

事務連絡  
平成 28 年 7 月 22 日

各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課 御中

厚生労働省医薬・生活衛生局  
医療機器審査管理課

医療機器及び再生医療等製品における人道的見地から実施される  
治験の実施に関する質疑応答集（Q&A）について

医療機器及び再生医療等製品における人道的見地から実施される治験の実施については、「医療機器及び再生医療等製品における人道的見地から実施される治験の実施について」（平成 28 年 7 月 21 日付け薬生機審発 0721 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知。以下「課長通知」という。）により示しているところです。

今般、医療機器及び再生医療等製品における人道的見地から実施される治験の実施に関する質疑応答集（Q&A）を別添のとおり取りまとめましたので、貴管下関係事業者等に対し周知願います。

医療機器及び再生医療等製品における人道的見地から実施される  
治験の実施に関する質疑応答集（Q&A）

○制度の概要

Q 1

主たる治験とはどのような治験が該当するのか。

A 1

開発の最終段階である国内治験が該当し、製品開発の実現可能性を検討することを目的とした試験（いわゆるパイロット試験）は該当しない。

Q 2

再生医療等製品において、条件及び期限付承認の取得を目指して実施する治験についても、主たる治験に該当するということでよいか。

A 2

主たる治験に該当するかどうかは、国内での申請前の開発の最終段階である治験かどうかに基づき判断される。そのため、条件及び期限付承認の取得を目指して実施される治験が、国内での申請前の開発の最終段階である治験であると治験届出者によって判断される場合は、主たる治験に該当する。

また、この場合、主たる治験が検証的な治験ではなく、効能、効果又は性能を有することを推定する目的の探索的な治験であることも想定されるため、未承認機器等の使用により、患者が享受できると期待されるベネフィットの蓋然性など、有効性及び安全性の観点から人道的見地から実施される治験（以下「拡大治験」という。）の実施の妥当性について、十分に検討すること。

Q 3

条件及び期限付承認を取得した再生医療等製品は、本制度の対象となるか。

A 3

条件及び期限付承認を取得した再生医療等製品について、条件及び期限付承認を取得した適応において、条件及び期限付承認後に改めて行う承認申請を目的として実施する使用成績調査又は製造販売後臨床試験は、本制度の対象とならない。ただし、条件及び期限付承認外の適応を目的とした治験を実施する場

合は、本制度の対象となりうる。

Q 4

主たる治験の対象となる医療機器等の範囲は、国内で承認されていない医療機器等だけではなく、既に承認されており、その適応を拡大することを予定している医療機器等も含まれるということによいか。

A 4

そのとおり。

Q 5

医師主導治験であっても、主たる治験に該当するものがあるということによいか。

A 5

そのとおり。

Q 6

医療機器について、治験計画届書の「予定される使用目的、効能又は効果」が、既承認品の「使用目的又は効果」と同じである場合には、当該治験は主たる治験に該当しないと考えてよいか。

A 6

そのとおり。主たる治験に該当するもののみ、治験計画届書又は治験計画変更届書の表紙に「㊦」（「主」の文字を丸で囲む）を朱書きし、備考欄に「主たる治験」と記載すること。

Q 7

拡大治験の実施について、主たる治験に影響を及ぼさないことを前提とするということは、具体的にどのようなことか。

A 7

実施中の主たる治験に影響を与えて、製品の開発を遅らせることが無いよう、制度の対象範囲を、主たる治験の実施後あるいは実施中（組入れ終了後）に限定するということ。

Q 8

拡大治験を新たな治験として実施する場合であって、主たる治験が企業依頼による治験であり、当該拡大治験をいわゆる医師主導治験として行う場合に注意すべきことは何か。

A 8

主たる治験と拡大治験において治験実施者が異なることから、両者の間で治験中に発生した不具合、有害事象等に関する情報等を共有し、適切に治験が実施できるよう努めること。また、治験にかかる費用負担についても、必要な情報を共有すること。

○拡大治験の検討要請と実施の可否決定

Q 9

拡大治験を医師主導治験として実施しようとする場合、自ら治験を実施する者は、治験機器等を提供している者に相談した上で、治験機器等の入手可能性を判断する必要があるということによいか。

