

## ①制度の対象範囲

- ◆ 原則として、未承認薬の投与によるベネフィットの蓋然性が高いと考えられる新薬の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や安全性の検証を目的とした治験〔以下、「主たる治験」※〕）の実施後あるいは実施中（組入れ終了後）に実施する。

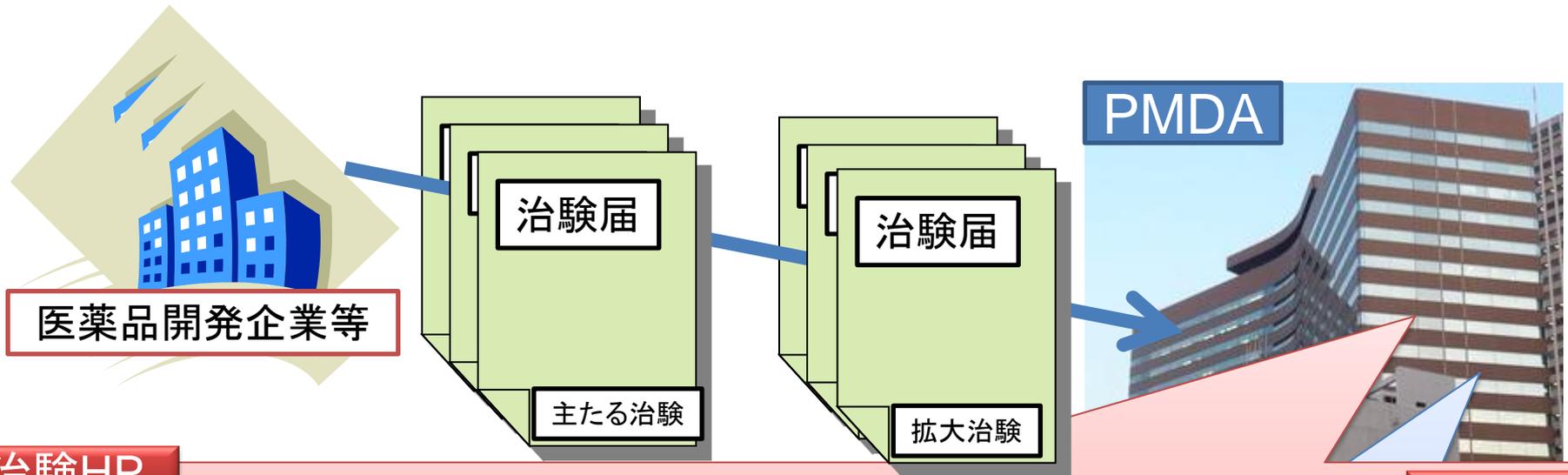
※実施中の主たる治験がわかるように公的HPに公開予定（詳細は次ページ）

- ◆ 医薬品の開発・承認が遅れ結果的に多くの患者への有効な新薬の提供が阻害されることがないように、欧米の類似の制度と同様に主たる治験の実施（医薬品の実用化）に悪影響を及ぼさないことを前提とする。
- ◆ 欧米の類似の制度と同様に、原則として生命に重大な影響がある重篤な疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない未承認又は適応外の治療薬を対象とする。

## ②法的位置づけと取扱い

- ◆ 未承認の医薬薬を患者に適用するため、被験者の安全性確保等の観点から、治験の枠内で実施する。
- ◆ 主たる治験のプロトコールを基に、安全性に主眼を置いた、プラセボ群を置かない実薬群単群非盲検試験（以下、「拡大治験」）を基本とする。 1

# 実施中の「主たる治験」等の情報公開のイメージ



## 治験HP

No.	治験成分記号	対象疾患	開発の相	治験実施者※	実施予定期間
1	Abc-123	●●癌	第Ⅲ相	●●製薬	2014.12～2016.4
2	Bcd-456	××癌	第Ⅱ相	□□薬品	2015.8～2018.1

