

## 全国治験活性化3カ年計画

平成15年4月30日

文部科学省・厚生労働省

## 1. 「治験」とは

- 新しい医薬品・医療機器（以下「医薬品等」という。）の承認のためには、薬事法に基づく当該医薬品等の有効性・安全性等に関する科学的な見地からの審査が必要であり、このための実証データの収集を目的として、健康な者や患者の協力によって、「医薬品等の候補」をヒトで臨床試験することが「治験」である。（※）
- 一般的に治験には、同意を得た健康な希望者で安全性を確認する「第一相試験」、同意を得た少数の患者で使用量や使用法、効果を調べる「第二相試験」、同意を得た多数の患者で有効性を調べる「第三相試験」等があり、その実施のための基準として、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」（いわゆるGCP基準）が定められている。
- なお、今後、ゲノム創薬やテーラーメイド医療の実現など、創薬をめぐる環境が変化していくことが見込まれている。こうした変化は、医薬品等の治験のあり方に対しても大きな影響を及ぼす可能性があり、今後、こうした創薬をめぐる様々な状況変化に対し、柔軟かつ適切に対応していくことが必要である。

※ 薬事法（昭和三十五年八月十日法律第四百四十五号）（抄）

第二条第七号 この法律で「治験」とは、第十四条第三項（同条第七項、第十九条の二第四項及び第二十三条において準用する場合を含む。）の規定により提出すべき資料のうち臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的とする試験の実施をいう。

## 2. 「治験」の意義

- 医薬品等は、一般的に、疾病に有効であるとともに副作用を伴うものであり、医薬品等の候補について、有効性や安全性等に関するヒトでの臨床試験を行う「治験」は、医薬品等の開発にとって必要不可欠なものである。

○ 近年、日本企業においても、治験を国内より欧米で先行させるケースが増加（「治験の空洞化」）しているが、こうした状況に対して、海外での治験結果を国内での承認審査に活用できるようにすれば、治験の空洞化については特に問題がないのではないか、という指摘がある。

○ しかしながら、我が国における治験の空洞化は、

① 患者にとって、国内での治験が遅れる又は行われないうことにより、最先端の医薬品等へのアクセスが遅れること

② 医療機関や医師等にとっても、最先端の医薬品等へのアクセスが遅れることにより、技術水準のレベルアップが遅れること

③ 製薬産業等にとっては、国内での研究開発力が低下し、さらに治験に係る新しい事業（治験施設支援機関（SMO）や開発業務受託機関（CRO）等）の振興やそれに伴う雇用の創出といった面でマイナスであること

など、我が国の保健医療水準や産業の国際競争力に対してマイナスの影響が大きいものと考えられる。

○ したがって、画期的新薬の開発を促進し、患者に対し迅速に新薬を提供していくためには、我が国における治験環境の充実を図り、新薬の開発に資する魅力ある創薬環境を実現していく必要がある。

### 3. 我が国における「治験」の現状

○ 近年の我が国における治験の状況をみると、治験届出数は、平成9年の新しいGCP基準施行後、承認申請データとしての外国における試験結果の受入を行ったことや薬価引下げ等の影響もあり、10年前と比較して治験届出数が1/3前後と大幅に減少している。特に、初回の治験届については、以前と比較して3割弱に減ってきているところもあり、「治験の空洞化」が顕著である。

○ こうした「治験の空洞化」の原因としては、我が国における治験が欧米と比べ、①治験にかかる時間が長いこと、②治験の質が良くないこと、③治験にかかる費用が高いこと、などが指摘されている。

○ 特に、医療機関から提出された治験症例数が、企業と契約した症例数に満たなかったり、提出されてもGCP基準等の面で不十分なために、そのデータが使用できず、結果的に大きな治験コストを強いられることがあるなど、「スピード」、「質」、「コスト」それぞれの問題点が相互に相まって悪循環となっている面があり、こうした点を改善するための施策の充実が必要である。

