

(別添)

薬物に係る治験の計画の届出及び治験の実施等に関する質疑応答 (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。

Q 1

「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。以下「企業治験届出通知」という。)において「治験使用薬とは、治験実施計画書において被験薬の有効性及び安全性の評価に使用することを規定された被験薬、対照薬、併用薬、レスキュー薬、前投与薬等を指す。なお、治験使用薬は、その有効成分の国内外での承認の有無は問わない。」とあるが、例えば、併用薬、レスキュー薬、前投与薬等としては、どのようなものが治験使用薬に該当するか。

A 1

使用する薬物が特定でき、当該薬物がないと被験薬の有効性及び安全性を評価できないと考えられる併用薬、レスキュー薬、前投与薬等を被験薬以外の治験使用薬として設定すること。

例えば、被験薬で生じる可能性のある副作用に対し、副作用管理の目的で治験実施計画書に規定したレスキュー薬について、当該レスキュー薬を用いなければ、被験薬の有効性及び安全性を評価できない場合、当該レスキュー薬は被験薬以外の治験使用薬に該当する。

併用薬、前投与薬等に関しても同様の考え方である。

上記を踏まえ、治験使用薬の該当性は治験届出者が判断すること。

Q 2

治験依頼者から実施医療機関に交付しないものについても、治験実施計画書において被験薬の有効性及び安全性の評価に使用することを規定している場合は、治験使用薬として届出対象となるか。

A 2

届出対象となる。

Q 3

治験実施計画書に一般的名称のみを記載している場合であっても、被験薬の有効性及び安全性の評価に使用することを規定されたものは、治験使用薬として取扱うことで良いか。

A 3

差し支えない。

Q 4

治験実施計画書に一般的名称を規定した治験使用薬であって、実施医療機関において通常診療のために常備している製剤を治験使用薬として使用するにあたり、実施医療機関ごとに使用する製剤（後発品等）が異なることから、使用されるすべての製剤を治験依頼者が把握できない場合は、投与経路ごと、代表する製剤の科学的知見を記載した文書を届書の添付資料として提出することで良いか。

A 4

差し支えない。

Q 5

治験実施計画書において被験薬の有効性及び安全性の評価に使用することを規定された薬物（対照薬、併用薬、レスキュー薬、前投与薬等）ではあるものの、治験実施計画書において一般的名称を記載せず、使用する薬物が特定できない場合（例えば、治験実施計画書において「抗悪性腫瘍剤」、「解熱鎮痛薬」、「輸液」、「Best Available Therapy」、「Investigators Choice」、「標準療法」、「基礎治療」等のように規定されている場合）、これらの薬物は治験使用薬に該当するか。

A 5

該当しない。また、「ヒスタミン H1 受容体拮抗薬（例：セチリジン、レボセチリジン、又はビラスチン）」のように、「ヒスタミン H1 受容体拮抗薬」の例示として一般的名称が記載されているような場合、例示されている薬物は治験使用薬には該当しないと判断しても差し支えない。

Q 6

企業治験届出通知において「30 日調査対象外の被験薬を追加する場合又は本邦において安全性情報が十分に蓄積されていない治験使用薬（被験薬を除く。）を追加する場合は、当該被験薬又は当該治験使用薬（被験薬を除く。）を追加した治験実施計画書で治験を実施する 2 週間程度前に届け出

ること。」とあるが、安全性情報が十分に蓄積されていない治験使用薬（被験薬を除く。）とはどのようなものが想定されるか。

A 6

例えば、本邦において製造販売承認申請を目的とするものではないが、本邦未承認の有効成分を含有する治験使用薬、本邦既承認の有効成分を含有し新投与経路となる治験使用薬等が該当する。なお、該当するかどうかの判断は、治験依頼者の責任により行うこと。

Q 7

治験使用薬の追加を当局から指示された場合、既に届け出た届書の差替え対応ではなく、次に届け出る治験計画変更届書において治験使用薬を追加する対応を行うことでよいか。

A 7

差し支えないが、治験使用薬の追加について当局と合意した場合においては、速やかに治験使用薬の追加に伴う副作用等報告等の体制を整えた上で、遅滞なく治験計画変更届書を届け出ること。

Q 8

対照薬としてプラセボを用いた場合、届書で必要な情報は何か。

A 8

「実施医療機関情報」の「治験使用薬、治験使用機器相当、治験使用製品相当の数量情報」の項目にプラセボの数量情報を記載等することのみでよい。

Q 9

治験使用薬の輸入に関する手続に伴い、予定交付（入手）数量及び予定被験者数の項目を変更する必要がある場合においては、必要に応じて、治験計画変更届書を届け出ること差し支えないか。

A 9

届け出ること差し支えない。

Q 10

企業治験届出通知において、予定被験者数として「被験薬が投与される予定の被験者数」を入力することとあるが、複数の被験薬がある場合、投与される予定の被験者数は、被験薬ごとに記載する必要があるか。それとも、いずれかの被験薬が投与される予定の被験者数を合算した数を記載す

ることによいか。

A 1 0

いずれかの被験薬が投与される予定の被験者数を合算した数を記載すること。

Q 1 1

治験終了届書又は治験中止届書に記載する当該治験に参加したすべての被験者数はどのように定義し、記載等すればよいか。

A 1 1

当該治験において、実際に割り付けられた日本国内の被験者数を記載等すること。例えば、国際共同治験の場合は、日本国内で実際に割り付けられた被験者数を記載等すること。

Q 1 2

企業治験届出通知の記の 1. (7) ①ウ又は「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。以下「医師主導治験届出通知」という。)の記 1. (8) ①ウに基づき、30 日調査の対象となる薬物の治験計画届書において、30 日調査対応被験薬区分の欄にはどのように記載等すればよいか。

A 1 2

「新投与経路」と記載等した上で、備考欄に企業治験届出通知の記の 1. (7) ①ウ又は医師主導治験届出通知の記 1. (8) ①ウに該当する薬物である旨を記載等すること。

