

平成 28 年 3 月 11 日

都道府県医師会会長 殿

日本医師会会長

横 倉 義 武

人道的見地から実施される治験の実施について

時下益々ご清栄のこととお慶び申し上げます。

さて今般、厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課長より各都道府県衛生主管部(局)長等宛に標記通知及び「人道的見地から実施される治験と患者申出療養との関係について」の文書が発出されるとともに、本会に対しても周知方依頼がありました。

標記の通知は、生命に重大な影響があつて既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の患者が、未承認の医薬品・医療機器の有効性を検証するための治験に参加基準に満たないために参加できない場合に、人道的見地から「拡大治験」として参加させて実施することについて周知を依頼するものです。対象となる未承認の医薬品等は、国内開発の最終段階である治験の実施中（組入れ終了後）または実施後のものとされております。また、当該医薬品等の開発が遅延するおそれがあることから、主たる治験に影響を及ぼさないことが前提での実施とされております。

なお、拡大治験が実施できない場合は、治験実施者が「治験薬の供給に余裕がないこと等（絶対事由）」等の実施できない理由を主治医にわかりやすく回答することとされております。その際、既存の治療法で有効なものが存在する等の「制度該当性事由」による回答に主治医及び患者が納得できない場合については、主治医は拡大治験の必要性等を述べた検討依頼書を厚生労働省に提出することができるとされております。

また、「人道的見地から実施される治験と患者申出療養との関係について」は、本制度と、保険外併用療養制度のひとつとして本年 4 月から開始される「患者申出療養」との関係を取りまとめたものについて周知を依頼するものです。この通

知では、既に治験において使用されている未承認薬を使用したいという相談に対しては、まずは主たる治験又は本制度につなげることを検討することとされております（患者申出療養の詳細については、「「患者申出療養」の実施上の留意事項及び申出等の取扱いについて」（日医発第 1114 号（保 185））を平成 28 年 3 月 9 日付けで貴会宛にお送りしております。）。治験情報については、独立行政法人医薬品医療機器総合機構のホームページにおいて、主たる治験情報、人道的見地から実施される治験（拡大治験）情報、治験届出者の連絡先一覧が確認できる予定となっております。

つきましては、貴会におかれましても本件に関してご了解いただきますとともに、貴会管下関係医療機関等への周知方につきご高配賜りますよう、よろしくお願い申し上げます。

追って、関連通知「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令の一部を改正する省令の施行について」及び「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」を同封してお送りすることを申し添えます。



薬生審査発 0122 第 8 号

平成 28 年 1 月 22 日

公益社団法人日本医師会 会長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課長



人道的見地から実施される治験の実施について

標記について、平成 28 年 1 月 22 日付薬生審査発 0122 第 7 号をもって、別添写し
のとおり、各都道府県衛生主管部（局）長宛て通知しましたので、貴会会員に対し周
知いただきますよう宜しくお願いいたします。



薬生審査発 0122 第 7 号
平成 28 年 1 月 22 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

人道的見地から実施される治験の実施について

欧米等では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応（以下「未承認薬等」という。）の解消に向けて、これまで、「未承認薬使用問題検討会議」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。）での検討に基づく開発の要請及び公募を通じて取り組むとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の審査員の増員を始めとする審査機能等の充実を通じて審査期間の短縮を図ってきたところである。

これにより、承認審査にかかる期間に起因するいわゆるドラッグラグ（審査ラグ）はほぼ解消されたと考えられるものの、生命に重大な影響がある疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の場合には、医薬品の承認申請から承認までの期間を待つことが出来ない患者も存在することが考えられる。

医療上の必要性の高い未承認薬等へのアクセスについては、「薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会」によって取りまとめられた最終提言（平成 22 年 4 月 28 日）を踏まえ、「厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会」において検討されており、そのとりまとめ（平成 24 年 1 月 24 日）において、「致命的な疾患や日常生活に著しい支障があり、その医薬品・医療機器を使用する以外には治療法がない疾患等に対する、医療上の必要性が高い未承認医薬品・医療機器のうち、国内で治験が行われている医薬品・医療機器に限定して、一定の条件の下、治験の参加基準に外れるなどの理由で治験に参加できない患者に対しても当該医薬品・医療機器にアクセスできるための制度については、本検討部会としては創設すべきと考えるが、実際の導入に当たっては丁寧に議論を進めるべきとの意見が多かった」とされているところである。

