



「くすり」と「治験」について学ぼう！

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

2022年4月



「くすり」と「治験」：令和3年2月 改訂第5版



- 本資料は、医療機関で、患者さんに治験の内容を説明する際の補助的な資料として、平成9年に初版を発行しました。
- 今般の改訂では、医薬品開発の最新の情報を盛り込むとともに、患者視点を取り入れるため日本製薬工業協会の患者アドバイザリーボードと協働し、患者さんにとってわかりやすく、知りたい内容が含まれる資料としました。

(出典) 日本製薬工業協会 「くすり」と「治験」

https://www.jpma.or.jp/about_medicine/shinyaku/tiken/base/chiken/index.html

目次

- 「くすり」ができるまで
- 治験の種類について
- 治験のルールについて
- 「インフォームド・コンセント」について
- くすりと副作用について
- 患者・市民参画（PPI）について

 「くすり」ができるまで

「くすり」ができるまで

くすりの候補の探索

- 「くすり」の開発は、その病気の原因に対して、効き目（有効性）があると推定される新しい化合物を合成したり、天然に存在する物質から抽出する等から始まります。

動物を用いた研究

- そうしてできた化合物の数は、何万にもなります。その中から、試験管等を用いた研究により、効き目があると予想される化合物の候補を選びます。
- 動物（ネズミ、ウサギ、イヌ、サル等）を対象に、効き目と好ましくない作用（副作用）をくわしく調べ、「くすり」になる見込みのあるものが「くすりの候補」となります。

治験

承認申請・審査

承認



「くすり」ができるまで

くすりの候補の探索

- 「くすりの候補」によっては、動物ではよく効くのになんにはそれほど効かなかったり、動物では問題がなかったのに人では予想もしていなかった副作用があらわれたりすることがあります。それは、人と動物では体のしくみが違うからです。

動物を用いた研究

治験

- 「くすりの候補」が「くすり」となるためには、**人において有効性や安全性を調べるのがとても大切**であり、これを「**治験**」と呼んでいます。

承認申請・審査

- 治験によって得られた効き目や副作用の成績は、製薬会社に取りまとめます。これらの成績は「くすりの候補」を「くすり」として国（厚生労働省）に認めてもらうための資料となります。

