

規制の事後評価書

法令の名称：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等の一部を改正する法律（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の一部改正関係）

規制の名称：治験における対照薬等の副作用報告の見直し

規制導入時の区分：☐新設 ☒拡充 ☐緩和 ☐廃止

担当部署：厚生労働省医薬局医薬品審査管理課、医療機器審査管理課、総務課医薬品副作用被害対策室

評価実施時期：令和7年1月

1 事後評価結果の概要

<規制の内容>

- ・ 本規制は、治験において、対照薬や併用薬等として未承認薬等が用いられる場合の副作用・不具合報告や医療機関への情報提供等の義務を課すものである。
- ・ 近年、複数の国で共同して治験が行われる例が増加していることを背景として、国外では使用されているが国内では未承認の対照薬、併用薬等が国内での治験で用いられている。これらの薬物等を副作用・不具合報告の対象とし、副作用等に関する知見を蓄積させることで治験対象者の安全性をより適切に確保できるようにすることを目的としている。

<今後の対応>

☒そのまま継続 ☐拡充して継続 ☐緩和して継続 ☐廃止

<課題の解消・予防の概況>

☒おおむね想定どおり

☐想定を下回るが、対応の変更は不要

☐想定を下回り、対応の変更が必要

※ 「おおむね想定どおり」以外の回答の場合は、「3 考察」において、対応変更が不要な理由又は対応変更の内容を記載

<遵守費用の概況（新設・拡充のみ）>

☒おおむね想定どおり

☐想定を上回るが、対応の変更は不要

☐想定を上回り、対応の変更が必要

※ 「おおむね想定どおり」以外の回答の場合は、「3 考察」において、対応変更が不要な理由又は対応変更の内容を記載

<行政費用の概況>

☒おおむね想定どおり

☐想定を上回るが、対応の変更は不要

☐想定を上回り、対応の変更が必要

※ 「おおむね想定どおり」以外の回答の場合は、「3 考察」において、対応変更が不要な理由又は対応変更の内容を記載

<規制緩和・廃止により顕在化する負担の概況（緩和・廃止のみ）>

☐ おおむね想定どおり

☐ 想定を上回るが、対応の変更は不要

☐ 想定を上回り、対応の変更が必要

※ 「おおむね想定どおり」以外の回答の場合は、「3 考察」において、対応変更が不要な理由又は対応変更の内容を記載

2 事前評価時の予測との比較

<効果（課題の解消・予防）>

		算出方法と数値
①	事前評価時	－
	事後評価時	治験に使用される薬物等に関する知見が蓄積され、治験対象者の安全をより適切に確保できるようになるとともに、これにより、治験対象者の理解を得やすくなるなど、治験のより円滑・適正な実施に資するものであると考えられる。

（注）治験に使用される薬物等に関する知見が蓄積され、治験対象者の安全をより適切に確保できるようになるとともに、これにより、治験対象者の理解を得やすくなるなど、治験がより円滑・適正に実施されることを期待する。

<負担>

■遵守費用（新設・拡充のみ）

		算出方法と数値
①	事前評価時	被験薬に関する副作用報告のため、被験者における有害事象は追跡されており、治験の運営に対して大幅に費用が増えることはない。
	事後評価時	被験薬に関する副作用報告のため、被験者における有害事象は追跡されており、治験の運営に対して大幅に費用が増えることはなかった。

■行政費用

		算出方法と数値
法令遵守体制の強化に係る監視指導等に要する費用	事前評価時	新たな行政費用は発生しない。
	事後評価時	新たな行政費用は発生しなかった。

■規制緩和・廃止により顕在化する負担（緩和・廃止のみ）

		算出方法と数値
①	事前評価時	
	事後評価時	

3 考察

本規制の新設については、事前評価時の判断に影響を及ぼす遵守費用及び行政費用は発生していない。また、被験者の安全性の確保に係る副作用等の知見の蓄積は図るべきであるため、引き続き本規制を継続することが妥当である。

規制の事前評価書

法律又は政令の名称：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等の一部を改正する法律（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の一部改正関係）