- また、近年、治験の実施に際して、SMOやCROを利用するケースが増えて  
いるが、こうした機関は、基本的には治験の円滑な実施や質の確保等に貢献し  
ており、今後、こうした治験関連事業を育成し、治験の質の向上を図っていく  
必要がある。

#### 4. 「治験」の課題

- 治験の「スピード」、「質」、「コスト」の面で欧米諸国と比べて問題が生じてい  
る理由としては、治験を含む我が国の臨床研究環境が、特にアメリカと比べ、  
①実施研究者のインセンティブ、②被験者のインセンティブ、③治験の実施体  
制などの面で、以下のような指摘がある。その他の理由としては、我が国にお  
いては、欧米諸国と比べて医療の環境や習慣に違いがあり臨床研究が進みにく  
いこと、専門領域の医師に指導を受けて治験を実施している一方で、企業内の  
医師不足による内部評価力が低く治験の質に問題があることなどの指摘もある。

##### (1) 実施研究者のインセンティブ

- 我が国の医師は通常の診療業務で多忙であり、治験業務を行う余裕がないと  
いう指摘もあり、こうした中で、治験業務に関する実施研究者のインセンテ  
ィブを向上させることが重要な課題となっている。

- しかしながら、実施研究者のインセンティブに関する現状としては、

- ① 我が国の治験は、企業と医療機関の長が契約を行うことになっており、  
治験に伴う費用についても、企業から医療機関に対して支弁されること  
となっている。しかしながら、こうした企業から支弁された治験の対価  
としての研究費が、実施研究者に十分に配分されなかったり、使途が硬  
直的であったりする医療機関もあるため、実施研究者の経済的インセン  
ティブの向上につなげていない
- ② 治験の実施内容が論文等の公表につながりにくく、また学会等における  
治験に対する学問的な評価が低い
- ③ 医師等の医療関係者の中に、治験の意義等に関する認識が希薄である面  
が見られる

などの指摘もあり、実施研究者のインセンティブの向上に向けた具体的な施  
策の充実が必要である。

##### (2) 被験者のインセンティブ

- アメリカにおいては、無保険者が多く存在し、本来患者が全額負担すべき医療費について、治験を受けることによって無料又は低額となるなど、被験者に対する経済的なインセンティブが働きやすい。
- 一方、我が国においては、被験者の経済的負担の軽減を図る観点から、一般的に交通費相当の支弁が行われているところであるが、国民皆保険制度の中では、患者の医療費負担が小さいため、経済的なインセンティブはそれほど働かない。
- しかしながら、こうした被験者のインセンティブの問題については、
  - ① 新GCP基準によって被験者の同意取得が義務化されたことなどにより、患者のインセンティブの問題に注目が集まることとなったが、実際には、有用性が高いと見込まれる医薬品の候補に関する治験であれば、現状においても、被験者が十分集まっている
  - ② 被験者に対する経済的なインセンティブの議論もあるが、治験の重要性等を十分説明することによって、自発的な協力がより得られるなど、医療関係者や企業、患者サイドなどからの指摘もあり、現状分析等を行い、さらに検討する必要がある。

### (3) 治験の実施体制

- 治験の質やスピードを向上させるためには、医師や治験コーディネーター等治験関係スタッフの充実や治験実施センターの整備など、ソフト・ハード両面での治験の実施体制の強化が重要である。
- 一方、近年、地域レベルでの医療機関における治験ネットワーク化の動きが活発であり、また、診療所も含めた地域の医療機関が治験に取り組む事例が増えているなど、医療機関の治験に対する関心が高まっており、こうした状況を活かしながら、医療機関における治験の実施体制の強化を図っていくことが必要である。

## 5. 国民理解の浸透と患者の権利の尊重

- 治験の実施に際しては、被験者の安全性に最大限の配慮を行うことは当然であるため、その実施基準として、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」が定められている。
- しかしながら、どれだけ安全性に配慮したとしても、被験者への影響を完全になくすことは不可能であり、こうした治験を実施する場合には、その前提とし