Q 1 3

企業治験届出通知の記の 1. (7) ①ウ及び医師主導治験届出通知の記 1. (8) ①ウに「有効成分を内包する等の製剤設計により有効成分の体内分布や標的部位への移行性が大きく異なると想定される薬物」とあるが、該当する薬物であるかどうか判断に迷う場合はどうすればよいか。

A 1 3

移行性が異なるように設計されている場合は、原則として、企業治験届出通知の記の 1. (7) ①ウ及び医師主導治験届出通知の記 1. (8) ①ウに該当する薬物であると考え。しかし、薬物動態に影響を及ぼさない軽微な変更等では該当しない場合もあるので、判断に迷う場合、詳細については、

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）に相談することが可能である。

Q 1 4

企業治験届出通知の記の 1. (7) ①エ及び医師主導治験届出通知の記の 1. (8) ①エに「ただし、当該届出に係る治験の計画が第 I 相試験等に該当する場合には、その届出時期についてあらかじめ PMDA に相談することが望ましい。」とあるが、PMDA に相談する対象となるのはどのような場合か。

A 1 4

「「医薬品の臨床試験及び製造販売承認申請のための非臨床安全性試験の実施についてのガイダンス」について」（平成 22 年 2 月 19 日付け薬食審査発 0219 第 4 号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）に示されているアプローチ 3 以降の早期探索的臨床試験の後に引き続いて行う第 I 相試験などである。

Q 1 5

企業治験届出通知の記の 1. (7) ②イ、ウ及び医師主導治験届出通知の記の 1. (8) ②イ、ウの場合、変更届を提出してから当該治験使用薬を追加等した治験が開始されるまでの 30 日又は 2 週間程度の間、締結済みの実施医療機関との契約や契約更新手続を停止したり、症例登録を中断したりする必要はあるか。

A 1 5

必要はない。ただし、当該届書を PMDA が受理した日から起算して 30 日又は 2 週間程度を経過した後でなければ、変更後の治験実施計画書に基づき、当該治験使用薬の投与等を行わないこと。

Q 1 6

企業治験届出通知の記の 1. (7) ②イ及び医師主導治験届出通知の記の 1. (8) ②イに「届書に 30 日調査対象の被験薬を追加する場合は、当該被験薬を追加した治験実施計画書で治験を実施する 30 日以上前に届け出ること。」とあるが、各通知の記 1. (7) ①ア及び記の 1. (8) ①アと同様に 30 日調査の対象となる、という理解でよいか。

A 1 6

よい。当該届書を PMDA が受理した日から起算して 30 日を経過した後でなければ、当該被験薬の投与等を行ってはならない。

ただし、以前から継続している実施医療機関との契約や契約更新手続を停止したり、当該被験薬を用いないコホートの症例登録を中断したりする必要はない。

Q 1 7

医師主導治験届出通知の記の1.(8)②アに「治験計画届書に変更が生じる場合に、原則として、治験計画届書ごとに変更前に届け出ること。」とあるが、具体的にいつまでに治験計画変更届書を届け出なければならないのか。

A 1 7

治験計画届書に変更が生じることが決まった後、変更後の内容で実際に治験を開始する前に、治験計画変更届書を届け出ること。この治験計画変更届書の届出は、必ずしも変更事項について治験審査委員会の審議を経た後でなくても差し支えない。

Q 1 8

治験実施計画書に新たな被験薬を追加する場合、治験計画変更届書で対応可能な範囲は、どのような場合か。

A 1 8

新たな被験薬が同一の治験実施計画書で使用されると治験依頼者等が判断する場合は、治験計画変更届書での対応が可能である。

Q 1 9

被験薬以外の治験使用薬において、日本において有効成分は既承認であるものの、海外輸入品を使用する場合に、海外の添付文書を安全性予測判断の根拠資料として添付することでよいか。

A 1 9

海外の添付文書を使用することで差し支えない。なお、海外の添付文書が英語以外の言語の場合は、日本語訳を添付すること。

Q 2 0

「被験薬以外の治験使用薬に係る最新の科学的知見を記載した文書（添付文書、インタビューフォーム、学術論文等）」を添付することとされているが、届書にどのように添付すればよいか。

A 2 0

科学的知見を記載した文書に該当する文書が本邦既承認製剤の添付文書

の場合、届書添付資料の備考欄に、その旨入力することで、添付は要しない。

科学的知見を記載した文書に該当する文書がインタビューフォームの場合、届書添付資料の欄に、「科学的知見を記載した文書に該当する文書（インタビューフォーム）」と記載すること。また、当該文書そのものを添付すること。

科学的知見を記載した文書に該当する文書が学術論文等の場合、届書添付資料の欄に、「科学的知見を記載した文書に該当する文書（学術論文等）」と記載すること。また、必要な情報を取りまとめた文書を作成し、根拠となった学術論文等とともに添付すること。

なお、届書の記載方法及び届書添付資料の例は以下のとおりである。

（例）

<状況>

- 「治験使用薬A」の科学的知見を記載した文書は、本邦既承認製剤の添付文書
- 「治験使用薬B」の科学的知見を記載した文書は、本邦既承認製剤のインタビューフォーム
- 「治験使用薬C」の科学的知見を記載した文書は、海外の添付文書
- 「治験使用薬D」の科学的知見を記載した文書は、学術論文等
- 「治験使用薬E」の科学的知見を記載した文書は、本邦既承認製剤の添付文書及びインタビューフォーム
- 「治験使用薬F」の科学的知見を記載した文書は、海外の添付文書及び学術論文等

<届書の記載方法>

届書添付資料	
資料番号	1
資料名	「治験使用薬B」の科学的知見を記載した文書(インタビューフォーム)
資料番号	2
資料名	「治験使用薬C」の科学的知見を記載した文書(海外の添付文書)
資料番号	3
資料名	「治験使用薬D」の科学的知見を記載した文書(学術論文等)
資料番号	4

