



福岡医発第 1619 号（総）

令和 4 年 9 月 12 日

各 医 師 会 長 殿

福 岡 県 医 師 会

会 長 蓮 澤 浩 明

（ 公 印 省 略 ）

「人道的見地から実施される治験の実施について」の改正について

初秋の候、貴職益々ご清祥のこととお慶び申し上げます。

医薬品における人道的見地から実施される治験については、厚生労働省通知「人道的見地から実施される治験の実施について」（平成 28 年 1 月 22 日薬生審査発 0122 第 7 号）に基づき実施されておりますが、今般、標記の件について厚生労働省医薬・生活衛生医療機器審査管理課長より通知が発出され、日本医師会を通じ本会に対しても周知依頼がありましたのでお知らせいたします。

本件は、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律の施行に伴う関係省令の整備等に関する省令（令和 2 年厚生労働省令第 155 号）の施行等を踏まえ、標記通知について、別添の通り改正されたことを周知するものです。また、「人道的見地から実施される治験の実施に関する質疑応答（Q & A）の改正について」も改正されておりますことを申し添えます。

つきましては、貴会におかれましても本件についてご了知いただくとともに、貴会会員への周知方につきご高配賜りますようお願い申し上げます。

小郡三井医師会より

学術担当理事 柳 大三郎
会長 島田昇二郎

日医発第 1055 号（技術）

令和 4 年 9 月 6 日

都道府県医師会 担当理事 殿

公益社団法人日本医師会常任理事

宮川 政昭

（公印省略）

「人道的見地から実施される治験の実施について」の改正について

時下益々ご清栄のこととお慶び申し上げます。

さて今般、厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長より各都道府県衛生主管部（局）長宛に標記の通知が発出されるとともに、本会に対しても周知方依頼がありました。

医薬品における人道的見地から実施される治験の実施については、平成 28 年 3 月 11 日付け日医発第 1118 号（地 I 296）を以て貴会宛にご案内しているとおり、生命に重大な影響があつて既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の患者が、承認薬の有効性を検証するための治験の参加基準に満たないために参加できない場合、人道的見地から「拡大治験」として参加できることとされています。

本通知は、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律の施行に伴う関係省令の整備等に関する省令（令和 2 年厚生労働省令第 155 号）の施行等を踏まえ、標記通知について、別添の通り改正されたことの周知を依頼するものです。

具体的には、「被験薬の追加」又は「本質的な対象疾患の変更」を行った治験計画変更届書を届け出た場合に治験情報公開にかかる資料を更新すること等が示されています。

併せて、「人道的見地から実施される治験の実施に関する質疑応答（Q & A）の改正について」が改正されましたので、情報提供致します。

つきましては、貴会におかれましても本件に関してご了知いただきますとともに、貴会管下関係医療機関等への周知方につきご高配賜りますよう、よろしくお願い申し上げます。



事 務 連 絡

令和4年8月31日

公益社団法人 日本医師会 御中

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

「人道的見地から実施される治験の実施について」の改正について

標記について、別添写しのとおり、各都道府県衛生主管部（局）長宛て通知しましたので、貴会会員に対し周知いただきますようよろしくお願いいたします。

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

「人道的見地から実施される治験の実施について」の改正について

欧米等では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応（以下「未承認薬等」という。）の国内導入に向けては、「未承認薬使用問題検討会議」及び「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（以下「未承認薬等検討会議」という。）での検討に基づく開発の要請及び公募を通じて取り組むとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の審査員の増員を始めとする審査機能等の充実を通じて審査期間の短縮を図ってきた。

これにより、承認審査にかかる期間に起因するいわゆるドラッグラグ（審査ラグ）はほぼ解消されたと考えられるものの、生命に重大な影響がある疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の場合には、医薬品の承認申請から承認までの期間を待つことが出来ない患者も存在することが考えられる。

こうした事情を踏まえ、治験の参加基準に満たない患者に対する治験へのアクセスを充実させる仕組み（日本版コンパッションエートユース）の導入に向けた検討を進め、実施中の治験の実施に影響を及ぼさないことを前提に、人道的見地から、当該治験に参加できない患者に対して未承認薬等を提供できるようにするための方策について、「人道的見地から実施される治験の実施について」（平成28年1月22日付け薬生審査発 0122 第7号厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課長通知）により示してきた。