加えて同とりまとめにおいて、当該制度は「承認取得のための開発を阻害しないことが前提」とされており、また、その導入に当たっては、「副作用報告の収集や実施医療機関への安全性情報の提供等のシステムを構築する等、十分な安全対策を行うこと」等が確保された上で、「治験実施企業等から制度の対象となる薬物等が提供されるとともに、その医薬品の開発を阻害しないこととのバランスを保持した制度を念頭に検討に着手すべき」とされており、安全性の確保と承認申請のための治験の円滑な実施とのバランスを取ることの重要性が指摘されているところである。

これらを踏まえ、「「日本再興戦略」改訂 2014」（平成 26 年 6 月 24 日閣議決定）において、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬について、開発・承認を進める一方で、治験の参加基準に満たない患者に対する治験へのアクセスを充実させ

る仕組み（日本版コンパッションネートユース）の導入に向けた検討を進め、来年度から運用を開始することとされたところであり、平成 28 年 1 月 25 日より、医薬品について、下記のとおり実施することとしたので、貴管下関係業者に対して周知願いたい。

なお、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（以下「GCP 省令」という。）の一部を改正する省令の施行について」（平成 28 年 1 月 22 日付け厚生労働省医薬・生活衛生局長通知 薬生発 0122 第 2 号）についても併せて周知願いたい。

記

1. 制度の趣旨

欧米においては、「Expanded Access Program」あるいは「Compassionate use」制度として、代替治療薬の存在しない致死的な疾患等の治療のために人道的見地から未承認薬の提供を行う制度が整備されているところである。

医薬品の臨床的使用については、品質、有効性及び安全性の確保の観点から、原則として「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」（昭和 35 年法律第 145 号。以下「医薬品医療機器法」という。）における製造販売承認が取得されたものが原則であるものの、致死的な疾患等の患者にとっては、未承認薬等が最後の望みとなることも想定されることから、生命に重大な影響がある疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の治療のため、未承認薬等を臨床使用するに当たっては、当該未承認薬等の使用によるリスクと期待される治療上のベネフィットのバランスを図りつつ、当該医薬品の開発に支障を生じないことを前提として、これらの患者からのアクセスを確保することが求められている。

このため、わが国においても欧米と同様の趣旨の制度の検討が行われてきたが、重篤な副作用等による健康被害を引き起こすことにならないよう、また、治験の進捗に影響を与えて未承認の状況を徒に長引かせることにならないよう、慎重な検討と制度設計が必要とされたことから、海外の実施状況等を確認しつつ、そのあり方等について、平成 25 年度から実施した「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬のアクセス充実対策等事業」を通じて検討を行ってきたところである。

今般、治験の参加基準に満たない患者に対する人道的見地からの未承認薬等の提供のあり方について、関係者の意見を聴取して実施可能性も考慮の上、「人道的見地から実施される治験」（以下「拡大治験」という。）として整理することとした。本制度は、法令的には既存の枠組みである治験制度の下に実施されることから、主治医からの要望に基づいて国が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。）に対して拡大治験の実施の検討を要請する点や患者に一部の費用負担を求めることもあり得る点等を除き、原則として既存の治験の取扱と同様である。

なお、拡大治験の実施可能性を高める観点から、治験実施者の負担軽減を図るため、GCP 省令等の改正も併せて行ったことに留意されたい。

2. 制度の概要

（1）制度の対象範囲

- 未承認薬等は開発の途中であるため最終的に承認されとは限らない。特

に適応疾患の範囲や用法・用量が定まっていない開発の早期の段階では、例えば他に有効な治療薬がない病状にあったとしても、患者が得られるベネフィットを確保する観点から、未承認薬等へのアクセスを制度として認めることは慎重であるべきと考えられる。このため、本制度においては、未承認薬等の投与により、患者が享受できると期待されるベネフィットの蓋然性が比較的高いと考えられる国内開発の最終段階である治験（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、以下「主たる治験」という。）の実施後あるいは実施中（組入れ終了後）の治験薬を対象とする。

