



MRCT前日本人P1通知関連 アンケート結果

国際共同治験WG 業界側
(製薬協／PhRMA／EFPIA)

2025年8月4日

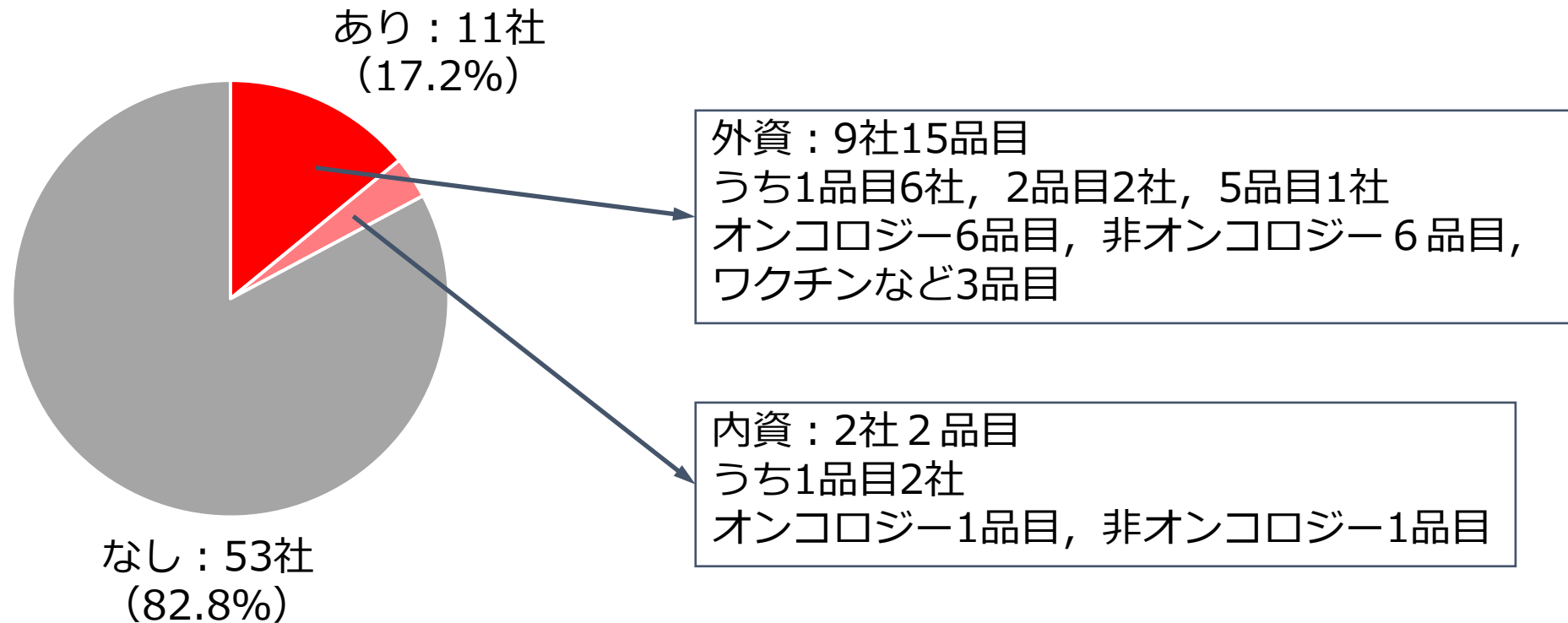
業界アンケート 基本情報

- 実施時期：2024年9月30日～10月22日
- 目的：日本人第 I 相試験関連通知発出直後の影響や課題の検討
- 対象：製薬協（薬事委員会申請薬事部会，医薬品評価委員会臨床評価部会／データサイエンス部会），PhRMA S&R，EFPIA技術委員会（薬事部会，臨床部会，抗がん剤開発部会）
- 方法：対象企業にファイル送付，調査会社で回答を収集，匿名化後に集計
- 回答率：80% （64社／80社）
 - うち，内資系企業は39社（回答率 約75%），外資系企業は25社（回答率 約89%）

業界アンケート内容

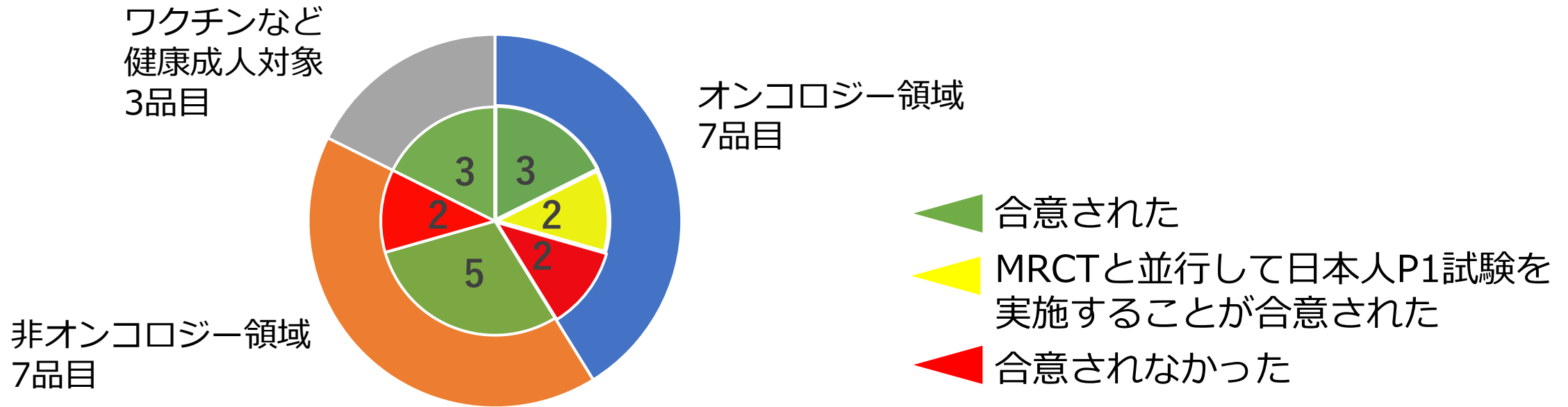
1. 2024年1月以降，国際共同治験開始前の日本人での第Ⅰ相試験に関する対面助言を実施したプロジェクト
2. 2024年1月以降，日本人での第Ⅰ相試験を実施せず，かつ日本人での第Ⅰ相試験に関する対面助言を行わずに国際共同治験の治験届を提出したプロジェクト
3. 日本人第Ⅰ相試験関連通知発出後の開発戦略の変化の有無
4. 日本人第Ⅰ相試験関連通知発出の影響，発出に関連した課題等

2024年1月1日以降に日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加することについての対面助言（事前面談のみ実施した場合を含む）を実施しましたか。
「あり」の場合、数及び領域を教えてください。



対面助言実施は11社、のべ17品目

日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加することにPMDAと合意しましたか。



対面助言実施17品目のうち
MRCTに直接入ることに合意されたのは13品目
(オンコロジー5, 非オンコロジー5, ワクチンなど3)
合意されなかったのは4品目
(オンコロジー2, 非オンコロジー2)

参加する計画であったMRCTについて教えてください。
日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加することにPMDAと合意しましたか。
MRCTで日本人特有の安全確保策を講じましたか。

オンコロジー領域（7品目）

領域	MRCT参加の合意	MRCT	日本人特有の安全確保策
オンコロジー (7)	合意された (3) *	ピボタル試験 (3)	企業側から日本人の安全確保策を提案し合意された (3)
	MRCTと並行して日本人P1試験を実施することが合意された (2)	ピボタル試験 (2)	企業側からは日本人の安全確保策は不要としたが、PMDAから求められた (2)
	合意されなかった (2)	ピボタル試験 (1) 用量設定試験 (第2b相試験等) かつピボタル試験 (1)	NA

* 日本人P1試験自体は実施中であるものの、忍容性完了前のMRCT参加が合意された1例を含む。

() 内：品目数

対面助言で企業側が「日本人治験参加者の安全性が臨床的に許容・管理可能」と主張した主な根拠を記載してください。

オンコロジー領域（7品目）

MRCT参加の合意	主張した根拠
合意された （3品目） MRCTと並行して日本人P1試験を実施することが合意された （2品目）	- 新投与経路医薬品（局所投与製剤） ✓ 民族的要因における国内外差は想定されない（経口製剤の臨床試験成績を有する） - 海外臨床試験のデータ ✓ 管理可能な安全性プロファイルが示されている／DLTが認められていない - 類薬のデータ ✓ 類薬で日本人に特異的なリスクは報告されていない - 内因性/外因性民族差が想定されない - 安全確保策 ✓ がん治療の専門機関での実施 ✓ 日本人被験者への安全性確保策 ✓ 十分な安全性確保策 ✓ データモニタリングでの定期レビュー ✓ 有害事象が発現した際の用量調節基準の規定 - Unmet medical needsと国内開発の遅れ
合意されなかった （2品目）	- 海外臨床試験のデータ ✓ 良好な忍容性及び管理可能な安全性プロファイル ✓ アジア人集団と非アジア人集団の間に民族差は認められなかった - 安全確保策 ✓ 少数の日本人被験者を組み入れ、安全性を綿密にモニタリングする計画 - 海外データを日本人データに外挿可能である

