

拡大治験の取扱いについて（企業治験・医師主導治験 SOP 補足事項）

2024年10月1日

東京科学大学病院

ヘルスサイエンス R&D センター

1. 目 的

拡大治験を実施する場合は、GCP 省令、その他関係法令、学内、院内規則等及び企業治験及び医師主導治験標準業務手順書（SOP）に基づき実施すること。本取扱はそれらを補足するものである。

2. 定 義

拡大治験とは、既存の治療において十分に有効な治療方法がなく、すぐに生命を脅かす疾病又は日々の生活に重大な影響がある重篤な疾患の患者に対して、人道的見地から実施される治験のことをいう。

3. 対象範囲

- （1）国内開発の最終段階である治験（以下「主たる治験」）の実施後あるいは組み入れ終了後の実施中の治験の被験薬、被験機器又は被験製品（以下「被験機器等」）であること
- （2）主たる治験に悪影響を及ぼさないことが前提であること
- （3）原則、生命に重大な影響がある疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の被験薬、適応の対象とした被験機器等であること

4. 拡大治験の位置づけ

- （1）GCP 省令が適用される治験の枠内で実施すること
- （2）拡大治験についての治験計画届を事前に PMDA に提出すること

5. 拡大治験の実施に係る検討要請と実施の可否の決定

- （1）拡大治験は、人道的見地から実施される治験であることから、当該主たる治験の治験実施者（医師主導治験にあっては、当該治験を自ら実施する者と当該治験の被験薬を提供している者。以下同じ。）が自発的に実施することを妨げない。
- （2）拡大治験の実施の可否は、当該被験薬又は被験機器等を提供する者（治験依頼者）が決定する。
- （3）医師主導治験として実施する場合には、自ら治験を実施する者が被験薬又は被験機器等の入手可能性を踏まえた上で決定する。
- （4）安全性確保の観点から、患者の主治医が治験実施者に拡大治験の実施を要望する。
- （5）治験実施者は、拡大治験実施の要望があったが、実施できない場合には、主治医にその理由を分かり易く説明するものとする。
- （6）拡大治験が実施できないと判断され、その回答に納得できない場合、主治医は、厚生労働省に対し同省様式 2 による検討依頼書に治験実施者から受けた同省様式 1 による回答を添えて提出し、同省未承認薬等検討会議において検討要請することができる。

6. 治験実施計画書

- （1）主たる治験の実施計画書を基に作成されることを前提とし、主たる治験の実施計画書のうち、安全性の確認に主眼を置いて変更を加え作成すること。なお、有効性に係る検査項目等は安全性確保に支障がない範囲で簡略化又は省略化することができる。
- （2）拡大治験の実施計画書の作成に当たっては、必要に応じて PMDA の治験相談等を利用することができる。

- (3) 原則として、拡大治験の要望を受けてから実施を検討するものであるが、特例として拡大治験実施の社会的要請度が高いと想定される医薬品の場合、主たる治験の実施計画書の作成段階から拡大治験の実施可否等の検討をすることが望ましい。

7. 対象患者

実施済みあるいは実施中の組み入れ基準の各項目に関して、組み入れ基準を緩和しても医学・薬学的に許容可能であると判断される患者に限定する。

8. 拡大治験を実施する者

主たる治験を実施したあるいは実施中である、治験責任医師又は分担医師により実施することを原則とする。

9. 費用負担

- (1) 被験者に治験の費用負担がある場合には、説明文書に記載し十分な説明を行い、同意を取得すること。
- (2) 被験薬又は被験機器等の製造、運搬、管理及び保存等に係る費用、同種同効薬の費用、検査、診断、手術又は処置等に係る費用など治験の実施に必要な費用：(医薬品にあっては薬価を超えない範囲において、) 被験者に応分の負担を求めることができる。
- ただし、負担額とその積算に係る考え方について、厚生労働省に報告すること。
- (3) 被験者負担軽減費：支給は必ずしも必要ではない。

10. 実施期間

原則として、当該医薬品、医療機器又は再生医療等製品が承認/不承認/申請取下げ/開発中止された時点で終了とする。

11. 補償

GCP 省令に基づき適切な補償措置を講ずること。

12. その他

- (1) 企業主導による拡大治験においては、治験依頼者の負担軽減に協力すること。
- (2) その他運用の詳細は、「人道的見地から実施される治験の実施について」(令和6年9月13日付通知 厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長 医薬薬審発 0913 第2号)及び「医療機器及び再生医療等製品における人道的見地から実施される治験の実施について」(平成28年7月21日付通知 厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課長 薬生機審発 0721 第1号)に従うこと。
- (3) 本院での実施手順は、SOP 及び本取扱に従い実施すること。

○付 記

(参考) 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構：人道的見地から実施される治験について
<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0016.html>

