

2025 年 12 月 3 日

No.LFS_003

关于推进药物临床试验和临床研究的今后方向

作者：日本律师 [佐佐木 郁](#)

翻译：外国法事务律师（中华人民共和国法） [陈 凤琴](#)

I. 引言

日本厚生科学审议会临床研究分会（以下简称“分会”）于 2025 年 6 月 30 日公布了《关于推进药物临床试验和临床研究的今后方向 2025 年版汇总》（以下简称“本汇总”）¹。对于 2019 年制定的《关于推进药物临床试验和临床研究的今后方向 2019 年版汇总》中提出的五大重点领域，厚生劳动省至今为止所开展的主要举措如下²。

① “新药和新医疗器械等的开发”与“为优化诊疗的研究”的平衡：通过利用临床研究核心医院的临床研究支持与实施基础以及网络功能，强化研发基础；在临床研究核心医院的业务报告记载事项中，新增与诊疗指南相衔接的论文成果等内容。

② 强化人才培养与提高财政资源的效率：开展从事临床研究的医师、临床研究协调员（CRC）、数据管理人员、各类伦理审查委员会委员等的培养培训；实施“生物统计学家培养推进项目”；为构建协作网络而实施“研发推进网络事业”等。

③ 促进真实世界数据（Real World Data）的利用：运营提供国内登记体系（registry）信息的门户网站和登记检索系统；完善临床研究核心医院的数据质量管理体系等。

④ 针对难以推进研究开发的领域（如小儿疾病、罕见疾病等）的举措：通过日本医疗研究开发机构（AMED）对临床研究和医生主导的临床试验提供支持，其中包括：在小儿疾病领域设置单独的公开招募名额，在罕见疾病领域提供对企业临床试验的支持；制定并更新开发支援清单，向企业提出儿童用药品开发的请求并提供相关支持。

⑤ 促进国民和患者的理解与参与：推进将国内数据库整合至 jRCT（日本临床试验数据库），改善检索功能，并就实现用户友好的数据库开展大规模改进的研讨等。

另一方面，为应对药品浪费（drug loss）的发生、药品稳定供应等课题，并为了让国民能够迅速获得最新药品，为了研讨“确保药品可及性、加强新药研发能力”，而设立了“通过提升创新药物能力让国民快速获得最新药品的构想会议”（2023 年 12 月 26 日经内阁官房长官决裁设立）。该会议于

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

² 参见 2024 年 9 月 4 日第 36 次临床研究分会资料 4。

2024 年 5 月公布的《中期汇总》（以下简称“中期汇总”）³中，就“1. 加强我国的创药能力”这一主题下的课题之一——“建立符合国际标准的临床试验实施体系”，提出应推进以下措施。

- 完善人类第一（First-In-Human）试验⁴的实施体系
- 促进临床研究核心医院对药物创新的贡献
- 推进国际共同临床试验和临床研究
- 支持从事临床试验相关业务的人才培养与职业路径建设
- 支持海外企业在本国国内开展临床试验
- 推动 Single IRB 的原则化、去中心化临床试验（DCT）的推进、信息公开、促进国民理解

分会自 2024 年 9 月至次年 6 月期间共召开 8 次会议，就促进药物临床试验和临床研究（以下简称“临床试验等”）的相关活性化措施的基本理念及今后的应对方向进行了讨论。本简报将从《本汇总》中“第 2 各项的背景和课题及今后的应对等”所提及的内容中，挑选从企业立场尤其需要关注的项目进行概述。另外，《本汇总》中“VI. 促进国民和患者对临床试验的理解与参与”的部分内容，将于今后以另一篇文章进行介绍。

II. 强化具有国际竞争力的临床试验体系

在 2023 年 6 月 9 日公布的《实现药品快速和稳定供应的综合对策相关专家研讨会报告》中，根据当年 3 月日本制药工业协会提供的信息显示：尽管在欧美已经获批，但在日本国内尚未获批的药品共有 143 个品种，其中日本在国内尚未开始开发的药品有 86 种。此外，据报告，这些未启动开发的药品中，由创业公司开发的药品、罕见疾病用药、小儿用药所占比例相对较高。在药品开发中最为耗费成本的临床试验方面，有意见指出，日本的临床试验在成本效率上相较欧美国家偏低。因此，作为课题，报告认为有必要加强日本国内临床试验机构在国际共同临床试验中的国际应对能力。

