

厚生労働科学研究費補助金  
厚生労働科学特別研究事業

臨床試験の結果の公開における電子的様式の構築のための研究  
(H29－特別－指定－035)

平成 29 年度 総括・分担研究報告書

研究代表者 佐藤 元

平成 30 (2018) 年 5 月

## 目次

### I. 総括研究報告書

- 臨床試験の結果の公開における電子的様式の構築のための研究・・・・・・・・・・1  
佐藤 元

### II. 分担研究報告書

1. 国際臨床試験登録プラットフォーム(WHO/ICTRP)における  
試験結果公開および国際動向・・・・・・・・・・13  
湯川 慶子, 藤井 仁, 佐藤 元
2. 米国・EU の試験結果の公開に関する研究・・・・・・・・・・51  
佐藤 元, 湯川 慶子, 藤井 仁
3. 日本の臨床試験情報登録機関における結果公開の項目・様式・・・・・・・・159  
湯川 慶子, 藤井 仁, 佐藤 元
4. 国立病院医療情報ネットワーク(UMIN)を含む国内外における  
試験結果公開システムの技術的水準および課題の検討・・・・・・・・165  
岡田 昌史, 木内 貴弘
5. 臨床試験の結果記載の標準書式に関する研究・・・・・・・・・・199  
佐藤 元, 湯川 慶子, 藤井 仁
6. 結果公開システムのインターフェイスに関する研究・・・・・・・・・・213  
佐藤 元, 湯川 慶子, 藤井 仁
7. 日本の JPRN 構成機関における臨床試験の結果公開の現状及び課題・・・・・・・・259  
湯川 慶子, 藤井 仁, 佐藤 元
8. 臨床試験情報の公開にかかる法制度：  
臨床試験の結果公開にかかる日米欧の法令および判例・・・・・・・・265  
佐藤 元, 湯川 慶子

### III. 研究成果の刊行に関する一覧表・・・・・・・・・・305

## 臨床試験の結果の公開における電子的様式の構築に関する研究

研究代表者 佐藤 元<sup>1)</sup>

1) 国立保健医療科学院 政策技術評価研究部

### 研究要旨

**目的：**世界保健機関（WHO）の国際臨床試験登録プラットフォーム（ICTRP）の新規格および臨床研究法・同施行規則への対応ならびに国際調和の観点から、国内外の現状について総覧すると共に、我が国の臨床試験結果の登録・公開の在り方について提言を行い、登録・公開システムの仕様を検討・評価する。また、試験情報の公開と知的財産権との関係について法令および判例を収集・整理し、現行の法理ならびに法運用の実態について調査する。**方法：**WHO/ICTRP、欧州医薬品庁、米国 Clinicaltrial.gov を始めとして、我が国の制度設計において重要なカウンターパートとなる海外機関、日本国内の試験登録機関（日本医薬情報センター、日本医師会および大学病院医療情報ネットワーク）における結果公開の項目および形式について、ヒアリングおよび資料収集を行う。また日米欧の（臨床試験）情報の公開にかかる法令および判例について書誌ならびに判例の収集を行う。**結果：**WHO/ICTRP の規定する臨床試験登録項目は、参加国レジストリが共通して実現可能な範囲を探り登録データの質の向上を目指すものであるが、米国・EU の登録システムに比較するとプリミティブで未整理な部分も多い。現時点で日本の臨床試験登録における結果の公開は、この WHO の要求水準にも達しておらず、WHO 側から結果データを送付するよう要請されても対応できない状況にある。CONSORT 声明など、目指すべき目標を参照しつつ WHO および世界各国における試験登録システムに劣らぬ形で我が国の登録システムを整えるための仕様検討を行った。また、臨床試験情報、試験結果情報の登録・公開と（製薬企業等の）知的財産権との関係については、公益と研究開発情報の秘匿権・占有権との均衡を法制度・法運用の中で図っていく必要が大きいことが明らかになった。**結論：**構造化された臨床試験結果が登録・公開されるようになれば、WHO/ICTRP の合意に沿うことが可能となり、日本においても、臨床試験情報の可用性、透明性の担保が可能となると考えられる。各国の臨床試験登録機関が 2017 年 5 月の ICTRP 合意を実現するまでの期限は設定されていないが、米国、EU ともに結果の公開はすでに実現しており、日本でも早急に結果の公開への道筋を作る必要性がある。今後の研究開発の国際化が進展する中、他国との調和も視野に入れ、法令・判例の情報収集を継続する必要がある。

### 研究組織

#### 研究代表者

佐藤 元

（国立保健医療科学院政策技術評価研究部・部長）

#### 分担研究者

木内 貴弘

（大学病院医療情報ネットワーク・UMIN センター、東京大学大学院医学系研究科・教授）

藤井 仁

（国立保健医療科学院政策技術評価研究部主任研究官）

湯川 慶子（同上）

岡田 昌史

（東京大学大学院医学系研究科 UMIN センター・特任講師）

#### 研究協力者

土井 麻理子（国立保健医療科学院政策技術評価研究部）

津谷 喜一郎（東京有明大学・教授）

近藤 純一（アンダーソン毛利友常法律事務所）

笠原 智恵（渥美坂井法律事務所）

原 伸一（スタートコム社）

## A.研究目的

2017年5月のWHOでの会議において各国の臨床試験登録機関は、臨床試験登録の中核機能として試験の結果の情報の可用性を持たせることに同意した。WHOの発表によれば、臨床試験の約50%は未発表のままであり、これは臨床試験に必要な資金と研究努力の浪費につながり、健康に関する判断においてバイアスを引き起こす可能性があり、最適な薬剤の選択を阻害していると指摘した

(<http://www.who.int/ictrp/news/registries-meeting-2017/en/>)。

臨床試験の結果の可用性、透明性を高めることで、資金提供者や規制当局は臨床試験の進捗状況を監督することができると考えられる。また、臨床試験の結果をより完全かつタイムリーに開示することで、臨床試験に必要な資金の有効利用、有効な薬物の利用促進、潜在的な寿命の延伸が可能になる。

しかし、現時点で日本の臨床試験登録機関は3機関(UMIN-CTR、JAPIC-CTI、JMACCT)がそれぞれ独自のデータ形式で限定的に結果を公開している状況であり、データは構造化されていないばかりか、画像形式で結果が登録されており文字情報が拾えないものもある状態である。また、3機関のデータを取りまとめて公開している国立保健医療科学院では、臨床試験の結果を一切公開できていない。

そこで本研究では、上記のような状況を改善するために、臨床試験の結果についてどのような登録・公開の在り方が望ましいかを探索的に検討することを目的とする。具体的には、①世界的な臨床試験の結果公開の動きについて調査し、世界の水準に合わせた登録項目、データ形式を確定すること、②①で定めた登録項目をJPRN(国立保健医療科学院、UMIN-CTR、JAPIC-CTI、JMACCT)間で登録・公開するための具体的な計画を作成すること、③試験の結果の検索、絞り込み、データのダウンロードなど、可用性・利便性を向上させる機能を考案することの3つである。

加えて、臨床試験情報の公開に際して問題となり得る(企業を始めとする)研究開発の知的財産権の問題への対応を考慮し、臨床研究(試験)情報・結果の公開と知的財産権との関連に

ついて、法理・法令を整理し判例についても検討を加えた。

## B.研究方法

### 1.国内外における臨床試験・治験情報の公開、特に結果情報の公開の現状にかかる調査

最初に米国(Clinicaltrial.gov)、EU(EU-CTR)を中心に、ICTRP(International Clinical Trials Registry Platform)に加盟している各国の臨床試験登録機関が、2017年5月のWHOでの会議を受けてどのような対応をする予定であるか調査する。また、すでに独自形式で結果を公開している米国とEUに関しては、登録項目、各項目の構造化の方法、データ形式、公開の方法、検索などのweb上での機能がどのようなものになっているかを調査する。それと同時に、結果の公開のための制度的な背景についても調査する。具体的には、結果の公開を進めるための制度的枠組み、倫理指針、法制度などについて、最新の動向を追う。米国・EUにおいて整備が着手された臨床試験結果の登録DBについては、その技術情報ならびに検討課題を含めて詳らかに情報収集を行うため、現地のシステム運営者にヒアリングを実施する。同時に、我が国において結果の登録・公開のためのシステムを先行導入しているUMINのこれまでの取り組みと現状、課題について総括と評価を行う。

### 2. 臨床研究法に対応した試験情報、試験結果の公開にかかるシステムの設計

新法の目的に適い、現時および近い将来にわたって理想的な技術的水準を保ったシステムの要件整理・検討、ならびに臨床研究の信頼性・透明性を確保するための情報公開用データベースの設計を行う。

特に、世界の臨床試験登録機関の動向を踏まえ、日本での臨床試験の結果に関する登録項目を検討する。データの可用性、情報の透明性などで世界的な水準を十分に満たし、かつ既存の臨床試験登録におけるデータ形式(CDISC、WHOの定めるデータ形式DTD等)とも齟齬がないように、登録項目、データ形式などについて検討する。

臨床研究法案に対応して設置が予定されてい

る第4のレジストリに関して、上記の電子的な仕様を実現するよう計画を策定する。このレジストリに関しては登録項目、データ形式を自由に設定できる仕様で開発される予定であり、既存のレジストリで上記の電子的な仕様の実現が困難な場合は、本システムの他機関への導入を含めて検討する。

合わせて、上記の電子的な仕様の確定に至るまで、定期的に関係各機関（UMIN-CTR、JAPIC-CTI、JMACCT）と調整のための会議を開催する。そこで実現可能性、予算等を考慮に入れつつ合意点を模索する。最終的に電子的な仕様がすべて確定した段階で、各レジストリとの実現に向けたスケジュール調整を進める。

### 3. 臨床試験情報、特に試験結果の公開にかかる法制度に関する調査検討

結果の公開を進めるための制度的枠組み、倫理指針、法制度などについて、欧州、米国および日本の最新の動向を追った。臨床試験情報の登録・公開制度の設計・運用上の課題を整理し議論に資するため、欧米日の法令・制度ならびに関連する判例を収集し詳細な検討を加えた。そのため、欧米および日本の法令について、法曹関係者および法令データベース、行政官・実務家などに広く意見を求めたうえ、法令・判例情報を総覧した。

## C. 研究結果

### 1. WHO/ICTRP における試験結果の登録・公開ならびに各国レジストリの対応

WHO/ICTRP (International Clinical Trials Registry Platform) は、2017年5月の会合にて ICTRP に試験結果情報を登録することを加盟機関に求める採択を行い、結果の登録・公開にかかる項目を含む新データセット (version 1.3) を提示して、2017年12月より結果情報の受入れを開始、また2018年末には結果情報の公開を開始予定であることが明らかになった。また、WHO/ICTRP 担当官へのヒアリングを通じて、WHO/ICTRP に加盟している各国の臨床試験登録機関が、2017年5月のWHOでの会議を受けてどのような対応予定であるかについて、2017年末 (2018年2月末更新) の状況を把握した。その結果、米国 (Clinicaltrial.gov) およ

び EU (EU-CTR) を始めとしたレジストリでは、独自項目を追加しつつ整理して結果登録を進めており、日本のレジストリの対応の遅れが際立つ事となった。

ICTRP のシステムにおける結果情報の公開項目としては、WHO データセット 1.3 版において追加項目として登録形式 (テキスト、上限語数) が規定されている。CONSORT 声明における推奨に照らすと、この内容では全項目を満たす内容とはなっていないが、概ねはカバーされている。さらに考察の部分を追加記載することで声明を満たす内容となり得ると考えられる

### 2. 米国・EU の結果公開項目

結果の公開の義務化あるいは推奨、またその拡充について、EU においては2015年のEMA Policy0070 (EMA policy on publication of clinical data for medicinal products for human use)、米国においては2007年のFDA 改正法 (US Public Law 110-85) 等により制度化されている。米国と EU は、これに沿い独自形式で既に試験結果を公開しているが、これらの登録項目、各項目の構造化の方法、データ形式について情報を収集・整理した。

米国の Clinicaltrials.gov、欧州における EU-CTR (EU-Portal に移行予定) は共に、結果の登録を開始しており、特に前者は、詳細な入力項目を設定し登録項目の漏れが無いように工夫されている。

現状、世界3機関における臨床試験の結果登録の項目における統一性はあまり無いと考えられ、項目やその定義にも差が認められる結果となった。それぞれの機関で定義や詳細は異なるが共通しているある程度の共通項としては参加フロー、結果のアウトカム、有害事象の登録が挙げられる。

一方、EMA での EU-CTR 運用に関するヒアリングの結果、原則として試験 (結果) 情報は登録・公開が義務付けられているものの、申請により商業的理由による情報秘匿 (Commercially Confidential Information、CCI) が認められる制度となっている。申請された CCI の内、EMA により承認されたものは24% (承認/申請)、48/3279 文書 (全文書の1.46%) である。非承認とされた理由としては、

製品・情報に特段の新規性が無く情報の公開によって知的財産権が侵害されるとは考え難いが挙げられている。この判断は、EMA内の法曹関係者を含む委員（会）で成されている。

### 3. 日本の臨床試験登録機関（JPRN）における結果公開項目

日本の臨床試験登録機関における現在の試験結果に関する登録・公開項目について情報を収集・整理した。各々の登録機関における結果の登録・公開件数についても調査を行い報告した。

JPRN 構成 3 機関は、いずれも WHO/ICTRP の基準項目を満たしながら、独自項目を追加している。国立保健医療科学院が取りまとめる JPRN データベースは、ICTRP 項目準拠である。他方 UMIN は、その登録項目に大きな制約が無い事もあって比較的自由に項目設定が可能であり、幅広い多様な研究（の結果）について、構造化しつつ登録・公開が可能な設計となっている。

結果情報について、国内 3 機関における臨床試験結果の登録は、まず試験を登録し、その後結果が出た時点で各登録フォームを更新することにより結果の登録及び公開を行うシステムとなっている。その方法は、ウェブで概要をテキスト表示するもの、結果記載ファイルをアーカイブに入れそれを参照するもの、他サーバー上のウェブサイトを参照するもの、公刊論文の書誌情報を記載するもの、学会発表の学会名を記載するもの等、多彩であった。

国内臨床試験登録機関の結果登録の形式は統一されておらず、項目・定義に大きな差が認められた。それぞれの機関で定義や詳細は異なるが、推奨項目としての共通項としては、参加フロー、結果のアウトカム、有害事象の登録が挙げられる。日本の臨床試験機関に関してはスポンサーの入力や倫理規定欄が海外と比較して少ない。

臨床試験登録の手順について、UMIN はウェブ上で完結にまとめており、日本語及び英語での表記がある。JAPIC では、臨床試験登録に必要な関係資料は、JAPIC のウェブサイト「臨床試験情報」からダウンロードするシステムとなっている。登録のフローに関しては PDF にて公開されている。JMACCT の臨床試験登録システムの利用と試験情報登録に関わる各資料もウェブ上でダウンロードす

るようになっているが、他機関と異なり使用可能な文字についての規定がある。

なお、UMIN では、試験登録における記述に CDKSK を導入することを検討している。この観点から、試験結果公開における電子的表現の国際的な標準規格として検討されている CDISC CTR2 プロジェクトについても、現状ならびに UMIN-ICDR における対応可能性が検討された。その結果、CDISC CTR2 プロジェクトは臨床試験登録のみならず、臨床試験のプロトコル文書の標準化を見据えて行われており、実用性の高い標準規格となると考えられた。また、UMIN-ICDR においても現状で CTR2 データの格納は可能であるが、結果情報の活用の可能性を考慮すると、入力されたデータをシステム側で分析して項目ごとに格納する機能を追加すべきと考えられた。

### 4. 結果記載の標準書式

CONSORT 声明とは、臨床試験報告に関する統合基準を示したものであり、ランダム化比較試験（RCT）の報告の質を改善するために世界中で広く用いられている。この声明における結果(Result)・考察(Discussion)部分の記載項目を中心に、WHO/ICTRP、欧州、米国および日本の試験登録機関の声明への対応状況を調査した。

上記声明における、「結果」からは参加者の流れ（割り付けされた人数、臨床試験に参加した人数）、募集日時（参加者の募集期間、追跡期間）、ベースライン・データ、解析された人数、アウトカムと推定（主要アウトカム、副次的アウトカム、エフェクトサイズとその信頼区間）、補助的解析、害（重要な害、意図しない効果）などを、「考察」からは限界、一般化可能性、解釈（有益性、有害性）などが登録項目の候補として挙げ、これらが試験登録機関へどのように登録されるかに関する対照表を作成した。

WHO の報告形式では、完全に満たされていないものの、大部分がカバーされた内容となっており、現行に項目に「考察」を追加することで CONSORT 声明に準拠した報告内容となる。一方、米国 Clinicaltrial.gov の登録内容は最も細かく定義されており CONSORT 声明を満たしてさらに充実したものとなっている。

EU-CTR の試験結果情報は、記述式の 1 項目が存在するだけで、詳細は定義されていない。

日本の国内登録機関では、登録項目についての詳細は定められていないため、登録ガイドライン中に CONSORT 声明への言及はあっても、実際には統一感のないものとなっている。前述のように、結果の記載方法自体がまちまちである。即ち、UMIN では、試験期間や主結果については記載があるものの、その他の結果については別途参照とする報告形式である。JAPIC では、試験結果の概要として自由入力形式の項目が存在するのみ、また JMACCT においては、結果の考察に関する項目を記載する箇所は存在するが、それ以外の項目については別途参照先を確認する必要がある。

## 5. 国が臨床研究法および施行規則の下で設置する試験情報の登録・公開システムのインターフェイス

新たに国が設置する臨床試験登録システムにおける登録および公開の方法、web 上の機能について検討した。具体的機能として、登録項目のうち公開する項目、公開項目の検索項目、検索項目のハイライト機能、リンク先のオーバーレイによるプレビュー機能、類義語検索機能（日本語は医中誌等の DB、英語は MeSH コード等を参照）、And/Or 検索機能などの整理および仕様設計を行った。

また、CONSORT 声明において、結果(Result)・考察(Discussion)の部分に記載されている項目はできるだけ含むように入力のためのガイドラインを作成し、項目を整えた。具体的には、結果からは参加者の流れ(割り付けされた人数、臨床試験に参加した人数)、募集日時(参加者の募集期間、追跡期間)、ベースライン・データ、解析された人数、アウトカムと推定(主要アウトカム、副次的アウトカム、エフェクトサイズとその信頼区間)、補助的解析、害(重要な害、意図しない効果)などを、考察からは限界、一般化可能性、解釈(有益性、有害性)などである。

## 6. 新システムについての今後の課題

臨床研究法に対応して設置された我が国における第 4 レジストリ(jRCT)には、同法施行規

則における特定臨床研究の届出書式に沿った項目が登録可能となった。

一方、新法・施行規則では登録推奨とされた特定臨床研究以外の試験(非特定臨床研究)の登録については、法令には規定されていないが、これについては、特定臨床研究の場合からの用語・登録項目名の読み替えが必要と考えられ、早急にシステムの対応が求められる。

データのダウンロードや可搬性に関しても今後の検討が必要なことが明らかになった。即ち、臨床試験登録情報は XML 形式で WHO-ICTRP に送信されているが、そのデータ定義ファイル(dtd ファイル)を見ると項目が羅列されているだけで、データ形式に関する記載はほとんどない。XML 形式でデータを登録する利点はデータの型や上限下限などを規定できることにあるが、現状ではその機能を生かし切っていないといえる。米国のデータ定義ファイルもほとんどデータの型などは規定していないが、WHO のものよりは構造化されており、より詳細な試験の内容を含んでいる。

また、WHO/ICTRP による結果の登録・公開の指針策定を受け、JPRN 関係機関(UMIN-CTR、JAPIC-CTI、JMACCT)と対応について調整会議を開催した。

## 7. 試験情報・試験結果の公開にかかる法令および判例(知財権との関係)

試験結果の公開のための制度的背景、研究開発の知的財産権との関係について EU、米国および日本の法令ならびに判例を収集した。

EU および米国においては、一般的な方向性として臨床試験情報の公開を進める方向で制度の設計や製薬会社の取り組みが進められているものの、臨床試験の情報については、営業秘密への該当性が問題とされる。また、個別被験者レベルの情報の開示については、個人の病歴の開示等プライバシーの問題を内包している。臨床試験の情報・医薬品の製造販売承認に関しては、臨床試験情報の公開データベースへの登録等にプロアクティブな開示、情報公開制度に基づく請求に対応するリアクティブな開示がある。後者の場合、当局と申請者の間、当局と製薬会社等の間での裁判事例が存在する。いずれの法域においても詳細な利益衡量がなされていること

