

(別紙1)

新医薬品及び生物学的製剤等¹⁾の治験相談の区分及び内容

1. 医薬品手続相談

医薬品の承認申請のための臨床試験に関する手続き等について相談をうけ、関連諸法令、通知等に基づき、指導及び助言を行うもの。データの評価を行うものは該当しない。

- 例) ・治験を開始するために必要な手続き
・治験計画届に添付が必要な資料の種類について
・販売名の妥当性について (後発医療用医薬品の相談を含む)

2. 医薬品拡大治験開始前相談

相談時まで得られている安全性情報等に基づき、相談者が被験者の安全確保に支障がないと判断した拡大治験のために、主たる治験²⁾から変更される以下の内容に関して、指導及び助言を行うもの。

- 1) 主たる治験²⁾から拡大治験のために変更される選択・除外基準
- 2) 安全確保に支障のない範囲で省略される検査項目、検査頻度、検査期間等

また、第Ⅲ相試験に有効性評価を目的として設定する選択・除外基準及び検査項目を拡大治験実施時に設定しないことの確認については、医薬品第Ⅱ相試験終了後相談において相談することも可能とします。

3. 医薬品生物学的同等性試験等相談

申請区分の判断や生物学的同等性試験の評価等のように、臨床第Ⅰ～Ⅲ相試験や品質相談・安全性相談に区分されないが、データの評価を行う必要がある案件に関して、指導及び助言を行うもの。

- 例) ・国内製剤と海外製剤の処方が異なる場合の海外データ利用に際しての留意点
・剤形追加に係る医薬品に該当するのか後発医薬品に該当するのか判断
・生物学的同等性試験の評価項目の妥当性
・生物学的同等性試験成績を踏まえ生物学的に同等と判断する妥当性
・臨床データパッケージとは別途、申請電子データの提出範囲の妥当性のみを議論

4. 医薬品安全性相談

薬物動態、薬理、毒性等の非臨床試験に関する事項に特化した相談として、指導及び助言を行うもの。なお、品質と安全性に特化した相談も含む。ただし、原則、別添1-2に規定される医薬品安全性相談(ICH S1B (R1)ガイドラインに係る相談)に該当するものを除く。

- 例) ・発がん性を疑わせる動物実験の評価について
・新添加物の安全性評価について

5. 医薬品品質相談

規格・試験方法、安定性、製造方法等の品質に関する事項に特化した相談として指導及び助言を行うもの。

- 例) ・徐放性製剤、キット製剤など特殊製剤の規格・試験方法

- ・バイオテクノロジー応用医薬品の製造方法の変更に伴う品質の同等性／同質性
- ・バイオ後続品の先行バイオ医薬品との品質の同等性／同質性

6. 医薬品第Ⅰ相試験開始前相談（オーファン以外）

希少疾病用医薬品³⁾を除く医薬品について、初めて薬物を人に適用することの妥当性、第Ⅰ相試験デザイン等について、それまでに得られている品質、安全性試験、薬理試験、薬物動態試験、外国における人に対する使用経験、海外における承認状況及び類似薬等の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。

- 例)
- ・治験薬を人に適用する前に実施しておくべき非臨床試験の種類・内容
 - ・第Ⅰ相試験における開始用量及び用量の増加の方法（抗悪性腫瘍剤を含む）
 - ・外国で行われた第Ⅰ相試験データの利用可能性
 - ・インフォームドコンセント用説明文書の妥当性

7. 医薬品第Ⅰ相試験開始前相談（オーファン）

希少疾病用医薬品³⁾について、初めて薬物を人に適用することの妥当性、第Ⅰ相試験デザイン等について、それまでに得られている品質、安全性試験、薬理試験、薬物動態試験、外国における人に対する使用経験、海外における承認状況及び類似薬等の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。

- 例)
- ・治験薬を人に適用する前に実施しておくべき非臨床試験の種類・内容
 - ・第Ⅰ相試験における開始用量及び用量の増加の方法（抗悪性腫瘍剤を含む）
 - ・外国で行われた第Ⅰ相試験データの利用可能性
 - ・インフォームドコンセント用説明文書の妥当性