1. 培养能够主导国际共同临床试验和临床研究的人才

文件指出，要继续从临床研究核心医院向欧美等开展先进临床试验的医疗机构派遣人才，培养能够用英语开展研究计划制定、合同签约与协调、临床试验实施以及在 IRB（伦理审查委员会）进行审查等工作的人员。这些措施属于厚生劳动省持续推进的① 临床研究和临床试验从业者培训项目、② CRB（临床研究审查委员会）能力提升项目，其中，对于①，计划自 2025 年度起，将培训对象扩大至 SMO（临床试验现场管理机构）、CRO（合同研究机构）等从业者，并新增强化 DCT（去中心化临床试验）相关培训 的内容。

2. 应对“药品浪费（Drug Loss）”问题

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

⁴ FIH（首次人体试验）是指在 I 期临床试验中，在动物试验已确认安全性与有效性之后，首次向人体进行给药阶段的临床试验。在强化国内创药能力这一应对药品研发滞后（Drug Lag）与药品缺失（Drug Loss）根本原因的举措中，已认识到对从创药种子（研发源头）进入 I 期临床试验阶段的 FIH 试验给予重点支持具有重要意义。

在 2024 年度厚生劳动科学特别研究项目“药品浪费的实际情况调查与解决方案构建”⁵中，对欧美已批准但日本国内尚未批准的药品中、尚未在国内启动开发的品种（截至 2023 年 3 月共有 86 个品种）进行了信息整理。其结果显示，对于其中被列为“开发必要性特别高的药品”（14 个品种），计划于 2025 年度在“医疗上必要性高的未批准药品、适应外药研讨会议”上判断其医疗必要性。对于被评估为“必要性高”的品种，将请求国内企业启动开发或面向企业进行开发公开招募。

关于此，根据 2025 年 9 月召开的第 65 次“医疗上必要性高的未批准药品、适应外药研讨会议”的资料⁶报告显示：在上述 14 个品种中，除去已进入开发阶段的 2 个品种及已被撤回处理的 1 个品种之外，在会议上被判断为“医疗上必要性高”的 11 个品种中，有 2 个品种已向企业发出了开发请求，有 6 个品种进行了开发公开招募，有 3 个品种因同类药物正在开发中，目前未进行开发请求或公开招募。

3. 为国际共同临床试验设立一站式咨询窗口

对于在日本国内没有研发基地的海外初创企业或公司，将由国立癌症研究中心为主导，设立一个能够以英语完成日本临床试验相关咨询的一站式窗口。由国立高度专门医疗研究中心（NC）及国立健康危机管理研究机构（JIHS）协同，并在临床研究核心医院的协作下，通过该窗口推动国际共同临床试验的引入⁷。

4. 为应对新型治疗模式而建设人体首次给药试验（FIH）体制

国立癌症研究中心将开展相关规格设计，以建设一所同时具备符合 GMP 的临床试验用药品生产功能与研究功能的 FIH（First-In-Human）试验实施机构，并在国内构建承担 FIH 试验核心角色的体制。还将同步完善国立成育医疗研究中心以及 JIHS（国立健康危机管理研究机构）的 FIH 试验体系，并强化在 FIH 试验设施中从事相关工作的人员培养⁸。

III. 提高病例收集能力

有意见指出，日本在病例收集能力（即在临床试验中高效募集目标受试者的能力）方面，相较于其他国家偏低⁹。在《本汇总》中，列出了各研究机构为提高病例收集能力应当采取的举措。

1. 促进登记体系和真实世界数据（RWD）的利用

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

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

⁷ 在参考内阁官房健康和医疗战略室于 2024 年 7 月公布的《通过提升创药能力向国民迅速提供最新医药品的构想会议》之中期总结基础上制定的政策目标与路线图（以下称“路线图”）中，将 2028 年时点作为 KPI，提出“国际共同临床试验向一站式窗口咨询的年度件数达到 15 件”。

⁸ 路线图中还将 2028 年时点作为 KPI，提出“在已整备的设施内开展的国内 FIH（首次人体试验）年度件数达到 15 件”。

⁹ 在日本 CTX 研究会公开的 2025 年 9 月《为提高国内临床试验环境效率化・迅速化的建议》中，列举了妨碍临床试验效率化的多种瓶颈，其中包括：可行性研究（Feasibility Study）的准确度较低（数据基础 / 注册登记库以及设施间网络不完善）、临床试验站点数量虽多但单个设施的受试者病例数较少（患者分散于全国）、具备实施临床试验能力的医疗机构分布不均（缺乏按疾病领域划分的临床试验网络）等。

