

## 未承認薬に係る治験について（案）

## 1 未承認薬に係る治験の種類

欧米諸国で承認されているが、国内では未承認の医薬品（以下「未承認薬」という。）について、制度的に切れ目なく保険診療との併用が可能な体制を確立するため、確実な治験の実施に繋げる必要がある。

このような未承認薬に係る治験には、次の3種類がある。

承認申請のための主たる治験（以下「承認申請のための治験」という。）

の開始後に、新たに治験に参加する被験者のための治験（以下「追加的治験」という。）

承認申請中に、承認後の使用実態を想定して実施する治験（以下「安全性確認試験（仮称）」という。）

なお、いずれも薬事法第2条第9項に規定する治験であることから、承認申請時又は承認申請中に国へ提出する資料の収集を目的としたものとして位置づけられる。

（参考）薬事法第2条第9項

この法律で「治験」とは、第14条第3項（同条第7項、第19条の2第4項及び第23条において準用する場合を含む。）の規定により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を目的とする試験の実施をいう。

## 2 承認申請のための治験

### (1) 「承認申請のための治験」の位置付け

- 「承認申請のための治験」とは、
- ・ 学会・患者団体から使用の要望が出されている未承認薬について、
  - ・ 薬事法上の承認申請を主目的として、企業依頼又は医師主導によって実施される治験をいう。

本治験は、企業に対し実施の可否の検討を依頼するものとするが、実施が困難な場合、医師主導治験による対応も検討する。

### (2) 実施の対象となる薬剤

未承認薬のうち、国内において治験が未だ開始されていないものであって、未承認薬使用問題検討会議によって試験実施の了承が得られたもの

### (3) 参加対象患者の範囲

未承認薬の使用を希望する次の患者

- ・ 「承認申請のための治験」の患者選定基準に適合する患者

### 3 追加的治験

#### ( 1 ) 「追加的治験」の位置付け

「追加的治験」とは、

- ・ 「承認申請のための治験」が既に開始され、又は開始に向けた準備を終えた未承認薬について、
- ・ 未承認薬の有効性・安全性を追加的に確認すること及び希望する患者に使用機会を提供することを目的とした試験として、「承認申請のための治験」とは別に実施される治験をいう。

本治験は、企業に対し実施の可否の検討を依頼するものとするが、実施が困難な場合、医師主導治験による対応も検討する。

#### ( 2 ) 実施の対象となる薬剤

「承認申請のための治験」が既に開始又は開始に向けた準備を終えた未承認薬のうち、未承認薬使用問題検討会議によって試験実施の了承が得られたもの

#### ( 3 ) 参加対象患者の範囲

未承認薬の使用を希望する次のいずれかの患者

- ・ 「承認申請のための治験」の患者選定基準に適合する患者
- ・ 主治医等による適切な医学的判断・管理がされている患者

## 4 安全性確認試験（仮称）

### （１）「安全性確認試験（仮称）」の位置付け

- 「安全性確認試験（仮称）」とは、
- ・ 学会・患者団体から使用の要望が出されている未承認薬のうち、「承認申請のための治験」が終了したもの、又は承認申請中のものについて、
  - ・ あらかじめ、承認後の使用実態を想定して、臨床使用成績を把握することにより、承認時に一層の適正使用を図るために、治験終了後承認申請前又は承認申請中に実施される治験をいう。

本試験は、市販後の臨床使用時と同等の疾病素因をもつ患者群を対象とするため、併用薬との相互作用等を含め、承認後に注意すべき副作用や使用上の注意について、承認審査の過程で確認することができる。

「安全性確認試験（仮称）」は、承認後の使用実態を想定して実施する試験であるため、企業依頼治験とする。

### （２）実施の対象となる薬剤

「承認申請のための治験」が終了、又は承認申請中の未承認薬のうち、未承認薬使用問題検討会議によって試験実施の了承が得られたもの

### （３）参加対象患者の範囲

承認取得後に、主治医等による適切な医学的判断・管理の下、未承認薬が使用されることが想定される患者と同等の患者

## 5 実施に関する手順

### (1) 「承認申請のための治験」及び「追加的治験」について

#### 実施に向けた試験計画の策定等

- イ 国は、未承認薬について、学会・患者団体等から使用の要望があった場合、未承認薬使用問題検討会議の意見を聴く。  
(あらかじめ、企業依頼治験の実施状況を確認。)
- ロ 検討会議は、専門的見地から治験実施の妥当性を検証し、治験実施に関する意見をとりまとめる。
- ハ 未承認薬を開発する企業は、検討会議における意見を踏まえ、国からの要請に基づき、企業依頼治験実施の可能性を検討する。当該企業は、実施することとした場合、速やかに試験計画を策定し、治験届を提出する。
- ニ 医師主導治験を実施することとした場合、国は検討会議の意見を踏まえ、未承認薬の調達や関係資料・情報の入手等が円滑に進むよう、関係企業との協議、入手ルートの確保等に努める。治験責任医師は、それぞれの医療機関で速やかに試験計画を策定し、治験届を提出する。

#### 治験の実施及び終了等

- ホ 企業又は医師は、試験計画に基づき、速やかに患者登録を開始し、治験を実施するとともに、「追加的治験」については、あらかじめ定めた治験実施期間が終了する前に、治験の継続等について国と協議する。
- ヘ 国は、企業又は医師から治験の継続等に関する協議を受けた場合、検討会議の意見を聴いた上で、治験の継続等を判断する。

## (2)「安全性確認試験(仮称)」について

### 実施に向けた試験計画の策定等

イ 未承認薬を開発する企業は、国からの要請に基づき、未承認薬使用問題検討会議での検討に先立ち、「承認申請のための治験」等の実施中に、あらかじめ「安全性確認試験(仮称)」の試験計画を策定する。

ロ 国は、試験計画及びそれに基づく本試験の実施について、検討会議の意見を聴く。

ハ 検討会議は、専門的見地から本試験実施の妥当性を検証し、実施に関する意見をとりまとめる。

ニ 企業は、検討会議における意見を踏まえ、本試験実施の可能性を検討する。

当該企業は、実施することとした場合、速やかに試験計画を策定し、治験届を提出する。

### 治験の実施及び終了等

ホ 企業は、学会・患者団体等から使用の要望があることが明らかとなった時点で、試験参加希望者の主治医及び関係学会との協議を開始する。

(注)協議の内容： 実施施設の選定、実施施設間のコーディネーターの選定、参加者数の把握・確定・登録、費用負担など

ヘ 企業は、治験届提出後、試験計画に基づき、速やかに患者登録を開始し、治験を実施する。

ト 企業及び国は、試験計画策定時に、本試験の実施予定期間を定めることとするが、承認審査の状況に応じ、検討会議の意見を聴いた上で、実施期間の延長について判断する。