

(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
でよいか。

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」
に変更することでよいか。

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か。

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書の段階では、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か。

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か。

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か。

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か。

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か。

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か。

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。