- 拡大治験の実施については、主たる治験の円滑な実施に好ましくない影響を及ぼすことにより、当該医薬品の開発を大幅に遅延させるおそれがあることから、あくまでも主たる治験に影響を及ぼさないことを前提とする。
- 未承認薬等を使用するリスクと期待される有効性のベネフィットにおける、ベネフィット・リスクバランスの観点から、原則として、当該医薬品の承認申請、承認及び保険適用の期間を待つことが出来ない、生命に重大な影響がある疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の治験薬を対象とする。

（２）臨床試験の位置づけ

- 国内で承認されていない未承認薬等の投与における安全性確保の観点から、GCP 省令が適用される治験の枠組みの中で実施する（承認取得後は、「医薬品の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令」（平成 16 年厚生労働省令第 171 号）第 2 条第 4 項にいう製造販売後臨床試験として継続する場合も含む。）。
- 拡大治験については、治験計画届書を事前に提出する必要があるが、この際、治験計画届書の表紙右肩に㊦（「拡」の文字を丸で囲む）と朱書きした上で、備考欄に「拡大治験」と記載し、主たる治験の治験計画届出受付番号も併せて記載することとする。なお、本制度の運用に伴い、主たる治験の治験計画届書についても、治験計画届書の表紙右肩に㊦（「主」の文字を丸で囲む）と朱書きした上で、備考欄に「主たる治験」と記載することとする。

（３）拡大治験の実施に係る検討要請と実施の可否の決定

- 拡大治験は、人道的見地から実施される治験であることから、治験実施者が自発的に実施することを妨げない。
- 拡大治験の実施は法的義務ではなく、その実施の可否は、当該治験薬を提供する者が決定するものである。ただし、いわゆる医師主導治験として拡大治験を実施する場合には、当該拡大治験を自ら実施する者が治験薬の入手可能性を踏まえた上で決定するものである。
- 安全性確保の観点から、拡大治験の実施の検討には患者の病状等を熟知する主治医の経験・見識が必要であることから、主治医が治験実施者に拡大治験の実施の要望を行うこととする。
- 人道的見地から、可能な限り主治医及び患者からの要望に応えることが期待されるものの、以下の理由等により、拡大治験が実施できない場合も想定され得る。このような場合には、治験実施者は、主治医に対し、別紙様式 1 を用いて、実施できない理由をわかりやすく回答することとする。

- 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（制度該当性事由）
- 治験薬の供給に余裕がないこと等（絶対事由）
- 主たる治験の組入れ期間中である等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれがあること（時期的事由）
- 患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から拡大治験への参加が勧められないこと等（個別事由）
- 主たる治験に参加できない場合であって、「制度該当性事由」（「制度該当性事由」を含む複数の事由の場合も含む。）により拡大治験の実施ができないと治験実施者から回答を受けた主治医及び患者が、治験実施者が回答した「制度該当性」に納得できない場合、主治医は、主たる治験に参加できない理由、拡大治験の必要性等を述べた別紙様式2による検討依頼書を、治験実施者から受けた別紙様式1による回答を添えて厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課（以下「審査管理課」という。）に提出することができるものとする。

検討依頼書を受け付けた場合、厚生労働省は、未承認薬等検討会議において、拡大治験実施の妥当性における制度該当性基準への該当性のみを評価することとする。

未承認薬等検討会議において、制度該当性基準に該当するとされた場合には、厚生労働省は、当該主たる治験の治験実施者（いわゆる医師主導治験にあつては当該治験を自ら実施する者と当該治験の治験薬を提供している者）に対して拡大治験の実施の検討を要請することとする。

要請を受けた治験実施者は、改めて拡大治験の実施の可否を検討し、主治医に回答することとする。

なお、未承認薬等検討会議の検討結果については、厚生労働省のホームページで公開することとしているので、そちらを参照されたい。

- なお、実施の判断は、欧米の類似の制度と同様に企業が行うものであるが、治験薬の供給に余裕がない場合、主たる治験の組入れ期間中である等の理由で主たる治験の実施に影響を与えるおそれがある場合、患者の病状に鑑みて安全性の観点から拡大治験への参加が勧められない場合等、実施できない場合も想定されることについて承知されたい。

