3 において解析データセットを提出することとしている解析に相当する場合に</p> |

| | |
|---------|--|
| | <p>は、当該解析に用いたデータセットは当該臨床試験の解析データセットの一部として ADaM 形式で提出してください。解析方法やその他の技術的な理由から ADaM 形式で提出することが困難な場合には、医薬品申請電子データ提出方法相談で相談してください。</p> <p>* 参考:「承認申請等におけるレジストリの活用に関する基本的考え方」(薬生薬審発 0323 第 1 号・薬生機審発 0323 第 1 号、令和 3 年 3 月 23 日)</p> |
| Q3-7-1 | <p>Q3-7-1: 試験データを格納する場合のフォルダ構造及び格納する情報の留意点を教えてください。</p> <p>A: 基本的には、eCTD の M5 の総括報告書を格納するフォルダと試験データを格納するフォルダについて、それぞれに格納する情報を 1 対 1 で対応させる必要があります。</p> <p>フォルダ構造及びそれぞれに格納する情報を 1 対 1 にする上で特に注意が必要な場合として、例えば、以下のような対応が考えられます。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・臨床試験において、1 つの総括報告書が作成されるが、当該臨床試験に関する申請電子データについては臨床試験データセット(解析データセットが付随する場合もある)の複数組を提出する場合(例:評価時点ごとに臨床試験データセットを作成する場合)、申請電子データについては、各組に対応するフォルダを作成した上で、それぞれの申請電子データを格納してください。総括報告書を格納するフォルダも各申請電子データを格納するフォルダに対応するよう作成した上で、それぞれに同一の総括報告書を格納してください。または、一方のフォルダに総括報告書を格納し、他方のフォルダには総括報告書を格納したフォルダを参照する旨を記した文書(PDF ファイル)を格納してください。 ・同一申請内において、試験 ID が異なる複数の報告書間で対応する申請電子データが共通している場合、報告書については、各報告書に対応するフォルダを作成した上で、それぞれの報告書を格納してください。申請電子データを格納するフォルダも各報告書を格納するフォルダに対応するよう作成した上で、同一の申請電子データをそれぞれのフォルダに格納してください。または、一方のフォルダに申請電子データを格納し、他方のフォルダ下の「misc」フォルダには、申請電子データを格納したフォルダを参照する旨を記した文書(PDF ファイル)のみを格納してください。 |
| Q4-13-1 | <p>Q4-13-1: 解析アルゴリズムの分かる仕様書を英語で提出することは可能ですか。</p> <p>A: 可能です。</p> |
| Q4-13-2 | <p>Q4-13-2: 明示的なプログラムの作成を必要としない解析ソフトウェアを用いた場合は、操作ログの提出をもってプログラムの代わりとしても</p> |

| | |
|---------|--|
| | <p>よいでしょうか、あるいは、「解析アルゴリズムの分かる仕様書等の提出」が別途必要となるのでしょうか。</p> <p>A: 操作ログに基づき解析アルゴリズムが分かる場合は、操作ログの提出をもってプログラムの代わりとすることが可能です。一方、操作ログのみでは解析アルゴリズムが分からない可能性がある場合、「プログラム自体の提出が困難な場合」となると判断し、「解析アルゴリズムの分かる仕様書等の提出」が別途必要となります。</p> |
| Q4-22-1 | <p>Q4-22-1: Q4-22 において SDTM データセット、ADaM データセットを格納するフォルダに格納して提出することができないとされたファイルを提出する場合は、どのフォルダに格納すれば良いでしょうか。また、提出する際の留意点を教えてください。</p> <p>A: 当該ファイルは、用途に応じて「misc」フォルダや「legacy」フォルダ等に格納して提出することが可能です。</p> <p>例えば、ADaM 作成に用いた参照データ(Lookup tables 等の参照用テーブルや Metadata 等)は、「misc」フォルダへ格納して提出することができます。また、ADaM データセット作成用プログラムを提出し、当該ファイルがプログラム中で用いられている場合、プログラムに関連したファイルとして「programs」フォルダに格納することも可能です。</p> <p>Multiple Imputation 等による欠測値の補完に関連したデータ等も「misc」フォルダに格納して提出することができます。なお、この場合データセットの定義書及びデータガイド等において欠測値の取扱いについて説明してください。</p> <p>CDISC 標準以外の形式でまとめられたデータセットを CDISC 標準の形式に変換して提出する際のトレーサビリティの説明として、CDISC 標準への変換前のデータセット、トレーサビリティの説明とそれに付随するファイルは「legacy」フォルダに格納して提出することができます。</p> |
| Q4-36 | <p>Q4-36: 申請電子データの提出対象となる臨床試験について、複数時点(カットオフ)の申請電子データを作成し、申請時に複数時点の申請電子データを提出する場合(例: 中間解析時と最終解析時の 2 時点の申請電子データを提出する場合)、各申請電子データをどのフォルダに格納すればよいか教えてください。</p> <p>A: 複数時点の申請電子データを提出する場合は、申請の根拠となる主要なカットオフ時点の全ての申請電子データを「m5\datasets¥[study id / iss / ise]¥[analysis / tabulations]」フォルダに格納し、その他のカットオフ時点の申請電子データは「misc」フォルダに格納し提出することで差し支えありません。なお、主要なデータカットオフ時点の選択、その他のデータカットオフ時点に対応する申請電子データの提出要否及び提出範囲については、治験相談において相談してください。</p> |

主要なカットオフ時点の申請電子データには提出すべきデータを全て含める必要があることに留意してください。例えば、中間解析時と最終解析時(主要なカットオフに相当するとする)の 2 つの申請電子データを作成しており、中間解析時以降に更新のないデータセットが最終解析時の申請電子データに含まれていない場合、中間解析時以降に更新のないデータセットを最終解析時の申請電子データに追加して提出する必要があります。

2. 既存の質問の改訂内容

Q1-1、Q1-1-1、Q1-2、Q1-3、Q1-5、Q1-6、Q1-7、Q1-8、Q1-9、Q1-11、Q1-15、Q1-16、Q1-17、Q1-18、Q1-19、Q1-20、Q1-21、Q1-22、Q1-23、Q1-25、Q1-26、Q1-27、Q1-28、Q1-29、Q1-30、Q1-31、Q1-32、Q1-33、Q2-2、Q2-4、Q2-6、Q3-3、Q3-4、Q3-4-1、Q3-7、Q3-8、Q3-12、Q3-13、Q3-15、Q3-18、Q3-20、Q3-23、Q3-24、Q3-28、Q3-29、Q3-33、Q4-2、Q4-3、Q4-4、Q4-6、Q4-7、Q4-8、Q4-9、Q4-13、Q4-15、Q4-19、Q4-20、Q4-22、Q4-23、Q4-24、Q4-25、Q4-27、Q4-28、Q4-29、Q4-31、Q4-32、Q4-33、Q4-34、Q4-35、Q5-2、Q5-3、Q5-4、Q5-5、Q5-18、Q5-19、Q5-24、Q5-28、Q5-30、Q5-31、Q5-32

| 連番 | 改訂後 | 改訂前 |
|--------|--|--|
| Q1-1 | Q1-1:ゲートウェイ申請において、承認申請書の差換えの際、ゲートウェイシステムにより差し換える FD 申請データを提出した場合、別途、書面での差換え願及び差し換える承認申請書の提出も必要でしょうか。 | Q1-1:承認申請書の差換えの際、ゲートウェイシステムにより差し換える FD 申請データを提出した場合、別途、書面での差換え願及び差し換える承認申請書の提出も必要でしょうか。 |
| Q1-1-1 | Q1-1-1:Q1-1 に関連して、差換え願及び差し換える承認申請書を <u>PMDA</u> 受付窓口に持参又は郵送する際、申請予告受付票も提出することとされています。審査中に販売名等が変更され、申請予告受付票に印字される申請予告時の情報と齟齬が生じていても問題ないでしょうか。 | Q1-1-1:Q1-1に関連して、差換え願及び差し換える承認申請書を受付窓口に持参又は郵送する際、申請予告受付票も提出することとされています。審査中に販売名等が変更され、申請予告受付票に印字される申請予告時の情報と齟齬が生じていても問題ないでしょうか。 |
| Q1-2 | Q1-2:ゲートウェイ申請において、承認申請書(FD 申請データを含む。)の鑑、「提出年月日」欄及び eCTD カバーレターにおける「申請 | Q1-2:承認申請書(FD 申請データを含む。)の鑑、「提出年月日」欄及び eCTD カバーレターにおける「申請日」欄には申請を予定してい |

| | | |
|-------------|--|--|
| | <p>日」欄には申請を予定している日を、eCTD カバーレターの「提出日」欄にはゲートウェイシステムにおいて電子ファイルの提出を予定する日を記載するのでしょうか。</p> | <p>る日を、eCTD カバーレターの「提出日」欄にはゲートウェイシステムにおいて電子ファイルの提出を予定する日を記載するのでしょうか。</p> |
| <p>Q1-3</p> | <p>A: ゲートウェイシステムを利用する承認申請は下記の流れとなります。</p> <p>【 】内にその作業が可能又は推奨する期間を記載します。</p> <p>a) 個人の電子証明書を用意し、ゲートウェイシステムのユーザー登録を行います。(図 1-3 ①)</p> <p>【申請予定日より 1 ヶ月程度前を推奨】</p> <p>b) ゲートウェイシステムから承認申請の概要や提出予定物、申請予定日を PMDA に予告します。提出予告により、eCTD 受付番号を取得することができます。</p> <p>(図 1-3 ①)</p> <p>【申請予定日の 5 週間前から 1 週間前】</p> <p>※申請予定日の 1 週間前を切ると申請を予告できなくなりますのでご注意ください</p> <p>c) ゲートウェイシステムから電子ファイルを PMDA に提出します。申請電子データに関する情報は、画面上で入力するか、別途作成した TSV ファイルを読み込むことで必要な情報を登録します。</p> <p>(図 1-3 ①～③)</p> <p>【b)の申請日を予告してから、d)の申請までの間】</p> <p>d) <u>提出を予定する全ての電子ファイルのウイルスチェックが完了し、FD 申請データのバリデーションに問題がないことが確認されれば、承認申請が可能となります。申請予告受付票を印刷</u></p> | <p>A: ゲートウェイシステムを利用する承認申請は下記の流れとなります。</p> <p>【 】内にその作業が可能又は推奨する期間を記載します。</p> <p>a) 個人の電子証明書を用意し、ゲートウェイシステムのユーザー登録を行います。(図 1-3 ①)</p> <p>【申請予定日より 1 ヶ月程度前を推奨】</p> <p>b) ゲートウェイシステムから承認申請の概要や提出予定物、申請予定日を PMDA に予告します。提出予告により、eCTD 受付番号を取得することができます。</p> <p>(図 1-3 ①)</p> <p>【申請予定日の 5 週間前から 1 週間前】</p> <p>※申請予定日の 1 週間前を切ると申請を予告できなくなりますのでご注意ください</p> <p>c) ゲートウェイシステムから電子ファイルを PMDA に提出します。申請電子データに関する情報は、画面上で入力するか、別途作成した TSV ファイルを読み込むことで必要な情報を登録します。</p> <p>(図 1-3 ①～③)</p> <p>【b)の申請日を予告してから、d)の申請までの間】</p> <p>d) <u>提出を予定する全ての電子ファイルが PMDA に到着し受領されれば、承認申請が可能となります。申請予告受付票を印刷し、承認申請書とともに PMDA 受付窓口に提出します。(図 1-3</u></p> |

| | し、承認申請書とともに PMDA 受付窓口へ提出します。(図 1-3 ④) | ④) | | | | | | | | | | | | |
|------------------|---|---|-----------|---------|--|------------------|--|---|-------|-----------|---------|--|------------------|--|
| Q1-5 | A: 治験相談、新医薬品の申請電子データの提出に係る各相談及び新医薬品承認審査予定事前面談について、その取り扱う内容と留意点は、以下の表のとおりです。懸念事項について、いずれの相談区分で相談すべきか判断に迷う場合は、適宜事前面談にて確認してください。 | A: 治験相談、新医薬品の申請電子データの提出に係る各相談及び新医薬品承認審査予定事前面談について、その取り扱う内容と留意点は、以下の表のとおりです。懸念事項について、いずれの相談区分で相談すべきか判断に迷う場合は、適宜事前面談にて確認してください。 | | | | | | | | | | | | |
| | <table border="1"> <thead> <tr> <th>相談の種類</th> <th>相談内容及び留意点</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>既存の治験相談</td> <td>申請電子データ提出に関連する事項としては、申請に必要な臨床データパッケージのうち、申請電子データ提出が必要な臨床試験等の特定について議論する相談。 臨床データパッケージ内の全ての臨床試験・解析に関する申請電子データを提出する場合は、事前面談等でその旨を審査部に連絡することでも差し支えない。</td> </tr> <tr> <td>医薬品申請電子データ提出免除相談</td> <td>治験相談において申請電子データの提出対象とされた個々の試験について、以下の内容等を議論する相談。 ・申請電子データ通知 Q&A 問 2 に基づき、申請電子データの準備が困難な場合に、データの保有状況に基づき、一部又は全部の免除が可能かどうか。</td> </tr> </tbody> </table> | 相談の種類 | 相談内容及び留意点 | 既存の治験相談 | 申請電子データ提出に関連する事項としては、申請に必要な臨床データパッケージのうち、申請電子データ提出が必要な臨床試験等の特定について議論する相談。 臨床データパッケージ内の全ての臨床試験・解析に関する申請電子データを提出する場合は、事前面談等でその旨を審査部に連絡することでも差し支えない。 | 医薬品申請電子データ提出免除相談 | 治験相談において申請電子データの提出対象とされた個々の試験について、以下の内容等を議論する相談。 ・申請電子データ通知 Q&A 問 2 に基づき、申請電子データの準備が困難な場合に、データの保有状況に基づき、一部又は全部の免除が可能かどうか。 | <table border="1"> <thead> <tr> <th>相談の種類</th> <th>相談内容及び留意点</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>既存の治験相談</td> <td>申請電子データ提出に関連する事項としては、承認申請に必要な臨床データパッケージのうち、申請電子データ提出が必要な臨床試験等の特定について議論する相談。 臨床データパッケージ内の全ての臨床試験・解析に関する電子データを提出する場合は、事前面談等でその旨を審査部に連絡することでも差し支えない。</td> </tr> <tr> <td>医薬品申請電子データ提出免除相談</td> <td>治験相談において電子データの提出対象とされた個々の試験について、以下の内容等を議論する相談。 ・基本的通知 Q&A 問 2 に基づき、申請電子データの準備が困難な場合に、データの保有状況に基づき、一部又は全部の免除が可能かどうか。</td> </tr> </tbody> </table> | 相談の種類 | 相談内容及び留意点 | 既存の治験相談 | 申請電子データ提出に関連する事項としては、承認申請に必要な臨床データパッケージのうち、申請電子データ提出が必要な臨床試験等の特定について議論する相談。 臨床データパッケージ内の全ての臨床試験・解析に関する電子データを提出する場合は、事前面談等でその旨を審査部に連絡することでも差し支えない。 | 医薬品申請電子データ提出免除相談 | 治験相談において電子データの提出対象とされた個々の試験について、以下の内容等を議論する相談。 ・基本的通知 Q&A 問 2 に基づき、申請電子データの準備が困難な場合に、データの保有状況に基づき、一部又は全部の免除が可能かどうか。 |
| 相談の種類 | 相談内容及び留意点 | | | | | | | | | | | | | |
| 既存の治験相談 | 申請電子データ提出に関連する事項としては、申請に必要な臨床データパッケージのうち、申請電子データ提出が必要な臨床試験等の特定について議論する相談。 臨床データパッケージ内の全ての臨床試験・解析に関する申請電子データを提出する場合は、事前面談等でその旨を審査部に連絡することでも差し支えない。 | | | | | | | | | | | | | |
| 医薬品申請電子データ提出免除相談 | 治験相談において申請電子データの提出対象とされた個々の試験について、以下の内容等を議論する相談。 ・申請電子データ通知 Q&A 問 2 に基づき、申請電子データの準備が困難な場合に、データの保有状況に基づき、一部又は全部の免除が可能かどうか。 | | | | | | | | | | | | | |
| 相談の種類 | 相談内容及び留意点 | | | | | | | | | | | | | |
| 既存の治験相談 | 申請電子データ提出に関連する事項としては、承認申請に必要な臨床データパッケージのうち、申請電子データ提出が必要な臨床試験等の特定について議論する相談。 臨床データパッケージ内の全ての臨床試験・解析に関する電子データを提出する場合は、事前面談等でその旨を審査部に連絡することでも差し支えない。 | | | | | | | | | | | | | |
| 医薬品申請電子データ提出免除相談 | 治験相談において電子データの提出対象とされた個々の試験について、以下の内容等を議論する相談。 ・基本的通知 Q&A 問 2 に基づき、申請電子データの準備が困難な場合に、データの保有状況に基づき、一部又は全部の免除が可能かどうか。 | | | | | | | | | | | | | |

| | | | | |
|--|------------------|--|------------------|---|
| | | <p>・申請電子データ通知 Q&A 問 15 に基づき、CDISC 標準以外の形式の申請電子データを提出する場合に、当該申請電子データを CDISC 標準以外の形式で提出すること及び提出内容(申請電子データに関する情報や解析に関する情報)の妥当性。</p> | | <p>・基本的通知 Q&A 問 10 に基づき、CDISC 標準以外の形式の電子データを提出する場合に、当該電子データを CDISC 標準以外の形式で提出すること及び提出内容(電子データに関する情報や解析に関する情報)の妥当性。</p> |
| | 医薬品申請電子データ提出方法相談 | <p>申請電子データを提出予定の試験・解析に関して、以下の内容等を議論する相談。</p> <p>・データの格納方法や変数の取扱い方、申請電子データの提出方法、CDISC 標準に準拠したデータに対するバリデーションで生じるバリデーションルール違反の原因となるデータの格納方針に関する事項等。</p> <p>・試験成績と申請電子データの提出時期が別にならざるを得ない等、申請電子データに特有の事情がある場合。</p> | 医薬品申請電子データ提出方法相談 | <p>電子データを提出予定の試験・解析に関して、以下の内容等を議論する相談。</p> <p>・データの格納方法や変数の取扱い方、申請電子データの提出方法、CDISC 準拠データに対するバリデーションで生じるバリデーションルール違反の原因となるデータの格納方針に関する事項等。</p> <p>・試験成績と申請電子データの提出時期が別にならざるを得ない等、申請電子データに特有の事情がある場合。</p> |
| | 医薬品申請電子データ提出確認相談 | <p>申請電子データ提出前に新医薬品承認審査予定事前面談の実施が想定されない状況での申請電子データの提出にあたり、必要に応じて事前に実施されたバリデーション結果に基づく、Error に相当するバリデーションルール違反の説明と、修正が不可能な理由の確認を行う相談。</p> | 医薬品申請電子データ提出確認相談 | <p>電子データ提出前に新医薬品承認審査予定事前面談の実施が想定されない状況での電子データの提出にあたり、事前に実施されたバリデーション結果に基づく、Error に相当するバリデーションルール違反の説明と、修正が不可能な理由の確認を行う相談。</p> |
| | 新医薬品承認審 | 申請資料の提出内容及び提出予定時期につ | 新医薬品承認審 | 申請資料の提出内容及び提出予定時期につ |

