

2025 年 11 月 10 日

No.LFS_003

治験・臨床試験の推進に関する今後の方向性について

執筆者：弁護士 [佐々木郁](#)

I. はじめに

厚生科学審議会臨床研究部会（以下「部会」という。）において、2025年6月30日付で「治験・臨床試験の推進に関する今後の方向性について 2025年版とりまとめ」（以下「本とりまとめ」という。）¹が公表された。2019年に策定された「治験・臨床試験の推進に関する今後の方向性について2019年版とりまとめ」で示された5つの柱に関する厚生労働省のこれまでの代表的な取組は次のとおりである²。

- ①「新薬・新医療機器等の開発」と「診療の最適化のための研究」のバランス： 臨床研究中核病院における臨床研究支援・実施基盤及びネットワーク機能を活用した研究開発基盤の強化、臨床研究中核病院の業務報告の記載事項への診療ガイドラインに結び付いた論文実績の追加等。
- ②人材育成の強化と財政的リソースの効率化： 臨床研究に従事する医師や臨床研究コーディネーター（CRC）、データマネージャー、各種倫理審査委員会の委員等の養成研修、「生物統計家育成推進事業」の実施、連携ネットワーク構築目的の「研究開発推進ネットワーク事業」の実施等。
- ③リアルワールドデータの利活用促進： 国内のレジストリ情報を提供するポータルサイトおよびレジストリ検索システムの運営、臨床研究中核病院におけるデータ品質管理の体制整備等。

¹ <https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001508986.pdf>

² 令和6年9月4日第36回臨床研究部会資料4参照。

④小児疾病、難病等の研究開発が進みにくい領域の取組： 日本医療研究開発機構（AMED）を通じた臨床研究・医師主導治験の支援について、小児疾病領域で別途公募枠設定、希少疾病領域で企業治験の支援。開発支援リストの作成・更新、企業への小児用医薬品開発の要望および支援。

⑤国民・患者の理解や参画促進： 国内のデータベースのjRCTへの統合、検索機能の改善、ユーザーフレンドリーなデータベースの実現に向けた大規模改修の検討等。

一方、ドラッグ・ロスの発生や医薬品の安定供給等の課題に対応し、国民に最新の医薬品を迅速に届けるため、医薬品へのアクセスの確保、創薬力の強化に向けた検討を行うために設置された「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」（令和5年12月26日内閣官房長官決済）が2024年5月に公表した中間とりまとめ（以下「中間とりまとめ」という。）³には、「1. 我が国の創薬力の強化」に向けた課題の一つ、「国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備」に関して、次の施策を推進していくべき旨記載されている。

- ・ ファースト・イン・ヒューマン（FIH）試験⁴実施体制の整備
- ・ 臨床研究中核病院の創薬への貢献促進
- ・ 国際共同治験・臨床試験の推進
- ・ 治験業務に従事する人材の育成支援・キャリアトラックの整備
- ・ 海外企業の国内治験実施の支援
- ・ Single IRBの原則化・DCTの推進・情報公開と国民の理解促進

部会では、2024年9月から翌年6月まで8回にわたり、治験・臨床試験（以下「治験等」という。）の活性化施策に関する基本的な考え方や今後の対応等について議論がなされた。本ニュースレターでは、本とりまとめの「第2 各項目の背景・課題及び今後の対応等」で言及されている項目のうち、企業側の立場から特に着目すべき項目を採りあげて概説する。なお、本とりまとめの「VI. 治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進」の項目の内容は、今後、別稿で採りあげる予定である。

³ <https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/pdf/chuukantorimatome.pdf>

⁴ 第Ⅰ相臨床試験の中でも、動物試験で安全性と有効性が確認された後、ヒトに初めて投与する段階の治験をいう。ドラッグラグ・ロスの根本原因である国内の創薬力の強化において、創薬シーズから第Ⅰ相臨床試験に入る段階のFIH試験の重点支援が重要であると認識されている。

II. 国際競争力のある治験・臨床試験体制の強化

2023年6月9日に公表された「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」の報告書において、同年3月時点の日本製薬工業協会からの情報によると、欧米で承認されているにもかかわらず、国内では未承認の医薬品が143品目あり、このうち、国内で開発未着手となっている医薬品は86品目であり、その内訳は、ベンチャー企業発の医薬品や希少疾病用医薬品、小児用医薬品の割合が比較的多いことが報告された。医薬品の開発において最もコストを要する臨床試験について、日本での臨床試験の費用効率が欧米諸国と比べて比較的低いとの指摘もあり、国際共同治験の国内治験実施施設における国際対応力の強化が課題として認識された。