が明らかになった。

#### D.考察

新法施行を間近に控え、これに対応した臨床研究（試験）登録ならびに結果情報の公開体制の整備は急務である。

今回の新法の施行は、臨床研究が法律により定められ、臨床研究に関する報告内容が義務化されることによって、研究報告の質向上を図ることが目的の一つとされている。義務化するにあたって、現行の3機関の結果報告の内容のままでは、報告の質向上を図ることが出来ないため、結果報告の内容については、より詳細な報告フォーマットを定めることが必要である。標準フォーマット策定のためには、CONSORT声明と各国のレジストリの登録内容を比較して適切な報告フォーマットを策定することが望まれる。

米国の登録情報等と比較して、WHOのデータフォーマット1.3は先進的なものではなく欠点も散見できる。また、米国等のレジストリや現行の臨床研究情報検索ポータルサイト (<https://rctportal.niph.go.jp/>) には、類義語検索機能が実装されており、MeSHコードや医学中央雑誌の類義語辞典などを利用して、検索語と類義語の検索結果を合わせて表示することが可能になっている。臨床研究法に対応した新しいデータベースにも、この機能は必須であると考えられる。

国内外の臨床試験登録機関の登録項目には、WHOの最新データフォーマット (Ver.1.3) よりも機能的に優れており、学問的にもより望ましい項目・形式も散見された。例えば、米国のデータベースにおいては、結果発表の登録に際して発表論文ID (PubMed identification number, PMID) を登録するようになっており、発表論文へのリンクが準備されている。政府系研究費補助金で実施された臨床研究は、無料で論文を公開する (Open access とする) ことが求められている事と相まって、極めて透明性の高い登録システムの構築を意図している。

日本の場合、有害事象はPMDAが扱っているため、スポンサー、倫理審査などの登録・公開項目が整えられれば、WHOやCONSORT声明の最新規定に近い形となると考えられる。デー

タの可用性、情報の透明性などで世界的な水準を十分に満たし、かつ既存の臨床試験登録におけるデータ形式 (CDISC、WHOの定めるデータ形式DTD等) ととも齟齬がないように、登録項目、データ形式を定める必要がある。

臨床試験における報告様式や収集方式の標準化は、安全性報告やICHによるコモンテクニカルドキュメントなども含め各方面で進められてきている。また近年ではCDISC標準の形式に則ったデータ提出や保管・管理が、臨床試験や医療の分野で急速に進められている。これまでにCDISC標準の中ではデータ固定の標準であるSDTMなどがよく利用されているが、その他にもCDISC標準には、データ交換の標準としてすでにレジストリに対応したClinical Trial Registry XML (CTR-XML) version1.0やプロトコルの標準形式が公開されている。いずれは特定臨床試験レジストリについてもCDISC標準への対応も必要になる可能性が考えられる。

欧米日何れにおいても、臨床試験情報の公開が進められており、その公開範囲は拡大されつつある。しかし実運用においては、開発研究 (結果) の知財権ならびに被験者個人情報保護が課題であり、その法理の理解と共に、裁判判例ならびに運用実態などを広く把握したうえで制度設計、ならびに国際調和に向けた取り組みを図る必要がある。

本研究では扱わなかった内容に、データシェアリングへの対応がある。WHO臨床試験登録データセットversion1.3ではすでにデータシェアリングに対する対応が項目として含まれている。データシェアリングへの対応は、臨床試験のスポンサーや実施者にとって簡単に受け入れられることではないと思われるが、ICMJEでも2017年に「データ・シェアリング・ステート」 (data sharing statement) を作成しなければならないと打ち出したこともあり、今後はデータシェアリングに対する対応も早急に進める必要がある。

ICMJE(International Committee of Medical Journal Editors)の取り決めによると、2019年1月1日以降に参加者の組み入れを開始する臨床試験は、臨床試験登録機関にIPD (individual participant data) の共有に関する宣言をする必要がある。IPDの共有はWHOの最新のフォー



マットに含まれている登録項目であり、これが登録できない臨床試験登録機関には、ICMJE 加盟雑誌への投稿を前提とした臨床試験が登録されなくなると考えられる。WHO の要請に応じない場合、最新の基準を満たしていない登録機関であるとみなされ、IPD の問題に類した弊害が生じる虞がある。

## E. 結論

臨床試験の結果が速やかに公開されることによって、臨床試験の資金提供者は類似した臨床試験の実施を効率的に回避でき、臨床試験に必要な資金が節約できると考えられる。また、患者は最新かつ最適な薬剤の選択が容易になり、その潜在的な寿命の延伸につながることを期待される。また、結果が公開されていない臨床試験にはネガティブなデータが多く含まれていると考えられ、これらが公開されることで出版バイアス等が少なくなることから、薬剤の効果などがより正確に推定され、メタアナリシスの精度も向上すると考えられる。

WHO/ICTRP の規定する臨床試験登録項目は、参加国レジストリが共通して実現可能な範囲を探り登録データの質の向上を目指すものであるが、米国・EU の登録システムに比較するとプリミティブで未整理な部分も多い。現時点で日本の臨床試験登録における結果の公開は、この WHO の要求水準にも達しておらず、WHO 側から結果データを送付するよう要請されても対応できない状況にある。

本研究では、臨床試験登録、特に結果の登録・公開にかかる国内外の登録システムの現況を調査し対照すると共に、CONSORT 声明など目指すべき目標を参照しつつ、これらの充足の程度を検討した。さらに WHO および世界各国における試験登録システムに劣らぬ形で我が国の登録システムを整えるための仕様検討を行った。これに沿い、構造化された臨床試験結果が登録・公開されるようになれば、WHO/ICTRP の合意に沿うことが可能となり、日本においても、臨床試験情報の可用性、透明性の担保が可能となると考えられる。

各国の臨床試験登録機関が 2017 年 5 月の合意を実現するまでの期限は現時点で設けられていないが、米国、EU とともに結果の公開はすで

に実現しており、日本でも早急に結果の公開への道筋を作る必要がある。本研究で調査した試験結果の登録・公開状況（件数）は、今後我が国で結果の登録公開を推進していく中でベンチマークとして有用であろう。最後に、臨床試験情報、試験結果情報の登録・公開と（製薬企業等の）知的財産権との関係については、公益と研究開発情報の秘匿権・占有権との均衡を法制度・法運用の中で図っていく必要が大きいと考えられた。今後の研究開発の国際化が進展する中、他国との調和も視野に入れて情報収集を継続する必要がある。

## F. 研究発表

### 1. 論文発表

Fujii H, Yukawa K, Sato H. International comparison of data from clinical trials registered with the International Clinical Trial Registry Platform (ICTRP) throughout the United States, Europe, and Asia. *Therapeutic Research*, 2017; 38(8), 805-811.

Fujii H, Yukawa K, Sato H. Transition of Intervention of Clinical Trials for Obesity, *Journal of Pharmaceutical Care & Health Systems*, 2018; Vol.5, Issue 1.

津谷喜一郎、中澤幾子、佐藤元. WHO 臨床試験登録データセット (Version 1.3) の背景となる 4 つの資料の日本語訳. *薬理と治療* (in press)

近藤純一、佐藤元、武士俣隆介、湯川慶子、日野優子. 臨床試験情報の公開にかかる法制度：臨床試験の結果公開にかかる日米欧の法令および判例. (投稿中)

### 2. 学会発表 (分担報告より転載)

藤井仁、湯川慶子、佐藤元. 生活習慣病を対象とした臨床研究の介入内容の変遷. 第 76 回日本公衆衛生学会総会; 2017.10.31-11.2; 鹿児島. 第 76 回日本公衆衛生学会総会講演集・抄録集, p.392.

藤井仁、湯川慶子、佐藤元. 米国の生活習慣病を対象疾患とする臨床試験における介入内容の変遷. 日本薬剤疫学会第 23 回学術総会; 2017.11.18-11.19; 東京. 23 回日本薬剤疫学

会学術総会講演集. p.118.

藤井仁, 湯川慶子, 佐藤元. 生活習慣病を対象とした臨床試験の介入内容の変遷. 第 76 回日本公衆衛生学会総会 ; 2017.10.31-11.2 ; 鹿児島. 日本公衆衛生雑誌. p.392.

藤井 仁, 湯川 慶子, 佐藤 元. 米国の生活習慣病を対象疾患とする臨床試験における介入内容の変遷. 第 23 回日本薬剤疫学会学術総会 ; 2017.11.18-19 ; 東京. 第 23 回日本薬剤疫学会学術総会プログラム・抄録集. p 111-113.

湯川慶子、藤井仁、佐藤元. 臨床研究情報ポータルサイトのユーザビリティに関する研究. 第 76 回日本公衆衛生学会総会 ; 2017.10.31.-11.2; 鹿児島. 第 76 回日本公衆衛生学会総会講演集・抄録集.. p.383.

湯川慶子、藤井仁、佐藤元. 臨床研究情報ポータルサイトにおける患者教育プログラムの登録状況. 第 11 回日本薬局学会 ; 2017.11.25-11.26; 大宮. 第 11 回日本薬局学会総会抄録集, p.246, 2017.

#### G.知的財産権の出願・登録状況 (予定を含む)

1. 特許取得  
なし。
2. 実用新案登録  
なし。
3. その他  
なし。

#### H.参考資料

本研究分担研究報告書の各章末に添付

臨床試験の結果の公開における電子的様式の構築のための研究

分担研究報告書







## 国際臨床試験登録プラットフォーム（WHO/ICTRP）における 試験結果公開および国際動向

研究分担者 湯川 慶子, 藤井 仁, 佐藤 元<sup>1)</sup>

1) 国立保健医療科学院 政策技術評価研究部

### 研究要旨

**目的：**本研究においては、臨床研究登録機関の結果公開の国際的動向を調査し、臨床研究法に伴う新システムの構築および発展への示唆を得ることを目的とする。

**方法：**米国（Clinicaltrial.gov）、EU（EU-CTR）を中心に、WHO の ICTRP（International Clinical Trials Registry Platform）に加盟している各国の臨床試験登録機関を調査した。2017 年 5 月に ICTRP が結果の公開に関する項目を含む新データセット ver.1.3 に提示したことに基づき、17 か国のレジストリの項目変更への対応状況を調査した。

**結果：**現状、世界 3 機関における臨床試験の結果登録の項目における統一性は希薄であり、項目やその定義にも差が認められた。各機関で定義や詳細は異なるが、共通項としては、参加フロー、結果のアウトカム、有害事象の登録が挙げられる。結果公開に関する各国アンケートによれば、結果公開対応が進んだ国は現時点では 8 か国であり、日本は対応未定であった。

**結論：**臨床研究登録機関の結果公開への対応に関して、主要機関の統一性はなかったが、日本は対応が遅れており、新データセット ver.1.3 に沿って、登録項目を検討し、国際的な潮流に合わせる必要がある。

### 研究協力者

土井 麻理子

（国立保健医療科学院 政策技術評価研究部）

津谷 喜一郎（東京有明大学・教授）

### ①（各国レジストリの対応）

#### A.研究目的

臨床研究登録機関の結果公開の国際的動向を調査し、臨床研究法に伴う新システムの構築および発展への示唆を得るために、本研究では、最初に米国（Clinicaltrial.gov）、EU（EU-CTR）を中心に、ICTRP（International Clinical Trials Registry Platform）に加盟している各国の臨床試験登録機関が、2017 年 5 月の WHO での会議を受けてどのような対応予定であるか把握することを目的とする。

#### B.研究結果

##### 1. 各国レジストリの対応

本研究では、米国（Clinicaltrial.gov）、EU（EU-CTR）を中心に、ICTRP（International Clinical T

床試験登録機関を調査した。世界各国および国際機関によって設置・運営されている臨床試験登録制度は医薬品・医療機器開発をはじめ医学・臨床研究の情報基盤の一部として機能するに至っている。他方、臨床試験の結果の登録についての細部については各国・機関において異なったものとなっている。

##### 1) WHO

WHO にて試験を登録するには、WHO 登録ネットワークの一次登録簿または ICMJE が承認した登録簿のいずれかに詳細を直接提出する必要がある。現在 WHO が定める必須登録項目（Minimal Trial Data Set）は ICTRP で公開されている（<http://www.who.int/ict rp/network/trds/en/>）。

公開されている内容は資料 1 の通りである。

##### 2) ClinicalTrials.gov

ClinicalTrials.gov については結果データの登録について求められている。求められる項目としては Participant flow, Baseline characteristics, Outcome measures, adverse event information,

Limitations and caveats, Certain agreements, Results point of contact, Delayed results などがそれぞれ項目毎に詳細な定義づけがなされている ([https://prsinfo.clinicaltrials.gov/results\\_definitions.html](https://prsinfo.clinicaltrials.gov/results_definitions.html))。記載されている内容の一例は資料 2 の通りである。

### 3) EU- CTR

EU 臨床試験登録簿は、2011 年 9 月以降、世界保健機関 (WHO) レジストリ・ネットワークの主要登録簿となっている ([http://www.who.int/ictrp/trial\\_reg/en/index1.html](http://www.who.int/ictrp/trial_reg/en/index1.html))。

試験結果の登録についてはスポンサー自身がデータベースに入力し、スポンサーがデータを検証した後にこの登録簿に掲載されるようになっている。登録項目としては、EudraCT number, Sponsor protocol number, Start date, Sponsor name, Full title, Medical condition, Population age, Gender, Trial protocol, Trial results が挙げられる。資料 3 が登録内容の一例である。

試験登録の方法については HP に記載があるがフローチャート式のものはない。臨床試験に関心がある場合はスポンサーリストよりスポンサーを選定してコンタクトを取るという形になっている (<https://www.clinicaltrialsregister.eu/joiningtrial.html>)。

**世界の現状と概観**：以上より、現状、世界 3 機関における臨床試験の結果登録の項目における統一性は希薄だと考えられ、項目やその定義にも差が認められる結果となった。それぞれの機関で定義や詳細は異なるが、ある程度の共通項としては、参加フロー、結果のアウトカム、有害事象の登録が挙げられる。

### 4) WHO による結果公開調査 (2017.5)

WHO-ICTRP の Director、Ghassan 氏は 2017 年 5 月時点の 17 カ国の結果公開の対応状況をまとめた (資料 4)。結果公開対応が進んだ国は、17 対象国のうち、調査時点では 8 か国であり、日本は未定である。

2017 年 5 月に行われた会議では、結果開示の進捗状況と計画について、次の項目が尋ねられた。

1. 登録前の倫理承認: 登録前の倫理承認が義務

となっているか

2. レジストリデータフィールドトラッキング: 新たに追加された 4 項目のデータ収集に関する状況
3. 過去 30 日間の ICTRP アクセス状況に関する Google Analytics のレポート

(原文)

1. Ethics before registration: is a compilation of registries answers related to the question asked: Is the ethics approval required/mandatory before registration?
2. Registry Data Field Tracking: shows the current status related to data collection of the newly added 4 items to the ICTRP dataset
3. Google Analytics report of the ICTRP search portal usage for the last 30 days

### 5) WHO による Web 会議 (2018.3)

さらに、2018 年 3 月に開催された web 会議では、6 か国が参加して、資料 5 のような対応状況が報告された。

### 6) 臨床研究登録の新しい登録項目・電子的様式

資料 6 が①新法の制度上必要な項目、②従来の臨床試験登録制度の項目、そして③WHO (ICTRP International Clinical Trials Registry Platform) が新しく報告を求めている 3 項目をすり合わせて作成された登録項目案である。表中の「条文」が①、「WHO1.1」が②、「WHO1.3」が③である。

「条文」は臨床研究法の何条に記載されているかを表す。「WHO1.1」の欄に書かれている番号については資料 6 を参考にされたい。「WHO1.3」は WHO が公開している最新のフォーマットである。この欄の番号については資料 7 を参考にされたい。

また資料 8 として、臨床試験結果の公開に関する WHO 声明 (2015.4.14) を、資料 9 では臨床試験からの結果公開に関する共同声明 (2017.5.18) を掲載した。

### D. 考察

臨床研究登録の新しい登録項目・電子的様式



案の作成にあたっては、国内外の臨床試験登録機関のデータ項目等を参考にし、採否を検討した。

米国の登録情報等と比較して、WHO のデータフォーマット 1.3 は先進的なものではなく、欠点も散見される。具体例として、上記フォーマットでは IPD の共有に関してはその計画があるかないかを答えたのちに、構造化がされていない平文で内容について記載することになっている（資料 7 の 24a、24b）。しかし、2015 年の段階で世界の医療用医薬品売上の上位 10 社はすべて IPD データを構造化された形で登録、公開しており、医薬品名や対象疾患名、スポンサー名等で検索を可能にしている。WHO が IPD の共有について具体的な提案をした時期が 2016 年であり、現実の臨床試験登録情報の潮流に追随できているとはいえない状況である。ゆえに、各レジストリは今後もフォーマットの改善のために時宜に応じて積極的な議論をすべきであると考えられる。

## E. 結論

臨床研究登録機関の結果公開への対応に関して、主要機関の統一性はなかったが、日本は対応が遅れており、新データセット ver.1.3 に沿って、登録項目を検討し、国際的な潮流に合わせる必要

がある。

## F. 健康危険情報

特になし

## G. 研究発表

### 1. 論文発表

特になし

### 2. 学会発表

特になし

## H. 知的財産権の出願・登録状況

(予定を含む。)

### 1. 特許取得

特になし

### 2. 実用新案登録

特になし

### 3. その他

特になし

## WHO Data Set

[WHO Registry Criteria](#) | [WHO Data Set](#) | [Primary Registries](#) | [Partner Registries](#)

### WHO Trial Registration Data Set (Version 1.3)

[Access the archive of previous versions](#)

The minimum amount of trial information that must appear in a register in order for a given trial to be considered fully registered. There are currently 24 items in the WHO Trial Registration Data Set. It is sometimes referred to as the TRDS.

#### 1. Primary Registry and Trial Identifying Number

Name of Primary Registry, and the unique ID number assigned by the Primary Registry to this trial.

#### 2. Date of Registration in Primary Registry

Date when trial was officially registered in the Primary Registry.

特に追加された項目を示す (21–24)。

#### 21. Ethics Review

The ethics review process information of the trial record in the primary register database. It consists of:

1. Status (possible values: Not approved, Approved, Not Available)
2. Date of approval
3. Name and contact details of Ethics committee(s)

#### 22. Completion date

Date of study completion: The date on which the final data for a clinical study were collected (commonly referred to as, "last subject, last visit").

#### 23. Summary Results

It consists of:

1. Date of posting of results summaries
2. Date of the first journal publication of results
3. URL hyperlink(s) related to results and publications
4. Baseline Characteristics: Data collected at the beginning of a clinical study for all participants and for each arm or comparison group. These data include demographics, such as age and sex, and study-specific measures.
5. Participant flow: Information to document the progress and numbers of research participants through each stage of a study in a flow diagram or tabular format.
6. Adverse events: An unfavorable change in the health of a participant, including abnormal laboratory findings, and all serious adverse events and deaths that happen during a clinical study or within a certain time period after the study has ended. This change may or may not be caused by the intervention being studied.
7. Outcome measures: A table of data for each primary and secondary outcome measure and their respective measurement of precision (eg a 95% confidence interval) by arm (that is, initial assignment of participants to arms or groups) or comparison group (that is, analysis groups), including the result(s) of scientifically appropriate statistical analyses that were performed on the outcome measure data, if any.
8. URL link to protocol file(s) with version and date
9. Brief summary

#### 24. IPD sharing statement

Statement regarding the intended sharing of deidentified individual clinical trial participant-level data (IPD). Should indicate whether or not IPD will be shared, what IPD will be shared, when, by what mechanism, with whom and for what types of analyses. It consists of:

1. Plan to share IPD (Yes, No, Undecided)
2. Plan description

各項目の詳細は以下の通りである。

#	大項目	小項目	データ定義	データ形式
1	参加者の流れ	フローチャート	results_participant_flow, results_actual_enrolment	進捗や対象者の数のフローチャート
2	募集	追跡期間	results_date_completed	年、単位
3	結果	ベースラインデータ	results_baseline_char	すべての特徴。年齢、性別など、人口動態を含む
4		アウトカムと推定	results_outcome_measures	事象、変数、経験
5		有害事象	results_adverse_events	数、割合、死亡、検査値異常
6	アウトカムと推定	主要アウトカム	results_outcome_measures	事象、変数、経験
7	倫理調査	倫理審査の状況	Ethics Review(status)	ステータス (未承認、承認済、NA)
8		倫理審査の提出日	Ethics Review(approval date)	年、月、日
9		倫理審査の連絡先	Ethics Review(contact name, address, phone, email)	倫理委員会の名前と連絡先
10	出版	投稿日	results_date_posted	年、月、日
11		最初の出版日	results_date_first_publication	年、月、日
12		結果の URL	results_url_link	結果の URL のハイパーリンク
13		プロトコルの URL	results_url_protocol	プロトコルの URL のハイパーリンク
14		サマリー	results_summary	簡単な要約
15	参加者データの共有	IPD 共有の計画	results_IPD_plan	いつ、どのような仕組みでどのような分析を行うか
16		計画の説明	results_IPD_description	IPD の共有の説明 (はい、いいえ、未定)

## ClinicalTrials.gov Results Data Element Definitions for Interventional and Observational Studies

June 29, 2017

This document describes the definitions for results data elements submitted to ClinicalTrials.gov for interventional studies (clinical trials) and observational studies. These definitions are mostly adapted from [42 CFR Part 11](#).