| | | |
|-------------|---|--|
| | <p>査予定事前面談</p> <p>いて最終確認を行う相談。</p> <p>なお、申請者が事前に実施したバリデーション結果に基づく、Errorに相当するバリデーションルール違反の説明と修正が不可能な理由の説明を含め、提出予定の申請電子データの内容を記載した「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」は、本相談において提出することが望ましい。また、Form A は申請電子データの提出状況(ファイルの有無等)を審査員が確認する際に用いるため、申請時に提出する申請電子データと齟齬がないことをよく確認した上で提出すること。</p> | <p>査予定事前面談</p> <p>て最終確認を行う相談。</p> <p>面談の際には、申請者が事前に実施したバリデーション結果に基づく、Error に相当するバリデーションルール違反の説明と修正が不可能な理由の説明を含め、提出予定の申請電子データの内容を「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」を用いてまとめ、提出すること。なお、Form A は申請電子データの提出状況(ファイルの有無等)を審査員が確認する際に用いるため、申請時に提出する申請電子データと齟齬がないことをよく確認した上で提出すること。</p> |
| <p>Q1-6</p> | <p>Q1-6: 技術的ガイド 3.1 において、「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」を「新医薬品承認審査予定事前面談等において提出することが望ましい。」とされていますが、Form A を提出する場合の留意点について教えてください。</p> <p>A: 新医薬品承認審査予定事前面談に際して、Error に相当するバリデーションルール違反の説明と修正が不可能な理由の説明を含め、提出予定の申請電子データの内容を記載した Form A の最終版を提出する必要があります。具体的な提出時期や方法については個別に相談が可能ですが、遅くとも申請電子データ提出前日までに最終版の Form A を提出してください。また、申請後に申請電子データ</p> | <p>Q1-6: 技術的ガイド 3.6.1、CDISC 準拠データに対するバリデーションについて「承認申請にあたっては申請者が申請電子データ転送前にバリデーションを行い、ルールに違反している箇所を特定した上で必要な説明を行う必要がある。」と記載されていますが、ルールの違反について必要な説明は、医薬品申請電子データ提出確認相談を実施せず、新医薬品承認審査予定事前面談で対応してもよいでしょうか。</p> <p>A: 承認申請にあたっての事前に説明が必要なバリデーションルール違反の説明について、新医薬品承認審査予定事前面談が後日予定される場合は、医薬品申請電子データ提出確認相談を申込み必</p> |

| | | |
|------|---|--|
| | <p>を追加提出する際、Form A の内容に変更がある場合は、当該申請電子データの提出前日までに変更した Form A を提出してください。</p> <p>なお、最終版の Form A の内容に基づき、提出されたデータの内容等を確認します。</p> | <p>要はありませんので、新医薬品承認審査予定事前面談の申込み時に全ての臨床試験・解析についての Error の説明を含む「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8 付録「<u>申請電子データに係る説明資料 (Form A)</u>」を提出し、報告してください。</p> <p>なお、承認申請受付時には、新医薬品承認審査予定事前面談時に提出された Form A の内容に基づき、提出されたデータの内容を確認することを想定しています。</p> |
| Q1-7 | <p>A: 電子ファイルを送信可能な期間は、ゲートウェイシステムで申請予告を作成した日から、申請予告時に指定した承認申請書提出予定日(申請予定日)までの期間です。申請予定日までであれば、提出予定日とは異なる日に電子ファイルを送信することが可能ですが、電子ファイルの送信日が提出予定日を過ぎる場合は、提出予告を修正してください。また、申請予定日を過ぎてから電子ファイルを送信することはできませんので、申請予定日までにファイルを送信してください。</p> <p>なお、PMDA 受付窓口にて承認申請を受け付ける際には、送信された全ての電子ファイルのウイルスチェックが完了し、FD 申請データのバリデーションに問題がないことが確認されている必要があります。電子ファイルのウイルスチェック等を行う時間が必要となります。利用者が集中した場合は処理に時間を要しますので余裕をもったご対応をお願いします。</p> | <p>A: 電子ファイルを転送可能な期間は、ゲートウェイシステムで申請予告を作成した日から、申請予告時に指定した承認申請書提出予定日(申請予定日)までの期間です。申請予定日までであれば、提出予定日とは異なる日に電子ファイルを転送することが可能ですが、電子ファイルの転送日が提出予定日を過ぎる場合は、提出予告を修正してください。また、申請予定日を過ぎてから電子ファイルを転送することはできませんので、申請予定日までにファイル転送を行ってください。</p> <p>なお、PMDA 受付窓口にて承認申請を受け付ける際には、転送された全ての電子ファイルのウイルスチェックが完了している必要があります。電子ファイルが PMDA に到着してからウイルスチェックを行う時間が必要となります。利用者が集中した場合は処理に時間を要しますので余裕をもったご対応をお願いします。</p> |
| Q1-8 | <p>A: 新医薬品承認審査予定事前面談の受付番号を入力してください。新医薬品承認審査予定事前面談の受付番号は、PMDA の担当者より面談の日程を連絡する際等にお知らせします。</p> | <p>A: 新医薬品承認審査予定事前面談の受付番号を入力してください。新医薬品承認審査予定事前面談の受付番号は、面談の日程等を連絡する際に PMDA の担当者より送信する FAX に記載しています。</p> |

| | | |
|-------|--|--|
| Q1-9 | A: いずれのファイルの作成方法にも変更はありません。なお、照会事項回答のファイル容量については <u>申請電子データシステムの操作マニュアル</u> を参照してください。 | A: いずれのファイルの作成方法にも変更はありません。なお、照会事項回答のファイル容量については <u>Q3-12</u> を参照してください。 |
| Q1-11 | A: 必要です。ただし、新有効成分含有医薬品として承認を取得した際に提出していた申請電子データと重複する申請電子データについては、改めて提出する必要はありません。なお、この間に、 <u>新有効成分含有医薬品としての申請時には利用可能であった標準のバージョンの受付終了や、使用可能であったバリデーションルールのバージョンの受付終了があった場合、新有効成分含有医薬品としての申請時に提出し、効能追加等申請時に再度提出が必要になったデータに関しては、提出データ自体に変更がないのであれば、基本的には、特段の追加の対応は必要ありません。</u> | A: 必要です。ただし、新有効成分含有医薬品として承認を取得した際に提出していた申請電子データと重複する申請電子データについては、改めて提出する必要はありません。 |
| Q1-15 | A: 申請データパッケージに関する相談時と同様の資料に加え、申請電子データの提出範囲の妥当性について <u>申請電子データ通知等</u> に基づき説明してください。 | A: 申請データパッケージに関する相談時と同様の資料に加え、申請電子データの提出範囲の妥当性について <u>基本的通知及び実務的通知</u> に基づき説明してください。 |
| Q1-16 | A: 申請電子データの事前のバリデーションにおいて、バリデーションソフトウェア開発企業により PMDA が用いるバージョンのバリデーションソフトウェアと同等の結果を返すとされたバージョンのバリデーションソフトウェアを用い、 <u>Reject</u> に相当するバリデーションルール違反について当該結果に基づいたデータの修正がなされていることが確認できた場合には、原則申請電子データを受領の上、FD 申請データ及び eCTD 等その他の申請資料に問題がなければ承認申請を受け付け、審査を開始することとしています。ただし、PMDA によるバリデーションにより、 <u>Reject 又は説明のない Error</u> に相当するバリデ | A: 申請電子データの事前のバリデーションにおいて、バリデーションソフトウェア開発企業により PMDA が用いるバージョンのバリデーションソフトウェアと同等の結果を返すとされたバージョンのバリデーションソフトウェアを用い、 <u>当該結果に基づいた修正及び Error</u> に相当するバリデーションルール違反に対する説明がなされていることが確認できた場合には、原則申請電子データを受領の上、FD 申請データ及び eCTD 等その他の申請資料に問題がなければ承認申請を受け付け、審査を開始することとしています。ただし、PMDA によるバリデーションにより、 <u>Reject 又は事前に説明のなかった Error</u> に |

| | | |
|-------|---|--|
| | <p>ーションルール違反が新たに検出された場合には、データの修正等を求めます。Reject に相当するバリデーションルール違反についてはデータを修正し、Error に相当するバリデーションルール違反についてはデータを修正又はデータの修正が不可能な場合は、違反が生じた理由及び修正が不可能な理由を説明してください。</p> | <p>相当するバリデーションルール違反が新たに検出された場合にはデータの修正を求めます。また、仮に、データの修正が不可能な場合は、違反が生じた理由及び修正が不可能な理由を求めます。</p> |
| Q1-17 | <p>A: バリデーションソフトウェアによりバリデーションルール違反が検出された場合であっても、データセットを確認した際、明らかに当該違反には該当しないと判断できる場合は、そのように判断した根拠を「申請電子データに係る説明資料(Form A)」及びデータガイド等で説明してください。なお、当該バリデーションルール違反が生じた原因がバリデーションソフトウェアの不具合である旨がバリデーションソフトウェア開発会社から公表されている場合は、この旨を判断した根拠として説明することで差し支えありません。</p> | <p>A: バリデーションソフトウェアによりバリデーションルール違反が検出された場合であっても、データセットを確認した際、明らかに当該違反には該当しないと判断できる場合は、そのように判断した根拠を「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」及びデータガイド等で説明してください。なお、当該バリデーションルール違反が生じた原因がバリデーションソフトウェアの不具合である旨がバリデーションソフトウェア開発会社から公表されている場合は、この旨を判断した根拠として説明することで差し支えありません。</p> |
| Q1-18 | <p>A: PMDA では、申請電子データの受信完了後、ウイルスチェック及び署名検証を実施し、これらに特段の問題がなければバリデーションを実施します。また、出力されたバリデーションレポート及び事前に提出された「申請電子データに係る説明資料(Form A)」等の内容に基づき、PMDA 担当者がデータ受領可否について判断し、その結果をゲートウェイシステムに入力します。</p> <p>署名検証終了後、バリデーションが実施され、データ受領可否の判断を行っている間はシステム上「バリデーション中」と表示され、データ受領可否判断の結果がシステムに入力された段階で「バリデーション完了」に遷移します。申請電子データが提出されてからデータ受領</p> | <p>A: PMDA では、申請電子データの受信完了後、ウイルスチェック及び署名検証を実施し、これらに特段の問題がなければバリデーションを実施します。また、出力されたバリデーションレポート及び事前に提出された「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」等の内容に基づき、PMDA 担当者がデータ受領可否について判断し、その結果をゲートウェイシステムに入力します。</p> <p>署名検証終了後、バリデーションが実施され、データ受領可否の判断を行っている間はシステム上「バリデーション中」と表示され、データ受領可否判断の結果がシステムに入力された段階で「バリデーション完了」に遷移します。申請電子データが提出されてからデータ受領</p> |

| | | |
|-------|--|--|
| | <p>可否判断を終えるまでの期間は、通常 5 営業日程度を予定しています。</p> <p>ウイルスチェック結果及び PMDA によるバリデーション結果は、それぞれウイルスチェック終了時点及びデータ受領可否判断の結果を PMDA 担当者がシステムに入力した時点で確認できるようになります。具体的な確認方法については、<u>申請電子データシステム</u>の操作マニュアルを参照してください。</p> <p>なお、バリデーションの結果、Reject に相当するバリデーションルール違反が検出された場合、申請前であれば書面にて、申請後には照会事項として、対応が必要となる申請電子データ及びバリデーションルール等を連絡します。また、説明のない Error に相当するバリデーションルール違反が検出された場合、申請後に照会事項として、対応が必要となる申請電子データ及びバリデーションルール等を連絡します。</p> | <p>オン完了」に遷移します。申請電子データが提出されてからデータ受領可否判断を終えるまでの期間は、通常 5 営業日程度を予定しています。</p> <p>ウイルスチェック結果及び PMDA によるバリデーション結果は、それぞれウイルスチェック終了時点及びデータ受領可否判断の結果を PMDA 担当者がシステムに入力した時点で確認できるようになります。具体的な確認方法については、<u>ゲートウェイシステム</u>の操作マニュアルを参照してください。</p> <p>なお、バリデーションの結果、Reject 又は事前に説明のなかった <u>Error</u>に相当するバリデーションルール違反が検出された場合、承認申請前であれば書面にて、承認申請後には照会事項として、対応が必要となる申請電子データ及びバリデーションルール等を連絡します。</p> |
| Q1-19 | <p>Q1-19: <u>ゲートウェイ申請</u>において、「医薬品の承認申請について」(平成 26 年 11 月 21 日付け薬食発 1121 第 2 号厚生労働省医薬食品局長通知)(以下「局長通知」という。)の別表 2-(1)に掲げる(8)の品目(剤形追加に係る医薬品)についても、ゲートウェイシステムを介して FD 申請データ及び eCTD の提出はできますか。</p> <p>A: いいえ。<u>ゲートウェイ申請</u>におけるゲートウェイシステムの利用対象は、現時点では<u>申請電子データ通知 2(1)ア</u>にある申請電子データの提出対象と同一である局長通知の別表 2-(1)に掲げる(1)から(7)まで、(9)及び(9 の 2)の品目としています。</p> | <p>Q1-19:「医薬品の承認申請について」(平成 26 年 11 月 21 日付け薬食発 1121 第 2 号厚生労働省医薬食品局長通知)(以下「局長通知」という。)の別表 2-(1)に掲げる(8)の品目(剤形追加に係る医薬品)についても、ゲートウェイシステムを介して FD 申請データ及び eCTD の提出はできますか。</p> <p>A: いいえ。ゲートウェイシステムの利用対象は、現時点では<u>基本的通知の 2_(1)</u>にある申請電子データの提出対象と同一である局長通知の別表 2-(1)に掲げる(1)から(7)まで、(9)及び(9 の 2)の品目としています。</p> |

| | | |
|-------|---|---|
| Q1-20 | <p>A: 「新医薬品の承認審査の進捗状況の確認について」(平成 22 年 12 月 27 日付け薬機発第 1227001 号独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通知)の別添の 7 において、審査終了後の適切な時期に申請者又は PMDA のうち、どちらか一方の要請があり両者が必要と認めた場合に、当該申請又は審査に関する問題点、今後の課題等について意見交換を試行として行うとされています。申請電子データに関するフィードバックもこの意見交換の中で実施いたしますので、必要に応じて担当審査部にご要望ください。</p> | <p>A: 「新医薬品の承認審査の進捗状況の確認について」(平成 22 年 12 月 27 日付け薬機発 1227001 号独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通知)の別添の 7 において、審査終了後の適切な時期に申請者又は PMDA のうち、どちらか一方の要請があり両者が必要と認めた場合に、当該申請又は審査に関する問題点、今後の課題等について意見交換を試行として行うとされています。申請電子データに関するフィードバックもこの意見交換の中で実施いたしますので、必要に応じて担当審査部にご要望ください。</p> |
| Q1-21 | <p>Q1-21: 新医薬品の申請電子データの提出に係る相談の記録の写しを承認申請書添付資料として提出する必要はありますか。</p> | <p>Q1-21: 新医薬品の申請電子データの提出に係る相談について、記録の写しを承認申請書添付資料として提出する必要はありますか。</p> |
| Q1-22 | <p>Q1-22: データガイドや「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」の「c. 電子データの CDISC 適合性に関する情報」欄にバリデーション結果を記載する際、Rule ID も記載する必要がありますか。</p> <p>A: はい。バリデーション結果をデータガイドや Form A に記載する際(バリデーションレポートやデータガイドを添付する場合を含む)は、PMDA が公表している PMDA Study Data Validation Rules の Rule ID をあわせて記載してください。</p> | <p>Q1-22: 「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」の「電子データの CDISC 適合性に関する情報」欄にバリデーション結果を記載する際、Rule ID も記載する必要がありますか。</p> <p>A: はい。バリデーション結果を Form A に記載する際(バリデーションレポートやデータガイドを添付する場合を含む)は、PMDA が公表している PMDA Study Data Validation Rules の Rule ID をあわせて記載してください。</p> |
| Q1-23 | <p>Q1-23: 申請電子データ通知 3(2)イに基づき、修正が不可能な Error に相当するバリデーションルール違反に関する必要な説明をデータガイドや「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」の「c. 電子データの CDISC 適合性に関する情報」欄に記入する際、留意点はありますか。</p> | <p>Q1-23: 実務的通知 2(4)イに基づき、修正が不可能な Error に相当するバリデーションルール違反に関する必要な説明をデータガイドや「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」の「電子データの CDISC 適合性に関する情報」欄に記入する際、留意点はありますか。</p> |

| | | |
|--------------|--|---|
| <p>Q1-25</p> | <p>Q1-25: ゲートウェイシステムの「試験データ提出」画面で入力が必要な Analysis Type について、入力する際の留意点を示してください。</p> <p>A: 技術的ガイド 4.2.1 に記載されている「臨床薬理領域の電子データパッケージ説明書」を作成する際には、Analysis Type で入力された情報を用いて臨床薬理領域のファイルを特定しているため、「臨床薬理領域の電子データパッケージ説明書」に適切な内容を含めるために、Analysis Type を適切に入力する必要があります。</p> <p>臨床薬理領域の解析に関する申請電子データを含まない試験又は解析については、全てのファイルで Non-CP を選択してください。</p> <p>臨床薬理領域の解析に関する申請電子データを含む場合での申請電子データ提出対象となる資料の種類と Analysis Type との関係を、申請電子データ通知における分類に基づいて示すと、以下の表 1-25 のとおりとなります。したがって、以下の考え方にに基づき、各試験又は解析について、全てのファイルで同じ Analysis Type を選択してください。ただし、1つの試験報告書に標準的な薬物動態解析及び母集団解析を含む場合は、母集団解析のファイルは POP を選択し、他の全てのファイルは STS を選択してください。また、母集団解析も実施した検証試験等で、母集団解析単独の報告書が存在しない場合には、当該試験について、母集団解析関係のファイルは POP を選択し、他の全てのファイルは Non-CP を選択してください。</p> | <p>Q1-25: 申請電子データシステムの「試験データ提出」画面で入力が必要な Analysis Type について、入力の目的及び入力する際の留意点を示してください。</p> <p>A: 臨床薬理領域の申請電子データは、保存されるフォルダやファイル名が様々であるため、PMDA が提出された申請電子データを<u>確認するにあたり</u>、技術的ガイド 4.2.1 に記載されている「臨床薬理領域の電子データパッケージ説明書」を用いています。この「臨床薬理領域の電子データパッケージ説明書」を作成する際には、Analysis Type で入力された情報を用いて臨床薬理領域のファイルを特定しています。したがって、「臨床薬理領域の電子データパッケージ説明書」に適切な内容を含めるために、Analysis Type が適切に入力されている必要があります。</p> <p>臨床薬理領域の申請電子データを含まない試験又は解析については、全てのファイルで Non-CP を選択してください。</p> <p>臨床薬理領域の申請電子データを含む場合での電子データ提出対象となる資料の種類と Analysis Type との関係を、<u>基本的通知</u>における分類に基づいて示すと、以下の表 1-25 のとおりとなります。したがって、以下の考え方にに基づき、各試験又は解析について、全てのファイルで同じ Analysis Type を選択してください。ただし、1つの試験報告書に標準的な薬物動態解析及び母集団解析を含む場合は、母集団解析のファイルは POP を選択し、他の全てのファイルは STS を選択してください。また、母集団解析も実施した検証試験等で、母集団解析単独の報告書が存在しない場合には、当該試験につい</p> |
|--------------|--|---|