1. 国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成

臨床研究中核病院から欧米等の先端的な治験・臨床試験を実施する医療機関等への人材派遣の継続、研究計画の立案、契約・調整、治験・臨床試験の実施、治験審査委員会（IRB）での審査等が英語で対応可能な人材の育成等が挙げられている。この施策は、厚生労働省が、①臨床研究・治験従事者研修プログラム、②CRB向上プログラムとして継続して行っており、①について令和7年度から研修の対象がSMO、CRO等の従事者にも拡張され、DCTに関する研修の強化等が加わった。

2. ドラッグ・ロスへの対応

令和6年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」⁵において、欧米では承認されているが国内では承認されていない医薬品のうち国内開発未着手の医薬品（2023年3月時点で86品目）の情報の整理がなされた。その結果、「開発の必要性が特に高い医薬品」（14品目）については、2025年度に医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議において医療上の必要性を判断し、必要性が高いと評価された品目については、国内企業への開発要請ないし開発企業の公募等を行うこととされた。

この点、2025年9月に開催された第65回 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議の資料⁶によると、上記14品目中、既に開発中の2品目と取り下げ等がなされた1品目を除く、同会議において「医療上の必要性が高い」と評価された11品目のうち、2品目は開発要請、6品目は開発公募がなされ、3品目は類薬が開発中のため現時点では開発要請等されていないことが報告されている。

⁵ https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_56135.html

⁶ https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000198856_00043.html

3. 国際共同治験のためのワンストップ相談窓口の設置

国内に開発拠点をもたない海外のスタートアップや企業が、日本での治験実施について英語で完結した相談を行えるワンストップ相談窓口を、国立がん研究センターが中心となり設置し、国立高度専門医療研究センター（NC）・国立健康危機管理研究機構（IHHS）が連携し、臨床研究中核病院の協力の下、国際共同治験の呼び込みを図ることが記載されている⁷。

4. 新規モダリティに対応したヒト初回投与試験（FIH）の体制整備

国立がん研究センターにおいて、GMP準拠治験薬製造機能と研究機能を併設するFIH試験実施施設の整備に向けた仕様設計を行い、国内のFIH試験の中核的な役割を担う体制を整備するとともに、国立成育医療研究センター及びIHHSにおけるFIH試験体制も併せて整備すること、FIH試験施設で従事する人材の育成強化が記載されている⁸。

III. 症例集積力の向上

日本の症例集積性（臨床試験において治験対象となる症例を効率的に集める能力）が諸外国と比較して低いとの指摘がある⁹。本とりまとめでは、各研究機関における症例集積力を向上させるために取り組むべき事項が挙げられている。

1. レジストリ・リアルワールドデータ（RWD）の利活用の促進

電子カルテのデータを精度の高いRWDとして治験等に活用するために、電子カルテ情報の標準化とあわせて、大規模なデータベース、例えば、臨中ネット（Real World Evidence 創出のための

⁷ 令和6年7月に内閣官房健康・医療戦略室が公表した「創薬力向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」中間とりまとめを踏まえた政策目標と工程表（以下「工程表」という。）には、KPIとして令和10年時点でワンストップ窓口への国際共同治験の相談件数年間15件が掲げられている。

⁸ 工程表には、KPIとして令和10年時点で整備した施設での国内FIH試験件数年間15件が掲げられている。

⁹ 日本CTX研究会が公開する2025年9月「国内治験環境の効率化・迅速化に向けた提言」の中で、治験の効率化を妨げる種々のボトルネックが挙げられており、その中にフィージビリティスタディの確度の低さ（データ基盤／レジストリや施設間のネットワークが不十分）、治験サイトが多い反面、施設当たりの症例数が少ないこと（患者が全国に分散）、治験実施可能な医療機関が偏在（疾患領域毎の臨床試験ネットワークなし）等が含まれている。