（４）治験実施計画書

- 拡大治験の治験実施計画書は、主たる治験の治験実施計画書を基に作成されることを前提とし、主たる治験の治験実施計画のうち、安全性の確認に主眼を置いて変更を加えたものを基調とする。なお、有効性検証のための指標に係る検査項目等は患者の安全性確保に支障が無い範囲で簡略化あるいは省略することは差し支えないものとする。
- 拡大治験の治験実施計画書の作成にあたっては、必要に応じて PMDA の治験相談等を利用することができる。
- 原則として、拡大治験の要望を受けてから実施を検討するものであるが、特例として、拡大治験実施の社会的要請度が高いと想定される医薬品の主たる治験を実施する際には、主たる治験の治験実施計画書の作成段階から、拡大治験の実施の可否及び実施する場合の拡大治験の治験実施計画書の作成を検討することが望ましい。

なお、拡大治験実施の社会的要請度が高いと想定される医薬品については、当分の間、以下の医薬品が該当するものとする。

- 米国において実施されている EAP (Expanded Access Program) のうち、Intermediate size IND(protocol)又は Treatment IND(protocol)が実施されている医薬品（実施予定を含む）
- 先駆け審査指定制度に応募した医薬品（応募効能又は用法に限る）
- 希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品（指定効能又は用法に限る）
- 未承認薬等検討会議において、医療上の必要性が高いとして開発要請された医薬品（要請効能又は用法に限る）

(5) 対象患者

- 拡大治験の対象は、参加を希望する患者にとっては治療機会の有無を決定する重要なものである一方、主たる治験における組入れ基準を満たさない患者を拡大治験の対象患者に含められるかどうかについては、安全性確保の観点から、合併症、疾患の病期、重篤性等の項目について慎重に検討する必要がある。このため、実施済みあるいは実施中の主たる治験の実施計画書の組入れ基準の各項目に関して、組入れ基準を緩めても医学・薬学的に許容可能であると判断される範囲の患者とすべきである。
- 拡大治験の実施要望を受ける前に拡大治験の実施計画書を作成した場合であって、作成した拡大治験の実施計画では当該患者が参加できないと判断される場合には、当該実施計画書を作成した際に検討した根拠に基づき理由を主治医に回答する。

なお、実施計画書の見直しが可能な場合には、その時点で実施計画書の見直しを行うこととする。

(6) 実施施設

- 拡大治験の対象となる医薬品は、未承認薬等であることから、被験者の安全性確保の観点から、当該医薬品を投与した実績があり、当該医薬品による副作用等に対する十分な知識と経験を有していると想定される、主たる治験を実施したあるいは実施中の医療機関において、主たる治験の治験責任医師又は治験分担医師により実施されることを原則とする。

(7) 治験にかかる費用負担

- 原則として治験に係る費用は治験実施者が負担するものであるが、拡大治験においては、治験薬の製造、運搬、管理及び保存並びに同種同効薬（ただし、医療保険が適用されない場合）にかかる費用について、拡大治験に参加する患者に応分の負担を求めることも認められる。

なお、通常の治験と異なり人道的見地から実施されるものであることに鑑み、通常の治験で支払われる負担軽減費については支給する必要は必ずしも無いこと。

- 患者に負担を求める場合には以下の要件を満たすこと。
 - 患者説明文書に、想定される患者負担額及びその積算に係る考え方等を事前に患者が理解しやすいように記載するとともに、十分な説明を行った上で、同意を取得すること。
 - 治験薬及び同種同効薬に関する負担については、「使用薬剤の薬価