て、必要な情報の十分な提供や説明の下での被験者の同意と協力が必要不可欠である。

- また、医師や企業はもちろん、被験者も含めた連携体制が重要であるため、被験者等に対して治験に関する十分な情報開示や情報提供が必要であるとともに、被験者の人権の擁護のために、科学的かつ倫理的観点からの十分な対応と配慮がなされなければならない。
- さらに、治験の実施は国民の理解と協力が不可欠であるため、治験の意義や内容等に関して積極的に普及啓発を行うことにより、治験についての社会的認識を深めていくことが重要である。

## 6. 全国治験活性化3カ年計画

### (1) 治験のネットワーク化の推進

#### ① 大規模治験ネットワークの構築

- 国立高度専門医療センター（国立がんセンター、国立循環器病センター、国立精神・神経センター、国立成育医療センター、国立国際医療センター（平成15年度中に国立長寿医療センター（仮称）が追加）、特定機能病院、臨床研修指定病院などの複数の医療機関をネットワーク化する「大規模治験ネットワーク」を構築し、質の高い治験の症例数を速やかに確保する体制を整備する。
- 具体的には、今後3年間で、国立高度専門医療センター等が中心となって10の疾患群ネットワークを順次形成することとし、各ネットワークの全体的な管理・運営や評価等を実施する総括事務局を設置する。
- ネットワークでは、患者が必要としている医薬品等について、医療機関又は医師自ら実施する治験（いわゆる「医師主導の治験」）または「企業主導の治験」を実施し、患者に対して、質の高い医薬品等を迅速に提供していく。

#### [ 医師主導の治験 ]

- ・ 欧米で標準的な医薬品等でありながら、国内では不採算等のため導入されていない医薬品等について、企業の協力を得ながら、医師自らが治験を行うシステムを導入し、国が事務局の運営費等について支援を行う。
- ・ こうした医師主導の治験の実施により、企業における採算性の低い医

薬品等であっても、信頼性の確保されたデータに基づき、承認のプロセスを経て、最終的に企業による製品販売を通じ、患者への当該医薬品等の安定的な提供に資することとなる。

#### [ 企業主導の治験 ]

- ・企業自らが行う治験については、企業の希望に基づき、治験を希望する治験薬の必要性等を勘案して、企業からの依頼料（研究費）により治験を実施する。

○ なお、実施初年度（2003 年度）においては、患者のニーズや医療機関の体制面の問題等を考慮し、「がん」、「循環器疾患」、「小児医療」の3つの疾患について、ネットワークを構築する。

#### ② オーフアンドラッグ等の治験の推進

○ 個別の施設では症例数が非常に少なく、迅速な治験が困難なオーファンドラッグ等については、大規模治験ネットワークにおいて、特に優先的に治験を実施するとともに、地域レベルでも一定の症例数が確保できるものについては、地域における治験ネットワークに対し、治験の推進を働きかける。

#### ③ 地域ネットワーク等への支援

○ 近年、循環器疾患や感染症等の各疾患群ごとのネットワークや大学病院、地域医師会、地方自治体等を中心としたネットワークなど、地域レベルでの治験に関するネットワーク化の動きが目立ってきている。

○ こうしたネットワークに対して、大規模治験ネットワークの活動を通じネットワーク相互の連携の推進やネットワーク立ち上げに対する指導・助言を行うなど、今後、既存の地域ネットワーク等の意見を十分聴取した上で、国としての支援方策を検討する。

### (2) 医療機関の治験実施体制の充実等

#### ① 治験コーディネーター（CRC）の養成確保

○ 現在、公的機関等における治験コーディネーターの養成研修は、文部科学省、厚生労働省、日本病院薬剤師会、日本看護協会、日本臨床衛生検査技師会の5カ所で実施されており、2002 年度までで既に約 2,500 名の研修修了者がいる。

