

事 務 連 絡
令和 5 年 3 月 31 日

各関係団体 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

標記について、別添写しのとおり、各都道府県衛生主管部(局)宛てに連絡しましたので、御了知の上、団体内会員等への周知方よろしくお願いいたします。

写

事 務 連 絡
令和 5 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。また、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・考え方については、「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 日付け厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課事務連絡。以下「旧事務連絡」という。）により示してきたところです。今般、「特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における活用のための研究」の総括研究報告書について」（令和 5 年 3 月 31 日付け薬生薬審発 0331 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）において、薬事利活用の該当性については、得られた試験成績、治験としての実施・再現が困難であること、根拠資料の保存状況等も踏まえ個別に判断されるものとされたことから、旧事務連絡の記載の明確化等を行い、別添のとおり改めましたので、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、本事務連絡の発出に伴い旧事務連絡は廃止します。また、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に留意して下さい。

なお、本事務連絡の写しについて、別記の関係団体宛てに発出しますので、念

のため申し添えます。

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、以下の2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。
2. 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。特定臨床研究の研究責任医師は、根拠資料の保管を含め、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。

なお、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、「適応外使用に係る医療用医薬品の取り扱いについて」（平成11年2月1日付け厚生省健康政策局研究開発振興課長、厚生省医薬安全局審査管理課長連名通知）に基づく承認申請である場合を除き、承認申請後に適合性書面調査により確認されることになる。

また、特定臨床研究を実施した医療機関における根拠資料の確認の必要性は、求められる信頼性の水準や申請者又は特定臨床研究の研究責任医師に対する適合性書面調査の結果に基づき判断される。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。

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 症例報告書からデータセットの作成、解析及び総括報告書の作成までの過程の適切性並びにデータの信頼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並びにデータの信頼性を確認できること。
- ② 特定臨床研究に用いられる医薬品の保管等が適正に行われていることを研究責任医師が適切に説明できること。
- 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、リスク及び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、症例や項目等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による実施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。

- 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

別記

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

公益社団法人日本医師会

日本医学会

公益社団法人日本歯科医師会

一般社団法人日本病院薬剤師会

公益社団法人日本看護協会

一般社団法人日本CRO協会

日本SMO協会

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

各地方厚生局