
ちけん
「くすり」と「治験」
Q&A

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会 臨床評価部会
継続課題対応チーム5 (KT-5)
2023年9月

Q：リスト

くすりの開発及び治験について

- くすりの開発はどのくらい時間がかかりますか？
- 治験で使用する「くすりの候補」はどうやって選ぶのですか？
- 海外で承認されたくすりは日本で承認されていなくても使えますか？
- 海外と日本で使用できるくすりに違いはありますか？
- くすりの効果はどのように確認するのですか？
- 治験に参加すると、どのようなメリット・デメリットがあるのでしょうか？
- 治験は危なくないのでしょうか？
- 治験はどのようなルールに基づいて実施されるのでしょうか？
- どのように治験に参加する人を選んでいるのでしょうか？

治験に関わる人について

- 治験責任医師とは？
- 治験コーディネーター（CRC）とは？

治験に参加する前のこと

- 治験に参加するにはどのようにしたらよいですか？
- 治験の説明を受けたらどうしたらいいですか？
- 治験に参加する前には、どのような内容が説明されますか？

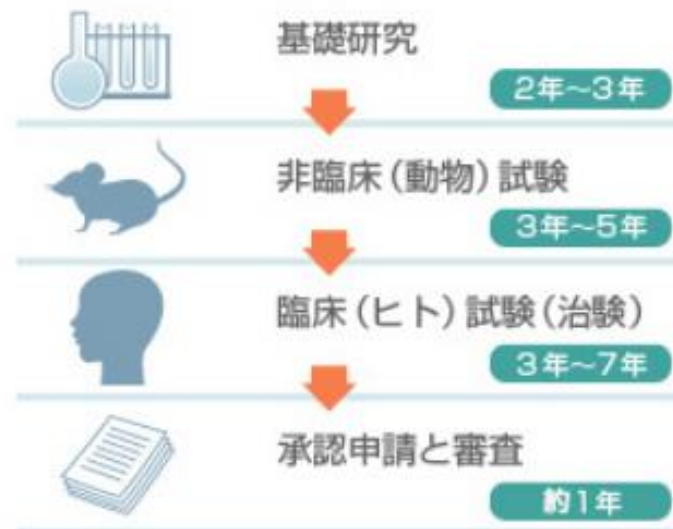
治験に参加してからのこと

- 治験に参加している際の費用はどのようになりますか？
- 他の医療機関や歯医者を受診していても治験に参加できますか？
- 治験参加中に具合が悪くなったらどうしたらよいですか？
- 健康被害が生じた場合の補償とはどのようなものですか？
- 「くすりの候補」は治験が終わった後も使用できますか？

Q：くすりの開発はどのくらい時間がかかりますか？

A：約9年～16年という長い年月を要します。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 病気のメカニズムを解明し、研究室から数千、数万という「くすりの候補」となる化合物などがつくられ、その中から、効き目と好ましくない作用（副作用）を確認してくすりができるまでトータル約9年～16年という長い年月を要します。それだけ時間をかけて開発しても、くすりにならないものもたくさんあります。患者さんに、安全で効き目のあるくすりを開発することは、大変時間を要します。



参考：

<https://www.jpma.or.jp/junior/kusurilabo/development/index.html>

Q：治験で使用する「くすりの候補」はどうやって選ぶのですか？

A：膨大な数の「くすりの候補」の中から効き目と好ましくない作用（副作用）を研究して、「くすりの候補」を選びます。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 病気に効くからと言っても、安全でなければくすりにはなりません。そこで、病気を改善する作用があると思われる数千、数万の「くすりの候補」となる化合物などを作り、まず作用があるかを検討します。その後、安全性に関する世界共通の細かな基準に従ってそれらを一つ一つ慎重に選定していきます。また、「くすりの候補」となる化合物などが体の中でどう変化し、吸収され、排出されるのか、飲み薬がよいか注射がよいのかも調べます。これが基礎研究や非臨床（動物）試験と呼ばれる段階です。安全性に問題があるものは、脱落していき、よいものだけが「くすりの候補」として治験に進みます。