### 主たる治験

治験届の  
情報にない項目は  
対応不可

## 拡大治験HP

No.	治験成分記号	対象疾患	開発の相	治験実施者※	実施予定期間
1	Abc-123	●●癌	—	●●製薬	2016.5～
2					

### 拡大治験

治験届の  
情報にない項目は  
対応不可

※治験届けに記載されている連絡先は、行政(薬事)に関する窓口の連絡先であるため、主たる治験への参加に関する照会先としては不適當であるため、電話番号等の具体的連絡先については、別途作成することを検討。

# 人道的見地からの治験参加の骨子(案)

## ③制度の運用の流れ(イメージ図は次ページ)

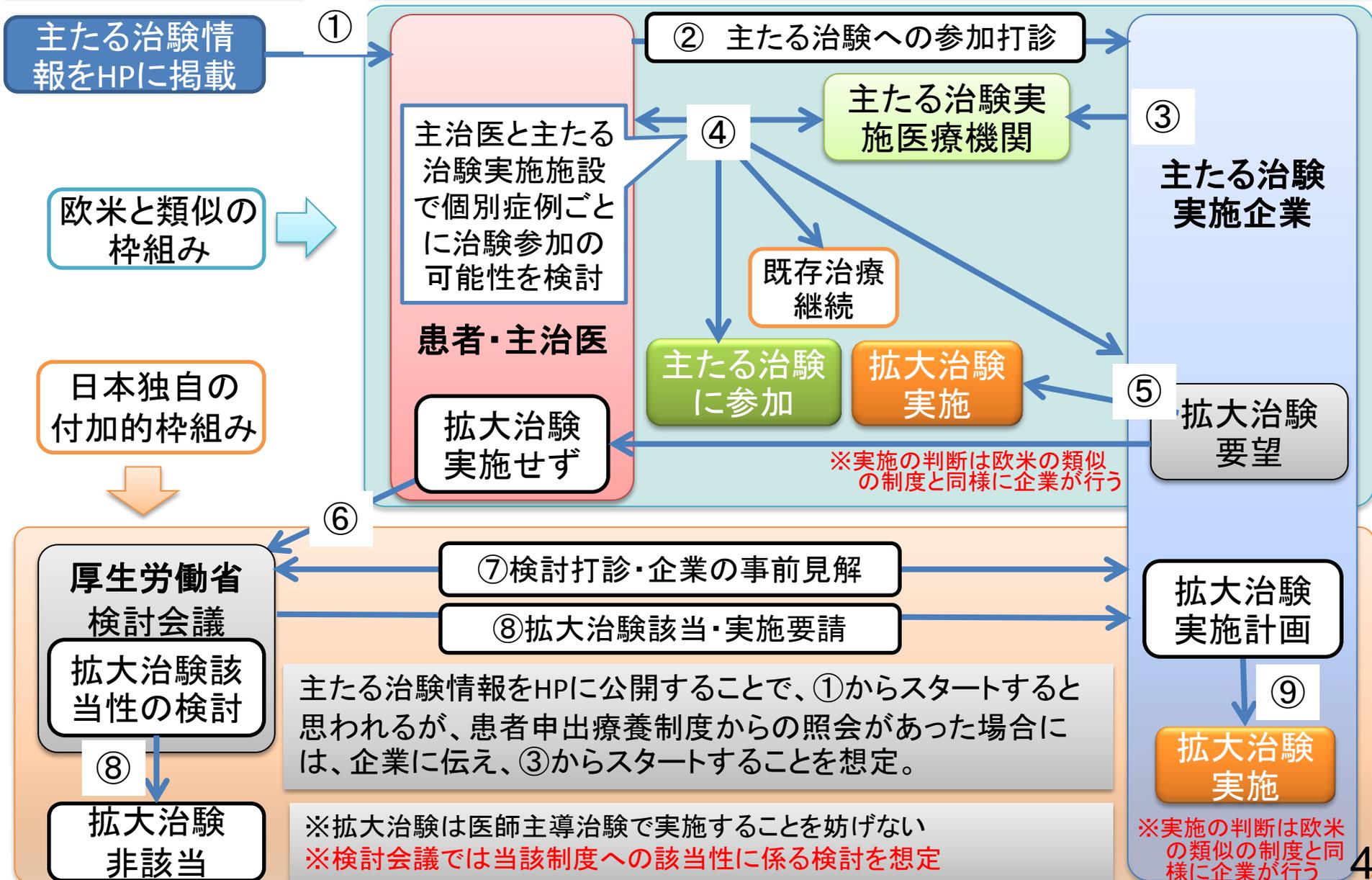
- ◆ 実施中の主たる治験の情報を当面、公的機関のHPに公開する。
- ◆ 主たる治験に参加を希望する患者は主治医を通じて主たる治験実施企業に照会する。 (主たる治験の公開により、すべての主たる治験への参加の機会が拡大)
- ◆ 主治医と主たる治験の実施医療機関の治験責任医師との間で組入の可能性等を検討する。
  - ⇒主たる治験に参加できる可能性あり
  - ⇒主たる治験に参加できないと判断し、既存治療を継続する。
  - ⇒主たる治験に参加できないと判断し、拡大治験の実施検討を依頼したい。
- ◆ 拡大治験の実施を希望する場合には、主たる治験の実施企業において当該制度の該当性等を検討し、理由を添えて要望者(主治医)に回答する。
  - ⇒拡大治験が実施され、拡大治験に参加する。
  - ⇒拡大治験が実施されない理由が告げられ、拡大治験が実施されない。
- ◆ 当該制度に該当しないことを理由に拡大治験が実施されない場合であって、企業のからの回答・判断に不服な場合には、厚生労働省に主治医を通じて、企業からの回答書を添えて検討依頼の要望書を提出する。
- ◆ 検討会議にて当該制度への該当性の評価を行い、該当すると判断された場合には、主たる治験の実施企業に拡大治験の実施の検討要請※を行う。