(薬価基準)」(平成 20 年厚生労働省告示第 60 号)に収載されている医薬品にあっては薬価を超えない額であること。

- 治験薬及び同種同効薬に関する負担がある場合、負担額とその積算に係る考え方について、審査管理課に報告すること。

(8) 実施期間

- 本制度は治験の枠内で実施されるものであることから、原則として、当該医薬品が承認された場合、不承認とされた場合、有効性が認められない等として申請が取下げられた場合あるいは開発が中止された場合には、その時点で終了するものとする。
ただし、承認後、製造販売を開始するまでの間、継続して治験薬を投与する必要がある場合には、治験の実施主体に応じて、以下の対応をとること。
 - 企業治験の場合：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、治験計画届書及び治験実施計画書にその旨を記載する等の対応をしておくこと。
 - 医師主導治験の場合：承認後自動的に臨床試験に切り替えられるよう、治験計画届書及び治験実施計画書にその旨を記載する等の対応をしておくこと。なお、やむを得ず、治験を継続しなければならない場合には、事前に審査管理課に相談すること。

(9) 補償について

- 拡大治験は、治験の範囲で実施されるものであることから、GCP 省令第 14 条又は第 15 条の 9 に基づき適切な補償措置を講ずること。

3. 申請後の申請資料としての取扱い

- 拡大治験は、一般に主たる治験に組み入れられている患者よりもリスクが高い患者が含まれていることが想定されることから、その安全性を評価する観点からも、承認申請後は、審査中に、その内容について、少なくとも 1 回は PMDA の審査部からの指示に基づき、実施状況を集計し報告すること。
この際、PMDA の審査部は、拡大治験が通常の治験と異なり、人道的見地から実施されるものであり、頻回な集計作業により申請者に過度な負担を強いることがないように配慮するものとする。
- また、拡大治験は、承認審査中も実施されることが想定されるため、承認申請時の臨床データパッケージに含めることは一般には想定されていない。なお、製造販売後に使用が想定される患者の安全性に関する情報を含んでいる場合が考えられることから、添付文書等に必要な記載を行うことがある。

4. 治験情報の公開等

(1) 主たる治験情報等の公開

- 治験計画届書として PMDA に届け出られたもののうち、主たる治験及び拡大治験に係る以下の情報については PMDA のホームページで公開する。
 - 治験薬の情報(治験成分記号)
 - 治験届出者名及び連絡先(ただし、連絡先は、別途一覧を作成する。)
 - 対象疾患

- 治験の相（第Ⅲ相等）
- 治験実施予定期間
- 平成 28 年 1 月 25 日以降に主たる治験及び拡大治験として PMDA に届け出られた治験計画届書の情報については、届出翌月末を目処に、PMDA のホームページにおいて公開する。公開するデータ（連絡先を除く）は、最初に提出された治験計画届書の情報とする。

（2）既に実施済み又は実施中の主たる治験に係る移行措置

- 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、平成 28 年 2 月 29 日までに、（1）の各項目に対応するデータ及び当該治験計画届出受付番号を治験ごとにまとめて、PMDA まで提出することとする。なお、ファイル形式は xls あるいはxlsx 形式とする。
- 上記により提出された主たる治験の情報については、平成 28 年 1 月 25 日以降に届けられた主たる治験の情報に追加して平成 28 年 3 月 31 日を目処に PMDA のホームページにおいて公開する。

5. その他、拡大治験に係る運用上の留意点等

（1）医療機関等における拡大治験への協力の依頼

治験の枠組みで実施される拡大治験は、未承認薬等を患者に投与方法としては、組織的かつ手厚い安全性確保が図られるものである一方で、実施する企業に多大な負担を強いることになることから、医療機関、開発業務受託機関（CRO：Contract Research Organization）及び治験施設支援機関（SMO：Site Management Organization）等の関連する諸機関におかれては、本制度の趣旨に鑑み、治験実施者の負担が少しでも低減されるよう、通常の治験の受託とは区別して、必要最低限の経費で受託するようご理解とご協力をお願いしたい。

（2）拡大治験に係る GCP 上の取扱い

拡大治験の実施に当たり、GCP 省令が改正されたが、その概要は以下の通り。具体的には、今後、別途発出予定の関連の通知を参照のこと。

- ① 人道的見地から実施される治験を「拡大治験」として定義を定めたこと（GCP 省令第 2 条第 25 項）
- ② 海外で使用されている治験薬又は既承認医薬品の市場流通品（実施医療機関在庫を含む）を用いた拡大治験の実施を依頼する場合には、「治験用である旨」の記載（邦文記載）及び「治験依頼者の氏名及び住所（当該者が本邦内に住所を有しない場合にあっては、その氏名及び住所地の国名並びに治験国内管理人の氏名及び住所）」の記載（邦文記載）を除き、記載を免除することとしたこと。（GCP 省令第 16 条第 1 項）
- ③ 拡大治験の実施を依頼する場合には、治験薬の予定される販売名、効能・効果、用法・用量を記載しないことを要しないこととしたこと。（GCP 省令第 16 条第 2 項）