臨床研究中核病院の情報ネットワーク)の取組¹⁰を進めることが重要であることが述べられている。

なお、製造販売後の調査で活用されている大規模データベースであるPMDAのMID NET（厚生労働省の医療情報データベース基盤整備事業で構築された医療情報データベース）についても取組を進める¹¹。この点、製造販売後の医薬品安全性監視における医療情報データベースの更なる活用を促進するため、「医療情報データベースを利用した調査結果に係る電子化された添付文書への記載要領の改正について」（令和5年2月17日薬生発0217第1号）、「医療情報データベースを利用した調査結果を電子化された添付文書に記載する場合の留意事項」（令和5年2月17日薬生安発0217第1号）、「『医薬品安全性監視における医療情報データベースの活用とその事例』について」（令和5年6月9日事務連絡）が厚生労働省から発出されている。

また、遺伝子治療薬や分子標的薬等の治験等の実施においてゲノム情報を含むデータベースの活用が有用であるとして、ゲノム情報の収集とデータベース構築を図ることが記載されている。この点、2025年5月に開催された第1回データ利活用・ライフコース協議会（令和7年5月9日健康・医療戦略推進会議決定）の厚生労働省の提出資料¹²によると、2022年9月策定の全ゲノム解析等実行計画の下、「全ゲノム解析等に係るAMED研究班」は、厚生労働省が国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部内に設置した事業実施準備室と連携し、がんや難病患者を対象とした全ゲノム解析及びマルチオミックス解析等を実施することで得られる全ゲノムデータ、マルチオミックスデータ、臨床情報等を搭載した質の高い情報基盤の構築に取り組んでおり、2025年3月17日時点のがん・難病データ格納症例数は累計31,078と報告されている。

既に学会や民間主導で整備されているレジストリやデータベースがあるが、患者・アカデミア・医療機関が一体となるネットワークを構築し、RWDの活用の課題の検証や、活用事例の集積等を行うなど、引き続きその利活用の促進を図ることが記載されている。この点、現在、マイナンバーカ

¹⁰ 全ての臨床研究中核病院を対象とし、病院内の診療情報を二次利用したデータ駆動型臨床研究の実施に向け、病院情報システム内の医療データの品質確保メカニズムの構築と中核病院間でのデータの相互利用に向けた標準化を目指し、各病院がそれぞれ品質保証を実施、研究テーマに合わせて随時求められる形式にのっとったデータを提供する体制の整備に取り組んでいる。

¹¹ MID-NETの本格的な運用の開始（2018年度）前の2017年6月に厚生労働省は「製造販売後の医薬品安全性監視における医療情報データベースの利用に関する基本的な考え方について」を発出した。MID-NETの特徴は、①大規模・迅速な解析（830万人超（2024年12月末時点）のデータを一斉解析可能）、②多様なデータソース（電子カルテ（オーダリング、検査結果等）に加え、レセプト及びDPCデータ等の電子診療情報も格納）、③高いリアルタイム性（定期的なデータ自動更新）、④データの信頼性（継続的かつ網羅的な品質管理）が挙げられる。

¹² https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/data_rikatsuyou/life_course_dai1/siryou2-2.pdf

ードを活用したオンライン資格確認等のネットワークを基盤に、電子カルテ・電子処方箋・健診や予防接種情報・介護情報等を全国規模で共有・活用するための情報基盤として「全国医療情報プラットフォーム」が整備されつつあり、課題とされた各種RWDの連結・統合が推進され、データの二次利用による創薬や治験等の促進につながることが期待されている。

2. クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）構想の進展

CIN 構想は、各ナショナルセンターの疾患登録システム（「レジストリ」）を活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究の体制構築を推進し、我が国の医薬品・医療機器等の開発を促進する取組であり、これまで、レジストリの改修・構築の支援や、レジストリを活用した治験・臨床試験の推進のための取組、ガイドラインの作成等が行われてきた。

具体的には、平成 31/令和元年度に、AMED の CIN 推進拠点事業により、平成 30 年度の同事業内で収集したレジストリ情報を活用して、希少疾病・難病領域や小児領域等のレジストリを保有する機関又は研究者（「レジストリ保有者」）と、そのレジストリを利用したい医薬品、医療機器等の開発を行う者（「開発企業」）とのマッチングが実施された。また、希少疾病・難病領域等に関連する開発企業のニーズに応じたレジストリの改修を含む、レジストリ保有者と開発企業との共同研究の支援が行われた。令和 2 年度以降も、CIN 推進支援事業において、希少疾病・難病域等における開発企業のニーズに応じたレジストリの改修を支援している。また、レジストリの自然歴研究データを治験対照群として承認審査資料に用いることの検討が進んでいる¹³。

