

○医師主導治験または臨床試験の研究開発提案の際の要件について（一部非臨床試験を含む）（案）

日本医療研究開発機構（以下、AMED）では、実用化を目指した臨床研究を推進していくこととしております。そのうち、革新的な医薬品や医療機器の創出を念頭に置いた医師主導治験や臨床試験及びそれらを目指した非臨床試験^註を行う研究については、研究開発提案時、医師主導治験または臨床試験開始時等のそれぞれの開発段階において、適切な資料の用意及びAMEDへの提出を研究開発者に対し求めることにしました。

そのうち、主に研究開発提案時に提出を求める資料を中心に、以下に整理しました。（別表参照）

ただし、医師主導治験と臨床試験以外の臨床研究においては、新しい医薬品や医療機器の創出を目的としていないものや新しい医療技術の評価、通常の承認プロセスと異なるものなどがあります。そのような研究については、これにあてはまらないものもあります。それらについては、それぞれの研究内容に応じて、AMED側でPD、PS、POと相談し、適時、適切な資料の用意及び提出を求めます。

註）非臨床試験とは、医薬品等候補選定の最終段階以後に実施される薬理学試験、毒性試験、薬物動態試験等を、主に念頭に置いている。

1）工程表（ロードマップ）

研究開発提案から新医薬品・医療機器・再生医療等製品承認（企業への導出等）または新効能追加等の出口までの全体のスケジュールがわかる工程表を作成し、研究開発提案する研究がその中でどの位置づけになるかを明示してください。

2）医師主導治験または臨床試験実施計画書

新医薬品・医療機器・再生医療等製品承認（企業への導出等）または新効能追加等の出口を見据えた開発・実用化研究（一部非臨床試験を含む）においては、研究開発提案時点において医師主導治験または臨床試験実施計画書が作成されていることが最も望ましく、その計画書において試験全体の工程表及び実現可能なマイルストーンが明記されている必要があります。また、研究開発提案時点で、医師主導治験または臨床試験実施計画書が完成されていない場合においても、プロトコールコンセプト^{※1}は必須です。

※1 医師主導治験または臨床試験実施のための計画が研究者や研究組織内で

のコンセプトの段階においては、完成された医師主導治験または臨床試験実施計画書の提出が難しい場合もあります。その場合には、以下の項目を含むプロトコルコンセプトを提出していただきます。

プロトコルコンセプトについては、目的（主要評価項目を含むこと）、背景及び試験計画の根拠（対象、対象に対する標準治療、治療計画設定の根拠）、患者選択基準、効果判定と判定基準、統計的事項（主たる解析と判断基準、目標症例数の算定／設定根拠、登録期間・追跡期間）、研究実施体制に関する記載があること。

3) 薬事戦略相談

新医薬品創出のための承認申請を目指した臨床試験（治験）は省令 GCP に基づき実施する必要があります。非臨床試験の段階であっても新医薬品の創出を見据えた安全性試験等においては、GLP に基づき信頼性を担保した上で実施することが必要となります。また、再生医療等製品、医療機器を含めて、承認申請時に必要となる資料について、十分な理解の下で試験を遂行する必要があります。

実用化段階に移行する研究課題（薬事戦略相談において対象範囲^{※2}となる研究課題）においては、研究課題の採択条件として、原則採択後 1～2 年目^{※3}に PMDA の実施する薬事戦略相談（対面助言）を受けていただくこととなります。採択前に既に薬事戦略相談（対面助言）を受けている研究課題については、研究期間中に必要に応じて再度受けることでも差し支えありません。なお、本公募に対する申請時点までに薬事戦略相談（対面助言）を受けていることは必須ではありませんが薬事戦略相談（対面助言）を受け、その相談結果を研究計画に反映させていることが望まれます。

※2 薬事戦略相談に関する実施要綱（平成 26 年 11 月 21 日付）「2. 相談区分とその対象範囲」の項を参照

※3 臨床試験（治験）を対象とした研究課題については、「治験開始前まで」の実施を求める。

4) 生物統計学の専門家／試験統計家／生物統計学者の関与

医師主導治験または臨床試験を行う際、症例数の設定根拠がその試験の成功に極めて重要な役割を示します。試験全体の計画および解析においては生物統計家（特に臨床試験・治験に参画した実績をもつことが望ましい）の関与は必須であり、申請時点で明記することが望まれます。研究開発提案がコンセプトの段階である場合においても、生物統計家の関与について記載していただく必要が

あります。

5) 知財担当者及び知財・成果導出に向けた戦略

新医薬品・医療機器・再生医療等製品承認（企業への導出等）の為の医師主導治験または臨床試験においては、研究開発提案時点で知財担当者の有無に関する記載及び以下の通り知財・成果導出に向けた戦略に関する記載を求めます。

（企業が知財を有する場合は、可能な範囲で記載してください）

(1) 自己技術の状況

・特許出願しているか（している場合には技術内容と特許出願番号の記載、共有特許も含む）

・特許出願する予定があるか（どの技術・成果をいつ頃出願するか）

(2) 関連する他者技術の状況（研究開発提案時には可能な範囲で）

・他者特許の調査結果（調査のキーワードと特許データベースも記載）

・申請シーズとの関連性（自己技術利用の場合の制限等）

(3) 研究成果の企業導出（実用化）に対する方針

・すでに企業と連携しているかどうか（連携している場合は連携している知財の内容と今後の知財の活用方針）

・企業と連携する予定があるか（どの技術・成果をいつ頃知財化して、どのように活用する方針か）

6) 企業との連携状況

新医薬品・医療機器・再生医療等製品承認（企業への導出等）においては、企業との連携が重要です。研究開発提案時点において、試験結果の企業への導出や、企業シーズの場合、治験薬剤入手と安全性情報の入手などを含む企業との連携状況についての有無の記載をしていただきます。