为了将电子病历数据作为高精度的真实世界数据（RWD）用于临床试验等，有必要推进电子病历信息的标准化，并同步推动大型数据库的建设，例如，推进“临中网”（临床研究核心医院的信息网络，用于生成真实世界证据 Real World Evidence）等相关工作¹⁰的重要性在文件中得到了强调。

此外，对于目前在上市后调查中被使用的大规模数据库——PMDA 的 MID-NET（基于厚生劳动省医疗信息数据库基础建设项目构建的医疗信息数据库），也将进一步推进其相关举措¹¹。同时，为进一步促进医疗信息数据库在上市后药品安全性监测中的应用，厚生劳动省已发布以下文件：《关于修改利用医疗信息数据库调查结果的电子化药品说明书记载要领》（2023 年 2 月 17 日，药生发 0217 第 1 号）、《在电子化药品说明书中记载利用医疗信息数据库调查结果时的注意事项》（2023 年 2 月 17 日，药生安发 0217 第 1 号）、《关于〈药品安全性监视中医疗信息数据库的利用及其案例〉》（2023 年 6 月 9 日，事务联络）。

此外，在实施基因治疗药物、分子靶向药物等的临床试验时，活用包含基因组信息的数据库被认为具有重要意义，因此文件提出应推进基因组信息的收集及数据库的构建。关于这一点，根据 2025 年 5 月召开的第 1 次“数据利活用与生命历程协议会”（2025 年 5 月 9 日健康和医疗战略推进会议决定）的厚生劳动省提交资料¹²显示，在 2022 年 9 月制定的《全基因组解析等执行计划》框架下，“全基因组解析等相关 AMED 研究小组”与厚生劳动省设于国立高度专门医疗研究中心和医疗研究合作推进本部内的项目执行准备室合作，通过对癌症及疑难疾病患者实施全基因组解析、多组学分析（multi-omics）等，构建搭载全基因组数据、多组学数据以及临床信息等的高质量信息基础。截至 2025 年 3 月 17 日，癌症和疑难疾病的数据库收录病例累计达到 31,078 例。

虽然目前已有由学会或民间主导建立的登记体系和数据库，但文件指出，需要进一步推动这些数据资源的利用，例如构建患者、学术界、医疗机构一体化的网络，用于验证真实世界数据（RWD）利用中的课题、积累利用案例等。在这方面，目前正基于使用 My Number 卡的在线资格确认系统等网络，推进建设“全国医疗信息平台”，旨在实现电子病历、电子处方、健康体检与预防接种信息、护理信息等在全国范围内的共享与利用。随着被视为课题的各类 RWD 的关联与整合推进，预期也将促进数据的二次利用，从而推动新药研发及临床试验的发展。

2. 临床创新网络（Clinical Innovation Network）构想的推进

CIN 构想旨在通过活用各国立研究中心的疾病登记系统（“登记体系（Registry）”），推动建立高效的临床试验、上市后调查及临床研究体制，从而促进日本医药品・医疗器械等的开发。迄今为止，主要开展了以下工作：支持登记体系的改造与建设、推动利用登记体系开展临床试验及临床研究、制定相关指南。

具体而言，在 2019 年度，通过 AMED 的 CIN 推进据点项目，利用 2018 年度同项目中收集的登记体系（Registry）信息，实施了持有登记体系的机构或研究者（“登记体系持有者”）与希望利用这些登记体系进行医药品、医疗器械等开发的企业（“开发企业”）之间的匹配工作。此外，还根据涉及罕见疾病与难治性疾病等领域的开发企业的需求，开展了包括登记体系改造在内的登记体系持有者与开发企业之间的共同研究支持。2020 年度起，在 CIN 推进支援项目中，也持续开展根据罕见疾病与

¹⁰ 目前正面向所有临床研究核心医院，致力于建立以二次利用院内诊疗信息为基础的数据驱动型临床研究实施体系：一方面，在院内信息系统中构建确保医疗数据质量的机制；另一方面，为实现核心医院之间数据的相互利用推进标准化。各医院分别实施质量保证，推进建立相应体制，以便根据研究主题的需要，随时提供符合所需格式的数据。

