

人道的見地からの治験への参加について

平成 26 年 12 月 18 日
厚生労働省医薬食品局
審査管理課

【背景・経緯】

- 「日本再興戦略改定 2014」において、新たな保険外併用の仕組み（「患者申出療養（仮称）」）の創設及び「治験の参加基準に満たない患者に対する治験薬へのアクセスを充実させるための仕組み（日本版コンパッショネートユース）の導入に向けた検討を進め、来年度から運用を開始する。」とされたところ。
- これを受け、本年 11 月の中央社会保険医療協議会において「患者申出療養（仮称）」の概要が検討されたことを踏まえ、「日本再興戦略改定 2014」における「日本版コンパッショネートユース」について、人道的見地からの治験の取扱いとして整理するもの。

【取扱いの概要】

- 計画立案の負担軽減・期間短縮の観点から、当該治験薬について実施中の治験プロトコルの内容と同程度のデザインの治験として実施する。
- 国内で実施中の検証試験等のプロトコルの組入れ基準の各項目に関して、安全性確保の観点から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を対象とする。
- 当該治験薬の使用経験を積んでいることから、検証試験等（安全で、効果が期待できる用法・用量が設定された段階の治験）を実施中（治験終了後も含む）の医療機関を原則とする。
- 医師主導治験又は企業治験により実施する。
- 企業による新薬開発が主たる目的でないことから、治験薬剤費については患者負担も可とする。
- 対象期間は、有効性が期待される適応症（効能・効果）と安全性が推定できる用法・用量が設定された以降であって、承認（不承認・申請取下げ）、開発中止（当該効能のみの場合も含む）までの期間とする。
- 検証試験の対象患者の確保が困難となるなど検証試験に重大な支障を生じる場合には、検証試験成績に基づく申請・承認を待っている多くの患者に迷惑をかけることになるため、企業から当該制度実施のための治験薬が提供されないことが想定される。

【今後の予定】

- 平成 27 年度：施行

1. 人道的見地からの治験への参加について(案)

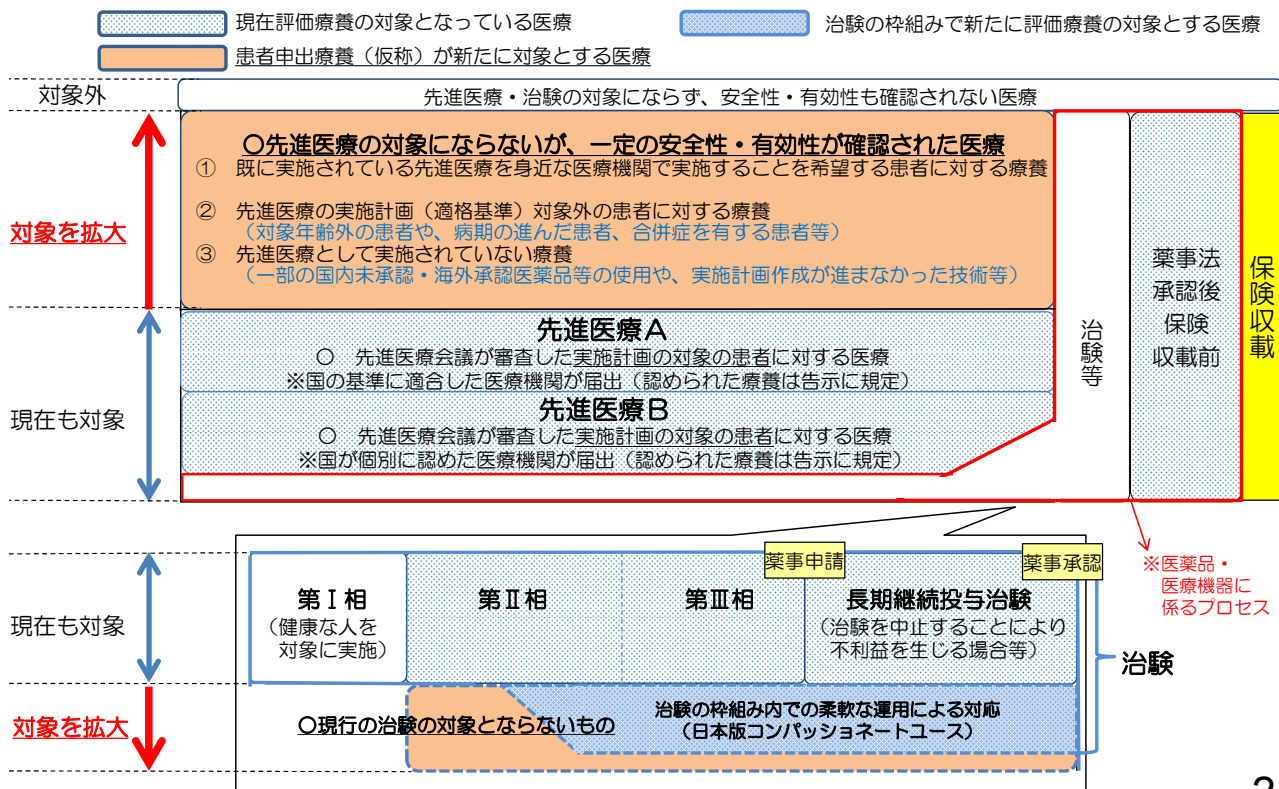
検証試験等の一定条件を満たす治験を実施中の治験薬について、治験の組入れ基準に満たない患者に対する治験薬へのアクセスを充実させることを目的に、許容可能な範囲内で組入れ基準を緩和した治験を並行して実施する※。