今般、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律の施行に伴う関係省令の整備等に関する省令（令和2年厚生労働省令第155号）の施行等を踏まえ、「被験薬の追加」又は「本質的な対象疾患の変更」を行った治験計画変更届書を届け出た場合に治験情報公開にかかる資料を更新することなど、下記のとおり改正したので、貴管内関係業者に対して周知願いたい。

記

1. 制度の趣旨

欧米においては、「Expanded Access Program」あるいは「Compassionate use」制度として、代替治療薬の存在しない致死的な疾患等の治療のために人道的見地から未承認薬の提供を行う制度が整備されているところである。

医薬品の臨床的使用については、品質、有効性及び安全性の確保の観点から、原則として「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する

法律」（昭和 35 年法律第 145 号。以下「医薬品医療機器法」という。）における製造販売承認が取得されたものが原則であるものの、致死的な疾患等の患者にとっては、未承認薬等が最後の望みとなることも想定されることから、生命に重大な影響がある疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の治療のため、未承認薬等を臨床使用する場合には、当該未承認薬等の使用によるリスクと期待される治療上のベネフィットのバランスを図りつつ、当該医薬品の開発に支障を生じないことを前提として、これらの患者からのアクセスを確保することが求められている。

このため、わが国においても欧米と同様の趣旨の制度の検討が行われてきたが、重篤な副作用等による健康被害を引き起こすことにならないよう、また、治験の進捗に影響を与えて未承認の状況を徒に長引かせることにならないように慎重な検討と制度設計が必要とされた。

そこで、海外の実施状況等を確認しつつ、そのあり方等について、平成 25 年度から実施した「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬のアクセス充実対策等事業」を通じて検討を行い、治験の参加基準に満たない患者に対する人道的見地からの未承認薬等の提供のあり方について、関係者の意見を聴取して実施可能性も考慮の上、「人道的見地から実施される治験」（以下「拡大治験」という。）として整理し、平成 28 年 1 月から運用を実施しているところである。

本制度は、法令的には既存の枠組みである治験制度の下に実施されることから、国が主治医からの要望に基づいて治験依頼者又は自ら治験を実施する者（以下「治験実施者」という。）に対して拡大治験の実施の検討を要請する点や患者に一部の費用負担を求めることもあり得る点等を除き、原則として既存の治験の取扱いと同様である。

2. 制度の概要

（1）制度の対象範囲

- 未承認薬等は開発の途中であるため最終的に承認されるとは限らない。特に適応疾患の範囲や用法・用量が定まっていない開発の早期の段階では、例え、他に有効な治療薬がない状況にあったとしても、患者が得られるベネフィットを確保する観点から、未承認薬等へのアクセスを制度として認めることは慎重であるべきと考えられる。このため、本制度においては、未承認薬等の投与により、患者が期待されるベネフィットを享受できる蓋然性が比較的高いと考えられる国内開発の最終段階である治験（通常、効能・効果及び用法・用量が一連の開発を通じて設定された後に実施される有効性及び安全性の検証を目的とした治験、以下「主たる治験」という。）の実施後あるいは実施中（組入れ終了後のものに限る。以下同じ。）の被験薬を対象とする。
- 拡大治験の実施については、主たる治験の円滑な実施に好ましくない影響を及ぼすことにより、当該医薬品の開発を大幅に遅延させるおそれがあることから、あくまでも主たる治験に影響を及ぼさないことを前提とする。
- 未承認薬等を使用するリスクと期待される有効性のベネフィットにおける、ベネフィット・リスクバランスの観点から、原則として、当該医薬品の承認申請、承認及び保険適用の期間を待つことが出来ない、生命に重大な影響がある疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の被験薬を対象とする。

(2) 臨床試験の位置づけ

- 国内で承認されていない未承認薬等の投与における安全性確保の観点から、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」（平成9年厚生省令第28号。以下「GCP省令」という。）が適用される治験の枠組みの中で実施する（承認取得後は、「医薬品の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令」（平成16年厚生労働省令第171号）第2条第4項にいう製造販売後臨床試験として継続する場合も含む。）。
- 拡大治験については、治験計画届書を事前に提出する必要がある。関連の通知を参照し、治験計画届書における「当該届出に関するその他の情報」の「臨床試験の位置付け」の「該当の有無等」の項に「拡大治験」を記載又は入力（以下「記載等」という。）すること。また、「当該届出に関するその他の情報」の「その他」の項に「拡大治験、主たる治験の受付番号〇〇〇〇-〇〇〇〇」と記載等すること。なお、本制度の運用に伴い、主たる治験の治験計画届書についても、「当該届出に関するその他の情報」の「臨床試験の位置付け」の「該当の有無等」の項に「主たる治験」を記載等すること。