承認



「くすり」ができるまで

くすりの候補の探索

- 国（PMDA*/厚生労働省）が「くすり」として認めてよいかどうか審査します。

動物を用いた研究

- 厳正な審査を経て、承認されることで初めて、「くすりの候補」が「くすり」となります。

治験

承認申請・審査

- 「くすり」として承認を受けた後も、製薬会社は多くの患者さんに使用された時の有効性と安全性等の情報をPMDA/厚生労働省や医療機関などに報告しています。

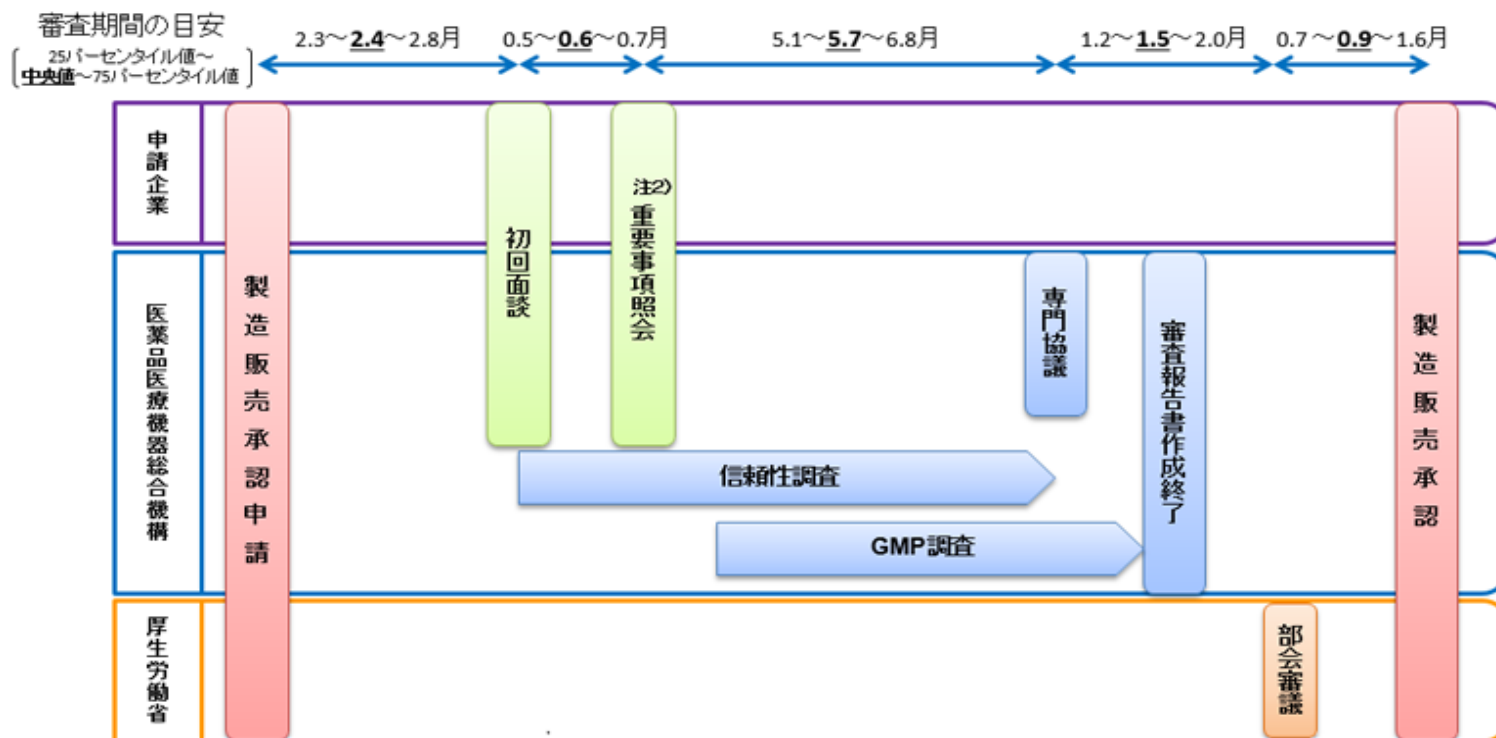
承認

* <医薬品医療機器総合機構（PMDA）>
医薬品と医療機器の審査・安全対策を行うと同時に、健康被害の救済も行っている厚生労働省所轄の独立行政法人

承認審査のプロセス

新医薬品に係る承認審査の標準的プロセスにおけるタイムライン(通常品目)

以下のタイムラインは、審査の経過上、特段の問題がなかった場合の標準的なプロセスについて、平成26年度以降に申請された新医薬品について申請受付から承認までの総審査期間の目標である12ヶ月(通常品目)を達成するよう努力するため、審査の実績を踏まえて、各審査イベント毎の審査期間の目安^{注1)}を示したものである。



注1) 審査期間の目安の設定に当たっては、平成25年度における新医薬品の承認審査における実績を用いた。なお、算出に用いた申請から承認までの各イベント毎の件数は、初回面談35件、重要事項照会31件、専門協議85件、部会審議83件、製造販売承認96件である。

注2) 重要事項照会: 初回面談後に行われる最初の照会



治験の種類について

治験のステップ



治験の3つのステップ

■ 第I相試験

まず、**少数の健康成人***の方で、ごく少量から少しずつ「くすりの候補」の量を増やしていき、**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（はいせつ）されるのかも調べます。



*抗がん剤など「くすりの候補」の種類によっては、健康成人ではなく、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。

治験の3つのステップ

■ 第Ⅱ相試験

次は、**（少数の）患者さんで「くすりの候補」の効き目（有効性）や副作用（安全性）、および適切な使い方（量・使用する間隔や期間など）**を調べます。

効き目や使い方を調べるには、通常いくつかの量で比較検討しますが、その際にプラセボ*や、現在使われている標準的な「くすり」を使った患者さんのデータと比べることがあります。

*プラセボ（偽薬）……体に現れた効き目（有効性）や副作用（安全性）が「くすりの候補」によるものかを見きわめるために使う、「くすりの候補」の有効成分は入っていないが、見た目や味などの点で「くすりの候補」と区別がつかないもの。



治験の3つのステップ

■ 第Ⅲ相試験

最後に、第Ⅱ相試験の結果から得られた「くすりの候補」の効き目（有効性）や副作用（安全性）、および最も適した使い方を、多数の患者さんで確認します。

さらに、「くすりの候補」を長期間使用したときの効き目（有効性）や副作用（安全性）について、調べることもあります。

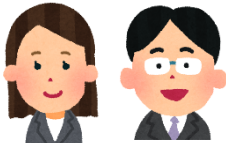
方法としては、現在使われている標準的な「くすり」がある場合には、その「くすり」との比較、標準的な「くすり」がないときには、プラセボ（前ページ参照）との比較により治験を実施することもあります。



治験のルールについて

治験のルール

- 治験に参加する方の権利（人権）や安全が最大限に守られなければなりません。
- 同時に「くすりの候補」の有効性や安全性を科学的な方法で正確に調べる必要があります。