本とりまとめでは、現状と課題を整理し、CIN 構想や関連した取組の周知を行い、質の高いレジストリの構築・改修及びレジストリを活用した治験等に対する支援を継続的に行うとされている。

3. DCTを実施可能な体制の整備と効率的な適用・運用方法の模索

分散型臨床試験（DCT）とは、電子署名等による同意（e-consent）¹⁴、オンライン診療、訪問診療・看護、デジタルデバイス等からの患者情報の転送、試験薬の自宅配送等、IoT 技術の駆使により患者が医療機関に来院せず実施できる臨床試験をいう。本とりまとめには、引き続き AMED において DCT を用いた研究を支援していくとともに、これまでに得られた DCT の実施における留意点・手順の周知を行い、DCT の実施体制の向上を図ることが記載されている。

¹³ 令和 7 年度クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）推進支援事業実施主体公募要領「1 背景」を参照。

¹⁴ 厚生労働省は、2023 年 3 月、e-consent に関するガイダンスとして「治験及び製造販売後臨床試験における電磁的方法を用いた説明及び同意に関する留意点について」（令和 5 年 3 月 30 日付薬生薬審発 0330 第 6 号・薬生機審発 0330 第 1 号）を発出した。

この点、国立がん研究センターはDCTの導入を目指す医療機関向けにオンライン治験の実務に必要な手順書、マニュアル、書式等の書類の提供を行い、DCTコンサルテーションを2025年8月から無償で開始している¹⁵。また、現在、厚生科学審議会（医薬品医療機器制度部会）において検討されているGCP省令の見直しの中で、DCTの円滑な実施に向けた治験薬交付の運用等の見直しが検討事項に挙げられている。

IV. 治験・臨床試験手続きの効率化

令和4年度厚生労働科学特別研究事業「国内外の治験をとりまく環境に係る最新の動向調査研究」において、日本の治験環境は、海外と比較して、データ入力や逸脱等のクオリティや、被験者登録数のスピードの面での大きな違いはないが、コスト面での違いが大きいことが指摘され、その解決には、①中央IRBの普及、②治験実施の更なる合理化、③治験費用の算定方法の合理化が必要であると提言された。かかる提言等をふまえて「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」が2024年4月に公表した報告書には、治験の効率化（エコシステム）に向けた対応の方向性として、①中央IRBの利用促進、②治験費用の算定方法の合理化、③治験運用の更なる合理化、が示された。

また、上述のとおり、中間とりまとめには、「国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備」の一環で推進すべき施策の一つとして、「多施設共同治験での単一の治験審査委員会での審査（single IRB）の原則化」が明記された。

これらを背景に、2024年度より厚生労働省とPMDAは連携して、①ICH-E6(R3)の国内導入と、②治験エコシステム導入推進事業に取り組んでいる。

本とりまとめにおいても、一括審査を進めるためのSingle IRB化の推進と、ICH-E6：「医薬品の臨床試験の実施の基準」（GCP）の改定をふまえた治験・臨床試験手続き等の運用の見直しが言及されている。後者に関して、試験の管理について試験目的等に応じた柔軟な考え方を導入すること、必要以上の品質を追求した治験・臨床試験としないことを意識した計画及び運用ができるよう、関係者間で意識醸成を図ることが記載されている。

¹⁵ <https://www.amed.go.jp/news/seika/files/000147822.pdf>

V. 治験コストの透明化の向上

2024年4月に公表された「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」の報告書に示された治験の効率化（エコシステム）に向けた対応の方向性の三本柱の1つが治験費用の算定方法の合理化であった。報告書を受けて、臨床研究・治験推進に関する産官学意見交換会において、海外で広く用いられている FMV（Fair Market Value）¹⁶に基づく治験費用算定の国内への導入に関し、医療機関・治験依頼者双方が納得感を得られる方法について議論された。

本とりまとめには、臨床研究・治験推進に関する産官学意見交換会における議論をふまえて提示された対応の方向性、FMVに基づくタスクベース型の費用算定の国内導入を推進することが反映されている。FMVに基づくタスクベース型の費用算定とは、概要、プロトコル毎に必要な業務毎に、サービスプロバイダーが提供する最新のベンチマーク（市場価格）に基づき、価格を設定し、業務積上型で治験費用案を算定するというものである。