資料名	「治験使用薬E」の科学的知見を記載した文書(インタビューフォーム)
資料番号	5
資料名	「治験使用薬F」の科学的知見を記載した文書(海外の添付文書及び学術論文等)
備考	「治験使用薬A」の科学的知見を記載した文書は、本邦既承認製剤■■■の添付文書を用いるため届書に添付しない。また、「治験使用薬E」の科学的知見を記載した文書は、届書に添付した「治験使用薬E」のインタビューフォームに加え、本邦既承認製剤▲▲▲の添付文書を用いる。

<届書添付資料>

- 「治験使用薬B」のインタビューフォーム
- 「治験使用薬C」の海外の添付文書
- 「治験使用薬D」の学術論文等*
- 「治験使用薬E」のインタビューフォーム
- 「治験使用薬F」の海外の添付文書及び学術論文等*

※「治験使用薬D」の学術論文等及び「治験使用薬F」の学術論文等については、必要な情報を取りまとめた文書を作成し、根拠となった学術論文等とともに添付する必要がある。

Q 2 1

被験薬以外の治験使用薬に係る最新の科学的知見を記載した文書を既に届書の添付資料としている。被験薬以外の治験使用薬について、治験の途中で成分が同じ別の製剤に変更した場合、治験計画変更届書の届出の際に、変更後の製剤に係る最新の科学的知見を記載した文書を、届書に添付する必要はあるか。

A 2 1

変更後の製剤が国内未承認の製剤であり海外で承認されている製剤である場合、最新の科学的知見を記載した文書を添付資料とする必要があるが、変更後の製剤が国内で既に承認されている製剤の場合、添付資料の備考欄に「本邦既承認製剤■■■の添付文書を用いるため届書に添付しない。」旨記載することにより、添付は要しない。

Q 2 2

被験薬以外の治験使用薬について、海外輸入品を製剤として使用する

際、以下のような場合には、変更後の製剤に係る最新の科学的知見を記載した文書を、治験計画変更届書に添付する必要があるか。

- ① 使用する製剤自体の変更はないものの、当該製剤が製造、販売されている国が変更になる等で、最新の科学的知見を記載した文書が変更（例：最新の科学的知見を記載した文書が米国添付文書から欧州添付文書に変更）になる場合
- ② 使用する製剤を変更することにより、最新の科学的知見を記載した文書が変更になる場合（例：企業Aの製剤から企業Bの製剤に変更）

A 2 2

①の場合、届書に添付する必要はない。②の場合、届書に添付する必要がある。

Q 2 3

企業治験届出通知に「最新の治験薬概要書（ただし、治験の依頼をしようとする者が、複数の被験薬を用いる治験を実施する場合で、自らが製造販売する予定の被験薬と併用するものの、他社が製造販売している等の理由で、治験薬概要書を準備出来ない場合は、本邦で既承認の有効成分であり、治験の依頼をしようとする者が当該被験薬を治験に用いるにあたり被験薬の安全性を担保出来ると考える場合に限り、当該被験薬の治験薬概要書に代わり、当該被験薬の最新の科学的知見を記載した文書（添付文書、インタビューフォーム、学術論文等）とすることで差し支えない。」とあるが、当該被験薬の最新の科学的知見を記載した文書を提出する場合、電子媒体に保存するファイル名の資料情報は、「IB」とするのか、それとも「SF」とするのか。

A 2 3

「IB」とすること。

Q 2 4

DNA反応性（変異原性）不純物の評価及び管理に関する資料、株化された細胞を用いて製造されるタンパク質性医薬品等の品質に関する資料については、製造工程など品質に係る情報が含まれるため、治験計画届を提出する者と別の企業が本資料を直接PMDAに提出することは可能か。

A 2 4

別企業からの提出も可能である。ただし、当該資料を届出代表者以外の者から提出することを希望する場合、事前にPMDA審査マネジメント部審査企画課に相談すること。

Q 2 5

M 7（潜在的発がんリスクを低減するための医薬品中DNA反応性（変異原性）不純物の評価及び管理）ガイドラインの2に「本文書は、新原薬及び新製剤について、臨床開発段階及びその後の製造販売承認申請時における指針を示すことを目的としている。」とあるが、被験薬以外の治験使用薬を当該ガイドラインでは対象としないことで差し支えないか。

A 2 5

差し支えない。

Q 2 6

M 7ガイドラインの9に「本ガイドラインに関連する情報は、以下の各段階において提示する必要がある。」とあるが、DNA反応性（変異原性）不純物の評価及び管理に関する資料は治験計画届書に添付することで差し支えないか。

A 2 6

差し支えない。なお、当該届出に係る治験の計画が第Ⅱb相試験及び第Ⅲ相試験に該当する場合には、治験薬GMPに準拠して製造される原薬及び製剤の製造工程流れ図についても添付すること。また、不純物の変異原性に関する評価結果等については、下記記載例を参考に資料を作成されたい。

また、これらの資料を治験計画届書に添付する場合は、治験計画届書の届書添付資料の欄に、資料名「DNA反応性（変異原性）不純物の評価及び管理に関する資料」として記載すること。

（記載例）第Ⅱb相以降の試験の場合

図1．原薬の製造工程流れ図

．．．

図2．製剤の製造工程流れ図

．．．

表1．不純物の変異原性に関する評価結果及び変異原性不純物の管理

不純物名 ／構造	(Q)SAR システム1	(Q)SAR システム2	細菌を用いた変異原性 試験の結果	クラス分類	変異原性不純物 の管理

表2．変異原性不純物の分析結果

変異原性不純物	許容限度値	ロット番号		
合計				

Q 2 7

株化された細胞を用いて製造されるタンパク質性医薬品等を被験薬として用いる治験において、当該治験の届出が 30 日調査の対象となる場合、当該被験薬の品質に関して治験計画届書に添付すべき資料は何か。