A 9

そのとおり。

Q10

患者又は患者の家族から治験実施者に、拡大治験の実施の要望が直接提出された場合は、主治医を介して要望頂くよう回答するというによいか。

A10

拡大治験の要望の前に、主治医と主たる治験の実施医療機関の治験責任医師又は治験分担医師との間で医学的見地から主たる治験への参加の可否が検討される必要があることから、拡大治験の実施の要望については、主治医を介して要望頂くよう回答されたい（課長通知記3.（2）参照）。

Q11

治験実施者が主治医に回答した拡大治験を実施できない理由の中に、医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会（以下「ニーズ検討会」という。）において審議される「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」が含まれていない場合は、主治医

が検討依頼書を厚生労働省に提出した場合でも、ニーズ検討会で検討されないと考えてよいか。

A11

そのとおり。

Q12

主治医が検討依頼書を厚生労働省に提出した後、厚生労働省はニーズ検討会での検討の前に治験実施者に意見を求めるのか。

A12

そのとおり。ただし、速やかに検討を行う必要があるため、治験実施者が主治医に回答した内容について確認することのみを想定している。

Q13

ニーズ検討会において、既存の治療法に有効なものが存在せず、生命に重大な影響がある重篤な疾患であると判断された場合、厚生労働省から治験実施者に対して、拡大治験実施の検討依頼が書面で伝えられるのか。

A13

そのとおり。治験実施者は速やかに再検討を行い、結果を主治医に回答されたい。なお、既存の治療法に有効なものが存在する又は生命に重大な影響がある重篤な疾患でないと判断された場合、企業に特段の連絡は行わない。

Q14

厚生労働省から拡大治験の実施の再検討を依頼され、再検討の結果、拡大治験を実施しないと判断した場合、その結果を厚生労働省に報告する必要があるか。

A14

現時点では特に要しない。

#### ○拡大治験の実施計画に係る留意事項

Q15

拡大治験の対象患者として、「実施済みあるいは実施中の主たる治験の実施計画書の組入れ基準の各項目に関して、組入れ基準を緩めても医学的に許容可能

であると判断される範囲の患者」と記載されているが、組入れ基準を緩めるとは、具体的にどのような緩和が考えられるのか。

A15

組入れ基準の緩和は、患者のベネフィットがリスクを上回るとの医学的判断に基づき実施される必要があるため、患者の安全性確保に支障が無いよう慎重に検討されたい。

なお、組入れ基準緩和の考え方を一律に示すことは困難であるが、例えば、有効性を適切に解析するために範囲を限定的に設定した組入れ基準の場合には、個々の患者の状態にも留意しつつ、過去の治療に関する基準、年齢基準等について、緩和が可能な場合があると考えられる。

#### ○費用負担と補償

Q16

主たる治験において、負担軽減費が支給されている場合でも、拡大治験では負担軽減費を必ずしも支給する必要は無いとの理解でよいか。

A16

そのとおり。

#### ○治験計画の届出に係る手続き

Q17

治験計画届書又は治験計画変更届書の表紙に「㊦」又は「㊧」を朱書きすることによいか。

A17

そのとおり。朱書きは手書き、スタンプでもよい。PDFファイルに反映させる必要はない。

Q18

備考欄に記載する主たる治験又は拡大治験について、どのように記載すればよいか。

A18

主たる治験を届け出る場合は、「主たる治験」と記載すること。

また、拡大治験を届け出る場合は、「拡大治験、主たる治験の治験識別記号：○○○○、治験計画届出年月日：○年○月○日、届出回数：○回」と記載する

こと。(記号、年月日、回数は半角英数字で記載すること。また、主たる治験の治験識別記号、治験計画届出年月日、届出回数は、新たな治験を実施する場合にのみ記載すること。)

Q19

治験計画を届け出た時点では主たる治験とは考えていなかったが、後に当該治験結果により承認申請を行うこととなった場合、治験計画変更届書の表紙に「㊦」を朱書きし、備考欄に「主たる治験」と記載して提出することによいか。

A19

そのとおり。ただし、治験届出者の認識が十分でなかったために主たる治験を表示できず、それにより治験情報等の公開が遅れるという状況は、本制度の趣旨を踏まえると避けなければならない。

