

本発表資料について、許可なく引用、転載、複製、
第三者への提供、改変などを堅く禁止します。

ICF共通テンプレートの意義と治験の更なる効率化

厚生労働省 医薬局

医薬品審査管理課 福田 祐介

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

ドラッグロス問題等に対する薬事上の取組

経緯

- 我が国の医薬品産業については、創薬における国際的な競争力の低下、後発品を中心とする安定供給への不安、ドラッグロスの拡大等、さまざまな課題が指摘されている。
- これらに対応するため、令和4年9月から開始された「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」においては、13回にわたる議論の結果、令和5年6月に、今後の目指すべき方向性について報告書を取りまとめた。
- その中では、薬事規制のあり方についても課題が指摘されており、具体的には、小児用・希少疾病用医薬品を中心とするドラッグロス問題の解消のため、希少疾病用医薬品の指定の早期化、小児用医薬品の開発計画策定の促進等に取り組む必要性が指摘されている。
- これら課題については、「経済財政運営と改革の基本方針2023」にもその対応が盛り込まれた。

有識者検討会を受けた対応

- 上記を受け、必要な施策の具体化を行うため、令和5年7月から令和6年3月までの間、医薬・生活衛生局(現医薬局)において、「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」を開催した。今後、検討会での議論の結果を踏まえ、準備が整った施策から順次運用を開始していく予定。

医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する 有識者検討会報告書（薬事規制関係抜粋）

第2章 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた対策の方向

2. 1 医薬品の安定供給の確保に向けて

2. 1. 1 後発品産業構造の見直し

（医薬品の安定供給の確保に向けた政府による基盤整備）

- また、各製造所において製造効率の向上と品質確保の両立が図れるよう、異業種におけるノウハウの活用について検討するとともに、**迅速な薬事承認を可能とする体制の確保や変更手続のあり方を明確化**することで、製造効率の向上に向けた企業マインドを醸成することについても検討すべきである。

2. 2 創薬力の強化、ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの解消

2. 2. 2 ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの解消

（国際共同治験の推進や治験環境の整備）

- 現在は、日本の治験パフォーマンスが海外に比べて低いという状況であり、特に、国際共同治験においては、日本人症例の組入れが遅いといった理由で、日本を避けるという意見もある。グローバルから選ばれる国になるためにも、政府が中心となって国際的なポジションを高めることが必要であり、国際共同治験の国内治験実施施設における国際対応力を強化するとともに、**国際共同治験に参加するための日本人データの要否など、薬事承認制度における日本人データの必要性を整理**すべきである。

（薬事関係）

- モダリティの変化などの技術革新、創薬環境や産業構造の変化等を的確に捉えるとともに、製薬企業が日本での開発を行わない現状を認識し、医薬品の有効性及び安全性を適切に評価しつつ、迅速な開発に資するよう、**レギュラトリーサイエンスに基づき薬事制度の在るべき姿を検討**すべきである。
- 日本の希少疾病用医薬品指定制度が欧米よりも指定時期が遅いことから、欧米に比べ、その指定数が少ない現状を踏まえ、**開発の早期段階で指定できるよう、運用の見直しを検討**するとともに、そのために必要な**PMDAの体制を整備**すべきである。
- 製薬企業に小児用医薬品の開発を促すため、**成人用を開発する段階で、製薬企業に小児用医薬品の開発計画の策定を促す**とともに、開発に当たって、新規インセンティブを検討すべきである。

（海外へのプロアクティブな情報発信）

- 既存のベンチャー相談支援事業の海外向けPRや遠隔相談の実施、**PMDAによる英語での情報発信や相談などの取組を実施**し、日本の制度を海外に正しく伝達することが必要である。

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

- 2023年3月時点において、欧米では承認されているが国内開発未着手の医薬品は86品目（未承認薬のうち60.1%）あり、そもそも承認申請がなされない（＝企業が開発しない）というドラッグラグ・ロスが発生していると指摘されている。
- 国内開発状況が未着手の86品目について傾向を分析したところ、ベンチャー発の医薬品や、オーファン、小児の割合が比較的大きいことが分かった。

日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）	
			開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	143	57	86 (品目)

内訳

56 %
(48品目)

47 %
(40品目)

37 %
(32品目)