※検証試験等の対象患者の確保が困難となるなど検証試験に重大な支障を生じる場合には、検証試験成績に基づく申請・承認を待っている多くの患者に迷惑がかかることになるため、企業から当該治験実施のための治験薬が提供されないことが想定される。

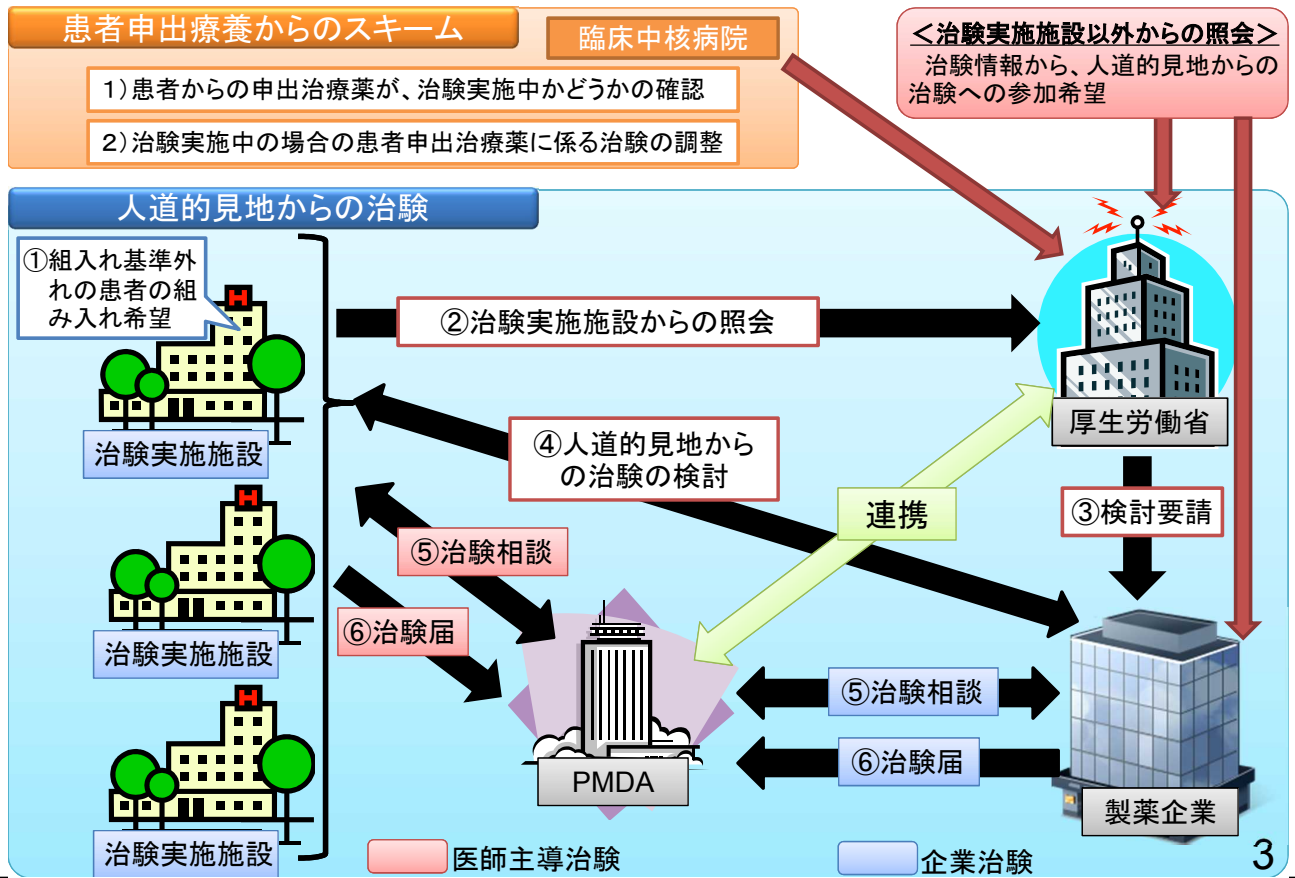
- ①試験計画：本取扱いにおける治験は、計画立案の負担軽減・期間短縮の観点から、当該治験薬について実施中の治験プロトコルの内容と同程度※のデザインであること
※例えば、安全性確認を主目的とする非盲検非対照試験を想定
- ②対象患者：国内で実施中の検証試験等のプロトコルの組入れ基準の各項目に関して、安全性確保の観点から基準を緩めても医学・薬学的に許容可能であると判断される（としてPMDAの相談で合意を得た※）範囲の患者
（例：年齢、身長体重、臨床検査値、初発再発の別、併用薬、前治療歴の別）
※PMDAの相談を経ない場合は、治験届提出後に内容を確認。
- ③対象施設：当該治験薬の使用経験を積んでいることから、検証試験等（安全で、効果が期待できる用法・用量が設定された段階の治験）を実施中（治験終了後も含む）の医療機関を原則とする。
- ④治験主体：医師主導治験・企業治験
- ⑤薬剤費：患者負担も可
- ⑥実施期間：有効性と安全性の観点から、有効性が期待される適応症（効能・効果）と安全性が推定できる用法・用量が設定された以降であって、承認（不承認・申請取下げ）、開発中止（当該効能のみの場合も含む）までの期間。1

2. 人道的見地からの治験への参加について

出典：中央社会保険医療協議会 総会（第287回）（平成26年12月3日開催） 総一3参考



3. 人道的見地からの治験への参加のイメージ



4. 人道的見地からの治験への参加について