¹¹ 在 MID-NET 正式开始全面运用（2018 年度）之前，厚生劳动省于 2017 年 6 月发布了《关于在上市后药品安全性监测中利用医疗信息数据库的基本思路》。MID-NET 的特点包括：① 大规模且迅速的分析能力（截至 2024 年 12 月末，拥有超过 830 万人数据，可进行统一批量解析）；② 多样化的数据来源（除电子病历数据（包括医嘱、检验结果等）外，还收录了医保结算单据及 DPC 数据等电子诊疗信息）；③ 高度的实时性（数据定期自动更新）；④ 数据的可靠性（持续且全面的质量管理）。

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

难治性疾病等领域开发企业的需求，对登记体系进行改造的支持。同时，也在推进将登记体系的自然病程研究数据作为临床试验对照组用于上市审查资料的讨论¹³。

在《本汇总》中，对现状及课题进行了整理，并指出将继续推进 CIN 构想及相关举措的宣传推广，持续支持高质量登记体系的构建与改造，以及使用登记体系实施临床试验等的相关支持。

3. 建立能够实施 DCT 的体制，并探索其高效适用与运用方式

分散型临床试验（DCT）是指利用物联网（IoT）技术，使受试者无需到医疗机构即可进行的临床试验，包括以下方式：使用电子签名等方式进行电子同意（e-consent）¹⁴、在线诊疗、上门诊疗与居家护理、从数字设备等获取患者信息并进行传输、将试验药物配送至受试者住所。《本汇总》指出，将继续通过 AMED 支持采用 DCT 的研究，并对迄今为止在 DCT 实施过程中获得的注意事项与操作流程进行宣传推广，从而提升 DCT 的实施体制。

在这方面，国立癌症研究中心已开始向旨在引入 DCT 的医疗机构提供在线临床试验实务所需的操作手册、工作指南、模板等文件，并自 2025 年 8 月起免费开展 DCT 咨询服务¹⁵。此外，目前在厚生科学审议会（医药品医疗器械制度分会）中进行讨论的 GCP 省令的修订事项中，也将为顺利实施 DCT 而对试验用药物发放方式等的运用进行调整纳入了讨论议题。

IV. 提高临床试验和临床研究（治验）的手续效率

在 2022 年度厚生劳动科学特别研究项目《与国内外临床试验环境相关的最新动向调查研究》中指出，日本的临床试验环境与海外相比，在数据录入、偏差（deviation）等数据质量，以及受试者招募速度方面没有显著差异，但在成本方面差距较大。为解决这一问题，报告提出需采取以下措施：① 推广中央 IRB（集中伦理审查委员会）的使用；② 进一步合理化临床试验的实施流程；③ 合理化临床试验费用的计算方法。基于上述建议等，2024 年 4 月公布的《为加强创药能力与确保稳定供应等的药事监管制度应有形态的研究会报告》中，作为提高临床试验效率（生态系统建设）的方向，提出了以下三点：① 促进中央 IRB 的使用、② 合理化临床试验费用的计算方法、③ 进一步合理化临床试验的运用。

此外，如上所述，在《中期汇总》中，作为“构建符合国际标准的临床试验实施体系”应推进的措施之一，明确写入了“在多中心共同临床试验中以单一伦理审查委员会（single IRB）进行审查的原则化”。

基于上述背景，自 2024 年度起，厚生劳动省与 PMDA 协同推进以下两项工作：① ICH-E6(R3) 的国内引入、② 推动临床试验生态系统导入的项目。

在《本汇总》中，也提及了为推动集中审查而推进 Single IRB 化，以及根据 ICH-E6（《药品临床试验实施基准》（GCP））修订对临床试验和临床研究手续的运用进行检讨与调整。关于后者，文件指出：在试验管理方面，要根据试验目的等引入更加灵活的思维方式；同时，为了确保临床试验

¹³ 参照《2025 年度临床创新网络（CIN）推进支援事业实施主体公开募集要领》之“1 背景”。

¹⁴ 厚生劳动省于 2023 年 3 月发布了关于 e-consent（电子知情同意）的指南《关于在临床试验及上市后临床试验中使用电磁方式进行说明与同意的注意事项》（2023 年 3 月 30 日 药生药审发 0330 第 6 号、药生机审发 0330 第 1 号）。

