

医薬薬審発 0319 第 1 号
医薬機審発 0319 第 1 号
令和 6 年 3 月 19 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）
厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

「希少がんを対象として自ら治験を実施する者による医薬品の治験によって開発された特定のバイオマーカーに基づき投与される医薬品の承認申請に係る取扱いに関する留意事項」の改正について

「コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品の承認申請に係る留意事項について」（平成 25 年 7 月 1 日付け薬食審査発 0701 第 10 号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知。）に基づき、コンパニオン診断薬等（以下、「CDx」という。）との同時期申請が原則とされている医薬品のうち、希少がんを対象として自ら治験を実施する者による医薬品の治験（以下、「医師主導治験」という。）により開発され承認申請しようとする医薬品であって、当該医薬品の承認申請と同時期に CDx の承認申請を行うことができないものについて、その承認申請に係る取り扱いを「希少がんを対象として自ら治験を実施する者による医薬品の治験によって開発された特定のバイオマーカーに基づき投与される医薬品の承認申請に係る取扱いに関する留意事項」（令和 5 年 2 月 24 日付け薬生薬審発 0224 第 5 号、薬生機審発 0224 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長及び医療機器審査管理課長連名通知。以下、「連名通知」という。）により示してきたところです。

今般、希少がんを対象とした医師主導治験における被験者の組入れ検査において、他の使用目的で承認された体外診断用医薬品又は医療機器（以下、「体外診断用医薬品等」という。）が用いられた場合の取り扱いを整理し、連名通知の記を下記の通り改正しましたので、貴管下関係医療機関及び関係製造販売業者に対する周知徹底及び御指導方よろしくお願いいたします。

なお、本通知の写しについて、別記の関係団体及び独立行政法人医薬品医療機器総合機構宛てに発出するので、念のため申し添えます。

記

1. 対象範囲

本通知の対象範囲は、以下の（１）及び（２）のいずれにも該当し、かつ、（３）又は（４）のいずれかに該当する医薬品が対象となる。本通知に基づいて承認申請ができるかについては、別添の申込書に必要事項を記入の上、事前に医薬品審査管理課に相談すること。

- （１）希少がんを対象として医師主導治験によって得られた臨床試験成績に基づき医薬品製造販売業者が医薬品の一部変更承認申請を予定する医薬品
- （２）体外診断用医薬品等の製造販売業者が対応する CDx の承認申請を同時期に行えない医薬品
- （３）薬事承認されている遺伝子変異解析プログラム等を用いたがんゲノムプロファイリング検査の結果に基づき当該医薬品を使用した場合に、臨床試験の被験者と同等の有効性及び安全性が期待できることが説明可能な医薬品
- （４）上記（１）の医師主導治験における被験者の組入れ検査において、他の使用目的で承認された体外診断用医薬品等が用いられ、当該体外診断用医薬品等又はそれらの代替となる体外診断用医薬品等の検査結果に基づき当該医薬品を使用した場合に、臨床試験の被験者と同等の有効性及び安全性が期待できることが説明可能な医薬品

2. 承認申請に係る取扱い

上記 1. を満たす医薬品については、当該医薬品の一部変更承認申請を CDx の承認申請に先行して行っても差し支えないこと。

ただし、本通知の対象となった場合であっても、適応判定において当該医薬品の CDx として承認されていない体外診断用医薬品等を用いることが許容されるかについては、最終的に医薬品の審査において判断され、当該医薬品の審査報告書に明記されることに留意すること。なお、本通知に基づき一部変更承認申請された医薬品についても CDx が開発されることが基本であるため、当該医薬品の上市後も体外診断用医薬品等の製造販売業者と CDx の開発に向けた協議を継続すること。

別添

希少がんを対象とする医師主導治験により開発された医薬品であって、当該医薬品の承認申請と同時期にCDxの承認申請を行うことができない医薬品に関する相談申込書

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課
審査担当者 宛

会社名	相談者名（出席者名及び所属部署）
連絡先電話番号・FAX 番号・ E-mail Tel () — Fax () — E-mail	希望相談日 第1希望：令和 年 月 日 午前・午後 第2希望：令和 年 月 日 午前・午後 第3希望：令和 年 月 日 午前・午後
対象となる医薬品	
予定される効能・効果	
当該医薬品の投与にあたって使用が想定される遺伝子パネル検査又は医師主導治験への組み入れ時に用いられた体外診断用医薬品等若しくはそれらの代替品の販売名及び承認番号	
使用が想定される遺伝子パネル検査又は他の使用目的で承認された体外診断用医薬品等若しくはそれらの代替品が、主たる臨床試験の組み入れ検査と同等の性能を有していると考えられる根拠	
医薬品医療機器総合機構 新薬審査部との CDx の開発方針に関する相談状況	

別記

公益社団法人 日本医師会
日 本 医 学 会
公益社団法人 日本薬剤師会
公益社団法人 日本歯科医師会
一般社団法人欧州製薬団体連合会
米 国 研 究 製 薬 工 業 協 会
日 本 製 薬 工 業 協 会
欧州ビジネス協会医療機器・IVD委員会
一般社団法人日本医療機器産業連合会
一般社団法人 日本臨床検査薬協会
一般社団法人米国医療機器・IVD工業会