上記を満たすため、以下のルール、法規制が整備されています。

- ヘルシンキ宣言
- 医薬品医療機器等法（薬機法）
- 医薬品の臨床試験の実施の基準（GCP）

法規制で定められている治験のルール

- くすりを開発する製薬会社と医師などの専門家が協議し、「治験の計画」を作成します。
- 治験の計画を、事前に国の機関（PMDA）に提出し、内容の確認を受けます。
- 治験の依頼を受けた医療機関においても、治験審査委員会*で治験の内容をあらかじめ審査します。
- 患者さんは、治験の説明と同意（承諾）について、十分に説明を受けた後、治験に参加する・しないを自由に選べます。
- 治験に参加された方に副作用が現れた場合は、必要な治療と適切な処置がなされます。
- 製薬会社は、副作用の情報を、国が定めたルールに基づき、国の機関（PMDA/厚生労働省）や医療機関へ報告します。
- 製薬会社は、治験が適正に行われていることを確認します。
- 治験に参加された方のお名前や住所など、個人を特定できる情報は適切に保護されます。

*「治験審査委員会」：「治験の計画」が治験に参加される方の人権を保護し安全が確保されているか、および科学的に適切であるかを審査する独立の委員会
治験審査委員会には、治験の依頼を受けた医療機関とは利害関係のない人や、医師、薬剤師などの専門家以外の立場として、患者さんや市民の立場の方も委員として加わります



「インフォームド・コンセント」について

「インフォームド・コンセント」について

- 「インフォームド・コンセント」とは、患者さんが治療を受けるに当たって、「**自分の病気のことやその治療方針について、医師などから十分説明を受け、患者さんが説明の内容をよく理解し納得したうえで、患者さん自身の意思で治療を受けることに同意（承諾）する**」という意味です。

治験における「インフォームド・コンセント」の手順

- 治験を行う医師が「治験の計画」で定められた基準にあいそうな患者さんに、治験へのご協力をお願いします。
- 治験の目的、方法や「くすりの候補」の性質（予想される効き目や副作用）、治験のための検査内容やスケジュールをくわしく説明します。
- 「治験コーディネーター*」が補足説明をすることがあります。
- 説明した内容に限らず、よく分からないこと、確認したいことなどがあれば、どんなことでも遠慮せずに担当医師や「治験コーディネーター」に何度でも質問することができます。

「説明文書」：治験の説明に用いられる文書

「同意文書」：治験への参加に同意することを確認する文書



*「治験コーディネーター」：治験を行う医師をサポートし、患者さんの相談の窓口となる役目を担っています。

同意文書に署名する前に

- 「説明文書」を持ち帰りご家族などと十分相談し、治験について理解できたら、**治験に参加するか、参加しないかを、患者さん自身の自由な意思で決めることができます。**
- 誰からも強制されることはありませんし、誰に対しても気をつける必要もありません。参加しなくても不利な扱いを受けることはなく、適切な治療が行われます。
- また、**いったん参加を決めても、その後いつでもやめることができます。** 患者さんの安全を確保することはとても大切なことですので、参加を決めたあとでも、よく分からないこと、確認したいことなどがあれば、どんなことでも質問できます。



治験が未成年の患者さんを対象にした場合や、患者さん本人が説明文書を理解することが難しい病気の患者さんを対象とした場合などは、患者さんの親や配偶者など、「治験の計画」で定められた人（代諾者(だいだくしゃ)と言います）も治験の説明を聞き、同意文書に署名をする場合があります。

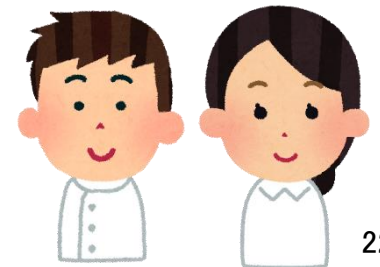
「インフォームド・コンセント」で 主に説明されること

- 治験は研究を伴うこと。
 - 治験の目的、「くすりの候補」の使用方法、検査内容、参加する期間。
 - 「くすりの候補」の期待される効き目と、予想される副作用などの不利益。
 - 治験に関連して健康を害することがおきた場合、必要な治療が行われること、およびその場合の補償。
 - 治験への参加は自由意思によるものであり、いつでもやめることができること、不参加の場合でも不利益は受けないこと。
 - カルテや検査結果などの診療記録を、治験を依頼した製薬会社の関係者、国の機関（厚生労働省など）、治験審査委員会の担当者が閲覧できること。
 - 患者さんの氏名など、個人を特定できる情報はわからないようにし、患者さんの個人情報を守られること。
 - 治験に参加される患者さんが負担する費用の内容。
 - 担当医師の氏名・連絡先、治験に関する相談窓口の連絡先。
 - 治験に参加される患者さん自身に守っていただきたい事項等。
- ※ 説明文書に記載すべき内容は、法規制で定められています。