(3) 拡大治験の実施に係る検討要請と実施の可否の決定

- 拡大治験は、人道的見地から実施される治験であることから、治験実施者が自発的に実施することを妨げない。
- 拡大治験の実施は法的義務ではなく、その実施の可否は、当該被験薬を提供する者が決定するものである。ただし、いわゆる医師主導治験として拡大治験を実施する場合には、当該拡大治験を自ら実施する者が被験薬の入手可能性を踏まえた上で決定するものである。
- 安全性確保の観点から、拡大治験の実施の検討には患者の病状等を熟知する主治医の経験・見識が必要であることから、主治医が治験実施者に拡大治験の実施の要望を行うこととする。
- 人道的見地から、可能な限り主治医及び患者からの要望に応えることが期待されるものの、以下の理由等により、拡大治験が実施できない場合も想定され得る。このような場合には、治験実施者は、主治医に対し、別紙様式1を用いて、実施できない理由をわかりやすく回答することとする。
 - 既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重大な影響がある重篤な疾患ではない（制度該当性事由）
 - 被験薬の供給に余裕がないこと等（絶対事由）
 - 主たる治験の組入れ期間中である等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれがあること（時期的事由）
 - 患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から拡大治験への参加が勧められないこと等（個別事由）
- 主たる治験に参加できない場合であって、「制度該当性事由」（「制度該当性事由」を含む複数の事由の場合も含む。）により拡大治験の実施ができないと治験実施者から回答を受けた主治医及び患者が、治験実施者が回答した「制度該当性」に納得できない場合、主治医は、主たる治験に参加できない理由及び拡大治験の必要性等を述べた別紙様式2による検討依頼書を、治験実施者から受けた別紙様式1による回答を添えて厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課（以下「医薬品審査管理課」という。）に提出することができるものとする。

検討依頼書を受け付けた場合、厚生労働省は、未承認薬等検討会議において、拡大治験実施の妥当性における制度該当性基準への該当性のみを評価することとする。

未承認薬等検討会議において、制度該当性基準に該当するとされた場合には、厚生労働省は、当該主たる治験の治験実施者（いわゆる医師主導治験にあっては、当該治験を自ら実施する者と当該治験の被験薬を提供している者。以下同じ。）に対して拡大治験の実施の検討を要請することとする。

要請を受けた治験実施者は、改めて拡大治験の実施の可否を検討し、主治医に回答することとする。

なお、未承認薬等検討会議の検討結果については、厚生労働省のホームページで公開することとしているので、そちらを参照されたい。

- なお、実施の判断は、欧米の類似の制度と同様に企業が行うものであるが、被験薬の供給に余裕がない場合、主たる治験の組入れ期間中である等の理由で主たる治験の実施に影響を与えるおそれがある場合又は患者の病状に鑑みて安全性の観点から拡大治験への参加が勧められない場合等、実施できない場合も想定されることについて承知されたい。

（４）治験実施計画書

- 拡大治験の治験実施計画書は、主たる治験の治験実施計画書を基に作成されることを前提とし、主たる治験の治験実施計画のうち、安全性の確認に主眼を置いて変更を加えたものを基調とする。なお、有効性検証のための指標に係る検査項目等は患者の安全性確保に支障が無い範囲で簡略化あるいは省略することは差し支えないものとする。
- 拡大治験の治験実施計画書の作成にあたっては、必要に応じて PMDA の治験相談等を利用することができる。
- 原則として、拡大治験の要望を受けてから実施を検討するものであるが、特例として、拡大治験実施の社会的要請度が高いと想定される医薬品の主たる治験を実施する際には、主たる治験の治験実施計画書の作成段階から、拡大治験の実施の可否及び実施する場合の拡大治験の治験実施計画書の作成を検討することが望ましい。