A 2 7

株化された細胞を用いて製造されるタンパク質性医薬品等を被験薬として用いる場合、30 日調査時には、当該被験薬に特有の公衆衛生上の観点等も踏まえて調査を行うため、

- ① 被験薬の製造フロー図
- ② セルバンクが感染性物質（細菌、真菌、マイコプラズマ、ウイルス（セルバンクがヒト又は動物細胞の場合））に汚染されていないか
- ③ 精製前の培養液が細菌、真菌、マイコプラズマ、迷入ウイルス等の病原体によって汚染されていないか
- ④ ヒト又は動物由来原材料を使用している場合は、生物由来原料基準への適合性
- ⑤ 被験薬製造で動物細胞又は生物由来の原材料が使用されている場合は、被験薬のウイルス安全性
- ⑥ 不純物の除去状況、原薬及び製剤の規格試験のうち、安全性に関する試験（目的物質由来不純物や製造工程由来不純物に関する試験、無菌試験、不溶性異物検査、不溶性微粒子試験、エンドトキシン試験等）の暫定規格

等を確認している。そのため、初回治験計画届書の届出時には、これらの情報を必要に応じ添付すること。

Q 2 8

未承認有効成分を含む株化された細胞を用いて製造されるタンパク質性医薬品等を被験薬以外の治験使用薬として使用する際には、上記 Q A 2 7 にある品質に関する資料を届書に添付する必要があるか。

A 2 8

届出前に担当審査部に相談すること。

Q 2 9

マイクロドーズ臨床試験の治験計画届書の 30 日調査対応被験薬区分の欄はどのように記載等すればよいか。

A 2 9

空欄で届け出ること。

Q 3 0

マイクロドーズ臨床試験以降初めて届け出る治験計画届書の場合、30 日調査対応被験薬区分はどのように記載等すればよいか。

A 3 0

「新有効成分」、「新投与経路」又は「新医療用配合剤」のいずれかに対応する区分を選択して記載等すること。

Q 3 1

治験審査委員会において実施医療機関ごとの契約症例数について審議する必要はあるか。

A 3 1

実施医療機関ごとの契約症例数及び契約症例数の変更については、治験審査委員会において必ずしも審議する必要はない。

Q 3 2

医師主導治験終了後の開発を引き継ぐ治験依頼者又は承認申請を行う製造販売業者が決定していない時点で、自ら治験を実施する者は当該治験の治験計画届書を届け出ても差し支えないか。

A 3 2

差し支えない。

Q 3 3

医師主導治験を実施するに当たり、実施医療機関、治験責任医師等が、企業から治験薬、資金等の提供を受けている場合には、どのようなことに留意すればよいか。

A 3 3

治験実施に当たっては、利益相反が適切に管理され、かつ第三者がそれを確認できる体制をとることが重要である。具体的には、治験審査委員会に利

益相反に関する資料等を求められた場合には当該資料を提出すること、審議の概要等をウェブサイト等に公開すること等が考えられる。

Q 3 4

当該治験の実施医療機関に所属していない医師や実施医療機関に所属していても直接診療に携わらない医師が治験調整医師となることは可能か。

A 3 4

可能である。ただし、治験調整医師は当該治験の分野において十分な経験を有し、多施設間の調整を適切に行うことができる者とする。

Q 3 5

被験者に対する説明及び同意の取得に関する業務に、臨床研究コーディネーター（CRC）が携わる際には、どのようなことに留意すべきか。

A 3 5

CRCは説明及び同意取得に関する業務を行うことができるが、あくまで被験者の理解を助けるための補助業務である。説明及び同意の取得を行う責任は治験責任医師及び治験分担医師にあり、治験責任医師及び治験分担医師はCRCの説明等の内容も踏まえた上で、被験者から最終的に同意を得る必要があることに留意すること。

Q 3 6

製造販売後臨床試験において、副作用被害救済制度をもって被験者に生じた健康被害の補償とすることは可能か。

A 3 6

副作用被害救済制度をもって被験者に生じた健康被害の補償とすることはできないため、製造販売後臨床試験依頼者は、保険その他必要な措置を講じておくこと。

Q 3 7

GCPガイドンス第13条第1項3に、「また、実施医療機関と治験の依頼をしようとする者との契約を支援する業務に関しては、臨床研究中核病院等のネットワークの事務局等、当該実施医療機関以外の者が行っても差し支えない。」とあるが、この「臨床研究中核病院等」及び「事務局等」とは何を指すのか。

A 3 7

「臨床研究中核病院等」とは、臨床研究中核病院のほか、治験に関する業務について、臨床研究中核病院と同様の機能を有する施設を指し、国際水準の臨床研究（治験を含む。）を実施する体制を有するとともに、国際水準の臨床研究を他の医療機関と共同で実施し、他の医療機関の実施を支援する体制が構築されているものが想定される。

また、「事務局等」とは、臨床研究中核病院等のネットワークの事務局のほか、ネットワークに所属する医療機関が共同で設置した事務局や、事務局業務を受託した治験施設支援機関（SMO）等が想定される。

Q 3 8

治験計画届書等の届出事項のうち、治験使用薬、治験使用機器相当、治験使用製品相当（主たる被験薬を除く。）の情報の「（1）医薬品／医療機器／再生医療等製品の別」の選択肢に体外診断用医薬品があるが、体外診断用医薬品の届出は不要と考えてよいか。

A 3 8

そのような理解で差し支えない。

Q 3 9（新規）

治験計画届書等の届出事項のうち、治験使用薬、治験使用機器相当、治験使用製品相当（主たる被験薬を除く。）の情報の「（2）治験使用薬、治験使用機器相当、治験使用製品相当の記号・名称等」の「記号・名称等」の項について、「治験使用機器相当、治験使用製品相当の場合は、治験識別記号を入力すること」とあるが、被験機器以外の治験使用機器相当又は被験製品以外の治験使用製品相当において、既承認品などで治験識別記号がない場合、「記号・名称等」の項に一般的名称又は国内外の販売名を入れてもよいか。