厚生労働省様式（５（６）関係）：医薬品

（別紙様式１）

人道的見地から実施される治験への参加に係る企業見解

（ 主治医の氏名 ） 宛

令和○年○月○日

管理番号	「欄外右上に記載の提出日（西暦８桁の数字）＋任意のアルファベット４文字」により提出者が決定して記載する 例）20151225MHLW、20151225phar、20151225AbCd
------	--

1. 実施希望を受けた品目に関する情報
① 製造販売業者名：
② 治験成分記号：
③ 医薬品名（一般名又は販売名）：【決定している場合】
④ 開発中（主たる治験）の適応疾患名：
2. 実施できない理由等
① 各事由への該当性 （該当するもの全てにチェックする）
☐ 制度該当性事由 （既存の治療法に有効なものが存在する、又は生命に重篤な影響がある疾患ではない）
☐ 絶対事由 （被験薬の供給に余裕がない等）
☐ 時期的事由 （主たる治験の組入れ期間中等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれあり）
☐ 個別事由 （患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から拡大治験への参加が勧められない等）
☐ その他
② 理由 （事由ごとに詳細な理由をわかりやすく記述する）

連絡先	氏 名：
	所属名：
	住 所：〒
	連絡先：電話：
	E-mail：

(別紙様式2)

人道的見地から実施される治験への参加に係る検討依頼書

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課 宛

令和〇年〇月〇日

管理番号（企業見解に記載の番号を記載する）

1. 実施希望品目に関する情報 （企業見解に記載の内容を参考に記載する）	
① 製造販売業者名：	
② 治験成分記号：	
③ 医薬品名（一般名又は販売名）：【決定している場合】	
④ 開発中（主たる治験）の適応疾患名：	
2. 他の既存の治療薬・治療法では不十分であるとする理由等	
① 疾患名：	
② 現治療又は既承認薬による治療では不十分な理由等	
	1) 現治療又は既承認の治療薬の名称：
	2) 治療効果が不十分又は適用できない理由：
③ 主たる治験に参加できない理由：	
④ 人道的見地から実施される治験を行う必要があるとする科学的根拠 （正規の医薬品の評価・承認審査期間が待てない理由、当該被験薬による治療による便益がリスクを上回ると考える理由を記載する）	

依頼医師 氏 名：	_____
所属医療機関名：	_____
住 所：〒	_____
連絡先：電話：	_____
E-mail：	_____

(注) 治験実施者から受けた別紙様式1による回答を添えて厚生労働省に提出すること。

厚生労働省様式（５（６）関係）：医療機器又は再生医療等製品

（別紙様式１）

人道的見地から実施される治験への参加に係る治験実施者見解

（ 主治医の氏名 ） 宛

令和○年○月○日

管理番号	「欄外右上に記載の提出日（西暦８桁の数字）＋任意のアルファベット４文字」により提出者が決定して記載する 例）20151225MHLW、20151225phar、20151225AbCd
------	--

1. 実施希望を受けた品目に関する情報
① 治験実施者名：
② 治験識別記号：
③ 製品名：【決定している場合】
④ 開発中（主たる治験）の適応疾患名：
2. 実施できない理由等
① 理由 （該当するもの全てにチェックする）
☐ 患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高く、安全性の観点から被験機器等の使用が勧められない等
☐ 既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重大な影響がある重篤な疾患ではない
☐ 主たる治験の組入れ期間中である等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれがある
☐ 承認を申請する予定の使用目的、効果、効能又は性能を外れる使用方法である
☐ 被験機器等の供給や、治験実施医療機関の体制に余裕がない等
☐ その他
② 理由の詳細 （①の理由ごとに詳細な理由をわかりやすく記述する）

連絡先	氏 名：
	所属名：
	住 所：〒
	連絡先：電話：
	E-mail：

(別紙様式2)

人道的見地から実施される治験への参加に係る検討依頼書

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課 宛

令和○年○月○日

管理番号（企業見解に記載の番号を記載する）

1. 実施希望品目に関する情報（治験実施者見解に記載の内容を参考に記載する）

① 治験実施者名：

② 治験識別記号：

③ 製品名：【決定している場合】

④ 開発中（主たる治験）の適応疾患名：

2. 既存の治療法では不十分であると考ええる理由等

① 疾患名：

② 現在の治療法では不十分な理由等

1) 現治療又は既承認の治療薬、治療機器等の名称：

2) 治療効果が不十分又は適用できない理由：

③ 主たる治験に参加できない理由：

④ 人道的見地から実施される治験を行う必要があるとする科学的根拠
（正規の医療機器等の評価・承認審査期間が待てない理由、当該被験機器等による治療による
便益がリスクを上回ると考える理由を記載する）

依頼医師 氏 名：

所属医療機関名：

住 所：〒

連絡先：電話：

E-mail：

（注）治験実施者から受けた別紙様式1による回答を添えて厚生労働省に提出すること。