8. 医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談（オーファン以外）

希少疾病用医薬品³⁾を除く医薬品について、前期第Ⅱ相試験（少数患者を用いた用量探索の試験）実施計画に特化した相談として、それまでに得られている第Ⅰ相試験成績等の情報に基づき、指導及び助言を行うもの。

- 例)
- ・患者における薬物動態試験で用いるパラメータ設定の妥当性

9. 医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談（オーファン）

希少疾病用医薬品³⁾について、前期第Ⅱ相試験（少数患者を用いた用量探索の試験）実施計画に特化した相談として、それまでに得られている第Ⅰ相試験成績等の情報に基づき、指導及び助言を行うもの。

- 例)
- ・患者における薬物動態試験で用いるパラメータ設定の妥当性

10. 医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談（オーファン以外）

希少疾病用医薬品³⁾を除く医薬品について、第Ⅰ相試験終了後、臨床推奨用量が決定されるまでの段階で、第Ⅱ相試験デザイン等について相談を受け、それまでに得られている第Ⅰ相試験等の成績、外国における人に対する使用経験、海外における承認状況、類似薬等の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。前期第Ⅱ相試験開始前であっても、後期第Ⅱ相試験の試験デザイン等についても相談を行う場合は本区分になる。

- 例) ・第Ⅱ相試験における治験薬の用量
- ・患者に対するインフォームドコンセント用説明文書の妥当性

1 1. 医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談（オーファン）

希少疾病用医薬品³⁾について、第Ⅰ相試験終了後、臨床推奨用量が決定されるまでの段階で、第Ⅱ相試験デザイン等について相談を受け、それまでに得られている第Ⅰ相試験等の成績、外国における人に対する使用経験、海外における承認状況、類似薬等の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。前期第Ⅱ相試験開始前であっても、後期第Ⅱ相試験の試験デザイン等についても相談を行う場合は本区分になる。

- 例) ・第Ⅱ相試験における治験薬の用量
- ・患者に対するインフォームドコンセント用説明文書の妥当性

1 2. 医薬品第Ⅱ相試験終了後相談（オーファン以外）

希少疾病用医薬品³⁾、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品及び医師主導治験による開発品を除く医薬品について、臨床推奨用量の決定後の段階において、当該治験薬の相談としては初めての相談であり、当該治験薬の第Ⅲ相試験の試験デザイン等について、それまでに実施された臨床試験結果、類似薬の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。

また、第Ⅲ相試験に有効性評価を目的として設定する選択・除外基準及び検査項目を拡大治験実施時に設定しないことの確認も可能とします。

- 例) ・用量反応データの評価、臨床推奨用量の妥当性
- ・第Ⅲ相試験における対照薬・エンドポイントの選定、結果の統計処理方法
- ・比較試験以外に行う必要のある試験
- ・インフォームドコンセント用説明文書の妥当性

1 3. 医薬品第Ⅱ相試験終了後相談（オーファン）

希少疾病用医薬品³⁾について、臨床推奨用量の決定後の段階において、当該治験薬の相談としては初めての相談であり、当該治験薬の第Ⅲ相試験の試験デザイン等について、それまでに実施された臨床試験結果、類似薬の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。

また、第Ⅲ相試験に有効性評価を目的として設定する選択・除外基準及び検査項目を拡大治験実施時に設定しないことの確認も可能とします。

- 例) ・用量反応データの評価、臨床推奨用量の妥当性
- ・第Ⅲ相試験における対照薬・エンドポイントの選定、結果の統計処理方法
- ・比較試験以外に行う必要のある試験
- ・インフォームドコンセント用説明文書の妥当性

1 4. 医薬品申請前相談（オーファン以外）

希少疾病用医薬品³⁾、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品及び医師主導治験による開発品を除く医薬品について、臨床開発が終了又は終了間近であり、承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等についてそれまでの臨床試験結果に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。

- 例) ・総括報告書、資料概要の作成方法

- ・承認申請の根拠となり得る臨床試験データが得られているかどうか

1 5. 医薬品申請前相談（オーファン）

希少疾病用医薬品³⁾について、臨床開発が終了又は終了間近であり、承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等についてそれまでの臨床試験結果に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。

例) ・総括報告書、資料概要の作成方法

- ・承認申請の根拠となり得る臨床試験データが得られているかどうか

1 6. 医薬品申請データパッケージ相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品）

(1) 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の開発公募品目の開発者を対象として、当該開発公募品の主たる治験²⁾の試験デザイン等について、それまでに実施された臨床試験結果、類似薬の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。