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

※出典：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計

※2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計

※3：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計

※4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までには受けた品目をオーファンとして集計

※5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会

- ・ 昨年から開始された「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」においては、医薬品の早期上市や安定供給を図る観点から、幅広い観点で議論がなされ、令和5年6月9日にとりまとめられており、薬事規制のあり方等関係についても課題が指摘されている。
- ・ 具体的には、いわゆるドラッグロス問題の解消や、安定供給の確保、小児医薬品開発の促進等を図るため、薬事規制のあり方を検討する必要がある。
- ・ このため、本検討会を立ち上げ、これらの論点について議論を行い、令和6年4月24日に報告書を取りまとめた。

検討事項

スケジュール

開発促進	希少疾病用医薬品の指定のあり方について 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方について	令和5年7月10日	希少疾病用医薬品、小児用医薬品
		8月7日	日本人第Ⅰ相試験
		9月13日	日本人第Ⅰ相試験
臨床試験	我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理について 治験の更なる効率化（エコシステム）について	10月13日	製造方法等
		11月15日	GMP、海外情報発信
市販後 安全対策	製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方について リアルワールドデータの活用について	12月13日	日本人データ、迅速承認
		令和6年1月12日	使用成績調査、RWD
品質	医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方について	2月8日	日本人データ、迅速承認
		3月21日	使用成績調査・RWD、治験エコシステム、 PMDAの体制等
情報発信	我が国の薬事制度に関する海外への情報発信について	4月24日	報告書とりまとめ

検討事項の概要

開発促進

■ 希少疾病用医薬品の指定のあり方

- 日本の希少疾病用医薬品の指定時期が欧米よりも遅く、指定数が少ない現状を踏まえ、開発の早期段階で広範に指定できるよう、運用の見直しを検討

■ 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

- 製薬企業に小児用医薬品の開発を促すため、成人用を開発する段階で、製薬企業に小児用医薬品の開発計画の策定を促すための方策を検討

臨床試験

■ 我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理

- 海外で早期の臨床試験が実施された薬剤について、第3相試験等の国際共同治験の段階から日本が参加する場合における日本人の安全性の確認の考え方を整理（第I相試験の要否を含む。）
- 希少疾患等に用いる薬剤であって、外国においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における薬事承認の考え方を整理

■ 治験の更なる効率化（エコシステム）

- 日本での治験実施が高コストである現状を踏まえ、GCPの観点から更なる効率化に寄与する運用の見直しを検討

市販後安全対策

■ 製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方

- 新薬の製造販売後に行われる安全性監視活動として、多くの場合、使用成績調査（全例調査を含む。）が行われているが、製薬企業の実施負担が大きいとの指摘も踏まえ、製造販売後の情報収集のあり方について検討

■ リアルワールドデータの活用のあり方

- リアルワールドデータの利活用に向けた環境整備が進みつつある現状を踏まえ、その薬事制度における活用のあり方について検討

品質

■ 医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方

- 医薬品の承認書における製造方法等の記載や変更管理のあり方について、国際整合性も考慮しつつ検討

情報発信

■ 我が国の薬事制度に関する海外への情報発信

- 海外ベンチャー企業が日本での開発を行わない背景の一つとして、日本の薬事制度に関する理解不足や誤解がある背景を踏まえ、海外への情報発信のあり方について検討

これまで議論された個別テーマ

- 希少疾病用医薬品の指定のあり方
- 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方
- 国際共同治験に参加する場合の日本人第1相試験の必要性
- 医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方
- 有識者検討会の議論を踏まえた薬事監視の向上
- 我が国の薬事制度に関する海外への情報発信
- 検証的試験における日本人データの必要性の整理
- 迅速な承認制度のあり方
- 製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方及びリアルワールドデータの活用のあるあり方
- 治験の更なる効率化（エコシステム）について