また、今後の対応として、日本の特殊性が少なくなるよう意識し、FMVに基づくタスクベース型の費用算定を導入することが可能な医療機関による継続的な導入、臨床研究中核病院が中心となりモデル事業の実施を通じたノウハウの集積・課題の抽出・解決策の検証を行い、引き続き産官学において議論を継続することが示されている。

VI. おわりに

2025年9月1日、創薬エコシステム育成施策の方針・課題・改善策等についての具体的な内容を検討することを目的として、第1回創薬力向上のための官民協議会ワーキンググループ（WG）が開催された。同WGの議題の柱は、中間とりまとめに沿って、①我が国の創薬力の強化、②国民に最新の医薬品を迅速に届ける、③投資とイノベーションの循環が持続する社会システムの構築の3点とされた。③については同年11月5日付で議論の整理が公表されており¹⁷、①と②については、今後議論を行うことが予定されている。上述のとおり、本ニュースレターで概説した「国際水準の治験・

¹⁶ 米国連邦法令集（the Code of Federal Regulations：CFR）では、適切に情報が開示され、当事者間で独立性や競争性が十分に確保された条件の下、買い手と売り手との間で誠実な交渉の結果としてもたらされた、市場価格に基づく価格、と定義されている。

¹⁷ https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_65597.html

臨床試験実施体制の整備」は、中間とりまとめでは①の対策の一つとして整理されている。同WGにおける議論を注視すると共に、2026年度見込みのGCP省令の改正に向けた議論にも着目したい。

執筆者

弁護士 [佐々木郁](#)（オブ・カウンセル、第一東京弁護士会）

Email: iku.sasaki@aplaw.jp

お問い合わせ先

本ニュースレターに関する一般的なお問い合わせは、下記までご連絡ください。

渥美坂井法律事務所・外国法共同事業 ライフサイエンスチーム

Email: cpg_lifescience@aplaw.jp

当事務所のニュースレターをご希望の方は[ニュースレター配信申込フォーム](#)よりお手続きをお願いいたします。

また、バックナンバーは[こちら](#)よりご覧いただけます。

このニュースレターは、現行の又は予想される規制を網羅的に解説したものではなく、著者が重要だと考える部分に限って、その概要を記載したものです。このニュースレターに記載されている意見は著者個人の意見であり、渥美坂井法律事務所・外国法共同事業（「渥美坂井」）の見解を示すものではありません。著者は明白な誤りを避けるよう合理的な努力は行いましたが、著者も渥美坂井もこのニュースレターの正確性を保証するものではありません。著者も渥美坂井も読者がこのニュースレターに依拠することによって生じる損害を賠償する責任を負いません。取引を行う場合には、このニュースレターに依拠せずに渥美坂井の弁護士にご相談ください。

東京オフィス | Tokyo Head Office

〒100-0011 東京都千代田区
内幸町 2-2-2
富国生命ビル（総合受付：16F）



大阪提携オフィス |

Osaka Affiliate Office

（A&S 大阪法律事務所）
〒530-0005 大阪府大阪市北区
中之島 2-3-18
中之島フェスティバルタワー16階

福岡提携オフィス |

Fukuoka Affiliate Office

（A&S 福岡法律事務所弁護士法人）
〒810-0001 福岡県福岡市中央区天神
2丁目 12-1 天神ビル 10階



ニューヨーク提携オフィス |

New York Affiliate Office

1120 Avenue of the Americas,
4th Floor
New York, New York 10036



ロンドンオフィス | London Office

85 Gresham Street,
London EC2V 7NQ, United Kingdom



フランクフルト提携オフィス |

Frankfurt Affiliate Office

OpernTurm (13th Floor)
Bockenheimer Landstraße 2-4,
60306 Frankfurt am Main, Germany



ブリュッセルオフィス |

Brussels Office

CBR Building, Chaussée de la Hulpe
185, 1170, Brussels, Belgium



ホーチミンオフィス |

Ho Chi Minh Office

10F, The NEXUS building, 3A-3B Ton
Duc Thang Street, Sai Gon Ward, Ho
Chi Minh City, Vietnam

