

# 申請電子データ提出に関する通知等の 変更点について

---

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
RS統括部  
落合義徳

質問の文面については、事前にいただいたものから一部変更して記載しています。

# はじめに

2024年4月8日に、申請電子データに関する以下の通知等が改正されました。

## 申請電子データ通知

- 「承認申請時等の電子データ提出に関する取扱いについて」の一部改正について(令和6年4月8日付け医薬薬審発0408第3号)

## 申請電子データ通知QA

- 「承認申請時等の電子データ提出に関する取扱いについて」に関する質疑応答集(Q&A)について(令和6年4月8日付け事務連絡)

## 技術的ガイド

- 「承認申請時等の電子データ提出に関する技術的ガイドについて」の一部改正について(令和6年4月8日付け薬機審長発第1345号、薬機RS長発第21号)

## FAQ

- 申請電子データに関するFAQ(<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/p-drugs/0029.html>)

本日は、通知等の主な変更点を中心に説明します。

# 本日の内容

---

- 申請電子データ通知の改正の概要
- 申請電子データ通知QAの改正の概要
- 技術的ガイドの改正の概要
- FAQの改訂の概要

\* 資料中の通知等に関する記載は、説明しやすいよう本文を一部抜粋してます。内容を確認する場合は、公開されている通知等の本文の記載を参照してください。

# 本日の内容

---

## ➡ 申請電子データ通知の改正の概要

- 申請電子データ通知QAの改正の概要
- 技術的ガイドの改正の概要
- FAQの改訂の概要

\* 資料中の通知等に関する記載は、説明しやすいよう本文を一部抜粋してます。内容を確認する場合は、公開されている通知等の本文の記載を参照してください。

# 申請電子データ通知の改正の概要

---

申請電子データ通知について、以下の点の変更に関する説明をします。

- CDISC標準非標準拠データを提出可能とする範囲
- 提出すべき申請電子データの標準及びその詳細事項
  - 独自に定義したコード等の説明

# CDISC標準非標準拠データを提出可能とする範囲

一部の第I相試験や臨床薬理試験について、CDISC標準形式以外のデータを提出可能とする変更をしました。

## 新規追加

2(1)イ(イ)及び(ウ)の資料のうち、抗悪性腫瘍剤での第I相試験以外の資料について、令和2年4月1日より前に開始した試験に限り、CDISC標準以外の形式のデータを提出することで差し支えない。

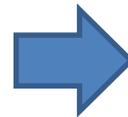
- 詳細なデータの形式等については申請電子データ通知QA問10を参照

# 独自に定義したコード等の説明

独自に定義したコードや標準のコードからの拡張を行った場合の説明について変更しました。

## 変更前

また、独自に定義したコードや標準のコードからの拡張を行った場合は、データセットの定義書及びデータガイドにその旨を説明すること。



## 変更後

また、独自に定義したコードや標準のコードからの拡張を行った場合は、データセットの定義書及び又はデータガイドにその旨を説明すること。

赤字下線部の追記

詳細は「申請電子データ提出に関する技術情報等の更新について」資料P21で説明しています。

# 本日の内容

---

- 申請電子データ通知の改正の概要
- ➡ 申請電子データ通知QAの改正の概要
- 技術的ガイドの改正の概要
- FAQの改訂の概要

\* 資料中の通知等に関する記載は、説明しやすいよう本文を一部抜粋してます。内容を確認する場合は、公開されている通知等の本文の記載を参照してください。

# 申請電子データ通知QAの改正の概要

申請電子データ通知QAについて、以下の点の改正に関する説明をします。

- 問7: 申請前に実質的な試験結果の評価が行われる場合
- 問10: 申請電子データ提出対象となる資料の種類と提出形式
- 問18: 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申請電子データの提出