主たる治験のエントリー期間が終了、参加要件を満たさない場合等

※拡大治験の実施の判断は欧米の類似の制度と同様に企業が行う

# 主たる治験のHP掲載から人道的見地からの治験への流れ

～完成形のイメージ～



# 検討会議における検討の進め方(案)

主治医(患者)

⑤ 拡大治験を実施しないことに関する  
治験実施者見解

主たる治験  
実施者

⑥ 制度該当性の  
評価の検討要望  
(実施者見解添付)

番号を付番。要望  
としての公表等は  
その番号で実施。

4つの事由全てに対す  
る見解を丁寧に記述

事由の該当性評価  
1. 制度該当性事由  
2. 絶対事由  
3. 時期的事由  
4. 個別事由

厚生労働省

⑦ 要望に係る実施者見解の  
念のための確認(短期間)

事由2,3,4を  
再評価

⑧ 制度該当性の評価結果  
に基づく、拡大治験の実  
施要請(該当の場合)

⑧ 制度該当性の評価結果

⑨ 拡大治験の  
実施

※実施の判断は欧米  
の類似の制度と同  
様に企業が行う

検討会議

WG

制度該当性にかか  
る見解案の作成

WGの見解案に基づ  
いて検討会で検討

迅速処理のためにWGで全会  
一致の場合には、検討会に事  
前メール確認を行い、異議が  
無い場合、開催前に決定

# 拡大治験が実施されない場合に 想定される主な理由

絶対事由、時期的事由、個別事由については、第三者である検討会が評価し直す余地がない(できない)が、制度該当性については、治験実施者による評価に加えて検討会による評価を行った結果に基づいて治験実施者への検討要請を行う。

- 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等(絶対事由)
- 主たる治験の症例の組入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)