なお、拡大治験実施の社会的要請度が高いと想定される医薬品については、当分の間、以下の医薬品が該当するものとする。

- 米国において実施されている EAP (Expanded Access Program) のうち、Intermediate size IND(protocol)又はTreatment IND(protocol)が実施されている医薬品（実施予定を含む）
- 先駆的医薬品指定制度（先駆け審査指定制度）に応募した医薬品（応募効能又は用法に限る）
- 希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品（指定効能又は用法に限る）
- 未承認薬等検討会議において、医療上の必要性が高いとして開発要請された医薬品（要請効能又は用法に限る）

（５）対象患者

- 拡大治験の対象は、参加を希望する患者にとっては治療機会の有無を決定する重要なものである一方、主たる治験における組入れ基準を満たさない患

者を拡大治験の対象患者に含められるかどうかについては、安全性確保の観点から、合併症、疾患の病期又は重篤性等の項目について慎重に検討する必要がある。このため、実施済みあるいは実施中の主たる治験の実施計画書の組入れ基準の各項目に関して、組入れ基準を緩めても医学・薬学的に許容可能であると判断される範囲の患者とすべきである。

- 拡大治験の実施要望を受ける前に拡大治験の実施計画書を作成した場合であって、作成した拡大治験の実施計画では当該患者が参加できないと判断される場合には、当該実施計画書を作成した際に検討した根拠に基づき理由を主治医に回答する。

なお、実施計画書の見直しが可能な場合には、その時点で実施計画書の見直しを行うこととする。

(6) 実施施設及び実施者

- 拡大治験の対象となる医薬品は、未承認薬等であるため、被験者の安全性確保の観点から、原則として当該医薬品を投与した実績があり、当該医薬品による副作用等に対する十分な知識と経験を有している者によって実施されるべきである。そのため、主たる治験を実施したあるいは実施中の医療機関において、主たる治験の治験責任医師又は治験分担医師により実施されることを原則とする。

(7) 治験にかかる費用負担

- 原則として治験に係る費用は治験実施者が負担するものであるが、拡大治験においては、被験薬の製造、運搬、管理及び保存並びに同種同効薬（ただし、医療保険が適用されない場合）にかかる費用について、拡大治験に参加する患者に応分の負担を求めることも認められる。

なお、通常の治験と異なり、人道的見地から実施されるものであることに鑑み、通常の治験で支払われる負担軽減費については支給する必要は必ずしも無いこと。

- 患者に負担を求める場合には以下の要件を満たすこと。
 - 患者説明文書に、想定される患者負担額及びその積算に係る考え方等を事前に患者が理解しやすいように記載するとともに、十分な説明を行った上で、同意を取得すること。
 - 被験薬及び同種同効薬に関する負担については、「使用薬剤の薬価（薬価基準）」（平成 20 年厚生労働省告示第 60 号）に記載されている医薬品にあつては薬価を超えない額であること。
 - 被験薬及び同種同効薬に関する負担がある場合、負担額とその積算に係る考え方について、医薬品審査管理課に報告すること。

(8) 実施期間

- 本制度は治験の枠内で実施されるものであることから、原則として、当該医薬品が承認された場合、不承認とされた場合、有効性が認められない等として申請が取下げられた場合又は開発が中止された場合には、その時点で終了するものとする。

ただし、承認後から製造販売を開始するまでの間、継続して被験薬を投与する必要がある場合には、治験の実施主体に応じて、以下の対応をとること。

- 企業治験の場合：承認取得後自動的に製造販売後臨床試験に切り替えられるよう、治験計画届書及び治験実施計画書にその旨を記載する等の対応をしておくこと。
- 医師主導治験の場合：承認後自動的に臨床試験に切り替えられるよう、治験計画届書及び治験実施計画書にその旨を記載する等の対応をしておくこと。なお、やむを得ず、治験を継続しなければならない場合には、事前に医薬品審査管理課に相談すること。

(9) 補償について

- 拡大治験は、治験の範囲で実施されるものであることから、GCP 省令第 14 条又は第 15 条の 9 に基づき適切な補償措置を講ずること。

3. 申請後の申請資料としての取扱い

- 拡大治験は、一般に主たる治験に組み入れられている患者よりもリスクが高い患者が含まれていることが想定される。そのため、安全性を評価する観点からも、承認申請後は、PMDA の審査部からの指示に基づき、審査中に少なくとも 1 回は拡大治験の実施状況を集計し報告すること。
この際、PMDA の審査部は、拡大治験が通常の治験とは異なり、人道的見地から実施されるものであることから、頻回な集計作業により申請者に過度な負担を強いることがないように配慮するものとする。
- また、拡大治験は、承認審査中も実施されることが想定されるため、承認申請時の臨床データパッケージに含めることは一般には想定されていない。なお、製造販売後に使用が想定される患者の安全性に関する情報を含んでいる場合が考えられることから、添付文書等に必要な記載を行うことがある。