例) ・主たる治験²⁾における対照薬・エンドポイントの選定、結果の統計処理方法
・インフォームドコンセント用説明文書の妥当性

(2) 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の開発公募品目の開発者を対象として、当該開発公募品の承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について、主たる治験²⁾の結果等に基づき、初めて又は(1)の相談の後に、相談を受け指導及び助言を行うもの。

例) ・総括報告書、資料概要の作成方法

- ・承認申請の根拠となり得る臨床試験データが得られているかどうか

1 7. 医薬品申請データパッケージ相談（医師主導治験による開発品）

(1) 医師主導治験による開発品目について、臨床推奨用量の決定後の段階において、当該治験薬の相談としては初めての相談であり、医師主導治験として実施予定の当該治験薬の主たる治験²⁾の試験デザイン等について、それまでに実施された臨床試験結果、類似薬の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。

例) ・用量反応データの評価、臨床推奨用量の妥当性
・主たる治験²⁾における対照薬・エンドポイントの選定、結果の統計処理方法
・比較試験以外に行う必要のある試験
・インフォームドコンセント用説明文書の妥当性

(2) 医師主導治験による開発品目であり、医師主導治験として主たる治験²⁾を実施した品目について、承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について、それまでの臨床試験結果に基づき、初めて又は(1)の相談を受けた後に、相談を受け指導及び助言を行うもの。

例) ・総括報告書、資料概要の作成方法

- ・承認申請の根拠となり得る臨床試験データが得られているかどうか

1 8. 医薬品製造販売後臨床試験等計画相談

再評価・再審査のため、承認時から行われる臨床試験及び使用成績調査等の他、新たに実施する必要が生じた臨床試験及び使用成績調査等の計画に関する相談として、指導及び助言

を行うもの。

1 9. 医薬品製造販売後臨床試験等終了時相談

次について指導及び助言を行うもの。

- (1) 再評価・再審査のため、承認時から行われていた臨床試験及び使用成績調査の他、新たに実施した臨床試験及び使用成績調査等が終了又は終了間近の段階において申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性に関する場合。
- (2) 承認条件の見直し等について、その可否を速やかに評価し報告書を作成する場合。

2 0. 医薬品追加相談（オーファン以外）

希少疾病用医薬品³⁾、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品及び医師主導治験による開発品を除く医薬品の以下の項目に該当する場合の相談

- (1) 第Ⅰ相試験開始前相談を行った上で第Ⅱ相試験開始前相談以前に行う2回目以降の相談
- (2) 後期第Ⅱ相試験開始前相談を行った上で第Ⅱ相試験終了後相談以前に行う2回目以降の相談
- (3) 第Ⅱ相試験終了後相談を行った上で申請前相談以前に行う2回目以降の相談
- (4) 申請前相談を行った上で、申請までに行う2回目以降の相談

2 1. 医薬品追加相談（オーファン）

希少疾病用医薬品³⁾の以下の項目に該当する場合の相談

- (1) 第Ⅰ相試験開始前相談を行った上で第Ⅱ相試験開始前相談以前に行う2回目以降の相談
- (2) 後期第Ⅱ相試験開始前相談を行った上で第Ⅱ相試験終了後相談以前に行う2回目以降の相談
- (3) 第Ⅱ相試験終了後相談を行った上で申請前相談以前に行う2回目以降の相談
- (4) 申請前相談を行った上で、申請までに行う2回目以降の相談

2 2. 医薬品追加相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品）

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の開発公募品の以下の項目に該当する場合の相談

- (1) 申請データパッケージ相談（1）を行った上で申請データパッケージ相談（2）以前に行う2回目以降の相談
- (2) 申請データパッケージ相談（2）を行った上で申請までに行う2回目以降の相談

2 3. 医薬品追加相談（医師主導治験による開発品）

医師主導治験による開発品の以下の項目に該当する場合の相談

- (1) 申請データパッケージ相談（1）を行った上で申請データパッケージ相談（2）以前に行う2回目以降の相談
- (2) 申請データパッケージ相談（2）を行った上で申請までに行う2回目以降の相談