Data element entries are annotated with symbols to indicate generally what information is required to be submitted and under which circumstances. The responsible party must ensure that the information provided complies with any applicable laws, regulations, or policies. For more information about various requirements and definitions of regulatory terms under 42 CFR Part 11, see [Support Materials](#).

**Note:** The term "clinical study" is used to refer to both interventional and observational studies. The term "participant" is used to refer to a human subject.

---

\* Required

\*§ Required if Primary Completion Date is on or after January 18, 2017

[\*] Conditionally required

---

### ▼ 1. Participant Flow

Information to document the progress of research participants through each stage of a study in a tabular format, including the number of participants who started and completed the clinical study. (Identical in purpose to a [CONSORT flow diagram](#), but represented as tables).

The tabular presentation may be separated into "periods," each of which comprises an interval of study activity. Each period consists of "milestones" for reporting numbers of participants at particular points in time within that period.

#### **Recruitment Details**

Definition: Key information relevant to the recruitment process for the overall study, such as dates of the recruitment period and types of location (For example, medical clinic), to provide context.

Limit: 350 characters.

#### **Pre-assignment Details [\*]**

Definition: Description of significant events in the study (for example, wash out, run-in) that occur after participant enrollment, but prior to assignment of participants to an arm or group, if any. For example, an explanation of why enrolled participants were excluded from the study before assignment to arms or groups.

Limit: 350 characters.

#### **Arm/Group Information \***

Definition: Arms or groups for describing the flow of participants through the clinical study. In general, it must include each arm to which participants were assigned.

##### **Arm/Group Title \***

Definition: Descriptive label used to identify each arm or group.

Limit: >=4 and <= 62 characters.

##### **Arm/Group Description \*§**

Definition: Brief description of each arm or group. In general, it must include sufficient details to understand each arm to which participants were assigned and the intervention strategy used in each arm.

Limit: 999 characters.

ClinicalTrials.gov の項目の詳細

#	大項目	小項目	データ定義 (日本語)	データ定義 (英語)	データ形式
1	参加者 フロー	リクルート詳細	コンテキストを提供するために、募集期間の日付や場所のタイプ (例えば、診療所) など、全体的な調査の募集プロセスに関連する重要な情報。制限: 350 文字。	Key information relevant to the recruitment process for the overall study, such as dates of the recruitment period and types of location (For example, medical clinic), to provide context. Limit: 350 characters.	日付、場所、期間など
2		事前割当ての詳細	参加者の登録後であって、参加者がアームやグループに割り当てられている場合は、その前に発生する重要なイベントの説明。例えば、登録された参加者が、アームやグループに割り当てられる前に、研究から除外された理由の説明。制限: 350 文字。	Description of significant events in the study (for example, wash out, run-in) that occur after participant enrollment, but prior to assignment of participants to an arm or group, if any. Limit: 350 characters.	イベントの説明、記述
3		アームグループ情報	臨床研究を通じて参加者の流れを記述するアームまたはグループ。一般に、参加者が割り当てられた各アームを含む必要があります。	Arms or groups for describing the flow of participants through the clinical study.	記述
4		アームグループタイトル	各アームまたは群を識別するために使用される説明的なラベル。制限: 4 文字以上 62 文字以下。	Descriptive label used to identify each arm or group. Limit: >=4 and <= 62 characters	記述
5		アームグループ説明	各アームまたはグループの簡単な説明。一般に、参加者が割り当てられた各アームと、各アームに使用される介入戦略を理解するのに十分な詳細を含める必要があります。制限: 999 文字。	Brief description of each arm or group. In general, it must include sufficient details to understand each arm to which participants were assigned and the intervention strategy used in each arm. Limit: 999 characters.	記述
6		割当てられるユニットのタイプ	参加者が参加者以外のユニットに基づいている場合は、割り当て単位 (目、病変、インプラントなど) の説明。制限: 40 文字。	If assignment is based on a unit other than participants, a description of the unit of assignment (for example, eyes, lesions, implants). Limit: 40 characters.	記述
7		期間	特定の重要な事象または時点における参加者の数が報告されている臨床研究の離散段階。	Discrete stages of a clinical study during which numbers of participants at specific significant events or points of time are reported.	期間、時間、数
8		期間タイトル	研究の段階のタイトル。1 期間の場合、デフォルトのタイトルは Overall Study。研究に複数の期間がある場合、期間タイトルは Overall Study ではない。制限: 40 文字。	Title describing a stage of the study. If only one period is defined, the default title is Overall Study. When a study has more than one period, none of the Period Titles should be Overall Study. Limit: 40 characters.	記述
9		開始	期間を開始する参加者の数。最初の期間では、それは各アームまたはグループに割り当てられた参加者の数。割当てが参加者以外の単位に基づいている場合は、期間の初めに単位数も含めます。	Number of participants initiating the period. In the first period, it is the number of participants assigned to each arm or group. If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units at the beginning of the period.	開始参加者の数

10		完了	期間終了時の参加者の数。 割り当てが参加者以外の単位に基づいている場合は、期間の最後に単位数も含めます。	If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units at the end of the period.	終了参加者の数
11		完了していない (自動計算)	研究または期間を完了しなかった参加者の数（および該当する場合は、単位）。 これは、開始から完了を引いて自動的に計算されます。	Number of participants (and units, if applicable) that did not complete the study or period. This is calculated automatically by subtracting Completed from Started.	期間中に終了しなかった参加者の数
12		追加マイルストーン	参加者の数（必要に応じて、単位）が報告されたときの研究における特定の事象または時点。1 期間あたりのマイルストーン数に制限はないが、各期間に2つのマイルストーン、開始と完了が必要。	While there is no limit to the number of milestones that may be used in a single period, data are required for two milestones, Started and Completed, within each period.	期間内の開始と完了
13		マイルストーンタイトル	マイルストーンを説明するタイトル。 制限：40 文字。	Label describing the milestone Limit: 40 characters.	記述
14		マイルストーンデータ	マイルストーンに到達する参加者の数、各アーム/グループ。 割り当てが参加者以外の単位に基づいている場合は、マイルストーンに到達する単位数も含める。	Number of participants to reach the milestone, in each arm/group. If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units to reach the milestone.	マイルストーンに到達する参加者の数
15		未完了の理由	研究または期間を完了しなかった参加者に関する追加情報。 理由が提示されている場合は、未完了として記載されている参加者の総数は、未完了のすべての理由によって説明されなければなりません。	Additional information about participants who did not complete the study or period. If reasons are provided, the total number of participants listed as Not Completed must be accounted for by all reasons for non-completion.	記述
16		その他の理由	その他の理由が完了していない理由」が選択されている場合、未完了の理由の簡単な説明。 制限：40 文字。	A brief description of the reason for non-completion, if "Other" Reason Not Completed Type is selected. Limit: 40 characters.	記述
17		未完了の理由のデータ	完了していない各理由について、研究または期間を完了しなかった各アームまたはグループの参加者の数。	Number of participants in each arm or group that did not complete the study or period, for each Reason Not Completed.	期間を完了しなかった各アームまたはグループの参加者の数。
18	ベースライン特性	アームグループ情報	事前指定されたプロトコルおよび/または統計分析計画で指定されたベースラインで評価されたすべての参加者を含む、研究のアームまたは比較グループ。	Arms or comparison groups in the study, including all participants assessed at baseline as specified in the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.	アーム、比較グループのデータ
19		アームグループタイトル	各アームまたは比較群を識別するために使用される説明的なラベル。 制限：>= 4 および<= 62 文字	Descriptive label used to identify each arm or comparison group. Limit: >= 4 and <= 62 characters.	記述

20	アームグループ説明	各アームまたは比較グループの簡単な説明。一般に、参加者が参加者フロー（異なる場合）に割り当てられたアームや各アーム/グループの介入戦略からアームや比較グループがどのように導出されたかを理解するのに十分な詳細を含める必要があります。 制限：999文字。	Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow (if different) and the intervention strategy in each arm/group. Limit: 999 characters.	記述
21	参加者総数	ベースライン特性が測定された参加者の総数。各アーム/グループおよび全体として。	Total number of participants for whom baseline characteristics were measured, in each arm/group and overall.	参加者数
22	分析対象ユニット数	分析が参加者以外のユニットに基づいている場合、ベースライン測定値が測定され、分析されたユニットの数（各アーム/グループおよび全体）。	If the analysis is based on a unit other than participants, the number of units for which baseline measures were measured and analyzed, in each arm/group and overall.	各アームのユニット数
23	分析対象ユニット種類	分析が参加者以外のユニットに基づいている場合、分析単位の説明（目、病変、インプラントなど）。 制限：40文字。	If the analysis is based on a unit other than participants, a description of the unit of analysis (for example, eyes, lesions, implants). Limit: 40 characters.	各アームのユニットの種類
24	ベースライン分析集団の説明	ベースライン参加者（またはユニット）の総数が、アームまたは比較グループに割り当てられた参加者（またはユニット）の数と全体的に異なる場合、分析の仕組みなどの違いの理由の簡単な説明集団を決定した。 制限：350文字。	If the Overall Number of Baseline Participants (or units) differs from the number of participants (or units) assigned to the arm or comparison group and overall, a brief description of the reason(s) for the difference such as how the analysis population was determined. Limit: 350 characters.	記述
25	ベースライン測定情報	臨床研究で測定された各ベースラインまたは人口統計的特徴の記述。必要なベースライン指標には、年齢、性別、人種、民族性（プロトコルの下で収集された場合）、およびベースライン時に評価され、主要アウトカム指標の分析に使用されるその他の尺度が含まれる。	A description of each baseline or demographic characteristic measured in the clinical study. Required baseline measures include Age, Sex/Gender, Race, Ethnicity (if collected under the protocol), and any other measure(s) that were assessed at baseline and used in the analysis of the primary outcome measure(s).	各ベースラインまたは人口統計的特徴の記述
26	ベースライン指標タイトル	臨床試験で測定されたベースラインまたは人口統計的特徴の名前。必要な数だけ選択します。	The name of the baseline or demographic characteristic measured in the clinical study. Select as many as needed.	人口統計的特徴の名前
27	研究に特有のベースライン指標	「Study-Specific Measure」が選択されている場合は、メジャーの名前を入力します。 制限：100文字。	If "Study-Specific Measure" is chosen, provide the name of the measure. Limit: 100 characters.	記述
28	ベースラインの指標説明	特定のベースライン指標を特徴づけるために使用される指標の説明など、ベースライン指標に関する追加の説明的情報。 制限：600文字。	Additional descriptive information about the baseline measure, such as a description of the metric used to characterize the specific baseline measure. Limit: 600 characters.	記述

29	メジャータイプ* 1つ選択	ベースライン指標のデータタイプ。 一つ選択してください。	The type of data for the baseline measure. Select one.	選択式
30	分散尺度* 1つ選択	一つ選択してください。	Select one.	選択式
31	ベースライン参加者数	基本尺度について分析された参加者の数。ベースライン参加者の総数と、各アーム/グループおよび全体で異なる場合。	The number of participants analyzed for the baseline measure, if different from the Overall Number of Baseline Participants, in each arm/group and overall.	基本尺度について分析された参加者の数
32	分析対象ユニット数	分析されたユニットの総数と、各アーム/グループおよび全体としてのベースライン尺度について分析されたユニットの数。	The number of units analyzed for the baseline measure, if different from the Overall Number of Units Analyzed, in each arm/group and overall.	ユニットの数、総数
33	分析集団タイプ	ベースライン測定分析が参加者または参加者以外のユニットに基づいているかどうかを示します。Type of Units Analyzed が指定されている場合にのみ適用されます。参加者/その他のユニットを選択します。	Indicate whether the baseline measure analysis is based on participants or units other than participants. Only applies if Type of Units Analyzed is specified. Select Participants/Other Units.	選択式
34	測定分析集団の説明	Participants [または Units] Analyzed の総数と異なる場合、分析のための参加者 (またはユニット) の数がどのように決定されたかの説明。 制限: 350 文字。	Explanation of how the number of participants (or units) for analysis was determined, if different from the Overall Number of Participants [or Units] Analyzed. Limit: 350 characters.	記述
35	カテゴリまたはタイトル	ベースライン指標の異なるカテゴリまたは行の名前 (存在する場合)。カテゴリタイトルは、「参加者の数」または「ユニットの数」のメジャータイプを使用してデータを要約する排他的かつ徹底的なカテゴリのためだけです。行タイトルは、あらゆる種類のデータ用です。 制限: 50 文字。	Name of distinct category or row for a baseline measure, if any. Category Titles are only for mutually exclusive and exhaustive categories summarizing data using the Measure Type of a "Count of Participants" or "Count of Units." Row Titles are for any type of data. Limit: 50 characters.	記述
36	ベースライン測定データ	各尺度 (各アーム/群および全体) の値。	The value(s) for each baseline measure, for each arm/group and overall.	各尺度の値
37	NA 説明	ベースライン測定データに対して「NA」が報告された場合、ベースライン測定データが利用できない理由を説明します。 制限: 250 文字。	Explain why baseline measure data are not available, if "NA" is reported for Baseline Measure Data. Limit: 250 characters.	記述
38	測定単位	各ベースライン指標について、データ (例: 参加者、mm Hg) によって量化されたものの説明。 制限: 40 文字。	An explanation of what is quantified by the data (for example, participants, mm Hg), for each baseline measure. Limit: 40 characters.	記述
39	結果の措置	結果測定情報	各成果測定の説明。	A description of each outcome measure.
40		結果測定タイプ* 1つ選択	結果の尺度のタイプ。一つ選択してください。	The type of outcome measure. Select one.
41		結果測定タイトル	特定のアウトカム指標の名前。 制限: 255 文字。	Name of the specific outcome measure. Limit: 255 characters.



42	結果測定 の説明	アウトカムメジャータイトルに含まれていない場合、特定のアウトカムメジャーを特徴付けるために使用されるメトリックの説明を含むアウトカムメジャーに関する追加情報。 制限：999文字	Additional information about the outcome measure, including a description of the metric used to characterize the specific outcome measure, if not included in the Outcome Measure Title. Limit: 999 characters.	記述
43	結果測定 時間枠	使用された特定のメトリックについて測定が評価された時点。査定の時点の記述は、結果の尺度に固有でなければならず、一般的に各参加者が査定される特定の期間です（研究の全期間ではありません）。 制限：255文字	Time point(s) at which the measurement was assessed for the specific metric used. The description of the time point(s) of assessment must be specific to the outcome measure and is generally the specific duration of time over which each participant is assessed (not the overall duration of the study). Limit: 255 characters.	記述
44	予想報告 日	アウトカムメジャーデータがアウトカムメジャーに含まれていない場合、それらが提出される予定の月と年を指定します。	If Outcome Measure Data are not included for an outcome measure, provide the expected month and year they will be submitted.	予定の年と 月
45	アームグ ループ情 報	予め指定されたプロトコルおよび/または統計分析計画に基づく全ての群または比較群を含む、研究におけるアームまたは比較群。	Arms or comparison groups in the study, including all arms or comparison groups based on the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.	記述
46	アームグ ループタ イトル	各アームまたは比較群を識別するために使用される説明的なラベル。 制限：>=4 および<=62文字。	Descriptive label used to identify each arm or comparison group. Limit: >= 4 and <= 62 characters.	記述
47	アームグ ループ説 明	各アームまたは比較グループの簡単な説明。一般に、参加者フロー（異なる場合）に参加者が割り当てられたアームおよび各アーム/グループの介入戦略からアームまたは比較グループがどのように導出されたかを理解するのに十分な詳細を含める必要があります。 制限：999文字。	Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow (if different) and the intervention strategy in each arm/group. Limit: 999 characters.	記述
48	分析対象 の総数	アウトカム指標が測定され、分析された参加者の数。各アウトカム指標および各群/グループ。	Number of participants for whom an outcome measure was measured and analyzed, for each outcome measure and each arm/group.	アウトカム 指標が測定 され、分析 された参加 者の数
49	分析対象 ユニット 種類	分析が参加者以外のユニットに基づいている場合、分析単位の説明（目、病変、インプラントなど）。 制限：40文字。	If the analysis is based on a unit other than participants, a description of the unit of analysis (for example, eyes, lesions, implants). Limit: 40 characters.	記述
50	分析対象 ユニット 数	分析が参加者以外のユニットに基づいている場合、各結果測定値および各群/群について、結果が測定および分析された単位の数。	If the analysis is based on a unit other than participants, the number of units for which an outcome was measured and analyzed, for each outcome measure and each arm/group.	対象ユニッ ト数

51	分析集団の説明	分析された参加者数または分析されたユニット数が、アームまたは比較グループに割り当てられた参加者またはユニットの数と異なる場合、その差の理由の簡単な説明（分析集団の決定方法など）。 制限：350文字。	If the Number of Participants Analyzed or Number of Units Analyzed differs from the number of participants or units assigned to the arm or comparison group, a brief description of the reason for the difference (such as how the analysis population was determined). Limit: 350 characters.	記述
52	メジャータイプ* 1つ選択	アウトカムメジャーのデータのタイプ。一つ選択してください。	The type of data for the outcome measure. Select one.	選択式
53	分散精度の尺度* 1つ選択	一つ選択してください。	Select one.	選択式
54	その他の信頼区間レベル	「その他の信頼区間レベル」が選択されている場合、信頼区間レベルの数値。結果測定の説明でこのレベルを選択するための論理的根拠を提供してください。	The numerical value for the confidence interval level, if "Other Confidence Interval Level" is selected. Provide a rationale for choosing this level in the Outcome Measure Description.	信頼区間レベルの数値
55	カテゴリまたはタイトル	アウトカム指標（存在する場合）の異なるカテゴリまたは行の名前。カテゴリタイトルは、「参加者の数」または「ユニットの数」のメジャータイプを使用してデータを要約する排他的で包括的なカテゴリの場合にのみ適用されます。行タイトルは、あらゆる種類のデータ用です。 制限：50文字。	Name of distinct category or row for an outcome measure, if any. Category Titles are only for mutually exclusive and exhaustive categories summarizing data using the Measure Type of a "Count of Participants" or "Count of Units". Row Titles are for any type of data. Limit: 50 characters.	記述
56	分析対象者数	分析された参加者の総数と異なる場合、行の結果尺度および各アーム/グループについて分析された参加者の数。 制限：50文字。	The number of participants analyzed for the outcome measure in the row and for each arm/group, if different from the overall Number of Participants Analyzed. Limit: 50 characters.	記述
57	分析対象ユニット数	分析されたユニットの総数と異なる場合、行および各アーム/グループの結果尺度について分析されたユニットの数。	The number of units analyzed for the outcome measure in the row and for each arm/group, if different from the overall Number of Units Analyzed.	ユニット数
58	結果データ	各カテゴリ/行および各アーム/グループを含む各成果測定値の測定値。	The measurement value(s) for each outcome measure, including each category/row and each arm/group.	成果の測定値
59	NA説明	結果データに「NA」が報告された場合、結果測定データが利用できない理由を説明します。 制限：250文字。	Explain why outcome measure data are not available, if "NA" is reported for Outcome Data. Limit: 250 characters.	記述
60	測定単位	各成果尺度のデータ（例：参加者、mm Hg）によって定量化されたものの説明。 制限：40文字	An explanation of what is quantified by the data (for example, participants, mm Hg), for each outcome measure. Limit: 40 characters.	記述