4. 治験情報の公開等

- 治験計画届書として PMDA に届け出られたもののうち、主たる治験及び拡大治験に係る以下の情報については PMDA のホームページで公開する。
 - 被験薬の情報（治験成分記号）
 - 治験届出者名及び連絡先（ただし、連絡先は、別途一覧を作成する。）
 - 対象疾患
 - 治験の相（第Ⅲ相等）
 - 治験実施予定期間
- 治験計画変更届において、以下の変更が行われた場合、PMDA のホームページの更新を行う。
 - 被験薬の追加
 - 本質的な対象疾患の変更
- 薬物の届書で届け出られた被験機器相当及び被験製品相当は、「被験薬」と同様に公開対象とする。
- 主たる治験及び拡大治験として PMDA に届け出られた治験計画届書等の情報については、届出翌月末を目処に、PMDA のホームページにおいて公開する。

5. その他、拡大治験に係る運用上の留意点等

(1) 医療機関等における拡大治験への協力の依頼

治験の枠組みで実施される拡大治験は、未承認薬等を患者に投与する方法としては、組織的かつ手厚い安全性確保が図られるものである一方で、実施する企業に多大な負担を強いることになることから、医療機関、開発業務受託機関（CRO：Contract Research Organization）及び治験施設支援機関（SMO：Site Management Organization）等の関連する諸機関におかれては、本制度の趣旨に鑑み、治験実施者の負担が少しでも低減されるよう、通常の治験の受託とは区別して、必要最低限の経費で受託するようご理解とご協力をお願いしたい。

(2) 拡大治験に係る GCP 省令上の取扱い

GCP 省令において、拡大治験の実施に当たり、当該制度の実施可能性を高める観点から、治験実施者の負担軽減に係る事項が規定されている。

具体的には、別途関連の通知を参照のこと。

(別紙様式1)

人道的見地から実施される治験への参加に係る企業見解

(主治医の氏名) 宛

令和〇年〇月〇日

管理番号	「欄外右上に記載の提出日（西暦8桁の数字）＋任意のアルファベット4文字」により提出者が決定して記載する 例) 20151225MHLW、20151225phar、20151225AbCd

1. 実施希望を受けた品目に関する情報	
① 製造販売業者名：	
② 治験成分記号：	
③ 医薬品名（一般名又は販売名）：【決定している場合】	
④ 開発中（主たる治験）の適応疾患名：	
2. 実施できない理由等	
① 各事由への該当性 （該当するもの全てにチェックする）	
☐ 制度該当性事由	（既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重篤な影響がある疾患ではない）
☐ 絶対事由	（被験薬の供給に余裕がない等）
☐ 時期的事由	（主たる治験の組入れ期間中等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれあり）
☐ 個別事由	（患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から拡大治験への参加が勧められない等）
☐ その他	
② 理由 （事由ごとに詳細な理由をわかりやすく記述する）	

連絡先	氏 名：
	所属名：
	住 所：〒
	連絡先：電話： E-mail：

(別紙様式2)

人道的見地から実施される治験への参加に係る検討依頼書

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課 宛

令和○年○月○日

管理番号（企業見解に記載の番号を記載する）

1. 実施希望品目に関する情報 （企業見解に記載の内容を参考に記載する）	
① 製造販売業者名：	
② 治験成分記号：	
③ 医薬品名（一般名又は販売名）：【決定している場合】	
④ 開発中（主たる治験）の適応疾患名：	
2. 他の既存の治療薬・治療法では不十分であるとする理由等	
① 疾患名：	
② 現治療又は既承認薬による治療では不十分な理由等	
	1) 現治療又は既承認の治療薬の名称：
	2) 治療効果が不十分又は適用できない理由：
③ 主たる治験に参加できない理由：	
④ 人道的見地から実施される治験を行う必要があるとする科学的根拠 （正規の医薬品の評価・承認審査期間が待てない理由、当該被験薬による治療による便益がリスクを上回ると考える理由を記載する）	