## 申請前に実質的な試験結果の評価が行われる場合

実質的な試験結果の評価を行う時点（医薬品添付文書改訂相談等）での申請電子データの提出について、現状に即した変更をしました。

### 変更前

(2) **記録媒体による**申請電子データの提出は試験結果の提出予定日の5週間前から試験結果提出日までの間に行うこと。



### 変更後

(2) 申請電子データの提出は、相談申込書の提出日から相談資料搬入予定日までの間に行うこと。

「記録媒体による」を削除と赤字下線部の変更

# 申請電子データ提出対象となる資料の種類と提出形式

CDISC標準非標準拠データを提出可能とする範囲の変更に伴う表の改正をしました。

変更後

赤字下線部の追加

申請電子データ通知での記載箇所	内容	個々の臨床試験データ	解析データセット		
			有効性及び安全性の解析に関するもの	PK又はPK/PD解析に関するもの	
2(1)イ(ア)	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)の成績に関する資料	SDTM	ADaM		
2(1)イ(イ)	第Ⅰ相試験及び臨床薬理試験のうち、次に掲げる試験の成績に関する資料	抗悪性腫瘍剤での第Ⅰ相試験	ADaM		
		日本人と外国人の双方に対して実施された第Ⅰ相試験(国際共同治験やブリッジ試験の場合など) ICH E14ガイドラインに基づくQT/QTc試験	SDTM※1	ADaM※2	原則ADaM※2だが、他の形式でも受入れ可能な場合がある  ADaM※2
2(1)イ(ウ)	その他の第Ⅰ相試験及び臨床薬理試験等で、PMDAが必要と判断したもの	標準的な薬物動態解析が実施された臨床試験	SDTM※1	ADaM※2	ADaMが望ましいが、他の形式でも差し支えない
		母集団解析 生理学的薬物速度論モデル解析	CDISC標準以外の形式で提出することで差し支えない		

※1: 試験開始日(最初の被験者を組み入れた日)が令和2年4月1日より前の試験は、SDTM以外の形式でも差し支えない

※2: 試験開始日(最初の被験者を組み入れた日)が令和2年4月1日より前の試験は、ADaM以外の形式でも差し支えない

# CDISC標準非標準拠データを提出する際の バリデーションに関する質問

Q

2(1)イ(イ)及び(ウ)の資料のうち、抗悪性腫瘍剤での第I相試験以外の資料について、令和2年4月1日より前に開始した試験に限り、CDISC標準以外の形式のデータを提出することで差し支えないとされました。このような場合、CDISC標準準拠データだがPMDAルール以外のバリデーションを行った場合はCDISC標準以外と見なして良いのか、CDISC標準準拠データなのだからPMDAのバリデーションルールを実施すべきなのか、教えてください。

A

提示されたケースについては、CDISC標準以外の形式のデータと見なして良く、PMDAのバリデーションルールによるバリデーションを実施する必要はありません。

# 第I相試験等のデータセット等に係るQ&A

CDISC標準非準拠データを提出可能とする範囲の変更に伴う記載の整備をしました。

## 変更前

- (1)・・・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、・・・
- (2)・・・ただし、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、・・・



## 変更後

- (1)・・・有効性及び安全性に関する解析データセットを提出することが困難な場合は、・・・
- (2)・・・ただし、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提出することが困難な場合は、・・・

赤字下線部の削除

# 本日の内容

---

- 申請電子データ通知の改正の概要
- 申請電子データ通知QAの改正の概要

## ➡ 技術的ガイドの改正の概要

- FAQの改訂の概要

\* 資料中の通知等に関する記載は、説明しやすいよう本文を一部抜粋してます。内容を確認する場合は、公開されている通知等の本文の記載を参照してください。

# 技術的ガイドの改正の概要

技術的ガイドについて、主な改正があった点について説明します。

- 電子データ提出前のForm Aの提出
- データガイドにおけるバリデーションルールのバージョン

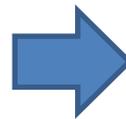
電子データ提出前のForm Aの提出について、申請時における対応の補足説明もします。