61	統計分析	第1次および第2次結果の統計的有意性に関する科学的に適切なテスト結果 (該当する場合)。そのような分析には、プロトコルおよび/または統計分析計画にあらかじめ指定されたもの、スポンサーまたは責任者によって一般に公開されたFDAの要請に応じて第一次アウトカム指標を実施した。 統計分析が報告された場合、「比較グループ選択」と「統計テストのタイプ」が必要です。さらに、「P値」、「推定パラメータ」または「その他の統計分析」という関連情報とともに、次のデータ要素の1つが必要です。	Result(s) of scientifically appropriate tests of statistical significance of the primary and secondary outcome measures, if any. Such analyses include: pre-specified in the protocol and/or statistical analysis plan; made public by the sponsor or responsible party; conducted on a primary outcome measure in response to a request made by FDA. If a statistical analysis is reported "Comparison Group Selection" and "Type of Statistical Test" are required. In addition, one of the following data elements are required with the associated information: "P-Value," "Estimation Parameter," or "Other Statistical Analysis."	記述
62	統計分析の概要	実行された分析の概要説明	Summary description of the analysis performed.	記述
63	比較グループ選択	統計分析に含まれるアームまたは比較グループ (すべてをチェックして「オムニバス」分析を示す)。	The arms or comparison groups involved in the statistical analysis (check all to indicate an "omnibus" analysis).	記述
64	統計テストの種類 * 1つ選択	分析のタイプを識別します。一つ選択してください。	Identifies the type of analysis. Select one.	選択式
65	仮説の統計的検定	結果データおよび計算されたp値の統計分析に使用される手順。	Procedure used for statistical analysis of outcome data and the calculated p-value.	統計分析の手順
66	P値	帰無仮説を仮定して計算されたp値	Calculated p-value given the null-hypothesis	P値
67	メソッド * 1つ選択	P値が報告された場合にp値を計算するために使用される統計的テスト。一つ選択してください	The statistical test used to calculate the p-value, if a P-Value is reported. Select one.	選択式
68	その他のメソッド名	"その他"を選択した場合は、統計テストの名前を入力します。 制限: 40文字。	If "Other" is selected, provide name of statistical test. Limit: 40 characters.	記述
69	推定方法	介入の効果を推定するために使用される手順。	Procedure used to estimate effect of intervention.	手順
70	測定パラメーター	一つ選択してください。	Select one.	選択式
71	その他のパラメーター	その他の推定パラメーターの場合、そのパラメーターの名前。 制限: 40文字。	The name of the estimation parameter, if "Other" Estimation Parameter is selected. Limit: 40 characters.	記述
72	見積もり値	推定パラメーターの計算値	The calculated value for the estimation parameter.	推定パラメーターの計算値

73		レベル	パーセンテージで表されます。	Expressed as a percentage.	パーセンテージで表されます。
74		辺の数	片面または両面を選択します。	Select 1-sided or 2-sided.	片方 or 両方
75		下限	信頼区間が「両側」である場合、または信頼区間が「片側」であり、上限が入力されていない場合は必須です。	Required if confidence interval is "2-sided" or if confidence interval is "1-sided" and no Upper Limit is entered.	信頼区間
76		上限	信頼区間が「両側」である場合、または信頼区間が「片側」で下限が入力されていない場合は必須です。	Required if confidence interval is "2-sided" or if confidence interval is "1-sided" and no Lower Limit is entered.	信頼区間
77		NA 説明	"両面"信頼区間の上限として "NA" が報告された場合、上限データが利用できない理由を説明する。 制限：250 文字。	Explain why the upper limit data are not available, if "NA" is reported as upper-limit of "2-sided" confidence interval. Limit: 250 characters.	記述
78		パラメータ分散タイプ* 1つ選択	一つ選択してください。	Select one.	選択式
79		分散値	推定パラメータの分散の計算値。	The calculated value for the dispersion of the estimated parameter.	推定されたパラメータの分散の計算値
80		見積もりコメント	比較の方向を含む、他の関連する推定情報（例えば、相対リスクの分子および分母を表すアームまたは比較グループを記述する）。 制限：250 文字。	Any other relevant estimation information, including the direction of the comparison (for example, describe which arm or comparison group represents the numerator and denominator for relative risk). Limit: 250 characters.	記述
81		その他の統計分析	仮説の統計的検定または推定の方法のオプションを使用して統計分析を提出できない場合は、統計的有意性に関する他の科学的に適切な検査の説明と結果を提供する。	If the statistical analysis cannot be submitted using the Statistical Test of Hypothesis or Method of Estimation options, provide a description and the results of any other scientifically appropriate tests of statistical significance.	記述
82	有害事象	時間枠	有害事象データが収集された期間。 制限：500 文字。	The specific period of time over which adverse event data were collected. Limit: 500 characters.	記述

83	有害事象報告の説明	<p>臨床試験で収集された有害事象情報が、以下の有害事象の定義とは異なる有害事象および/または重大な有害事象の異なる定義に基づいて収集される場合、その定義がどのように異なるかについて簡単に説明する。また、有害事象収集に関する追加の関連情報を提供するために使用することができます（例：毎日のアンケートなど）、分析集団がどのように決定されたかに関する情報（リスクのある参加者の数がアームまたは比較群に割り当てられた参加者の数）。</p> <p>制限：500文字。</p>	<p>If the adverse event information collected in the clinical study is collected based on a different definition of adverse event and/or serious adverse event than the Adverse Events definition below, a brief description of how the definitions differ. May also be used to provide any additional relevant information about adverse event collection, including details about the method of systematic assessment (for example, daily questionnaire) or information about how the analysis population was determined (if the Number of Participants at Risk differs from the number of participants assigned to the arm or comparison group). Limit: 500 characters.</p>	記述
84	テーブルデフォルトのソースボキャブラリ名	<p>標準用語、統制された語彙、または有害事象用語がある場合はその分類およびバージョン（例えば、SNOMED CT、MedDRA 10.0）。ソース・ボキャブラリのデフォルト値「重大な有害事象」および「重大な有害事象を含まないその他の有害事象」表に入力されたすべての有害事象の用語に適用される名前。必要に応じて、特定の有害事象条件に対してソース語彙名を指定することもできます。</p> <p>制限：20文字。</p>	<p>Standard terminology, controlled vocabulary, or classification and version from which adverse event terms are drawn, if any (for example, SNOMED CT, MedDRA 10.0). Default value for Source Vocabulary Name to be applied to all adverse event terms entered in the "Serious Adverse Event" and "Other (Not Including Serious) Adverse Event" tables. If necessary, Source Vocabulary Name may also be specified for specific Adverse Event Terms. Limit: 20 characters.</p>	記述
85	テーブルデフォルト*1つ選択	<p>有害事象情報を収集するためにとられるアプローチのタイプ。「重大な有害事象」または「重大な有害事象を含まないその他の有害事象」表に入力されたすべての有害事象条件に適用される有害事象情報を収集するために取られるアプローチのタイプのデフォルト値（システマティックまたは非システマティック・アセスメント）。必要に応じて、特定の有害事象条件についても回収方法を指定することができる。一つ選択してください。</p>	<p>The type of approach taken to collect adverse event information. Default value for the type of approach taken to collect adverse event information (Systematic or Non-Systematic Assessment) to be applied to all adverse event terms entered in the "Serious Adverse Event" or "Other (Not Including Serious) Adverse Event" tables. If necessary, Collection Approach may also be specified for specific Adverse Event Terms. Select one.</p>	記述
86	アームグループ情報	<p>予め指定されたプロトコルおよび/または統計分析計画に基づく全ての群または比較群を含む、研究におけるアームまたは比較群。</p>	<p>Arms or comparison groups in the study, including all arms or comparison groups based on the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.</p>	記述
87	アームグループタイトル	<p>各アームまたは比較群を識別するために使用されるラベル。 制限：&gt;=4 および&lt;=62文字。</p>	<p>Label used to identify each arm or comparison group. Limit: &gt;=4 and &lt;= 62 characters.</p>	記述

88	アームグループ説明	各アームまたは比較グループの簡単な説明。一般に、参加者フローで参加者が割り当てられたアームおよび各アーム/グループの介入戦略からアームまたは比較グループがどのように導出されたかを理解するのに十分な詳細を含める必要があります。制限：999文字。	Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow and the intervention strategy in each arm/group. Limit: 999 characters.	記述
89	有害事象	研究に参加した人に一時的に関連する異常な兆候（例：異常な身体検査や検査所の所見）、症状、または疾患を含む、参加者の不都合な、または不利な医学的発生参加者の研究への参加。	Any untoward or unfavorable medical occurrence in a participant, including any abnormal sign (for example, abnormal physical exam or laboratory finding), symptom, or disease, temporally associated with the participant's participation in the research, whether or not considered related to the participant's participation in the research.	症状など
90	全死亡率の影響を受ける総数	何らかの原因で死亡した各アーム/群の全体的な参加者数。	Overall number of participants, in each arm/group, who died due to any cause.	死亡者数
91	全死亡率のリスク総数	すべての原因による死亡の評価（全原因死亡率の頻度を計算するための分母）に含まれる、各群/群の全参加者数。	Overall number of participants, in each arm/group, included in the assessment of deaths due to any cause (that is, the denominator for calculating frequency of all-cause mortality).	死亡率
92	重大な有害事象の影響を受けた総数	1つまたは複数の重篤有害事象の影響を受けた参加者の総数。		有害事象数
93	重大な有害事象	重篤な有害事象の評価に含まれる参加者の総数（重篤な有害事象の頻度を算出するための分母）、各群/群。	Overall number of participants affected by one or more Serious Adverse Events, for each arm/group.	有害事象数
94	他の有害事象の報告頻度閾値	他の（重大ではない）有害事象が、他の（重大ではない）有害事象の表で報告されるべきアームまたは比較群内で超えなければならない事象の発生頻度を指定する。頻度しきい値の数は、許容最大値（5%）以下でなければなりません。データフィールドに記号（例：>や%）を含めないでください。パーセント記号で表されます。	Specify the frequency of occurrence that an Other (Not Including Serious) Adverse Event must exceed, within any arm or comparison group, to be reported in the Other (Not Including Serious) Adverse Event table. The number for the frequency threshold must be less than or equal to the allowed maximum (5%). Do not include symbols (for example, > or %) in the data field, it will be expressed as a percentage.	有害事象の%

95	頻度閾値以上の他の有害事象の影響を受けた総数	表に報告された少なくとも1つのその他の（重大なものを除く）有害事象によって、各群/群について影響を受けた参加者の総数。この表に報告された有害事象は、少なくとも1つのアームまたは比較群において、指定された頻度閾値（例えば、5%）を超える頻度で発生した有害事象である。	Overall number of participants affected, for each arm/group, by at least one Other (Not Including Serious) Adverse Event(s) reported in the table. Adverse events reported in the table are those that occurred at a frequency exceeding the specified Frequency Threshold (for example, 5%) within at least one arm or comparison group.	有害事象数
96	重大な有害事象を含まない有害事象	研究中のその他の（有害な重大な）有害事象の評価に含まれる各群/群の全参加者数（すなわち、重篤な有害事象を含まない）の頻度を計算するための分母）。	Overall number of participants, for each arm/group, included in the assessment of Other (Not Including Serious) Adverse Events during the study (that is, the denominator for calculating frequency of Other (Not Including Serious) Adverse Events).	有害事象数
97	有害事象期間	有害事象の記述語句。 制限：100文字。	Descriptive word or phrase for the adverse event. Limit: 100 characters.	期間の記述
98	オルガンシステム	身体または臓器システムによって有害事象の用語をグループ化するために使用される上位レベルのカテゴリ。一つ選択してください。	High-level categories used to group adverse event terms by body or organ system. Select one. (Adverse events that affect multiple systems should be classified as "General disorders.")	選択式
99	有害事象用語追加の説明	有害事象に関する追加の関連情報。 制限：250文字。	Additional relevant information about the adverse event. Limit: 250 characters.	記述
100	ソースボキャブラリー名	標準用語、統制された語彙、または有害事象用語がある場合はその分類およびバージョン（例：SNOMED CT、MedDRA 10.0）。空白のままにすると、Table Default の Source Vocabulary として指定された値を使用する必要があります。 制限：20文字。	Standard terminology, controlled vocabulary, or classification and version from which adverse event terms are drawn, if any (for example, SNOMED CT, MedDRA 10.0). Leave blank to indicate that the value specified as the Source Vocabulary for Table Default should be used. Limit: 20 characters.	記述
101	コレクションアプローチ* 1つ選択 or 空白	有害事象情報を収集するためにとられるアプローチのタイプ。表のデフォルトの評価タイプとして指定された値を使用することを示す場合は、1つを選択するか空白のままにします。	The type of approach taken to collect adverse event information. Select one or leave blank to indicate that the value specified as the Assessment Type for Table Default should be used.	選択式
102	影響を受ける参加者の数	少なくとも1つのイベントが報告されている、各アーム/グループ内の参加者の数。	Number of participants, in each arm/group, experiencing at least one event being reported.	イベント数

103		リスクのある参加者の数	有害事象（有害事象の頻度を計算するための分母）について、各群/群において評価された参加者の数。空白のままにして、テーブルのアーム/グループ内でリスクのある合計の値を使用する必要があることを示します。	Number of participants assessed, in each arm/group, for adverse events (that is, the denominator for calculating frequency of adverse events). Leave blank to indicate that the value specified as the total at risk in the arm/group for the table should be used.	参加者数
104		イベント数	報告されている有害事象の各群/群における発生数。	Number of occurrences, in each arm/group, of the adverse event being reported.	イベント数
105	制限事項と警告	全体的な制限と警告	研究の重大な制限を記述する。このような制限には、目標電力を達成するのに必要な目標数に達することがなく、統計的に信頼性の高い結果や技術的な問題があり、信頼できない、 制限：250文字。	Describe significant limitations of the study. Such limitations may include not reaching the target number of participants needed to achieve target power and statistically reliable results or technical problems with measurements leading to unreliable or uninterpretable data. Limit: 250 characters.	記述
106		すべてのPIのスポンサーは従業員か	主任研究者がスポンサーの従業員であるかどうかを示します。一つ選択してください。	Indicate whether the principal investigator is an employee of the sponsor. Select one.	選択肢
107	特定の契約	PI 開示制限	スポンサーまたはその代理人と何らかの方法で制限する主捜査官（PI）との間で、（臨床研究に参加する参加者のプライバシーを保護する法律の適用可能な条項にのみ適合する契約を除く）合意が存在するかどうかを示す臨床試験の結果を他の公的または私的なフォーラムで議論するPIの能力、または初学期終了後の臨床研究の結果を科学的または学術的なジャーナルに掲載する能力。はい/いいえを選択します。	Indicate whether there exists any agreement (other than an agreement solely to comply with applicable provisions of law protecting the privacy of participants participating in the clinical study) between the sponsor or its agent and the principal investigator (PI) that restricts in any manner the ability of the PI to discuss the results of the clinical study at a scientific meeting or any other public or private forum or to publish in a scientific or academic journal the results of the clinical study, after the Primary Completion Date. Select Yes/No.	はい、いいえを選択
108		PI 開示制限タイプ	結果開示制限に関する追加情報。様々な契約がある場合は、最も制限の厳しい契約（例えば、最大限の禁輸期間の契約）を表す以下の種類を選択します。一つ選択してください。	Additional information about the results disclosure restriction. If there are varying agreements, choose the type below that represents the most restrictive of the agreements (for example, the agreement with the greatest embargo time period). Select one.	選択式
109	結果の接点	名前または公式のタイトル	連絡先の担当者。特定の人物の名前（例：ジェーン・スミス博士）や立場（例：Director of Clinical Trials）。	The person who is designated the point of contact. This may be a specific person's name (for example, Dr. Jane Smith) or a position title (for example, Director of Clinical Trials).	連絡先の人物の名前
110		組織名	指定された個人の所属組織の完全な名前。	Full name of the designated individual's organizational affiliation.	組織名



111		電話番号	指定された個々のオフィスの電話番号。米国およびカナダ内のフォーマット 123-456-7890 を使用してください。米国およびカナダ以外の場合は、国コードを含む完全な電話番号を書く。	Office phone number of the designated individual. Use the format 123-456-7890 within the United States and Canada. If outside the United States and Canada, provide the full phone number, including the country code.	電話番号
112		メール	個々の電子メールアドレス。	Electronic mail address of the designated individual.	メールアドレス
113	遅延 (オプション)	遅延タイプ*1つ選択	いずれかを選択	Select one	選択式
114		介入の名前	証明書が適用される1種類以上の薬物、生物学的製剤またはデバイスの名前を提供します。薬の一般名を使用します。介入の他の種類の簡単な説明的な名前を提供しています。名前(複数可)は、プロトコルに設けられた介入名(複数可)と一致すべきである。	Provide the name of one or more drugs, biological products or devices to which the certification applies. For drugs use generic name; for other types of interventions provide a brief descriptive name. The name(s) entered should match Intervention Name(s) provided in the protocol section.	薬物名
115		FDA 申請番号	遅延結果のタイプが「初回認定」または「新規使用の証明」である場合は、少なくとも1つのFDA申請番号(たとえば、NDA、BLA、またはPMA番号)を指定します(可能な場合)。	Provide at least one FDA application number (for example, NDA, BLA, or PMA number), if available, when Delay Results Type is "Certify Initial Approval" or "Certify New Use."	FDA 申請番号
116		要求された提出日	遅延結果タイプが "拡張"である場合、臨床試験結果情報の提出日の見積り。	Estimate of the date on which the clinical study results information will be submitted, if the Delay Results Type is "Extension".	提出日
117		説明	臨床研究の結果情報は拡張のためとの十分な理由を正当化するのに十分な詳細を、期限に応じて提供することができない理由(複数可)の説明要求の評価を可能にする。特定されていない原因のための「保留中のパブリケーション」とデータ分析の遅延は、拡張の正当な理由とはみなされないことに注意してください。制限: 999文字。	Description of the reason(s) why clinical study results information cannot be provided according to the deadline, with sufficient detail to justify good cause for the extension and to allow for the evaluation of the request. Note that "pending publication" and delays in data analysis for unspecified causes are not considered good cause for an extension. Limit: 999 characters.	記述

資料3 EU- CTR

<b>EudraCT Number:</b> 2015-001216-35		<b>Sponsor Protocol Number:</b> CONCERTAATT4086		<b>Start Date*</b> : 2015-04-24	
<b>Sponsor Name:</b> Johnson & Johnson Taiwan Ltd					
<b>Full Title:</b> From Immediate-release MPH to OROS MPH: The Impact Upon Family of Children and Adolescents With ADHD					
<b>Medical condition:</b> Attention Deficit Hyperactivity Disorder					
<b>Disease:</b>	<b>Version</b>	<b>SOC Term</b>	<b>Classification Code</b>	<b>Term</b>	<b>Level</b>
	18.0	100000004873	10003735	Attention deficit-hyperactivity disorder	LLT
<b>Population Age:</b> Children, Adolescents, Under 18			<b>Gender:</b> Male, Female		
<b>Trial protocol:</b> <a href="#">Outside EU/EEA</a>					
<b>Trial results:</b> <a href="#">View results</a>					

EU- CTR の Trial results は、以下の項目が記載されている。

<b>Summary</b>	
EudraCT number	<a href="#">2010-019261-28</a>
Trial protocol	<a href="#">DE</a>
Global completion date	17 Apr 2012
<b>Paediatric regulatory details</b>	
Is the trial part of an agreed EMA paediatric investigation plan?	No
Is the trial in scope of article 45 of Regulation (EC) No 1901/2006?	No
Is the trial in scope of article 46 of Regulation (EC) No 1901/2006?	No
<b>Results information</b>	
Results version number	v1(current)
This version publication date	29 Jan 2016
First version publication date	29 Jan 2016
Other versions	
Summary report(s)	<a href="#">Synopsis</a>

EU- CTR の項目の詳細

#	項目	データ定義（日本語）	データ定義（英語）	データ形式
1	EudraCT 番号	登録されると、各試験に固有の EudraCT が発行するプロトコルと試験を識別する番号。	number, which identifies the protocol and trial throughout its	プロトコル識別番号（EudraCT 発行）
2	スポンサーのプロトコル番号	プロトコルの固有の識別番号。 例：試験の頭字語と年（MAG 98）。	Unique Identifier number for the Protocol eg Trial acronym and Year (MAG 98).	スポンサーの識別番号
3	開始日	臨床試験が開始された日	The date upon which the clinical trial commenced	開始日
4	スポンサー名	個人、会社、機関、または組織 経営陣の開始、管理、および /または資金調達の実行 臨床試験。	An individual, company, institution, or organization that takes responsibility for the initiation, management, and/or financing of a clinical trial.	名前
5	フルタイトル	研究プロトコルおよびその他の文書で指定されているタイトル Clinical Trial Application の一環として提出されます。	The title as specified in the study protocol and other documents submitted as part of the Clinical Trial Application.	記述
6	医学的状態	調査された医学的状態	Medical condition(s) investigated Description of intended indication for the product under development.	記述
7	疾患	疾患情報	disease	疾患情報
8	人口年齢	年齢	Population age	年齢
9	性別	性別	Gender / SEX	性別
10	試験プロトコル	試験プロトコル	Trial protocol	プロトコル
11	試験結果	結果	Trial results	記述