| | | |
|-------|--|--|
| | <p>表 1-25 臨床薬理領域の解析に関する申請電子データを含む場合の申請電子データ提出対象となる資料の種類と Analysis Type との関係</p> <p>なお、STS、POP 及び PBPK のいずれにも該当しないと考えられる臨床薬理領域の解析に関するファイルを提出する場合は Other を選択してください。</p> <p>Analysis Type において STS、POP、PBPK 又は Other を選択したファイルについては、Description を記載してください。ただし、STS 又は Other を選択したファイルのうち、CDISC 標準に準拠した申請電子データ及び関連する文書(技術的ガイド4.1参照)については、Description を「-」としても差し支えありません。</p> | <p>て、母集団解析関係のファイルは POP を選択し、他の全てのファイルは Non-CP を選択してください。</p> <p>表 1-25 臨床薬理領域の申請電子データを含む場合の電子データ提出対象となる資料の種類と Analysis Type との関係</p> <p>なお、STS、POP 及び PBPK のいずれにも該当しないと考えられる臨床薬理領域に関するファイルを提出する場合は Other を選択してください。</p> <p>Analysis Type において STS、POP、PBPK 又は Other を選択したファイルについては、Description を記載してください。ただし、STS 又は Other を選択したファイルのうち、CDISC 標準に準拠した申請電子データ及び関連する文書(技術的ガイド4.1参照)については、Description を「-」としても差し支えありません。</p> |
| Q1-26 | <p>Q1-26:「申請電子データに係る説明資料(Form A)」の、「4.1. CDISC 準拠の臨床試験(試験ごとに記載)」に記載する各試験の情報について、申請電子データとして提出するデータガイドを参照することでもよいでしょうか。</p> <p>A: <u>CDISC 標準に準拠した各試験の情報について、データセット作成時に使用した標準とバージョン、提出を予定するデータセット等(SDTM、ADaM、その他)、電子データの CDISC 適合性に関する情報、及び解析に関する情報については、記載すべき情報が提出するデータガイドに含まれている場合にはデータガイドの参照が可能で</u></p> | <p>Q1-26:「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8 付録「<u>申請電子データに係る説明資料(Form A)</u>」の「<u>電子データの CDISC 適合性に関する情報</u>」欄を記入する代わりに、<u>データガイドを添付することでもよいでしょうか。</u></p> <p>A: <u>はい。内容の転記による誤り等を防ぐため、当該欄に記載すべき情報を含むデータガイドを添付して、参照していただくことを推奨します。</u>なお、この場合「<u>電子データの CDISC 適合性に関する情報</u>」欄にはデータガイドを添付した旨を明記してください。</p> |

| | | |
|-------|--|--|
| | <p>す。データガイドにより Form A に記載すべき情報が網羅されていることを確認の上、データガイドを参照する旨を明記してください。</p> <p>なお、「電子データの CDISC 適合性に関する情報」のみデータガイドを参照することも可能です。その場合、それ以外の説明については説明資料内に記載し、「電子データの CDISC 適合性に関する情報」欄に、当該内容についてはデータガイドを参照する旨を明記してください。</p> | |
| Q1-27 | <p>Q1-27:再審査申請時に申請電子データを提出する場合、「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」には、再審査申請時に提出する予定の試験のみを記載すればよいでしょうか。それとも当該品目の承認審査時に提出した内容も含めて記載すべきでしょうか。Form A の記載方法や提出方法の留意点があれば、教えてください。</p> <p>A: 再審査申請時の Form A には、該当品目の再審査申請時に提出予定の製造販売後臨床試験・解析に関する内容のみを記載してください。なお、該当品目において、承認審査時に提出した試験が承認時に継続中であったため、製造販売後臨床試験に切り替えた試験については、承認審査時に提出した試験を継続した試験であることがわかる記載としてください。なお、Form A は、「医薬品再評価・再審査質問」の際に、提出してください。</p> | <p>Q1-27:再審査申請時に申請電子データを提出する場合、「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」には、再審査申請時に提出する予定の試験のみを記載すればよいでしょうか。それとも当該品目の承認審査時に提出した内容も含めて記載すべきでしょうか。Form A の記載方法の留意点があれば、教えてください。</p> <p>A: 再審査申請時の Form A には、該当品目の再審査申請時に提出予定の製造販売後臨床試験・解析に関する内容のみを記載してください。なお、該当品目において、承認審査時に提出した試験が承認時に継続中であったため、製造販売後臨床試験に切り替えた試験については、承認審査時に提出した試験を継続した試験であることがわかる記載としてください。</p> |
| Q1-28 | <p>Q1-28:申請電子データ通知 Q&A 問 2 又は問 15 に基づき医薬品申請電子データ提出免除相談を実施し、試験の一部又は全部の提出が免除となる場合、新医薬品承認審査予定事前面談において、「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」に加えて、「申請電子デ</p> | <p>Q1-28:基本的通知 Q&A 問 10 に基づき医薬品申請電子データ提出免除相談を実施し、試験の一部又は全部の提出が免除となる場合、新医薬品承認審査予定事前面談において、「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説</p> |

| | | |
|-------|--|---|
| | <p>一々に係る説明資料(Form B)」も提出する必要がありますか。</p> <p>A: 試験の一部又は全部の提出が免除となる場合、新医薬品承認審査予定事前面談では、Form A に加えて、Form B も提出してください。ただし、医薬品申請電子データ提出免除相談で提出した資料から更新がない場合は、再度 Form B を提出する必要はありませんが、更新がない旨を新医薬品承認審査予定事前面談に際して説明してください。</p> | <p>明資料(Form A)」に加えて、「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8-2 付録「申請電子データに係る説明資料(Form B)」も提出する必要がありますか。</p> <p>A: 試験の一部又は全部の提出が免除となる場合、新医薬品承認審査予定事前面談では、Form A に加えて、Form B も提出してください。ただし、医薬品申請電子データ提出免除相談で提出した資料から更新がない場合は、<u>新医薬品承認審査予定事前面談</u>で再度 Form B を提出する必要はありませんが、更新がない旨を新医薬品承認審査予定事前面談資料に記載してください。</p> |
| 1-29 | <p>1-29: <u>申請電子データ通知 Q&A 問 10</u>「表 申請電子データ提出対象となる資料の種類と提出形式」で示されている内容に沿った形式のデータが提出可能な場合、医薬品申請電子データ提出免除相談の実施は不要と考えてよいですか。</p> <p>A: 医薬品申請電子データ提出免除相談は、<u>申請電子データ通知 Q&A 問 2</u> 又は問 <u>15</u> に基づき、試験データの一部又は全部を提出することが困難な場合に相談するものであり、<u>申請電子データ通知 Q&A 問 10</u> に従ったデータが提出できるのであれば、医薬品申請電子データ提出免除相談は不要です。</p> | <p>Q1-29: <u>実務的通知 Q&A 問 12</u>「表 電子データ提出対象となる資料の種類と提出形式」で示されている内容に沿った形式のデータが提出可能な場合、医薬品申請電子データ提出免除相談の実施は不要と考えてよいですか。</p> <p>A: 医薬品申請電子データ提出免除相談は、<u>基本的通知 Q&A 問 2</u> 又は問 <u>10</u> に基づき、試験データの一部又は全部を提出することが困難な場合に相談するものであり、<u>実務的通知 Q&A 問 12</u> に従ったデータが提出できるのであれば、医薬品申請電子データ提出免除相談は不要です。</p> |
| Q1-30 | <p>Q1-30: <u>申請電子データ通知 4(2)イ(オ)</u>において、SDTM 以外の形式でまとめられている臨床試験データを承認申請時提出用に SDTM 形式に変換する際に、データ取得時の設定により推奨される統制用語に合わせて変換できないデータがあるなど、部分的に困難な箇所</p> | <p>Q1-30: <u>実務的通知の3項の「(1)CDISC 標準に準拠した電子データ等について」</u>において、<u>以下のように記載されていますが、それぞれの相談区分で相談すればよいでしょうか。</u></p> <p>1. SDTM 以外の形式でまとめられている臨床試験データを承認</p> |

| | | |
|-------|---|--|
| | <p>がある場合には、対面助言を利用して事前に PMDA に相談すること、と記載されていますが、どの相談区分で相談すればよいでしょうか。</p> <p>A: 医薬品申請電子データ提出方法相談で相談してください。</p> | <p>申請時提出用に SDTM 形式に変換する際に、データ取得時の設定により推奨される統制用語に合わせて変換できないデータがあるなど、部分的に困難な箇所がある場合は、対面助言を利用して事前に PMDA に相談する。</p> <p>2. <u>用いる CDISC 標準のバージョンについて、同一臨床試験内において他のバージョンを用いている部分がある場合には、対面助言を利用して事前に PMDA に相談する。</u></p> <p>A: ①及び②のいずれも、<u>医薬品申請電子データ提出方法相談</u>で相談してください。</p> |
| Q1-31 | <p>Q1-31: <u>申請電子データ通知 Q&A 問 18</u>の第 I 相試験、臨床薬理試験等の成績及び臨床薬理領域の解析に関する申請電子データの提出に関して、以下のように記載されています。それぞれの相談区分で相談すればよいでしょうか。</p> <p>1. <u>申請電子データ通知 Q&A 問 18(1)の2(1)イ(イ)</u>に掲げる資料のうち、日本人と外国人の双方に対して実施された第 I 相試験の有効性及び安全性の解析データセットについて、「必ずしも解析データセットの提出を要しない場合があるので、有効性及び安全性に関する解析データセットを ADaM 形式で提出することが困難な場合は、その提出要否を対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」と記載されていること</p> <p>2. <u>申請電子データ通知 Q&A 問 18(1)の2(1)イ(イ)</u>に掲げる資料のうち、日本人と外国人の双方に対して実施された第 I 相試験の薬物動態又は薬物動態／薬力学に関する解析データセッ</p> | <p>Q1-31: <u>実務的通知 Q&A 問 11</u>の第 I 相試験、臨床薬理試験等の成績及び臨床薬理領域の解析の電子データの提出に関して、以下のように記載されています。それぞれの相談区分で相談すればよいでしょうか。</p> <p>1. <u>実務的通知 Q&A 問 11(1)の基本的通知2. (2)イ</u>に掲げる資料のうち、日本人と外国人の双方に対して実施された第 I 相試験の有効性及び安全性の解析データセットについて、「必ずしも解析データセットの提出を要しない場合があるので、有効性及び安全性に関する解析データセットを ADaM 形式で提出することが困難な場合は、その提出要否を対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」と記載されていること</p> <p>2. <u>実務的通知 Q&A 問 11(1)の基本的通知2. (2)イ</u>に掲げる資料のうち、日本人と外国人の双方に対して実施された第 I 相試験の薬物動態又は薬物動態／薬力学に関する解析データセッ</p> |

| | | |
|-------|--|---|
| | <p>トについて、「ADaM 以外の形式で作成されているデータセットでも受入れ可能な場合があるので、薬物動態又は薬物動態／薬力学に関する解析データセットを ADaM 形式で提出することが困難な場合は、上記と同様に、事前に PMDA に相談すること。」と記載されていること</p> <p>3. <u>申請電子データ通知 Q&A 問 18(2)の2(1)イ(ウ)の資料のうち、標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験の有効性及び安全性の解析データセットについて、「必ずしも有効性及び安全性に関する解析データセットの提出を要しない場合があるので、当該解析データセットを ADaM 形式で提出することが困難な場合は、その提出要否を対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」と記載されていること</u></p> <p>4. <u>申請電子データ通知 Q&A 問 18(3)の複数の臨床試験のデータを統合したデータセットを用いて標準的な薬物動態解析を実施した場合について、「統合解析に用いた解析データセットに加えて、提出範囲となる個々の試験については、申請電子データの提出を求める。申請電子データの提出が困難な場合は、対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」と記載されていること</u></p> | <p>トについて、「ADaM 以外の形式で作成されているデータセットでも受入れ可能な場合があるので、薬物動態又は薬物動態／薬力学に関する解析データセットを ADaM 形式で提出することが困難な場合は、上記と同様に、事前に PMDA に相談すること。」と記載されていること</p> <p>3. <u>実務的通知 Q&A 問 11(2)の基本的通知2.(2)ウの資料のうち、標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験の有効性及び安全性の解析データセットについて、「必ずしも有効性及び安全性に関する解析データセットの提出を要しない場合があるので、当該解析データセットを ADaM 形式で提出することが困難な場合は、その提出要否を対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」と記載されていること</u></p> <p>4. <u>実務的通知 Q&A 問 11(3)の複数の臨床試験のデータを統合したデータセットを用いて標準的な薬物動態解析を実施した場合について、「統合解析に用いた解析データセットに加えて、個々の試験について、SDTM 形式のデータセットの提出も求める。SDTM 形式のデータセットが提出が困難な場合は、対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」と記載されていること</u></p> |
| Q1-32 | <p>Q1-32: <u>申請電子データ通知 Q&A 問 19</u>に関連して、「開発後期に実施された臨床試験のデータに基づく母集団解析等に関する申請電子データについては、申請後の提出も受入れ可能な場合がある。申請時に提出が困難な申請電子データがある場合は、<u>具体的な提出時期を示した上で、当該申請電子データの提出が申請後になること</u>に</p> | <p>Q1-32: <u>実務的通知 Q&A 問 13</u>に関連して、「開発後期に実施された臨床試験のデータに基づく母集団解析等に関する電子データについては、<u>承認申請後の提出も受入れ可能な場合がある。承認申請時に提出が困難な電子データがある場合は、その提出時期等</u>について、対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」とあります</p> |

| | | |
|-------|---|---|
| | <p>ついて、対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」とありますが、どの相談区分で相談すればよいでしょうか。</p> <p>A: 申請時に母集団解析等に関する申請電子データの提出が困難である場合、申請電子データに関わる特有の事情とあわせて医薬品申請電子データ提出方法相談で相談してください。</p> | <p>が、どの相談区分で相談すればよいでしょうか。</p> <p>A: 承認申請時に母集団解析等に関する電子データの提出が困難である場合、申請電子データに関わる特有の事情とあわせて医薬品申請電子データ提出方法相談で相談してください。</p> |
| Q1-33 | <p>Q1-33: <u>申請電子データ通知 Q&A 問 16</u>において、CDISC 標準以外の形式で作成したデータを CDISC 標準に変換して提出する場合の留意点について、「やむを得ない事情がある場合は、<u>申請電子データ通知の2(1)イ(ウ)</u>に該当する臨床試験であって、試験開始日(最初の被験者を組み入れた日)が平成 26 年 6 月 20 日より前の試験に限り、申請後の提出も受け入れ可能な場合があるため、対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」と記載されていますが、どの相談区分で相談すればよいでしょうか。</p> | <p>Q1-33: <u>実務的通知 Q&A 問 20</u>において、CDISC 標準以外の形式で作成した<u>電子データ</u>を CDISC 標準に変換して提出する場合の留意点について、「やむを得ない事情がある場合は、<u>基本的通知2_(2)ウ</u>に該当する臨床試験であって、試験開始日(最初の被験者を組み入れた日)が平成 26 年 6 月 20 日(<u>基本的通知発出日</u>)より前の試験に限り、<u>承認申請</u>後の提出も受け入れ可能な場合があるため、対面助言を活用し事前に PMDA に相談すること。」と記載されていますが、どの相談区分で相談すればよいでしょうか。</p> |
| Q2-2 | <p>A: eCTD と申請電子データの提出日が異なることは差し支えありません。</p> <p>eCTD v3.2.2 を利用する場合、提出の順番に規定はありません。</p> <p>eCTD v4.0 を利用し、①申請電子データのみを含めた eCTD と、②申請電子データ以外の CTD 文書を含めた eCTD を分けて提出する場合は、②に対して①を先行して提出してください。詳細は、「電子化コモン・テクニカル・ドキュメント(eCTD)による承認申請について」(平成 29 年 7 月 5 日付け薬生薬審発 0705 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知)の別紙 1「ICH 電子化コモン・テクニカル・ドキュメント(eCTD) v4.0 の国内実装について」を</p> | <p>A: eCTD と申請電子データの提出日が異なることは差し支えありません。</p> <p>eCTD v3.2.2 を利用する場合、提出の順番に規定はありません。</p> <p>eCTD v4.0 を利用し、①申請電子データのみを含めた eCTD と、②申請電子データ以外の CTD 文書を含めた eCTD を分けて提出する場合は、②に対して①を先行して提出してください。詳細は、「電子化コモン・テクニカル・ドキュメント(eCTD)による承認申請について」(平成 29 年 7 月 5 日付け薬生薬審発 0705 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知)の別紙 1「ICH 電子化コモン・テクニカル・ドキュメント(eCTD) v4.0 の国内実装について」を</p> |

| | 参照してください。 | ご参照ください。 |
|--------|--|---|
| Q2-4 | Q2-4: <u>申請電子データを eCTD の XML メッセージから参照する場合以外において、申請電子データに変更(追加、置換、削除)がある場合、その都度 eCTD を改訂する必要があるのでしょうか。</u> | Q2-4: 申請電子データに変更(追加、置換、削除)がある場合、その都度 eCTD を改訂する必要があるのでしょうか。 |
| Q2-6 | Q2-6: 技術的ガイド 5.5②「eCTD 改訂時に提出する申請電子データ」に「既提出の申請電子データとの差分のみを提出する。」とありますが、例えば 24 週時点までの臨床試験成績の <u>申請電子データ</u> を申請時に提出し、同一臨床試験の 52 週時点までの <u>申請電子データ</u> を審査中に提出する場合に、差分のみを提出するというのは困難な場合があります。このようなケースにおいて、どのように申請電子データの差分を提出すべきでしょうか。 | Q2-6: 技術的ガイド 5.5 ③「eCTD 改訂時に提出する申請電子データ」に「既提出の申請電子データとの差分のみを提出する。」とありますが、例えば 24 週時点までの臨床試験成績の電子データを申請時に提出し、同一臨床試験の 52 週時点までの電子データを審査中に提出する場合に、差分のみを提出するというのは困難な場合があります。このようなケースにおいて、どのように申請電子データの差分を提出すべきでしょうか。 |
| Q3-3 | A: ゲートウェイシステムのトップページに掲載している問い合わせ票内に問合せ先の窓口メールアドレスが記載されていますのでご確認ください。 <u>ゲートウェイシステムにログイン後であれば、操作マニュアルに従いシステムのお問合せ機能から問い合わせすることも可能です。</u> なお、ヘルプデスクの受付時間により、返信に時間を要する可能性がありますのでご了承ください。 | A: ゲートウェイシステムのトップページに掲載している問い合わせ票内に問合せ先の窓口メールアドレスが記載されていますのでご確認ください。なお、ヘルプデスクの受付時間により、返信に時間を要する可能性がありますのでご了承ください。 |
| Q3-4 | Q3-4: <u>ゲートウェイ申請において、ゲートウェイシステムから提出可能な電子ファイルは何でしょうか。</u> | Q3-4: ゲートウェイシステムから提出可能な電子ファイルは何でしょうか。 |
| Q3-4-1 | A: 通知等により書面提出が必要とされている文書については、従来どおり書面の提出が必要となります。また、通知等により申請に際し提出することとされていた文書の提出時期について、申請前にゲートウェイシステムを利用して当該電子ファイルを提出することは差し支えありません。 | A: 通知等により書面提出が必要とされている文書については、従来どおり書面の提出が必要となります。また、通知等により申請に際し提出することとされていた文書の提出時期について、承認申請前にゲートウェイシステムを利用して当該電子ファイルを提出することは差し支えありません。 |

