

事務連絡  
平成28年1月22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）について

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集（Q&A）を別添のおりとりまとめましたので、貴管下関係業者に対し周知願います。

(別添)

○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、当該ブリッジ試験は主たる治験に該当すると考えてよいか。

A 2

貴見のとおり。

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治験薬が対象となると考えてよいか。

A 3

貴見のとおり。

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

貴見のとおり。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るよいか。

A 5

貴見のとおり。

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

貴見のとおり。

○治験計画届書について

Q 7

治験計画届書の正本及び副本の表紙のみに「㊦」又は「㊧」を朱書きすることによいか。

A 7

貴見のとおり。朱書きは手書き、スタンプでもよい。PDFファイルに反映させる必要はない。

Q 8

備考欄に記載する主たる治験又は人道的見地から実施される治験（以下「拡大治験」という。）について、どのように記載すればよいか。

A 8

主たる治験を届け出る場合は、「主たる治験」と記載すること。また、拡大治験を届け出る場合は、「拡大治験、主たる治験の受付番号〇〇-〇〇〇〇」と記載すること。なお、受付番号は半角英数字で記載すること。

Q 9

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、治験計画変更届書の表紙に「㊦」を朱書きして提出することによいか。

A 9

貴見のとおり。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。

Q10

「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。

A10

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。

Q11

治験計画届書に主たる治験である旨を記載して届出を行った場合、治験変更届書、治験終了届書又は治験中止届書には「㊦」の記載は必要ないと考えてよいか。

A11

貴見のとおり。

Q12

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。

A12

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、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「人道的見地から実施される治験（拡大治験）の実施について」（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。

Q13

抗がん剤などの治験において、複数の未承認薬・適応外薬を併用する併用療法の場合は、治験計画届書は治験成分ごとに提出するため、それぞれの治験計画届書の表紙に「㊦」を朱書きして提出することでよいか。また、情報公開は、1つの治験実施計画書であっても治験計画届書に応じて治験成分記号ごとに掲載されると考えてよいか。

A13

貴見のとおり。

#### ○治験情報の公開

Q14

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。

A14

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、kakudaitiken@pmda.go.jp宛てに添付して送付すること。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第2週目までに提出すること。

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。また、承認された場合、治験中止届書が届け出された場合等には、同様のタイミングでリストから情報が削除される。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

貴見のとおり。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者に一任されるところと考えてよいか。

A17

貴見のとおり。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を行うこと。

○既に実施済みの又は実施中の主たる治験に係る移行措置

Q18

主たる治験に係る治験計画届書を提出済みであって、現在、当該治験で目的としていた承認を取得前のものについては、PMDAまで提出することとなっているが、どのように提出したらよいか。

A18

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、kakudaitiken@pmda.go.jp宛てに添付して送付すること。また、メールの件名は「【人道的見地からの治験】【主たる治験情報】治験届出者名\_提出年月日(YYYYMMDD)」とすること。なお、提出時点において治験届出者の連絡先をPMDAに提出していない場合は、連絡先の記載様式に必要な事項を入力の上、同じメールに添付して送付することは差し支えない。

○治験薬について

Q19

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」の治験薬として使用できるか。

A19

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

##### Q20

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。

##### A20

貴見のとおり。

##### Q21

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。

##### A21

貴見のとおり。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。

##### Q22

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。

##### A22

貴見のとおり（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。

Q23

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。

A23

貴見のとおり。

Q24

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。

A24

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。

Q25

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。

A25

貴見のとおり。（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。

Q26

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。

A26

現時点では特に要しない。



Q27

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。

A27

貴見のとおり。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。