参加する計画であったMRCTについて教えてください。
日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加することにPMDAと合意しましたか。
MRCTで日本人特有の安全確保策を講じましたか。

非オンコロジー領域（7品目），ワクチンなど（3品目）

領域	MRCT参加の合意	MRCT	日本人特有の安全確保策
非オンコロジー (7)	合意された (5)	用量設定試験（第2b相試験等）（2） ピボタル試験（3）	MRCTで全体集団での安全確保が設定されており，合意された（3） 日本人特有の安全確保策は実施しないことで合意された（1） 企業及びPMDAから提案がなかった（1）
	合意されなかった (2) *	用量設定試験（第2b相試験等）（2）	NA
ワクチンなど (3)	合意された (3)	ピボタル試験（3）	MRCTで全体集団での安全確保が設定されており，合意された（3）

* 事前面談で終了し，計画変更により対面助言を実施しなかった1例を含む。

（）内：品目数

対面助言で企業側が「日本人治験参加者の安全性が臨床的に許容・管理可能」と主張した主な根拠を記載してください。

非オンコロジー領域（7品目）

MRCT参加の合意	主張した根拠
合意された （5品目）	• 配合剤 ✓ 各単剤での民族的要因の考察から日本人での特段の安全性の懸念がないと考えられた • 薬剤の特性 • 非臨床試験のデータ • 海外臨床試験のデータ • 類薬のデータ } ✓ 安全性に大きな懸念がない • 内因性/外因性民族差が想定されない／ない • 安全性及びPKが日本人と外国人で大きく異なることは想定されない • 安全確保策 ✓ 十分な安全性確保策がMRCTに設けられている
合意されなかった （2品目）	• 事前面談までの実施のため、相談資料を提出していない • 線形性、十分な安全性マージン、同じ作用機序を持つ他薬の安全性

対面助言で企業側が「日本人治験参加者の安全性が臨床的に許容・管理可能」と主張した主な根拠を記載してください。

ワクチンなど（3品目）

MRCT参加の合意	主張した根拠
合意された （3品目）	• 小児用医薬品 ✓ 成人プログラムで実施済の日本人P1データから人種差は示唆されていない ✓ 小児プログラムで、海外P1/2を実施するため、日本人P1を実施しなくとも日本人小児での安全性は許容・管理可能である • 海外臨床試験のデータ ✓ 安全性に大きな懸念がない • 類薬のデータ ✓ 人種差が認められていない • 明らかな民族的要因がない

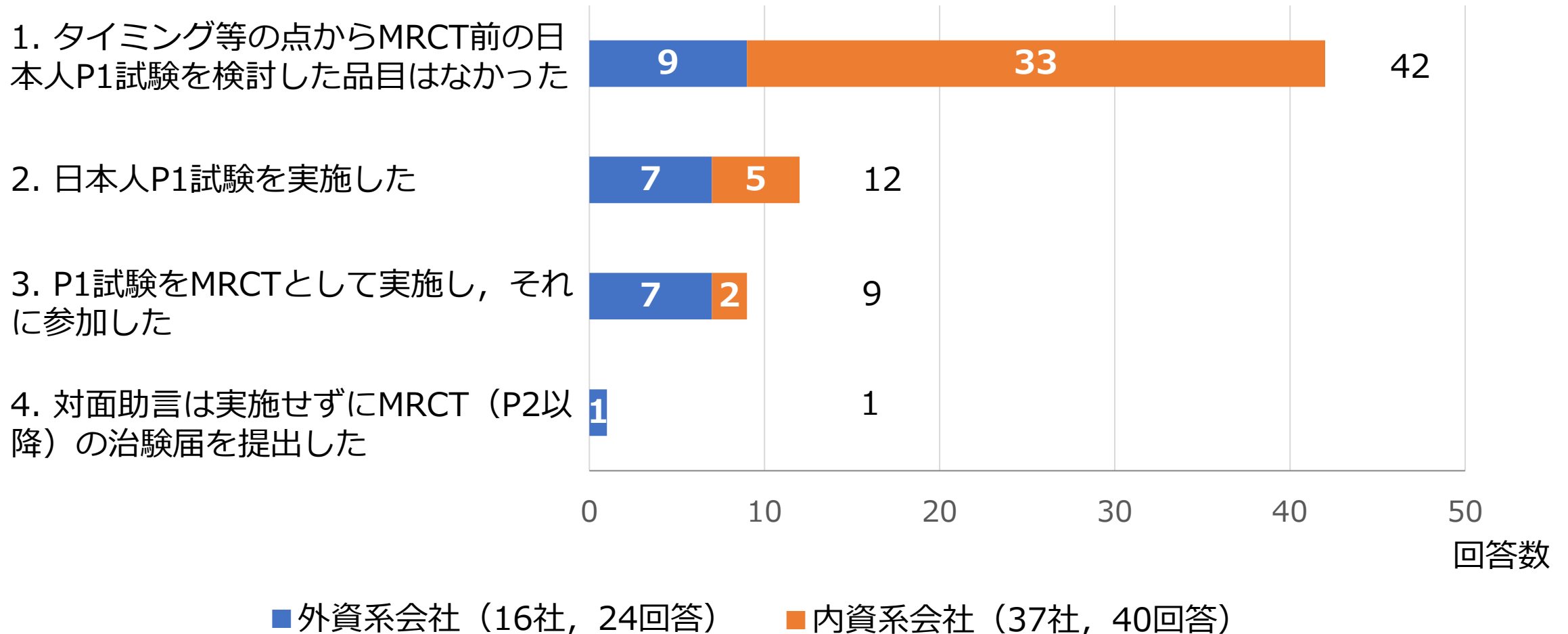
合意されたケースについて，日本人の薬物動態・薬力学データはどのように収集する予定ですか。

件数

領域	1. 当該のMRCTで全体集団と同じデータを収集	2. 当該のMRCTで日本人集団のみ特有の設定を行った上でデータを収集	3. その他
オンコロジー領域 (3)	1	1 (当該のMRCTで全体集団と同じデータだが収集の頻度を変更)	1 (J-P1試験を並行して実施中)
非オンコロジー領域 (5)	4	1	0
ワクチンなど (3)	1	0	2 (ワクチンのため取得予定なし2件)
合計 (11)	6	2	3

対面助言のなかった53社対象

2024年1月1日以降に日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加することについての対面助言がなかった理由（複数回答，計64回答）

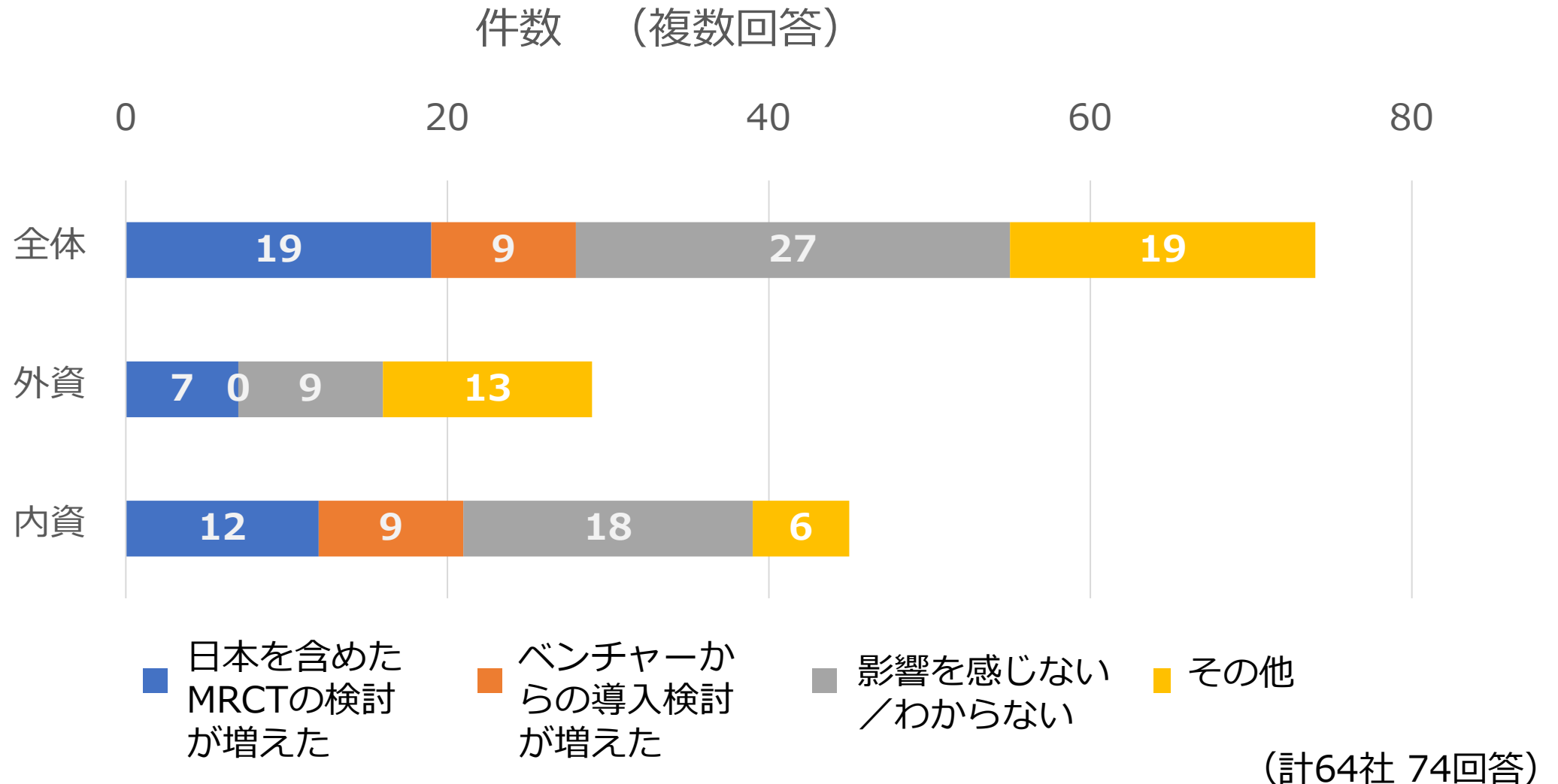


2024年1月1日以降に日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加することについての対面助言（事前面談を含む）を実施せず、MRCTの初回治験計画届を提出した経験