Q：海外で承認されたくすりは日本で承認されていなくても使えますか？

A：一般的には日本でも治験を実施し、厚生労働大臣から承認を受けてから、「くすり」として使えるようになります。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 一般的には欧米人と日本人の体格や食生活、生活環境等の違いや人種差から生じるくすりの効き目や副作用の違いをみるために、日本人での治験が必要となり、その後国から「くすり」として承認を受ければ、日本でも使えるようになります。
- ◆ 欧米人と日本人の違いについて分かりやすい例として、アルコールで考えてみましょう。アルコールは体内で代謝を受けてアセトアルデヒドとなり、更にアルデヒド脱水素酵素によって酢酸となり、二酸化炭素と水に分解されます。
日本人の約半数は、このアルデヒド脱水素酵素の活性が低いことが知られています。一方、欧米人にはそのような人はほとんどいません。
アセトアルデヒドは、いわゆる二日酔いの原因物質と考えられているので、日本人は欧米人に比べて酔いやすいのです。くすりによっては、効き目や副作用にもこのような人種差からくる違いがあるかもしれません。
- ◆ なお、緊急性の高い病気で、なおかつ他に有効な治療法がない場合、特例的に日本人での効き目や副作用を確認する前に国（厚生労働省）が海外のくすりの使用を認める場合があります。

Q：海外と日本で使用できるくすりに違いはありますか？

A：海外で使われていても、日本では使えないくすりがあります。また海外での発売後、遅れて日本で発売されるくすりもあります。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 海外で使われているくすりが、日本では開発されず、使用できないことをドラッグロスと言います。
- ◆ 海外で使われているくすりが、日本で承認されて使えるようになるまでの時間の差のことを、ドラッグラグと言います。これは、「治験の開始時期」「治験にかかった時間」「治験結果の審査時間」が、国によって違うことから生じます。
- ◆ 例えば抗がん剤は、2016年～2020年において米国で承認されたくすりのうち、68%は2020年末時点で日本で承認されていませんでした。
- ◆ 日本の患者さんのために、できるだけ早く日本でくすりが見えるように、国と製薬企業でさまざまな活動に取り組んでいます。国と製薬企業では、くすりの審査期間の短縮や治験環境の整備に力を入れ、より良いくすりをより早く患者さんの手元に届ける努力を続けています。

参考：https://www.jpma.or.jp/about_medicine/guide/med_qa/q39.html
<https://www.jpma.or.jp/opir/news/066/03.html>

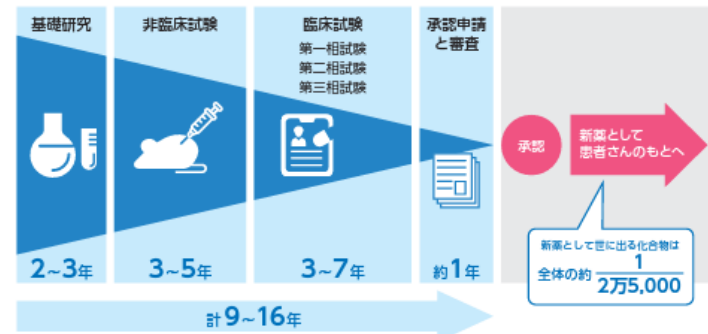
Q：くすりの効果はどのように確認するのですか？

A：いくつかの治験を実施して確認します。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 治験の前に、動物を用いた研究で効き目や副作用を繰り返し確認します。
- ◆ そのデータを基に、治験の初期段階として健康な方の協力のもと、「くすりの候補」を使用して安全性を注意深く調べます。また、血液や尿などの中に存在する「くすりの候補」の量を測り、どのくらいの速さで、体の中に吸収され、どのくらいの時間で、どのように体外に排泄されるかも調べます。
- ◆ 安全性を確認したあと、患者さんに「くすりの候補」を使用して効き目と副作用を確認していきます。
- ◆ 抗がん剤など「くすりの候補」の種類によっては、健康な方ではなく、効果があると予想される患者さんから治験を始める方が適切なこともあります。この場合には効き目についても予備的に調べます。

参考：

https://www.jpma.or.jp/news_room/issue/guide/lofurc0000002wh8-att/JPMA_guide2023_0711_low.pdf