背景（治験エコシステム）

- 日本の治験環境については、これまで、「臨床研究・治験活性化5か年計画2012」（平成24年3月30日文部科学省・厚生労働省）、「臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について（2019年版）とりまとめ」（令和元年12月6日 厚生労働省）等に基づき、その改善に向けた取り組みが行われてきたが、現在でも海外と比べると実施しにくい側面があると言われている。
- また、近年、分散型治験やプラットフォーム型治験など、新たな形態の治験が行われるようになっており、被験者の保護及び治験の科学的な質の確保を前提としつつ、また、現在、改定作業中のICH-E6（R3）の動向にも留意しつつ環境変化に対応した規制のあり方を検討する必要がある。
- 令和4年度厚生労働科学特別研究事業「国内外の治験をとりまく環境に係る最新の動向調査研究」（研究代表者：国立がん研究センター東病院臨床研究支援部門長 佐藤暁洋）において、日本の治験環境については、海外と比較して、データ入力や逸脱等のクオリティや、被験者登録数のスピードにおいては海外と大きな違いはないが、コスト面での違いが大きいことが指摘されており、これを解決するために、
 - ① 中央IRBの普及
 - ② 治験実施の更なる合理化
 - ③ 治験費用の算定方法の合理化が必要である提言されている。
- また、厚労省が製薬企業やCRO等に対して行ったヒアリングにおいても、同様の点が指摘されており、これらの課題について対応策を検討したい。

治験エコシステム導入のイメージ

- ① 中央IRBの普及
- ② 治験実施の更なる合理化
- ③ 治験費用の算定方法の合理化 等



治験エコシステムの導入

治験エコシステムとは、国民にいち早く治療薬を届けるため、製薬企業、医療機関、規制当局、被験者等あらゆるステイクホルダーが協力して効率的に治験を行うシステムである。

対応の方向性（案）

■ 中央IRBの活用促進

- 原則として中央IRBによる審査が望ましい点を文書化する方向性を含め、中央IRBの活用の促進に向けた検討を進めてはどうか。具体的には、医療関係者の意見も聴きつつ、厚生労働省・PMDA・製薬業界において検討を進めることとしてはどうか。

■ 治験費用の算定方法の合理化

- 治験費用の算定方法について、業務量や市場価格に基づいた算定（欧米ではFair Market Valueと呼ばれ、広く浸透している概念）の国内への導入の実現性を含め、医療機関・治験依頼者双方が納得感を得られる方法について必要な検討を進めることとしてはどうか。

■ 治験運用の更なる合理化

- 例えば以下のような点について、医療機関を含む関係者の意見も聴きつつ、厚生労働省・PMDA・製薬業界において検討し、要すればGCP省令の改正を含め、更なる合理化に向けた取り組みを進めてはどうか。併せてPMDAの体制強化を進めるものとする。
 - ・ IRB審議事項の整理（通知・審議が必要な安全性情報の範囲の特定、医療機関追加の際の審議の要否、審査区分（迅速、簡易、報告）の整理等）、IRB成立要件の検討
 - ・ ICF様式の共通化とその普及
 - ・ 治験管理（治験計画・変更届出）の効率化
 - ・ 治験実施において厳格に実施する必要があること、非効率となっていることの具体的事例の洗い出しと周知（モニタリングの頻度、逸脱発生時の対応・管理の基本的な考え方の例示、電子化の推進等）
 - ・ 分散型治験等の新たな形態の治験に対応したGCPのあり方についての検討

治験における同意文書及び説明文書の共通様式の活用について（周知依頼）

医政研発0704第2号
医薬薬審発0704第3号
令和6年7月4日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医政局研究開発政策課長
（ 公 印 省 略 ）
厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

治験における同意文書及び説明文書の共通様式の活用について（周知依頼）

近年、医薬品産業を取り巻く環境の変化に伴い、我が国における創薬力の低下やドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロス等の課題が指摘されており、必要な医薬品を速やかに国民に届けるため、治験環境の整備をより一層推進することの重要性が指摘されています。厚生労働省の「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」（令和6年4月24日報告書公表）では、治験の更なる合理化の方策の一つとして、治験依頼者及び実施医療機関ごとに異なっている説明文書及び同意文書（医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成9年厚生省令第28号。以下「GCP省令」という。）第9条及び第52条第1項の各条に規定する文書をいう。以下同じ。）の様式の共通化及びその普及を進める必要があるとされたところです。