経験ありは2社（いずれも外資系、各1件、計2件）

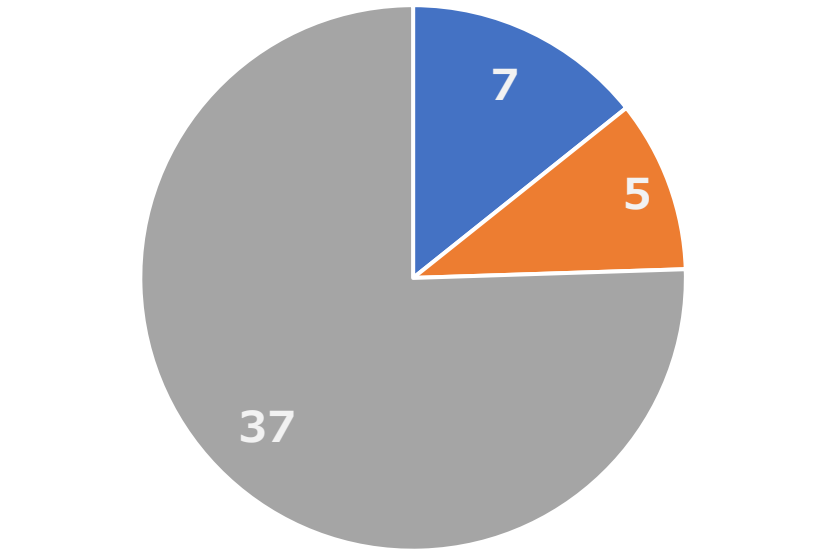
領域	対面助言を実施しなかった理由	MRCTへの参加について PMDAの受け入れ
オンコロジー領域	「日本人治験参加者の安全性が臨床的に許容・管理可能」とする説明が十分にできると判断した。 - 参加する試験が第1b相併用投与試験のMRCTであり、低用量からの漸増試験であった。	MRCTの計画に変更なく認められた
非オンコロジー領域	「日本人治験参加者の安全性が臨床的に許容・管理可能」とする説明が十分にできると判断した。 - 対面助言を実施する時間的余裕がなかった。	MRCTの計画に変更なく認められた

通知発出によって開発方針への影響を感じることがありましたか。あった場合、どのような影響でしょうか。



日本の開発に関する意思決定に影響がありましたか。
主にどのような変化がありましたか。

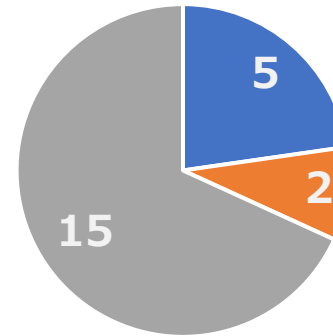
オンコロジー領域（49社）*



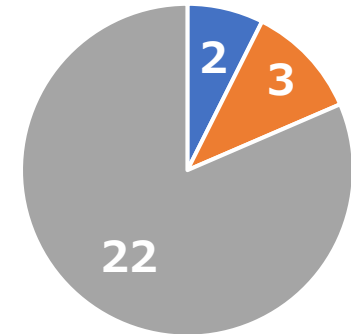
■ あり ■ 検討中 ■ 現時点で影響はない

(複数回答)

外資系会社（22社）



内資系会社（27社）



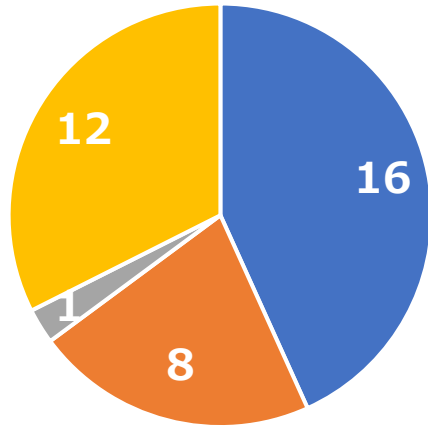
1. 日本での開発が遅れていてもMRCTに参加することを検討することが増えた（8）
2. MRCT前の日本人P1試験の必要性を検討することが増えた（11）
3. 日本人P1試験に関する対面助言等の回数が増えた（5）
4. MRCT前の日本人P1試験（日本人コホート）が社内的に実施しづらくなった（例数が少なくなった等）（2）
5. その他（2）

* オンコロジー領域の開発をしていない会社（15社、外資3社、内資12社）を除く

() 内：件数

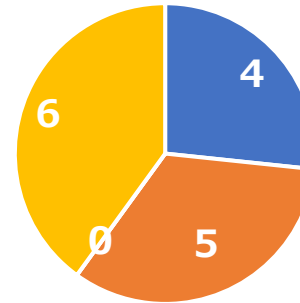
日本の開発に関する意思決定に「現時点では影響がない」ケースのその理由

オンコロジー領域（37社）

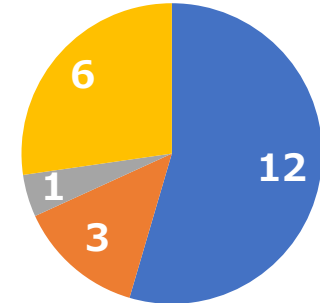


- 1. 通知の適用を検討する機会がなかった
- 2. 以前からMRCT前の日本人P1試験の必要性を検討しており、変更がない
- 3. MRCT前の日本人P1試験は通常実施しており、変更がない
- 4. その他

外資系会社（15社）



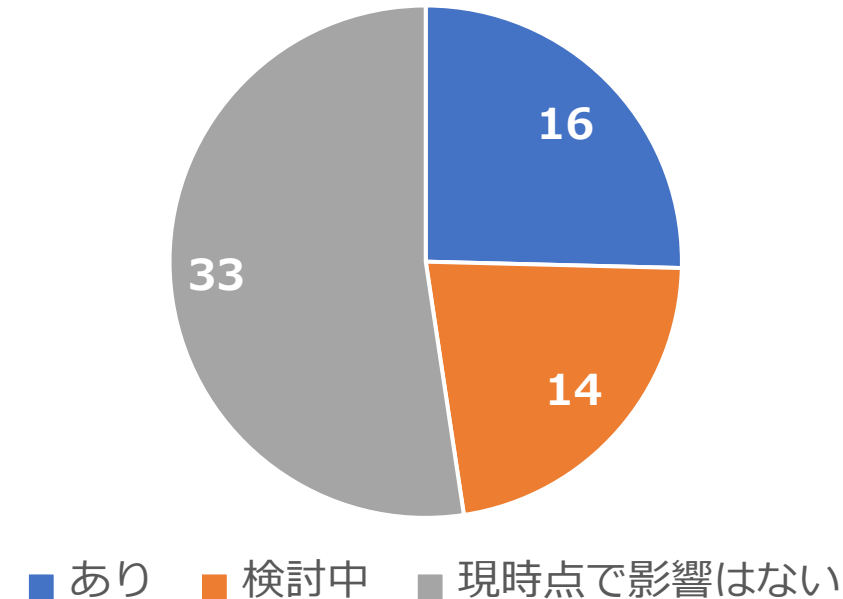
内資系会社（22社）



- 以前からFIHをMRCTとして実施し日本は参加している（外資系3社、内資系1社）
- 現時点で対象となる品目がない／今後検討する（外資系3社、内資系2社）
- MRCTを実施していない（内資系2社）
- 現時点では日本先行又は同時開発が行われているため、通知を適用とするような機会がない（内資系1社）

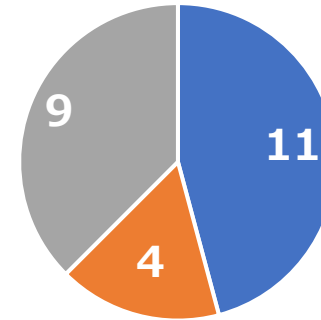
日本の開発に関する意思決定に影響がありましたか。
主にどのような変化がありましたか。