# 審査予定事前面談におけるForm Aの提出

令和5年10月1日より、審査予定事前面談におけるForm Aの提出を不要としました。

## 変更前

申請者は、必要に応じ、治験相談、申請電子データ提出方法相談、新医薬品承認審査予定事前面談等を活用して、申請電子データの提出範囲及び承認申請予定時期等についてPMDAと確認を行うこと。なお、提出予定の申請電子データの内容をPMDAウェブサイトの「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。当該資料は、電子データ提出前に行われる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。



## 変更後

申請者は、必要に応じ、治験相談、申請電子データ提出方法相談、新医薬品承認審査予定事前面談等を活用して、申請電子データの提出範囲及び承認申請予定時期等についてPMDAと確認を行うこと。

赤字下線部の削除

# 申請電子データ提出前のForm Aの提出

## 補足

申請電子データに関するHP (<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/p-drugs/0026.html>)において、申請前のForm Aに関する記載があります。

(注) 2023年度10月1日申請分より、申請電子データ提出前の、提出予定の申請電子データの内容をまとめた「申請電子データに係る説明資料 (Form A)」及び「申請電子データに係る説明資料 (Form B)」の提出は不要となります。  
(なお、新医薬品の申請電子データの提出に係る相談にあたっては、引き続き、当該資料を提出いただく必要があります。)

HPでは、「申請電子データ提出前の」と記載していますが、これには承認申請時の意味も含まれますので、承認申請時における、Form Aの提出は不要です。

# 審査予定事前面談におけるForm A等に関する質問

Q

2023年10月1日申請分より、申請電子データ提出前のForm A等の提出は不要となりましたが、Form A等を提出しない場合、審査予定事前面談における申請電子データの説明にはどのような資料や記載内容が必要になるかをご教示下さい。

A

審査予定事前面談において、申請電子データに関して確認したい事項がない場合は、特段の説明は必要ありません。

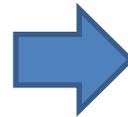
基本的には、申請時に提出されたデータから、必要な情報を参照しています。

# データガイドにおけるバリデーションルールのバージョン

データガイドにおけるバリデーションルールのバージョンの記載方法について変更しました。

## 変更前

- データ標準への準拠性に関する情報
  - バリデーション時に用いられたバリデーションツール及びそのバージョン
  - バリデーション時に用いられたバリデーションルールのバージョン



## 変更後

- データ標準への準拠性に関する情報
  - バリデーション時に用いられたバリデーションツール及びそのバージョン
  - バリデーション時に用いられたバリデーションルールのバージョンに関する情報

赤字下線部の追記

詳細は「申請電子データ提出に関する技術情報等の更新について」資料P21で説明しています。

# 本日の内容

---

- 申請電子データ通知の改正の概要
- 申請電子データ通知QAの変更の概要
- 技術的ガイドの改正の概要

## FAQの改訂の概要

\* 資料中の通知等に関する記載は、説明しやすいよう本文を一部抜粋してます。内容を確認する場合は、公開されている通知等の本文の記載を参照してください。

# FAQの改訂の概要

FAQについて、主な改訂があった点について説明します。

- CDISC標準非準拠データを提出可能とする範囲の変更に伴う対応
- バリデーションに関する運用変更
- 母集団解析の提出範囲

本日説明はしませんが、申請書等のオンライン提出の普及に伴う現状を踏まえたFAQの削除も行っています（FAQ1-1、1-1-1、1-19）。

また、FAQ4-32-1の新設に伴うFAQ4-32の記載整備も行っています。

## CDISC標準非標準拠データを提出可能とする範囲の変更に伴う対応

申請電子データ通知QAの変更に伴い、既存のFAQを更新しました。

- FAQ1-25: 通知QA問10の改正に伴う表の更新
  - 記載内容に変更はなし
- FAQ1-31: 通知QA問18の文言を変更したことに伴う対応

## CDISC標準非準拠データを提出する際の留意事項

CDISC標準非準拠データを提出可能とする範囲の変更に伴い、提出内容及び提出方法に関するFAQ4-32-1を新設しました。

### 新規追加

- 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、少なくとも以下のデータが必要
  - 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
  - CTDに記載された解析結果を求めるための解析データセット
  - 解析用プログラム及びデータセット定義書
- Annotated CRFやデータガイドに相当する情報がある場合には提出
- CDISC標準以外の臨床試験の申請電子データの提出方法
  - 基本的にはlegacyフォルダに格納
  - PK又はPK/PD解析に関する解析データセットについては、「cp」フォルダ等に格納することも可能