#### 資料4 WHOによる結果公開調査

##### 1. 結果公開に関する各国アンケート(2017年12月)

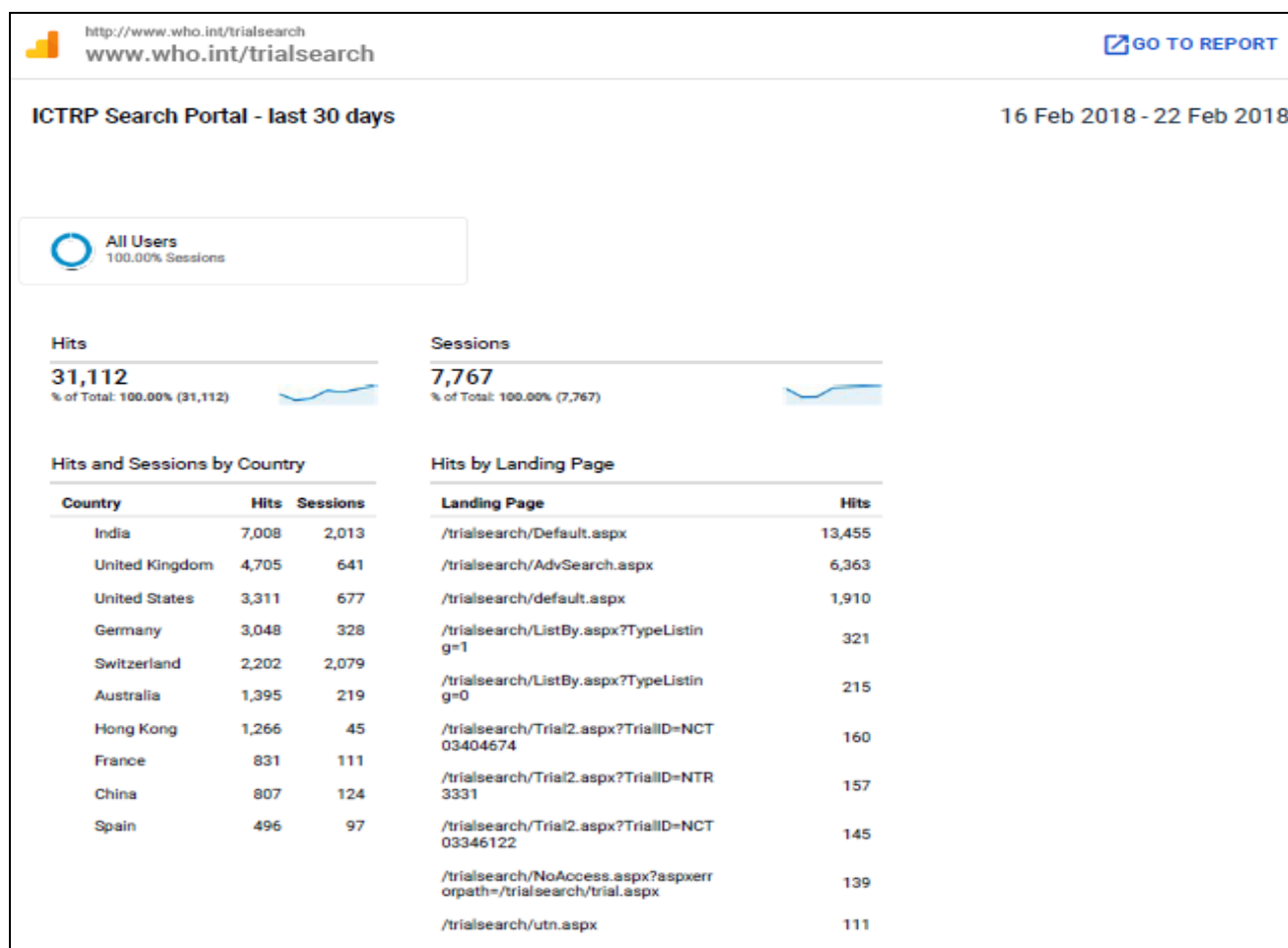
Registry	Q1: is the ethics approval required/mandatory before registration?	Q2: what is the appropriate time that is allowed between the time that the approval is provided and the trial is registered?
<b>EUCTR</b>	<b>Yes</b>	as soon the authorisation is recorded in the system (competent authority authorisation and ethics committee opinion) is the clinical trial registered in the EU Clinical Trial Register.
<b>CTRI - India</b>	<b>Yes</b>	As soon the approval of ethics committee is submitted by the registrants.
<b>RPEC - Peru</b>	<b>Yes</b>	regulation requires that the ethical approval be in force at the time of registering the clinical trial (submission of the clinical trial application)
<b>CRIS - Rep of Korea</b>	<b>Yes</b>	It is okay if the ethics approval is provided before the trial being registered
<b>IRCT - Iran</b>	<b>Yes</b>	immediately after getting ethical approval the trial becomes eligible to receive registration approval
<b>SLCTR - Sri Lanka</b>	<b>Yes</b>	No time restrictions
<b>Rebec - Brazil</b>	<b>Yes</b>	No time restrictions - No trials before 2010 accepted
<b>DRKS - Germany</b>	<b>Yes</b>	time depends on the registration process
<b>ANZCTR - Australia &amp; NZ</b>	<b>No</b>	No time restrictions
<b>RPCEC - Cuba</b>	<b>No</b>	No time restrictions
<b>TCTR - Thailand</b>	<b>No</b>	No time restrictions
<b>ISRCTN - UK</b>	<b>No</b>	No time restrictions
<b>CHICTR - China</b>	<b>No</b>	No time restrictions
<b>Clinicaltrials.gov - USA</b>	<b>No</b>	No time restrictions
<b>NTR - Netherlands</b>	<b>No</b>	No time restrictions
<b>PACTR - South Africa</b>	<b>No</b>	No time restrictions
<b>JPRN - Japan</b>	---	No time restrictions

## 2. Data Field tracking に関する各国の状況

Registry name	Partially developed new data items	Fully developed new data items	Partially collecting new data items	Fully collecting new data items	Partially sending new data items to ICTRP	Fully sending new data items to ICTRP	Current progress to full compliance	Notes
Australian New Zealand Clinical Trials Registry (ANZCTR)	Yes	No	No	No	No	No	0.166666667	Plan to launch new module in late November 2017, start collecting at that time
Brazilian Clinical Trials Registry (ReBec)	Yes	No	Yes	No	No	No	0.333333333	Funding for new platform anticipated February 2018
Chinese Clinical Trial Registry (ChiCTR)	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	1	
Clinical Research Information Service (CRiS), Rep of Korea	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	1	Plan to send partial data in December 2017
Clinical Trials Registry - India (CTRI)	Yes	No	Yes	No	No	No	0.333333333	Partial data to ICTRP planned in November 2017 data package
Cuban Public Registry of Clinical Trials(RPCEC)	No	No	No	No	No	No	0	Anticipate field development by end of 2017
EU Clinical Trials Register (EU-CTR)	No	No	Yes	Yes	No	No	0.333333333	Plan of deployment still under discussion
German Clinical Trials Register (DRKS)	Yes	No	Yes	No	No	No	0.333333333	
Iranian Registry of Clinical Trials (IRCT)	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	1	New software just launched, captures data sharing plan, ethics committee, working on XML update to send to ICTRP
ISRCTN.org	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	1	Data fields exist and are mapped to relevant fields for ICTRP, but data of XML development is not finalized
Japan Primary Registries Network (JPRN)	No	No	No	No	No	No	0	Anticipate it will take until FY2019 for all members to obtain necessary budget allocations, and therefore anticipate it will fully roll out by end of FY2019, which is March 2020.
The Netherlands National Trial Register (NTR)	No	No	No	No	No	No	0	
Pan African Clinical Trial Registry (PACTR)	Yes	No	No	No	No	No	0.166666667	New platform in development, anticipated test version by November 2017, full launch 2018

Sri Lanka Clinical Trials Registry (SLCTR)	Yes	No	Yes	No	No	No	0.333333333	Ethics review and actual enrolment fields will be finished by 1 December. Summary results, IPD sharing plan and date of completion will be finished by 31 January
Thai Clinical Trials Register (TCTR)	Yes	No	No	No	No	No	0.166666667	Currently updating software to include latest DTD fields, anticipate will be done in 6 months (April 2018).
Peruvian Clinical Trials Registry	Yes	Yes	Yes	Yes	No	No	0.666666667	New forms approved with R.D. N ° 587-2017-OGITT-OPE / INS – Date: 10/4/2017 and will be implemented electronically.

### 3. Google Analytics report





International Clinical Trials  
Registry Platform

## ICTRP Registries WebEx Conference, 19 March 2018

### Participants

- Registry administrators: Lisa Askie (ANZCTR), Claire Veryard (ISRCTN), Elizabeth Pienaar (PACTR), Raffaella Chersoni (EUCTR), Susanne Jena (DRKS), Luiza Da Silva (ReBec)
- ICTRP Secretariat: Ghassan Karam

### Agenda

1. Updates from ICTRP (new data elements collection & display, new registries, technical improvements in data collection process, new maintenance contract, new full data export)
2. Updates from registries (new data elements collection & display)
3. The WHO Database of Regulatory Information Tracking of Clinical Trials Registration & Ethics Committees (REGTRAC)
4. AOB

### Updates from ICTRP

**New data elements collection & display:** A file has been shared by email to track the progress on this issue, we expect most of the registry to be able to finish sending results data by the end of 2018.

A new partner registry has been approved in China and the announcement is to be made in the coming weeks, China has now 2 partner registries.

Technical improvements in the data collection process are to be done soon, and users of the ICTRP database will be able to search by results availability also. The results fields have been also added to the XML export functions.

A new maintenance contract is being signed with an external contractor to continue helping with the maintenance of the ICTRP database and search portal, and introduce new functionalities to the ICTRP search portal.

A new full data export file is being produced once a month a published on the WHO ftp server, the file format is csv and it contains all the ICTRP records.

### Updates from Registries

**PACTR:** Currently there are 1383 records in the database, of these 102 have been registered in 2018. The redevelopment of the PACTR database is now at the stage of User Acceptability Testing and we have completed the first round of testing. This included checking the accuracy of data transfer from the existing database to the new system. All issues encountered have been reported to the developers who are now investigating and resolving issues. When completed there will be another round of testing. The new database includes all the new fields. Owners / registrants of existing trials will be asked to update the results section once the system is live. ICTRP will be notified when the new system is to go live.

**ANZCTR:** Business as usual. The new results data fields are expected to be added in the coming months.



## International Clinical Trials Registry Platform

**ISRCTN:** Claire has been introduced as the new ISRCTN manager and focal point with ICTRP. ISRCTN has been receiving some requests to search for trials with results.

**DRKS:** DRKS has moved to a new location and is now managed by DIMDI (German Institute of Medical Documentation and Information)

**EUCTR:** Have some limitations due to the move of EMA outside the UK. EUCTR estimates needing 15 working days to implement the IT changes to add the new data elements.

### Updates on REGTRAC

Following the survey done in 2014 with the primary registries of the ICTRP Network, a core amount of information related to the status of legislation on ethics committees and clinical trials registration was gathered on about 30 countries. The ICTRP team in HQ with the help of its regional focal points is starting to develop a database (REGTRAC) containing the information collected sorted by country, with a plan to add and update the information to cover all the countries and to make this database a worldwide resource for regulators, legislators, health researchers and the general public. The database will be hosted on the ICTRP server and accessible through the ICTRP website and search portal.

REGTRAC will be a new resource for legislators and a tool for measuring the impact of the ICTRP project on clinical research transparency. It will show what are the countries that have policies and regulations on ethics committees and clinical trials registration. This will allow the WHO's ICTRP team to identify the existing supports and barriers, on a government level, for the registration of clinical trials, and in turn, research transparency. It could potentially also be a good tool for measuring good governance in countries. More information will be sent by email at a later stage to introduce the project.

### Updates from other registries

**IRCT:** The Beta version of new IRCT software was launched on 22nd of November 2017 and since then they were busy with completing the transfer from the old system to the new one. The migration has gone according to plan and there has been no major unresolved issue. They expect to fix the possible remaining bugs during the coming months and complete the job. Some of the characteristics and areas of improvement compared with their previous software are as follows:

- Better and more modern process of applying for membership
- Extensive validation rules on all forms of data entry
- Flexible help files system
- Additional section on data sharing plan
- Unified handling of all contacts and capability of re-use of old contacts
- An innovative referee system capable of incorporating bilingual referee messages
- Unified process of referee feedbacks on initial registration and updates
- Integrated track change system for handling updates
- Backward compatibility with old software and tables
- Use of Solar search engine for better and more accurate search
- Advanced search function capable of showing and refining previous queries

2



## International Clinical Trials Registry Platform

**ChiCTR:** They have completed the update of the datasets of registration form according to WHO ICTRP's new requirement on ethics issues. The Manager of ICTRP has checked the xml data including these new ethics issues; ICTRP has formally approved the application of Acupuncture-Moxibustion Clinical Trial Registry (AMCTR) to be the partner registry of ChiCTR. Up to now, there are two partner registries of ChiCTR. They opened ResMan free for public use to manage clinical trials from Dec. 1, 2017. ResMan has two platforms: one is an electronic data capture system (EDC system), another one is a results sharing platform. Both management of the trials and storage the results and IPDs are free. They are organizing a systematic articles aiming to promote the change of clinical trials in China. Up to now, all 12 manuscripts are completed and will be published on the Journal of Evidence-Based Medicine. They wrote four manuscripts talking about trial registration, clinical trial transparency, IPD sharing, problems presenting in Chinese clinical trials. They would happy to share these with all colleagues as soon as they are published.



資料 6 臨床研究登録の新しい登録項目・電子的様式 ICTRP Data format version 1.1

Main	Register	① <sup>a)</sup>
	Main ID	②
	Date of registration	③
	Primary sponsor	④
	Public title	⑤
	Scientific title	⑥
	Date of first enrolment	⑦
	Target sample size	⑧
	Recruitment status	⑨
	URL	⑩
	Study type	⑪
	Study design	⑫
Countries of recruitment		⑬
Contacts	Public	
	Name	⑭
	Address	⑮
	Telephone	⑯
	E-mail	⑰
	Affiliation	⑱
	Scientific	
	Name	⑲
	Address	⑳
	Telephone	㉑
	E-mail	㉒
	Affiliation	㉓
Key inclusion & exclusion criteria	Inclusion criteria	㉔
	Exclusion criteria	㉕
	Age minimum	㉖
	Age maximum	㉗
	Gender	㉘
Health condition(s) or Problem(s) studied		㉙
Intervention(s)		㉚
Primary Outcome(s)		㉛
Secondary Outcome(s)		㉜
Secondary ID(s)		㉝
Source(s) of Monetary Support		㉞
Secondary Sponsor(s)		㉟

a) 筆者が附番した。

資料 7 ICTRP Data format version 1.3 (一部抜粋)

No	Item/Label	XML element name(s) for data transfer	Type/format
1	Primary Registry and Trial Identifying Number	1a) reg_name (Primary registry identifier)	Text
		1b) trial_id (Trial identifier)	Text
2	Date of Registration in Primary Registry	date_registration (date of registration)	Text as dd/mm/yyyy
3	Secondary Identifying Numbers	3a) issuing_authority (Issuing authority)	Text
		3b) secondary_id (Secondary ID)	Text
4	Source(s) of Monetary or Material Support	source_name	Text
5	Primary Sponsor	primary_sponsor	Text
6	Secondary Sponsor(s)	sponsor_name	Text
7	Contact for Public Queries	7a) type	Text
		7b) firstname	Text
		7c) middlename	Text
		7d) lastname	Text
		7e) address	Text
		7f) city	Text
		7g) country1	Text
		7h) zip	Text
		7i) telephone	Text
		7j) email	Text
		7k) affiliation	Text
8	Contact for Scientific Queries	8a) type	Text
		8b) firstname	Text
		8c) middlename	Text
		8d) lastname	Text
		8e) address	Text
		8f) city	Text
		8g) country1	Text
		8h) zip	Text
		8i) telephone	Text
		8j) email	Text
		8k) affiliation	Text
9	Public Title	9a) public_title	Text
		9b) acronym	Text
10	Scientific Title	10a) scientific_title	Text
		10b) scientific_acronym	Text
11	Countries of Recruitment	country2	Text
12	Health Condition(s) or Problem(s) Studied	12a) hc_freetext (Health condition free text)	Text
		12b) hc_code (Health condition code)	Text
		12c) hc_keyword	Text

13	Intervention(s)	13a) i_freetext	Text
		13b) i_code	Text
		13c) i_keyword	Text
14	Key Inclusion and Exclusion Criteria	14a) inclusion_criteria	Text
		14b) gender (Inclusion sex)	text
		14c) agemin (Inclusion minimum age)	text
		14d) agemax (Inclusion maximum age)	text
		14e) exclusion_criteria	Text
15	Study Type	15a) study_type	Text
		15b) study_design	Text
		15c) phase	Text
16	Date of First Enrollment	16a) type_enrolment (Type of date of enrollment)	text
		16b) date_enrolment (date of enrolment)	Text as dd/mm/yyyy
17	Sample Size	17a) target_size	Text
		17b) results_actual_enrolment	Text
18	Recruitment Status	recruitment_status	Text
19	Primary Outcome(s)	19a) primary_outcome	Text
20	Key Secondary Outcomes	20a) secondary_outcome	Text
21	Ethics Review	21a) status	Text
		21b) approval_date	Date
		21c) contact_name	Text
		21d) contact_address	Text
		21e) contact_phone	Text
		21f) contact_email	Text
22	Completion date	results_date_completed	Date
23	Summary Results	23a) results_date_posted	Date
		23b) results_date_first_publication	Date
		23c) results_url_link	Text
		23d) results_baseline_char	Text
		23e) results_participant_flow	Text
		23f) results_adverse_events	Text
		23g) results_outcome_measures	Text
		23h) results_url_protocol	Text
		23i) results_summary	Text
24	IPD sharing statement	24a) results_IPD_plan	Text
		24b) results_IPD_description	Text

## 臨床試験結果の公開に関する WHO 声明 (2015.4.14)

WHO Statement on Public Disclosure of Clinical Trial Results (14 April 2015)

<http://www.who.int/ictrp/results/reporting/en/>

### 背景 Background

2004 年の「保健医療研究に関する厚生大臣会議」(Ministerial Summit on Health Research)に続いて、2005 年の世界保健総会 (World Health Assembly: WHA) で可決された決議(WHA58.22)<sup>訳注 1)</sup>では、全ての臨床試験の明確な特定 (unambiguous registration) が求められた。これにより WHO は国際臨床試験登録プラットフォームを立ち上げることとなった。それは、臨床試験登録レジストリ・ネットワーク(who.int/ictrp/network) に届けられ (notify) ている試験情報を取りまとめるものである。この臨床試験登録に関する WHO の現在の見解 (position) については who.int/ictrp で閲覧できる。そこでは「全ての介入試験を登録することは、科学的、倫理的、道徳的な責任である」<sup>訳注 2)</sup>とされる。主要な医学雑誌の多くが、試験開始前にそのようなレジストリに試験情報を登録しておくことを試験結果を発表 (publish) する上での条件としている<sup>1)</sup>。しかし、その試験結果によって選択的発表 (selective publication) がなされているのではないかという懸念が高まってきている。なかでも試験結果が「否定的」(negative)なものであるとみられた場合、科学的文献としての発表のために、投稿されアクセプトされる可能性、または別の方法で公開される (made public) 可能性、が低くなることが懸念されている。臨床試験レジストリへの試験の届け出 (notification) が広まりつつあり、記録された試験のうち結果が未報告 (not reported) の割合 (proportion) がどの程度あるのかということを、試験終了予定日後の様々な時点で評価することが可能である。複数の解析により、大規模なランダム化臨床試験であっても、試験終了後の数年間、結果が未報告の状態であるものが相当数存在することが確認されている。