A 3 9

よい。

Q 4 0

治験計画届書等の届出事項のうち、治験使用薬、治験使用機器相当、治験使用製品相当（主たる被験薬を除く。）の情報を記載等するにあたり、治験使用薬のうち、「前投与薬」は「その他」を選択することでよいか。

A 4 0

よい。

Q 4 1

被験薬の治験成分記号については、治験依頼者、成分、投与経路が同一の場合において、他の治験の主たる被験薬として使用される場合や被験薬として使用される場合は、同一の治験成分記号を使用すべきか。

A 4 1

同一の治験成分記号を使用すべきである。

Q 4 2

複数の被験薬を用いる治験において、治験計画届書又は治験計画変更届書で主たる被験薬以外の治験成分記号を変更することは可能か。

A 4 2

可能である。主たる被験薬の治験成分記号を変更する場合と同様に、企業治験届出通知 1. (9) で求める書面を被験薬毎に作成して、治験計画届書又は治験計画変更届書に添付すること。

Q 4 3

治験使用薬について、予定交付（入手）数量が正確に定まっていないものについては、想定される交付数量を記載等することによいか。

A 4 3

差し支えない。

Q 4 4

治験終了届書又は治験中止届書における治験使用薬の数量として、包装単位（PTP シート、ボトル等）での内訳を記載することでも問題ないか。

（記載例） 1 ボトル（X mg 錠、X 錠入り） X ボトル交付、X ボトル使用、X ボトル回収

A 4 4

差し支えない。

Q 4 5

治験依頼者から実施医療機関に交付しない治験使用薬（例：実施医療機関において通常診療のために常備している医薬品を治験使用薬として使用する場合）について、交付数量、使用数量、回収数量及び廃棄数量はどのように記載すべきか。

A 4 5

治験依頼者から実施医療機関に交付しない治験使用薬については、交付数量、使用数量、回収数量及び廃棄数量は、「0」と記載すること。当該治験使用薬の一般的名称ごとに記載すればよく、種類（剤形、含量）別に記載する必要はない。また、実施医療機関ごとの事項の「その他」の欄に「治験使用薬〇〇は、実施医療機関に交付しないため数量を0と記載した」旨記載すること。

Q 4 6（新規）

医師主導治験届出通知において、「治験終了届書又は治験中止届書においては、実際に入手、使用、回収及び廃棄した治験使用薬の数量を種類（剤形、含量）別に記載等すること。」とあるが、入手、使用、回収及び廃棄数量はどのように考えればよいか。

A 4 6

以下のように考えること。

- ・入手数量：治験薬提供者等から実施医療機関が入手した数量
- ・使用数量：実施医療機関において本治験で使用された数量
- ・回収数量：実施医療機関において廃棄は行わなかったものの、治験薬提供者等に返却する等の理由から回収した数量
- ・廃棄数量：実際に実施医療機関において廃棄した数量

Q 4 7

複数の被験薬を用いる治験において、各被験薬を有する企業が異なる場合は、当該治験の治験計画届書をいずれかの企業が治験依頼者として提出することでよいか。

A 4 7

差し支えない。ただし、原則、主たる被験薬を有する企業が代表して治験依頼者となることが望ましい。なお、治験実施に係る安全確保と届書に記載した各被験薬の副作用等報告の義務については、治験依頼者が担うこととなる。

Q 4 8

1つの治験実施計画書に2つ以上の目的の異なるパートが含まれる場合等、治験依頼者の選択により、目的ごとに治験届を提出することは可能か。

A 4 8

原則として、治験届は治験実施計画書ごとに届け出ること。ただし、個別の事情により届出を分ける必要がある場合は、あらかじめPMDA審査マネジメント部に相談すること。

なお、各被験薬の副作用等報告の義務については、「E2B(R3)実装ガイドに対応した市販後副作用等報告及び治験副作用等報告について」（令和2年8月31日付け薬生薬審発0831第12号・薬生安発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・医薬安全対策課長連名通知）等を参照すること。

Q49

アンブレラ型試験やバスケット型試験等において、一部のコホートの成績のみを使って製造販売承認申請が行われ、残りのコホートは継続して実施される場合、承認時に治験終了届書の提出は必要か。

A49

治験全体のうち、一部のコホートのみの成績をもって製造販売承認申請、承認がなされたとしても、治験全体が継続される場合は、治験終了届書を提出する必要はない。ただし、すべてのコホートが終了し、治験全体も終了する場合には、治験終了届書を提出する必要がある。

Q50

複数の被験薬を記載した1つの治験計画届書又は治験計画変更届書を提出している場合で、一部の被験薬の承認取得後に製造販売後臨床試験に切り替える際には、どのような対応が必要か。

A50

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、治験計画届書又は治験計画変更届書の備考欄及び治験実施計画書に、いずれの被験薬の承認取得後に製造販売後臨床試験に切り替えるのかを記載しておくこと。

また、承認を取得した被験薬が主たる被験薬の場合、治験計画変更届書の備考欄に「被験薬●●は、国内承認取得済みである」旨追記すること。承認を取得した被験薬が主たる被験薬以外の被験薬の場合、治験計画変更届書の当該被験薬に係る「国内における承認状況」の欄を既承認に変更し、備考欄に「被験薬▲▲は、国内承認取得済みである」旨追記すること。

なお、当該事項の変更のみの治験計画変更の届出を行う必要はなく、他の理由により、治験計画変更の届出を行う機会があるときに併せて変更することで差し支えない。

Q 5 1

アンブレラ型試験やバスケット型試験等の複雑な治験において、特定の被験薬について開発中止を決定した場合、当該被験薬に関わるコホートが終了していれば、同一プロトコルの試験が進行中であったとしても当該被験薬に係る開発中止届書を提出することは可能か。