○ 治験コーディネーターは治験の質の向上に貢献するとともに、被験者の同意に基づく治験業務の中で重要な役割を担うものであり、2005 年度までに、

さらに2,500名（合計5,000名）の研修を実施し、治験コーディネーターの養成を図る。

- このため、治験コーディネーター業務の経験がある受講者については、実地研修の期間を短縮し、その負担を軽減するなど、研修者のレベルに応じた研修方法の弾力化を図ることにより、研修の受入をより円滑にする。
- また、治験におけるSMO等の重要性に鑑み、当該研修については、可能な限り、SMO等の治験コーディネーターに対しても開かれたものとするよう受入の拡大を図る。

## ② 実施研究者等のインセンティブの向上

- 通常の診療業務で多忙である医師をはじめとする実施研究者等のインセンティブの向上を図るため、具体的な方策を検討するとともに、治験の対価としての研究費のより柔軟な使用の可否についても検討する。
- また、治験に関わる業績の評価方法について検討するとともに、学会等に対し、専門医の認定の際に治験に関わる業績を評価すること等について、検討するよう働きかける。

## ③ 医療機関における治験実施施設等の整備

- 医療機関内における被験者のための外来施設及び治験管理センターの充実や設置の促進などを進める。

## ④ 医療関係者への治験に関する理解の促進

- 治験を円滑に進めるためには、医療機関、医師等の理解と協力が必要であることから、治験実施の中心となる実施医療機関の長をはじめ、医師、薬剤師、看護師等の医療関係者に対するGCP基準等の普及啓発等を一層進める。
- このため、学会や関係団体における研修等において、治験に関する研修内容の充実が図られるよう努める。
- また、医療関係者の治験業務に携わる機会の増加や治験業務の重要性の高まりなどについて、医師国家試験や医学教育等においても十分配慮する。

## ⑤ 国立病院等における治験実施体制の充実

- 国立病院・療養所においては、これまで政策医療の4本柱の一つである臨床研究の中に治験を位置づけ、各施設等において治験等への取り組みを行ってきたところであり、これまで専任の治験コーディネーターとして薬剤師等を配置するなど、積極的な対策を講じてきたところである。

- また、国立大学病院においてはこれまで、治験は新しい治療方法の進展をもたらし、医療や医学等の発展に大きく貢献するものであり、高度技術の開発の役割を担う大学病院の社会的使命として位置付け、治験管理センター、治験管理要員の整備など組織体制の充実に努めてきたところである。
- 今後は、各施設における治験の実施状況を踏まえ、必要な改善を図る。

#### ⑥ SMOやCROの育成

- SMOやCROの成長や競争を通じて、治験の質の向上やコストの低下等が図られることが期待される。
- このため、平成14年11月の「SMOの利用に関する標準指針策定検討会報告書」を踏まえ、GCP基準におけるSMOの位置付けや業務内容の明確化を図るとともに、業界団体や関係者の意見を踏まえながら、SMO等を育成するための環境整備について検討を行う。

### (3) 患者の治験参加を支援する施策

#### ① 国民に対する治験の意義等に関する普及啓発

- 治験の促進のためには、国民全体の理解と協力が不可欠であるが、国民の中には、治験を医薬品等の人体実験のような誤ったイメージで捉えていたり、そもそも認識していなかったりする場合が多い。
- 今後、国や地方自治体において、マスメディアや様々な広報媒体を活用して、国民に対する治験の意義や内容に関する広報活動を行うとともに、関係機関・関係団体等においても、シンポジウムの開催など、こうした取り組みを一層進める必要がある。

#### ② 被験者に対する治験の実施状況の事前・事後の情報提供等

- 治験は患者にとって、開発中の最新の医薬品等へのアクセスを可能にするという面がある一方で、肉体的・精神的負担等を自ら進んで引き受けるといったボランティア的側面もある。
- このため、国内における新薬開発状況を網羅的にインターネット等を通じて情報提供し治験薬の最新情報について患者が容易にアクセスできるようにする。
- また、被験者等から、当該被験者が治験を受けた後における治験薬の開発状況や承認状況等について、情報提供すべきという指摘がある。
- 治験薬の開発状況や承認状況等については、企業機密に関することが多く、