依頼医師 氏 名：	_____
所属医療機関名：	_____
住 所：〒	_____
連絡先：電話：	_____
E-mail：	_____

（注）治験実施者から受けた別紙様式1による回答を添えて厚生労働省に提出すること。

事 務 連 絡
令和4年8月31日

各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課 御中

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

人道的見地から実施される治験の実施に関する
質疑応答（Q & A）の改正について

人道的見地から実施される治験（以下「拡大治験」という。）の実施に関する留意点については、「人道的見地から実施される治験の実施に関する質疑応答（Q & A）の改正について」（平成28年11月30日付け厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課事務連絡。以下「旧事務連絡」という。）により示しているところです。

今般、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律の施行に伴う関係省令の整備等に関する省令（令和2年厚生労働省令第155号）の施行等を踏まえ、別添のとおり人道的見地から実施される治験の実施に関する質疑応答（Q & A）を改正しましたので、貴管内関係事業者等に対し周知願います。

なお、本事務連絡の発出に伴い、旧事務連絡は廃止します。

(別添)

人道的見地から実施される治験の実施に関する質疑応答 (Q & A)

※令和4年8月31日付けで追加・変更した箇所に下線を引いています。
また、問いの追加等に伴い、従前の問い番号の一部を変更しています。

○主たる治験について

Q 1

主たる治験はどのような治験が該当するのか。

A 1

国内開発の最終段階である治験である。通常、効能・効果及び用法・用量が一連の開発を通じて設定された後に実施される有効性及び安全性の検証を目的とした治験である。

Q 2

海外で実施された検証的な臨床試験成績を活用するために、国内でブリッジング試験を実施し、当該試験結果の取得をもって国内承認申請する場合は、当該ブリッジング試験は主たる治験に該当すると考えてよいのか。

A 2

そのとおり。

Q 3

主たる治験は、適応疾患に関わらず、新医療用医薬品としての承認申請（効能追加等を含む）が見込まれる全ての被験薬が対象となると考えてよいのか。

A 3

そのとおり。

Q 4

医師主導治験であっても、主たる治験に該当するものがあるということによいか。

A 4

そのとおり。対象範囲は前述のとおり。

Q 5

バイオ後続品やジェネリック医薬品の国内開発の最終段階である治験は、主たる治験に該当しないと考えてよいか。

A 5

そのとおり。

Q 6

検証目的の試験に参加した被験者への継続的な投与等を目的とする長期投与試験は、主たる治験に該当しないと考えてよいか。

A 6

そのとおり。

○治験計画届書について

Q 7

治験計画を届け出た時点では主たる治験とは考えていなかったが、後に当該治験結果をもって承認申請を行うこととなった場合、治験計画変更届書において、「当該届出に関するその他の情報」の「臨床試験の位置付け」の「該当の有無等」の項を、「該当なし」から「主たる治験」に変更することによいか。

A 7

そのとおり。ただし、治験届出者の認識が十分でなかったために主たる治験を表示できず、それにより公開が遅れるという状況は、本制度の趣旨を踏まえると避けなければならない。

Q 8

「主たる治験」と記載して届出を行い、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）からの指摘がなければ、主たる治験であることについて当局に了解されたと考えてよい。

A 8

主たる治験か否かの判断は、あくまでも届け出る者が判断するものであり、PMDAは、治験計画届書を受付した際に、その判断の妥当性については判断しないことに留意されたい。

Q 9

拡大治験の治験計画届出の段階では、予定被験者症例数、実施期間の終了年月日の情報は未定であることが多いと考えられるが、治験計画届書にはどのように記載すればよい。

A 9

いずれも届出時点で想定される範囲で記載すること。なお、拡大治験の実施期間については、「人道的見地から実施される治験の実施について」の改正について（令和4年8月31日付け薬生薬審発 0831 第3号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知。以下「通知」という。）の記2．（8）において終了時点の定義が明確にされているが、拡大治験の届出段階では確定していないと考えられることから、PMDAのホームページに公開する治験情報には、拡大治験の実施期間における終了年月日は表示しないものとする。