## CDISC標準非標準型データの提出内容及び提出方法に関する質問

Q

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、少なくとも提出が必要と記載されている「データセット定義書」とは、「解析データセット」の定義書のみを指しますか？それとも「臨床試験データセット」の定義書も含め両方が必要という意味ですか？

A

臨床試験データセット及び解析データセットの両方のデータセット定義書が必要です。

## CDISC標準非準拠データの提出内容及び提出方法に関する質問

Q

「一部の第I相試験や臨床薬理試験について、CDISC標準形式以外のデータを提出可能とする」と変更したことについて、薬物動態又は薬力学パラメータの算出に用いた解析データセット及び解析アルゴリズムの提出は、これまで通り必要になると理解しています。この場合、PKパラメータ算出に直接用いたデータセットの提出が必要になりますか？

A

実際にパラメータ算出に用いたデータセット及び解析仕様書等を提出してください。

# バリデーションに関する運用変更(FAQ1-16)

FAQ1-16をバリデーション関連の運用変更に基づき改訂しました。

## 変更前

・・・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・・・

・・・PMDAによるバリデーションにより、Reject 又は説明のないErrorに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。



## 変更後

・・・PMDAが用いる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リデーションソフトウェアを用い・・・

・・・PMDAによるバリデーションにより、Rejectに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、申請者による事前のバリデーションで生じたErrorに相当するバリデーションルール違反については、違反が生じた理由及び修正が不可能な理由がデータガイドにおいて説明されている必要があります。

赤字下線部の変更

運用変更については、「申請電子データ提出に関する技術情報等の更新について」(本FAQについては当該資料P13)でその詳細を説明しています。

# バリデーションに関する運用変更(FAQ1-18)

FAQ1-18をバリデーション関連の運用変更に基づき改訂しました。

## 変更前

・・・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。



## 変更後

・・・なお、PMDAによる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。申請者による事前のバリデーションで生じたErrorに相当するバリデーション違反に関してデータガイドにおいて説明されていない場合には、申請後に照会事項により説明を求めます。

赤字下線部の変更

運用変更については、「申請電子データ提出に関する技術情報等の更新について」(本FAQについては当該資料P13)でその詳細を説明しています。

# バリデーションに関する運用変更(FAQ1-23)

FAQ1-23をバリデーション関連の運用変更に基づき改訂しました。

## 変更前

・・・PMDAでは、データガイドの説明内容に基づいて審査時に実施する解析への影響の程度を検討しています。例えば、「CRFで収集されたとおりにデータを格納した」や「(企業側の)解析に影響しないため、修正は行わない」といった記載では、具体的なデータの状況が把握できず、審査時のデータ利用に影響があるかどうかの判断ができません。したがって、バリデーションルール・・・

## 変更後

・・・PMDAでは、データガイドの説明内容に基づいて審査時に実施する解析への影響の程度を検討していますので、そのような検討が可能となるようバリデーションルール・・・



