

特定臨床研究を薬事申請に利活用する場合の留意点・考え方の例

- 試験計画立案の段階で、得られる結果を薬事申請に利活用することを前提とする場合は治験として行うことが原則であるものの、改めて治験を実施することが困難な場合には、治験と同程度の信頼性の確保された臨床研究結果を薬事申請に利活用できる仕組みが必要。

⇒**求められる信頼性の水準を満たす臨床研究については、薬事申請に利活用することができる。**

- これを受け、実際に特定臨床研究で得られた試験成績を薬事申請に利用する場合の留意点・考え方について、令和4年3月にその一例を示した。

信頼性の水準

【特定臨床研究で得られた試験成績を医薬品の承認申請に利用する場合の留意点・考え方の例示について】
(令和4年3月31日厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課事務連絡)

- 承認申請における当該臨床研究の位置付け等を総合的に考慮した上で求められる信頼性の水準が判断される。
- 研究責任医師は、当該臨床研究の適切な実施を担保するとともに、当該研究の信頼性担保の状況について説明できることが必要。
- 申請者は研究責任医師との間で適合性調査に関する協力体制を構築していることが望ましい。

資料作成過程の適切性

- 研究責任医師が症例報告書からデータセットの作成、集計解析及び解析報告書の作成までの過程の適切性を適切に説明できる
- また、申請者が承認申請に利用するにあたり当該手順の適切性を確認できる

医薬品の品質確保

- 既承認医薬品を使用している場合は、研究責任医師が適切な保管等の管理を行い、適切な品質が保持されていることを適切に説明できる
(例えば、ロット番号や使用期限、保管条件の遵守状況など適切な記録)

副作用情報の収集

- 対象者保護の観点から副作用情報の収集状況及びその妥当性を研究責任医師が適切に説明できる

適切な患者同意

同意

- 研究責任医師が申請者による試験データの利用が可能となるような適切な患者同意を得ていること。

モニタリング・監査

- モニタリングの方法（オンサイトモニタリング、オンサイトモニタリングと中央モニタリングの組合せ、又は中央モニタリング）は、リスク及び実施可能性に応じて選択可能だが、その選択の妥当性を研究責任医師が適切に説明できる
- 監査の実施の必要性及び方法は、リスクや実施可能性に応じて選択可能だが、その選択の妥当性を研究責任医師が適切に説明できる。
- 原資料の直接閲覧について、リスク及び実施可能性に応じて症例抽出する場合の妥当性について研究責任医師が適切に説明できる
- 監査の実施主体が研究責任医師とは独立した第三者であることを研究責任医師が適切に説明できる
(例えば、当該特定臨床研究から独立していることが確認できる臨床研究中核病院の研究支援部門が実施等)

その他

利活用の可否

- 承認申請における利活用の可否は、信頼性に加え、特定臨床研究で得られた試験成績の論文化の状況や関連ガイドラインの掲載状況等の背景情報も考慮の上、総合的に判断される

事務連絡
令和4年3月31日

各都道府県衛生主管部（局） 御中

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

特定臨床研究で得られた試験成績を医薬品の承認申請に利用する場合の
留意点・考え方の例示について

臨床研究法（平成29年法律第16号）の制定時における附帯決議の一つとして「医薬品、医療機器等の開発を推進するため、治験と臨床研究の制度区分と活用方法を明確化して、臨床研究を促進するとともに、臨床研究で得られた情報を、医薬品、医療機器等の承認申請に係る資料として利活用できる仕組みについて速やかに検討すること」が規定されています。

試験計画の立案の段階で、得られる結果を薬事申請に利活用することを前提とする場合は治験として行うことが原則であるものの、改めて治験を実施することが困難な場合には、治験と同程度の信頼性が確保された臨床研究の結果を薬事申請に利活用できる仕組みが必要です。

今般、特定臨床研究で得られた試験成績を利用し、実際に承認申請に至った個別の申請事例をもとに留意点・考え方を一例として別添にお示ししますので、貴管内の製造販売業者に対して、ご周知頂けますようお願いいたします。

なお、本事務連絡は、個別の申請事例に基づいた例示であり、全ての申請事例に当てはまるものではなく、今後の検討や知見の集積等に応じて見直すことを予定していることに留意して下さい。

特定臨床研究で得られた試験成績を医薬品の承認申請に利用する場合の
留意点・考え方の例

1. 特定臨床研究で得られた試験成績を承認申請に利用する場合には、承認申請における当該臨床研究の位置付け等を総合的に考慮した上で求められる信頼性の水準が判断される。

承認申請に利用される特定臨床研究の試験成績について求められる信頼性の水準を満たしているかは、承認申請後に適合性調査により確認されることになる。特定臨床研究の研究責任医師は、当該臨床研究の適切な実施を担保するとともに、当該研究の信頼性担保の状況について説明できることが必要である。

そのため、申請者は研究責任医師との間で適合性調査に関する協力体制を構築していることが望ましい。なお、特定臨床研究に対する GCP 実地調査の実施の必要性は、求められる信頼性の水準や申請者に対する適合性書面調査の結果に基づき判断される。

具体的に個別の申請事例をもとに、求められる信頼性の水準を満たすための留意点・考え方の一例としては以下のとおり。

- ① 研究責任医師が作成した症例報告書からデータセットの作成、集計解析及び解析報告書の作成までの過程の適切性を研究責任医師が適切に説明できること。また、申請者が承認申請に利用するにあたり当該手順の適切性を確認できること。
- ② 国内において製造販売承認を取得している医薬品を使用している場合は、当該医薬品について研究責任医師が承認事項に基づく適切な保管等の管理を行うこと。有効性及び安全性評価、並びに対象者保護の観点から、適切な品質が保持された医薬品が用いられたことを研究責任医師が適切に説明できること（例えば、ロット番号や使用期限、保管条件の遵守状況など適切な記録）。
- ③ モニタリングの方法は、リスクや実施可能性に応じて、オンサイトモニタリング、オンサイトモニタリングと中央モニタリングの組合せ、又は中央モニタリングを選択することができるが、いずれの場合であっても、その方法を選択した妥当性を研究責任医師が適切に説明できること。

- ④ 監査の実施の必要性及び方法は、リスクや実施可能性に応じて選択することができるが、いずれの場合であっても、その方法を選択した妥当性を研究責任医師が適切に説明できること。
 - ⑤ モニタリングや監査において実施される原資料の直接閲覧は必ずしも全症例を対象とする必要はないものの、リスクや実施可能性に応じて、症例を抽出する場合の妥当性について研究責任医師が適切に説明できること。
 - ⑥ 監査を実施する場合は、研究責任医師とは独立した第三者であることを研究責任医師が適切に説明できること（例えば、当該特定臨床研究から独立していることが確認できる臨床研究中核病院の研究支援部門等が実施等）。
 - ⑦ 対象者保護の観点から副作用情報の収集状況及びその妥当性を、研究責任医師が適切に説明できること。
2. 特定臨床研究の承認申請に係る資料としての利活用の可否については、1. に示された信頼性の担保に関する留意点・考え方の例に加え、特定臨床研究で得られた試験成績の論文化の状況や関連ガイドラインの記載状況等の背景情報も考慮の上、総合的に判断されるものであること。
3. 特定臨床研究で得られたデータを利用して承認申請を行う場合には、当該特定臨床研究の研究責任医師が、申請者による試験データの利用が可能となるような適切な患者同意を得ていること。

以上