| | | |
|-------|---|---|
| Q3-7 | <p>Q3-7: 試験データを格納する場合のフォルダ構造に関して、技術的ガイド 3.5 において、<u>[study id / iss / ise]</u>とありますが、具体的には何でしょうか。</p> <p>A: <u>[study id / iss / ise]</u>は、申請者が各臨床試験に対して設定した ID を指します。当該 ID は各試験を一意に識別できる試験番号又は解析の種別であれば申請者が自由に決めることができますが、<u>eCTD を提出する場合であり、かつ申請電子データを eCTD の XML メッセージから参照する場合以外は、eCTD の M5 の総括報告書のフォルダ名と同一の名称にしてください。</u></p> | <p>Q3-7: 技術的ガイド 3.5 について、<u>[study id / iss / ise]</u>とは具体的には何でしょうか。</p> <p>A: 申請者が各臨床試験に対して設定した ID を指します。当該 ID は各試験を一意に識別できる試験番号又は解析の種別であれば申請者が自由に決めることができますが、<u>実務的通知の別紙に示す「コモン・テクニカル・ドキュメントの電子化仕様の取扱いについて(平成 16 年 5 月 27 日付け薬食審査発第 0527004 号 厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知)別紙 1」の改正に示すとおり、別途提出する eCTD の M5 の総括報告書のフォルダ名と同一の名称にしてください。</u></p> |
| Q3-8 | <p>Q3-8: 各種電子ファイルを<u>送信</u>する際に、当該電子ファイルを暗号化する必要はあるでしょうか。</p> <p>A: <u>電子ファイルの送信経路は、システムにより自動的に暗号化されますので、申請者側で電子ファイルを暗号化する必要はありません。</u></p> | <p>Q3-8: 各種電子ファイルを<u>転送</u>する際に、当該電子ファイルを暗号化する必要はあるでしょうか。</p> <p>A: <u>電子データの転送経路は、システムにより自動的に暗号化されますので、申請者側で電子ファイルを暗号化する必要はありません。</u></p> |
| Q3-12 | <p>A: <u>ファイルサイズの上限については申請電子データシステムの操作マニュアルを参照してください。</u></p> | <p>A: <u>1 回の提出操作で送信可能な容量は合計 100GB となります。上限値を超える電子ファイルの提出を予定されている場合は、新医薬品承認審査予定事前面談等でご説明ください。</u> <u>また、電子ファイルの種類や提出経路毎に、ゲートウェイシステムで送信可能な 1 ファイルのサイズ上限の一覧を表 3-12 に示します。</u></p> <p>表 3-12 ゲートウェイシステムで提出可能なファイルサイズ</p> |

| | | |
|--------------|---|--|
| <p>Q3-13</p> | <p>Q3-13: <u>提出可能な電子ファイルサイズの上限を超えた場合の対応方法を教えてください。</u></p> <p>A: 1ファイルのサイズが上限値を超える場合の対処方法について、以下に例示します。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ ファイル圧縮する: (例)「その他」ファイルを zip 化してサイズを縮小し提出する。その際、暗号化はしない。 ・ 他の提出経路を用いる: (例)照会回答の添付ファイルが上限値を超える場合に、「その他」ファイルとして提出する。 ・ ファイルをページで区切って作成する: (例)eCTD の PDF ファイルが上限値を超える場合、文書の途中でファイルを分けて上限値以下のファイルを複数作成する。 <p><u>申請電子データに含まれる PDF ファイル、eCTD、添加物換算係数 CSV、「その他」ファイル、及び照会事項回答として提出するファイル</u>において、上記の方法では対応が困難な場合は、ファイルを分割してそれぞれ送信してください。その際、ファイル復元(結合)方法を併せて遅滞なく PMDA に連絡してください。</p> | <p>Q3-13: <u>提出可能な電子ファイルサイズの上限を超えた場合は、ファイルを分割する必要がありますか？</u></p> <p>A: 1ファイルのサイズが上限値を超える場合の対処方法について、以下に例示します。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ ファイル圧縮する: (例)「その他」ファイルを zip 化してサイズを縮小し提出する。その際、暗号化はしない。 ・ 他の提出経路を用いる: (例)照会回答の添付ファイルが上限値を超える場合に、「その他」ファイルとして提出する。 ・ ファイルをページで区切って作成する: (例)eCTD の PDF ファイルが上限値を超える場合、文書の途中でファイルを分けて上限値以下のファイルを複数作成する。 <p><u>前項の表 3-12 項番 2、4、5、6 及び 7</u>において、上記の方法では対応が困難な場合は、ファイルを分割してそれぞれ送信してください。その際、ファイル復元(結合)方法を併せて遅滞なく PMDA に連絡してください。</p> |
| <p>Q3-15</p> | <p>A: システムの健全性を保つため、適宜メンテナンスを実施することとしています。これらは事前に計画されるものですので、4 週間前を目処に<u>ゲートウェイシステムのトップページ</u>にてお知らせいたします。なお、<u>トップページ</u>を含むシステムダウンが発生し、上記連絡手段が</p> | <p>A: システムの健全性を保つため、適宜メンテナンスを実施することとしています。これらは事前に計画されるものですので、4 週間前を目処に<u>申請電子データホームページ</u>にてお知らせいたします。なお、<u>ホームページ</u>を含むシステムダウンが発生し、上記連絡手段</p> |

| | | |
|-------|--|---|
| | 使用できない場合は PMDA の WEB サイト (https://www.pmda.go.jp/)にて情報提供を行います。 | が使用できない場合は PMDA の WEB サイト (http://www.pmda.go.jp/)にて情報提供を行います。 |
| Q3-18 | <p>Q3-18: <u>ゲートウェイ申請</u>において、承認申請書の FD 申請データを、ゲートウェイシステムを用いて提出し、ウイルスチェック及びバリデーションは完了した後に、承認申請書の <u>PMDA</u> 窓口提出時に FD 申請データを含めた承認申請書の修正が求められる場合がありますか。</p> <p>A: あります。その場合は、<u>申請電子データシステム</u>の操作マニュアルに従い修正した FD 申請データを、ゲートウェイシステムで提出してください。その後、同内容の承認申請書を窓口提出してください。</p> | <p>Q3-18: 承認申請書の FD 申請データを、ゲートウェイシステムを用いて提出し、ウイルスチェック及びバリデーションは完了した後に、承認申請書の窓口提出時に FD 申請データを含めた承認申請書の修正が求められる場合がありますか。</p> <p>A: あります。その場合は、操作マニュアルに従い修正した FD 申請データを、ゲートウェイシステムで提出してください。その後、同内容の承認申請書を窓口提出してください。</p> |
| Q3-20 | <p>Q3-20: 申請後に追加で<u>申請電子データ</u>のデータセットを提出する場合の提出方法及び留意点を示してください。</p> <p>A: 申請後の<u>申請電子データ</u>のデータセットの追加提出の方法及び手段は、以下が考えられます。</p> <p><追加提出の方法></p> <ul style="list-style-type: none"> ・新たなデータセットを追加提出する ・既提出のデータセット中の情報を追加(又は情報を更新)しデータセットを置換する <p><追加提出の手段></p> <ul style="list-style-type: none"> ・CTD/eCTD を改訂する <p>申請後に申請電子データを追加提出する際は、いずれの方法・手段の場合でも、<u>先の提出時と同様に技術的ガイド 3.5 に提示しているフォルダ構造にデータセットを格納し、ゲートウェイシステムの操作マニ</u></p> | <p>Q3-20: <u>承認申請</u>後に追加で <u>CDISC 準拠データ</u>のデータセットを提出する場合の提出方法及び留意点を示してください。</p> <p>A: <u>承認申請</u>後の <u>CDISC 準拠データ</u>のデータセットの追加提出の方法及び手段は、以下が考えられます。</p> <p><追加提出の方法></p> <ul style="list-style-type: none"> ・新たなデータセットを追加提出する ・既提出のデータセット中の情報を追加(又は情報を更新)しデータセットを置換する <p><追加提出の手段></p> <ul style="list-style-type: none"> ・CTD/eCTD を改訂する ・<u>照会事項回答の添付資料とする</u> <p><u>承認申請</u>後に申請電子データを追加提出する際は、いずれの方法・手段の場合でも、ゲートウェイシステムの操作マニュアルに記載のと</p> |

| | | |
|-------|--|--|
| | <p>ュアルに記載のとおりの手順で、ゲートウェイシステムを通じて、追加又は変更のあったデータセットを提出することになります。また、<u>変更があった特定の SDTM ドメインや ADaM データセットのみではなく、データセットの追加・変更に伴って追加・変更が発生した文書等（データセットに付随して提出すべき文書や解析用プログラム等）があれば、それらも併せてご提出ください。</u></p> <p>なお、PMDA 側ではデータ受領のタイミング毎に上位フォルダを分けて管理しています。したがって、追加提出データを既提出フォルダと同じ名称のフォルダに格納して提出したとしても、既提出の申請電子データは追加提出データで上書きされることはなく、バージョン管理されることとなります。</p> <p>申請後に継続している臨床試験の申請電子データを審査期間中に追加提出してもらうことを一律には求めませんが、審査をするうえで追加提出が望ましい場合もありますので、追加提出の可否や提出時点については審査チームと相談してください。</p> | <p>おりの手順で、ゲートウェイシステム上の「<u>試験データ提出<改訂提出></u>」画面を通じて、追加又は変更のあったデータセットを提出することになります。また、データセットの追加・変更に伴って追加・変更が発生した文書等（データセットに付随して提出すべき文書や解析プログラム等）があれば、それらも併せてご提出ください。</p> <p>なお、PMDA 側ではデータ受領のタイミング毎に上位フォルダを分けて管理しています。したがって、追加提出データを既提出フォルダと同じ名称のフォルダに格納して提出したとしても、既提出の申請電子データは追加提出データで上書きされることはなく、バージョン管理されることとなります。</p> <p><u>承認申請後に継続している臨床試験の申請電子データを審査期間中に追加提出してもらうことを一律には求めませんが、審査をするうえで追加提出が望ましい場合もありますので、追加提出の可否や提出時点については審査チームと相談してください。</u></p> |
| Q3-23 | Q3-23: 複数の試験の申請電子データを1回の操作で1度に提出可能でしょうか。 | Q3-23: <u>技術的ガイドに記載されているように、m5 フォルダの下で複数の試験の電子データをそれぞれの study ID のフォルダに分けて格納すれば、複数の試験の電子データを1回の操作で1度に提出可能でしょうか。</u> |
| Q3-24 | Q3-24: <u>ゲートウェイ申請において、承認申請にあたり、やむを得ない事情により、ゲートウェイシステムで提出する予定であった電子ファイルを、PMDA 窓口提出に切替えて提出する予定です。その際の留意点を教えてください。</u> | Q3-24: <u>実務的通知 Q&A 問 4 に関連して、承認申請にあたり、やむを得ない事情により、ゲートウェイシステムで提出する予定であった電子ファイルを、PMDA 窓口提出に切替えて提出する予定です。その際の留意点を教えてください。</u> |

A: ゲートウェイシステムを用いて電子ファイルの送付を試みたものの、やむを得ない事情によりPMDA 窓口提出に切替える場合は、以下の点に留意する必要があります。

(事前提出時)

- ・ ゲートウェイシステムを用いた申請予告は行うようにしてください。
- ・ 提出予告情報の「提出方法」欄は、「ゲートウェイ」を選択してください。
- ・ 申請予定日 2 勤務日前までに、ヘルプデスクに、担当審査部と品目名、窓口提出への切替え希望である旨、及び記録媒体の窓口提出希望日(遅くとも申請予定日の 1 勤務日前まで)を連絡し、代行登録の了承を得てください。連絡の際、記録媒体が 2 枚以上にわたる場合はその旨も連絡してください。なお、窓口提出への切替え希望を宣言した後も、窓口への提出日まではなるべくゲートウェイ提出を試みるようにしてください。また、申請予定日の 1 勤務日前に窓口へ提出する場合は、受付処理のために、なるべく午前中に提出するようにしてください。
- ・ 窓口提出の際には、ゲートウェイ提出する予定であった申請資料を格納した記録媒体及び申請予告受付票(紙)を準備し、審査業務部業務第一課に持参又は郵送して提出してください。記録媒体の表面には、ゲートウェイ受付番号、申請者名、販売名及び申請予定日を、申請予告受付票(紙)には赤字で代行と記載してください。取違えのリスクを防ぐため、受

A: ゲートウェイシステムを用いて電子ファイルの送付を試みたものの、やむを得ない事情によりPMDA 窓口提出に切替える場合は、以下の点に留意する必要があります。

(事前提出時)

- ・ ゲートウェイシステムを用いた申請予告は行うようにしてください。
- ・ 提出予告情報の「提出方法」欄は、「ゲートウェイ」を選択してください。
- ・ 申請予定日 2 勤務日前までに、ヘルプデスクに、担当審査部と品目名、窓口提出への切替え希望である旨、及び記録媒体の窓口提出希望日(遅くとも申請予定日の 1 勤務日前まで)を連絡し、代行登録の了承を得てください。連絡の際、記録媒体が 2 枚以上にわたる場合はその旨も連絡してください。なお、窓口提出への切替え希望を宣言した後も、窓口への提出日まではなるべくゲートウェイ提出を試みるようにしてください。また、申請予定日の 1 勤務日前に窓口へ提出する場合は、受付処理のために、なるべく午前中に提出するようにしてください。
- ・ 窓口提出の際には、ゲートウェイ提出する予定であった申請資料を格納した記録媒体及び申請予告受付票(紙)を準備し、審査業務部業務第一課に持参又は郵送して提出してください。記録媒体の表面には、ゲートウェイ受付番号、申請者名、販売名及び申請予定日を、申請予告受付票(紙)には赤字で代行と記載してください。取違えのリスクを防ぐため、受

| | | |
|--|--|---|
| | <p>付票がない場合等、品目が特定できない場合は記録媒体を受領できないことに留意してください。なお、電子ファイルの窓口提出にあたっては、審査業務部業務第一課に事前に連絡する必要はありません。</p> <ul style="list-style-type: none"> FD 申請データ、eCTD、申請電子データ及びその他資料について、複数種類を提出する場合は、それぞれ記録媒体を<u>分けて</u>提出してください。なお、ゲートウェイシステムにより送信可能であった種類の資料については窓口提出せず、送信できなかった種類の資料のみを窓口提出してください。また、申請電子データ以外の電子ファイルについて、複数種類を窓口提出する場合は、一度に纏めて提出してください。 複数品目を同時申請する場合は、FD 申請データのファイル名と品目名が一意に紐付けられる情報(対応表)をご提示ください。 eCTD を DVD に保存して提出する場合、複数枚に分割して保存しても差し支えありません。ただし、多層ディスクを利用する等媒体は可能な限り 1 枚に収めてください。なお、<u>eCTD 受付番号を再度取得する必要はなく、申請予告時に取得したものを</u>用いてください。 申請電子データは、複数枚の記憶媒体に分割して提出された場合に PMDA 側で本来のフォルダ構造を再現すること、及び再現できたかを確認することが困難であることから、BD(多層ディスクを含む。)を利用する等し、原則として 1 枚に収めてください。なお、二層式の DVD-R や多層式の BD-R/RE 等を | <p>付票がない場合等、品目が特定できない場合は記録媒体を受領できないことに留意してください。なお、電子ファイルの窓口提出にあたっては、審査業務部業務第一課に事前に連絡する必要はありません。</p> <ul style="list-style-type: none"> FD 申請データ、eCTD、申請電子データ及びその他資料について、複数種類を提出する場合は、それぞれ記録媒体を<u>わけて</u>提出してください。なお、ゲートウェイシステムにより送信可能であった種類の資料については窓口提出せず、送信できなかった種類の資料のみを窓口提出してください。また、申請電子データ以外の電子ファイルについて、複数種類を窓口提出する場合は、一度に纏めて提出してください。 複数品目を同時申請する場合は、FD 申請データのファイル名と品目名が一意に紐付けられる情報(対応表)をご提示ください。 eCTD を DVD に保存して提出する場合、複数枚に分割して保存しても差し支えありません。ただし、多層ディスクを利用する等媒体は可能な限り 1 枚に収めてください。 申請電子データは、複数枚の記憶媒体に分割して提出された場合に PMDA 側で本来のフォルダ構造を再現すること、及び再現できたかを確認することが困難であることから、BD(多層ディスクを含む。)を利用する等し、原則として 1 枚に収めてください。なお、二層式の DVD-R や多層式の BD-R/RE 等を用いた場合であっても 1 枚に収まらない場合は、個別に相 |
|--|--|---|

| | | |
|-------|--|---|
| | <p>用いた場合であっても 1 枚に収まらない場合は、個別に相談してください。</p> <ul style="list-style-type: none"> eCTD の XML メッセージから参照する場合を除き、申請電子データ提出に際して、臨床試験データ(申請電子データ)の提出内容を示す<u>タブ区切り形式(TSV ファイル)</u>の提出が必須となるため、臨床試験データ提出内容を示す TSV ファイルを作成し、「m5」フォルダと同パスに配置して提出してください。なお、TSV ファイルの作成方法については、PMDA の WEB サイト(https://www.pmda.go.jp/)に別途掲載するので参照するとともに、<u>技術的ガイド 3.5 に定めるデータセットのファイル名に係る規定に従い任意のファイル名を付与してください。</u> <p>(申請予定日)</p> <ul style="list-style-type: none"> 事前に、PMDA が承認申請に併せて提出すべき全ての電子ファイルについて、ウイルスチェックにより当該ファイルに感染等の問題がないことを確認し、<u>FD 申請データのバリデーションに問題がないことが確認された場合、その確認が完了した旨の連絡をいたします。</u>当該連絡後に、書面で提出すべき申請書類を審査業務部業務第一課に持参又は郵送して提出してください。 | <p>談してください。</p> <ul style="list-style-type: none"> 申請電子データ提出に際して、臨床試験データ(申請電子データ)の提出内容を示す TSV ファイルの提出が必須となるため、<u>技術的ガイド 3.7 に示すとおり、臨床試験データ提出内容をタブ区切り形式(TSV ファイル)で作成し、「m5」フォルダと同パスに配置して提出してください。</u> <p>(申請予定日)</p> <ul style="list-style-type: none"> 事前に、PMDA が承認申請に併せて提出すべき全ての電子ファイルについて、ウイルスチェックにより当該ファイルに感染等の問題がないことを確認し、その確認が完了した旨の連絡をいたします。当該連絡後に、書面で提出すべき申請書類を審査業務部業務第一課に持参又は郵送して提出してください。 |
| Q3-28 | <p>Q3-28: <u>ゲートウェイ申請において、FD 申請ソフトで FD 申請データを提出用に出力する場合、以下の二つの出力の形式が選択可能ですが、ゲートウェイシステムで提出する場合の出力方法をどうすればよいでしょうか。</u></p> | <p>Q3-28: FD 申請ソフトで FD 申請データを提出用に出力する場合、以下の二つの出力の形式が選択可能ですが、ゲートウェイシステムで提出する場合の出力方法をどうすればよいでしょうか。</p> <ul style="list-style-type: none"> CD-R 焼込用ファイル出力 |

| | <ul style="list-style-type: none"> CD-R 焼込用ファイル出力 オンライン申請用出力 | <ul style="list-style-type: none"> オンライン申請用出力 |
|-------|--|--|
| Q3-29 | <p>Q3-29: <u>PMDA</u> 窓口で電子ファイルを提出する場合、TSV ファイルの不備により、申請が受け付けられないケースはありますか。</p> <p>A: はい、TSV ファイルの不備により申請が受け付けられないケースはあります。申請電子データが窓口提出された場合、PMDA でゲートウェイシステムを用い、①TSV ファイルの取込み、②TSV ファイル(同時に提出される申請電子データのフォルダ構造との整合性を含む。)の検証及び保存を行い、問題なければ③申請電子データの登録の操作を行います。ご質問の「TSV ファイルの不備」が TSV ファイルの取込み時又は検証機能により検出されるものである場合、これらの操作時にエラーが生じることから申請電子データの登録操作が完了せず、<u>ウイルスチェックが完了した状態にならないため</u>、申請を受け付けることができません。</p> | <p>Q3-29: 窓口で電子ファイルを提出する場合、TSV ファイルの不備により、<u>承認申請</u>が受け付けられないケースはありますか。</p> <p>A: はい、TSV ファイルの不備により申請が受け付けられないケースはあります。申請電子データが窓口提出された場合、PMDA でゲートウェイシステムを用い、①TSV ファイルの取込み、②TSV ファイル(同時に提出される申請電子データのフォルダ構造との整合性を含む。)の検証及び保存を行い、問題なければ③申請電子データの登録の操作を行います。ご質問の「TSV ファイルの不備」が TSV ファイルの取込み時又は検証機能により検出されるものである場合、これらの操作時にエラーが生じることから申請電子データの登録操作が完了せず、<u>実務的通知 2.(3)に示す電子ファイルが到着した状態にならないため</u>、<u>承認申請</u>を受け付けることができません。</p> |
| Q3-33 | <p>Q3-33: <u>申請電子データ通知 Q&A 問 7</u>に関連して、新医薬品の承認申請や再審査申請に先立って申請電子データを提出する場合、提出する申請電子データの形式や提出方法について、教えてください。</p> <p>A: 相談時等に任意で申請電子データを提出する場合、以下の点に留意してください。</p> <ul style="list-style-type: none"> 申請電子データの提出対象となる試験・解析については、事前に審査部と相談してください。 総括報告書が提出される資料搬入予定日の 5 週間前から資 | <p>Q3-33: <u>実務的通知 Q&A 問 19</u>に関連して、新医薬品の承認申請や再審査申請に先立って申請電子データを提出する場合、提出する申請電子データの形式や提出方法について、教えてください。</p> <p>A: 相談時等に任意で申請電子データを提出する場合、以下の点に留意してください。</p> <ul style="list-style-type: none"> 申請電子データの提出対象となる試験・解析については、事前に審査部と相談してください。 総括報告書が提出される資料搬入予定日の 5 週間前から資 |