規制の名称：治験における対照薬等の副作用報告の見直し

規制の区分：新設、改正（拡充、緩和）、廃止 ※いずれかに○印を付す。

担当部局：厚生労働省医薬・生活衛生局総務課、医療機器審査管理課、医薬品審査管理課

評価実施時期：平成31年3月

1 規制の目的、内容及び必要性

① 規制を実施しない場合の将来予測（ベースライン）

「規制の新設又は改廃を行わない場合に生じると予測される状況」について、明確かつ簡潔に記載する。なお、この「予測される状況」は5～10年後のことを想定しているが、課題によっては、現状をベースラインとすることもあり得るので、課題ごとに判断すること。
（現状をベースラインとする理由も明記）

- 本改正案は、治験において、対照薬等や併用薬等として未承認薬等が用いられる場合の副作用・不具合報告や医療機関への情報提供等の義務を課すものである。
- 近年、複数の国で共同して治験が行われる例が増加していることを背景として、国外では使用されているが国内では未承認の対照薬、併用薬等が国内での治験で用いられることが増えてきている。これらは日本人が使用した場合の副作用・不具合等について確かめられていないにも関わらず、現行では副作用報告の対象となっていない。
- 今後も複数の国で共同して行われる治験は増加することが見込まれており、これらの薬物を現状のまま、副作用報告の対象としない場合、副作用等に関する知見が蓄積されていけば防げたはずの薬物被害が発生することが危惧される。

② 課題、課題発生の原因、課題解決手段の検討（新設にあつては、非規制手段との比較により規制手段を選択することの妥当性）

課題は何か。課題の原因は何か。課題を解決するため「規制」手段を選択した経緯（効果的、合理的手段として、「規制」「非規制」の政策手段をそれぞれ比較検討した結果、「規制」手段を選択したこと）を明確かつ簡潔に記載する。

医薬品等の規制に関する国際調和の進展等を背景に、複数の国で共同して治験が行われることが増加したことにより、国内未承認の対照薬、併用薬等が国内での治験で用いられるようになったことが課題発生の原因であり、これらの薬物に関する副作用報告の法令上の義務が係っていないことが課題である。この課題の解決手段として、対照薬、併用薬等に関する副作用報告は、すでに法令上の義務となっている被験者の副作用報告と同じ被験者から収集した有害事象情報を活用することが想定されるため、治験実施者にとって過度の負担になることは想定されないことから、今回の措置が適当と判断した。

2 直接的な費用の把握

③ 「遵守費用」は金銭価値化（少なくとも定量化は必須）

「遵守費用」、「行政費用」について、それぞれ定量化又は金銭価値化した上で推計することが求められる。しかし、全てにおいて金銭価値化するなどは困難なことから、規制を導入した場合に、国民が当該規制を遵守するため負担することとなる「遵守費用」については、特別な理由がない限り金銭価値化を行い、少なくとも定量化して明示する。

現行においても、被験薬に関する副作用報告のため、被験者における有害事象の追跡はされており、遵守費用を含めて現行の治験の運営に対して大幅に費用が増えることはない。

④ 規制緩和の場合、モニタリングの必要性など、「行政費用」の増加の可能性に留意

規制緩和については、単に「緩和することで費用が発生しない」とするのではなく、緩和したことで悪影響が発生していないか等の観点から、行政としてモニタリングを行う必要が生じる場合があることから、当該規制緩和を検証し、必要に応じ「行政費用」として記載することが求められる。

（規制の拡充のため該当せず）

3 直接的な効果（便益）の把握

⑤ 効果の項目の把握と主要な項目の定量化は可能な限り必要

規制の導入に伴い発生する費用を正当化するために効果を把握することは必須である。定

性的に記載することは最低限であるが、可能な限り、規制により「何がどの程度どうなるのか」、つまり定量的に記載することが求められる。

使用される薬物に関する知見が蓄積され、治験対象者の安全をより適切に確保できるようになるとともに、これにより、治験対象者の理解を得やすくなるなど、治験をより円滑・適正に実施することができるようになる。

⑥ 可能であれば便益（金銭価値化）を把握

把握（推定）された効果について、可能な場合は金銭価値化して「便益」を把握することが望ましい。

金銭価値化することは困難。

⑦ 規制緩和の場合は、それにより削減される遵守費用額を便益として推計

規制の導入に伴い要していた遵守費用は、緩和により消滅又は低減されると思われるが、これは緩和によりもたらされる結果（効果）であることから、緩和により削減される遵守費用額は便益として推計する必要がある。また、緩和の場合、規制が導入され事実が発生していることから、費用については定性的ではなく金銭価値化しての把握が強く求められている。