非オンコロジー領域（63社）*

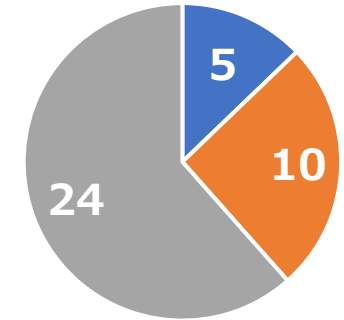


(複数回答)

外資系会社（24社）



内資系会社（39社）



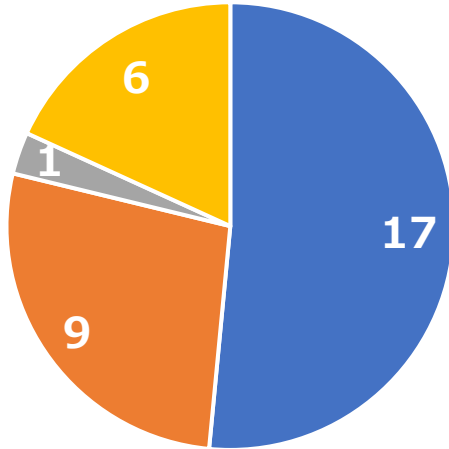
1. 日本での開発が遅れていてもMRCTに参加することを検討することが増えた（16）
2. MRCT前の日本人P1試験の必要性を検討することが増えた（25）
3. 日本人P1試験に関する対面助言等の回数が増えた（9）
4. MRCT前の日本人P1試験（日本人コホート）が社内的に実施しづらくなった（例数が少なくなった等）（4）
5. その他（7）

* 非オンコロジー領域の開発をしていない会社（外資1社）を除く

() 内：件数

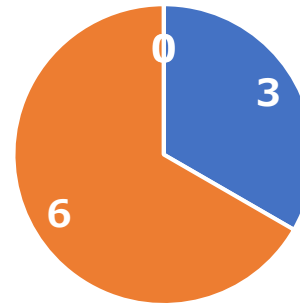
日本の開発に関する意思決定に「現時点では影響がない」ケースのその理由

非オンコロジー領域（33社）

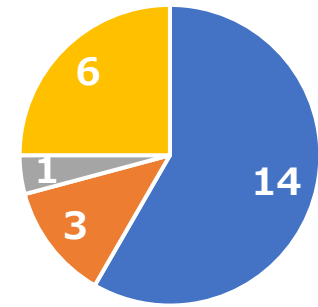


- 1. 通知の適用を検討する機会がなかった
- 2. 以前からMRCT前の日本人P1試験の必要性を検討しており、変更がない
- 3. MRCT前の日本人P1試験は通常実施しており、変更がない
- 4. その他

外資系会社（9社）



内資系会社（24社）



- 現時点で対象となる品目がない（内資系3社）
- MRCTを実施していない（内資系2社）
- 現時点では日本先行又は同時開発が行われているため、通知を適用とするような機会がない（内資系1社）

日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加することについての対面助言資料作成，あるいはMRCTに関する治験届時の文書作成に影響がありましたか。あった場合，どのような影響でしょうか。



- 1. 通知及び質疑応答集を参考として資料が作成しやすくなった
- 2. 治験届時の文書が作成しやすくなり、MRCT治験届後の照会事項が減った
- 3. 該当する対面助言や治験届提出の経験がない
- 4. 影響はない
- 5. その他（コメント：現在，相談資料を提出済み）

（計64社 80回答）

通知及び質疑応答集について解釈が難しい点等，追加説明が欲しい点，運用上の課題など（1/2）

- **以下の補足説明や事例共有のリクエストが多かった。**
 - 今後，事例が集積されると思われるため，どういう事例で日本人P1試験の追加実施が不要かの補足説明。
 - 事前面談において類薬情報がないことを理由に何らかの忍容性評価は必要とされたため，最低限クリアすべきものがあるのであれば示していただきたい。
 - アンメットメディカルニーズが高いと判断する根拠や事例，日本人治験参加者の安全性が臨床的に 許容・管理可能と判断できる根拠や事例。「複数の人種」「類薬の情報」の必要性や情報活用の考え方。
 - MRCTに日本人P1試験なしで組み入れる場合の安全性確保の事例／デザイン変更事例。
 - 日本人P1試験が必要とされた場合の適切なデザイン。
 - MRCT前の日本人P1試験を実施しない場合に，治験計画届出書提出時の資料（当該治験の依頼を科学的に正当と判断した理由を記した文書）に記載すべき事項についての追加説明。
 - 日本人P1試験を実施せずMRCTに参加できた場合，申請時にどの程度の日本人の薬物動態評価や民族差の評価のデータが求められるかの説明。

通知及び質疑応答集について解釈が難しい点等，追加説明が欲しい点，運用上の課題など（2/2）

- **適用範囲などに関する質問やコメントも複数挙げられた。**
 - 国際同時開発の医薬品についても本ガイドラインの適用範囲であると理解しているが，異なるならば，今後スコープを広げて行くように検討を進めていただきたい。
 - 海外で先行して臨床開発が進められ，国内ブリッジング試験により開発する場合にも，日本人P1試験の必要性判断に同様の考え方が適用できるか。
 - 「日本における患者数が多く，かつ，国際共同治験の実施までに日本人第Ⅰ相試験を実施する時間が十分にある」場合であっても，既存のデータから「（MRCTの）日本人治験参加者の安全性が臨床的に許容・管理可能であると判断できる」場合には，日本人P1試験を実施するか否かはあくまで会社判断である，という理解でよいか。
 - 抗がん剤開発においては，原則，日本人P1試験スキップが認められないようなコメントがPMDAから出されている。表現の修正を検討いただきたい。
- **柔軟な運用を求める意見が複数あった。**
 - 「治験相談等」とあるが，ケースバイケースで事前面談での柔軟な対応をお願いしたい。

まとめ

- 日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加することにPMDAと合意した事例が確認された。
 - 合意された事例とされなかった事例で示した根拠の違いは本調査からは明らかにできなかった。
 - 「日本人治験参加者の安全性が臨床的に許容・管理可能」と判断できる根拠や事例の共有の要望が多くあがった。
 - オンコロジー領域では日本人P1試験を実施せずにMRCTに参加する場合に、日本人の安全確保策がとられていた。
- 通知発出による影響を感じないという回答が多かったが、日本を含めたMRCTの検討やベンチャーからの導入の検討が増えたという影響も見られた。
- オンコロジー領域、非オンコロジー領域ともにMRCT前の日本人P1試験の必要性を検討することが増えている傾向がある。
- 適用範囲の拡大や柔軟な運用を求める意見が複数あった。

Thank You



August 4, 2025



日本人第I相試験関連通知について CROの視点より

EPS Corporation

Noriyuki Takai

President and CEO



Disclaimer

本内容は、海外でのカンファレンス参加や、日常のビジネスディスカッションの中で、得られた個人の見解および知見に基づいて作成されたものであり、所属する組織や団体の公式な立場や意見を代表するものではありません。

あらかじめご了承ください。

Agenda

- 本通知に関する**現状**（発出直後～発出1.5年経過後）
- 本通知に関する**見解例**（日本に拠点のない海外EBP/CRO）
- CROにおける本通知に関する**対応事例**
- 本通知を受けての実務上の**課題**
- 本通知に関する**CROからの提言**

本通知に関する現状（発出直後～発出1.5年経過後）

＜発出直後＞

- 日本人症例でのPhase1実施要否、日本での国際共同治験実施要件など、規制要件の変化に対して、日本に開発拠点をもたない海外企業からの問い合わせは増加
- 一方で、Phase 1実施不要というBig Key Wordだけが先行しており、ICH-E5における民族的要因における検討が不十分なケースも多数
- 海外カンファレンス等で、日本に開発拠点のある海外企業からの問い合わせもあり



本通知に関する現状（発出直後～発出1.5年経過後）

＜発出1.5年経過後＞

- 海外で実施されたアジア人・日本人を含むPhase 1データをもとに、日本国内でのPhase 1を省略した開発計画を検討されている事例も徐々に増加
- 本通知に対する認知経路も様々
 - 日本に拠点のある製薬企業、CROからの情報発信・共有
 - カンファレンスやWebサイトによるInsight提供



本通知に関する見解例（日本に拠点のない海外EBP/CRO）

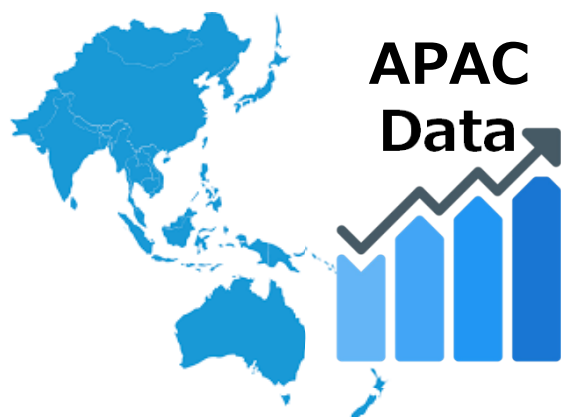
- 「日本人Phase1は不要」という認識だけが先行し、日本人を対象とした民俗差はあまり意識されていない
 - 英文通知の「2. Basic Principles」の1文目だけが認識されており、2文目については認識されていない（特に欧米Biotechへは適切な情報が届いていない）

2. Basic principles

In general, it is not mandatory to conduct a phase 1 study in each race/ethnicity or country/region before initiating an MRCT. In principle, an additional phase 1 study in Japanese is not needed unless it is deemed necessary after assessing whether the safety/tolerability of the dosage to be evaluated in the MRCTs in Japanese participants can be explained and the safety is clinically acceptable/manageable based on the data available prior to Japan's participation.

