



「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
星山 真澄、伊藤 悟



2021年11月27日

今日の私たちの想い

- 「くすり」の開発と「治験」について知っていただきたい。理解を深めていただきたい。

目次

- 日本製薬工業協会（製薬協）について
- 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
- 治験データのその後：「添付文書」について
- 患者・市民参画（PPI）について

目次

- **日本製薬工業協会（製薬協）について**
- 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
- 治験データのその後：「添付文書」について
- 患者・市民参画（PPI）について

はじめに

- 製薬協とは？

世界の主要な医薬品業界団体



地域	製薬団体名	対応する当局
日本	日本製薬工業協会 (製薬協・JPMA)	PMDA*/厚生労働省
米国	米国研究工業協会 Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA)	FDA/HHS
欧州	欧州製薬団体連合会 European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA)	EMA
国際製薬団体 連合会	International Federation of Pharmaceutical Manufacturers & Association (IFPMA)	WHO

* <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

製薬協について

- 研究開発志向型の製薬企業73社が加盟
(2021年10月01日現在)

製薬協のHPでは、患者さん向けに色々な情報を提供
していますので、ぜひ訪問してみてくださいね



- 1968年に設立

- 「患者参加型医療の実現」をモットーとし、
画期的な新薬の開発を通じて、世界の医療に貢献

- ◆ 製薬産業に共通する諸問題の解決
- ◆ 医薬品に対する理解を深めるための活動
- ◆ 国際的な連携、国際化への対応
- ◆ 政策策定と提言活動の強化

- 臨床評価部会は、主に医薬品の開発（治験の実施～承認申請）の分野で活動



The screenshot shows the JPMA website interface. At the top, there is a navigation bar with a menu icon, the JPMA logo, and a search bar. Below the navigation bar, there are several menu items: 注目コンテンツ, くすりについて, 委員会からの情報発信, 製薬協について, ニュースルーム, and 医薬産業政策研究所. The main content area is titled "新薬・治験情報 (患者さんとともに)" and contains several sections: "開発中の新薬", "くすりの相談窓口", "治験について", "お役立ち: 疾患", "お役立ち: くすり", "お役立ち: 患者団体", and "臨床試験情報リンク". Each section provides a brief description of the information available.

<http://www.jpma.or.jp/>

製薬協 産業ビジョン2025

先進創薬で
次世代医療を牽引する
～ P4+1 医療への貢献～

健康先進国の実現を支援する
～心おきなく健康で
長生きできる社会に～

世界80億人に
革新的な医薬品を届ける

高付加価値産業として
日本経済をリードする

志高き信頼される産業となる



わたしたちのチームの活動について

これまでの医薬品開発は、製薬企業と医療関係者および国の機関が中心となって行われ、患者さんの声を直接反映する機会はありませんでした。



医薬品の最終的な使用者は患者さんであり、近年、患者さんの声を直接お聞きし、医薬品開発に活かすこと（患者・市民参画）の重要性が認識されてきています！



わたしたちのチームでは、**医薬品開発への患者・市民参画の醸成のため、患者さんに、医薬品開発や治験に関する理解を深めていただくことを、活動の一つとしています。**



一般の方向けに
治験をわかりやすく説明した
パンフレットを2020年に作成しました

目次

- 日本製薬工業協会（製薬協）について
- **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
- 治験データのその後：「添付文書」について
- 患者・市民参画（PPI）について

**もしご自身あるいはご家族の疾患の治療
があれば参加したいと思いますか？**

- 1. はい**
- 2. いいえ**

治験に対してのイメージを教えてください

1. 患者や患者の家族の希望になるものである
2. 医療の進歩や社会に貢献するものである
3. 治療に要する経済的負担を減らすことができる
4. 安全性の面などで不安がある
5. 誰かが参加してくれているが自分にはあまり関係が無い
6. よく分からない

「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、試験管など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。

治験

承認審査

承認

- 動物（ネズミ、ウサギ、イヌ、サルなど）を対象に、効き目と好ましくない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。



「くすり」ができるまで

くすりの候補の探索

- 人での効き目（有効性）や副作用（安全性）を調べずに、動物での研究結果だけで、「くすり」として使われてしまうと、病気を治せないばかりか、多くの患者さんに、思わぬ副作用があらわれることにもなりかねません。

動物を用いた研究

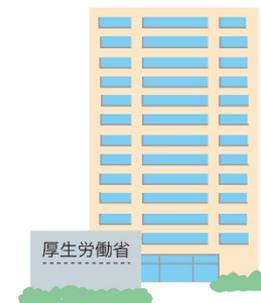
治験

- 「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、製薬企業が取りまとめます。これらの成績は「くすりの候補」を「くすり」として国（PMDA/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」として認められる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

- 「くすり」として承認を受けた後も、製薬企業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厚生労働省や医療機関などに報告しています。

