

2015年11月11日

「医薬品の臨床試験の実施の基準 に関する省令」一部改正の骨子（案） に対する意見

薬害オンブズパースン会議 代表 鈴木利廣

〒160-0022 東京都新宿区新宿 1-14-4

AM ビル 4 階

電話 03(3350)0607 FAX 03(5363)7080

URL: [//www.yakugai.gr.jp](http://www.yakugai.gr.jp)

1 意見の趣旨

人道的見地からの治験は、医薬品医療機器等法が予定する「治験」に該当しないものであり、これを治験として行うことは同法に違反する。未承認薬への例外的アクセスを許容するコンパッショネートユース制度の導入については、医薬品医療機器等法の改正ないし新たな立法措置が必要である。

現在予定されている人道的見地からの治験制度は違法であり、これを前提とする本省令改正に反対する。

2 意見の理由

(1) 人道的見地からの治験の意義－医薬品承認制度の例外

人道的見地からの治験は、いわゆるコンパッショネートユース制度を日本に導入しようとするものである。コンパッショネートユース制度は、重篤で他に治療のない疾患に苦しむ患者に対して、人道的見地から未承認薬の使用を認める制度である。

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（医薬品医療機器等法）は、「医薬品、医薬部外品、化粧品、医療機器及び再生医療等製品（以下「医薬品等」という。）の品質、有効性及び安全性の確保並びにこれらの使用による保健衛生上の危害の発生及び拡大の防止のために必要な規制を行うとともに、指定薬物の規制に関する措置を講ずるほか、医療上特にその必要性が高い医薬品、医療機器及び再生医療等製品の研究開発の促進のために必要な措置を講ずることにより、保健衛生の向上を図ること」を目的としている。そして、医薬品の製造販売をしようとする者は品目ごとにその製造販売についての承認を受けなければならないとする医薬品承認制度（14条）は、医薬品の有効性及び安全性を確保するための最も基本的な制度であって、医薬品医療機器等法の根幹をなす大原則である。人道的目的のために未承認薬の使用を認めるコンパッショネートユース制度は、本来

この医薬品承認制度に反する、例外措置である。

(2) 骨子案の問題点－未承認薬の使用を拡大し医薬品承認制度を骨抜きにする危険

「人道的見地からの治験参加の骨子（案）」（以下、「人道的治験骨子案」という）は、コンパッションエース制度を日本に導入するにあたり、これを医薬品医療機器等法上の治験として行うものとしている。

医薬品医療機器等法において、「治験」とは、同法の規定により承認申請の添付資料として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とされている（2条17項）。「人道的見地からの治験」は、安全性に関する資料の収集を目的とし、かつ承認申請添付資料として提出が要求されるから、医薬品医療機器等法にいう「治験」に該当するというのが人道的治験骨子案の考え方のようである。

しかし、臨床試験は研究として行われるものであるから、臨床試験においては有害事象に関する情報収集がなされるのが当然であり、これを『安全性に関する資料の収集』と呼ぶとすれば、およそ全ての臨床試験は『安全性に関する資料の収集』を目的とするということが可能である。そしてそれを厚労省が承認申請の添付資料と定めさえすれば「治験」になってしまう、というのが人道的治験骨子案の論理の帰結である。このような解釈は、行政の恣意的判断によって「治験」の範囲を容易に拡大し、未承認薬の使用を認めることを可能とするものであり、医薬品承認制度を骨抜きにする危険性がある。そこで、医薬品医療機器等法が予定している「治験」の実質的内容を検討する必要がある。

(3) 人道的見地からの治験は法が予定する「治験」に該当しない

前述のとおり、医薬品承認制度は医薬品の有効性及び安全性の確保を目的とするものであるから、医薬品医療機器等法が承認申請添付資料として予定している「臨床試験の試験成績に関する資料」とは、医薬品の有効性及び安全性を立証することを目的とする資料である。過去の薬害の教訓に鑑み、医薬品の有効性及び安全性については厳密な科学的立証が要求されており、有効性及び安全性を立証する科学的手法としては、第Ⅰ相、第Ⅱ相及び第Ⅲ相の3相からなる臨床試験によって行う手法が確立しているから、このような臨床試験が、「治験」として医薬品医療機器等法が予定している臨床試験というべきである。そのため、実際に従来は治験はこの手法に則って行われてきた。

しかるに、安全性の資料を得ることのみを目的に、本来の治験の基準を満たさない患者を症例数の限定なく受け入れることを予定する「人道的見地からの治験」は、上記Ⅰ～Ⅲ相試験のいずれにも該当しないものであって、法が「治験」として予定しているものではない。

前述のとおり、コンパッションエース制度は、重篤で他に治療法のない疾患に苦しむ患者に対して、人道的見地から未承認薬の使用を認める制度であって、その目的は患者の治療にある。人道的目的のために有効性・安全性が検証されていない未承認薬による治療を可能とすることは、前述した医薬品医療機器等法の目的(医

薬品等の品質・有効性・安全性の確保、医療上特に必要性が高い医薬品等の研究開発の促進)には含まれないのであり、これを医薬品医療機器等法上の「治験」の概念に組み込むことには、そもそも無理がある。

(4) コンパッショネートユース制度の導入には法律上の根拠が不可欠

人道的治験骨子案には、制度の対象範囲(①新薬の国内開発の最終段階である治験の実施後あるいは実施中に実施する、②主たる治験の実施に悪影響を及ぼさないことを前提とする、③生命に重大な影響がある重篤な疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない未承認又は適応外の治療薬を対象とする)を初めとして、人道的見地からの治験の制度設計が示されているが、制度の実施に際し行くとされるGCP省令の一部改正骨子案には、治験実施者の負担軽減のための規制緩和措置が定められているだけで、人道的治験骨子案に示された制度の適用対象、要件、手続などの具体的内容は全く含まれていない。これは、人道的見地からの治験が医薬品医療機器等法上の「治験」に該当するという考え方を前提に、人道的見地からの治験の具体的制度内容は治験の運用の問題であるとして、法令によらず通達・通知などによって定めることを予定しているものと思われる。

しかし、前述のとおり人道的見地からの治験は医薬品医療機器等法上の「治験」には該当しない。コンパッショネートユース制度は法14条の定める医薬品承認制度の例外となるものであるから、その制度化には法律上の根拠が不可欠である。医薬品医療機器等法上の「治験」に根拠を求めることができない以上、導入に際しては法改正ないし新規立法が必要である。人道的治験骨子案は、医薬品医療機器等法に違反する制度を通達・通知をもって導入しようとするもので、「法律による行政」の原則に反する。

(5) まとめ

以上のとおり、人道的見地からの治験は法2条17項の定める「治験」に該当しない。

医薬品承認制度という、法の定める医薬品行政の大原則の例外となるものである以上、コンパッショネートユース制度をどのような要件の下に認めるのかについては、国会において十分に審議のうえ決定することが必要であり、その導入は医薬品医療機器等法の改正ないし新規立法によらなければならない。

人道的治験骨子案は違法であり、これを前提とする本省令改正に反対する。

以 上