料搬入予定日までの期間に、申請電子データを次世代評価手法推進部に提出してください。その際、ゲートウェイシステムを用いず、記録媒体で提出してください。

- ・ 申請電子データの提出前に行われる事前面談等に際して、最終版の「申請電子データに係る説明資料(Form A)」を提出する必要があります。具体的な提出時期や方法については個別に相談が可能ですが、遅くとも申請電子データ提出前日までに最終版の Form A を提出してください。

- ・ 申請電子データ提出前に、事前に次世代評価手法推進部の代表電話番号に、担当分野と品目名(又は相談受付番号)を連絡した上で、記録媒体提出日の日程調整をしてください。

- ・ 申請電子データ提出日には、受付票(紙:FAQ 別添のフォーマット参照)と申請電子データを記録した媒体を持参又は郵送にて次世代評価手法推進部に提出してください。記録媒体の表面には、相談区分、相談者名、受付番号、販売名(一般名)及び資料搬入日を記載してください。

■ 受付票

- ・ 申請電子データは、複数枚の記憶媒体に分割して提出された場合に PMDA 側で本来のフォルダ構造を再現すること、及び再現できたかを確認することが困難であることから、BD(多層ディスクを含む。)を利用する等し、原則として 1 枚に収めてください。なお、二層式の DVD-R や多層式の BD-R/RE 等を用いた場合であっても 1 枚に収まらない場合は、個別に相談してください。

料搬入予定日までの期間に、申請電子データを次世代評価手法推進部に提出してください。その際、ゲートウェイシステムを用いず、記録媒体で提出してください。

- ・ 電子データの提出前に、最終版の「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」をメール等で担当審査部に提出してください。なお、電子データ提出日までに Form A の内容について申請者と PMDA で合意に至っている必要があるため、電子データの提出を予定する日の 2 週間程度前までを目安に、Form A の最終版又は修正版を提出することが望ましいです。

- ・ 申請電子データ提出前に、事前に次世代評価手法推進部の代表電話番号に、担当分野と品目名(又は相談受付番号)を連絡した上で、記録媒体提出日の日程調整をしてください。

- ・ 申請電子データ提出日には、受付票(紙:FAQ 別添のフォーマット参照)と申請電子データを記録した媒体を持参又は郵送にて次世代評価手法推進部に提出してください。記録媒体の表面には、相談区分、相談者名、受付番号、販売名(一般名)及び資料搬入日を記載してください。

■ 受付票

- ・ 申請電子データは、複数枚の記憶媒体に分割して提出された場合に PMDA 側で本来のフォルダ構造を再現すること、及び再現できたかを確認することが困難であることから、BD(多層ディスクを含む。)を利用する等し、原則として 1 枚に収めてください。なお、二層式の DVD-R や多層式の BD-R/RE 等を用

| | | |
|------|---|--|
| | <ul style="list-style-type: none"> 申請電子データ提出に際して、臨床試験データの提出内容を示す<u>タブ区切り形式(TSVファイル)</u>の提出が必須となるため、臨床試験データ提出内容を示すTSVファイルを作成し、「m5」フォルダと同パスに配置して提出してください。なお、TSVファイルの作成方法については、PMDAのWEBサイト(https://www.pmda.go.jp/)に別途掲載するので参照するとともに、<u>技術的ガイド3.5に定めるデータセットのファイル名に係る規定に従い任意のファイル名を付与してください。</u> 総括報告書を格納するフォルダ名は試験データを格納するフォルダ名[<i>study id / iss / ise</i>]と同一にし、総括報告書を格納するフォルダと試験データを格納するフォルダについて、それぞれに格納する情報を1対1で対応させてください。 提出する申請電子データのファイルサイズは<u>申請電子データシステムの操作マニュアルに記載の情報を参照し</u>、フォルダ構造は<u>技術的ガイド3.5で規定する方法に準じてください。</u> | <p>いた場合であっても1枚に収まらない場合は、個別に相談してください。</p> <ul style="list-style-type: none"> 申請電子データ提出に際して、臨床試験データの提出内容を示すTSVファイルの提出が必須となるため、<u>技術的ガイド3.7に示すとおり</u>、臨床試験データ提出内容を<u>タブ区切り形式(TSVファイル)</u>で作成し、「m5」フォルダと同パスに配置して提出してください。 総括報告書を格納するフォルダ名は試験データを格納するフォルダ名[<i>study id / iss / ise</i>]と同一にし、総括報告書を格納するフォルダと試験データを格納するフォルダについて、それぞれに格納する情報を1対1で対応させてください。 提出する申請電子データのファイルサイズ、フォルダ構造は、<u>技術的ガイド3で規定する方法に準じてください。</u> |
| Q4-2 | <p>Q4-2:A: 申請時に受け付けたバージョンでの提出が基本となります。既に提出している申請電子データの差分を提出する場合は、既提出のバージョンに揃えてください。</p> <p>また、バージョンの重複期間中に申請(初回の提出)をした以下のようなケースでは、申請時に利用した<u>バリデーションルールに含まれていた新しい規格のバージョン</u>で提出することも可能です。</p> <ul style="list-style-type: none"> 追加で新規の申請電子データを提出する場合 既提出の申請電子データについて差分も含め全てを新しいバージョンで作成しなおして提出するような場合 | <p>Q4-2:A : 申請時に受け付けたバージョンでの提出が基本となります。既に提出している申請電子データの差分を提出する場合は、既提出のバージョンに揃えてください。</p> <p>また、バージョンの重複期間中に申請(初回の提出)をした以下のようなケースでは、申請時に受け付け可能であった<u>新しいバージョン</u>で提出することも可能です。</p> <ul style="list-style-type: none"> 追加で新規の申請電子データを提出する場合 既提出の申請電子データについて差分も含め全てを新しいバージョンで作成しなおして提出するような場合 |

| | | |
|------|---|---|
| | 詳細は図 4-2 を参照してください。 | 詳細は図 4-2 をご参照ください。 |
| Q4-3 | <p>Q4-3:PMDA で実施する CDISC 標準に準拠したデータに対するバリデーションの対象範囲を示してください。</p> <p>A: PMDA では、SDTM データセット及び ADaM データセット、並びにデータセットの定義書、統制用語及び外部辞書の内容を対象として、CDISC 標準に準拠したデータに対するバリデーションを実施します。日本語を含むデータセットが併せて提出される場合には、日本語を含むデータセットはバリデーションの対象とはせず、対応する英数字のデータセットのみをバリデーションの対象とします。</p> | <p>Q4-3:PMDA で実施する CDISC 標準データに対するバリデーションの対象範囲を示してください。</p> <p>A: PMDA では、SDTM データセット及び ADaM データセット、並びにデータセットの定義書、統制用語及び外部辞書の内容を対象として、CDISC 標準データに対するバリデーションを実施します。日本語を含むデータセットが併せて提出される場合には、日本語を含むデータセットはバリデーションの対象とはせず、対応する英数字のデータセットのみをバリデーションの対象とします。</p> |
| Q4-4 | <p>Q4-4:統合解析 (ISS/ISE)に関する申請電子データの提出すべき内容を示してください。</p> <p>A: <u>ISS/ISE に関する申請電子データの提出に際しては、統合解析に用いられたデータセットに加えて、データセットの定義書及び解析プログラム(又はプログラム仕様書)を提出する必要があります。</u>また、データガイドも原則として提出する必要がありますが、ISS/ISE に関する申請電子データの提出形式によっては提出しないことでも受け入れ可能な場合があります。提出すべきファイルの種類等の詳細に関して確認したい場合は医薬品申請電子データ提出方法相談において相談してください。</p> | <p>Q4-4:<u>どのような場合に統合解析 (ISS/ISE)に関する電子データの提出が必要となるのでしょうか。また、ISS/ISE に関する電子データの提出範囲を示してください。</u></p> <p>A: <u>実務的通知1. (2)にあるとおり、特別な集団の評価やまれな有害事象の特徴の把握といった特定の有効性、安全性の評価のために複数の臨床試験の統合解析が実施され、その結果が申請品目の有効性、安全性及び用法・用量の評価にあたり重要な根拠資料の位置づけとなる場合に、ISS/ISE に関する電子データの提出が必要となります。</u>なお、提出要否の判断には科学的評価を伴うため、治験相談において相談してください。</p> <p>提出に際しては、統合解析に用いられたデータセットに加えて、データセットの定義書及び解析プログラム(又はプログラム仕様書)を提出する必要があります。また、データガイドも原則として提出する必</p> |

| | | |
|-------------|---|---|
| | | <p>要がありますが、ISS/ISE に関する電子データの提出形式によっては提出しないことでも受け入れ可能な場合があります。提出すべきファイルの種類等の詳細に関して確認したい場合は医薬品申請電子データ提出方法相談において相談してください。</p> |
| <p>Q4-6</p> | <p>A: Trial Design Modelに格納されるデータについては、日本語を英語に変換した場合に損なわれる情報は大きくないと考えられます。よって、治験実施計画書等が日本語で作成されている場合にも、各情報を英語に変換した上で格納する必要があります。</p> <p>SDTM の作成にあたり、SDTM IG v3.1.3 以降に基づく場合は、TS ドメインに Required 又は Conditionally Required に分類されるパラメータを含めてください。SDTM IG v3.1.2 に基づく場合は、SDTM IG の 7.6.2-4 項を参考に格納可能なパラメータを含めてください。統制用語、及び ISOコードを用いるパラメータには、適切なコード値を格納してください。Registry Identifier には、CLINICALTRIALS.GOV、EUDRAC、又は JAPIC、<u>jRCT</u> 等の登録番号を格納してください。UNII、NDF-RT、<u>MED-RT</u>、DUNS、SNOMED CT を用いるパラメータは、申請者が使用可能なコードの値のみを格納することで差し支えありません。統制用語、ISO コード以外のコードを用いるパラメータ及びコードの関係を表 4-6 に示します。</p> <p style="text-align: center;">表 4-6 TSドメインのパラメータに対応するコード、及び WEB サイト</p> | <p>A: Trial Design Model に格納されるデータについては、日本語を英語に変換した場合に損なわれる情報は大きくないと考えられます。よって、治験実施計画書等が日本語で作成されている場合にも、各情報を英語に変換した上で格納する必要があります。</p> <p>SDTM の作成にあたり、SDTM IG v3.1.3 以降に基づく場合は、TS ドメインに Required 又は Conditionally Required に分類されるパラメータを含めてください。SDTM IG v3.1.2 に基づく場合は、SDTM IG の 7.6.2-4 項を参考に格納可能なパラメータを含めてください。統制用語、及び ISO コードを用いるパラメータには、適切なコード値を格納してください。Registry Identifier には、CLINICALTRIALS.GOV、EUDRAC、又は JAPIC 等の登録番号を格納してください。UNII、NDF-RT、DUNS、SNOMED CT を用いるパラメータは、申請者が使用可能なコードの値のみを格納することで差し支えありません。統制用語、ISO コード以外のコードを用いるパラメータ及びコードの関係を表 4-6 に示します。</p> <p style="text-align: center;">表 4-6 TSドメインのパラメータに対応するコード、及び WEB サイト</p> |

| TSPARMCD | TSPARAM | コード | WEB サイト | TSPARMCD | TSPARAM | コード | WEB サイト |
|----------|--|-----------------------|---|----------|--|------------|---|
| CURTRT | Current Therapy or Treatment | UNII | FDA Substance Registration System https://fdasis.nlm.nih.gov/srs/srs.jsp | CURTRT | Current Therapy or Treatment | UNII | FDA Substance Registration System https://fdasis.nlm.nih.gov/srs/srs.jsp |
| TRT | Investigational Therapy or Treatment | UNII | FDA Substance Registration System https://fdasis.nlm.nih.gov/srs/srs.jsp | TRT | Investigational Therapy or Treatment | UNII | FDA Substance Registration System https://fdasis.nlm.nih.gov/srs/srs.jsp |
| PCLAS | Pharmacological Class of Invest. Therapy | NDF-RT/ <u>MED-RT</u> | NCI Term Browser https://nciternms.nci.nih.gov/ncitbrowser/pages/multiple_search.jsf ; | PCLAS | Pharmacological Class of Invest. Therapy | NDF-RT | NCI Term Browser https://nciternms.nci.nih.gov/ncitbrowser/pages/multiple_search.jsf ; |
| REGID | Registry Identifier | CLINICALTR | ClinicalTrials | REGID | Registry Identifier | CLINICALTR | ClinicalTrial |

| | | | | | | | | | |
|--|---------|------------------------|-------------|--|--|---------|------------------------|--|---|
| | | | IALS.GOV | .gov https://clinicaltrials.gov/ | | | IALS.GOV | s.gov https://clinicaltrials.gov/ | |
| | | | EUDRAC | EU Clinical Trials Register https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search | | | EUDRAC | EU Clinical Trials Register https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search | |
| | | | JAPIC | JAPIC Clinical Trials Information https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp | | | JAPIC | JAPIC Clinical Trials Information https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp | |
| | | | <u>IRCT</u> | https://irct.nih.gov.ip/ | | | | | |
| | SPONSOR | Clinical Study Sponsor | DUNS | 東京商工リサーチ | | SPONSOR | Clinical Study Sponsor | DUNS | 東京商工リサーチ https://duns- |

| | | | | | | | | |
|------|--|--|--|---|--|--|--|--|
| | | | | https://duns-number-jp.tsr-net.co.jp/search/jpn/login.asp | | | | number-jp.tsr-net.co.jp/search/jpn/login.asp |
| Q4-7 | <p>Q4-7: 申請電子データ通知 4(2)エに「<u>薬剤</u>については <u>WHODrug Global</u> を使用」とありますが、<u>WHODrug Global</u> の利用を必須とするものの背景を説明してください。また、SDTM の CM ドメインへの <u>WHODrug Global</u> データの格納方法について例示してください。</p> <p>A: 臨床試験データの国際的標準化の推進と、将来的に予定している品目横断的解析の実施のため、申請時に提出する申請電子データにおいては共通して <u>WHODrug Global</u> を利用することを求めます。なお、<u>WHODrug Global</u> の内容を網羅した上で、<u>WHODrug Global</u> に存在しないものについては独自のコード等を使用することは可能ですが、その場合、一部で独自のコード等を使用した旨をデータガイドで説明してください。</p> <p>SDTM の CM ドメインへの <u>WHODrug Global</u> の各項目の格納方法の例を表 4-7 に示します。なお、<u>WHODrug Global</u> の ATC コードも可能な限り格納してください。また、併用薬剤の使用目的を収集していない等の理由で <u>WHODrug Global</u> の ATC コードを一意に特定できない場合、単一の ATC コードのみを格納するのではなく、該当する全ての ATC コードを、Supplemental Qualifier special-purpose</p> | | | | <p>Q4-7: 実務的通知3. (1)ウに「<u>薬剤コード</u>としては the WHO Drug Dictionaries Drug Code (WHO DDs)を利用すること」とありますが、<u>WHO DDs</u> の利用を必須とするものの背景を説明してください。また、SDTM の CM ドメインへの <u>WHO DDs</u> データの格納方法について例示してください。</p> <p>A: 臨床試験データの国際的標準化の推進と、将来的に予定している品目横断的解析の実施のため、申請時に提出する申請電子データにおいては共通して <u>WHO DDs</u> を利用することを求めます。なお、<u>WHO DDs</u> の内容を網羅した上で、<u>WHO DDs</u> に存在しないものについては独自のコード等を使用することは可能ですが、その場合、一部で独自のコード等を使用した旨をデータガイドで説明してください。</p> <p>SDTM の CM ドメインへの <u>WHO DDs</u> の各項目の格納方法の例を表 4-7 に示します。なお、<u>WHO DDs</u> の ATC コードも可能な限り格納してください。また、併用薬剤の使用目的を収集していない等の理由で <u>WHO DDs</u> の ATC コードを一意に特定できない場合、単一の ATC コードのみを格納するのではなく、該当する全ての ATC コード</p> | | | |

dataset を用いて格納してください。

表 4-7 CMドメインと WHODrug Global の関連

| Variable Name | Variable Label | <u>WHODrug Global</u> |
|---------------|------------------------------|-----------------------|
| CMDECOD | Standardized Medication Name | Generic name |
| CMCLAS | Medication Class | ATC text |
| CMCLASC D | Medication Class Code | ATC code |

を、Supplemental Qualifier special-purpose dataset を用いて格納してください。

表 4-7 CMドメインと WHO DDs の関連

| Variable Name | Variable Label | <u>WHO DDs</u> |
|---------------|------------------------------|-----------------------------|
| CMDECOD | Standardized Medication Name | <u>WHO DDs</u> Generic name |
| CMCLAS | Medication Class | <u>WHO DDs</u> ATC text |
| CMCLASC D | Medication Class Code | <u>WHO DDs</u> ATC code |

Q4-8

Q4-8: 申請電子データ通知 4(2)エに「慣例的に使用されている単位によりデータが取得されている場合には、SI 単位への変換が可能なものは、SDTM データセット内に標準単位による値として SI 単位に変換後の値を別途格納して提出すること」とありますが、SI 単位への変換対象となる変数の範囲を示してください。また、SI 単位以外の単位のデータが取得された場合における、取得された単位のデータと SI 単位データ(変換後)のそれぞれの SDTM への格納方法を示してください。

A: SDTM のデータセットのうち、Findings クラスのドメインに格納される検査項目に係る全ての変数及びパラメータについて、SI 単位が設定されているものについては SI 単位での格納を求めます。ただし、慣例単位として mmHg を使用してデータが取得されている検査

Q4-8: 実務的通知3. (1)ウに「慣例的に使用されている単位によりデータが取得されている場合には、SI 単位への変換が可能なものについては、SDTM データセット内に標準単位による値として SI 単位に変換後の値を別途格納して提出すること」とありますが、SI 単位への変換対象となる変数の範囲を示してください。また、SI 単位以外の単位のデータが取得された場合における、取得された単位のデータと SI 単位データ(変換後)のそれぞれの SDTM への格納方法を示してください。

A: SDTM のデータセットのうち、Findings クラスのドメインに格納される検査項目に係る全ての変数及びパラメータについて、SI 単位が設定されているものについては SI 単位での格納を求めます。ただし、慣例単位として mmHg を使用してデータが取得されている検査

項目(血圧等)については、SI 単位への変換をせず、mmHg によるデータのみを SDTM に格納することで差し支えありません。

取得された単位のデータと SI 単位のデータを併せて SDTM に格納する場合は、SI 単位のデータは--STRESC(必要に応じて--STRESN)に格納することとし、取得された単位のデータは--ORRES に格納してください。また、データガイド又はデータセットの定義書において取得された単位のデータ及び SI 単位のデータそれぞれの格納方法と単位間の変換式を説明してください。