本通知に関する見解例（日本に拠点のない海外EBP/CRO）

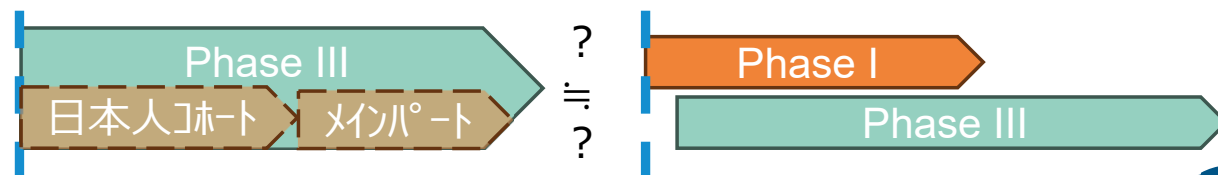
- 通知発出以前より、以下のような認識をされている事例あり
 - 日本はICH加盟国であり、諸外国と同様に日本人に限定したポピュレーションのデータがなくとも国際共同治験に参加可能
 - 主に東アジア人ポピュレーションでの検討が行われることで、日本人ポピュレーションにおける検討は不要
- Q&Aの記載より、中国の運用と比較して、「Phase1とPhase3を同時進行で実施できる形式になったのか？」との意見も



Q2: What additional measures can be taken to ensure the safety of Japanese participants in the MRCT?

(Answer)

- Set up a cohort to evaluate the safety (including pharmacokinetics, if necessary) of a small number of Japanese participants prior to the main part of the study.



CROにおける本通知に関する対応事例

<Case 1>

- 海外カンファレンス等で本通知の内容に対する印象をヒアリング
 - 規制緩和が推進されたとの認識を持たれ、この変化は素晴らしいとのコメント多数



<Case 2>

- 本通知発出前後での、開発計画の変化・考え方についてヒアリング（国内外）
 - 日本人プロフィールの検証アーム、MRCTにおける日本人症例数設計など、考え方に大きな変更なく、従前と同様の計画を基本としている

CROにおける本通知に関する対応事例

<Case 3>

- 海外で日本人を含むPhase 1を実施している途中に、通知が発出
- 米国EBP担当者は、Phase 1実施が不要となったと理解し、現在のデータでの次相への移行を検討
- 海外実施の非臨床データ、海外Phase 1(日本人少数例含む)を含めた結果をもとに、日本人Phase 1の個別実施、Phase 2/3での日本人アームは追加しないデザインで、PMDA相談を予定



<Case 4>

- 日本人のPhase 1を実施せず、Global Phase 2(日本人含む)を実施
- Global Phase 2の中で、日本人に対する追加のPK/PD検査を実施



本通知を受けての実務上の課題

<現状>



- 通知発出後1.5年が経過し、Global 企業の日本オフィスの薬事担当者や、CRO担当者による情報発信により、一定の理解促進が進んでいる

一方で、

- 本通知の本質的な議論（目的、民俗差の検討など）を省略し、**Phase 1 要・不要の議論だけ**が行われる事例も存在
- これらの事例では、民族差の議論はほとんど実施されていない



Case By Caseであることは前提であるが、

- どういったケースにおいてPhase 1不要と判断できるのか、不要となった場合にPhase 3で必要となる追加検査など、不明瞭かつ事例はまだ少なく、Phase 2 やPhase 3に参加するタイミングを逸するリスクがある
- 海外企業だけでなく、国内企業でも、解釈に違いが存在している
- 海外では、通知・ガイドライン・各種文書での具体例に限らず、**規制当局の担当者が個人的見解として、セミナー・シンポジウムを活用した事例紹介が行われることも多い**

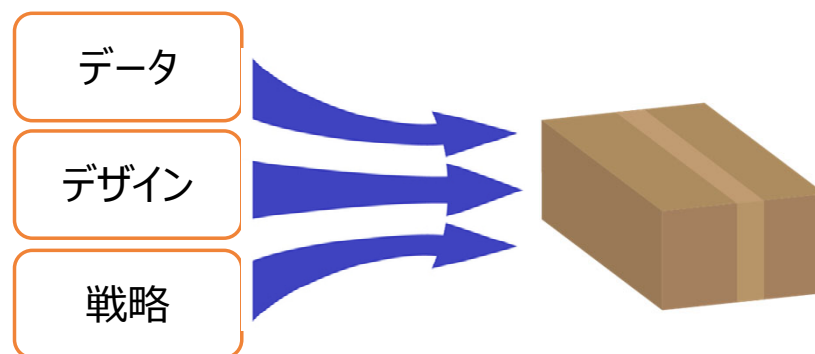
本通知に関するCROからの提言

Case By Caseでの判断が必要となることは理解できる一方で、海外EBPにおいては、事業計画・投資計画に影響するスケジュールや必要コストを考えるうえで、

- 「一定数」などの曖昧な表現ではなく、安全性確保ができ、薬物動態に大きな影響を与えない民族差の有無が証明できる内容として数値的事例があることが望ましい

EXAMPLE

- Phase 1 要否の議論ではなく、Phase 3 やRWD利活用を含めた開発パッケージにおいて、安全性確保策が検証できるかどうか、の議論へとシフトすべきである
 - Phase 1 時点では安全性データは十分ではなく、その時点で安全性データが十分かどうかの議論は有益ではない



本通知に関するCROからの提言

- 国内外において、共通認識には至っておらず、様々に立場より、また各種知見を有する方々による議論する場を今まで以上に持つとともに、その経過・結果を多くの場で、英語で共有することが必要
- 海外カンファレンス等において、団体・企業連携によるスピーキングセッション、パネルディスカッションなどをより積極的に活用できるとよい
- バイOTEック企業の視点では、
 - 時間の余裕があればPhase1を実施ではなく
 - 安全確保のできる最小・最速・最適パッケージでの実施を期待有効性・安全性・コスト・スピードなどの観点で、具体的な事例ベースで検討したい





EPS Corporation

Thank You

『「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験の実施に関する基本的考え方について」に関する公開シンポジウム』
2025年8月4日(月) 14:00～17:00