2.4. 医薬品レジストリ使用計画相談

承認申請又は再審査申請において、特定の品目の有効性及び安全性の評価に当たり、レジストリを活用したい場合に、当該レジストリの使用計画について、活用目的に即した使用の妥当性及び評価項目の充足性等を相談するもの。レジストリを構築済み又はレジストリ構築を計画中は問わない。ただし、別紙10に規定される疫学調査相談に該当するものを除く。

また、本区分は、別添30-2に規定されるレジストリ信頼性調査相談より前に実施するものである。

例)

- ・ 対照群を置いたランダム化比較試験が困難な希少疾患において、当該疾患の有効性評価に当たり、当該レジストリを外部対照として使用することの妥当性及び評価項目の充足性
- ・ 再審査申請に当たり、承認時では検討例数が少なかった特別な患者集団について、有効性及び安全性の評価に当たり、当該レジストリを使用することの妥当性及び評価項目の充足性

なお、当該レジストリを活用した最終的な開発計画全体の妥当性及び詳細な試験デザインの妥当性については、レジストリ信頼性調査相談において信頼性の結果が得られた後に実施される、該当する相談区分において相談することになる。また、医薬品の臨床試験の相に応じた相談区分の中で、レジストリの活用についても相談したい場合は、本区分ではなく、該当する相談区分の中でレジストリの使用計画について相談することも可能である。

注：

- 1) 生物学的製剤、遺伝子組換え技術を応用して製造される医薬品、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律施行令（昭和36年政令第11号）第80条第2項第7号ホの規定に基づき厚生労働大臣の指定する製造管理又は品質管理に特別の注意を要する医薬品（人又は動物の細胞を培養する技術を応用して製造される医薬品、特定生物由来製品）。
- 2) 国内開発の最終段階である治験であり、通常、効能・効果及び用法・用量が一連の開発を通じて設定された後に実施される有効性及び安全性の検証を目的とした治験。
- 3) 優先審査及び優先相談への該当性にかかわらず、希少疾病用医薬品に指定された医薬品。

(別紙 1 - 2)

対面助言日程調整依頼品目の持ち点の計算方法について

1. 持ち点の計算方法

日程調整依頼のあった品目について、次の 2.、3.及び4.のそれぞれの得点の合計点をもち点とします。

2. 相談区分ごとの点数

相談区分ごとの点数は下表のとおりとします。なお、開発計画全体にわたる内容や申請データパッケージの構成等については、相談を行う品目の実際の開発の進行状況に応じた相談区分において相談を受けています。

相談区分	点数
医薬品第Ⅰ相試験開始前相談	10 点
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	3 点
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	8 点
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談、医薬品申請データパッケージ相談（1）	8 点
医薬品申請前相談、医薬品申請データパッケージ相談（2）	10 点
医薬品追加相談	もとの区分の点数 -1 点
上記以外の相談区分（注）	3 点

（注）「上記以外の相談区分」とは医薬品生物学的同等性試験等相談、医薬品安全性相談、医薬品品質相談、医薬品レジストリ使用計画相談をいいます。なお、医薬品手続相談、医薬品拡大治験開始前相談、医薬品製造販売後臨床試験等計画相談及び医薬品製造販売後臨床試験等終了時相談は、随時日程調整を行うため、本表には含まれていません。

3. 予想される申請区分ごとの点数

予想される申請区分ごとの点数は下表のとおりとします。

予想される申請区分	点数
新有効成分を含有するもの	10 点
新医療用配合剤にあたるもの	7 点
新投与経路のもの	7 点
新効能医薬品にあたるもの	4 点
新用量医薬品にあたるもの	4 点
上記以外の区分	1 点

4. その他相談の種類によって加算される点数

相談の種類により加算される点数は下表のとおりとします。

相談の種類	加算点数
新有効成分の国際共同試験に係る相談 (注)	5 点

(注) 次の(1)及び(2)を両方満たす相談を対象とします。開発計画の中に国際共同試験が含まれることのみをもって本加算を行うことはありませんのでご注意ください。

- (1) 日本と日本以外の国で同一のプロトコルに基づき同時期に実施される試験で、原則として第Ⅱ相試験又は第Ⅲ相試験に係る内容を主として検討する相談。
- (2) 相談者があらかじめ提示する実施計画書の案に基づきその具体的な内容を検討できる段階での相談。