承認審査

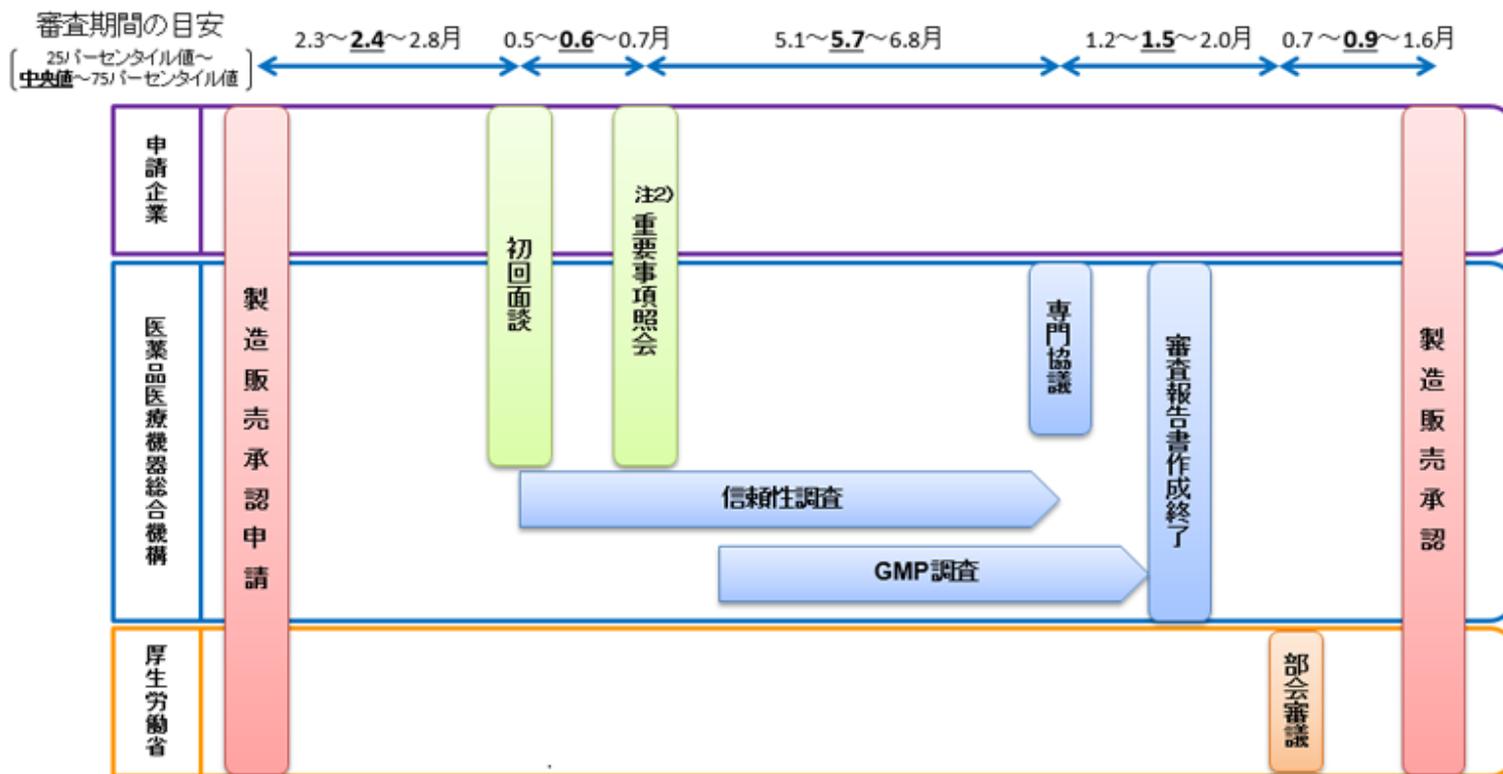
* <医薬品医療機器総合機構（PMDA）>
医薬品と医療機器の審査・安全対策を行うと同時に、健康被害の救済も行っている厚生労働省所轄の独立行政法人

承認

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

目次

- 日本製薬工業協会（製薬協）について
- 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
- 治験データのその後：「添付文書」について
- 患者・市民参画（PPI）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。



*「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。

これとは別に、「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。



目次

- 日本製薬工業協会（製薬協）について
- 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
- 治験データのその後：「添付文書」について
- 患者・市民参画（PPI）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（1964～）**
- **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企業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、事前に医薬品医療機器総合機構（PMDA）に提出し、その計画内容の確認を受けます。
- 各病院においても、治験審査委員会*で治験の内容をあらかじめ審査しています。
- 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



目次

- 日本製薬工業協会（製薬協）について
- 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
- 治験データのその後：「添付文書」について
- 患者・市民参画（PPI）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。
- そのときには、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の内容をくわしく説明します。
- この際に「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、誰に対しても気がつかう必要もありません。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。** その際にも、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)といいます）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