赤字下線部の変更

運用変更については、「申請電子データ提出に関する技術情報等の更新について」(本FAQについては当該資料P20)でその詳細を説明しています。

# 母集団解析の提出範囲

提出範囲に該当する母集団解析のうち、検証的試験の用法・用量の設定根拠に用いられた解析について、FAQ5-34を新設しました。

## 新規追加

検証的試験の用法・用量の設定根拠として用いられた母集団解析について

- 検証的試験実施後に検証的試験で得られたデータを用いて解析データセット及び／又はモデルが更新
- 更新後の解析が申請用法・用量の設定根拠として用いられた場合



更新後の解析に関する申請電子データのみを提出し、更新前の解析に関する申請電子データを提出しないことは可能

## FAQ5-34に関する質問-1

Q

検証的試験等のデータをデータセットに追加し、検証的試験で見いだされた新たな共変量候補も追加したところ、モデルが大幅に変わりました(コンパートメント数、誤差モデル、共変量など)。

その場合も、モデル更新の範囲内として、更新前の解析に関する申請電子データを提出しないことは可能ですか。

A

ご質問のような場合でも、更新前の解析に関する申請電子データを提出しないことは可能です。

## FAQ5-34に関する質問-2

Q

検証的試験前の母集団モデルを用いたシミュレーションにより、検証的試験の用法・用量を設定しましたが、検証的試験後のデータを含めた母集団モデルでは、別のシミュレーションを実施して申請用法・用量の設定根拠としました。その場合も、更新前の解析に関する申請電子データを提出しないことは可能ですか。

A

ご質問のような場合でも、更新前の解析に関する申請電子データを提出しないことは可能です。

## FAQ5-34に関する質問-3

Q

中間解析結果に基づいて申請後、同一臨床試験の52週時点までのデータを用いて母集団解析データセット及び／又はモデルが更新され、更新後の解析を審査中に提出する場合にも、更新前の解析に関する申請電子データを提出しないことは可能でしょうか。

A

ご質問いただいたケースはFAQ5-34の対象外です。基本的には、審査を遅滞なく進められるよう、申請時までの（つまり更新前の）申請電子データの提出が必要と考えますが、状況に応じて議論したいと考えますので、必要に応じて治験相談等を活用し確認してください。なお、提出時期については、通知QA問19のとおり、申請後の提出も受入れ可能な場合もありますので、適宜確認してください。

## FAQ5-34に関する質問-4

Q

申請電子データ提出範囲に関する相談時点では、検証的試験のデータを含めた母集団解析は未実施である場合があります。

その場合、申請時に「実際に、検証的試験のデータを含めた母集団解析が、検証的試験の用法・用量設定根拠である母集団解析のデータセットやモデルの更新であったこと」が、CTDに添付する母集団解析報告書から分かるのであれば、別途説明する必要はないでしょうか。

A

申請時に別途説明をいただく必要はありません。

なお、申請電子データ提出範囲に関する相談時点で検証的試験のデータを含めた母集団解析は未実施であっても、治験相談において、今後実施予定の母集団解析の説明をしていただき、提出範囲の確認をすることが望ましいです。

## FAQ5-34に関する質問-5

Q

FAQ5-34発出前に、治験相談で「申請者が検証的試験の用法・用量の設定根拠と考える母集団解析」として、申請時に提出することで合意した電子データがあります。

当該電子データが本FAQに当てはまることが明らか、かつ申請までに治験相談の計画が無い場合には、新たに治験相談は実施せずに、申請時に、検証的試験データを用いて解析した更新後の解析に関する電子データのみを提出し、更新前の解析に関する電子データを提出しないことは可能でしょうか。

A

可能です。

# おわりに

---

- 2024年4月8日に改正されました申請電子データに関する通知等の変更の概要を中心に説明しました。
- 申請電子データの円滑な受付や、審査における利用のため、引き続き検討を続けていきますので、今後ともご協力の程よろしくお願ひします。

# ご清聴ありがとうございました

- 申請電子データ提出
  - <http://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/p-drugs/0003.html>
- 関連通知・様式等
  - <http://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/p-drugs/0026.html>
- 申請電子データ提出に関する技術情報（FAQ、データ標準カタログ等）
  - <http://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/p-drugs/0028.html>
- 申請電子データの提出に係る相談
  - <http://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/consultations/0040.html>
  - 実施要項：<https://www.pmda.go.jp/files/000240158.pdf>