別表

AMEDにおいて求める各種資料の提出時期と内容の整理(医薬品)

	新医薬品等			新効能		倫理指針下の臨床試験 (製販後)
	非臨床試験	医師主導治験		医師主導治験		
		第Ⅰ相(安全性)	第Ⅱ相以降	第Ⅰ相(安全性)	第Ⅱ相以降	
工程表	研究開発提案時に承認取得までの工程やマイルストーンを示した工程表を提出する。	同左	同左	同左	同左	研究開発提案時にガイドライン作成や適応拡大等までの工程やマイルストーンを示した工程表を提出する。
治験実施計画書	研究開発提案時にプロトコールコンセプトを提出する、もしくはマイルストーンにて提出時期を明示する。	研究開発提案時に治験実施計画書、又はプロトコールコンセプトを提出し、治験実施前に治験実施計画書を提出する。	同左	同左	同左	同左
薬事戦略相談 (対面助言)	研究フェーズ・内容に応じた相談(対面助言)を、原則採択後1~2年目に求める。申請時点では必須ではないが受けていることが望ましい。既に実施した相談記録(事前面談の場合はアカデミア側作成の要旨で可)があれば提出する。	研究フェーズ・内容に応じた相談(対面助言)を、原則採択後から治験開始前までに求める。申請時点では必須ではないが受けていることが望ましい。既に実施した相談記録(事前面談の場合はアカデミア側作成の要旨で可)があれば提出する。	同左	同左	同左	—
	主な相談内容	・非臨床試験充足性 ・治験薬等の品質・規格	治験デザイン	・臨床データパッケージ ・治験デザイン	治験デザイン	・臨床データパッケージ ・治験デザイン
応募書に記載する生物統計家の関与についての記載等	—	関与の有無について記載が必要。 関与がある場合は治験デザインに関するコメントを記載する。 関与がない場合はその理由を記載。	同左	同左	同左	同左
生物統計家関与の必要性	必ずしも要しない。	関与すべき場合もある。	関与すべき。	関与すべき場合もある。	関与すべき。	関与すべき場合もある。
知財	知財等の状況・戦略を記載する。					不要
応募書に記載する知財等の状況の項目	自己技術の状況、関連する他者技術の状況、研究成果の企業導出(実用化)に対する方針					
企業との連携	連携状況を記載する。					
治験薬の入手に関する状況	治験薬(対照薬を含む)の入手に関する状況を記載する。	同左	同左	同左	同左	—

AMEDにおいて求める各種資料の提出時期と内容の整理(医療機器)

	未承認の医療機器（使用目的の拡大を含む）			既承認の医療機器（承認範囲内での使用）	
	非臨床試験	医師主導治験		倫理指針下の臨床試験	
		探索的治験	治験(ピボタル試験)		
研究の目標	・製造販売承認の取得（使用目的の拡大を含む）			・新たなエビデンスの構築（標準治療の確立・術式の確立など）	
工程表	研究開発提案時に承認取得への工程やマイルストーンを示した工程表を提出する。（保険収載や標準治療の確立についても簡潔に記載する。）	同左	同左	研究開発提案時に、試験の位置付けを明確にし、出口戦略(今後の治験実施予定、企業連携、製造販売承認、保険収載)を示した工程表を提出する。	
実施計画書	研究開発提案時にプロトコールコンセプトを提出する、もしくはマイルストーンにて提出時期を明示する。	研究開発提案時に治験実施計画書、又はプロトコールコンセプトを提出し、治験実施前に治験実施計画書を提出する。	同左	研究開発提案時に治験実施計画書、又はプロトコールコンセプトを提出し、治験実施前に治験実施計画書を提出する。	
規制当局との相談等	研究フェーズ・内容に応じたPMDA相談を適時求める。申請時には既に実施した相談記録(事前面談の場合はアカデミア側作成の要旨で可)があれば提出する。	同左	同左	以下について規制当局と相談を進めている場合は、その状況を記載する。 ・先進医療制度の活用	
タイミング	治験開始前	同左	同左	また、施設内の委員会等と相談を進めている場合は、その状況を記載する。	
主な相談内容	・治験の要/不要 ・非臨床試験充足性	・治験デザイン	・治験デザイン ・臨床データパッケージ		
応募書に記載する生物統計家の関与についての記載等	—	関与の有無について記載。関与がある場合は治験デザインに関するコメントを記載する。関与がない場合はその理由を記載	同左	同左	同左
生物統計家関与の必要性	必ずしも要しない。	関与すべき場合もある。	関与すべき。	関与すべき場合もある。	関与すべき場合もある。
知財	知財等の状況・戦略を記載する。			必要に応じて知財等の状況を記載する。	
知財等の状況の項目	自己技術の状況、関連する他者技術の状況、研究成果の企業導出(実用化)に対する方針			-	
企業との連携	連携状況を記載する。		以下について記載する。 ・共同研究契約、覚書の有無 ・安全性情報の管理体制 ・不具合発生時の対応・責任	連携がある場合、その状況を記載する。	
治験機器の入手・提供に関する状況	治験機器(対照機器を含む)の入手に関する状況を記載する。			-	