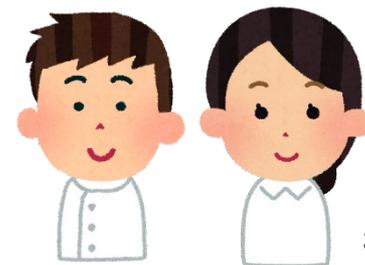
- 治験は研究を伴うこと。
 - 治験の目的、「くすりの候補」の使用方法、検査内容、参加する期間。
 - 「くすりの候補」の期待される効き目と、予想される副作用などの不利益。
 - 治験に関連して健康を害することがおきた場合、必要な治療が行われること、およびその場合の補償。
 - 治験への参加は自由意思によるものであり、いつでもやめることができること、不参加の場合でも不利益は受けないこと。
 - カルテや検査結果などの診療記録を、治験を依頼した製薬企業の関係者、国の機関（厚生労働省など）、治験審査委員会の担当者が閲覧できること。
 - 患者さんの氏名など、個人を特定できる情報はわからないようにし、患者さんのプライバシーは守られること。
 - 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。

目次

- 日本製薬工業協会（製薬協）について
- 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**
- 治験データのその後：「添付文書」について
- 患者・市民参画（PPI）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ず、一番大切なのは、患者さんからの申し出です。
- 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、製薬企業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)



目次

- 日本製薬工業協会（製薬協）について
- 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
- **治験データのその後：「添付文書」について**
- 患者・市民参画（PPI）について

治験データのその後：「添付文書」

参考 改正記載要領に基づく添付文書の様式イメ

「添付文書」とは、患者さんの安全を確保し、医薬品の適正使用を図る上で、最も基本的で重要な公的文書です。

**2022年322月改訂（第322版）C/D
 剤 法：
 有効期間：
 薬効分類名
 一般的名称、基準名又は日本薬局方で定められた名称
 規制区分
 処方箋医薬品^(B)
 (注) 注意—医師等の処方箋により使用すること

承認番号	A 剤
承認番号 2022年322号	2022年322号

身体の中の薬の動きについて

1. 警告

2. 禁忌（次の患者には投与しないこと）

3. 組成・性状
3.1 組成
＜表形式＞
3.2 製剤の性状
＜表形式＞

4. 効能又は効果

5. 効能又は効果に関連する注意

6. 用法及び用量

7. 用法及び用量に関連する注意

8. 重要な基本的注意

9. 特定の背景を有する患者に関する注意
9.1 合併症・既往歴等のある患者
9.2 腎機能障害患者
9.3 肝機能障害患者

9.4 生殖能を有する者

9.5 妊婦

9.6 授乳婦

9.7 小児等

9.8 高齢者

10. 相互作用
10.1 併用禁忌（併用しないこと）

薬剤名等	臨床症状・措置方法	機序・危険因子

10.2 併用注意（併用に注意すること）

薬剤名等	臨床症状・措置方法	機序・危険因子

11. 副作用
11.1 重大な副作用
11.1.1 ○○
11.2 その他の副作用

	○%以上	0.1～○%未満	0.1%未満	頻度不明

12. 過量投与

13. 適用上の注意

14. 適用上の注意

15. その他の注意
15.1 臨床使用に基づく情報
15.2 非臨床試験に基づく情報

16. 薬物動態
16.1 血中濃度
16.2 吸収
16.3 分布
16.4 代謝
16.5 排泄
16.6 特定の背景を有する患者
16.7 薬物相互作用
16.8 その他

17. 臨床成績
17.1 有効性及び安全性に関する試験
17.2 製造販売後調査等
17.3 その他

18.2 ○○作用

19. 有効成分に関する理化学的知見

20. 取扱上の注意

21. 承認条件

22. 包装

23. 主要文献

24. 文献請求先及び問い合わせ先

25. 保険給付上の注意

26. 製造販売業者等

副作用について

臨床成績について

治験で得られたデータは、このような形式の「添付文書」としてまとめられ、医薬品の適正な使用に日々役立てられています。

目次

- 日本製薬工業協会（製薬協）について
- 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
- 治験データのその後：「添付文書」について
- **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、製薬企業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。



本日のまとめ



- 治験とは、患者さんたちのご協力のもと、「くすりの候補」の効き目や副作用を確認することです。
- 患者さんの人権や安全を守るため、様々な法が整備され、そのルールのもとで治験は実施されます。
- 最近では、治験に参加するだけでなく、治験の計画段階から患者さんが参画する動きも活発化してきています。

私たちは患者さんとOne Teamです

医師

治験コーディネーター

看護師

規制当局

薬剤師

製薬会社



患者さん

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、規制当局、製薬企業、全員がチームとなって治験を進めています！

**ご清聴
ありがとうございました！**

