

アカデミアにおける  
臨床研究・治験に関する  
薬事の基礎と実例

文部科学省橋渡し支援推進プログラム  
薬事専門家連絡会

2012年2月1日改訂

はじめに

最近、再生医療などに対する国民の関心と期待の拡大に伴い、大学や研究機関から創出される医学や健康に関する非常に多彩で優れた研究成果に対して、迅速な臨床応用・実用化を求める声が強くなってきています。これを受けて“橋渡し研究”（トランスレーショナル・リサーチ）のインフラの整備や実用化プロジェクト推進を目的として、2007年より文部科学省の「橋渡し研究支援推進プログラム」が実施されています。本プログラムで選出された全国7拠点では、最近、急激に変革し多彩となっている医療技術実用化のためのプロセスや制度およびその規制、すなわち医師主導治験や高度医療評価制度、ヒト幹細胞臨床研究ほか各種指針などに対応して、遅滞なく実用化・産業化を進めることができるような体制の構築が進められてきました。このプログラムの中で、各拠点の薬事を担当する専門家たちが、情報や経験を共有し、協力し合ってアカデミア発シーズの橋渡しにおける障壁を取り払うことを目的に、「薬事専門家連絡会」を立ち上げました。

薬事専門家連絡会では、橋渡し研究機関での臨床開発に必要な薬事上の最新の知識・情報を整理するとともに、橋渡し研究のスペシャリストを育成するための教材としても使えるようにとテキストを作成し、2011年2月1日「アカデミアにおける臨床研究・治験に関する薬事の基礎と事例」講習会を大阪市で開催しました。そのテキストおよび講演内容をベースに、このたび、開発薬事に関連する最近の動き、特にPMDAの薬事戦略相談の開始と確認申請の廃止についての情報などを盛り込んで、改訂版を作成しました。アカデミアの皆様の医薬品、医療機器、再生医療、体外診断用医薬品などの臨床開発において、薬事関係の基礎知識の整理にお役立ていただくとともに、学生や若手研究者の教育にご利用いただければ幸いです。

2012年2月1日

文部科学省橋渡し研究支援推進プログラム

薬事専門家連絡会

大阪大学医学部附属病院未来医療センター 名井 陽

東京大学医学部附属病院 TRセンター 安藤 剛

## 薬事連絡会構成メンバー

- 稲 毛 富士郎 (北海道臨床開発機構臨床情報管理部)  
林 宏 至 (北海道臨床開発機構臨床情報管理部)  
中 村 宏 治 (北海道臨床開発機構 TR 推進部)  
菊 地 克 史 (東北大学未来医工学治療開発センター)  
嶋 澤 るみ子 (東北大学未来医工学治療開発センター)  
浅 田 隆 太 (東北大学未来医工学治療開発センター)  
高 柳 泰 (東北大学未来医工学治療開発センター)  
安 藤 剛 (東京大学医学部附属病院 TR センター)  
小 池 恒 (東京大学医学部附属病院 TR センター)  
長 村 文 孝 (東京大学医科学研究所附属病院)  
伊 藤 達 也 (京都大学医学部附属病院探索医療センター)  
遠 藤 佳代子 (京都大学医学部附属病院探索医療センター)  
名 井 陽 (大阪大学医学部附属病院未来医療センター)  
松 山 晃 文 (大阪大学医学部附属病院未来医療センター)  
山 地 学 (大阪大学医学部附属病院未来医療センター)  
國 枝 卓 (先端医療振興財団クラスター推進センター)  
池 田 年 仁 (先端医療振興財団クラスター推進センター)  
和 田 治 郎 (先端医療振興財団クラスター推進センター)  
鯉 渕 靖 (先端医療振興財団クラスター推進センター)  
金 谷 朗 子 (九州大学病院高度先端医療センター)  
内 山 麻希子 (九州大学病院高度先端医療センター)

## 初版からの主な改訂部分

### 第1章

- ・なし

### 第2章

- ・なし

### 第3章

- ・スライド 43：以下の内容を追記

第 21 回以降の高度医療評価会議における会議資料、議事録等は、以下の URL を参照。

<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r9852000008zaj.html#shingi67>

### 第4章

- ・スライド 61～65：薬事戦略相談の項を追加

### 第5章

- ・初版スライド 76（確認申請）の削除

### 第6章

- ・スライド 87,88：体外診断用医薬品の区分-1,2 の追加
- ・スライド 91：薬事規制における区分；届出品目の②に記載した“（平成 17.3.29 告示第 121 号）”を削除  
理由：指定品目の改正があるごとに、新たな告示が発出される可能性があるため。
- ・スライド 93：承認基準外品目に記載した“（平成 17.6.22 薬食発第 0622006 において制定）”を削除  
理由：指定品目の改正があるごとに、新たな告示が発出される可能性があるため。
- ・スライド 100：
  - ①薬事戦略相談を追加
  - ②以下の追加、または変更を行った。
    - ・新医薬品の事前評価相談に、“7. 医薬品事前評価相談（第Ⅱ相/第Ⅲ相試験）
    - ・医療機器、体外診断用医薬品及び細胞・組織利用製品の治験相談等に記載の、“13. 細胞・組織利用製品資料整備”を、“遺伝子治療用医薬品資料整備”に変更した。  
理由：相談区分が改正されたため。

### 第1～6章に係る法律・省令・指針・通知等

- ・2011年2月1日以降に発出された法律・省令・指針・通知等の追記

# 目 次

スライド番号

## 第1章：医師主導治験の進め方 ～医薬品について～

京都大学 伊藤達也・遠藤佳代子

- 医薬品・医療機器の開発から市販まで . . . . . 2
- 医師主導治験の主な流れ . . . . . 3
- 作業内容の具体例 . . . . . 5
- 医師主導治験のまとめ . . . . . 18

## 第2章：医師主導治験の進め方～医療機器について～

(財) 先端医療振興財団 國枝卓・池田年仁・和田治郎・鯉渕靖

- 医療機器に係る医師主導治験の特徴 . . . . . 20
- 医療機器医師主導治験に係る治験相談事例 . . . . . 24

## 第3章：高度医療評価制度 東北大学 菊地克史・嶋澤るみ子・浅田隆太・高柳泰

- 高度医療評価制度の概要・手続き . . . . . 28
- 高度医療評価対象の実例 . . . . . 35

## 第4章：再生医療関連規則（治験） 東京大学 安藤剛・小池恒・長村文孝

- 臨床研究・臨床試験・治験 . . . . . 50
- 確認申請と薬事戦略相談 . . . . . 61

## 第5章：再生医療関連規制（臨床研究） 大阪大学 名井陽・松山晃文・山地学

- 位置づけと関連規制 . . . . . 67
- 「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」 . . . . . 68
- 大臣確認されたヒト幹細胞臨床研究の例 . . . . . 79

## 第6章：体外診断用医薬品と薬事規制

北海道臨床開発機構 稲毛富士郎・林宏至・中村宏治

- 体外診断用医薬品の定義・範囲 . . . . . 82
- 体外診断用医薬品の規制 . . . . . 89

## 第1～6章に係る法律・省令・指針・通知等 九州大学 金谷朗子・内山麻希子

- スライド . . . . . 102

1. 法律・省令・指針
2. 通知等
  - 2-1. 医薬品・医療機器（第1, 2章に対応）
  - 2-2. 高度医療評価制度（第3章に対応）
  - 2-3. 再生医療（第4, 5章に対応）
  - 2-4. 体外診断用医薬品（第6章に対応）