最近の事例を踏まえて治験届や 対面助言資料等での説明に期待すること

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
新薬審査第五部・国際共同治験WG
小林 洋輔

演題発表に関連し、開示すべきCOI関係にある企業等はありません。

**本発表は、発表者の個人的見解に基づくものであり、独立行政法人医薬品医療機器
総合機構の公式見解を示すものではありません。**

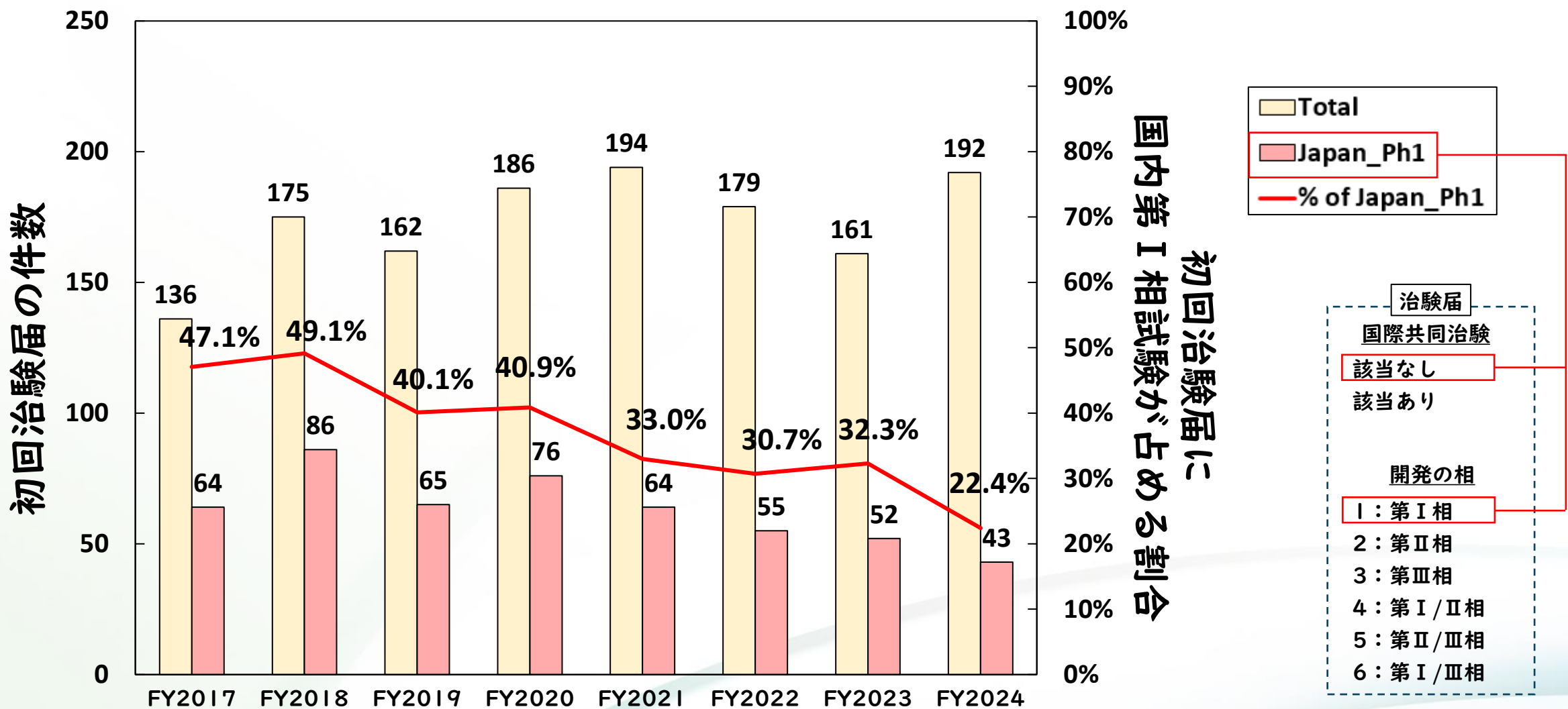
Agenda

- 新通知発出前後の変化
- 新通知に基づき考慮すべき点
- 各種資料作成時の留意点
- まとめ

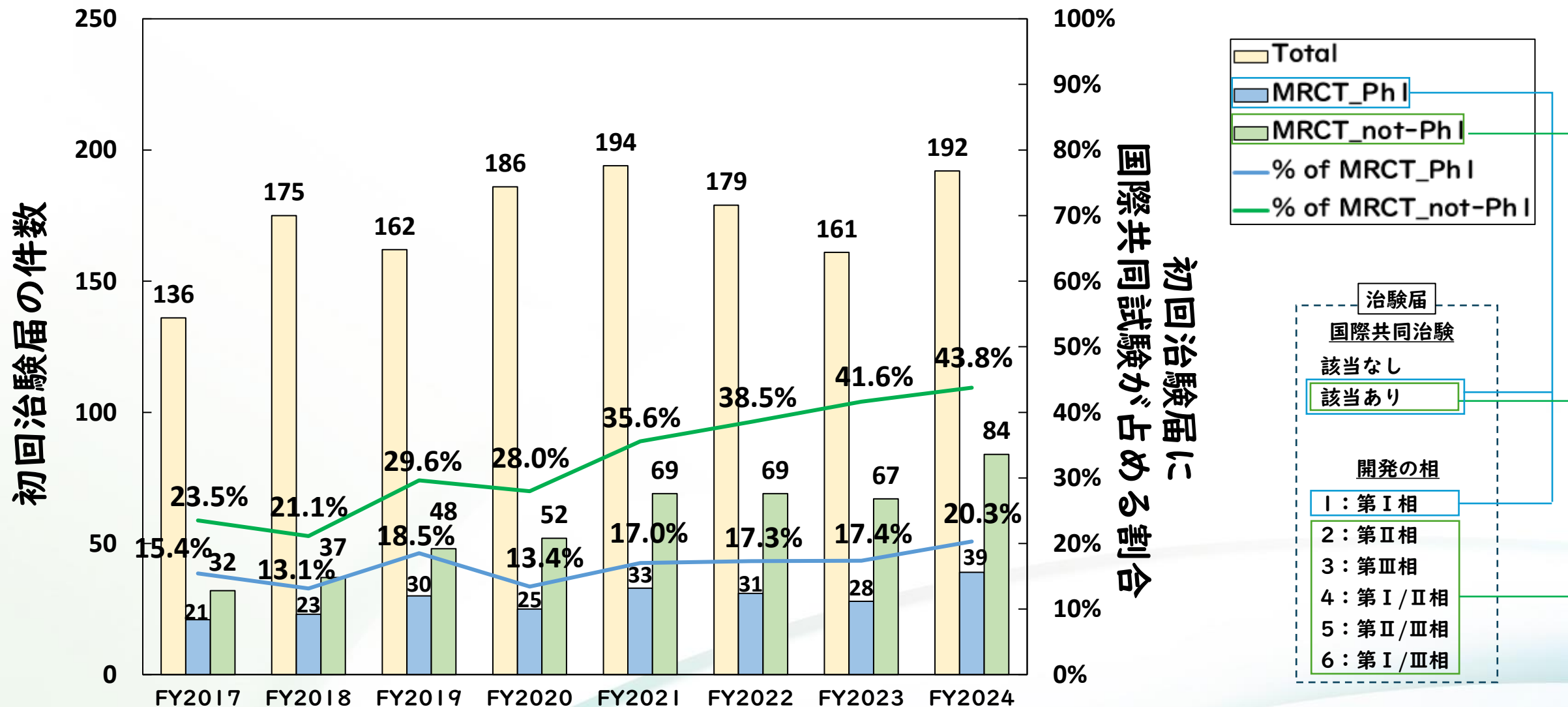
新通知の発出前後でのPMDAの検討方針

- 新通知の発出以前より、海外で臨床開発が先行している場合、第Ⅱ相試験以降の国際共同治験に参加するにあたり、一律に日本人第Ⅰ相試験の実施は求めてはならず、その時点で利用可能な情報を基に、その実施の要否を品目ごとに検討してきた。
- なお、個別に検討する方針に変わりはないが、2007年通知の発出以降、国際共同治験や民族差に関する知見の蓄積等に伴い、日本人第Ⅰ相試験の実施を求める品目数は2007年から減少傾向にあると推察される。
- 新通知により原則論が変更されたが、一律に日本人第Ⅰ相試験の実施は求めないとしているわけではなく、その時点で利用可能な情報を基に、その実施の要否を品目ごとに検討するという方針自体には変わりはない。

初回治験届における国内第Ⅰ相試験の現状



初回治験届における国際共同治験の現状



海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人第Ⅰ相試験の要否を検討するに際し新通知に基づき考慮すべき点

国際共同治験に参加する 日本人治験参加者の安全性が臨床的に許容・管理可能であるか

- 被験薬のリスクの大きさ
- 民族的要因の影響の受けやすさ

国際共同治験に参加できないことによる不利益の大きさ

- 患者数の希少性
- 医療ニーズ（重篤性、既存治療の有無等）

被験薬のリスクの大きさ

- 得られている情報を基に、潜在的なものを含め、国際共同治験の用法・用量で投与した際に想定されるリスクを考察する。

【主な考慮事項】

- 非臨床試験の結果から、重大な潜在的リスクが示唆されていないか。
- 国際共同治験で使用する最大用量においても十分な安全域が確保されているか。
- 海外臨床試験において、用量（血中濃度）依存的に発現率や重症度が高くなる临床上重要なリスクが認められていないか。
- 海外臨床試験において、国際共同治験の用法・用量を投与した際に重症度の高い有害事象、重篤な有害事象等は認められていないか。
- 類薬に関連する情報から临床上重要なリスクが想定されないか。
- 想定されるリスクに対する明確な対処法やモニタリング方法が存在するか、また、それらは国際共同治験で規定されているか。

民族的要因による影響の受けやすさ

- ・ 得られている情報を基に、具体的に懸念される民族差とその影響の程度を推定する。

【主な考慮事項】

- 作用機序の観点から民族差が想定されるか（標的分子における民族差の有無、局所作用を意図したものか）
- 薬物動態特性（代謝経路等）に基づき民族差が想定されるか。
- M&Sによる検討を含め海外臨床試験データ（線形性、用量反応関係（治療域の広さ）、体重や人種差による影響の受けやすさ等）に基づき、民族差による影響を受けることが示唆されていないか。
- 類薬において安全性に関する民族差が報告されていないか。