Q20

「主たる治験」と記載して届出を行い、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）からの指摘がなければ、主たる治験であることについて当局に了解されたと考えてよいか。

A20

主たる治験の適否については、あくまでも届け出る者が判断するものであり、PMDAは、治験計画書を受付した際に、その適否の妥当性については判断しないことに留意されたい。

Q21

拡大治験の治験計画届出の段階では、予定被験者症例数、実施期間の終了年月日の情報は未定であることが多いと考えられるが、治験計画届書にはどのように記載すればよいか。

A21

いずれも届出時点で想定される範囲で記載すること。なお、拡大治験の実施期間については、課長通知の記4.(4)において終了時点の定義が明確にされているが、拡大治験の届出段階では確定していないと考えられることから、PMDAのホームページに公開する治験情報には、拡大治験の実施期間における終了年月日は表示しないものとする。

Q22

公開される情報のうち、治験届出者の連絡先は、どのように提出したらよいか。

A22

治験届添付資料としなかった場合は、記載様式をPMDAのホームページからダウンロードし、必要事項を入力の上、ks-kakudaitiken@pmda.go.jp宛てに添付して送付すること。また、メールの件名は「【機器/再生人道的見地からの治験】【連絡先】治験届出者名\_提出年月日(YYYYMMDD)」とすること。連絡先の登録を行っていない場合は、治験計画届書を届け出た翌月の第2週目までに提出すること。

Q23

公開される情報のうち、治験届出者の連絡先については、電話番号、FAX、電子メール等、様々な方法を記載することが想定されるが、その方法については治験届出者に一任されると考えてよいか。

A23

そのとおり。ただし、必ず連絡がとれる手段とするとともに、電話による連絡でない場合は、営業日の一両日中に要望者に要望を受けた旨の回答は行うこと。

Q24

治験届出者の連絡先について既に登録手続きを行い、その後新たに主たる治験又は拡大治験に係る治験届を届け出るとき、登録済みの連絡先と同一の連絡先であれば、連絡先を登録するための紙媒体及び電子媒体を治験届に添付することを省略してもよいか。

A24

そのとおり。なお連絡先以外の、治験機器等の情報、治験届出者名、対象疾患、治験実施予定期間に関する情報を登録するための紙媒体及び電子媒体は省略できない。

Q25

主たる治験及び拡大治験のリストの内容はいつ更新されるのか。

A25

およそ1か月ごとに更新され、届出があった月の翌月末を目途に反映される。また、承認された場合、治験中止届書が届け出された場合等には、同様のタイミングでリストから情報が削除される。なお、治験実施予定期間については、原則、情報の更新は行わない。

念のため、承認された際には、治験届出者は、ks-kakudaitiken@pmda.go.jp宛てに当該治験に係る情報をリストから削除する旨のメールを送付頂きたい。

Q26

実施中の主たる治験の計画を変更することにより拡大治験を実施することとした場合、主たる治験及び拡大治験のリストにはどのように記載されるのか。

A26

患者が、実施中の主たる治験又は拡大治験に関する情報を得ることができるようにするため、新たな治験により拡大治験を実施する場合と同様に、主たる治験のリストだけでなく、拡大治験リストにも当該治験に関する情報を記載する。

なお、新たな治験により拡大治験を実施する場合、治験の計画を変更することにより拡大治験を実施する場合ともに、主たる治験及び拡大治験のリストから情報が削除されるタイミングは同じであり、具体的には A25 に記載のとおりである。

Q27

治験計画届書を提出済みであって、現在、当該治験で目的としていた承認を取得前の治験が主たる治験に該当することが判明した場合は、公開すべき主たる治験に係る情報をどのように提出したらよいか。

A27

記載様式をPMDAのホームページからダウンロードし、必要事項を入力の上、ks-kakudaitiken@pmda.go.jp宛てに添付して送付すること。またメールの件名は「【機器/再生人道的見地からの治験】【主たる治験情報】治験届出者名\_提出年月日 (YYYYMMDD)」とすること。

また、治験届出者の連絡先については、連絡先の記載様式に必要な事項を入力の上、同じメールに添付して送付して差し支えない。(既に、治験届出者の連絡先をPMDAに提出している場合は、送付の必要はない。)