くすりと副作用について

「くすり」と副作用について

- 「くすり」には、その種類によって、さまざまな好ましい効き目がある反面、**好ましくない作用（副作用）**もあります。また、すべての副作用の種類を予測することはできません。
また、副作用の全くない「くすり」は存在しません（例えば「かぜぐすり」を飲んだ時に、眠くなることがあります。そのような症状は副作用である可能性があります）。
- 副作用には、軽いものから生命にかかわる重いものまであります。これらは、動物を用いた研究などからある程度予測できるものや、できないものもあります。



「くすり」と副作用について

- 治験においては、より注意深く、慎重に診察、検査を行います。
- 副作用を未然に防止する、または、副作用が起きてしまってもそれらを早くみつけ、症状を最小限におさえることも目的です。
- しかし、検査だけでは十分にみつけることができないため、**患者さんからの申し出が大切**になってきます。
- 万が一、「くすりの候補」の副作用により健康被害が生じた場合は、製薬会社から補償が受けられます。

(補償の内容は治験により異なる場合がありますので、治験を行う医師、薬剤師、看護師や治験コーディネーターにご相談ください)



患者・市民参画（PPI）について

患者・市民参画(PPI)について

■ 患者・市民参画（PPI）とは何でしょうか？

- ◆ PPIとは「Patient and Public Involvement」の略で、患者さんや市民の皆さんの意見を取り入れて、医療や研究を進めることを指しています。
- ◆ 「くすり」の開発では、製薬会社と医師などの専門家が協議して「くすりの候補」の評価を行い、「治験の計画」を作成しています。最近では、**患者さんには治験に参加いただくだけでなく、市民の皆さんとともに「治験の計画」の作成の際に、自らの実体験を活かした意見を述べてもらうこと**などが必要だと考えられるようになってきました。そういった考え方を表す言葉の一つとして「患者・市民参画（PPI）」が使われています。



出典：<https://www.amed.go.jp/ppi/>

患者・市民参画(PPI)について

- なぜ、患者・市民参画（PPI）という考え方が「くすり」の開発に必要なのでしょうか？
 - ◆ 患者さんや市民の皆さんの意見を取り入れることで、より患者さんから求められる「くすり」を開発することにつながると考えています（より参加しやすい「治験の計画」の作成や、患者さんからの症状に関する報告を「くすり」の評価に使用、など）。
 - ◆ 患者さんや市民の皆さんにとって「くすり」の開発がより身近なものとなると考えています。



私たちは患者さんとOne Teamです



患者さんが安心・理解して治験に参加できるよう、医師、看護師、薬剤師、治験コーディネーター、国の機関（PMDA/厚生労働省）、製薬会社、全員がチームとなって治験を進めています！

「くすり」と「治験」について学ぼう！

資料作成者 (1/2)

バイエル薬品株式会社	植木 進 (リーダー)
アステラス製薬株式会社	山田 絵美 (2021年12月からサブリーダー)
科研製薬株式会社	松山 翔 (サブリーダー) (2021年12月まで)
田辺三菱製薬株式会社	植田 正樹 (サブリーダー)
ヤンセンファーマ株式会社	西川 智章 (サブリーダー)
EAファーマ株式会社	池原 修
MSD株式会社	道津 功
アストラゼネカ株式会社	宮崎 恵梨子 (2021年8月まで)
アッヴィ合同会社	蓮見 菜月 (2021年7月まで)
アッヴィ合同会社	坂元 一樹 (2021年8月から)
エーザイ株式会社	伊藤 悟
キッセイ薬品工業株式会社	牛丸 和美 (2021年4月まで)
ノバルティスファーマ株式会社	鉾田 典子
ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社	駒場 環 (2021年4月まで)
ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社	古別府 恵 (2021年4月から)
メルクバイオファーマ株式会社	星山 真澄

「くすり」と「治験」について学ぼう！

資料作成者 (2/2)

ユーシービージャパン株式会社
塩野義製薬株式会社
久光製薬株式会社
大正製薬株式会社
大日本住友製薬株式会社
大日本住友製薬株式会社
第一三共株式会社
中外製薬株式会社
中外製薬株式会社
武田薬品工業株式会社

杉原 一弘
高宮 裕司
橋本 文孝
北島 五輪男
竹川 慶美 (2022年1月まで)
川東 祐美 (2022年1月から)
田中 夏樹
後藤 和典 (2021年4月まで)
細木 教世 (2021年4月から)
中前 修一

監修

部会長
担当副部会長
推進委員

松澤 寛	アステラス製薬株式会社
宮田 雅代	ヤンセンファーマ株式会社
鈴木 和幸	ノバルティスファーマ株式会社