



IFPMA の責任ある臨床試験（治験）データ公開に関する原則

患者と研究者に対するコミットメント

製薬企業は、以下の「原則」に一致する責任ある臨床試験データの公開を通じて、公衆衛生の向上に尽力します：

- 患者プライバシーの保護
- 国の規制制度の統合性の尊重
- 医薬品研究への投資インセンティブの維持

製薬企業は、定期的に学術研究者と共同して臨床研究の結果を公表し、また患者募集時、臨床試験の完了後または新薬／新適応症の承認後、もしくは治験プログラムの中止時には公式ウェブサイト上でその臨床試験情報を公開します。

製薬企業は、共通の指針としてこれらの「責任ある臨床試験（治験）データ公表の原則」を適用しなければなりません。これらの原則は、臨床試験の全サイクルを透明化するという IFPMA の長年のコミットメントに基づき、これを構築し、再確認するものです^{1,2}。

官学すべての医学研究者に対し、下記のコミットメントの採用・実施を通じて、医療と科学の進歩を促進することを奨励します。

1. 研究者へのデータ公開の強化

製薬企業は、資格要件を満たした科学研究者や医学研究者から要求された場合、正当な研究を実施するために、米国および欧州連合（EEA³を含む）の両方で国家規制当局（NRA）に承認された医薬品・適応症に対する患者での被験者レベルの、また試験レベルの臨床試験データ、臨床試験プロトコル（治験実施計画書）を公開することをコミットします。

米国と EU（EEA を含む）の両方で承認申請しない医薬品に関しては、その臨床試験がどこかの NRA で審査中の資料の一部でないこと、また他国の NRA に提出予定の資料の一部ではないことを条件として、各企業は適宜、その他の国の NRA により承認された医薬品・適応症に対する臨床試験に関して被験者レベルの、また試験レベルの臨床試験データおよび治験プロトコルの公開を検討します。

各企業は、適切なデータやプロトコルの提供によりそれらの科学研究や医学研究の促進に寄与すべく、研究企画書を受け付け・検討する制度を導入します。また各企業に、科学者および／または医療専門家を含む科学審査委員会を設置することを推奨します。科学審査委員会の委員は、企業が独自に該当する臨床試験データの公開を早期に決定している場合を除き、データ要求の審査に参加し、データ要

¹ 国際製薬団体連合会（IFPMA）、欧州製薬団体連合会（EFPIA）、日本製薬工業協会（JPMA）、米国研究製薬工業協会（PhRMA）による「Joint Position on the Disclosure of Clinical Trial Information via Clinical Trial Registries and Databases（臨床試験登録簿およびデータベースを介した臨床試験情報の開示に関する共同指針）（2009年11月更新）」

² IFPMA、EFPIA、JPMA、PhRMAによる「Joint Position on the Publication of Clinical Trial Results in the Scientific Literature（臨床試験結果の医学雑誌における論文公表に関する共同方針）（2010年6月）」

³ EEA：欧州経済領域（European Economic Area）

求者の資格要件や研究目的の正当性など、下記の基準を満たしているか否かを判断します。各企業は、データ要求の審査プロセスに関する情報を公開すべきです。

各企業は「患者のプライバシーの保護、規制制度の統合性の尊重、医薬品研究への投資インセンティブの維持」の原則に一致した被験者レベルのデータ、その他の臨床試験情報へのアクセスを提供します。他の法的要件に加え、臨床試験への参加に対して被験者が提供した同意書も尊重します。公開する被験者レベルのデータはすべて匿名化し、個人識別情報を保護します。個々の患者が再識別される合理的な可能性がある場合、企業は被験者レベルのデータへのアクセス提供を拒否できます⁴。こうした制約によって、上述の「原則」に基づいて許可されるアクセスが無効になる場合があります。契約やその他の法的制約により特定のデータ公開が阻まれる場合、企業は資格要件を満たした要求者と協力して、可能な範囲で要約情報を提供します。

データ要求者は、研究課題の正当性および要求者としての資格要件を実証する研究企画書を提出する必要があります。研究企画書には、研究仮説を含む要求データの記載、提案された研究の根拠、分析計画、出版・掲載計画（科学研究発表や論文査読のある専門誌など）、提案された研究チームの資格と経験、データの競合使用の可能性など潜在的な利益相反の説明、ならびに研究費の資金源を盛り込み、これらの内容に関して評価を受けるものとします。