ヘルシンキ宣言の最新版(2013)<sup>訳注 3)</sup>では、「人間を対象とするすべての研究は、最初の被験者を募集する前に一般的にアクセス可能なデータベースに登録されなければならない」、「研究者は研究の結果を一般的に公表する義務を有し...」(第 35 条)、また「否定的な結果および結論に達しない結果も肯定的な結果と同様に刊行または他の方法で公表されなければならない」(第 36 条)とされている。過去に実施された未報告の試験結果を含め、すべての臨床試験の結果を報告する倫理的責務 (ethical imperative) がある。そのうえ、すべての終了した臨床試験の一部のみから結論を導き出すことにより、製品開発や、利用可能な介入の資金調達のための資源配分が不足したり、最適ではない (suboptimal) 規制上または公衆衛生上の勧告がなされたりする可能性がある。

#### (1) 臨床試験レジストリサイトに関する WHO の見解の再確認<sup>訳注 4)</sup>

##### Reiteration of WHO position on clinical trial registry sites

すべての臨床試験<sup>2)</sup>は開始する前に (開発の相を問わず) その詳細を、国際的に合意された WHO の基準に適合する、公衆が利用可能な、アクセス無料の検索可能な臨床試験レジストリ (clinical trial registry) に登録されるべきである。レジストリへの登録は当該試験で最初の被験者 (subjects) が最初の医学的介入を受ける前に行なわれるべきである。

#### (2) 臨床試験レジストリ登録内容の更新 Updating clinical trial registry entries

すべての登録サイトは、達成された最終組入れ者数と実際の試験終了日 (定義: 最後の被験者から主要アウトカム項目のデータが最後に得られた日) が含まれるよう適宜更新されるべきである。

試験が中止(terminate)となった場合は、試験の終了とその時点までに組み入れられた患者数を含む試験の状況が更新されるべきである。

### (3) 臨床試験の報告時期 Reporting timeframes for clinical trials

臨床試験結果は以下に示す報告時期にしたがって報告されるべきである。以下の2つの方式(modalities)にしたがって報告する。

- 1) 臨床試験<sup>3)</sup>の主な結果は、ピアレビュー付き雑誌への掲載のため、試験終了から12ヵ月以内に投稿すること。オープンアクセスにできない特別な理由がない限り、オープンアクセスの手順を踏んで公開すること。もしくは、遅くとも試験終了から24ヵ月以内に誰もが閲覧できるようにすること。
- 2) また、試験終了から12ヵ月以内に、主な臨床試験レジストリの結果の項に重要なアウトカム<sup>4)</sup>を示し、誰もが閲覧できるようにすること。結果のデータベース機能が利用できないレジストリの場合は、レギュラトリー主宰者(Regulatory Sponsor)、資金提供者(Funder)または主任研究者(Principal Investigator)が所属する団体が運営する、アクセス無料で、公衆の利用及び情報検索が可能なウェブサイトに投稿すること。

いくつかの投稿雑誌では、臨床試験結果をオープンアクセスとして公開することを認めている。否定的な結果が出た試験の公開を支持する明確な方針を示している雑誌もある。上述の12ヵ月や24ヵ月というのは、報告期間として許容できる最長の時間枠ということであり、実際にはこれよりも短い期間で報告することが強く奨励される。ほとんどの場合には、これよりも短い期間で報告できると考えられる。

### (4) 過去の臨床試験結果の報告 Reporting of past clinical trials results

過去に実施された未報告の試験を、公衆の利用が可能な、アクセス無料の情報検索可能臨床試験レジストリに公開する必要がある。なお、過去に実施された未報告の試験は、ピアレビュー付き雑誌に公開することが望ましい。

### (5) 臨床試験結果掲載時の試験 ID に含めるもの

#### Inclusion of Trial ID in clinical trial publication

試験 ID 又はレジストリ識別子コード/番号は、全ての発表論文に必ず記載することとする。また、試験の掲載論文とレジストリサイトの記録を容易にリンクできるよう、PubMed その他の書誌検索データベースに掲載される、論文中の抄録にも記載すべきである。PubMed のような書誌検索データベースは、試験 ID を見つけやすいように各臨床試験の抄録の記載を含めておくことが奨励される。

### データ・シェアリングのイニシアティブに関するノート

#### Note on Data Sharing Initiatives

研究データを共有することの利点と1次データへのアクセスを拡大させ研究を推進することの利点は、WHO が重要だとしている基本的原理である。本声明は1次データの共有化を目的とするものではないが、WHO は、データ共有化のために必要な複数のイニシアティブに積極的に係わり、適当な場合は健康研究データの共有を支援する。WHO は、共同する組織と共に、健康調査データの価値を最大化するため、データ共有を可能とする環境整備支援を継続する。

## 【注】

- 1) [www.icmje.org/recommendations/browse/publishing-and-editorial-issues/clinical-trial-registration.html](http://www.icmje.org/recommendations/browse/publishing-and-editorial-issues/clinical-trial-registration.html)
- 2) 臨床試験は、人を医学的介入に前向きに割り当てる実験的なすべての研究 (any experimental study which prospectively allocates humans to a medical intervention) と定義されている。介入の安全性や有効性を評価するにはランダム割付け (random assignment) が最高の価値をもつと考えられているが、WHO が定義する報告を要する臨床試験には、ランダム割付けをしない試験も含まれる。第 I 相試験がその例である。第 I 相試験では安全性の問題が発生する可能性があるため、ランダム化を実施する第 I 相、第 II 相、第 III 相試験に適用されているように、ランダム化なしの第 1 相試験にも同一の開示 (disclosure) メカニズムを適用することがきわめて重要 (critical) である。医薬品や医療機器 (health products) の第 IV 相試験または承認後試験は (ランダム化の有無を問わず) 前向きなデザイン (prospective design) である場合は臨床試験とする。臨床試験は事前に特定された (specified) 研究目的または製品開発目的を持つ。そこで、保健医療介入 (health intervention) を研究目的の特定なしに慣例使用する (routine use) 場合は、臨床試験の定義に入るとは考えられない。
- 3) 臨床試験報告の査読済みの原稿において、結果の公開に関し広く受け入れられている基準 (standards) については、[www.consort-statement.org](http://www.consort-statement.org) を参照のこと。
- 4) ここでいう「重要なアウトカム」 (key outcomes) には、少なくとも以下のものを含めることと定義されている。すなわち、参加者の流れ (participant flow)、ベースライン特性、主要と副次的アウトカム評価項目、有害事象 (全ての重篤な有害事象 (serious adverse events) と予期または予期していなかった重要な (important) 有害事象を含む) である。結果を提示する際のフォーマットは、<https://clinicaltrials.gov/ct2/about-site/results> に例が示されている。「重要なアウトカム」とは、データの解析結果 (analyses conducted on data) であり、1 次データをそのまま開示することではない点に留意すること。

## 【訳注】

- 1) WHA58.34 Ministerial Summit on Health Research  
[[http://www.wpro.who.int/health\\_research/policy\\_documents/ministerial\\_summit\\_on\\_health\\_research\\_may2005.pdf](http://www.wpro.who.int/health_research/policy_documents/ministerial_summit_on_health_research_may2005.pdf) accessed on 1 March ]
- 2) ICTRP のトップページの“Trial Registration”の下の”Why is trial registration important? をクリックすると文頭にある。また左のメニューの”Publication”の最初にある”International Standards for Clinical Trial Registries” の subtitle にも使われている。2012 年 11 月に作成公開された全 48 頁の資料である。
- 3) ここでは日本医師会の日本語訳を用いた。
- 4) 原文にはないが読みやすくするため項目にナンバリングした。

## 臨床試験からの結果公開に関する共同声明 (2017.5.18)

**Joint statement on public disclosure of results from clinical trials. 18 May 2017**

<http://www.who.int/ictrp/results/jointstatement/en/>

### 署名機関リスト **Signatories** <sup>訳注 1)</sup>

1. European Commission for Horizon 2020 Societal Challenge Health Demographic Change and Wellbeing (joined on 27 October 2017) Brussels, Belgium  
<http://ec.europa.eu/programmes/horizon2020/en/h2020-section/health-demographic-change-and-wellbeing>
2. EDCTP (joined on 5 July 2017)  
The Hague, the Netherlands  
[www.edctp.org/](http://www.edctp.org/)
3. Indian Council of Medical Research  
New Delhi, India  
[www.icmr.nic.in/](http://www.icmr.nic.in/)
4. Inserm  
Paris, France  
<https://www.inserm.fr/en/home>
5. Research Council of Norway  
Lysaker, Norway  
[https://www.forskningradet.no/en/Home\\_page/1177315753906](https://www.forskningradet.no/en/Home_page/1177315753906)
6. UK Department for International Development (DFID) (joined on 31 May 2017)  
London, UK  
<https://www.gov.uk/government/organisations/department-for-international-development>
7. UK Medical Research Council  
Swindon and London, UK  
<https://www.mrc.ac.uk/>
8. National Institute for Health Research (NIHR) (joined on 8 August 2017)  
London, UK  
<https://www.nihr.ac.uk/>
9. ZonMw (joined on 10 July 2017)  
Haag, Netherland  
<https://www.zonmw.nl/en/>
10. Aeras (joined on 13 June 2017)  
Rockville, USA  
[www.aeras.org/](http://www.aeras.org/)
11. CEPI  
Oslo, Norway  
<http://cepi.net/>
12. Drugs for Neglected Diseases Initiative (DNDi)  
Geneva, Switzerland  
<https://www.dndi.org/>

13. Epicentre  
Paris, France  
[www.epicentre.msf.org/en](http://www.epicentre.msf.org/en)
14. FIND (joined on 26 May 2017)  
Geneva, Switzerland  
<https://www.finddx.org/>
15. Global Alliance for TB Drug Development (TB Alliance) (joined on 13 June 2017)  
New York, USA  
<https://www.tballiance.org/>
16. Institut Pasteur Médecins Sans Frontières  
Paris, France  
<https://www.msf.fr/msf/organisation/satellites-msf> (in French only)
17. Medicines for Malaria Venture (MMV) (joined on 24 May 2017)  
Geneva, Switzerland  
<https://www.mmv.org/>
18. PATH  
Seattle, USA  
<https://www.path.org/>
19. Bill and Melinda Gates Foundation Discovery Center  
Seattle, USA  
<https://www.gatesfoundation.org/Discovery-Center>
20. Wellcome Trust  
London, UK  
<https://wellcome.ac.uk>

## 序文 Introduction

現行のヘルシンキ宣言(2013)では、「人間を対象とするすべての研究は、最初の被験者を募集する前に一般的にアクセス可能なデータベースに登録されなければならない」、「研究者は研究の結果を一般的に公表する義務を有し...」（第 35 条）、また「否定的な結果および結論に達しない結果も肯定的な結果と同様に刊行または他の方法で公表されなければならない」（第 36 条）とされている。そうした倫理的要件に加え、完了した臨床試験のごく一部データから結論を導き出すことにより、利用が可能なインターベンション実現のための製品開発や資金調達に対する資源配分が不足していたり、最適とはいえない規制上又は公衆衛生上の勧告がなされていたりする可能性がある。

本共同声明の署名機関は、全ての臨床試験を開始の前に登録し、結果を時宜に即して一般に開示することが科学的且つ倫理的に重要であることを確認する。さらに、タイミング良く結果を開示することは、研究における無駄を省き、提供される資金 (funds) の利用価値と効率を高め、結果報告のバイアスを少なくすることにより、人々の健康のためのより良い意思決定につながるものである。

われわれ本共同声明の署名機関は、それぞれが資金提供、共同資金提供、出資または支援する臨床試験の事前登録と結果の開示に関する方針 (policy) を署名後 12 ヶ月以内に策定し、決められた時間枠の中で実行に移すことを誓約する。登録状況のモニターすること、また試験進行中の結果報告状況をモニターするシステム開発を支援することにそれぞれが同意する。われわれはこれらの方針・方策をモニタリングしていくために必要な挑戦と進歩を互いに共有することに同意する。そし



て、透明性こそが重要であり、モニタリング過程から得られる結果・成果を公表することにそれぞれが同意する。

## 試験結果開示から得られる利益と必要なコスト

### Benefits and costs of requiring public disclosure of results

臨床試験結果の開示に関する方針を実行に移しその状況をモニターすることから得られる利益の大きさは、試験結果のより完全な情報にアクセスできることと相関する。具体的な利益を以下に要約する。

- 結果の報告における現在のバイアスは軽減され、以下の分野においてより多くの情報に基づいた決定が可能となる。
  - 製造・販売の承認 (licensure / marketing authorization) (リスク・ベネフィット評価を含む)
  - 当該医薬品の使用 (費用効果分析を含む) に関する公衆衛生政策上の提言、そして
  - 医薬品調達の公的購買機関 (public procurement bodies) と多国間組織(multi-lateral agencies)における財務上の決定
  - 至適な実施 (optimal implementation) と提供 (delivery)
  - 医師や患者による個々の治療法の選択
- 研究費の配分がより効率的なものとなる (非公表の臨床試験において既に答えが出ている科学的な疑問のため資金が配分される、あるいは過去の試験から学んだことが現在の試験計画に取り入れられていないので無駄になってしまうといった現在の状況を避けることによる)。
- 治療法の開発がより効率的なものとなる。
- 情報の配布に必要な倫理的要件を満たすと共に臨床研究の利用に対する試験参加者からの信頼を高めることが期待できる。
- 最先端の科学的技術は、臨床試験データのより完全な横断的(cross sectional)分析に基づくものである。とりわけ、否定的な結果に終わる数多くの臨床試験を今以上に評価の対象とすることができる。

さらなる利益として、医師、専門機関、一般の人々がこれまでよりも多くの臨床試験結果にアクセスすることができるようになる。

最後に、臨床試験への参加を求める患者がどの臨床試験を選択すべきか決定しようとする時、関心分野ですでに終了した試験の結果にアクセスすることができる。

臨床試験の結果を開示するにはわずかながらも費用が必要となる。研究結果を広く伝えるための費用はそうした研究を実施するための費用全体の中では小さい部分でしかない。そして、結果を報告することは研究事業そのものの不可欠な要素でもある。資源配分、公衆衛生、科学的観点からみた利益は、倫理的規範(ethical imperatives)に適合することの必要性同様、その費用よりはるかに勝るものである。

## 結果報告についての各機関方針の共通要素提案

### Proposed common elements of agencies' policies on results reporting

研究結果の報告に関する国際的に調和した方針・方策に含めるべき原則(principles)として以下の項目があげられる。

### (1) 臨床試験登録 **Registration of clinical trials** 訳注2)

臨床試験を開始する前に（開発の相を問わず）その詳細を、国際的に合意された WHO の基準（<http://www.who.int/ictrp/en/>）に適合する、公衆の利用可能な（publicly available）アクセス無料の情報検索可能臨床試験登録（registry, レジストリ）のサイトに登録しなくてはならない。レジストリへの登録は当該試験で最初の患者が最初の治療を受ける前に（できない場合はできるだけ速やかに）なされる必要がある。登録内容は、最終組入れ者数と主たる試験終了日（定義：最終被験者から主要アウトカム項目のデータが最後に得られた日）が含まれるよう適宜更新すること。試験が中止となった場合は、試験の終了日及びその日までにエントリーした患者数を含む試験の状況を更新すること。

レジストリ記録の完全性と正確性はレジストリ情報を利用する上での限定要因となり得る。よって、レジストリ内容の質の確保に十分注意を払うことを勧める。

### (2) 臨床試験の報告時期 **Reporting time frames for clinical trials**

われわれは、臨床試験結果の要約（summary results）<sup>2)</sup>を主たる試験終了日からタイムリーに開示することに意見の一致をみた。公開には2つの方式(modalities)がある。臨床試験レジストリの結果の欄へポスト(post)することと医学雑誌に報告(publish)することである。要約公開の国際的基準である主たる試験終了日（最終被験者から主要アウトカム項目のデータが最後に得られた日）から12ヵ月以内に投稿するよう努力をする<sup>3)</sup>。

医学雑誌に投稿する場合、主宰者あるいは治験を行う医師が自由に時期を設定できるものではないことから、本共同声明では開示に対する要望に応えるため [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov) や EU-CTR 等のレジストリの利用に重点を置くものである。医学雑誌への掲載は査読その他の利用目的のため、試験の終了から24ヵ月以内を目処として完了することが期待される。試験結果の要約を理解するため十分に詳細な研究計画書へのアクセスも必要である。

そのため、試験結果の要約（倫理委員会又は治験審査委員会から承認された改定を含み、pdfのような電子文書様式でアップロードするか pdf ファイルへハイパーリンクを設定する）をレジストリに登録する際、要約に関する情報の一部として、研究計画書の開示が結果の要約開示よりも遅くならないよう要件設定をすることを推奨するものである。初めてグラントを申請する時、時間が関係するコミットメントと共に結果の開示計画も含めるべきである。これらの要件を遵守するために要する資金は臨床試験の予算そのものの中ではコストに見合う経費項目である。

### (3) 臨床試験結果公表時の試験 ID **Trial ID in clinical trial publication**

試験の ID 又はレジストリ識別子コードまたは番号を全ての発表論文に記載し、抄録を PubMed その他の書誌検索データベースに登録する際にも試験の掲載論文とレジストリサイトの記録が容易にリンクできるよう含めるべきである。これは発表論文とレジストリ記録をつなぎ合わせるうえで不可欠な要素である。

### (4) 過去の臨床試験の登録と報告 **Registration and reporting of past trials**

過去の試験の結果を報告することは資金投入の価値を実現することである。よって、過去の結果を報告することにより何らかの貢献をしていることは、結果の内容に係わらず、次の資金援助の申請に際しては考慮の対象となる。例えば、ある主任研究者(principal investigator: PI)が新たな資金援助を申請する時、申請者が特定の期間内に実施した試験と結果の報告状況そして未報告試験についての説明を記した全ての試験の一覧表を求められる可能性がある

## (5) 個々の患者データ・シェアリングについてのノート

### A note on sharing of individual patients' data

試験が登録されると、個々の臨床試験参加者レベルのデータ (individual patients' data: IPD) を共有する基礎が築かれたことになる。IPD を共有することの利点と一次データへのアクセスを拡大させ研究を推進することの利点は、われわれが重要だと思う基本的原理である。本共同声明は IPD の共有化を目的とするものではない。しかし、われわれは、IPD の共有化のために必要なイニシアティブを積極的にとるものであり、適切と認められるときは健康調査データの共有を支援するものである。われわれは共同する組織と共に、健康調査データの価値を最大化するため、データ共有を可能とする環境整備支援を継続する。また、データ収集と利用を制御する明確な倫理的・法的枠組みの構築及び臨床試験から得られた IPD の共有に関する国際的な規範と基準を実現する活動を支援するものである。

## (6) オープンアクセスポリシーについてのノート A note on open access policies

われわれ署名者はオープンアクセスポリシーを支援するものであり、臨床試験結果の雑誌掲載論文は可能な限り発行日からアクセスを可能にすべきであると考え。オープンアクセスの費用は、必要であれば、臨床試験の予算要求の中に含めておくべきである。

## (7) 本共同声明の範囲に関するノート A note on the scope of this statement

この共同声明は臨床試験に主眼を置いてはいるが、その他にも公衆衛生介入試験、観察試験、実施研究、実験的治療・予防の前臨床試験などの研究においても透明性、無駄の節減、結果報告のバイアスは重要な課題である。

われわれは、これら範疇の研究成果開示に最適なレジストリをいかに確立するかを含め、これら研究の透明性確保の枠組みを作る創始的作業を奨励する。

### [注]

- 1) 臨床試験とは、試験に参加する者または参加者集団を前向きに一つ以上の健康介入に割当て、健康に関するアウトカムへの影響を評価する試験であると WHO により定義されている。臨床試験は介入研究とも呼ばれる。介入とは、以下に限定されるものではないが、薬剤、細胞その他の生物製剤、外科手技、放射線手技、医療機器、行動療法、ケアプロセスの変更、予防ケアなどが含まれる。この定義には第 1 相から第 4 相までの試験が含まれる。
- 2) ここでいう「結果の要約」(summary results)とは、最低限以下を含むものと定義される。すなわち、1) ベースライン特性、2) 参加者の流れ、3) 主要・副次的アウトカム評価項目、4) 全ての重篤な (serious) な有害事象 (adverse events) と、予測していたまたは予測していなかった重要な (important) 有害事象、を含む有害事象情報である。「結果の要約」様式は以下に例が示されている。  
<https://clinicaltrials.gov/ct2/about-site/results>  
「結果の要約」とは得られたデータの解析結果であり、一次データをそのまま記載することではないことに留意すること。本共同声明における「結果の要約」は 2015 年に出された「結果」の開示に関する WHO 声明に含まれる「重要なアウトカム」と同義である。
- 3) 組織 (agencies) は、主宰者 (sponsor) が開発中であることを保証し当局規制下にある承認前の臨床試験 (pre-licensure trial) の場合、状況により、例えば導入期間 (phase-in period) を含めるなど公開方法に柔軟性 (flexibility) を持たせる権利と、主たる試験 (primary study) 終了日から最大 24-36 ヶ月延長を要請する権利を保持する。