また、例えば多施設共同試験や国際共同試験にて施設や地域毎に異なる測定単位でデータを取得する等、同一パラメータ(検査項目)内で複数の単位でデータが取得される場合があります。その際は、必要に応じて SI 単位以外の単位で統一したデータを SUPP--に格納することは可能です。

＜慣例単位データ及び SI 単位データの SDTM への格納方法の例＞

【例】国内の慣例単位の値と国外の慣例単位の値が存在する場合
--ORRES 及び SUPP--に国内の慣例単位の値及び国外の慣例単位の値をそれぞれ格納する。SI 単位の値は--STRESC(必要に応じて--STRESN)に格納する。

項目(血圧等)については、SI 単位への変換をせず、mmHg によるデータのみを SDTM に格納することで差し支えありません。

取得された単位のデータと SI 単位のデータを併せて SDTM に格納する場合は、SI 単位のデータは--STRESC(必要に応じて--STRESN)に格納することとし、取得された単位のデータは--ORRES に格納してください。また、データガイド又はデータセットの定義書において取得された単位のデータ及び SI 単位のデータそれぞれの格納方法と単位間の変換式を説明してください。

また、例えば多施設共同試験や国際共同試験にて施設や地域毎に異なる測定単位でデータを取得する等、同一パラメータ(検査項目)内で複数の単位でデータが取得される場合があります。その際は、必要に応じて SI 単位以外の単位で統一したデータを SUPP--に格納することは可能です。

慣例単位データ及び SI 単位データの SDTM への格納方法の例

【例 1】国内の慣例単位の値と国外の慣例単位の値が存在する場合
--ORRES 及び SUPP--に国内の慣例単位の値及び国外の慣例単位の値をそれぞれ格納する。SI 単位の値は--STRESC(必要に応じて--STRESN)に格納する。

【例 2】臨床検査値において中央測定値と院内測定値が存在する場合

--ORRES 及び SUPP--に中央測定値及び院内測定値をそれぞれ格納する。SI 単位の値は各パラメータで 1 つの単位に統一した上で変

| | | |
|-------|--|---|
| | | 換し、--STRESC(必要に応じて--STRESN)に格納する。 |
| Q4-9 | <p>A: 申請電子データの提出にあたっては、英数字のみからなるデータセットを提出することを基本としてください。言語間で情報を損なうことなく適切な翻訳(解析帳票上の日本語から英語への変換)が可能な変数であれば、申請時に提出するデータセットには英語を格納し、英数字のみのデータセットを提出することで構いません。このとき、解析帳票作成時に利用したデータセットと英数字のみのデータセットとの間のトレーサビリティを説明する観点、<u>あるいは</u>、審査において参考となる資料を提出するとの観点から、英数字のみのデータセットに加えて、翻訳された英数字による値の代わりに解析帳票作成時に利用した翻訳前の日本語が格納されたデータセットを併せて提出することは可能です。一方、日本語から英語に変換する際に一定の情報が損なわれる恐れのある場合は、技術的ガイド 4.1.5 に従い申請電子データを提出してください。なお、データセット作成時に言語間の翻訳がなされた時は、その旨データガイドで説明してください。</p> | <p>A: 申請電子データの提出にあたっては、英数字のみからなるデータセットを提出することを基本としてください。言語間で情報を損なうことなく適切な翻訳(解析帳票上の日本語から英語への変換)が可能な変数であれば、申請時に提出するデータセットには英語を格納し、英数字のみのデータセットを提出することで構いません。このとき、解析帳票作成時に利用したデータセットと英数字のみのデータセットとの間のトレーサビリティを説明する観点、<u>或いは</u>、審査において参考となる資料を提出するとの観点から、英数字のみのデータセットに加えて、翻訳された英数字による値の代わりに解析帳票作成時に利用した翻訳前の日本語が格納されたデータセットを併せて提出することは可能です。一方、日本語から英語に変換する際に一定の情報が損なわれる恐れのある場合は、技術的ガイド 4.1.5 に従い申請電子データを提出してください。なお、データセット作成時に言語間の翻訳がなされた時は、その旨データガイドで説明してください。</p> |
| Q4-13 | <p>Q4-13:「解析アルゴリズムの分かる仕様書等」に記載すべき内容の例を示してください。</p> <p>A: 「解析アルゴリズムの分かる仕様書等」には、解析対象となるデータセット及び変数と解析手法の詳細を具体的に記載してください。</p> | <p>Q4-13: <u>明示的なプログラムの作成を必要としない解析ソフトウェアを用いた場合は、操作ログの提出をもってプログラムの代わりとしてもよいでしょうか、あるいは、「解析アルゴリズムの分かる仕様書等の提出」が別途必要となるのでしょうか。また、「解析アルゴリズムの分かる仕様書等」に記載すべき内容の例を示してください。</u></p> <p>A: <u>操作ログに基づき解析アルゴリズムが分かる場合は、操作ログの提出をもってプログラムの代わりとすることが可能です。一方、操作ログのみでは解析アルゴリズムが分からない可能性がある場合、</u></p> |

| | | |
|-------|---|---|
| | | 「プログラム自体の提出が困難な場合」となると判断し、「解析アルゴリズムの分かる仕様書等の提出」が別途必要となります。「解析アルゴリズムの分かる仕様書等」には、解析対象となるデータセット及び変数と解析手法の詳細を具体的に記載してください。 |
| Q4-15 | <p>Q4-15: 統合解析 (ISS/ISE) に関する申請電子データを提出する場合のデータの格納先のフォルダを示してください。</p> <p>A: 基本的には、統合解析の対象となる複数の試験のデータを 1 つに統合し、各解析について 1 つの解析データセットが提出されることを想定していますが、各試験のデータセットをプログラムにより統合して解析を実施している場合には、各試験のデータセット及び統合の過程を含むプログラムを提出することも可能です。なお、統合解析用のデータセットは、統合されているか試験毎かにかかわらず、「iss / ise」フォルダに格納してください。</p> | <p>Q4-15: 統合解析 (ISS/ISE) に関する電子データを提出する場合のデータの格納先のフォルダを示してください。</p> <p>A: 基本的には、統合解析の対象となる複数の試験のデータを 1 つに統合し、各解析について 1 つの解析データセットが提出されることを想定していますが、各試験のデータセットをプログラムにより統合して解析を実施している場合には、各試験のデータセット及び統合の過程を含むプログラムを提出することも可能です。なお、<u>フォルダ名は eCTD の総括報告書が入っているフォルダ名と一致させる必要があるため</u>、統合解析用のデータセットは、統合されているか試験毎かにかかわらず、「iss / ise」フォルダに格納してください。</p> |
| Q4-19 | <p>Q4-19: <u>技術的ガイド 4.1.1.4 に「データセット作成時に用いられた文字セット又は符号化方式をデータガイドに含めること」とありますが</u>、申請時に提示すべき文字セット及び符号化方式の情報の具体例を示してください。</p> <p>A: データセットの作成者が意図した文字を特定するため、使用された文字セット又は符号化方式の情報が必要となります。 データガイドに記載されるべき文字セット情報の例 【文字セット】JISX0208 【符号化方式】Shift-JIS</p> | <p>Q4-19: 「<u>データセット作成時に用いられた文字セット又は符号化方式をデータガイドに含めること(技術的ガイド 4.1.1.4)</u>」とありますが、申請時に提示すべき文字セット及び符号化方式の情報の具体例を示してください。</p> <p>A: データセットの作成者が意図した文字を特定するため、使用された文字セット又は符号化方式の情報が必要となります。 データガイドに記載されるべき文字セット情報の例 【文字セット】JISX0208 【符号化方式】Shift-JIS</p> |

| | 【文字セット】JISX0208 【文字セット】UNICODE | 【符号化方式】EUC-JP 【符号化方式】UTF-8 | 【文字セット】JISX0208 【文字セット】UNICODE(USC-2) | 【符号化方式】EUC-JP 【符号化方式】UTF-8 |
|-------|---|---|--|---|
| Q4-20 | Q4-20: 中間解析結果に基づき申請する場合、中間解析のためのカットオフ時点以降、申請時までに入手したデータも申請時に提出するデータに含めてもよいでしょうか。 | A: 中間解析結果に基づき申請をする場合、提出する申請電子データに中間解析時のカットオフ時点までのデータは必ず含める必要がありますが、それに加えてカットオフ時点以降のデータを含めることも可能です。例えば、中間解析後一定期間が経過してから申請される場合等では、中間解析以降のデータを含めて申請することが有用と判断される場合があります。中間解析以降のデータを含めて申請する際には、カットオフ時点までのデータとそれ以降のデータのいずれかが明確になるようにし、当該データの取扱いについて、データガイドにおいて説明してください。 | Q4-20: 中間解析結果に基づき承認申請する場合、中間解析のためのカットオフ時点以降、承認申請時までに入手したデータも申請時に提出するデータに含めてもよいでしょうか。 | A: 中間解析結果に基づき承認申請をする場合、提出する申請電子データに中間解析時のカットオフ時点までのデータは必ず含める必要がありますが、それに加えてカットオフ時点以降のデータを含めることも可能です。例えば、中間解析後一定期間が経過してから申請される場合等では、中間解析以降のデータを含めて申請することが有用と判断される場合があります。中間解析以降のデータを含めて申請する際には、カットオフ時点までのデータとそれ以降のデータのいずれかが明確になるようにし、当該データの取扱いについて、データガイドにおいて説明してください。 |
| Q4-22 | Q4-22: SDTM データセット、ADaM データセットを格納するフォルダに、CDISC 標準に準拠していないデータセットやデータセット以外のファイルを格納して提出することは可能でしょうか。 | A: SDTM データセット、ADaM データセットを格納するフォルダには、CDISC 標準に準拠した SAS XPORT 形式のデータセットに加えて、データセットに付随する XML 形式の定義書及びスタイルシート並びに PDF 形式の文書等を格納し提出することは可能ですが、csv ファイル、定義書以外の XML 形式のファイル、CDISC 標準に準拠して | Q4-22: SDTM データセット、ADaM データセットを格納するフォルダに、CDISC 標準に準拠していないデータセットやファイルを格納して提出することは可能でしょうか。 | A: SDTM データセット、ADaM データセットを格納するフォルダには、CDISC 標準に準拠した SAS XPORT 形式のデータセットに加えて、データセットに付随する XML 形式の定義書及びスタイルシート並びに PDF 形式の文書等を格納することは可能ですが、csv ファイル、定義書以外の XML 形式のファイル、CDISC 標準に準拠してい |

| | | |
|-------|---|--|
| | いない SAS XPORT 形式のデータセットを格納して提出することはできません。 | ない SAS XPORT 形式のデータセットは格納しないでください。 |
| Q4-23 | Q4-23: <u>申請電子データ通知 4(2)エ</u> に「単位については SI 単位を使用することを原則とする。」とありますが、SI 単位による値を格納するにあたり、PMDA が許容可能と考える SI 単位の範囲やその他の留意事項があれば示してください。 | Q4-23: <u>実務的通知 3. (1). ウ</u> に「単位については SI 単位を使用することが推奨される。」とありますが、SI 単位による値を格納するにあたり、PMDA が許容可能と考える SI 単位の範囲やその他の留意事項があれば示してください。 |
| Q4-24 | Q4-24: 中間解析が実施された臨床試験について、最終解析時のデータに加えて中間解析に関するデータの提出も必要とされる場合があるでしょうか。また、申請時に最終解析時のデータに加えて、中間解析に関するデータを併せて提出する場合の提出方法及び留意点を示してください。 A: 申請電子データの提出対象となる試験において、当該試験の中間解析の結果に基づき試験の中止／継続、重要な試験デザインの変更の可否や変更内容等に関する判断をした場合、申請時には最終解析時（もしくは申請の根拠となる最終のカットオフ時）のデータと併せて中間解析に用いた解析データセットの提出を求めることがあります。中間解析時の解析データセット及び解析用プログラムを提出する際は、解析データセットの定義書とともに「misc」フォルダに格納し、中間解析に用いた解析データセットを提出する旨を「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」及びデータガイドで説明してください。また、中間解析の実施に際し中間解析用の SDTM を作成しない場合は中間解析時点の SDTM の提出は不要です。中間解析時のデータ提出の可否や、提出範囲等については、治験相談において相談 | Q4-24: 中間解析が実施された臨床試験について、最終解析時のデータに加えて中間解析に関するデータの提出も必要とされる場合があるでしょうか。また、承認申請時に最終解析時のデータに加えて、中間解析に関するデータを併せて提出する場合の提出方法及び留意点を示してください。 A: 申請電子データの提出対象となる試験において、当該試験の中間解析の結果に基づき試験の中止／継続、重要な試験デザインの変更の可否や変更内容等に関する判断をした場合、承認申請時には最終解析時（もしくは承認申請の根拠となる最終のカットオフ時）のデータと併せて中間解析に用いた解析データセットの提出を求めることがあります。中間解析時の解析データセット及び解析プログラムを提出する際は、解析データセットの定義書とともに「misc」フォルダに格納し、中間解析に用いた解析データセットを提出する旨を「 <u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u> 」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」及びデータガイドで説明してください。また、中間解析の実施に際し中間解析用の SDTM を作成しない場合は中間解析時点の SDTM の提出は不要です。中間解析時 |

| | | |
|--------------|---|---|
| | <p>してください。</p> | <p>の電子データ提出の要否や、提出範囲等については、治験相談において相談してください。</p> |
| <p>Q4-25</p> | <p>Q4-25: <u>申請電子データ通知 3(3)</u>に「長期投与試験の実施中に申請される場合、中間解析結果に基づき申請される場合等には、申請後に提出される当該臨床試験のデータは、既に提出されたデータに追加分のデータを含む形で提出すること。」とありますが、試験番号の異なる複数の試験間で継続している長期投与時のデータを集計する場合(例: 第Ⅲ相試験(試験番号 001)完了後、引き続き継続投与試験(試験番号 002)に組み入れられた同一症例のデータを 2 試験間にわたり集計する場合。なお、第Ⅲ相試験のデータは申請時に提出済)、どのようにフォルダ名を規定してデータを追加提出すればよいでしょうか。</p> <p>A: Q4-25 のような状況で申請後にデータを追加提出する場合、追加提出データ(試験番号 001 と 002 の併合)は試験番号 002 のフォルダに格納して提出してください。なお、申請後の CDISC <u>標準に準拠したデータのデータセットの追加提出方法及び手段</u>については Q3-20 に対する回答もあわせて参照してください。</p> <p>複数試験間の併合データにおいては、データセット上でいずれの試験に由来するデータなのか分かるようにしてください。また、データガイドにおいては、複数試験間の集計データを追加提出する旨とデータの集計方法、及び追加提出データにおける継続投与試験からの新規症例の組み入れの有無等をはじめとした留意点について説明してください。データの集計方法や提出方法の詳細については、必要</p> | <p>Q4-25: <u>実務的通知 2. (6)</u>に「長期投与試験の実施中に承認申請される場合、中間解析結果に基づき承認申請される場合等には、承認申請後に提出される当該臨床試験のデータは、既に提出されたデータに追加分のデータを含む形で提出すること。」とありますが、試験番号の異なる複数の試験間で継続している長期投与時のデータを集計する場合(例: 第Ⅲ相試験(試験番号 001)完了後、引き続き継続投与試験(試験番号 002)に組み入れられた同一症例のデータを 2 試験間にわたり集計する場合。なお、第Ⅲ相試験のデータは承認申請時に提出済)、どのようにフォルダ名を規定して電子データを追加提出すればよいでしょうか。</p> <p>A: Q4-25 のような状況で承認申請後に電子データを追加提出する場合、追加提出データ(試験番号 001 と 002 の併合)は試験番号 002 のフォルダに格納して提出してください。なお、承認申請後の CDISC <u>準拠データのデータセットの追加提出方法及び手段</u>については Q3-20 に対する回答もあわせてご参照ください。</p> <p>複数試験間の併合データにおいては、データセット上でいずれの試験に由来するデータなのか分かるようにしてください。また、データガイドにおいては、複数試験間の集計データを追加提出する旨とデータの集計方法、及び追加提出データにおける継続投与試験からの新規症例の組み入れの有無等をはじめとした留意点について説明してください。データの集計方法や提出方法の詳細については、必要</p> |

| | | |
|-------|---|--|
| | <p>に応じて医薬品申請電子データ提出方法相談において相談してください。</p> | <p>必要に応じて医薬品申請電子データ提出方法相談において相談してください。</p> |
| Q4-27 | <p>Q4-27: 同一試験内又は同一解析内において、複数のバージョンの CDISC 標準、統制用語(以下「CDISC Controlled Terminology」という。)や外部辞書を用いた場合に留意する点がありますか。</p> <p>A: 同一試験内又は同一解析内で使用する CDISC 標準のバージョンについては、申請電子データ通知 4(2)オにおいて、「同一臨床試験内及び同一解析内では統一したバージョンを用いること。同一臨床試験内又は同一解析内において他のバージョンを用いている部分がある場合には、データガイドにおいて、その使用の理由等とともに説明すること。」としているところです。ゲートウェイシステムでは、データセットの定義書に記載された CDISC 標準及び MedDRA、並びにゲートウェイシステムに登録された CDISC Controlled Terminology 等の単一バージョンを適用し、バリデーションが実施されます。したがって、申請者においてもデータセットの定義書に記載する SDTM IG、ADaM IG 及び MedDRA のバージョン、並びにゲートウェイシステムに登録予定の CDISC Controlled Terminology 等のバージョンを適用してバリデーションを実施し、必要なデータ修正又は説明をする必要があります。</p> <p>「申請電子データに係る説明資料(Form A)」においては、データ作成に用いた全ての標準・辞書のバージョンを「データセット作成時に使用した標準とバージョン」項の「バージョン」欄に記載してください。また、同項の「備考」欄にバリデーションに用いた標準、CDISC</p> | <p>Q4-27: 同一試験において、複数のバージョンの CDISC 標準、統制用語(以下「CDISC Controlled Terminology」という。)や外部辞書を用いた場合に留意する点がありますか。</p> <p>A: 同一試験内で使用する CDISC 標準のバージョンについては、<u>実務的通知</u>において、「同一臨床試験内では統一したバージョンを用いること。同一臨床試験内において他のバージョンを用いている部分がある場合には、データガイドにおいて、その使用の理由とともに説明すること。」としているところです。ゲートウェイシステムでは、データセットの定義書に記載された CDISC 標準及び MedDRA、並びにゲートウェイシステムに登録された CDISC Controlled Terminology 等の単一バージョンを適用し、バリデーションが実施されます。したがって、申請者においてもデータセットの定義書に記載する SDTM IG、ADaM IG 及び MedDRA のバージョン、並びにゲートウェイシステムに登録予定の CDISC Controlled Terminology 等のバージョンを適用してバリデーションを実施し、必要なデータ修正又は説明をする必要があります。</p> <p>「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」においては、データ作成に用いた全ての標準・辞書のバージョンを「使用した標準とバージョン」項の「バージョン」欄に記載してください。また、同項の「備考」欄にバリデーションに用いた標準、CDISC Controlled Terminology や外部辞</p> |

