

事務連絡

令和 8 年 5 月 18 日

(別記) 御中

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
再生医療製品等審査部

「バイオ後続品の先行バイオ医薬品との同等性検証において
有効性比較試験の必要性を判断するための検討事項 (Early Consideration)」について

日頃より、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（総合機構）の審査等業務に対し、ご理解とご協力を賜り厚く御礼申し上げます。

バイオ後続品の先行バイオ医薬品との同等性検証における有効性比較試験に関する基本的考え方については、「バイオ後続品の品質・安全性・有効性確保のための指針に関する質疑応答集 (Q&A) (その 2)」(令和 8 年 5 月 12 日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡) により示されているところです。

今般、当該事務連絡で示された内容を補完するとともに、総合機構での経験を踏まえ、現時点における規制上の考え方を明確に提示することを目的として、バイオ後続品の先行バイオ医薬品との同等性検証において有効性比較試験の必要性を判断するための検討事項を整理しましたので、別添のとおりお知らせします。

なお、Early consideration とは、科学的知見や情報等が必ずしも十分に集積されていない段階ではあるものの、新たな技術等のイノベーションの実用化と革新的な医薬品等の開発を促進するための参考情報として、その時点における考え方を示したものであり、今後、新たに得られる知見や科学の進歩等により、変わり得るものであることにご留意ください。

(別記)

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

一般社団法人日本バイオシミラー協議会

バイオ後続品の先行バイオ医薬品との同等性検証において
有効性比較試験の必要性を判断するための検討事項（Early Consideration）

令和 8 年 5 月 18 日
独立行政法人医薬品医療機器総合機構
再生医療製品等審査部

1. はじめに

バイオ後続品の開発では、先行バイオ医薬品との同等性／同質性を保証するため、品質比較試験、さらに臨床試験として、薬物動態（以下、「PK」）を比較する試験に加え、有効性比較試験が標準的に実施されてきた。

近年、バイオテクノロジー分野における分析技術の進歩によりバイオ医薬品の特性解析における網羅性及び分析法の性能が向上してきている。このような状況の中、有効性比較試験は品質比較試験と比較してバイオ後続品と先行バイオ医薬品の差異を感度良く検出できないことが指摘されている¹⁾。また、バイオ後続品の審査や開発の経験が蓄積されてきたことにより、有効性比較試験がなくてもバイオ後続品と先行バイオ医薬品との同等性／同質性を保証できる場合があることが指摘され²⁻⁶⁾、バイオ後続品の開発においてどのような場合に有効性比較試験を不要と判断できるかが国際的に議論されている^{7,8)}。

このような背景のもと、本邦においては、「バイオ後続品の品質・安全性・有効性確保のための指針に関する質疑応答集（Q&A）（その2）」（令和 8 年 5 月 12 日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡）により有効性比較試験を不要とできる場合があることが明確化され、有効性比較試験の要否について対面助言等を通じて個別に総合機構に相談することを勧める旨が示された⁹⁾。

本文書の目的は、バイオ後続品と先行バイオ医薬品の同等性検証において有効性比較試験の必要性を判断するための検討事項に関して、当該事務連絡で示された内容を補完するとともに、現時点における規制上の考え方をより明確に提示することである。

2. 適用範囲

本文書は『「バイオ後続品の品質・安全性・有効性確保のための指針」について』（令和 2 年 2 月 4 日付け薬生薬審発 0204 第 1 号）の対象となる医薬品に適用される。

3. 基本的考え方

バイオ後続品の開発では、科学的に妥当かつ合理的な範囲で先行バイオ医薬品と品質特性（構造、物理的・化学的性質及び生物学的性質）に関する比較試験を実施することにより品質特性の類似性の程度を明らかにし、認められた品質特性の差異が有効性、安全性及び免疫原性に影響を及ぼさないことを示す必要がある。

品質比較試験及びPK比較試験（又はPK／薬力学（以下、「PD」）比較試験）の結果並びに製品特性の理解に基づいて、品質特性の差異が有効性、安全性及び免疫原性に影響を及ぼさないことを示し、先行バイオ医薬品との同等性／同質性を保証できる場合には有効性比較試験を不要とすることが可能である。

4. 有効性比較試験の必要性を判断するための検討事項

総合機構と有効性比較試験の要否を対面助言で協議する場合には、有効性比較試験を実施せずに相談品目と先行バイオ医薬品との同等性／同質性を保証することが可能と考えた根拠を具体的に説明すること。以下に、相談資料に含めるべき内容を示す。