また、開発を断念したものを再度別の薬効で医薬品等として申請する場合があるなど紆余迂曲を辿ることや、被験者の連絡先が不明になるケースもあり、被験者に対するあらゆる情報提供を義務化することは困難である。

○ しかしながら、被験者の協力なくして治験の実施は不可能であることから、副作用、他剤との相互作用等についてだけではなく、治験の成果（開発及び承認状況等）についても、被験者に対し正確に情報提供すべきであり、企業に対して、こうした情報提供に努めるよう働きかける。

### ③ 医療機器における治験に関する基準の充実

○ 医薬品については、平成9年に旧GCP基準を改正し、被験者保護等に配慮しながら、省令として新GCP基準を整備したところであり、2002年の薬事法改正を踏まえ、医療機器についても、治験の実施に関する基準の整備充実を図る。

○ その場合には、被験者が被害を受けた際の補償の明確化やインフォームド・コンセントの充実など、安心して国民が治験に参加できる環境を整備する。

### (4) 企業における治験負担の軽減

○ 医療機関と企業が契約の際設定した症例数が確保されることが望ましいが、やむを得ず実施できなかった場合については、翌年度以降に症例を追加して実施することや、精算手続を行い残金の返還が徹底されるよう指導する。

○ 平成16年度に設置される独立行政法人医薬品医療機器総合機構内に、医療機器に関する治験デザインから薬事承認申請までの必要な手続に関する相談窓口を設置するなど、相談体制の充実を図る。

○ 施設間で契約書等の様式が異なっているため、事務手続きが煩雑になるなど治験依頼者の負担となっていることから、「国立病院等治験推進検討会報告書」において提示された統一様式試案や国立大学で開発している治験実施管理システム、治験契約システムを参考とし、施設間での様式の統一化を推進するとともに、契約書、治験実施計画書、症例報告書などの治験に関する情報の電子化についても、汎用的なものを検討し、施設や企業の負担軽減を図っていく。

### (5) 臨床研究全体の推進

○ 治験を推進するためには、臨床研究全体を推進する必要がある。

○ このため、最も有効な治療方法の組み合わせを明らかにするなど効果的、効

率的な保健医療技術の確立に向けた根拠に基づく医療（いわゆるEBM：Evidence-based Medicine）のための臨床研究を推進するとともに、先端的な研究成果について、迅速かつ効率的に実用化を目指すため、トランスレーショナル・リサーチを推進し、その支援体制の整備・充実を図る必要がある。

- 2002年の薬事法改正において、現行の治験届出制度を拡大して、患者に対する安全性や科学性を確保した上で、臨床研究データについても将来的に医薬品の承認申請資料として使用可能とする、いわゆる「医師主導の治験」が制度化されたところであり、医療機器も含め、この制度改正の円滑な施行に努める。
- また、我が国において臨床研究に関係する指針等については、GCP基準や分野ごとの指針がいくつかあるものの、臨床研究全般を対象として、その倫理性や科学性を担保する指針がなく、それが臨床研究の進まない一因との指摘があり、また、被験者の権利擁護についても十分なされていないとの指摘もある。
- このため、厚生科学審議会科学技術部会臨床研究の指針に関する専門委員会において、臨床研究全般を対象とする基本的な指針の策定を検討してきたところであり、その議論を踏まえ、早期に指針を策定するとともに、既存の各種研修会等を活用し、その周知徹底に努める。

## 7. 計画のフォローアップについて

- 本計画の着実な実施を図るため、厚生労働省内に設置されている「医薬品・医療機器産業政策推進本部」において、文部科学省と十分連携しながら、本計画の進捗状況等についてフォローアップを行い、その結果を踏まえ、必要に応じて、柔軟かつ適切な計画の見直しを行う。
- その場合、本計画の進捗状況の公開や有識者等との意見交換会の開催など、外部に開かれたフォローアップに努める。
- さらに、本計画の推進により、治験の実施体制や環境（治験のスピード、コスト、質など）の改善状況を客観的に評価できるよう、医療機関や企業等に対して、治験の実施状況等に関する実態調査や意識調査などを行う。