- ④ 拡大治験の実施を依頼する場合には、治験用に転用する医薬品とそれ以外の医薬品を区別して適切に管理できることを前提に、治験依頼者による直接交付に代えて、実施医療機関の在庫を転用して実施医療機関の適切な場所において追加表示等を行うことにより治験の用に供することを可としたこと（GCP 省令第 17 条）。
- ⑤ 自ら治験を実施する者が、海外で使用されている治験薬又は既承認医薬品の市場流通品（実施医療機関在庫を含む。）を用いて拡大治験を実施する場合には、「治験用である旨」の記載（邦文記載）及び「自ら治験を実施する者の氏名及び職名並びに住所」の記載（邦文記載）を除き、記載を免除することとしたこと。（GCP 省令第 26 条の 2 第 1 項）
- ⑥ 自ら治験を実施する者が、拡大治験を実施する場合には、治験薬の予定される販売名、効能・効果、用法・用量を記載しないことを要しないこととしたこと。（GCP 省令第 26 条の 2 第 2 項）
- ⑦ 自ら治験を実施する者が、拡大治験を実施する場合には、治験用に転用する医薬品とそれ以外の医薬品を区別して適切に管理できることを前提に、治験薬を入手し、又は治験薬提供者からの治験薬の提供を受けることに代えて、実施医療機関の在庫を転用して実施医療機関の適切な場所において追加表示等を行うことにより治験の用に供することを可としたこと。（GCP 省令第 26 条の 3）
- ⑧ 拡大治験においても被験者に治験薬等の費用の負担を求める場合があるため、治験責任医師等が被験者への説明を行う際に交付する説明文書に記載する事項として、「被験者が負担する額があるときは、当該費用に関する事項」を追加したこと。（GCP 省令第 51 条）

(別紙様式 1)

人道的見地から実施される治験への参加に係る企業見解

(主治医の氏名) 宛

平成〇年〇月〇日

管理番号 「欄外右上に記載の提出日（西暦８桁の数字）＋任意のアルファベット４文字」により提出者が決定して記載する 例）20151225MHLW、20151225phar、20151225AbCd

1. 実施希望を受けた品目に関する情報	
① 製造販売業者名：	
② 治験成分記号：	
③ 医薬品名（一般名又は販売名）：	【決定している場合】
④ 開発中（主たる治験）の適応疾患名：	
2. 実施できない理由等	
① 各事由への該当性	（該当するもの全てにチェックする）
☐ 制度該当性事由	（既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重篤な影響がある疾患ではない）
☐ 絶対事由	（治験薬の供給に余裕がない等）
☐ 時期的事由	（主たる治験の組入れ期間中等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれあり）
☐ 個別事由	（患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から拡大治験への参加が勧められない等）
☐ その他	
② 理由	（事由ごとに詳細な理由をわかりやすく記述する）

連絡先	氏 名 :	
	所属名 :	
	住 所 :	〒
	連絡先 : 電話 :	E-mail :

(別紙様式2)

人道的見地から実施される治験への参加に係る検討依頼書

厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課 宛

平成○年○月○日

管理番号（企業見解に記載の番号を記載する）

1. 実施希望品目に関する情報（企業見解に記載の内容を参考に記載する）	
① 製造販売業者名：	
② 治験成分記号：	
③ 医薬品名（一般名又は販売名）：【決定している場合】	
④ 開発中（主たる治験）の適応疾患名：	
2. 他の既存の治療薬・治療法では不十分であるとする理由等	
① 疾患名：	
② 現治療又は既承認薬による治療では不十分な理由等	
	1) 現治療又は既承認の治療薬の名称：
	2) 治療効果が不十分又は適用できない理由：
③ 主たる治験に参加できない理由：	
④ 人道的見地から実施される治験を行う必要があるとする科学的根拠 （正規の医薬品の評価・承認審査期間が待てない理由、当該治験薬による治療による便益がリスクを上回ると考える理由を記載する）	

