

第Ⅰ相試験

臨床試験のうち、健康な成人ボランティア（健常人、通常は男性）を対象として、主に治験薬の安全性および薬物の体内動態について確認するための試験をいいます。薬剤の量を徐々に増やしていく「漸増法」による試験、用量を固定して毎日定期的に投与する「反復投与試験」などがあります。前臨床試験にて「サル」や「ラット」などの実験動物に投与され安全性が確かめられてきた治験薬を、第Ⅰ相試験で、初めて人体に投与することになります。

健康な成人の場合、疾患患者に比べ、比較的短期間に治験参加者を集めやすいこと、またほかの薬剤を服用している可能性が低く、治験薬の安全性・薬物動態を確認しやすいこと、採血やそのほかの頻繁な検査に耐えることができるという有利な点があります。ただし、抗癌剤の場合は毒性が強い薬であることが多く、健常者の健康を害してしまう可能性があるため、第Ⅰ相試験から癌患者を対象に行われます。また、人体による安全性が未確認の段階であるので、通常は妊娠の可能性のある女性をさけ、男性で行われます。しかしながら、女性向けの薬などの場合は、閉経後の女性を対象とした第Ⅰ相試験が行われることがあります。また、薬物動態に男女差がある場合もあり、最近では女性を含めた第Ⅰ相試験も行われてきています。症状が「軽度」であり、治療が必要と判定されるほどでない患者を、「健常人」として、第Ⅰ相の試験に参加させることもあります。

安全性に注意して、第Ⅰ相試験が行われますが、2006年に英国でおきたモノクローナル抗体治験薬 TGN1412 の治験事故のように、重大な副作用がこの段階で生じてしまうこともあります。

第Ⅱ相試験

臨床試験第2番目の段階で、第Ⅰ相試験で安全性が確認された用量の範囲内で、同意を得た比較的少数の患者を対象とし、主に治験薬の安全性および有効性・用法・用量を調べるための試験のことをいいます。

第Ⅲ相試験を実施する際の、安全性、用法（投与の仕方：投与回数、投与期間、投与間隔など）、用量（最も効果的な投与量）を設定する目的の場合が多くあります。そのため、最初は少数例の患者に対して、低用量の投与から始め、徐々に患者数を増やし、投与期間を長くし、投与量を増やしていくことが多くなります。

第Ⅱ相試験は「探索的臨床試験」とも呼ばれています。医師にも患者にも被験薬かプラセボ（※）かわからないようにする「二重盲検法」を採用した試験は、この試験段階で多く見られます。

第Ⅲ相試験

治験薬が市販された場合に使用される状況に近い条件下で、第Ⅱ相試験より年齢、病態、重症度などにおいて幅のある被験者群を用いて有効性、安全性を検証する試験です。

多数の患者に対して、第Ⅱ相試験で得られた結果に基づく用法・用量に従い薬物を投与し、実際の治療に近い形で、その「有効性と安全性」「適応疾患における用法・用量」「副作用」「他剤との相互作用」などを、標準療法との比較試験により評価・検証します。

比較試験は治験薬を用いる患者群と対照薬を用いる患者群との間で、有効性、安全性、有用性の比較検討を行う試験です。その対照薬としては、プラセボ（※）を用いることが多いです。

以上のことから第Ⅲ相試験は「検証的試験」と呼ばれています。

※ プラセボ：本物の薬と同様の外見、味、重さをしているが、有効成分は入っていない偽物の薬。成分としては、少量ではヒトに対してほとんど薬理的影響のないブドウ糖や乳糖が使われる事が多い。