Q：治験に参加すると、
どのようなメリット・デメリットがあるのでしょうか？

A：個人の価値観や病状などにより、何をメリット・デメリットと感じるかは異なりますが、一般的には以下のような可能性が考えられます。

- ◆新しい治療方法の開発に貢献できる
- ◆通院、検査や診察が普段より多くなる
- ◆日常生活における制限がある場合がある

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ ご自分と同じような病気や怪我で苦しむ人々の治療方法の開発に貢献することができます。みなさんが普段使っているくすりも、多くの人々の協力があって誕生したものです。また、治験で使用する「くすりの候補」はまだ治療として認められていませんが、他に治療方法がない場合などには、選択肢の一つになる可能性があります。
- ◆ 治験中は副作用や効果の確認のために、治験実施計画書で決められた検査・診察を受けることになるので、通院、検査や診察が普段より多くなります。病気を詳しく調べることをメリットと感じる方もいますが、負担が多くなり、デメリットと感じる方もいます。負担を少なくするために、医療費の一部や一定額の交通費の補助が準備されている場合があります。医療費については「治験に参加している際の費用はどのようになりますか？」もご確認ください。

Q：治験は危なくないのでしょうか？

A：副作用が起こる可能性はありますが、それを最小にするための対策をとって治験は行われています。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 治験実施計画書のルールに基づき、好ましくない症状や兆候を診察や検査で確認し、必要に応じて治療や予防策を講じたり、治験を中止するなどの対応をします。
- ◆ 他の国や医療機関で起こった副作用の情報は治験を担当している医師へも適切に共有されるように治験のルールで定められています。
- ◆ すでに承認されているくすりでも副作用はありますし、非臨床（動物）試験等でどのような副作用が発生するか検討したうえで治験を実施しますので、治験で使用する「くすりの候補」が特に危ないとは限りませんが、情報がまだ少ないという点で、より慎重に観察する必要があります。
- ◆ 治験中には、副作用を疑われる症状が治験データとして報告されているか、予定どおりの診察や検査が行われているかなどを製薬企業の担当者が確認しており、治験で得られた、「くすりの候補」の効果や副作用情報などの安全性に関するデータが公正に取り扱われるように注意が払われています。
- ◆ 治験に参加された患者さんの人権や安全、福祉に配慮され、不正がなく、様々なルールに従って適切かつ正確に治験データが報告されているかという視点でも、製薬企業の担当者や規制当局（厚生労働省など）などにより確認されています。



Q：治験はどのようなルールに基づいて実施されるのでしょうか？

A：薬機法、GCP、厚生労働省の通知、個人情報保護法など、様々なルールを守りながら治験は計画・実施されます。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 「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（**薬機法**）」に基づいて、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（Good Clinical Practice：**GCP**）」が定められています。
- ◆ GCPは、国際的に合意された臨床試験の実施に関する基準をもとにして、日本の環境を踏まえて日本で正しく治験を実施できるように定められています。
- ◆ GCPでは、治験を実施する医療機関、担当者の役割や業務を詳細に決めており、治験を実施する場合は、それを守らなければなりません。
- ◆ 治験では治験に参加された方の情報を取り扱いますが、これらの様々なルールにより、プライバシーや人権を厳重に守りながら行われます。

Q：どのように治験に参加する人を選んでいるのでしょうか？

A：治験に参加するためのさまざまな参加条件があり、治験への参加前に、担当医師により患者さんが参加条件を満たしているか確認します。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 治験には、細かい参加条件が複数あります。その理由は、参加を希望される方の健康状態に配慮しているためです。参加条件は治験によってさまざま、年齢、病気の状態などに細かい制限がつく場合もあります。
- ◆ そのため、診察や検査の結果、担当医師の判断により参加できないことがあります。
- ◆ 治験参加を検討する場合、詳しくは、担当医師や治験コーディネーター（CRC）などの治験スタッフに確認してください。

【治験の参加条件の例】

- 年齢が18歳以上70歳以下の方
- 血液検査の結果が基準に合致している方
- 過去に治験と同じくすりを使用したことのない方
- 6ヶ月以内に他の治験に参加していない方
- 妊娠、授乳中でない方

Q：治験責任医師とは？

A：◆医療機関内で担当する治験の全体を監督する役目を担う責任者です。
◆治験を担当する医師やスタッフを指導します。
◆患者さんの病気に関する専門家としての豊富な治療の経験、治験を適切に実施できる十分な治験の知識があります。
◆これらの要件を満たしているとして、治験依頼者（製薬企業）に選ばれた医療機関の医師です。