この度、日本製薬工業協会において、説明文書及び同意文書の様式の共通化を進めるため、医療機関、患者団体等からの意見も踏まえ、「説明文書・同意文書（ICF）共通テンプレート」（以下「共通様式」という。）が作成・公開されました（下記URL参照）。共通様式はGCP省令等に照らして適切な内容であると思料され、また、より多くの治験依頼者及び実施医療機関において共通の様式が活用されること^(注)は我が国の治験の効率化に資するものと考えられます。については、その積極的な活用を検討いただけるよう、貴管下医療機関及び関係事業者に対して共通様式の周知をお願いします。

なお、別添のとおり関係団体の長宛てに依頼し、別記関係団体宛てにも周知依頼していること申し添えます。

○「説明文書・同意文書（ICF）共通テンプレート」の掲載先（日本製薬工業協会ホームページ）

https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/CL_202406_material.html

（注）共通様式においては、各治験に固有の記載内容についてはそれぞれの治験に応じて記載の変更が可能な一方、すべての治験に共通する記載内容（治験に関する一般的な説明等）については記載の変更が不可とされています。共通様式を活用する意義を踏まえ、上記の取扱いを尊重していただきますようご協力をお願いいたします。

より多くの治験依頼者及び実施医療機関において共通の様式が活用されることは、治験の効率化に資するものと考えられ、積極的な活用を検討いただきたい。

また、ICF共通テンプレートは、すべての治験に共有する記載内容は記載の変更が不可とされており、活用の意義を踏まえて、取扱いを尊重していただきたい。

「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」 中間とりまとめを踏まえた政策目標と工程表

中間とりまとめの3つの戦略目標と目指すべき成果目標

(1) 「国民に最新の医薬品を速やかに届ける」

現在生じているドラッグ・ロスの解消（我が国で当該疾患の既存薬がない薬剤等について2026年度までに開発に着手）

※ さらに、我が国において新たなドラッグ・ロスを可能な限り生じさせないよう、米国・欧州の状況を見つつ、官民協議会における議論・検討内容に基づいて、中期的なドラッグ・ロスの成果目標を設定する。
小児用医薬品の開発計画の策定件数（50件）、希少疾病用医薬品の承認件数（150件）（2024～2028年度累積）

(2) 「世界有数の創薬の地となる」

(3) 「投資とイノベーションの循環的発展」

我が国における国際共同治験の初回治験計画届件数（100件→150件）（2021年→2028年）

創薬スタートアップに対する民間投資額（2倍）（2023年→2028年）

企業価値100億円以上の創薬スタートアップを新たに10社以上輩出（2028年） ※2033年創薬ユニコーンを輩出

我が国の都市が世界有数（世界10位以内）の創薬エコシステムとして評価されている（2028年）

令和6年度概算要求額 27百万円 (－) ※ () 内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- 近年、欧米では承認されている医薬品が日本で開発が行われない、いわゆる「ドラッグ・ロス」の拡大が指摘されており、その要因の一つとして、国際共同治験において、日本人症例の組入れが遅い等の理由で日本を避ける傾向が指摘されている。
- 本事業では、国内で治験を実施しやすい環境作りのため、国内治験にかかるコストの削減や手続きの負担の解消（治験エコシステム）を進める観点から、

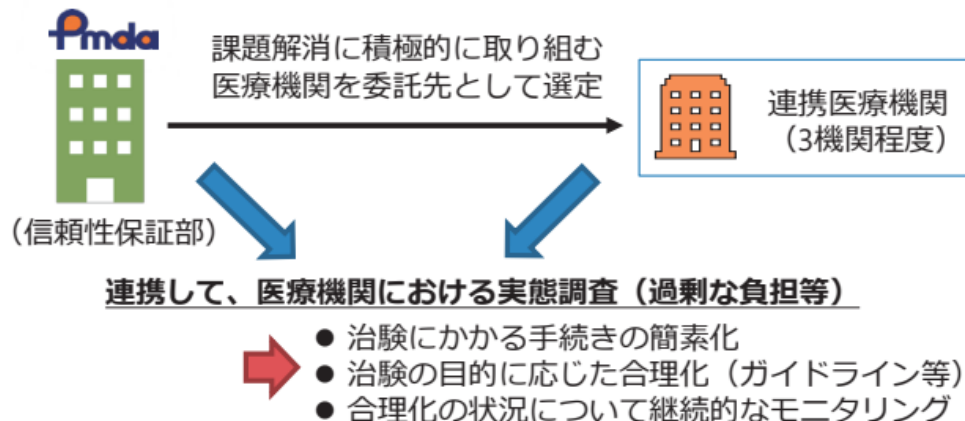
① 医療機関における負担の実態調査

GCP規制（臨床試験の実施基準）への対応において医療機関の負担となっている課題を明らかにするため、医療機関と連携し、治験依頼者（企業）から医療機関への過剰な又は重複した要求等の負担の実態を調査するとともに、海外の状況との比較を行う。