| | | |
|-------|---|---|
| | Controlled Terminology や外部辞書のバージョンが分かるように記載してください。 | 書のバージョンが分かるように記載してください。 |
| Q4-28 | <p>A: 以下のように対応してください。</p> <ul style="list-style-type: none"> 申請電子データ提出時の「試験データ提出」画面の「Terminology」欄にはバリデーションに適用した CDISC Controlled Terminology のバージョンを記載してください。 「申請電子データに係る説明資料(Form A)」の「データセット作成時に使用した標準とバージョン」の項の「バージョン」欄にはデータセット作成時の CDISC Controlled Terminology のバージョンを記載してください。また、同項の「備考」欄にはバリデーション時に適用した CDISC Controlled Terminology のバージョンが分かるように記載してください。 <p>データガイドにおいても同様に、データセット作成とバリデーション実施に際して適用したバージョンが異なる旨、及びそれぞれのバージョンを記載してください。</p> | <p>A: 以下のように対応してください。</p> <ul style="list-style-type: none"> 申請電子データ提出時の「試験データ提出」画面の「Terminology」欄にはバリデーションに適用した CDISC Controlled Terminology のバージョンを記載してください。 「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」の「データセット作成時に使用した標準とバージョン」の項の「バージョン」欄にはデータセット作成時の CDISC Controlled Terminology のバージョンを記載してください。また、同項の「備考」欄にはバリデーション時に適用した CDISC Controlled Terminology のバージョンが分かるように記載してください。 <p>データガイドにおいても同様に、データセット作成とバリデーション実施に際して適用したバージョンが異なる旨、及びそれぞれのバージョンを記載してください。</p> |
| Q4-29 | <p>Q4-29: 医療用医薬品名データファイル(IDF)を用いて薬剤のコーディングを行い、Cross Reference Tool Japan(以下「CRT Japan」という。)を使用して <u>WHODrug Global</u> データに変換した上で、SDTM に格納する予定です。CRT Japan で変換された薬剤名等の情報以外は、それらの情報を格納する変数を空欄で提出することで差し支えないでしょうか。</p> | <p>Q4-29: 医療用医薬品名データファイル(IDF)を用いて薬剤のコーディングを行い、Cross Reference Tool Japan(以下「CRT Japan」という。)を使用して <u>WHO DDs</u> データに変換した上で、SDTM に格納する予定です。CRT Japan で変換された薬剤名等の情報以外は、それらの情報を格納する変数を空欄で提出することで差し支えないでしょうか。</p> |
| Q4-31 | <p>A: 基本的には、eCTD の M5 の総括報告書及び試験データについて、追加提出時に別途新規のデータとして、新たなフォルダ [<u>study id</u></p> | <p>A: 基本的には、eCTD の M5 の総括報告書及び試験データについて、追加提出時に別途新規のデータとして、新たなフォルダに格納</p> |

| | | |
|--------------|--|---|
| | <p><u>/iss / ise]</u>に格納することでも、既に提出されていたものを差し換えて既存のフォルダ <u>[study id / iss / ise]</u>に格納することでも提出可能です。しかしながら、いずれの方法がより望ましいかは、試験デザインや個別の試験における総括報告書及びデータの作成方法に依存する場合もあると考えられるため、提出方法については必要に応じて医薬品申請電子データ提出方法相談等で相談してください。</p> | <p>することでも、既に提出されていたものを差し換えて既存のフォルダに格納することでも提出可能です。しかしながら、いずれの方法がより望ましいかは、試験デザインや個別の試験における総括報告書及びデータの作成方法に依存する場合もあると考えられるため、提出方法については必要に応じて医薬品申請電子データ提出方法相談等で相談してください。<u>なお、基本的には承認申請時点及び追加提出時点のいずれにおいても、eCTD の M5 の総括報告書を格納するフォルダと試験データを格納するフォルダについて、フォルダ構造及びそれぞれに格納する情報を 1 対 1 で対応させることが必要です。</u></p> |
| <p>Q4-32</p> | <p>Q4-32: <u>申請電子データ通知 Q&A の問 15</u>に関連して、CDISC 標準以外の形式の臨床試験の申請電子データを提出する場合、提出内容及び提出方法を教えてください。また、CDISC 標準以外の形式の<u>申請電子データ</u>を提出する場合は、該当する試験や提出内容について、事前に PMDA に相談することと記載されていますが、対面助言において CDISC 標準以外の形式の<u>申請電子データ</u>の提出内容を事前に相談する場合、どの相談で何を説明すればよいでしょうか。</p> <p>A: CDISC 標準以外の形式の臨床試験の申請電子データを提出する場合、少なくとも、CRF 等により収集されたデータが格納された臨床試験データ(CDISC 標準に準拠する場合の SDTM データセットに相当する情報)、CTD に記載の解析結果を求めるための解析データセット、<u>解析用プログラム及びデータセット定義書</u>に相当するデータを提出する必要があります。そのため、CDISC 標準以外の形式の<u>申請電子データ</u>の提出内容を事前に相談する場合、医薬品申請電子</p> | <p>Q4-32: <u>基本的通知 Q&A の問 10</u>に関連して、CDISC 標準以外の形式の臨床試験の申請電子データを提出する場合、提出内容及び提出方法を教えてください。また、CDISC 標準以外の形式の電子データを提出する場合は、該当する試験や提出内容について、事前に PMDA に相談することと記載されていますが、対面助言において CDISC 標準以外の形式の電子データの提出内容を事前に相談する場合、どの相談で何を説明すればよいでしょうか。</p> <p>A: CDISC 標準以外の形式の臨床試験の申請電子データを提出する場合、少なくとも、CRF 等により収集されたデータが格納された臨床試験データ(CDISC 標準に準拠する場合の SDTM データセットに相当する情報)、CTD に記載の解析結果を求めるための解析データセット、<u>解析プログラム及びデータセット定義書</u>に相当する電子データを提出する必要があります。そのため、CDISC 標準以外の形式の電子データの提出内容を事前に相談する場合、医薬品申請電</p> |

| | | |
|-------|--|--|
| | <p>データ提出免除相談を利用し、相談時には、当該内容を説明するようにしてください。<u>また、Annotated CRF やデータガイドに相当する情報の有無と提出の可否についても説明してください。</u>なお、CDISC 標準以外の臨床試験の申請電子データについては、技術的ガイド 3.5 に示すフォルダ構造の legacy フォルダに格納してください。</p> <p>また、CDISC 標準以外の形式の臨床試験の標準的な薬物動態解析については、「申請電子データに係る説明資料(Form B)」の「5.2 臨床薬理領域の標準的な薬物動態解析又は薬力学解析」の項に記載してください。</p> | <p>子データ提出免除相談を利用し、相談時には、当該内容を説明するようにしてください。なお、CDISC 標準以外の臨床試験の申請電子データについては、技術的ガイド 3.5 に示すフォルダ構造の legacy フォルダに格納してください。</p> <p>また、CDISC 標準以外の形式の臨床試験の標準的な薬物動態解析については、「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8-2 付録「申請電子データに係る説明資料(Form B)」の「5.2 臨床薬理領域の標準的な薬物動態解析又は薬力学解析」の項に記載してください。</p> |
| Q4-33 | <p>Q4-33:再審査時に提出が求められている製造販売後臨床試験の申請電子データについて、<u>再審査申請に先立ち、PMDA によるバリデーション結果に従い適切に対応したデータを提出していたが、当該データの作成に用いた規格のバージョンが、再審査申請時に PMDA で受入れ可能な規格一覧のバージョンに含まれていなかった場合、当該データを再度修正して提出する必要がありますか。また、提出時に使用したバリデーションルールの受付が再審査申請時に終了して選べない場合、必要な対応はありますか。</u></p> <p>A: ご質問のような場合、提出データ自体に変更がないのであれば、基本的には、特段の追加の対応は必要ありません。</p> | <p>Q4-33:再審査時に提出が求められている製造販売後臨床試験の申請電子データを再審査申請に<u>先立って提出したが、当該データの作成に用いた規格のバージョンが、再審査申請時に PMDA で受入れ可能な規格一覧のバージョンに含まれていなかった場合、当該データを再度修正して提出する必要がありますか。</u></p> <p>A: ご質問のような場合は、<u>バージョンの違いにより生じたバリデーションルール違反のみ、当該データを再度修正せずに再審査申請時に提出することを受け入れます。ただし、当該違反に関しては、再審査申請に先立って再審査に係るスケジュール確認の場としての「医薬品再評価・再審査質問」を申込み、説明するようにしてください。</u></p> |
| Q4-34 | <p>Q4-34:申請電子データ通知 2(1)イに「承認事項一部変更承認申請等において、過去の承認取得時に既に申請電子データを提出済みの臨床試験等について改めて提出する必要はない。」とありますが、<u>先の申請において提出した臨床試験・解析に関する申請電子データ</u></p> | <p>Q4-34:基本的通知 Q&A 問 3 に関連して、<u>先の申請において提出した臨床試験・解析に関する電子データと同一のデータを、先の申請の承認前に後の申請で用いたい場合、再度提出する必要がありますか。提出する必要がある場合、先の申請で提出したデータの作</u></p> |

| | | |
|-------|---|---|
| | <p>と同一のデータを、先の申請の承認前に後の申請で用いたい場合、再度提出する必要がある場合があります。提出する必要がある場合、先の申請で提出したデータの作成に用いた規格のバージョンが、後の申請時に PMDA で受入れ可能な規格一覧のバージョンに含まれていなかった場合、同一のデータであっても再度修正して提出する必要がありますか。</p> <p>A: <u>申請電子データ通知 2(1)イ</u>に基づき、過去の承認申請において承認済みのデータと同一のデータを後の申請に用いる場合は、再度、同一のデータを提出する必要はありませんが、ご質問のように、後の申請の申請予定日が、先の申請の承認日より前であることが想定される場合は、先の申請において提出した臨床試験・解析に関する申請電子データと同一のデータであっても、後の申請において当該申請電子データを再度提出する必要があります。したがって、後の申請においても申請者において事前にバリデーションを実施し、必要な対応を行ってください。また、先の申請で提出したデータの作成に用いた規格のバージョンが、後の申請時に PMDA で受入れ可能な規格一覧のバージョンに含まれていなかった場合は、修正して提出する必要があります。</p> | <p>成に用いた規格のバージョンが、後の申請時に PMDA で受入れ可能な規格一覧のバージョンに含まれていなかった場合、同一のデータであっても再度修正して提出する必要がありますか。</p> <p>A: <u>基本的通知 Q&A 問3</u>に基づき、過去の承認申請において承認済みのデータと同一のデータを後の申請に用いる場合は、再度、同一の電子データを提出する必要はありませんが、ご質問のように、後の申請の申請予定日が、先の申請の承認日より前であることが想定される場合は、先の申請において提出した臨床試験・解析に関する電子データと同一のデータであっても、後の申請において当該電子データを再度提出する必要があります。したがって、後の申請においても申請者において事前にバリデーションを実施し、必要な対応を行ってください。また、先の申請で提出したデータの作成に用いた規格のバージョンが、後の申請時に PMDA で受入れ可能な規格一覧のバージョンに含まれていなかった場合は、修正して提出する必要があります。</p> |
| Q4-35 | <p>Q4-35: CDISC 標準以外の形式のデータを提出する場合、薬剤コードに <u>WHODrug Global</u>を使用する必要がありますか。</p> <p>A: <u>WHODrug Global</u>を使用する必要はありません。</p> | <p>Q4-35: CDISC 標準以外の形式のデータを提出する場合、薬剤コードに <u>WHO DDs</u>を使用する必要がありますか。</p> <p>A: <u>WHO DDs</u>を使用する必要はありません。</p> |
| Q5-2 | <p>A: 「医薬品の臨床薬物動態試験について」(平成 13 年 6 月 1 日付</p> | <p>A: 「医薬品の臨床薬物動態試験について」において、標準的な薬</p> |

| | | |
|------|---|---|
| | け医薬審発第 796 号)において、標準的な薬物動態試験法と定義されている方法により薬物動態が評価された試験を指します。 | 物動態試験法と定義されている方法により薬物動態が評価された試験を指します。 |
| Q5-3 | Q5-3: <u>申請電子データ通知 Q&A の問 10</u> について、「標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験」における、「個々の臨床試験データ」とは、どのようなデータを指すでしょうか。 | Q5-3: <u>実務的通知 Q&A の問 12</u> について、標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験における、「個々の臨床試験データ」とは、どのようなデータを指すでしょうか。 |
| Q5-4 | A: 母集団解析については、母集団解析用のデータセット等、母集団解析に関する申請電子データのみが提出対象となります。なお、母集団解析用のデータセットの作成に用いた個々の臨床試験が、 <u>申請電子データ通知 2(1)イ</u> に示されている申請電子データの提出の対象となる臨床試験に該当しない場合、当該試験の SDTM データセット、標準的な薬物動態解析の解析データセット、並びに有効性及び安全性解析に関するデータセットの提出は必要ありません。 | A: 母集団解析については、母集団解析用のデータセット等、母集団解析に関する申請電子データのみが提出対象となります。なお、母集団解析用のデータセットの作成に用いた個々の臨床試験が、 <u>基本的通知 2(2)及び実務的通知 1(1)</u> に示されている申請電子データの提出の対象となる臨床試験に該当しない場合、当該試験の SDTM データセット、標準的な薬物動態解析の解析データセット、並びに有効性及び安全性解析に関するデータセットの提出は必要ありません。 |
| Q5-5 | Q5-5: <u>申請電子データ通知 4(3)</u> に「解析計画書に定めた除外理由以外の理由で解析から除外したデータ(例えば、解析時に外れ値であると判断して除外したデータ等)については、フラグにより特定できるようにする等、解析における取扱いが明確になるよう配慮すること。」とありますが、最終のデータセット(外れ値等を除外したもの)と、説明用として外れ値等を除外せず、外れ値等のデータにフラグをつけた全データの入った 2 種類のデータセットを提出することで、除外したデータの解析における取扱いを説明することは可能でしょうか。 A: 可能です。また、 <u>申請電子データ通知 4(3)</u> の当該記載は、解析から除外したデータが明確になる方法でデータを提出してほしいとい | Q5-5: <u>実務的通知の 3. (2)イの③</u> に「解析計画書に定めた除外理由以外の理由で解析から除外したデータ(例えば、解析時に外れ値であると判断して除外したデータ等)については、フラグにより特定できるようにする等、解析における取扱いが明確になるよう配慮すること。」とありますが、最終のデータセット(外れ値等を除外したもの)と、説明用として外れ値等を除外せず、外れ値等のデータにフラグをつけた全データの入った 2 種類のデータセットを提出することで、除外したデータの解析における取扱いを説明することは可能でしょうか。 A: 可能です。また、 <u>実務的通知 3. (2)イの③</u> の当該記載は、解析 |

| | | |
|-------|--|---|
| | うことを意図しており、その他の方法でも、意図に沿う方法であれば提出することが可能です。 | から除外したデータが明確になる方法でデータを提出してほしいということを意図しており、その他の方法でも、意図に沿う方法であれば提出することが可能です。 |
| Q5-18 | <p>Q5-18: <u>申請電子データ通知 4(3)イ(イ)</u>について、モデル構築過程をトレースできるように、共変量探索やモデル評価に用いたプログラムや出力ファイルを提出する必要があるのでしょうか。</p> <p>A: <u>原則として基本モデル及び最終モデルが提出対象であり</u>、共変量探索やモデル評価に用いたプログラムや出力ファイルは基本的には提出不要です。ただし、共変量探索やモデル評価のプロセスが複雑であり、これらのファイルを提出することが解析方法を理解する上で有用と申請者が考える場合等では、これらのファイルを提出することは可能です。</p> | <p>Q5-18: <u>実務的通知 3(2)ウ②母集団解析(モデルに基づくシミュレーションを含む。)</u>について、モデル構築過程をトレースできるように、共変量探索やモデル評価に用いたプログラムや出力ファイルを提出する必要があるのでしょうか。</p> <p>A: 基本モデル及び最終モデルが<u>原則として提出対象であり</u>、共変量探索やモデル評価に用いたプログラムや出力ファイルは基本的には提出不要です。ただし、共変量探索やモデル評価のプロセスが複雑であり、これらのファイルを提出することが解析方法を理解する上で有用と申請者が考える場合等に、これらのファイルを提出することは可能です。</p> |
| Q5-19 | <p>Q5-19: <u>申請電子データ通知 4(3)イ(イ)</u>について、主要な結果が出力されたファイルを提出することとされていますが、主要な結果が解析報告書に記載されていた場合でも主要な結果が出力されたファイルを提出する必要がありますか。</p> <p>A: 主要な結果が解析報告書に記載されている場合に、別途主要な結果が出力されたファイルを提出する必要はありませんが、その旨を「申請電子データに係る説明資料(Form A)」に理由とともに記載してください。</p> | <p>Q5-19: <u>実務的通知 3(2)ウ②母集団解析(モデルに基づくシミュレーションを含む。)</u>について、主要な結果が出力されたファイルを提出することとされていますが、主要な結果が解析報告書に記載されていた場合でも主要な結果が出力されたファイルを提出する必要がありますか。</p> <p>A: 主要な結果が解析報告書に記載されている場合に、別途主要な結果が出力されたファイルを提出する必要はありませんが、その旨を「<u>対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知</u>」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」に理由とともに記載し</p> |

| | | |
|-------|--|--|
| | | てください。 |
| Q5-24 | A: 申請後に新たな変数を加えたデータセットの作成と提出を求めることは考えていません。しかしながら、相談時には、例えば小児に対する用法・用量を検討するのであれば、 <u>体重</u> や年齢の変数は加えてデータセットを作成する等、議論になる場合もあると考えています。 | A: 申請後に新たな変数を加えたデータセットの作成と提出を求めることは考えておりません。しかしながら、相談時には、例えば小児に対する用法・用量を検討するのであれば、年齢の変数は加えてデータセットを作成する等、議論になる場合もあると考えています。 |
| Q5-28 | Q5-28: 技術的ガイド 4.2.2.1 に、解析に関する詳細情報が、解析データセット自体に含まれる場合には、その旨を明示することで差し支えない旨の記載がありますが、当該事項を記載することが推奨される文書があれば教えてください。 A: 提出をお願いしている解析仕様書等、申請時に提出する文書中に記載してください。なお、提出する解析計画書等に当該解析情報が含まれる場合にも、その旨を解析仕様書等に記載してください。また、「申請電子データに係る説明資料(Form A)」にも記載してください。 | Q5-28: 技術的ガイド 4.2.3.1 に、解析に関する詳細情報が、解析データセット自体に含まれる場合には、その旨を明示することで差し支えない旨の記載がありますが、当該事項を記載することが推奨される文書があれば教えてください。 A: 提出をお願いしている解析仕様書等、申請時に提出する文書中に記載してください。なお、提出する解析計画書等に当該解析情報が含まれる場合にも、その旨を解析仕様書等に記載してください。また、「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」への記載もお願いします。 |
| Q5-30 | Q5-30: 標準的な薬物動態解析を実施した臨床試験について申請電子データを提出する場合、臨床薬理領域の解析に関する Analysis Results Metadata の提出対象となる解析の例を示してください。 A: 標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験について、ノンコンパートメント解析により薬物動態又は薬力学パラメータを算出する解析は、Analysis Results Metadata の提出対象となりません。一方、解析データセットの提出対象となる、薬物動態又は薬力学パラメ | Q5-30: 標準的な薬物動態解析を実施した臨床試験について申請電子データを提出する場合、臨床薬理領域の解析に関する <u>解析プログラム及び Analysis Results Metadata</u> の提出対象となる解析の例を示してください。 A: 標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験について、ノンコンパートメント解析により薬物動態又は薬力学パラメータを算出する解析は、 <u>解析プログラム及び Analysis Results Metadata</u> の提出対 |

| | | |
|-------|--|---|
| | <p>一々の統計学的な検討に用いた解析は、Analysis Results Metadataの提出が推奨されます。ただし、解析データセットをADaM以外の形式で提出する場合は、Analysis Results Metadataの提出は不要です。</p> | <p>象となりません。一方、解析データセットの提出対象となる、薬物動態又は薬力学パラメータの統計学的な検討に用いた解析は、<u>解析プログラムの提出対象となり、Analysis Results Metadataの提出が推奨されます。</u>ただし、解析データセットをADaM以外の形式で提出する場合は、Analysis Results Metadataの提出は不要です。</p> |
| Q5-31 | <p>Q5-31: <u>申請電子データ通知 Q&A 問 18</u>において、日本人と外国人の双方に対して実施された第 I 相試験及び<u>申請電子データ通知 2 (1)イ(ウ)</u>の資料のうち標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験について、必ずしも有効性及び安全性に関する解析データセットの提出を要しない場合があると記載されています。これらの試験の安全性評価に関して、臨床試験データ(SDTM 等)を用いて、有害事象や臨床検査値データの単純な集計のみ実施されており、解析データセットの形式(ADaM 等)に関わらず解析データセットが作成されていない場合、解析データセットを作成し提出することが必要となりますか。</p> | <p>Q5-31: <u>実務的通知 Q&A の問 11</u>において、日本人と外国人の双方に対して実施された第 I 相試験及び<u>基本的通知 2. (2)ウ</u>の資料のうち標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験について、必ずしも有効性及び安全性に関する解析データセットの提出を要しない場合があると記載されています。これらの試験の安全性評価に関して、臨床試験データ(SDTM 等)を用いて、有害事象や臨床検査値データの単純な集計のみ実施されており、解析データセットの形式(ADaM 等)に関わらず解析データセットが作成されていない場合、解析データセットを作成し提出することが必要となりますか。</p> |
| Q5-32 | <p>Q5-32: 技術的ガイド 4.2.2.1 に関連して、薬物動態又は薬物動態／薬力学に関する解析仕様書に準じて提出すべき情報を含む資料として、<u>Phoenix Projects (*.phxproj)の Text Output の Core output ファイル又は当該ファイル情報を含む Phoenix Projects (*.phxproj)を提出することは可能でしょうか。</u></p> <p>A: <u>可能です。</u></p> | <p>Q5-32: 技術的ガイド 4.2.3.1 項に関連して、薬物動態又は薬物動態／薬力学に関する解析仕様書に準じて提出すべき情報を含む資料として<u>例示されている Phoenix Projects (*.phxproj)の Text Output について、具体的にはどのファイルを提出すればよいですか。</u></p> <p>A: <u>Core output ファイルを提出してください。</u></p> |