(1) 品質に関する資料

① 相談品目の作用機序に関する知見

相談品目の先行バイオ医薬品が取得している効能又は効果のうち、少なくとも相談品目の初回の製造販売承認申請における効能又は効果について、効能又は効果間の作用機序の異同を説明に含めること。

② 相談品目の品質特性（構造、物理的・化学的性質及び生物学的性質）とPK、有効性、安全性及び免疫原性との関連性について得られている情報

③ 各品質特性の評価に用いる分析法の概要

④ 相談品目と先行バイオ医薬品の細胞基材の異同に関する情報

⑤ 品質比較試験計画又は結果

上記①～④を踏まえ、試験項目、ロット数及び評価方法の適切性（各品質特性に関するリスクアセスメント結果を含む。）を説明すること。品質比較試験結果（予備的に実施した品質比較試験結果を含む。）がある場合には、当該試験結果を提示した上で、当該試験において認められた品質特性の差異が有効性、安全性及び免疫原性に及ぼす影響の有無を根拠に基づき説明すること。

(2) 臨床試験に関する資料

① 試験実施計画又は結果

PK比較試験の概要（対象被験者、用法及び用量、評価項目、同等性評価方法、被験者数等）に加え、PK比較試験における安全性評価、免疫原性評価及びPD評価の有無並びにその評価内容の適切性についても説明すること。

② 臨床データパッケージ

③ 先行バイオ医薬品が取得している効能又は効果のうち、少なくとも相談品目の初回の製造販売承認申請における効能又は効果について、それらを取得可能と考える理由

(3) その他

対象疾患が希少疾病であり、有効性比較試験の実施が困難である場合には、対象疾患の患者数等、その根拠を具体的に説明すること。

5. 参考

- 1) Cohen, H.P., Turner, M., McCabe, D., et al. Future Evolution of Biosimilar Development by Application of Current Science and Available Evidence: The Developer's Perspective. *BioDrugs*. 2023; 37(5): 583–93.
<https://doi.org/10.1007/s40259-023-00619-0>
- 2) Goto, K., Hariu, A., Kuribayashi, R. Survey on the Role of Comparative Efficacy Studies Required for Biosimilar Monoclonal Antibody Approval in Japan to Justify the Quality Attribute Differences Between Biosimilars and Their Reference Products Based on the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) Assessments. *Pharmaceutical Medicine*. 2025; 39(6): 477–91.
<https://doi.org/10.1007/s40290-025-00583-w>
- 3) Guillen, E., Ekman, N., Barry, S., et al. A data driven approach to support tailored clinical programs for biosimilar monoclonal antibodies. *Clinical Pharmacology & Therapeutics*. 2023; 113(1): 108–23.
<https://doi.org/10.1002/cpt.2785>
- 4) Kirsch-Stefan, N., Guillen, E., Ekman, N., et al. Do the Outcomes of Clinical Efficacy Trials Matter in Regulatory Decision-Making for Biosimilars? *BioDrugs*. 2023; 37(6): 855–71.
<https://doi.org/10.1007/s40259-023-00631-4>
- 5) Ji, P., Schrieber, S. J., Glaser, R., et al. A Meta-Analysis of the Safety and Immunogenicity of Pharmacokinetic Similarity Studies and Comparative Clinical Studies. *The Journal of Clinical Pharmacology*. 2025; 65(4): 499–507.
<https://doi.org/10.1002/jcph.6165>
- 6) Schiestl, M., Roy, N., Trieb, M., et al. Analytical Data and Single-Dose PK are Sufficient to Conclude Comparable Immunogenicity for Biosimilars: An Ustekinumab Case Study. *BioDrugs*. 2025; 39(5): 769–76.
<https://doi.org/10.1007/s40259-025-00733-1>
- 7) IPRP BWG Workshop Summary Report: Increasing the Efficiency of Biosimilar Development Programs—Reevaluating the Need for Comparative Efficacy Studies. 6 May 2024.
https://admin.iprp.global/sites/default/files/2024-07/IPRP_BWG_Final%20IPRP%20Scientific%20Workshop%20Summary%20Report_2024_0506.pdf
- 8) ICH. Final Concept Paper: M18: Framework for Determining the Utility of Comparative Efficacy Studies in Biosimilar Development Programs.

https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_M18_Final_Concept_Paper_MCEndorsed_2025_1119.pdf

- 9) 「バイオ後続品の品質・安全性・有効性確保のための指針に関する質疑応答集 (Q&A) (その2)」 (令和8年5月12日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡)

<https://www.pmda.go.jp/files/000280646.pdf>

以上