Q 10

拡大治験の治験計画届書の開発の相及び試験の種類については、治験届出者が適切と判断したものを記載することでよい。

A 10

そのとおり。なお、PMDAのホームページに公開する拡大治験の治験情報には、開発の相は含まないことに留意されたい。

Q 11

治験の計画等の届出は被験薬の数によらず、原則として治験実施計画書ごとに届け出ることになるが、情報公開は、届書ごとに掲載されると考えてよい。

A11

そのとおり。

○治験情報の公開

Q12

「治験の依頼をしようとする者による薬物に係る治験の計画の届出等に関する取扱いについて」（令和2年8月31日付け薬生薬審発0831第10号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）又は「自ら治験を実施しようとする者による薬物に係る治験の計画の届出等に関する取扱いについて」（令和2年8月31日付け薬生薬審発0831第11号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）により届け出た被験機器相当又は被験製品相当について、「薬物」のリスト又は「機械器具等・加工細胞等」のリストのいずれに掲載されるのか。

A12

「機械器具等・加工細胞等」のリストに掲載される。

Q13

公開される情報のうち、治験届出者の連絡先は、どのように提出したらよいか。

A13

記載様式をPMDAのホームページに掲載することから、当該ページよりダウンロードし、必要事項を入力の上、薬物の連絡先リストのみの場合はkakudaitiken@pmda.go.jp宛てに、被験機器相当又は被験製品相当も届け出ている場合はks-kakudaitiken@pmda.go.jp宛てにも添付して送付すること。これら2つのアドレスを宛先にする必要がある場合、1通のメールを送ることでよい。

また、メールの件名は「【人道的見地からの治験】【連絡先】治験届出者名_提出年月日（YYYYMMDD）」とすること。連絡先の登録を行っていない場合は、治験計画届書を届け出た翌月の15日までに提出すること。

Q14

薬物の連絡先リストと機械器具等・加工細胞等の連絡先リストで同じ連絡先としており、変更したい場合は kakudaitiken@pmda.go.jp のみに連絡することでよい。

A14

kakudaitiken@pmda.go.jp と ks-kakudaitiken@pmda.go.jp 宛てにそれぞれ連絡すること。2つのアドレスを宛先にして、PMDAのホームページに掲載された記載様式を添付して、1通のメールで送ることよい。

Q15

主たる治験及び拡大治験のリストの内容はいつ更新されるのか。

A15

およそ1か月ごとに更新され、届出があった月の翌月末を目途に反映される。なお、治験実施予定期間については、原則、情報の更新は行わない。

Q16

治験届出者の連絡先の内容に変更がある場合、PMDAの専用の連絡先に連絡することでよい。

A16

そのとおり。なお、内容の変更については、毎月15日までに連絡があった場合には当月末を目処に、16日以降に連絡があった場合は翌月末を目処に情報の更新が行われる予定であることから、連絡がとれなくなることがないように計画的な変更努めること。

Q17

治験届出者の連絡先については、電話番号、FAX、電子メール等、様々な方法を記載することが想定されるが、その方法については治験届出者に一任されると考えてよい。

A17

そのとおり。ただし、必ず連絡がとれる手段とするとともに、電話による連絡でない場合は、営業日の一両日中に要望者に要望を受けた旨の回答は行うこと。

Q18

薬物と被験機器相当又は被験製品相当を届け出ている場合、薬物の連絡先と機械器具等・加工細胞等の連絡先は同じ連絡先とするべきか

A18

連絡先は異なってもよい。

Q19

以下の場合、治験の情報をPMDAのホームページに追加する際にはどのように連絡したらよいか。

- 主たる治験又は拡大治験として治験計画届書を届け出た場合
- 主たる治験又は拡大治験について、「被験薬、被験機器又は被験製品の追加」又は「本質的な対象疾患の変更」を行った治験計画変更届書を届け出た場合

A19

PMDAのホームページに掲載している記載様式をダウンロードし、必要事項を入力の上、薬物のみの場合は kakudaitiken@pmda.go.jp 宛てに、被験機器相当又は被験製品相当も届け出ている場合は ks-kakudaitiken@pmda.go.jp 宛てにも、可能な限り速やかに送付すること。その際のメールの件名は「【人道的見地からの治験】【追加】治験届出者_提出年月日 (YYYYMMDD)」とすること。薬物と被験機器相当又は被験製品相当も届け出ている場合は、2つのアドレスを宛先にして、1通のメールを送ることにより。