（規制の拡充のため該当せず）

4 副次的な影響及び波及的な影響の把握

⑧ 当該規制による負の影響も含めた「副次的な影響及び波及的な影響」を把握することが必要

副次的な影響及び波及的な影響を把握し、記載する。

※ 波及的な影響のうち競争状況への影響については、「競争評価チェックリスト」の結果を活用して把握する。

副次的な影響は想定されない。

5 費用と効果（便益）の関係

- ⑨ 明らかとなった費用と効果（便益）の関係を分析し、効果（便益）が費用を正当化できるか検証

上記 2～4 を踏まえ、費用と効果（便益）の関係を分析し、記載する。分析方法は以下のとおり。

- ① 効果（便益）が複数案間でほぼ同一と予測される場合や、明らかに効果（便益）の方が費用より大きい場合等に、効果（便益）の詳細な分析を行わず、費用の大きさ及び負担先を中心に分析する費用分析
- ② 一定の定量化された効果を達成するために必要な費用を推計して、費用と効果の関係を分析する費用効果分析
- ③ 金銭価値化した費用と便益を推計して、費用と便益の関係を分析する費用便益分析

改正案を導入した場合、治験実施者の遵守費用が増加することも想定されるが、既に副作用報告そのものは義務付けられていることから、その費用は一定程度抑制されと考えられる。一方で、治験対象者の安全をより適切に確保できるようになるとともに、これにより、治験対象者の理解を得やすくなり、治験を適正に実施することができるようになる、副作用による有害事象の防止に資する等の便益は、その費用を大きく上回るものと考えられるため、規制の拡充が必要である。

6 代替案との比較

- ⑩ 代替案は規制のオプション比較であり、各規制案を費用・効果（便益）の観点から比較考量し、採用案の妥当性を説明

代替案とは、「非規制手段」や現状を指すものではなく、規制内容のオプション（度合い）を差し、そのオプションとの比較により導入しようとする規制案の妥当性を説明する。

努力義務として規定することが考えられる。この場合、実効性の確保に問題があるため、義務として法律上規定することが妥当である。

7 その他の関連事項

- ⑪ 評価の活用状況等の明記

規制の検討段階やコンサルテーション段階で、事前評価を実施し、審議会や利害関係者からの情報収集などで当該評価を利用した場合は、その内容や結果について記載する。また、評価に用いたデータや文献等に関する情報について記載する。

薬機法等制度改正に関するとりまとめ（平成 30 年 12 月 25 日厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会）

- ③ 治験手続の明確化と被験者の安全性の確保

- 治験において、対照薬等や併用薬等として未承認薬等が用いられる場合の副作用・不具合報告や医療機関への情報提供等の義務を明確化することや、複数の治験薬を同時にそれぞれ異なる患者集団に投与するような複雑な治験を効率的かつ適切に管理するための運用の改善などを通じて、被験者の安全の確保を図るべきである。

8 事後評価の実施時期等

⑫ 事後評価の実施時期の明記

事後評価については、規制導入から一定期間経過後に、行われることが望ましい。導入した規制について、費用、効果（便益）及び間接的な影響の面から検証する時期を事前評価の時点で明確にしておくことが望ましい。

なお、実施時期については、規制改革実施計画（平成 26 年 6 月 24 日閣議決定）を踏まえることとする。

法律の施行後 5 年を目途として、この法律の規定による改正後の規定の施行の状況について検討を加え、必要があると認めるときは、その結果に基づいて所要の措置を講ずるものとするとしている。

⑬ 事後評価の際、費用、効果（便益）及び間接的な影響を把握するための指標等をあらかじめ明確にする。

事後評価の際、どのように費用、効果（便益）及び間接的な影響を把握するのか、その把握に当たって必要となる指標を事前評価の時点で明確にしておくことが望ましい。規制内容によっては、事後評価までの間、モニタリングを行い、その結果を基に事後評価を行うことが必要となるものもあることに留意が必要

指標の設定は困難。