



2023年3月23日放送

## 厚生労働省アワー 特定臨床研究及び製造販売後臨床試験に関する最新の動向について

厚生労働省 医薬・生活衛生局 医薬品審査管理課  
山本 晶之

### はじめに

特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における利活用及び製造販売後臨床試験の実施基準の2点の最新の動向についてお話しさせていただきます。

本題に入る前に、医薬品審査管理課の業務について簡単にご紹介させていただきます。医薬品審査管理課では、医療用医薬品、要指導医薬品、一般用医薬品、医薬部外品、化粧品の承認審査に関する事項を所管しています。様々な審査制度に加え、医薬品の製造のために必要な業許可制度や治験の実施に関する制度など幅広い業務を行っています。医療上必要な医薬品を迅速かつ安全に患者さんに提供するために、厚生労働省内の他部署やPMDAとも緊密に連携し、製薬企業等との調整を重ね、既存制度の活用や改正、新制度の設立等を行っています。今回は承認審査に関する事項として特定臨床研究及び製造販売後臨床試験に関する最新の動向についてお話しさせていただきます。

### 特定臨床研究成果の薬事利活用

はじめに、今回の説明の対象である臨床研究、特定臨床研究及び治験についてそれぞれ説明させていただきます。臨床研究とは、臨床研究法において「医薬品等を人に対して用いることにより、当該医薬品等の有効性又は安全性を明らかにする研究」とされています。また、特定臨床研究とは、「臨床研究のうち、製薬企業から資金等の提供を受けて行われるもの又は国内で未承認若しくは適応外の医薬品を用いて行われるもの」です。一方で治験は、医薬品医療機器等法において、「薬事承認を得ることを目的として行われる臨床試験」とされています。

「治験」と「臨床研究」はかかる法規制が異なることから、各試験において作成すべき書類の種類や内容、データの信頼性を担保するためのモニタリングの手法、データの保管期間などの規定が完全には一致しておらず、特定臨床研究の成績をそのまま薬事承認申請に活用するためには課題があります。

また、臨床研究法の制定時における附帯決議の一つとして「医薬品、医療機器等の開発を推進するため、治験と臨床研究の制度区分と活用方法を明確化して、臨床研究を促進するとともに、臨床研究で得られた情報を、医薬品、医療機器等の承認申請に係る資料として利活用できる仕組みについて速やかに検討すること」が求められています。

これらの現状・課題を踏まえて厚生科学審議会臨床研究部会で検討が行われました。まず、特定臨床研究で得られたデータを薬事申請に利活用するには、治験と同程度の信頼性が確保されていることを申請者が確認していることが前提であることから、承認申請を予定している個別品目を試験的に取り上げ、厚労省・PMDAにおいて、特定臨床研究で得られた既存データを利活用して承認申請を行う場合の信頼性確保等について検討を行いました。

具体的には、薬事申請への利活用に向け、申請における試験の位置づけに応じたデータの信頼性が確保されているかどうかを確認すべく、申請者が、試験の品質管理・品質保証プロセスを根拠資料に基づき確認・点検できること、詳細な解析データにアクセスし、申請資料を作成することができることなどの基本的事項を精査しました。

これらの検討・精査から得られた知見等を基に、特定臨床研究で得られたデータを薬事申請に利活用する場合の要件、留意点等を一例として取りまとめ、事務連絡を发出了しました。发出された事務連絡では、「試験計画の立案の段階で、得られる結果を薬事申請に利活用することを前提とする場合は治験として行うことが原則であるものの、改めて治験を実施することが困難な場合には、治験と同程度の信頼性が確保された臨床研究の結果を薬事申請に利活用できる仕組みが必要」としており、求められる信頼性の水準を満たす臨床研究については、薬事申請に利活用することができるが示されています。

一例としては、信頼性の水準として承認申請における当該臨床研究の位置付け等を総合的に考慮した上で求められる信頼性の水準が判断されること、研究責任医師は、当該臨床研究の適切な実施を担保するとともに、当該研究の信頼性担保の状況について説明できることが必要なこと、申請者は研究責任医師との間で適合性調査に関する協力体制を構築していることが望ましいことなどが示されています。ほかには、適切な患者同意として、研究責任医師が、申請者による試験データの利用が可能となるような適切な患者同意を得ていること、利活用の可否として信頼性の担保に関する留意点・考え方の例に加え、特定臨床研究で得られた試験成績の論文化の状況や関連ガイドラインの記載状況等の背景情報も考慮の上、総合的に判断されるものであることなどが示されています。

今後の対応として、厚生科学審議会臨床研究部会において令和4年6月3日に公表された「臨床研究法の5年後の見直しに係る検討のとりまとめ」では、厚生労働科学特別研究事業等において、特定臨床研究で得られたデータを薬事申請に活用する場合の一般的な要件、

留意点等の取りまとめ・公表に向けた検討を進めるべき、とされており、これを踏まえて令和 4 年度厚生労働科学特別研究事業において「特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における活用のための研究」が進められています。

## 製造販売後臨床試験の実施基準

次に製造販売後臨床試験の実施基準についてお話しさせていただきます。医薬品医療機器等法に基づく治験、再審査・再評価に係る製造販売後臨床試験等については、医薬品医療機器等法の規制下で実施されており、臨床研究法における臨床研究の定義から除外されています。他方で、臨床研究法において、再審査・再評価に係る製造販売後臨床試験以外の製造販売後臨床試験については、以前は、除外されていなかったため、特定臨床研究の対象となっていました。特定臨床研究については、研究責任医師の責任の下で実施することとされており、企業等の法人の責任の下で実施することはできません。このため、再審査・再評価に係る製造販売後臨床試験以外の製造販売後臨床試験については、臨床研究法が施行された平成 30 年 4 月 1 日以降、企業が試験参加医師に研究責任医師として実施するよう依頼する等の対応が採られてきました。このため、グローバル企業が実施する国際共同試験に日本が参加できなかつたり、医師に依頼をする場合であっても医師との間でプロトコルの調整等に時間がかかるといった課題がありました。

先ほども取り上げた、厚生科学審議会臨床研究部会において令和 4 年 6 月 3 日に公表された「臨床研究法施行 5 年後の見直しに係る検討のとりまとめ」において、このような製造販売後臨床試験について「薬機法下で別途適切な基準に準拠して実施することができるよう、必要な見直しを行うべき」とされたことを踏まえ、臨床研究法施行規則及び医薬品医療機器等法施行規則の一部改正が令和 4 年 9 月 30 日に公布・施行されました。これにより、再審査・再評価に係る製造販売後臨床試験以外の製造販売後臨床試験の規制が臨床研究法から医薬品医療機器等法へと移行され、すべての製造販売後臨床試験が医薬品医療機器等法の規制を受けることとなりました。また、これに合わせて、製造販売業者の遵守事項として製造販売後臨床試験を GPSP 省令に基づいて実施すること、治験と同様に jRCT への登録を行うこと等の規定が医薬品医療機器等法施行規則に新設されました。

## おわりに

簡単にではありますが、以上が最近の薬事規制の動向のうち、承認審査関連の取り組みとして、特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における利活用及び製造販売後臨床試験の実施基準に関するご説明となります。

引き続き迅速な承認審査に尽力するとともに、刻一刻と変化する社会情勢に柔軟に対応し、課題を見据えながら、少しでも早く、有効で安全な医薬品を患者さんにお届けできるよう、よりよい薬事承認制度の実現に取り組んで参ります。