A 5 1

可能である。

Q 5 2

以下の事例について、被験薬Aの治験が終了したとき、被験薬Aに係る開発中止届書を提出することは可能か。

- ① 複数の被験薬を記載した1つの治験計画届書を届け出ている治験に関して、このうち主たる被験薬Aを開発中止にしようと考えているが、届書上被験薬Aを主たる被験薬Aのままとする場合
- ② 主たる被験薬Bと主たる被験薬以外の被験薬Aについて、1つの治験計画届書で届出を行っており、被験薬Aに係るコホートが終了したが、他の被験薬（主たる被験薬B）に係る治験が継続中の場合

A 5 2

可能である。

Q 5 3

企業治験届出通知に「開発中止を決定した被験薬の治験成分記号、当該被験薬を初めて届け出た届書の「受付番号」及び当該届書の「届出年月日」並びに届出年月日、届出分類、中止情報（中止時期（開発中止を決定した年月日）、中止理由（開発中止の具体的理由）を含む。）、備考、届書添付資料（資料を添付した場合）及び治験届出者に関する情報を記載等して届け出ること。」とあるが、開発中止届書における治験届出共通事項の各項目について、どのように記載すればよいか。

A 5 3

次のように対応すること。

- 主たる被験薬の治験成分記号：開発中止を決定した被験薬の治験成分記号を記載すること。
- 主たる被験薬の初回届出受付番号：開発中止を決定した被験薬を初めて届け出た届書の受付番号を記載すること。
- 主たる被験薬の初回届出年月日：開発中止を決定した被験薬を初めて届け出た届書の届出年月日を記載すること。

なお、開発中止を決定した被験薬を初めて届け出た届書が治験計画変更届書であった場合、「主たる被験薬の初回届出受付番号」の項には当該治験計画変更届書の受付番号を、「主たる被験薬の初回届出年月日」の項には当該治験計画変更届書の届出年月日を記載すること。

Q 5 4

開発中止届書において「届出区分」は記載等する必要はあるか。必要な場合、何を記載等すればよいか。

A 5 4

開発中止届書において「届出区分」は「3」を記載等すること。

Q 5 5

複数の被験薬を用いる治験において、複数の被験薬を記載した1つの届書を提出している。主たる被験薬を変更する場合、治験計画変更届書で対応することはできるか。

A 5 5

できない。主たる被験薬を変更する場合、新規の治験計画届書を届け出ること。新たに主たる被験薬を選択して治験計画届書を届け出の場合、届出事項の記載方法は、Q 5 7を参照すること。

Q 5 6

複数の被験薬を用いる治験において、主たる被験薬が承認又は開発中止となった場合、改めて主たる被験薬を選択して、治験計画届書を届け出る必要があるか。

A 5 6

新たに届け出る必要はないが、そのような対応を行っても差し支えない。新たに主たる被験薬を選択して治験計画届書を届け出の場合、届出事項の記載方法は、Q 5 7を参照すること。

新たに届け出ない場合、治験全体が終了又は中止された際に届け出る治験終了届書又は治験中止届書で当該主たる被験薬の数量情報を記載等すること。

Q 5 7

複数の被験薬を用いる治験において、主たる被験薬Aが承認又は開発中止となり、主たる被験薬を変更する場合、どのように届け出ればよいか。

A 5 7

主たる被験薬 A について治験終了届書又は治験中止届書を届け出るとともに、新たに主たる被験薬を選択した治験計画届書を届け出ること。

当該治験終了届書又は治験中止届書に主たる被験薬 A 及び主たる被験薬 A に係る治験使用薬の数量及び実施医療機関被験者数を記載し、それ以外の治験使用薬の数量については、「0」と記載すること。また、実施医療機関ごとの事項の「その他」の欄に「治験が終了していないため、主たる被験薬 A 及び主たる被験薬 A に係る治験使用薬以外の治験使用薬の数量は 0 と記載した」旨記載すること。

新たに主たる被験薬を選択して届け出る治験計画届書における届出回数は、新たに選択した主たる被験薬の「最新の届出回数の連番」とすること。なお、承認又は開発中止となった被験薬 A の情報を当該治験計画届書に含める必要はないが、主たる被験薬を変更する前の届書を特定できる情報（変更する前の主たる被験薬の治験成分記号：◆◆◆◆、届出回数：●回、当該治験計画届出受付番号：20▲▲-■ ■ ■ ■）を備考欄に記載すること。

Q 5 8

1つの届書で主たる被験薬 A と主たる被験薬以外の被験薬 B の届出を行っている場合、被験薬 B に係るコホートが終了したが、他の被験薬（主たる被験薬 A）に係る治験が継続中の場合、被験薬 B に係るコホートが終了した旨の治験計画変更届書を届け出れば、被験薬 B に係る治験終了届書を提出したとみなし、被験薬 B に係るコホートで使用されていた被験薬以外の治験使用薬の副作用等報告義務期間を終了すると考えてよいか。

A 5 8

よい。被験薬 B に係るコホートが終了した場合、届書の備考欄に「被験薬 B に係るコホートが終了した。被験薬 B に係るコホートで使用されていた被験薬以外の治験使用薬は●●●、▲▲及び■ ■ である」旨記載すること。

ただし、被験薬 B に係るコホートで使用されていた被験薬以外の治験使用薬の数量情報については、治験終了届書又は治験中止届書を届け出る際に記載すること。

Q 5 9

複数の被験薬を用いる治験において、主たる被験薬以外の被験薬が承認又は開発中止となった場合、治験計画変更届書でどのような対応が必要か。

A 5 9

主たる被験薬以外の被験薬が承認された場合は、治験計画変更届書で当該

被験薬の記載は削除せずそのままとし、備考欄で「被験薬〇〇（治験成分記号）は国内承認取得済みである」旨記載し、当該被験薬の「国内における承認状況」の欄を既承認に変更すること。