国際共同治験に参加できないことによる不利益の大きさ

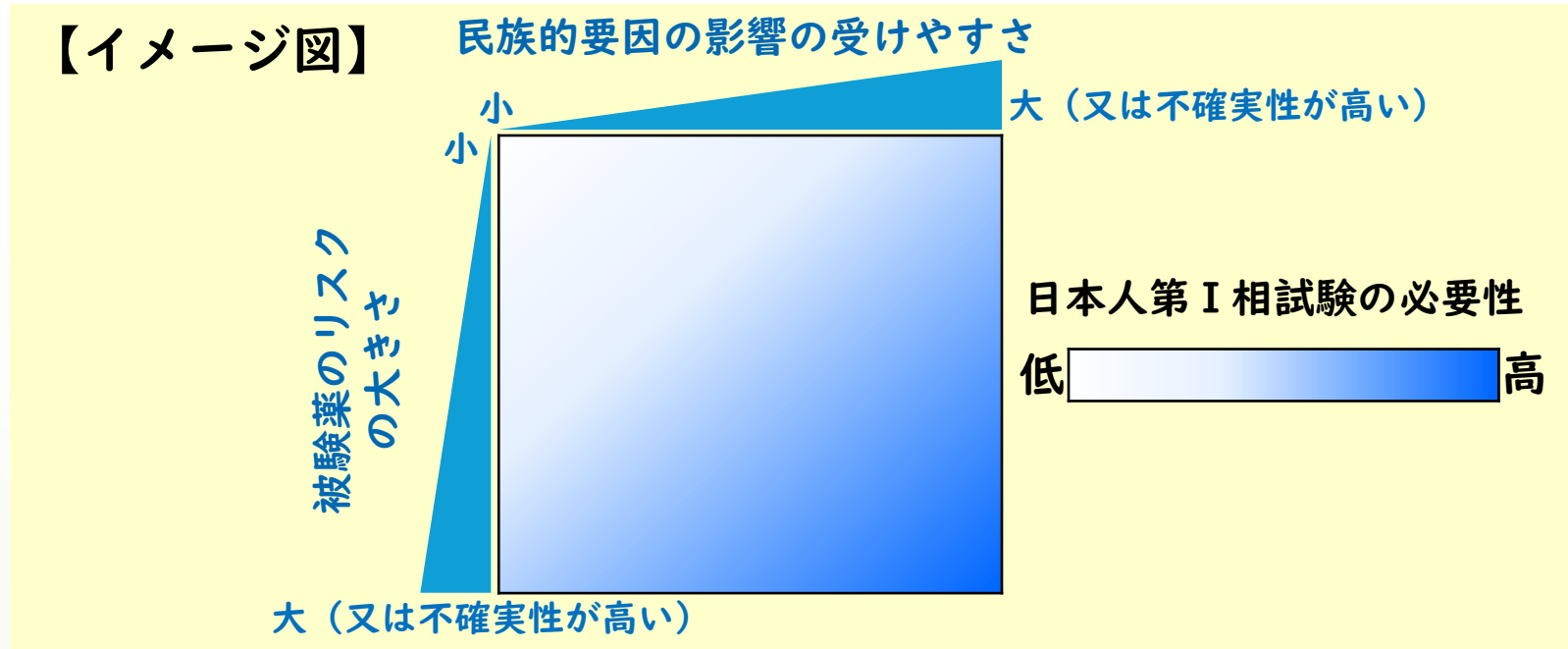
- ・ アンメットメディカルニーズが高く、日本での開発のためには、国際共同治験への参加が望ましいと考えられるか検討する。

【主な考慮事項】

- 希少な疾患かどうか
- 難治性かつ重篤な疾患かどうか
- 既存薬がない、又は既存薬により医療ニーズが十分満たされていないかどうか
- 臨床開発の障壁が大きい（小児を対象とした薬剤等）かどうか

海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人第 I 相試験の要否の決定

- 被験薬のリスクの大きさと民族的要因の影響の受けやすさの検討結果を踏まえ、日本人第 I 相試験の必要性の程度を検討する。



- 上記の検討結果に加え、国際共同治験に参加できないことによる不利益の大きさも考慮し、日本人第 I 相試験を実施するか否か検討する。なお、日本人第 I 相試験の必要性が高いと考えられる場合でも、国際共同治験において追加の安全確保策を講じることで参加可能となる場合もある。

国際共同治験における追加の安全確保策

- 例えば、以下のような方策がとり得る。
 - 先行して少数例の日本人治験参加者の安全性（必要に応じて薬物動態も含む）を評価するコホートを設定する。
 - 一定数の日本人治験参加者での安全性評価が完了するまでは、適切な間隔をあけて少数例に分けて（例えば1例ずつ）投与する。
 - 投与初期の来院・モニタリング頻度を増やす。
 - 投与初期は入院管理する又は一定時間治験実施施設内に日本人治験参加者を留めて観察する。
 - 一定数の日本人治験参加者での安全性評価が完了するまでは、独立データモニタリング委員会等、第3者から構成される組織において日本人治験参加者に特に注意を払った安全性のモニタリングを実施し、参加継続の可否等を検討する。

治験相談・治験届に係る資料作成時の留意点

- 新通知等に基づき日本人第Ⅰ相試験を実施しない場合であっても、日本人第Ⅰ相試験を実施しないことの適切性に関する詳細な説明が必要である。
- 説明にあたっては、具体的な根拠（試験成績、公表論文等）に基づき相談者・届出者の考えを丁寧に説明する必要がある。
 - × 具体的な検討結果は提示されずに、通知に基づき日本人第Ⅰ相試験の実施は不要と判断した旨のみ記載されている。
 - × データのみ提示され、相談者・届出者の考えが記載されていない。
 - × 「海外試験で問題がなかった」、「これまでに得られている情報に基づく懸念がない」等と記載されているのみで、具体的なデータが提示されていない。
- 日本人第Ⅰ相試験を実施しない場合でも、国際共同治験成績に基づく承認申請時には、民族的要因による治療効果への影響の有無の考察が必要です。
 - 必要に応じて薬物動態に関する民族差を検討するための計画（日本人PKデータの取得計画等）も相談してください。

まとめ

- 新通知の発出により、海外で臨床開発が先行している場合、国際共同治験開始前の日本人第Ⅰ相試験の実施について、原則必要から原則不要と表現が変わったものの、一律に不要となったわけではない。
- 日本人第Ⅰ相試験の要否は、引き続き、科学的なデータ等に基づき慎重に検討する必要があるため、対面助言等を通じてPMDAとの相談を積極的に活用していただきたい。
- 今回の通知改正は、日本におけるドラッグラグ・ロスの解消の一助になることが期待されるものの、通知の趣旨を正しく理解した上で、適正に運用することが重要である。
- 将来的なドラッグラグ・ロスに対応するためには、第Ⅰ相試験を含めた早期の段階から臨床開発に日本が参加できるよう体制や基盤の整備に向け産官学で協働することが重要である。

ご清聴ありがとうございました



健やかに生きる世界を、ともに



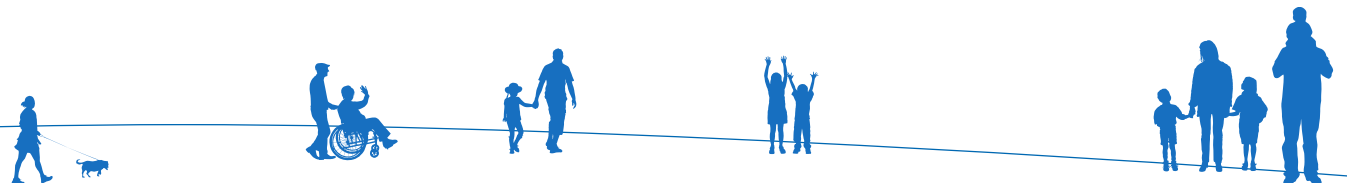
August 4, 2025

Symposium on "Basic principles for conducting phase 1 studies in Japanese prior to initiating multi-regional clinical trials including Japan for drugs in which early clinical development is preceding outside Japan"

PMDA Washington D.C. Office Initiatives

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency
Head, Washington D.C. Office

Akihiro Ishiguro, Ph.D.



PMDA's International Hubs



Asia Office,
Bangkok

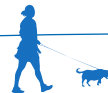


PMDA Central Office,
Tokyo



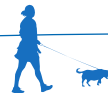
Washington D.C. Office

Establishment of PMDA's international hubs
to enhance international contribution/capability for regulatory proposal
PMDA's 5th mid-term plan



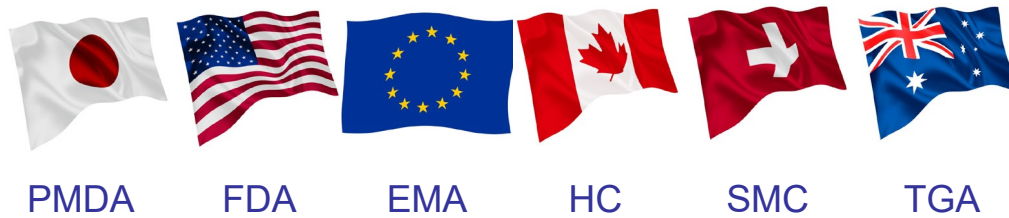
For international contribution/capability to PMDA's regulatory proposal

- Cooperation with U.S. FDA and related administrative agencies, such as
 - to promote further access to innovative human medicines/medical devices/regenerative products
 - to engage in further discussion on marketing authorizations and post-marketing measures
- More opportunities for communication with stakeholders to provide information on Japanese regulation
 - in the same time zone without considering time-zone difference
 - as “General Consultation Service” for small business/start-up companies on early development in Japan



Current collaboration with US FDA in oncology area

- Oncology Drugs Cluster: Monthly virtual meetings



- Project Orbis led by U.S. FDA

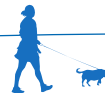


Project Orbis

A framework for concurrent submission and review of oncology products



<https://www.fda.gov/about-fda/oncology-center-excellence/project-orbis>



General Consultation Service at Washington D.C. Office

[Application for
General Consultation](#)