(変更箇所は下線部)

3. 削除した質問

Q1-4、Q1-6-1、Q1-6-2、Q1-6-3、Q1-10、Q1-14、Q1-14-1、Q2-3、Q2-7、Q2-8、Q2-9、Q2-9-1、Q3-1、Q3-5、Q3-6、Q3-14、Q3-19、Q3-21、Q3-22、Q3-26、Q3-27、Q3-32、Q4-5、Q4-12、Q4-14、Q4-17、Q4-18、Q4-19-2、Q4-26、Q5-9、Q5-20、Q5-20-1、Q5-25、

| 連番 | |
|--------|---|
| Q1-4 | <p>Q1-4:ゲートウェイシステムを利用した承認申請において、申請電子データを提出せず eCTD のみを承認申請添付資料とする品目であっても、照会の回答をゲートウェイシステムから提出することは可能でしょうか。</p> <p>A: 可能です。なお、ゲートウェイシステムを利用せずに申請した品目については、照会の回答のみをゲートウェイシステムから提出することはできません。</p> |
| Q1-6-1 | <p>Q1-6-1:新医薬品承認審査予定事前面談までにデータセットの作成やバリデーションが完了していない場合等は、どのように対応すればよいでしょうか。</p> <p>A: 新医薬品承認審査予定事前面談後に、全ての臨床試験・解析についての Error の説明を含む「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」を提出する必要がありますので、新医薬品承認審査予定事前面談において、対応を個別にご相談ください。</p> |
| Q1-6-2 | <p>Q1-6-2:新医薬品承認審査予定事前面談までにデータセットの作成やバリデーションが完了していなかった場合や、新医薬品承認審査予定事前面談で提出した「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」に修正が必要となったため、新医薬品承認審査予定事前面談終了後に Form A を提出する場合の提出方法及び提出時期について教えてください。</p> <p>A: 新医薬品承認審査予定事前面談終了後に最終版又は修正版の Form A を提出する場合は、メール等で担当審査部に提出してください。なお、申請電子データ提出日までに Form A の内容について申請者と PMDA で合意に至っている必要があるため、申請電子データの提出を予定する日の 2 週間程度前までを目安に、Form A の最終版又は修正版を提出することが望ましいです。</p> |
| Q1-6-3 | <p>Q1-6-3:試験数が多い等、「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料(Form A)」提</p> |

| | |
|---------|--|
| | <p>出後に、早めに確認結果を知りたい場合の対応について教えてください。</p> <p>A: 新医薬品承認審査予定事前面談の申込みにあたり提出された Form A については、PMDA への提出後 2 週間程度を目安に確認します。PMDA での確認後であれば、新医薬品承認審査予定事前面談の実施時期にかかわらず確認結果を連絡することは可能ですので、早めに結果を知りたい場合等をご相談ください。</p> |
| Q1-10 | <p>Q1-10:PDF ファイルは、どの程度 eCTD 仕様に準拠させる必要がありますか。</p> <p>A: 原則として、eCTD 仕様に準拠した形で PDF ファイルを作成してください。しかし、作成困難な内容等があれば個別にご相談ください。なお、Annotated CRF については、注釈が付与された PDF ファイルとして作成されていても差し支えありません。</p> |
| Q1-14 | <p>Q1-14:既に PMDA に提出していた「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」の修正が必要になった場合、PMDA に修正内容をどのように連絡すればよいですか。</p> <p>A: 新医薬品承認審査予定事前面談が後日予定される場合は、面談の申込みにあたり、それまでの変更内容を反映した Form A の修正版を提出することで差し支えありません。また、今後新医薬品承認審査予定事前面談が予定されていない場合は、審査部の担当者にご相談ください。なお、新医薬品承認審査予定事前面談後に Form A の最終版又は修正版を提出する方法については Q1-6-2 及び Q1-14-1 に対する回答もあわせてご参照ください。</p> |
| Q1-14-1 | <p>Q1-14-1:「対面助言、証明確認調査等の実施要綱通知」の別紙 8 付録「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」の修正版を提出する際、留意点はありますか。</p> <p>A: 変更内容を反映した Form A の修正版に加え、PMDA に提出した直近の版からの修正内容がわかる資料(マーカー版や変更履歴を残した版、等)を提出してください。</p> |
| Q2-3 | <p>Q2-3:eCTD のライフサイクルをあげる際に Module 1.13 に照会事項に対する回答(写)を添付しますが、その際に修正のあったデータセットは追加提出(new)や置換(replace)しなくてもよいでしょうか。</p> |

| | |
|--------|---|
| | <p>A: 原則、回答に添付して提出した申請電子データは、eCTD 改訂時に eCTD Module 5 の一部として、追加提出 (new) 又は置換 (replace) して提出してください。このとき、Module 1.13 に同データセットを含める必要はありませんが、データセットの添付先である回答自体は Module 1.13 に含めてください。また、eCTD v3.2.2 を使用する場合は、当該申請において既提出のデータセットを置換するのか又は新規に追加提出するのかを、ゲートウェイシステムの機能を用いて示してください。ゲートウェイシステムの機能により置換又は新規提出の別を示す方法については、操作マニュアルを参照してください。eCTD v4.0 以降を使用して申請電子データを提出する場合は、eCTD v4.0 以降の実装ガイド等を参照してください。</p> |
| Q2-7 | <p>Q2-7: 技術的ガイド 5.5 ③「eCTD 改訂時に提出する申請電子データ」に「既提出の申請電子データとの差分のみを提出する」とありますが、変更があった特定の SDTM ドメインや ADaM データセットのみでよいでしょうか。</p> <p>A: 承認申請後に変更が生じた特定のデータセットを提出することに加えて、データセットの変更に伴って変更が発生した定義書及び文書等(データセットに付随して提出すべき文書や解析プログラム等)があれば、それらもご提出ください。</p> |
| Q2-8 | <p>Q2-8: 技術的ガイド 5.5 ③「eCTD 改訂時に提出する申請電子データ」に「既提出の申請電子データとの差分のみを提出する」とありますが、フォルダも提出すべきでしょうか。</p> <p>A: 原則として、技術的ガイド 3.5 に提示しているフォルダ構造に格納し提出してください。</p> |
| Q2-9 | <p>Q2-9: 技術的ガイド 5.6 「申請電子データ提出時の変更願」に「各試験に関連する申請電子データ一式の有無が判別できればよい」とありますが、書き方は会社独自で決めるという理解で良いでしょうか。</p> <p>A: はい。CTD 又は eCTD 改訂時に申請電子データを提出する際に変更願に記載する内容に関して、特に規定はありません。</p> |
| Q2-9-1 | <p>Q2-9-1: 変更願の提出が必要となるのはどのような場合でしょうか。</p> <p>A: 申請電子データ及び/又は CTD、eCTD の改訂版を、ゲートウェイを使用せずに提出する場合に必要となります。</p> |
| Q3-1 | <p>Q3-1: ゲートウェイシステムを利用する際の推奨動作環境について教えてください。</p> |

| | |
|-------|---|
| | A: 推奨動作環境は別紙のとおりです。 |
| Q3-5 | <p>Q3-5:ゲートウェイシステムから電子ファイルを提出する際に利用する電子証明書に不備があった場合、当該電子ファイルは受領されるでしょうか。</p> <p>A: いいえ。提出時に利用された電子証明書の発行元や有効期間等に不備があった場合、提出物及び提出者の妥当性を判断できないため、当該電子ファイルは PMDA に到着したとはみなされず受領されません。</p> |
| Q3-6 | <p>Q3-6:照会に対する回答に添付して申請電子データを提出する場合も、CDISC 準拠データに対してはバリデーション処理が行われるのでしょうか。</p> <p>A: はい。各バリデーションルールの重大性に対する考え方も技術的ガイド 3.6.1 と同様です。照会に対する回答として CDISC 準拠データを提出する場合は、「試験データ提出」画面から提出してください。</p> |
| Q3-14 | <p>Q3-14:実務的通知 Q&A の問 3 に関連して、ゲートウェイシステムの利用にあたって一般財団法人医療情報システム開発センターが発行している Medicertified 電子証明書以外の一定の要件を満たす電子証明書を使用してよいでしょうか。</p> <p>A: いいえ。ゲートウェイシステムで使用可能な電子証明書は、一般財団法人医療情報システム開発センターが発行している Medicertified 電子証明書のみです。</p> |
| Q3-19 | <p>Q3-19:ゲートウェイシステムのログインアカウントは 1 メールアドレス毎に付与するとされていますが、1 つの電子証明書を複数人が共有して使用することは可能でしょうか。</p> <p>A: 個人証明書は個人を特定するために発行されるものと考えています。証明書の共用に起因する問題については、PMDA では責任を負いかねます。</p> |
| Q3-21 | <p>Q3-21:複数社にまたがるグループに登録されているユーザーが退職した場合に、当該ユーザーがグループにアクセスできないようにする方法を教えてください。</p> |

| | |
|-------|--|
| | A: 対象グループの企業管理者又は企業ユーザー管理者が、当該ユーザーをグループから削除してください。 |
| Q3-22 | <p>Q3-22:複数のユーザーがそれぞれ同時刻に電子ファイルをアップロードすることは可能でしょうか。また、その際、1人のユーザーが電子ファイルをアップロードする場合より時間を要することはありますか。</p> <p>A: はい、可能です。その場合、理論上、単一のユーザーがアップロードする場合に比較して速度低下が発生する可能性はあります。なお、同一品目の同一提出予告に含まれる複数の電子ファイルを、複数のユーザーが同時にアップロードすることはできません。</p> |
| Q3-26 | <p>Q3-26:申請予告はゲートウェイシステムを用いて行ったが、やむを得ない事情により電子ファイルを窓口提出した場合、ゲートウェイシステムを利用して照会に対する回答を提出することは可能でしょうか。</p> <p>A: ゲートウェイシステムを用いて申請予告を行っていれば、やむを得ない事情により電子ファイルを窓口提出した場合であっても、ゲートウェイシステムを利用して照会に対する回答を提出することは可能です。</p> |
| Q3-27 | <p>Q3-27:申請予告はゲートウェイシステムを用いて行ったが、やむを得ない事情により eCTD を窓口で提出する場合、eCTD 受付番号を再度取得する必要はありますか。</p> <p>A: いいえ。申請予告時に取得した eCTD 受付番号を用いて承認申請してください。</p> |
| Q3-32 | <p>Q3-32:照会事項回答に紐付して申請電子データを提出する場合、提出した申請電子データのバリデーションが完了するまで、照会事項回答の提出はできないのでしょうか。</p> <p>A: 提出した申請電子データのバリデーションが完了するまで照会事項回答の提出はできません。照会事項回答に紐付けして申請電子データを提出する場合、回答登録時には「照会回答案に添付する」として提出した申請電子データのバリデーションが完了したことを確認してから照会事項回答を登録してください。なおバリデーションが完了していれば、バリデーション結果にかかわらず紐付けすることが可能です。</p> |
| Q4-5 | Q4-5:審査中の照会に対する回答の添付資料として申請電子データの提出が必要となるのはどのような場合でしょうか。またその際の提出対象となる申請電子データの範囲を明らかにしてください。 |

| | |
|-------|---|
| | <p>A: 審査中の照会に対する回答の添付資料として申請電子データの提出を求めるケースとしては以下の3つが考えられます。</p> <ul style="list-style-type: none"> ● 承認申請時点において申請電子データの提出対象となる臨床試験が継続実施中であり、審査中に追加の申請電子データを提出する場合(例: 中間解析時の電子データや長期投与試験の中間集計時の電子データに基づく承認申請がなされ、審査中に追加の電子データを提出する場合) ● 照会に対する回答を作成する過程で申請者によって重要な検討(例えば、有効性及び安全性の主要な結論に影響する検討、用法・用量や投与対象の規定に影響する検討等)がなされ、その際に使用した解析データセットの提出が審査において非常に有用であると考えられた場合 ● 有効性、安全性及び用法・用量の根拠として重要と考えられた臨床試験や解析に係る申請電子データが申請時に提出されていなかった場合 <p>これらの申請電子データについては、照会に対する回答の添付資料及び/又は eCTD の改訂として提出することになります。それぞれの場合において、追加提出する内容に応じて変更が発生する文書等(データセットに付随して提出すべき文書や解析プログラム等)についても、併せて提出していただくこととなりますが、個々の文書等の要否の詳細については担当の審査チームに相談してください。</p> <p>なお、技術的ガイド 4.1.1.3 のとおり、照会事項への回答のために実施した解析について、解析データセットの追加提出を一律に求めるということはありません。</p> <p>申請電子データの提出方法については、実務的通知の2.(5)及び(6)を参照してください。なお、追加の申請電子データの提出時期等について調整が必要な場合は随時担当の審査チームに相談してください。</p> |
| Q4-12 | <p>Q4-12: 英数字のみからなるデータセットに加えて、日本語を含むデータセットを提出する場合、データセットの定義書は英数字のみからなるデータセットと日本語を含むデータセットのそれぞれに対して1つずつ作成する必要があるでしょうか。</p> <p>A: データセットの定義書は英数字のみからなるデータセットに対するもののみを作成することで差し支えありません。またデータセットの定義書は英数字データセットと同じフォルダに格納してください。</p> |
| Q4-14 | <p>Q4-14: CDISC 標準以外の形式でまとめられたデータセットを CDISC 標準の形式に変換して提出する際のトレーサビリティの説明とし</p> |

| | |
|---------|---|
| | <p>て、作成に用いたデータセットと Annotated CRF を併せて提出する場合、いずれのフォルダに格納すべきでしょうか。</p> <p>A: CDISC 標準への変換前のデータセット、トレーサビリティの説明とそれに付随するファイルは「legacy」フォルダに格納してください。</p> |
| Q4-17 | <p>Q4-17:ADaM データセットの変数作成の過程の把握のために、ADaM 作成に用いた参照データ(Lookup tables 等の参照用テーブルや Metadata 等)を提出する場合にはどのフォルダに格納すればよいでしょうか。</p> <p>A: 「misc」フォルダへ格納してください。また、ADaM データセット作成用プログラムを提出し、当該ファイルがプログラム中で用いられている場合、プログラムに関連したファイルとして「programs」フォルダに格納することも可能です。ファイル及び格納場所に関する内容はデータガイドで説明してください。</p> |
| Q4-18 | <p>Q4-18:ADaM のデータソースとして、Multiple Imputation 等による欠測値の補完に関連したデータ等を提出する場合はどのフォルダに格納すればよいでしょうか。</p> <p>A: 「misc」フォルダに格納し、データセットの定義書及びデータガイド等において欠測値の取扱いについて説明してください。</p> |
| Q4-19-2 | <p>Q4-19-2:Q4-19 で示された例のうち、符号化方式が UTF-8 の場合、文字セット UNICODE の後の情報(USC-2 等)まで記載する必要はあるでしょうか。</p> <p>A: 不要です。なお、ご提示いただいた文字セット情報で処理が行えなかった場合には、追加でより詳細な情報の提供を求める場合があります。</p> |
| Q4-26 | <p>Q4-26:解析アルゴリズムの分かる仕様書を英語で提出することは可能ですか。</p> <p>A: 可能です。</p> |
| Q5-9 | <p>Q5-9:基本的通知 2(2)アの一般的に有効性、安全性及び用法・用量の主要な根拠となると考えられる全ての第Ⅱ相試験及び第Ⅲ相試験(長期投与試験を含む。)の成績の資料を提出する場合、これらの試験の薬物濃度や薬物動態パラメータ等の臨床薬理領域の解析に関する申請電子データの提出は必要でしょうか。提出が必要であれば、その提出形式についても教えてください。</p> |

| | |
|---------|--|
| | <p>A: 基本的通知 2(2)アに示す試験の臨床薬理領域の解析に関する申請電子データは提出対象です。実務的通知 Q&A の問 12 にあるとおり、これらの申請電子データについては CDISC 標準に準拠した形式で提出するとともに、実施した解析に応じて、プログラムや仕様書等の説明文書を実務的通知及び技術的ガイドにしたがって提出してください。</p> |
| Q5-20 | <p>Q5-20:実務的通知 3(2)ウ②母集団解析(モデルに基づくシミュレーションを含む。)に、モデルに基づくシミュレーションを実施している場合は、シミュレーションに用いたプログラムをプログラム手順書とともに提出することが望ましいとあります。開発の過程で母集団解析モデルに基づいた、様々なシミュレーションが実施されますが、どのようなシミュレーションを提出することが望ましいのでしょうか。</p> <p>A: シミュレーション結果を投与対象の選択や用法・用量の設定等の意思決定に用いた場合等には、当該シミュレーションは提出することが望ましいと考えます。</p> |
| Q5-20-1 | <p>Q5-20-1: Q5-20 に関連して、Visual Predictive Check に使用したプログラムやシミュレーション用に作成したデータセットは提出対象でしょうか。</p> <p>A: モデル評価のために実施したシミュレーション(Visual Predictive Check 等)関連の電子データやシミュレーションの過程で生成されるデータセット等は提出不要です。</p> |
| Q5-25 | <p>Q5-25: PK 及び PK/PD の統合解析のデータセットや生理学的薬物速度論モデル解析関連データの格納方法を教えてください。</p> <p>A: [study id / iss / ise]フォルダ名を、実務的通知の別紙に示す「コモン・テクニカル・ドキュメントの電子化仕様の取扱いについて(平成 16 年 5 月 27 日付け薬食審査発第 0527004 号 厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知)別紙 1」の改正に示す、CTD 第 5 部のフォルダ名と同じ名称にして作成し、当該フォルダの下層に解析用のフォルダを作成し、格納してください。</p> |

以上