### [訳注]

- 1) 原文の署名機関リストは、名称と、2017.5.18 の会議より後の署名機関はその署名日時のみである。だが分かりにくい。そこで、訳者がその機関本部の、所在都市名と国名、URL を調べて加えた。原文にはないが読みやすくするため項目にナンバリングをした。



## 米国・EU の試験結果の公開に関する研究

研究分担者 佐藤 元, 湯川 慶子, 藤井 仁<sup>1)</sup>

1) 国立保健医療科学院 政策技術評価研究部

### 研究要旨

**目的：**本研究では、新しい臨床試験登録のあり方を模索するため、すでに独自形式で結果を公開している米国と EU の公開項目の動向を調査することを目的とする。

**方法：**本研究の調査対象機関を、ICTRP と米国の ClinicalTrials.gov と EU の EU-CTR を調査の対象機関とし、ClinicalTrials.gov と EU-CTR が設定している臨床試験結果の登録項目について内容を調査する。調査方法は、web 上で公開されている項目を調査する。調査項目は、登録項目、形式（項目の詳細）、報告画面のインターフェースの 3 つとした。

**結果：**本研究から得られた結果から、米国の ClinicalTrials.gov と EU の EU-CTR の臨床試験に関する結果登録の項目は、参加フローやベースラインデータ、結果のアウトカム、有害事象の報告などが共通しており、項目に大きな違いはないと考えられた。しかしながら、項目やその定義にも差が認められ、統一性は希薄だと考えられた。

**結論：**臨床試験の結果登録の項目について、参加フローやベースラインデータ、結果のアウトカム、有害事象の報告などの項目を必要と考えられる。報告項目の内容や定義には慎重な検討が求められる。

### 研究協力者

土井 麻理子

（国立保健医療科学院 政策技術評価研究部）

調査方法は、web 上で公開されている項目を調査する。調査項目は、登録項目、形式（項目の詳細）、報告画面のインターフェースの 3 つとした。

### A.研究目的

WHO 臨床試験登録データセットの version 1.3 が ICTRP によって 2017 年 11 月 9 日に公表された。今回の改訂で 4 つの登録項目が追加され、従来の 20 項目から 24 項目となった。この改訂により、各国のプライマリ・レジストリはシステムの変更対応を進めており、本邦でも臨床試験の結果の登録システムの変更が必要となっている。

本研究では、新しい臨床試験登録のあり方を模索するため、すでに独自形式で結果を公開している米国と EU の公開項目の動向を調査することを目的とする。

### B.研究方法

本研究の調査対象機関を、ICTRP と米国の ClinicalTrials.gov、EU の EU-CTR を調査の対象機関とする。

ClinicalTrials.gov と EU-CTR が設定している臨床試験結果の登録項目について内容を調査する。

（倫理面への配慮）本研究は個人のデータを扱っていないことから倫理面への配慮は必要ない。

### C.研究結果

#### 1. ClinicalTrials.gov で規定されている結果項目

ClinicalTrials.gov では、結果データの登録が求められている。また各項目には詳細な定義づけがなされていた。

（ [https://prsinfo.clinicaltrials.gov/results\\_definitions.html](https://prsinfo.clinicaltrials.gov/results_definitions.html) ）

#### 1) 登録項目

記載されている内容は以下の 8 項目であった。

1. Participant flow
2. Baseline characteristics
3. Outcome measures (and Statistical Analysis)
4. Adverse event information
5. Limitations and caveats

6. Certain agreements
7. Results point of contact
8. Delayed results

2) 記載されている項目について、大項目は、参加者フロー、ベースライン特性、結果の措置、有害事象、限界と警告、特定の契約、結果の連絡先（問い合わせ先）、遅延（オプション）の 8 項目であった。小項目は、合計 117 項目が設定されており、各大項目に対する内訳としては、参加者フローが 17 項目、ベースライン特性は 21 項目、結果の措置は 43 項目、有害事象は 23 項目、リミテーションと警告は 1 項目、特定の契約は 3 項目、結果の問い合わせ先は 4 項目、遅延（オプション）は 5 項目であった。試験結果の項目の詳細は付表 1 と 2 のとおりであった。

### 3) インターフェース

試験結果の報告画面のインターフェース例は付表 3 のとおりであった。

## 2. EU-CTR で規定されている結果項目

EU 臨床試験登録簿は、2011 年 9 月以降、世界保健機関（WHO）レジストリ・ネットワークの主要登録簿となっている。

([http://www.who.int/ictrp/trial\\_reg/en/index1.html](http://www.who.int/ictrp/trial_reg/en/index1.html))

試験結果の登録についてはスポンサー自身がデータベースに入力し、スポンサーがデータを検証した後この登録簿に掲載されるようになっている。

### 1) 登録項目

Trial Results に記載されている内容は以下の項目であった。

#### Summary

- EudraCT number
- Trial protocol
- Global completion date

#### Results information

- Results version number
- This version publication date
- First version publication date
- Other versions

### Summary report(s)

Paediatric regulatory details として、次の項目が設定されていた。

#### Paediatric regulatory details

- Is the trial part of an agreed EMA paediatric investigation plan?
- Is the trial in scope of article 45 of Regulation (EC) No 1901/2006?
- Is the trial in scope of article 46 of Regulation (EC) No 1901/2006?

Summary report(s)には、さらに次のセクションが含まれていた。

- ✓ trial information
- ✓ subject disposition
- ✓ baseline characteristics
- ✓ endpoints
- ✓ adverse events
- ✓ additional information
- ✓ summary attachment(s)

### 2) 形式

項目の詳細は付表 4 の通りであった。

### 3) インターフェース

項目の詳細は付表 5 の通りであった。

Summary report(s)に、レポートの PDF を貼付している形式と、web 上へ直接入力している形式の二つの報告型が存在していた。

## D.考察

本研究では、米国の ClinicalTrials.gov と EU の EU-CTR について、臨床試験結果の登録項目について内容を調査した。調査項目は、登録項目、形式（項目の詳細）、報告画面のインターフェースとした。

海外の臨床研究登録機関で最も参考となったのは米国の Clinicaltrials.gov である。米国の Clinicaltrials.gov は、臨床試験情報の登録において世界で最も構造化が進んでおり、特に結果の公開に関しては WHO 以上に詳細な項目を設定していた。これはメタ・アナリシスなど試験結果を用いた 2 次的な分析に有益な形式だと考えられる。他の臨床試験登録機関と異なり、データフォーマ

ットを明確に、かつ詳細に定めていることも特筆すべきと思われる。

EU-CTR (EU Clinical Trials Register)では、世界のどのレジストリと比較しても詳細かつ高度に構造化されたデータ形式を採用している。ただ、5階層以上に階層化された複雑極まりない構造化データは、入力する研究者に多大な負担を強いるものとなっている。筆者の研究によるとEU各国の臨床試験登録は米国に登録されることが最も多く、次いで自国の臨床試験登録機関に登録されることが多い(自国で登録機関を持っている国の場合)。新薬の販売市場として米国は最大であり、その米国での新薬承認にはClinicalTrials.govへの試験登録が求められることが影響していると考えられる。ただ、法的にEU-CTRでの登録が求められる試験でない場合は、より簡便な自国のレジストリへの登録が多くなっていることから、煩雑すぎる形式が敬遠されていることが推測される。

本研究から得られた結果から、米国のClinicalTrials.govとEUのEU-CTRの臨床試験に関する結果登録の項目は、参加フローやベースラインデータ、結果のアウトカム、有害事象の報告などが共通しており、項目に大きな違いはないと考えられた。しかしながら、項目やその定義にも差が認められ、統一性は希薄だと考えられた。

また、報告形式については、ClinicalTrials.govではweb上への入力を基本としているが、EU-CTRでは、PDFファイルの貼付による方法とweb上への入力の双方の形式が見受けられたことから、報告形式については検討が必要であると考えられた。

## E. 結論

臨床試験の結果登録の項目について、参加フローやベースラインデータ、結果のアウトカム、有害事象の報告などの項目を必要と考えられる。報告項目の内容や定義には慎重な検討が求められる。

## F. 健康危険情報

特になし

## G. 研究発表

### 1. 論文発表

特になし

### 2. 学会発表

特になし

## H. 知的財産権の出願・登録状況

特になし

付表 1. ClinicalTrials.gov で規定されている試験結果の登録項目の詳細

各項目の詳細については以下の通りである。

#	大項目	小項目	データ定義（日本語）	データ定義（英語）	データ形式
1	参加者フロー	リクルート詳細	試験情報を提供するために、募集期間の日付や場所のタイプ(例えば、診療所)など、全体的な調査の募集プロセスに関連する重要な情報。 制限：350 文字。	Key information relevant to the recruitment process for the overall study, such as dates of the recruitment period and types of location (For example, medical clinic), to provide context. Limit: 350 characters.	日付、場所、期間など
2		事前割り当ての詳細	参加者の登録後に、参加者がアームやグループに割り当てられている場合は、その前に発生する重要なイベント(例えば、ウォッシュアウト、導入期間)の説明。例えば、登録された参加者が、アームやグループに割り当てられる前に、研究から除外された理由の説明。 制限：350 文字。	Description of significant events in the study (for example, wash out, run-in) that occur after participant enrollment, but prior to assignment of participants to an arm or group, if any. Limit: 350 characters.	イベントの説明、記述
3		アームグループ情報	臨床研究を通じて参加者の流れを記述するアームまたはグループ。 一般に、各アームには割り当てられた参加者を含む必要があります。	Arms or groups for describing the flow of participants through the clinical study. In general, it must include each arm to which participants were assigned.	記述
4		アームグループタイトル	各アームまたは群を識別するために使用される説明的なラベル。 制限：>= 4 および<= 62 文字。	Descriptive label used to identify each arm or group. Limit: >=4 and <= 62 characters	記述
5		アームグループ説明	各アームまたはグループの簡単な説明。一般に、参加者が割り当てられた各アームと、各アームに使用される介入内容を理解できるよう十分な詳細を含める必要があります。 制限：999 文字。	Brief description of each arm or group. In general, it must include sufficient details to understand each arm to which participants were assigned and the intervention strategy used in each arm. Limit: 999 characters.	記述



6	割り当てられるユニットのタイプ	参加者が参加者以外のユニットに基づいている場合は、割り当て単位(目、病変、インプラントなど)の説明。 制限：40文字。	If assignment is based on a unit other than participants, a description of the unit of assignment (for example, eyes, lesions, implants). Limit: 40 characters.	記述
7	期間	特定の重要な事象または時点における参加者の数が報告される臨床研究の個々のステージ。	Discrete stages of a clinical study during which numbers of participants at specific significant events or points of time are reported.	期間、時間、数
8	期間タイトル	研究の段階を記述するタイトル。期間が1つだけ定義されている場合、デフォルトのタイトルはOverall Studyです。研究に1つ以上の期間がある場合、期間タイトルのどれも全般的な研究ではありません。 制限：40文字。	Title describing a stage of the study. If only one period is defined, the default title is Overall Study. When a study has more than one period, none of the Period Titles should be Overall Study. Limit: 40 characters.	記述
9	開始	当該期間を開始する参加者の数。 最初の期間では、それは各アームまたはグループに割り当てられた参加者の数です。 割り当てが参加者以外の単位に基づいている場合は、期間の初めに単位数も含めます。	Number of participants initiating the period. In the first period, it is the number of participants assigned to each arm or group. If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units at the beginning of the period.	開始参加者の数
10	完了	期間終了時の参加者の数。 割り当てが参加者以外の単位に基づいている場合は、期間の最後に単位数も含めます。	If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units at the end of the period.	終了参加者の数
11	完了していない(自動計算)	研究または期間を完了しなかった参加者の数(および該当する場合は、単位)。 これは、開始から完了を引いて自動的に計算されます。	Number of participants (and units, if applicable) that did not complete the study or period. This is calculated automatically by subtracting Completed from Started.	期間中に終了しなかった参加者の数

12		追加マイルストーン	参加者の数(および該当する場合は、単位)が報告されたときの研究における特定の事象または時点。1つの期間に使用できるマイルストーンの数に制限はありませんが、各期間内に2つのマイルストーン、開始と完了が必要です。	While there is no limit to the number of milestones that may be used in a single period, data are required for two milestones, Started and Completed, within each period.	期間内の開始と完了
13		マイルストーンタイトル	マイルストーンを記述するラベル 制限：40文字。	Label describing the milestone Limit: 40 characters.	記述
14		マイルストーンデータ	マイルストーンに到達する参加者の数、各アーム/グループ。 割り当てが参加者以外の単位に基づいている場合は、マイルストーンに到達する単位数も含めます。	Number of participants to reach the milestone, in each arm/group. If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units to reach the milestone.	マイルストーンに到達する参加者の数
15		完了しなかった理由	研究または期間を完了しなかった参加者に関する追加情報。 理由が得られている場合は、未完了として記載されている全ての参加者が、いずれかの未完了の理由によって説明されなければなりません。	Additional information about participants who did not complete the study or period. If reasons are provided, the total number of participants listed as Not Completed must be accounted for by all reasons for non-completion.	記述記述
16		その他の理由	その他の理由が完了していない理由 」が選択されている場合、未完了の理由の簡単な説明。 制限：40文字。	A brief description of the reason for non-completion, if "Other" Reason Not Completed Type is selected. Limit: 40 characters.	記述
17		完了していない理由のデータ	完了していない各理由について、研究または期間を完了しなかった各アームまたはグループの参加者の数。	Number of participants in each arm or group that did not complete the study or period, for each Reason Not Completed.	期間を完了しなかった各アームまたはグループの参加者の数。
18	ベースライン特性	アームグループ情報	事前指定されたプロトコルおよび/または統計分析計画で指定されたベースラインで評価されたすべての参加者を含む、研究のアームまたは比較グループ。	Arms or comparison groups in the study, including all participants assessed at baseline as specified in the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.	アーム、比較グループのデータ
19		アームグループタイトル	各アームまたは比較群を識別するために使用される説明的なラベル。	Descriptive label used to identify each arm or comparison group.	記述

		制限 : >= 4 および<= 62 文字	Limit: >= 4 and <= 62 characters.	
20	アームグループ説明	各アームまたは比較グループの簡単な説明。 一般に、参加者が参加者フロー（異なる場合）に割り当てられたアームや各アーム/グループの介入戦略からアームや比較グループがどのように導出されたかを理解するのに十分な詳細を含める必要があります。 制限：999 文字。	Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow (if different) and the intervention strategy in each arm/group. Limit: 999 characters.	記述
21	参加者総数	ベースライン特性が測定された参加者の総数。各アーム/グループおよび全体として。	Total number of participants for whom baseline characteristics were measured, in each arm/group and overall.	参加者数
22	分析対象ユニット数	分析が参加者以外のユニットに基づいている場合、ベースライン測定値が測定され、分析されたユニットの数（各アーム/グループおよび全体）。	If the analysis is based on a unit other than participants, the number of units for which baseline measures were measured and analyzed, in each arm/group and overall.	各アームのユニット数
23	分析対象ユニット種類	分析が参加者以外のユニットに基づいている場合、分析単位の説明(目、病変、インプラントなど)。 制限：40 文字。	If the analysis is based on a unit other than participants, a description of the unit of analysis (for example, eyes, lesions, implants). Limit: 40 characters.	各アームのユニットの種類
24	ベースライン分析集団の説明	ベースライン参加者(またはユニット)の総数が、アームまたは比較グループに割り当てられた参加者(またはユニット)の数と全体的に異なる場合、分析対象集団の決定方法についての簡単な説明。 制限：350 文字。	If the Overall Number of Baseline Participants (or units) differs from the number of participants (or units) assigned to the arm or comparison group and overall, a brief description of the reason(s) for the difference such as how the analysis population was determined. Limit: 350 characters.	記述

25	ベースライン測定情報	臨床研究で測定された各ベースラインまたは人口統計的特徴の記述。必要なベースライン指標には、年齢、性別、人種、民族性(プロトコルの下で収集された場合)、およびベースライン時に評価され、主要アウトカム指標の分析に使用されるその他の尺度が含まれる。	A description of each baseline or demographic characteristic measured in the clinical study. Required baseline measures include Age, Sex/Gender, Race, Ethnicity (if collected under the protocol), and any other measure(s) that were assessed at baseline and used in the analysis of the primary outcome measure(s).	各ベースラインまたは人口統計的特徴の記述
26	ベースライン指標タイトル	臨床試験で測定されたベースラインまたは人口統計的特徴の名前。必要な数だけ選択する。	The name of the baseline or demographic characteristic measured in the clinical study. Select as many as needed.	人口統計的特徴の名前
27	研究に特有のベースライン指標	「Study-Specific Measure」が選択されている場合は、測定項目を入力します。 制限：100文字。	If "Study-Specific Measure" is chosen, provide the name of the measure. Limit: 100 characters.	記述
28	ベースラインの指標説明	特定のベースライン指標を特徴づけるために使用される指標の説明など、ベースライン指標に関する追加の説明的情報。 制限：600文字。	Additional descriptive information about the baseline measure, such as a description of the metric used to characterize the specific baseline measure. Limit: 600 characters.	記述
29	メジャータイプ*1つ選択	ベースライン指標のデータタイプ。一つ選択してください。	The type of data for the baseline measure. Select one.	選択式
30	分散尺度*1つ選択	一つ選択してください。	Select one.	選択式
31	ベースライン参加者数	ベースライン指標を分析した参加者の数(ベースライン参加者の総数と、各アーム/グループおよび全体で異なる場合)。	The number of participants analyzed for the baseline measure, if different from the Overall Number of Baseline Participants, in each arm/group and overall.	基本尺度について分析された参加者の数
32	分析対象ユニット数	分析されたユニットの総数と、各アーム/グループおよび全体としてのベースライン尺度について分析されたユニットの数。	The number of units analyzed for the baseline measure, if different from the Overall Number of Units Analyzed, in each arm/group and overall.	ユニットの総数、ユニットの数

33		分析集団タイプ	ベースライン測定分析が参加者または参加者以外のユニットに基づいているかどうかを示す。 “Type of Units Analyzed”が指定されている場合にのみ適用されます。参加者/その他のユニットを選択します。	Indicate whether the baseline measure analysis is based on participants or units other than participants. Only applies if Type of Units Analyzed is specified. Select Participants/Other Units.	選択式
34		測定分析集団の説明	Participants [または Units] Analyzed の総数と異なる場合、分析のための参加者(またはユニット)数の決定方法の説明。 制限：350文字。	Explanation of how the number of participants (or units) for analysis was determined, if different from the Overall Number of Participants [or Units] Analyzed. Limit: 350 characters.	記述
35		カテゴリまたはタイトル	ベースライン指標の異なるカテゴリまたは行の名前(存在する場合)。カテゴリタイトルは、「参加者数」または「ユニット数」の、測定に基づく型を使用してデータ要約する際に、除外したものと全体のカテゴリを表す為に用いる。行タイトルは、あらゆる種類のデータに用いる。 制限：50文字。	Name of distinct category or row for a baseline measure, if any. Category Titles are only for mutually exclusive and exhaustive categories summarizing data using the Measure Type of a "Count of Participants" or "Count of Units." Row Titles are for any type of data. Limit: 50 characters.	記述
36		ベースライン測定データ	各尺度(各アーム/群および全体)の値。	The value(s) for each baseline measure, for each arm/group and overall.	各尺度の値
37		NA説明	ベースライン測定データに対して「NA」が報告された場合、ベースライン測定データが利用できない理由を説明します。 制限：250文字。	Explain why baseline measure data are not available, if "NA" is reported for Baseline Measure Data. Limit: 250 characters.	記述
38		測定単位	各ベースライン指標について、データ(例:参加者、mmHg)によって定量化されたものの説明。 制限：40文字。	An explanation of what is quantified by the data (for example, participants, mm Hg), for each baseline measure. Limit: 40 characters.	記述
39	結果の措置	結果測定情報	各アウトカム測定の説明。	A description of each outcome measure.	記述