依頼医師 氏 名：	
所属医療機関名：	
住 所：	〒
連絡先：電話：	E-mail：

（注）治験実施者から受けた別紙様式1による回答を添えて厚生労働省に提出すること。

薬生審査発 0304 第 4 号

平成 28 年 3 月 4 日

公益社団法人日本医師会 会長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課長



人道的見地から実施される治験と患者申出療養との関係について

標記について、平成 28 年 3 月 4 日付薬生審査発 0304 第 3 号をもって、別添写しのとおり、各都道府県衛生主管部（局）長宛て通知しましたので、貴会会員に対し周知いただきますよう宜しくお願いいたします。



薬生審査発 0304 第 3 号

平成 28 年 3 月 4 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課長

（公印省略）

人道的見地から実施される治験と患者申出療養との関係について

平成 28 年 1 月 22 日付「人道的見地から実施される治験の実施について」（薬生審査発 0122 第 7 号）において、「人道的見地から実施される治験」（以下「拡大治験」という。）の具体的な運用方法について貴管下関係業者等に対し周知をお願いしたところです。

拡大治験と同じく、保険外併用療養費制度のひとつであって、中央社会保険医療協議会（以下「中医協」という。）において議論されている患者申出療養との関係については、別添のとおり取りまとめられています。

具体的には、「未承認薬を使用する患者申出療養に係る相談があった場合には、公開されている治験の情報を参考に、臨床研究中核病院等が主たる治験が実施中であるかどうかを確認し、実施中である場合にはその情報を患者から相談を受けたかかりつけ医等に提供する」こととなっており、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の下記 URL において、2 月末から順次治験の情報を公開する予定になっておりますので、貴管下関係業者及び医療機関等に対し周知をお願いいたします。

<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0016.html>

（PMDA「人道的見地から実施される治験について」）

(別添)

患者申出療養の制度設計について（平成 27 年 9 月 30 日中医協総会了解）＜抜粋＞

I 患者申出療養としては初めての医療の実施までの取扱いについて

2. 患者申出療養の対象とする医療について

(2) 患者申出療養の対象とする医療の類型について

○ 患者申出療養として実施されることが想定される医療の類型と、それに
応じた対応は以下のとおりとする。

④現在行われている治験の対象とならない患者に対する治験薬等の使用

1) 人道的見地からの治験の実施につなげることを検討する。

(3) 人道的見地からの治験との連携について

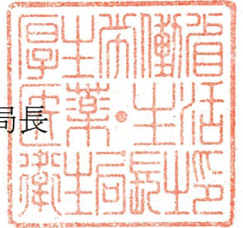
○ 既に治験において使用されている未承認薬を使用したいという相談があ
った場合には、まずは主たる治験又は人道的見地からの治験につなげるこ
とを検討することとする。すなわち、未承認薬を使用する患者申出療養に係る
相談があった場合には、公開されている治験の情報を参考に、臨床研究中核
病院等が主たる治験が実施中であるかどうかを確認し、実施中である場合
にはその情報を患者から相談を受けたかかりつけ医等に提供する。当該かかり
つけ医等が実施企業・主たる治験実施医療機関に治験への参加の可能性を照
会して、進行中の治験に参加する方向で連携することとする。

○ 主たる治験を実施中でない場合又は人道的見地からの治験を実施中（人道
的見地からの治験を準備中の場合を含む。）でない場合には、患者申出療養
として実施できるか否かについて、臨床研究中核病院が検討を行うこととす
る。

薬生発 0122 第 3 号
平成 28 年 1 月 22 日

社団法人日本医師会 会長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局長



医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令の一部を改正する省令の施行について

標記について、平成 28 年 1 月 22 日付薬生発 0122 第 2 号をもって、別添写しの
とおり、各都道府県知事宛て通知しましたので、貴会会員に対し周知いただきますよ
う宜しくお願いします。



薬生発 0122 第 2 号

平成 28 年 1 月 22 日

各都道府県知事 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局長

(公 印 省 略)