企業データへのアクセスを許可された研究者は、その分析結果を公表することが期待されます。研究者は、研究企画書に明示されていない関係者への公開データまたは情報の転移、研究企画書に記載した以外の目的でのデータ使用、または研究被験者の再識別を行わないことに同意しなければなりません。また企業は、研究者に非商業目的に限定してデータを利用するよう要求でき、商業上の競合相手からのデータ共有要求を拒否することができます。

2.臨床試験情報への一般アクセスの強化（医薬品・新適応症の承認後）

患者や医療専門家の臨床試験結果や新薬または既承認薬の新規適応症の承認のエビデンスに対する理解を促すため、製薬企業は、医薬品販売承認のために米国や欧州連合（EEAを含む）、その他の国のNRAに提出した臨床試験について、少なくとも治験報告書（CSR）の概要を公開します。製薬企業は、（適切な編集を行い）患者のプライバシーや機密商業情報を保護する必要性、ならびにスポンサーの試験結果の公表計画を尊重する必要性に反しない情報を公開します。また各企業は、被験者レベル、試験レベルのデータを含むCSR全文に対する要求を評価し、前述のコミットメント「研究者へのデータ公開の強化」の条件に従って公開します。NRAに提出されたCSRの概要は、医薬品および適応症の承認後、合理的な期間内に公表します。

3.被験者との臨床試験結果の共有

臨床試験について自らが参加した患者に情報を提供するため、製薬企業はNRAと協力して、適用される法令および規則に従い臨床試験結果のまとめを提供する仕組みを導入します。

4.臨床試験データ公開手続きの明確化

⁴一部のケースでは、第三者へのデータ転移を禁じる契約書または同意文書の規定に従うことを条件に、臨床データが収集されます。



上記の「原則」を遵守する企業は、これらのデータ公開へのコミットメントの実施方針および手続きを定めた旨を公開ウェブサイトに明記します。

5. 臨床試験結果の公表に対するコミットメントの再確認

製薬企業がスポンサーの臨床試験⁵はすべて、結果が肯定的・否定的のいずれであるかに関係なく、学術論文への掲載を検討すべきです。少なくとも、第 III 相臨床試験の結果や医学的重要性の高い臨床試験の結果はすべて公表すべきです。このコミットメントは、開発プログラムが中止された治験薬にも該当します^{6,7}。

これらの原則は 2018 年 1 月 15 日付で採用されました。

以上

⁵ 「臨床試験」とは、第 I 相以降の人を対象とする介入試験をいいます。例えば、これには通常の診療における医薬品の使用や非臨床試験は含まれません。

⁶ IFPMA、EFPIA、JPMA、PhRMA による「Joint Position on the Publication of Clinical Trial Results in the Scientific Literature (臨床試験結果の医学雑誌における論文公表に関する共同方針) (2010 年 6 月更新)」を参照

⁷ これらの原則の下で、企業が該当する薬物分子をもはや研究対象としない場合、開発を再開する予定がない場合、自社、共同開発またはライセンスアウトによる薬物分子の計画がない場合、開発プログラムは中止されます。

問答集

Q : コミットメント 1 の下で、製薬企業が資格要件を満たした医学研究者や科学研究者へ提供するために準備するのは、どのような情報か？

A : 医薬品業界は、資格要件を満たした医学研究者や科学研究者との被験者レベルのデータ、試験レベルのデータ、臨床試験デザイン及びプロトコルの共有を行います。

被験者レベルのデータとは、臨床研究中に収集された個々の患者の情報を指し、具体的には人口統計学的データ、血液検査所見、ベースライン特性、薬物血中濃度、バイオマーカーおよび薬理遺伝学的データ、発生した有害事象などが含まれます。こうした情報は、症例報告書（CRF）に収集・記録されるか、電子化されて、被験者レベルの一覧表やデータセットとして準備されたデータベースに入力されます。この情報は、米国医学研究所（IOM）が称する「手書きまたはデジタルのCRFから抽出した臨床試験のデータを、当初の治験医師や治験スタッフによる監査、照会および手直しを経て曖昧さを解消し、最終的に『個別被験者データ』として生成する」というプロセスで作成されます⁸。