Q20

主たる治験又は拡大治験の情報をPMDAのホームページから削除したい時にはどのように連絡したらよいか。

A20

以下の場合、当該治験に係る情報の削除を依頼する旨のメールを、薬物の場合は kakudaitiken@pmda.go.jp 宛てに、機械器具等・加工細胞等の場合は ks-kakudaitiken@pmda.go.jp 宛てに、可能な限り速やかに送付すること。

- 主たる治験又は拡大治験として届け出た届書の被験薬、被験機器相当又は被験製品相当が薬事承認された場合

- 主たる治験又は拡大治験として届け出た届書の被験薬、被験機器相当又は被験製品相当の開発中止届書を届け出た場合
- 主たる治験又は拡大治験として届け出た届書の治験中止届書を届け出た場合

その際のメールの件名は「【人道的見地からの治験】【削除】治験届出者名_提出年月日（YYYYMMDD）」とし、メール本文に削除したいリストの内容、治験計画届受付番号及び承認内容（承認日、承認番号、販売名、一般名等）、治験中止届書又は開発中止届書の情報（届出日、受付番号等）を記載すること。

なお、その際のホームページの更新は、毎月 15 日までに連絡があった場合には当月末を目処に、16 日以降に連絡があった場合は翌月末を目処に行われる予定である。

○被験薬について

Q21

海外の市場で流通している医薬品について、表示のみを変更すれば、「拡大治験」の被験薬として使用できるか。

A21

できない。ただし、治験依頼者又は自ら治験を実施する者（以下「治験実施者」という。）として治験薬GMPに基づく品質等の確保が行える場合に限っては可能である。

○拡大治験について

Q22

拡大治験の対象となる医薬品として、米国での Intermediate size IND 又は Treatment IND が実施されている医薬品、先駆的医薬品指定制度（先駆け審査指定制度）に応募した医薬品、希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品、及び医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（以下「未承認薬等検討会議」という。）において、医療上の必要性が高いとして開発要請された医薬品が例示されているが、これらの医薬品のうち、既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重大な影響がある重篤な疾患ではない場合は拡大治験の対象外と考えてよいか。

A22

そのとおり。

Q23

承認申請後の拡大治験の集計結果の提出時期及び提出方法について、新医薬品承認審査予定事前面談時等、適切な時期にPMDAに確認することが望ましいと考えてよいか。

A23

そのとおり。ただし、状況に応じて審査中に追加で集計を伴う照会を行うこともありうるので柔軟に対応されたい。

Q24

患者あるいは患者の家族から治験実施者に直接要望が提出された場合は主治医を介して要望するよう回答することでよいか。

A24

そのとおり（通知記2.（3）参照）。拡大治験の要望の前に、主治医と主たる治験の実施医療機関の治験責任医師又は治験分担医師との間で医学的見地から主たる治験への参加の可否が検討される必要がある。

Q25

治験実施者が主治医に回答した拡大治験を実施できない理由の中に、未承認薬等検討会議において審議される制度該当性事由が含まれていない場合は、主治医が検討依頼書を厚生労働省に提出した場合でも、未承認薬等検討会議で検討されないと考えてよいか。

A25

そのとおり。

Q26

主治医が検討依頼書を厚生労働省に提出した後、厚生労働省は未承認薬等検討会議での検討の前に治験実施者に意見を求めるのか。

A26

求める。ただし、速やかに検討を行う必要があるため、治験実施者が主治医に回答した内容について再確認のみを想定している。

Q27

未承認薬等検討会議において、制度該当性事由（既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重大な影響がある重篤な疾患ではない）に該当しないと判断された場合、厚生労働省から治験実施者に対して、拡大治験実施の検討依頼が書面で伝えられると考えてよいか。

A27

そのとおり。（治験実施者は速やかに再検討を行い、結果を主治医に回答されたい。）なお、制度該当性事由に該当すると判断された場合、企業に特段の連絡は行わない。

Q28

厚生労働省から拡大治験の実施の再検討を依頼された場合、拡大治験を行ったかどうかなど結果を厚生労働省に報告する必要があるか。

A28

現時点では特に要しない。

Q29

主治医が提出した検討依頼書に対する未承認薬等検討会議の評価結果は、厚生労働省から主治医に対して書面で伝えられるのではなく、主治医が厚生労働省のホームページで確認することでよいか。

A29

そのとおり。なお、未承認薬等検討会議は年4回を目処に開催することとされており、当該会議での評価結果については、原則、会議終了後速やかに厚生労働省ホームページにて公表する。