

事 務 連 絡
令 和 6 年 6 月 5 日

各都道府県衛生主管部（局） 御中

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課

特定臨床研究で得られた試験成績を医療機器及び再生医療等製品の承認申請に利用する場合の留意点・考え方の例示について

臨床研究法（平成 29 年法律第 16 号）の制定時における附帯決議の一つとして「医薬品、医療機器等の開発を推進するため、治験と臨床研究の制度区分と活用方法を明確化して、臨床研究を促進するとともに、臨床研究で得られた情報を、医薬品、医療機器等の承認申請に係る資料として利活用できる仕組みについて速やかに検討すること」とされています。また、医薬品については、「特定臨床研究で得られた試験成績を医薬品の承認申請に利用する場合の留意点・考え方の例示について」（令和 5 年 3 月 31 日厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課事務連絡。以下「医薬品事務連絡」という。）として考え方を示しているところです。

今般、「プログラム医療機器の薬事承認におけるデータ信頼性等の検討事業」（事業代表者：中野壮陸（公益財団法人医療機器センター専務理事））において、承認申請には原則として検証的治験によって得られた試験成績であることが必要であるものの、医療機器（プログラム医療機器を含む。以下同じ。）における特定臨床研究で得られた情報の薬事利活用の該当性については、得られた試験成績による医療機器の評価の可否、根拠資料の保存状況、治験の実施・再現の困難度等も踏まえて個別に判断する必要があるとの見解が示されました。

これを踏まえ、今般、医薬品事務連絡を参考に、再生医療等製品も含め、特定臨床研究で得られた試験成績の薬事利活用の留意点・考え方の例を別添に示しましたので、貴管内の製造販売業者に対して、ご周知いただけますようお願いいたします。

また、本事務連絡は個別の申請事例に基づいた例示であり、全ての申請事例に当てはまるものではなく、今後の検討や知見の集積等に応じて見直すことに留

意してください。

なお、本事務連絡の写しについて、別記の関係団体宛てに発出しますので、念のため申し添えます。

特定臨床研究で得られた試験成績を医療機器及び再生医療等製品の承認申請に利用する場合の留意点・考え方の例

1. 特定臨床研究の承認申請に係る資料としての利活用の可否については、以下の2に示された信頼性の確保に関する留意点・考え方の例に加え、特定臨床研究の実施状況及び特定臨床研究で得られた試験成績の論文化の状況や関連ガイドラインの記載状況等の背景情報も考慮の上、総合的に判断される。特定臨床研究で得られた試験成績の承認申請への利用を検討する場合は、早期にPMDAに相談すること。
2. 特定臨床研究で得られた試験成績を承認申請に利用する場合には、承認申請における当該臨床研究の位置付け等を総合的に考慮した上で求められる信頼性の水準が判断される。特定臨床研究の研究責任医師は、根拠資料の保管を含め、当該臨床研究の適切な実施を確保するとともに、当該研究の信頼性確保の状況について説明できることが必要である。

なお、承認申請に利用される特定臨床研究の試験成績について求められる信頼性の水準を満たしているかは、「適応外使用に係る医家向け医療機器の取扱いについて」（平成18年5月22日付け厚生労働省医政局研究開発振興課長、厚生労働省医薬食品局審査管理課長連名通知）に基づく承認申請である場合を除き、承認申請後に適合性書面調査により確認されることになる。

また、特定臨床研究を実施した医療機関における根拠資料の確認の必要性は、求められる信頼性の水準や申請者又は特定臨床研究の研究責任医師に対する適合性書面調査の結果に基づき判断される。そのため、申請者は研究責任医師との間で適合性調査に関する協力体制を構築していることが望ましい。

具体的に個別の申請事例をもとに、求められる信頼性の水準を満たすための留意点・考え方の一例としては以下のとおり。

- ① 特定臨床研究の研究責任医師が、症例報告書からデータセットの作成、解析及び総括報告書の作成までの過程の適切性並びにデータの信頼性を適切に説明できること。また、申請者が、特定臨床研究で得られた試験成績を医療機器及び再生医療等製品の製造販売承認申請に利用するにあたり、当該手順の適切性並びにデータの信頼性を確認できること。
- ② 特定臨床研究の研究責任医師が、特定臨床研究に用いられる医療機器及び再生医療等製品の保管等が適正に行われていることを適切に説明でき

ること。

- ③ モニタリングの方法については、リスク及び実施可能性に応じて、オンサイトモニタリング、オンサイトモニタリングと中央モニタリングの組合せ、又は中央モニタリングを選択することができるが、いずれの場合であっても、特定臨床研究の研究責任医師が、そのモニタリングの方法を選択した妥当性を適切に説明できること。
 - ④ 監査の実施の必要性及び方法については、リスク及び実施可能性に応じて選択することができるが、いずれの場合であっても、特定臨床研究の研究責任医師が、その監査の実施方法を選択した妥当性を適切に説明できること。
 - ⑤ モニタリング及び監査において実施される原資料の直接閲覧は必ずしも全症例を対象とする必要はないものの、特定臨床研究の研究責任医師が、リスクや実施可能性に応じて、原資料の直接閲覧の対象として抽出した症例及び項目等の妥当性を適切に説明できること。
 - ⑥ 監査を実施する場合は、特定臨床研究の研究責任医師が、当該特定臨床研究から独立した第三者が監査を実施したことを適切に説明できること（例えば、当該特定臨床研究から独立していることが確認できる臨床研究中核病院の研究支援部門等が監査を実施する等）。
 - ⑦ 特定臨床研究の研究責任医師が、対象者保護の観点から、当該特定臨床研究に用いられる医療機器及び再生医療等製品に係る不具合等情報の収集状況及び妥当性を適切に説明できること。
3. 特定臨床研究で得られたデータを利用して承認申請を行う場合には、当該特定臨床研究の研究責任医師が、申請者による試験データの利用が可能となるような適切な患者同意を得ていること。

以上

別記

一般社団法人日本医療機器産業連合会
一般社団法人米国医療機器・I V D工業会
欧州ビジネス協会医療機器・I V D委員会
日本製薬工業協会
日本デジタルヘルス・アライアンス
一般社団法人日本医療ベンチャー協会
A I 医療機器協議会
一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム
公益社団法人日本医師会
日本医学会
公益社団法人日本歯科医師会
一般社団法人日本病院薬剤師会
公益社団法人日本看護協会
一般社団法人日本C R O協会
日本S M O協会
独立行政法人医薬品医療機器総合機構
各地方厚生局