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

设计与执行不会成为过度追求不必要质量的形式，应推动相关方之间形成适当的共识与意识，使得试验能够进行符合实际需求的规划与运作。

V. 提高临床试验成本的透明度

在 2024 年 4 月公布的《为加强创药能力与确保稳定供应等的药事监管制度应有形态的研究会报告》中，作为推动临床试验效率化（生态系统建设）的三大方向之一，提出了合理化临床试验费用的计算方法。在该报告发布后，于“临床研究与临床试验推进相关产官学意见交换会”上，围绕海外广泛采用的 FMV（Fair Market Value，公平市场价值）¹⁶ 在日本国内引入的问题，展开了讨论，重点在于寻找医疗机构与试验委托方双方都能接受的费用计算方式。

在《本汇总》中，反映了基于“临床研究与临床试验推进相关产官学意见交换会”的讨论所提出的应对方向，即推进在日本国内引入基于 FMV 的任务（Task）基础型费用计算方法。所谓基于 FMV 的任务基础型费用计算，是指：根据各项试验方案（protocol）所需要的具体业务，依据服务提供者所提供的最新基准数据（市场价格），为各项业务设定单价，并通过逐项累积方式（task accumulation）来计算临床试验的费用方案。

此外，作为今后的应对措施，文件指出：为了使日本的特殊性不致过大，应推动具备条件导入基于 FMV 的任务基础型费用计算方法的医疗机构持续性地进行导入；并由临床研究核心医院牵头，通过实施示范项目，积累经验、梳理问题并验证解决路径，同时继续在产官学之间展开讨论。

VI. 结语

2025 年 9 月 1 日，为了研究有关创药生态系统培育政策的方针、课题及改进措施等的具体内容，召开了第 1 次“提升创药能力的官民协商会工作组（WG）”。该工作组的讨论重点依据《中期汇总》设定为以下三项：① 加强日本的创药能力、② 让国民能够迅速获得最新药品、③ 构建可持续的投资与创新循环的社会系统。

关于③，已于同年 11 月 5 日公布了讨论整理¹⁷；关于①与②，则计划在今后继续开展讨论。如前所述，本简报所概述的“构建符合国际标准的临床试验实施体系”，在《中期汇总》中被定位为①的对策之一。今后需要密切关注该工作组的讨论，同时亦需关注预计于 2026 年度实施的 GCP 省令修订的相关讨论进展。

¹⁶ 在美国《联邦法规汇编》（Code of Federal Regulations, CFR）中，其被定义为：在适当披露信息、且在当事人之间充分确保独立性与竞争性的条件下，由买方与卖方通过善意谈判所形成的、基于市场价格的价格。

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

作者、联系方式

律师 [佐佐木 郁](#)（顾问律师，第一东京律师协会）

Email: iku.sasaki@aplaw.jp

翻译：外国法事务所律师（中国法） [陈 凤琴](#)（合伙人，第二东京律师协会）

Email: fengqin.chen@aplaw.jp

如您对本简报(Newsletter)有一般性咨询，欢迎联系作者。

若您希望订阅本事务所简报，请通过 [《简报订阅申请表》](#) 进行申请。

此外，您亦可通过 [此处](#) 查阅往期简报。

本简报并非对现行或预期中的法律法规进行全面解说，仅限于就作者认为重要的部分，进行了概要介绍。本简报所载意见仅为作者个人观点，并不代表渥美坂井律师事务所外国法共同事业（以下简称“渥美坂井律所”）的见解。虽然作者已尽合理努力避免明显错误，但作者及渥美坂井律所均不对本简报的准确性作出任何保证。作者及渥美坂井律所均不对读者因依赖本简报而产生的任何损害承担赔偿责任。如涉及交易事项，请勿依赖本简报内容，务必另行咨询渥美坂井律所的律师。

东京办公室

邮编 100-0011

东京都千代田区内幸町 2-2-2
富国生命大厦 16 层



大阪合作办公室

邮编 530-0005

大阪府大阪市北区中之岛 2-3-18
中之岛 Festival Tower 16 层

福岡合作办公室

邮编 810-0001

福岡市中央区天神 2-12-1
天神大厦 10 层



纽约合作办公室

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



伦敦办公室

85 Gresham Street,
London EC2V 7NQ,
United Kingdom



法兰克福合作办公室

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



布鲁塞尔办公室

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



胡志明市办公室

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