試験レベルのデータは、臨床研究結果を解釈するために結合、編集・集計、操作、階層化、またはその他の方法により試験レベルのデータに整理された被験者レベルのデータで構成されます。試験レベルのデータは、主観的分析や解釈を排除した、客観的な臨床試験データであり、通常は収集した試験データの例えば平均、階層化、またはパターンを示した図表または統計の形式で表示されます。例として、治験対象母集団およびサブグループ別のベースライン特性（人口統計学的および疾病関連）、患者の傾向（臨床試験を終了／中止した患者数／割合）、評価項目（1次、2次、その他）、治験薬の暴露、有害事象、バイタルサイン、血液検査およびその他の安全性に関する測定項目を示した表なども含まれます。

臨床試験デザインの情報やプロトコルは、ある特定の研究をどのように進めるかについて治験医師を導くものです。プロトコルは、例えばどの薬剤をいつ投与するのか、どの値を測定するのか、その測定値をいつ、どのように記録するのか、有害事象にどのように対処し、記録するのかといった指示を治験医師に与えます。

Q : コミットメント 2 にある CSR の概要を提供する理由は何か？

A : 規制機関への申請書類のデータ量を踏まえ（何百万ページにも及ぶこともある）、製薬企業は米国、EU（EEA を含む）およびその他の国で販売承認後の CSR 概要の公表に取り組んでいます。概要は、臨床試験の結果や新薬の承認に用いられたエビデンスに関する充実した情報を患者とその主治医に提供します。概要は CSR の一部であり、承認の一環として国家規制当局の審査を受けます。研究を迅速化し、科学への理解を深めるため、企業は、被験者レベル・試験レベルのデータを含む CSR 全文に対する要求を評価し、コミットメント 1 の条件に従って共有します。

⁸米国医学研究所（IOM）の「Sharing Clinical Research Data: A Workshop Summary 10（臨床研究データの共有に関するワークショップの概要 10）（2013 年）」を参照

概要の提供に加えて、患者のプライバシー保護と商業機密情報の保護のために編集された CSR の追加情報を任意で公表する企業もあります。

Q：個人情報を再識別される可能性の高い患者が参加した臨床試験に関して、なぜ被験者レベルのデータの利用可能性を制限する必要があるのか？

A：資金を提供して医学研究を実施する製薬企業にとって、臨床試験の被験者のプライバシー保護は極めて重要な義務です。「匿名化された」被験者レベルのデータであっても、現代のデータマイニング技術によって再識別が可能な場合もあります⁹。こうした理由から、被験者のプライバシーが危険にさらされる合理的な可能性がある場合には、企業は基本的に被験者レベルのデータの提供を差し控えます。希少疾患の患者を対象とした（例えば 25 名以下の患者しか含まないような）臨床試験ではよくあるように、患者数が少ないと「再識別」のリスクが著しく高まります。

Q：コミットメント 1 の下で、企業は被験者レベルのデータやその他の占有情報を競合他社と共有しようとしているのか？

A：いいえ。創薬や新薬開発は、長く、複雑で、コストのかかるプロセスです。2014 年の調査によれば、検討した 5,000~10,000 の実験的化合物のうち、たった 1 つが平均 26 億ドルのコストを費やした 10~15 年の研究・開発を経て、米国食品医薬品局（FDA）の承認を受けられるのです。数少ない成功で多くの失敗を埋め合わせなければなりません。実際、開発にかかった資金を回収できるのは 10 の薬剤のうちわずか 2 剤に過ぎません。

製薬企業は、新薬の創薬・開発に多額の資金を投資し自社の能力を守ることのできる持続可能な研究のエコシステム構築に全力を注いでいます。イノベーションのリスクの 1 つは、開発者による多額の投資への「ただ乗り」を許す可能性のある企業秘密や占有情報が競合他社に渡ることです。こうした環境では、企業が新しい医療技術に何十年も投資する能力を育成できません。よって、持続可能な研究エコシステムにおいて、企業は占有情報が競合他社に暴露されず、安全に保持されることを確信できなければなりません。そのためコミットメント 1 では、（競合品の承認取得に利用されかねない）被験者レベルのデータやその他の機密商業情報は、資格要件を満たした科学研究者および医学研究者のみと共有するよう企業に求めています。コミットメント 1 はこれらの懸念を反映したものであり、これによって企業は、データの潜在的な利益相反（データの競合使用の可能性を含む）の観点から臨床情報の公開要求を検討できるようになっています。