主たる被験薬以外の被験薬が開発中止された場合は、治験計画変更届書で当該被験薬の記載は削除せずそのままとし、備考欄で「被験薬〇〇（治験成分記号）は開発中止された」旨記載すること。

なお、当該事項の変更のみの治験計画変更の届出を行う必要はなく、他の理由により、治験計画変更の届出を行う機会があるときに併せて変更することで差し支えない。

治験全体が終了又は中止された際に届け出る治験終了届書又は治験中止届書で当該被験薬の数量情報を記載等すること。

Q 6 0

多施設共同で行う医師主導治験において、治験調整医師が届出代表者として治験計画届書を届け出る場合、届出代表者が副作用等報告を行うことは差し支えないか。

A 6 0

差し支えない。代表して治験の計画を届け出る治験調整医師も自ら治験を実施しようとする者となるため、副作用等報告を行うことが可能である。ただし、報告起算日は、届出代表者が情報を入手した日ではなく、当該実施医療機関の治験責任医師等が情報を入手した日であることに留意すること。

Q 6 1

治験計画届書等の届出事項のうち、「様式等のバージョン情報」には何を入力すればよいか。

A 6 1

現時点では「医薬品治験届 令和2年8月改正版」と入力すること。

Q 6 2

XML文書の構造定義（スキーマ）のファイル名に指定はあるか。

A 6 2

P M D A ホームページ（<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0004.html>）から入手した最新のXMLスキーマのファイル名（新様式の場合、現時点では「iykckn_all_v3_0_0.xsd」）を使用すること。（なお、旧様式の場合は「xml_schema.xsd」とする。）

記載例：

```
<?xml version="1.0" encoding="utf-8"?>  
<CLINTRIALPLANNOTE xsd:noNamespaceSchemaLocation="iykckn_all_v3_0_0.xsd"  
xmlns:xsd="http://www.w3.org/2001/XMLSchema-instance">  
<VARIABLELABEL>治験の計画等の届出</VARIABLELABEL>
```

Q 6 3

治験計画届書等の届出事項のうち、「国内における承認状況」の欄において、どの様な場合に「未承認」や「適用外」を選択するのか。

A 6 3 (下線部追記)

有効成分が国内未承認の場合、「未承認」を選択すること。なお、バイオ後続品を開発する目的で実施される治験において、海外で承認された先行バイオ医薬品を対照薬に用いる場合も、「未承認」を選択すること。有効成分が国内既承認であるが、適応外の使用になる場合、「適応外」を選択すること。

Q 6 4

企業治験届出通知において「治験計画届書、治験計画変更届書、治験終了届書及び治験中止届書については、原則として同一様式で届け出ることとし、該当する事項について入力すること。」とあるが、旧様式で届け出た治験計画届書又は治験計画変更届書の内容を変更するために、新様式で治験計画変更届書を届け出の場合はどうすればよいか。

A 6 4

新様式で変更前の時点における内容の治験計画届書を届け出た後に治験計画変更届書を届け出ること。

このような新様式に切り替える場合に限り、新様式で治験計画届書を届け出た同日に新様式で治験計画変更届書を届け出ことは差し支えない。この場合の治験計画変更届書(変更回数1回)の「当該治験計画届出受付番号」は空欄とすること。また、治験計画変更届書(変更回数2回)の届出に際し、「当該治験計画届出受付番号」は、変更年月日・変更理由の記載等の有無は問わない。

なお、旧様式で届け出た治験計画届書又は治験計画変更届書について、新様式へ切り替えを行った後は、旧様式で治験終了届書又は治験中止届書を提出する必要はない。

Q 6 5

旧様式で治験計画届書又は治験計画変更届書を提出した治験について、令和4年8月31日までに新様式への切り替えのための治験計画届書を必ず届け出る必要はあるか。

A 6 5

変更が生じた時点で新様式の治験計画届書を届け出ることによって差し支えない。この場合、Q 6 4のとおり、新様式による治験計画届書と治験計画変更届書の届出は同日付で差し支えない。

Q 6 6

旧様式で届け出た治験計画届書又は治験計画変更届書について、経過措置期間満了後に治験終了届書又は治験中止届書のみを提出する場合、旧様式又は新様式のいずれの様式で届け出るべきか。

A 6 6

旧様式で届け出ること。ただし、旧様式で治験終了届書又は治験中止届書を届け出ることができない場合、新様式で変更前の時点における内容の治験計画届書を届け出た後に、治験終了届書又は治験中止届書を届け出ること。この場合、新様式で治験計画届書を届け出た同日に新様式で治験終了届書又は治験中止届書を届け出ることには差し支えなく、治験終了届書又は治験中止届書の「当該治験計画届出受付番号」は空欄とすること。

Q 6 7

複数の被験薬を用いた治験において、被験薬ごとに旧様式で治験計画届書を届け出ている。切り替えのために新様式で治験計画届書を届け出際には、必ず複数の被験薬を記載した1つの治験計画届書を届け出る必要はあるか。

A 6 7

切り替えのために新様式で治験計画届書を届け出際には、原則として治験実施計画書ごとに1つの治験計画届書を届け出ることが望ましいが、やむを得ない場合には、それぞれの被験薬ごとに治験計画届書で届け出ることでも差し支えない。

なお、いずれの届出方法であっても、新様式で治験計画届書を届け出た以降は、治験計画届書に記載した治験使用薬について副作用等報告義務がかかることに留意すること。

新様式の治験計画届書に切り替えた後、旧様式で届け出たそれぞれの治験計画届書又は治験計画変更届書について、治験中止届書や治験終了届書を提出する必要はない。

Q 6 8

旧様式で届け出た治験計画届書又は治験計画変更届書を新様式の治験計画届書へ切り替える届出の場合、届書に添付すべき資料は何か。

A 6 8

旧様式の治験計画届書を届け出た際に添付していない資料（例えば、被験薬以外の治験使用薬に係る最新の科学的知見を記載した文書等）は新様式の届出の際に添付すること。

また、最新の科学的知見を記載した文書に該当する文書が本邦既承認製剤の添付文書の場合、届書添付資料の備考欄に、その旨入力することで、添付は要しない。

なお、旧様式の治験計画届書に添付した資料（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、治験実施計画書、インフォームド・コンセントに用いられる説明文書及び同意文書、最新の治験薬概要書等）については、最新版を改めて添付する必要はない。