- もう少し細かく見てみましょう（治験責任医師の主な業務）
- ◆ 「くすりの候補」の性質、動物のデータ、既に終了した治験の確認
- ◆ 治験計画の確認
- ◆ 患者さんに説明する説明文書・同意文書の作成
- ◆ 治験審査委員会（IRB）に提出する資料の作成
- ◆ 治験審査委員会（IRB）への出席及び治験の説明
- ◆ 治験参加基準に適合している患者さんの確認
- ◆ 患者さんへの治験内容の説明と文書による同意取得
- ◆ 服薬指導・観察・問診・検査の実施
- ◆ 患者さんの副作用の確認、副作用の適切な処置
- ◆ 患者さんの検査データ等の治験依頼者（製薬企業）への報告
- ◆ 患者さんの質問、疑問、不安などの相談への対応



Q：治験コーディネーター（CRC）とは？

- A：◆ 治験に参加している間、患者さんの相談窓口になります。
- ◆ 治験を担当する医師や医療スタッフ（薬剤師、看護師、検査技師など）をサポートし、治験がスムーズに進むようにします。
 - ◆ 来院した際に治験の検査等の準備・手配を行います。
 - ◆ CRC：Clinical Research Coordinator（クリニカル リサーチ コーディネーター）の略称です。

- もう少し細かく見てみましょう（CRCの主な業務）
- ◆ 治験責任医師や医療スタッフとの治験計画の確認
- ◆ 患者さんが治験に参加する際の治験説明の補助
- ◆ 患者さんのスケジュール管理（来院日程の確認など）
- ◆ 治験依頼者（製薬企業）が行う治験の調査の支援
- ◆ 治験に関わる検査データの記録管理
- ◆ 「くすりの候補」の服薬状況の確認
- ◆ 患者さんの質問、疑問、不安などの相談への対応



Q：治験に参加するにはどのようにしたらよいですか？

A：治験毎に実施している医療機関が異なりますので、参加したい治験を実施している医療機関にお問い合わせください。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 治験を実施している医療機関では、参加条件に合致していると考えられる患者さんに主治医から治験参加を提案されることがあります。
- ◆ 治験を含む臨床試験に関する情報を公開しているWebサイトなどで、実施中の治験やその治験を実施している医療機関について調べることができます。医療機関によってはポスターや広告などで参加者を募集していることもあります。
- ◆ 治験には患者さんを対象としたもの、健康な方を対象としたものなど、それぞれ細かい参加条件があり、参加できるかは治験を実施している医療機関で確認することになります。
- ◆ 治験に参加するには、新しい「くすりの候補」のこと、治験スケジュール、守ってほしいこと等の説明を、担当医師や治験コーディネーター（CRC）から十分受けて、理解・納得した上で、ご自身の自由意思で参加を決めることになります。
- ◆ これまでにかかったことのある病気の経過や治療歴などの情報を治験を実施している医療機関に提供する必要がありますので、現在の主治医に事前に相談するようにしましょう。

Q：治験の説明を受けたらどうしたらいいですか？

A：治験に参加するかどうかは患者さんの自由な意思によって決めることができます。治験の内容をよくご理解いただいたうえで、参加するかどうか返事をしてください。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 参加を迷われた場合は、手渡された説明文書を持ち帰って、ご家族やご友人に相談するなど、十分に考える時間を取ることができます。また疑問がある場合には、納得するまで担当医師及び治験コーディネーター（CRC）に質問をすることができます。
- ◆ 同意しても、いつでも参加を取りやめることができます。治験に参加しなくても、途中で取りやめても、患者さん本人に一切不利益はありません。



Q：治験に参加する前には、どのような内容が説明されますか？

A：治験の説明内容は、法規制で細かく決められています。

担当医師及び治験コーディネーター（CRC）が、わかりやすく説明します。

詳細は以下のとおりです。

- ◆患者さんの病気の状態
- ◆治験以外の他の治療法
- ◆治験で調べること
- ◆期待される効果、予想される副作用
- ◆治験の方法
- ◆治験のスケジュール
(検査の内容、通院の回数など)
- ◆健康被害が起きた場合の対応
- ◆プライバシーについて
- ◆費用について
- ◆治験参加中の注意点
(飲み合わせの悪いくすりや、日常生活の制限など)
- ◆いつでも取りやめることができること
- ◆治験に参加しなくても不利益はないこと
- ◆治験の参加は、自由意思であること