コミットメント 1 の下で、企業は、研究企画書に正当な科学的・医学的目的があるか否か、データ要求者と企業との間に潜在的な利益相反がないか、あるいは競合相手によるデータ使用の可能性はないか等を評価します。後者の場合、データ要求者が、競合する可能性のある医薬品の承認取得に利用する意図を持って、企業の被験者レベルのデータまたはその他情報を要求することも想定されます。企業は医薬品の共同開発契約を締結することもあります。これらのデータ共有の「原則」は、便乗を許す、あるいは医薬品研究に投資する企業のインセンティブを損なうことを意図するものではありません。

⁹Melissa Gymrek 等の「Identifying Personal Genomes by Surname Inference, 339 SCIENCE 6117 321-324（2013 年）」を参照

せん。したがって、コミットメント1の下で、企業が競合他社との占有情報の共有を拒否することは適切です。

Q：企業は、誰が被験者レベルのデータやその他の占有情報の提供を受けられるのかを、どう判断するのか？

A：各企業は、研究企画書やデータ要求者の経歴を審査し、提案された研究が誠実なものであるか否かを判断する制度を導入します。企業はこれらの制度を個別、または中央科学審査委員会と協働で整備するかを選択することができます。患者のプライバシー保護に関する考慮事項には、試験被験者のインフォームド・コンセントや、プライバシー認可（米国の医療保険の相互運用性と説明責任に関する法律（HIPAA）など）、および／またはデータ使用許諾契約書といったその他の法的許可が含まれます。患者に対するこれらのコミットメントに関連して、共有可能な被験者レベルのデータはすべて、個人識別可能な情報を保護するための法的要件に従い「匿名化」されます。患者個人が再識別される合理的な可能性がある場合、企業は被験者レベルのデータへのアクセスを提供しません。また、共同開発契約またはその他の法定制約により特定のデータを提供できない場合、可能であれば、企業は資格要件を満たした要求者に対して要約情報を提供します。

Q：コミットメント1の下で提供されるデータの使用に関して、その他の制限があるか？

A：各企業は、患者のプライバシーを保護し、被験者レベルのデータへのアクセスが医薬品研究への将来の投資インセンティブを損なわないことを保証する最善の方法を決定します。コミットメント1に従い、データ要求者は研究企画書に記載した当事者以外に提供データを転移しないこと、研究企画書に記載した目的以外でデータを使用しないこと、試験参加の被験者を再識別しようとしないうことに同意しなければなりません。また企業は、研究者が非商業的目的のみにデータを利用することを要求できます。その他の追加的条件として、企業の情報システム上に限定してデータへのアクセスを許可すること、規制当局への報告義務がある安全性所見、その他の重要な結果を通知するようデータ要求者に求めることなどが含まれます。

Q：患者のプライバシー情報以外で、コミットメント2の下で一般に提供されるCSR情報から除外されるのはどのような情報か？

A：医薬品研究への将来の投資インセンティブを維持するため、各企業は裁量判断により、CSRへの一般アクセスから以下の情報を除外することを選択できます：様々なビジネス手法や分析法に関する情報、製造および前臨床情報またはその他の機密商業情報、試験の実施に直接関係しない、あるいは知的財産権を侵害する可能性のある情報、（既存の共同開発契約などにより）企業が共有する法的権利を持たない情報など。

上記にも関わらず、CSRへの一般アクセスから除外される情報は、コミットメント1の条件の下で資格要件を満たした研究者に公表される場合があります。



Q : 企業が任意で、コミットメントに記載された臨床試験情報以外の情報を提供することはできるのか？

A : はい。これらのコミットメントをどう実行するのか、責任あるデータ提供に関する共通のコミットメントを超えた提供を行うか否かについては、企業が個々に判断します。例えば、企業は患者のプライバシーや機密商業情報を保護するために編集した CSR の本文を一般に公開することを選択できます。

Q : この IFPMA の原則は、欧州製薬団体連合会（EFPIA）と米国研究製薬工業協会（PhRMA）による「Responsible Clinical Trial Data Sharing（責任ある臨床試験データ共有の原則）2013」に代わるものか？

A : いいえ。IFPMA の原則は EFPIA と PhRMA による責任ある臨床試験データ共有の原則を補足するものであり、両原則に同意する加盟企業は、両原則に記載されたコミットメントを実行する義務を負います。