② 治験エコシステムの導入

①で確認された過剰や重複による負担を軽減するため、治験にかかる手続きの簡素化、治験の目的に応じた合理化（GCP対応の程度、データの品質等の求められる水準をガイドライン等で明確化）を進める、また、ガイドライン対応を含めた合理化の状況について、PMDAによる継続的なモニタリングを行い、必要な改善を図る。

2 事業の概要・スキーム



3 実施主体等

実施主体：PMDA

費用内訳：

- ・ 人件費：補助率50／100
- ・ 旅費
- ・ 研修会開催費等
- ・ 連携医療機関への委託費（実態調査等）

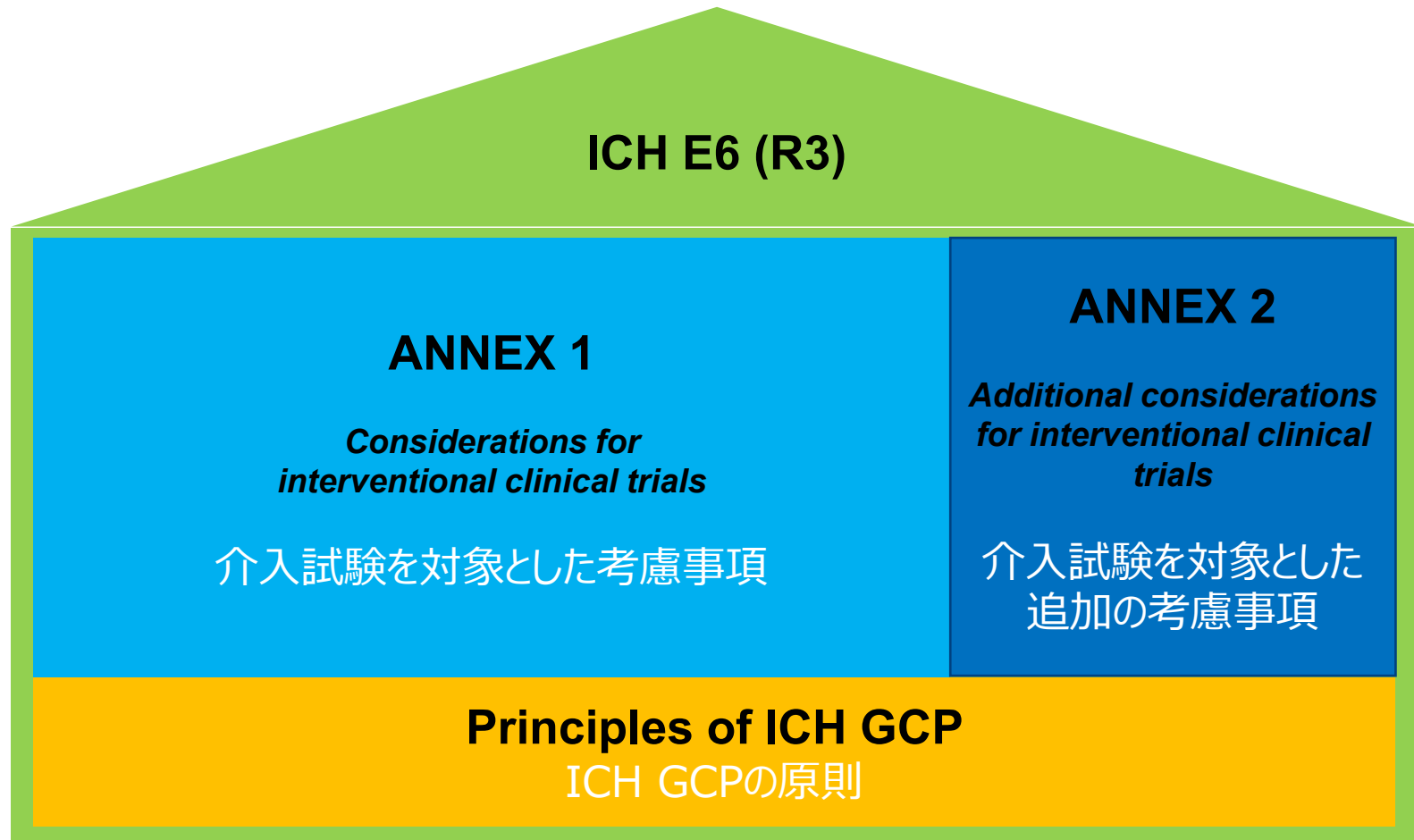
ICH E6(R3)の最新状況について

ICH E6改訂の背景

- 1996年 ICH-E6 : 「医薬品の臨床試験の実施の基準」 策定
- 2016年 ICH-E6(R2) Integrated addendumの追加
 - ▶ リスクベースドアプローチを用いた品質マネジメント
 - ▶ モニタリング
 - ▶ 技術革新への対応（電子システム等の既存概念の明確化）
- 2016年 パブリックコメントにおける国際コンソーシアム等からの意見
 - ▶ 多様な試験のタイプの違いによるリスクの違いに十分に配慮されていない
 - ▶ 試験の質に関する重要な要因により焦点を当てるべき
- 2017年1月: ICH Reflection Paper
 - ‘GCP Renovation’
(ICH E8（臨床試験の一般指針）の近代化とそれに続くE6改訂)

ICH E6(R3)活動経緯

- 2019年6月: ICHアムステルダム会合にて, 新規トピックとして採択
- 2019年11月: Informal Working Group (IWG) 会合開催, Concept Paper, Business Plan承認
- 2019年11月: Expert Working Group (EWG)活動開始
- **Principles, Annex1**
 - ▶ 2021年4月: Principles案公開
 - ▶ 2021年5月: Web conference開催
 - ▶ 2023年5月: Step1 sign-off, Step2a/2b到達, 2023年11月までICH Public consultation
 - ▶ 2024年12月: Step 3 sign-off
 - ▶ 2025年1月: Step 4到達
- **Annex 2**
 - ▶ 2023年5月: Concept Paper公開
 - ▶ 2024年11月: Step1 sign-off, Step2a/2b到達, 2025年3月まで ICH Public consultation
- **トレーニングマテリアル**
 - ▶ 2024年11月: モントリオール会合



II. PRINCIPLES OF ICH GCP

2 Informed consent is an integral feature of the ethical conduct of a trial. Clinical trial participation should be voluntary and based on a consent process that ensures participants (or their legally acceptable representatives, where applicable) are well-informed.