Q 6 9

旧様式の治験計画届書又は治験計画変更届書を新様式に切り替える際の治験計画届書における各項目について、どのように記載すべきか。

A 6 9（下線部追記）

旧様式の治験計画届書又は治験計画変更届書で記載した最新の内容を記載すること。ただし、治験の依頼をしようとする者による薬物に係る治験において、治験届出者の氏名の変更（実態の変更を伴わない法人名の変更及び代表者の変更に限る）、住所及び業者コードの変更が必要である場合は、これらの項目のみ、変更後の内容を記載して差し支えない。新様式で新たに追加された項目については、企業治験届出通知に従い適切に記載することとし、届出区分は「2」とすること。なお、新様式の以下に示す項目については、次のように対応すること。

- 初回届出受付番号：主たる被験薬として選択した被験薬の初回届出受付番号を記載すること。
- 初回届出年月日：主たる被験薬として選択した被験薬の初回届出年月日を記載すること。
- 主たる被験薬の届出回数：主たる被験薬として届け出る治験成分記号での「最新の届出回数の連番」とすること（ただし、同日に同一の治験成分記号の治験計画届書を複数提出する場合、届出回数は順不同でもよい。）

- 当該治験計画届出受付番号：空欄とすること
- 届出年月日：新様式として届け出る年月日とすること
- 変更回数：空欄とすること
- 主たる被験薬の30日調査対応被験薬区分：空欄とすること
- 開始日年月日：旧様式の治験計画届書又は治験計画変更届書に記載した開始日年月日とすること
- 備考欄：「旧様式で治験届を届け出たものについて、新様式で新規の治験計画届書として出し直すものである。なお、旧様式の治験届に関する被験薬の届出回数及び当該治験計画届出受付番号は以下のとおりである。
(治験成分記号：●●●、届出回数：●回、当該治験計画届出受付番号：20▲▲-■ ■ ■ ■)」と記載すること。なお、複数の被験薬を新様式の治験計画届書でまとめて届け出る場合、「(治験成分記号：●●●、届出回数：●回、当該治験計画届出受付番号：20▲▲-■ ■ ■ ■)」については全ての被験薬の情報を記載すること。また、治験届出者の氏名の変更(実態の変更を伴わない法人名の変更及び代表者の変更)、住所及び業者コードの変更を行った場合、当該変更を行った旨を記載すること。
- 治験使用薬、治験使用機器相当、治験使用製品相当（主たる被験薬を除く。）の情報：主たる被験薬以外の治験使用薬の情報を記載すること。
「30日調査対応被験薬区分」については空欄とすること。

Q 7 0

旧様式から新様式に切り替えた後、新様式で治験計画変更届書を届け出る際の変更回数は旧様式で届け出ていた時の連番ではなく、新たに1回とする必要はあるか。

A 7 0

新たに1回とする必要がある。

Q 7 1

旧様式の治験計画届書で届け出た被験薬について、開発中止届書を提出する場合、旧様式又は新様式のいずれの様式で開発中止届書を届け出ればよいか。

A 7 1

どちらの様式で届け出ることでも差し支えない。

Q 7 2

旧様式から新様式に切り替えるためだけに届け出る治験計画届書につ

いて、「実施医療機関との予定契約締結日の少なくとも30日程度前を目安として届け出ること」及び「実施医療機関との予定契約締結日の少なくとも2週間程度前を目安として届け出ること」は適用されないと考えてよいか。

A 7 2

よい。

Q 7 3

旧様式の治験計画届書又は治験計画変更届書を新様式の治験計画届書に切り替えた治験において、治験実施医療機関はいつから令和2年8月31日改正のGCPガイドンスのうち治験使用薬に関する部分に則した対応をする必要があるか。

A 7 3

治験実施医療機関での対応は、それぞれの治験実施計画書等の改訂手続きに応じて実施されることになるため、治験依頼者が新様式で治験計画届書を提出してから可及的速やかに改正後のGCPガイドンスの治験使用薬に関する部分に則した対応ができるよう、事前に手続きの進め方について、実施医療機関と十分に調整すること。

Q 7 4

旧様式の治験計画届書又は治験計画変更届書を新様式の治験計画届書に切り替えた治験において、治験薬、治験依頼者が交付している「治験薬以外の治験使用薬」の数量は新様式でどのように記載等すべきか。

A 7 4

治験薬については、旧様式に記載等した予定交付数量を新様式に記載等すること。治験依頼者が交付している医薬品が新たに「治験薬以外の治験使用薬」となった場合、上記Q73に示した改正後のGCPガイドンスに則した対応の開始以降に治験依頼者が交付する当該治験使用薬について、予定交付数量を記載等すること。また、治験終了届書又は治験中止届書の提出時には、実際の数量情報を記載等すること。

なお、治験依頼者が交付する当該治験使用薬について、新様式の治験計画届書を届け出る前に数量管理を行っている場合、新様式の治験計画届書を届け出る前に管理していた数量も合わせて治験終了届書又は治験中止届書に記載等することは差し支えない。

Q 7 5 (新規)

承認申請後も治験を継続した後、承認後に製造販売後臨床試験に切り替え継続実施し、市販薬の使用開始に伴い当該試験を終了する場合に限っては、製販後臨床試験終了時点の治験使用薬の数量を記載し、治験終了届書を届け出ることでもよいか。

A 7 5

よい。