Q：治験に参加している際の費用はどのように
なりますか？

A：治験により異なりますが、製薬企業が一部負担し、通常より少なくなることがあります。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 治験の内容はさまざまで、そのため医療費の支払いも治験によって異なります。治験に参加しても診察料、通常使用している薬剤、その他処置の費用は通常健康保険制度に従い自己負担となりますので、医療費の支払いが全くなくなることはありません。一方で、治験で使用する「くすりの候補」や検査の費用など、製薬企業が負担するものがありますので、通常より負担が少なくなることがあります。
- ◆ また、治験のための通院に対して交通費などをお渡しする場合があります。
- ◆ 治験に参加している場合、詳しくは、担当医師や治験コーディネーター（CRC）などの治験スタッフに確認してください。

Q：他の医療機関や歯医者を受診していても
治験に参加できますか？

A：治験の参加を検討する際に、治験の担当医師や治験コーディネーター（CRC）などの治験スタッフに相談してください。
使用できるくすりに制限がある場合があります。
また、受診されている病気によっては治験に参加できない場合があります。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 治験に参加する際に、治験の内容や治験中に使用できないくすり記載されたカードをお渡しすることがあります。治験に参加している場合、治験に参加していることを必ず他の医療機関の先生やスタッフの方にお伝えください。

Q：治験参加中に具合が悪くなったらどうしたらよいですか？

A：治験に参加している医療機関に連絡し、担当医師の指示に従ってください。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 現在の体調・飲んでいるくすり・普段通院している医療機関等の情報を、担当医師もしくは治験コーディネーター（CRC）にお伝えください。体調について確認するために、来院をお願いすることや他院（他科）への受診をお願いすることがあります。
- ◆ ご自身の判断で他院を受診された場合、受診先の医師に治験に参加していることをお伝えください。また、速やかに治験に参加している医療機関に受診された内容をお伝えください。
- ◆ 「くすりの候補」は、慎重に非臨床（動物）試験や治験を行っていますが、今まで確認できていない予期しない症状が起こる可能性もあります。
- ◆ 治験を通じて多くの患者さんが安心して「くすりの候補」を使用できるように安全性を確認することになっています。そのため、些細な体調変化も医療機関にお伝えください。

Q：健康被害が生じた場合の補償とはどのようなものですか？

A：補償とは、治験に関連して生じた健康被害の治療に要する費用やその他の損失を補填(ほてん)するものです。内容は治験により異なり、治験の説明文書などで概要を確認できます。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 医薬品企業法務研究会の「被験者の健康被害補償に関するガイドライン」を参考にして、治験を依頼する製薬企業が補償規程を定めています。
- ◆ 補償の内容には①医療費、②医療手当、③補償金があります。
 - ①医療費：健康被害の治療に要した診療費や薬剤費
 - ②医療手当：入院を必要とする場合の医療費以外の諸手当
 - ③補償金：死亡または後遺障害が生じた場合の給付
- ◆ 治験参加中もしくは治験参加後に補償を希望する場合には、患者さんから治験の担当医師等に申し出ることにより、治験を依頼する製薬企業において、健康被害と治験との因果関係を判断した上で、健康被害が補償の対象となるかについて判断され、結果を治験の担当医師等を通じて連絡されることとなります。

Q : 「くすりの候補」は治験が終わった後も
使用できますか？

A : 「くすりの候補」は、治験中のみ使用できます。
治験終了後、「くすりの候補」が厚生労働大臣から
承認を受けた後、使うことができるようになります。

- もう少し細かく見てみましょう
- ◆ 右記の流れで治験を実施します。「くすりの候補」は、治験参加中の決められた期間のみ使用することができます。
- ◆ そのため患者さんの状況によって、治験終了後に治験参加以前に行われていた治療やその他の厚生労働大臣から既に承認を受けている治療に戻ります。
- ◆ 例外として、承認申請のための治験とは別に、生命に影響のあるような病気で、既存の治療法に有効なものが存在しない場合に行われる治験があり、承認申請のための治験終了後～承認までの間に「くすりの候補」を使用することができる場合があります。