医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令の一部を改正する省令の
施行について

医薬品の製造販売承認申請、再審査等の際に提出すべき資料のうち臨床試験の試験成績に関する資料の収集のために行われる試験及び製造販売後臨床試験（以下「治験等」という。）については、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 9 年厚生省令第 28 号。以下「医薬品 G C P 省令」という。）により実施の基準を示しているところです。

「「日本再興戦略」改訂 2014」（平成 26 年 6 月 24 日閣議決定）において、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬について、開発・承認を進める一方で、治験の参加基準に満たない患者に対する治験へのアクセスを充実させる仕組み（日本版コンパッションネートユース制度）の導入に向けた検討を進め、今年度から運用を開始することとされました。日本版コンパッションネートユース制度の実施にあたっては、被験者の安全性等の確保の観点から、治験として実施することとして検討を進め、薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告し、了承されたところです。

今般、当該仕組みの実施可能性を高める観点から、治験実施者の負担軽減を図るため、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令の一部を改正する省令（平成 28 年厚生労働省令第 9 号。以下「改正 G C P 省令」という。）が平成 28 年 1 月 22 日に公布されましたので、下記について貴管下関係業者及び医療機関等に対して周知いただきますよう御配慮願います。

記

1. 改正 G C P 省令の概要について

(1) 第2条関係

人道的見地から実施される治験を「拡大治験」として定義したこと。

(2) 第16条第1項関係

海外で使用されている治験薬又は既承認医薬品の市場流通品（実施医療機関在庫を含む。）を用いた拡大治験の実施を依頼する場合には、「治験用である旨」の記載（邦文記載）及び「治験依頼者の氏名及び住所（当該者が本邦内に住所を有しない場合にあっては、その氏名及び住所地の国名並びに治験国内管理人の氏名及び住所）」の記載（邦文記載）を除き、記載を免除することとしたこと。

(3) 第16条第2項関係

拡大治験の実施を依頼する場合には、治験薬の予定される販売名、効能・効果、用法・用量を記載しないことを要しないこととしたこと。

(4) 第17条関係

拡大治験の実施を依頼する場合には、治験用に転用する医薬品とそれ以外の医薬品を区別して適切に管理できることを前提に、治験依頼者による直接交付に代えて、実施医療機関の在庫を転用して実施医療機関の適切な場所において追加表示等を行うことにより治験の用に供することを可としたこと。

(5) 第26条関係の2第1項関係

自ら治験を実施する者が、海外で使用されている治験薬又は既承認医薬品の市場流通品（実施医療機関在庫を含む。）を用いて拡大治験を実施する場合には、「治験用である旨」の記載（邦文記載）及び「自ら治験を実施する者の氏名及び職名並びに住所」の記載（邦文記載）を除き、記載を免除することとしたこと。

(6) 第26条の2第2項関係

自ら治験を実施する者が、拡大治験を実施する場合には、治験薬の予定される販売名、効能・効果、用法・用量を記載しないことを要しないこととしたこと。

(7) 第26条の3関係

自ら治験を実施する者が拡大治験を実施する場合には、治験用に転用する医薬品とそれ以外の医薬品を区別して適切に管理できることを前提に、治験

薬を入手し、又は治験薬提供者からの治験薬の提供を受けることに代えて、実施医療機関の在庫を転用して実施医療機関の適切な場所において追加表示等を行うことにより治験の用に供することを可としたこと。

(8) 第51条関係

拡大治験においても被験者に治験薬等の費用の負担を求める場合があるため、治験責任医師等が被験者への説明を行う際に交付する説明文書に記載する事項として、「被験者が負担する費用があるときは、当該費用に関する事項」を追加したこと。

2. 施行時期等について

改正GCP省令は、平成28年1月22日から施行すること。

事 務 連 絡
平 成 28 年 1 月 22 日

公益社団法人日本医師会 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

標記について、各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課宛て別添（写）の
とおり連絡しましたので、ご承知の上、貴管下関係業者に対する周知方
願い
します。



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
添のと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

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てよいか。

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りよい。

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。

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りよい。

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。

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。

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。

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。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。

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。

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。

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に努めること。

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は行うこと。

○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のか。

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のか。

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によいか。

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。