PMDA 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

Favorite pages Search within PMDA site Search

⚠ Safety Alert & Recalls/ Review Reports/ Package Inserts etc. 📄 Formats DL

Menu of each service		Menu for each of you		Menu of each product type	
Reviews and Related Services	Post-marketing Safety Measures	Relief Services for Adverse Health Effects	Regulatory Science/The Science Board/Standard Development	International Activities	

Home > International Activities > Overseas Office > PMDA Washington D.C. Office > PMDA Washington D.C. Office General Consultation Service

International Activities

PMDA Washington D.C. Office General Consultation Service

★ Add this page to "Favorite pages" 🖨 Print the text

1. Scope of Consultation

PMDA Washington D.C. Office is now offering general consultation services to assist companies and related parties understand Japanese regulatory process and procedures on reviews and post-marketing safety measures. Our services encompass providing:

- Information on regulations or procedures under the Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products including Pharmaceuticals and Medical Devices (Act No. 145 of August 10, 1960) of Japan
- A general explanation of basic matters for practical regulatory application of new seeds for drugs, medical devices, and regenerative medicine products
- An explanation of PMDA's services, and support in selecting one or more consultation categories provided by PMDA's review team in Japan

Please note that PMDA Washington D.C. Office will not provide any advices specifically related to business, strategic or legal matters on your products. However, upon request, PMDA's review team in the Tokyo Headquarters, through separate consultation arrangements, will provide guidance and advice on specific development plans for individual products (e.g., sufficiency of non-clinical study data, appropriateness of clinical study protocols¹⁾).

1) <https://www.pmda.go.jp/english/review-services/consultations/0002.html>

International Activities

Outline

For Industry - for development in Japan

International Harmonization

Bilateral Arrangements

Cooperation with Asia

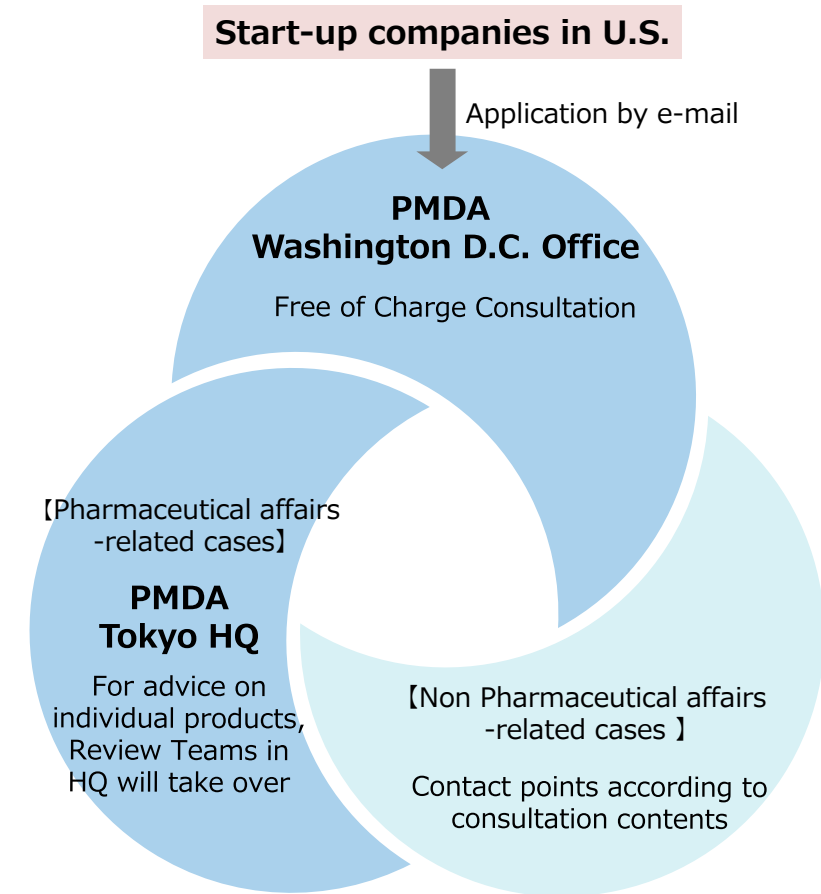
Asia Training Center

Overseas Office

PMDA Asia Office

PMDA Washington D.C. Office

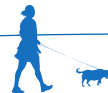
**PMDA Washington D.C. Office
General Consultation Service**



Discussion Points for networking meetings with U.S. organizations

- How many startups/venture companies (emerging companies), in the U.S. are interested in developing products in Japan?
- If they do develop products in Japan, what do they want to know?
- What are the barriers to entry into Japan?

- The smaller the company, the more severe the impact of language barriers (e.g., securing Japanese interpreters, preparing regulatory documents).
- Strengthening networking organizations, i.e., Accelerators and Incubators, to enhance drug discovery ecosystem in Japan.

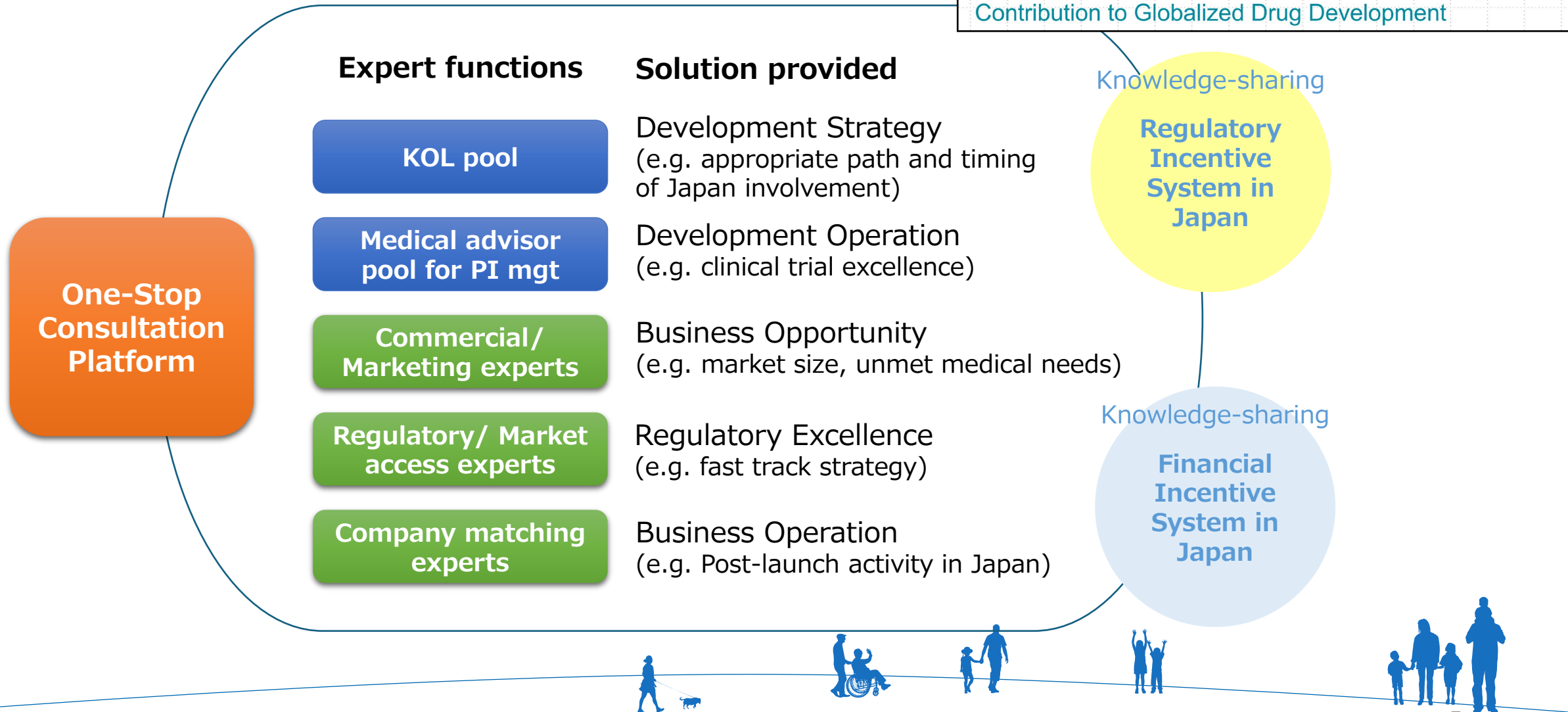


One-Stop Consultation Service led by National Cancer Center Hospital (NCCH)

DIA 2025
GLOBAL ANNUAL MEETING

WASHINGTON, DC
JUNE 15-19

Why Does Drug Loss Occur?
Challenges to be Addressed for Patients, and Japan's
Contribution to Globalized Drug Development



Future initiatives



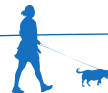
Further collaborations with U.S. FDA in various area



Networking with U.S./JP organizations to enhance development in Japan



Promote better understanding of Japanese regulations that PMDA covers



Thank you



PMDA Updates

2025
Spring

Check it out !



Index

Highlights Please contact PMDA Washington
D.C. Office for initial advice

2





Making everyone's lives brighter together