2.1 Freely given informed consent should be obtained and documented from every participant prior to clinical trial participation. For potential participants unable to provide informed consent, their legally acceptable representatives, acting in the participants' best interest, should provide consent prior to clinical trial participation. These potential participants should be informed about the trial in a manner that facilitates their understanding. In the event that a minor is a participant, assent should be collected from that minor, as appropriate, and in accordance with local regulatory requirements (see ICH E11(R1) Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population).

2.2 The process and information provided should be designed to achieve the primary objective of enabling potential trial participants to evaluate the benefits, risks and burden of participating in the trial and to make an informed decision on whether or not to participate in the trial. The information provided during the informed consent process should be clear and concise so as to be understandable by potential participants or legally acceptable representatives.

2.3 The informed consent process should take into consideration relevant aspects of the trial, such as the characteristics of the participants, the trial design, the anticipated benefits and risks of medical intervention(s), the setting and context in which the trial will be conducted (e.g., trials in emergency situations), and the potential use of technology to inform participants (or their legally acceptable representatives) and obtain informed consent.

2.4 In emergency situations, where consent cannot be obtained prior to trial participation, consent should be obtained from the participant or their legally acceptable representative as soon as possible in accordance with applicable regulatory requirements and the processes approved by the institutional review board/independent ethics committee (IRB/IEC).

※ICH E6において、ICFの作成者は規定されていない。

ご清聴ありがとうございました。