40	結果測定タイプ*1つ選択	結果の尺度のタイプ。一つ選択してください。	The type of outcome measure. Select one.	選択式
41	結果測定タイトル	特定のアウトカム指標の名前。 制限：255文字。	Name of the specific outcome measure. Limit: 255 characters.	記述
42	結果測定の説明	アウトカム測定に関する追加情報。アウトカム測定のタイトルに含めていない場合、特定のアウトカム測定に用いられるメトリックの説明を含めるようにする。 制限：999文字	Additional information about the outcome measure, including a description of the metric used to characterize the specific outcome measure, if not included in the Outcome Measure Title. Limit: 999 characters.	記述
43	結果測定時間枠	使用された特定のメトリックについて測定が評価された時点。評価の時点の記述は、結果測定に特定のものでなければならず、一般に各研究参加者が評価測定される特定の期間になる(研究の全期間ではありません)。 制限：255文字	Time point(s) at which the measurement was assessed for the specific metric used. The description of the time point(s) of assessment must be specific to the outcome measure and is generally the specific duration of time over which each participant is assessed (not the overall duration of the study). Limit: 255 characters.	記述
44	予想報告日	アウトカム測定データがアウトカム測定に含まれていない場合、それらが測定されるはずだった予定の月と年を指定します。	If Outcome Measure Data are not included for an outcome measure, provide the expected month and year they will be submitted.	予定の年と月
45	アームグループ情報	予め指定されたプロトコールおよび/または統計分析計画に基づく全ての群または比較群を含む、研究におけるアームまたは比較群。	Arms or comparison groups in the study, including all arms or comparison groups based on the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.	記述
46	アームグループタイトル	各アームまたは比較群を識別するために使用される説明的なラベル。 制限：>= 4 および <= 62文字。	Descriptive label used to identify each arm or comparison group. Limit: >= 4 and <= 62 characters.	記述

47	アームグループ説明	各アームまたは比較グループの簡単な説明。一般に、参加者フローにおいて、参加者が割り当てられたアームおよび各アーム/グループの介入戦略から、アームまたは比較グループがどのように割付られ(異なる場合)、各アーム/グループにおいてどのような介入を受けたかを理解できるよう十分詳細に記載する必要があります。 制限：999文字。	Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow (if different) and the intervention strategy in each arm/group. Limit: 999 characters.	記述
48	分析対象の総数	アウトカム指標が測定され、分析された参加者の数。各アウトカム指標および各群/グループ。	Number of participants for whom an outcome measure was measured and analyzed, for each outcome measure and each arm/group.	アウトカム指標が測定され、分析された参加者の数
49	分析対象ユニット種類	分析が参加者以外のユニットに基づいている場合、分析単位の説明(目、病変、インプラントなど)。 制限：40文字。	If the analysis is based on a unit other than participants, a description of the unit of analysis (for example, eyes, lesions, implants). Limit: 40 characters.	記述
50	分析対象ユニット数	分析が参加者以外のユニットに基づいている場合、各結果測定値および各群/群について、結果が測定および分析された単位の数。	If the analysis is based on a unit other than participants, the number of units for which an outcome was measured and analyzed, for each outcome measure and each arm/group.	対象ユニット数
51	分析集団の説明	分析された参加者数または分析されたユニット数が、アームまたは比較グループに割り当てられた参加者またはユニットの数と異なる場合、その差の理由の簡単な説明(分析集団の決定方法など)。 制限：350文字。	If the Number of Participants Analyzed or Number of Units Analyzed differs from the number of participants or units assigned to the arm or comparison group, a brief description of the reason for the difference (such as how the analysis population was determined). Limit: 350 characters.	記述
52	メジャータイプ*1つ選択	アウトカム測定のパターン。一つ選択してください。	The type of data for the outcome measure. Select one.	選択式
53	分散精度の尺度*1つ	一つ選択してください。	Select one.	選択式

	選択			
54	その他信頼 区間レベル	その他の信頼区間レベル が選択されている場合、 信頼区間レベルの数値。 結果測定の説明でこのレ ベルを選択するための論 理的根拠を提供してくだ さい。	The numerical value for the confidence interval level, if "Other Confidence Interval Level" is selected. Provide a rationale for choosing this level in the Outcome Measure Description.	信頼区間レベ ルの数値
55	カテゴリま たはタイト ル	ベースライン指標の異なる カテゴリまたは行の名 前（存在する場合）。 カテゴリタイトルは、「参 加者数」または「ユニット 数」を使用してデータ要約 する際に、除外したものと 全体のカテゴリを表す為 に用いる。行タイトル は、あらゆる種類のデー タに用いる。 制限：50文字。	Name of distinct category or row for an outcome measure, if any. Category Titles are only for mutually exclusive and exhaustive categories summarizing data using the Measure Type of a "Count of Participants" or "Count of Units". Row Titles are for any type of data. Limit: 50 characters.	記述
56	分析対象者 数	分析された参加者の総数 と異なる場合、行の結果 尺度および各アーム/グル ープについて分析された 参加者の数。 制限：50文字。	The number of participants analyzed for the outcome measure in the row and for each arm/group, if different from the overall Number of Participants Analyzed. Limit: 50 characters.	記述
57	分析対象ユ ニット数	分析されたユニットの総 数と異なる場合、行およ び各アーム/グループの結 果尺度について分析され たユニット数。	The number of units analyzed for the outcome measure in the row and for each arm/group, if different from the overall Number of Units Analyzed.	ユニット数
58	結果データ	各カテゴリ/行および各ア ーム/グループを含む、各 アウトカム測定の測定結 果。	The measurement value(s) for each outcome measure, including each category/row and each arm/group.	成果の測定値
59	NA 説明	結果データに「NA」が報 告された場合、結果測定 データが利用できない理 由を説明します。 制限：250文字。	Explain why outcome measure data are not available, if "NA" is reported for Outcome Data. Limit: 250 characters.	記述
60	測定単位	各成果尺度のデータ（例： 参加者、mmHg）によつ て定量化されたものの説 明。 制限：40文字	An explanation of what is quantified by the data (for example, participants, mm Hg), for each outcome measure. Limit: 40 characters.	記述



61	統計分析	<p>主要評価項目および副次評価項目の統計的有意性に関する科学的に適切なテスト結果（該当する場合）。そのような分析には以下のようなケースが考えられる：プロトコルおよび/または統計解析計画書に予め指定されたもの、スポンサーまたは責任者によって公に作成された、FDA の要請により主要評価項目の解析。</p> <p>統計分析が報告された場合、「比較グループ選択」と「統計テストのタイプ」の報告が必要になる。さらに、関連情報とともに、「P 値」、「推定パラメータ」または「その他の統計分析」という次のデータ要素の 1 つを報告しなければならない。</p>	<p>Result(s) of scientifically appropriate tests of statistical significance of the primary and secondary outcome measures, if any. Such analyses include: pre-specified in the protocol and/or statistical analysis plan; made public by the sponsor or responsible party; conducted on a primary outcome measure in response to a request made by FDA.</p> <p>If a statistical analysis is reported "Comparison Group Selection" and "Type of Statistical Test" are required. In addition, one of the following data elements are required with the associated information: "P-Value," "Estimation Parameter," or "Other Statistical Analysis."</p>	記述
62	統計分析の概要	実行された分析の概要説明	Summary description of the analysis performed.	記述
63	比較グループ選択	統計分析に含まれるアームまたは比較グループ(すべてをチェックして「オムニバス」分析を示す)。	The arms or comparison groups involved in the statistical analysis (check all to indicate an "omnibus" analysis).	記述
64	統計テストの種類* 1つ選択	分析のタイプを識別します。一つ選択してください。	Identifies the type of analysis. Select one.	選択式
65	仮説の統計的検定	結果データおよび計算された p 値の統計分析に使用される手順。	Procedure used for statistical analysis of outcome data and the calculated p-value.	統計分析の手順
66	P 値	帰無仮説を仮定して計算された p 値	Calculated p-value given the null-hypothesis	P 値
67	メソッド* 1つ選択	P 値が報告された場合に p 値を計算するために使用される統計検定。一つ選択してください	The statistical test used to calculate the p-value, if a P-Value is reported. Select one.	選択式
68	その他のメソッド名	"その他"を選択した場合は、統計テストの名前を入力します。 制限：40 文字。	If "Other" is selected, provide name of statistical test. Limit: 40 characters.	記述

69	推定方法	介入の効果を推定するために使用される手順。	Procedure used to estimate effect of intervention.	手順
70	測定パラメーター	一つ選択してください。	Select one.	選択式
71	その他のパラメーター	"Other" Estimation Parameter が選択されている場合、推定パラメータの名前。 制限：40 文字。	The name of the estimation parameter, if "Other" Estimation Parameter is selected. Limit: 40 characters.	記述
72	見積もり値	推定パラメータの計算値	The calculated value for the estimation parameter.	推定パラメータの計算値
73	レベル	パーセンテージで表示。	Expressed as a percentage.	パーセンテージで表されません。
74	辺の数	片側または両側を選択します。	Select 1-sided or 2-sided.	片方 or 両方
75	下限	信頼区間が「両側」である場合、または信頼区間が「片側」であり、上限が入力されていない場合は必須です。	Required if confidence interval is "2-sided" or if confidence interval is "1-sided" and no Upper Limit is entered.	信頼区間
76	上限	信頼区間が「両側」である場合、または信頼区間が「片側」で下限が入力されていない場合は必須です。	Required if confidence interval is "2-sided" or if confidence interval is "1-sided" and no Lower Limit is entered.	信頼区間
77	NA 説明	"NA"が報告されて"両側"信頼区間の上限が得られない場合、上限のデータが利用できない理由を説明する。 制限：250 文字。	Explain why the upper limit data are not available, if "NA" is reported as upper-limit of "2-sided" confidence interval. Limit: 250 characters.	記述
78	パラメーター分散タイプ*1つ選択	一つ選択してください。	Select one.	選択式
79	分散値	推定されたパラメータの分散の計算値。	The calculated value for the dispersion of the estimated parameter.	推定されたパラメータの分散の計算値

80		見積もりコメント	比較の方向を含む、他の関連する推定情報（例えば、相対リスクの分子および分母を表すアームまたは比較グループを記述する）。 制限：250文字。	Any other relevant estimation information, including the direction of the comparison (for example, describe which arm or comparison group represents the numerator and denominator for relative risk). Limit: 250 characters.	記述
81		その他の統計分析	統計学的仮説検定または推定のオプションを使用した統計解析が報告できない場合は、統計学的有意に関する科学的に適切なテストの説明と結果を提供する。	If the statistical analysis cannot be submitted using the Statistical Test of Hypothesis or Method of Estimation options, provide a description and the results of any other scientifically appropriate tests of statistical significance.	記述
82	有害事象	時間枠	有害事象データが収集された特定の期間。 制限：500文字。	The specific period of time over which adverse event data were collected. Limit: 500 characters.	記述
83		有害事象報告の説明	臨床試験で収集された有害事象情報が、以下の有害事象の定義とは異なる有害事象および/または重大な有害事象の異なる定義に基づいて収集される場合、その定義がどのように異なるかについて簡単に説明する。また、有害事象収集に関する追加の関連情報を提供するために使用することができます(例えば、毎日のアンケートなど)、分析集団がどのように決定されたかに関する情報(リスクのある参加者の数がアームまたは比較群に割り当てられた参加者の数)。 制限：500文字。	If the adverse event information collected in the clinical study is collected based on a different definition of adverse event and/or serious adverse event than the Adverse Events definition below, a brief description of how the definitions differ. May also be used to provide any additional relevant information about adverse event collection, including details about the method of systematic assessment (for example, daily questionnaire) or information about how the analysis population was determined (if the Number of Participants at Risk differs from the number of participants assigned to the arm or comparison group). Limit: 500 characters.	記述

84	テーブルデフォルトのソースボキヤブラリ名	標準用語、統制語彙、または有害事象用語がある場合はその分類およびバージョン（例えば、SNOMED CT、MedDRA 10.0）「重大な有害事象」および「（重大な有害事象を含まない）その他の有害事象」表に入力された、全ての有害事象に適用される元の報告された名称に対するデフォルトの値。必要に応じて、報告された名称を特定の有害事象用語を指定することもできます。 制限：20文字。	Standard terminology, controlled vocabulary, or classification and version from which adverse event terms are drawn, if any (for example, SNOMED CT, MedDRA 10.0). Default value for Source Vocabulary Name to be applied to all adverse event terms entered in the "Serious Adverse Event" and "Other (Not Including Serious) Adverse Event" tables. If necessary, Source Vocabulary Name may also be specified for specific Adverse Event Terms. Limit: 20 characters.	記述
85	テーブルデフォルト* 1つ選択	有害事象情報を収集するためにとられるアプローチのタイプ。「重大な有害事象」または「重大な有害事象を含まないその他の有害事象」表に入力されたすべての有害事象条件に適用される有害事象情報を収集するために取られるアプローチのタイプのデフォルト値(システムティックまたは非システムティック・アセスメント)。必要に応じて、特定の有害事象条件についても回収方法を指定することができる。一つ選択してください。	The type of approach taken to collect adverse event information. Default value for the type of approach taken to collect adverse event information (Systematic or Non-Systematic Assessment) to be applied to all adverse event terms entered in the "Serious Adverse Event" or "Other (Not Including Serious) Adverse Event" tables. If necessary, Collection Approach may also be specified for specific Adverse Event Terms. Select one.	記述
86	アームグループ情報	予め指定されたプロトコールおよび/または統計分析計画に基づく全ての群または比較群を含む、研究におけるアームまたは比較群。	Arms or comparison groups in the study, including all arms or comparison groups based on the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.	記述
87	アームグループタイトル	各アームまたは比較群を識別するために使用されるラベル。 制限：>= 4 および<= 62文字。	Label used to identify each arm or comparison group. Limit: >=4 and <= 62 characters.	記述

88	アームグループ説明	各アームまたは比較グループの簡単な説明。一般に、参加者フローで参加者が割り当てられたアームおよび各アーム/グループの介入戦略からアームまたは比較グループがどのように導出されたかを理解するのに十分な詳細情報を含める必要があります。 制限：999文字。	Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow and the intervention strategy in each arm/group. Limit: 999 characters.	記述
89	有害事象	研究に参加した人に一時的に関連する異常な兆候（例：異常な身体検査や検査所の所見）、症状、または疾患、参加者の研究参加との一時的な関連、研究参加の関連の検討を含む。	Any untoward or unfavorable medical occurrence in a participant, including any abnormal sign (for example, abnormal physical exam or laboratory finding), symptom, or disease, temporally associated with the participant's participation in the research, whether or not considered related to the participant's participation in the research.	症状など
90	全死亡率の影響を受ける総数	何らかの原因で死亡した各アーム/群の全体的な参加者数。	Overall number of participants, in each arm/group, who died due to any cause.	死亡者数
91	全死亡率のリスク総数	すべての原因による死亡の評価(すなわち、全原因死亡率の頻度を計算するための分母)に含まれる、各群/群の全参加者数。	Overall number of participants, in each arm/group, included in the assessment of deaths due to any cause (that is, the denominator for calculating frequency of all-cause mortality).	死亡率
92	重大な有害事象の影響を受けた総数	1つまたは複数の重篤有害事象の影響を受けた参加者の総数。	Overall number of participants affected by one or more Serious Adverse Events, for each arm/group.	有害事象数
93	重大な有害事象	重篤な有害事象の評価に含まれる参加者の総数(すなわち、重篤な有害事象の頻度を計算するための分母)、各群/群。	Overall number of participants included in the assessment of serious adverse events (that is, the denominator for calculating frequency of serious adverse events), for each arm/group.	有害事象数

94	他の有害事象の報告頻度閾値	他の有害事象(重篤なものを除く)が、他の有害事象(重篤なものを除く)の表で報告されるべきアームまたは比較群内での事象の発生頻度を指定する。発生頻度の閾値は、許容最大値(5%)以下でなければなりません。データフィールドに記号(例:>または%)を含めないでください。パーセント記号で表示される。	Specify the frequency of occurrence that an Other (Not Including Serious) Adverse Event must exceed, within any arm or comparison group, to be reported in the Other (Not Including Serious) Adverse Event table. The number for the frequency threshold must be less than or equal to the allowed maximum (5%). Do not include symbols (for example, > or %) in the data field, it will be expressed as a percentage.	有害事象の%
95	頻度閾値以上の他の有害事象の影響を受けた総数	各群/群の、少なくとも1件の他の有害事象(重篤なものを除く)が報告された参加者の総数。この表に報告された有害事象は、少なくとも1つのアームまたは比較群において、指定された頻度閾値(例えば、5%)を超える頻度で発生した有害事象である。	Overall number of participants affected, for each arm/group, by at least one Other (Not Including Serious) Adverse Event(s) reported in the table. Adverse events reported in the table are those that occurred at a frequency exceeding the specified Frequency Threshold (for example, 5%) within at least one arm or comparison group.	有害事象数
96	重大な有害事象を含まない有害事象	研究期間中にその他の有害事象(重篤なものを除く)の評価に含まれる各群/群の全参加者数。(その他の有害事象(重篤なものを除く)の発生頻度の報告に必要な分母となる)	Overall number of participants, for each arm/group, included in the assessment of Other (Not Including Serious) Adverse Events during the study (that is, the denominator for calculating frequency of Other (Not Including Serious) Adverse Events).	有害事象数
97	有害事象期間	有害事象の記述語句。 制限: 100文字。	Descriptive word or phrase for the adverse event. Limit: 100 characters.	期間の記述
98	オルガンシステム	身体または臓器システムによって有害事象の用語をグループ化するために使用される上位レベルのカテゴリ。一つ選択してください。	High-level categories used to group adverse event terms by body or organ system. Select one. (Adverse events that affect multiple systems should be classified as "General disorders.")	選択式

99		有害事象用語追加の説明	有害事象に関する追加の関連情報。 制限：250文字。	Additional relevant information about the adverse event. Limit: 250 characters.	記述
100		ソースボキヤブラリー名	標準用語、統制語彙、または有害事象用語がある場合はその分類およびバージョン（例えば、SNOMED CT、MedDRA 10.0）。空白にすると、報告された用語が使用されます。 制限：20文字。	Standard terminology, controlled vocabulary, or classification and version from which adverse event terms are drawn, if any (for example, SNOMED CT, MedDRA 10.0). Leave blank to indicate that the value specified as the Source Vocabulary for Table Default should be used. Limit: 20 characters.	記述
101		コレクションアプローチ*1つ選択 or 空白	有害事象情報を収集するためにとられるアプローチのタイプ。1つを選択するか空白のままにします。空白にすると評価収集方法として特定された値が使用されます。	The type of approach taken to collect adverse event information. Select one or leave blank to indicate that the value specified as the Assessment Type for Table Default should be used.	選択式
102		影響を受ける参加者の数	少なくとも1つのイベントが報告されている、各アーム/グループ内の参加者の数。	Number of participants, in each arm/group, experiencing at least one event being reported.	イベント数
103		リスクのある参加者の数	各群/群において有害事象が評価された参加者の数（有害事象の頻度を計算するための分母）。空白の場合、表のアーム/グループにおけるリスクのある集団の値が使用されます。	Number of participants assessed, in each arm/group, for adverse events (that is, the denominator for calculating frequency of adverse events). Leave blank to indicate that the value specified as the total at risk in the arm/group for the table should be used.	参加者数
104		イベント数	報告されている有害事象の各群/群における発生数。	Number of occurrences, in each arm/group, of the adverse event being reported.	イベント数
105	限界と警告	全体的な制限と警告	研究の重大な limitation を記述する。このような limitation の中には、検出力や統計的に信頼できる結果、信頼性の低い、または理解が難しいデータが得られた場合の技術的な問題が含まれる。 制限：250文字。	Describe significant limitations of the study. Such limitations may include not reaching the target number of participants needed to achieve target power and statistically reliable results or technical problems with measurements leading to unreliable or uninterpretable data. Limit: 250 characters.	記述

106	特定の契約	すべてのPIの Sponsor は従業員か	研究責任者がスポンサーの従業員であるかどうかを示します。一つ選択してください。	Indicate whether the principal investigator is an employee of the sponsor. Select one.	選択肢
107		PI開示制限	スポンサーまたはその代理人と研究責任者 (PI) との間で、第 1 次完了日後に、PI が学会やフォーラム、学術ジャーナルでの臨床試験の結果を公表することの合意(臨床研究に参加する参加者のプライバシーを保護する法律を遵守することのみを目的とした取り決めを除く)が存在するか。 はい/いいえを選択します。	Indicate whether there exists any agreement (other than an agreement solely to comply with applicable provisions of law protecting the privacy of participants participating in the clinical study) between the sponsor or its agent and the principal investigator (PI) that restricts in any manner the ability of the PI to discuss the results of the clinical study at a scientific meeting or any other public or private forum or to publish in a scientific or academic journal the results of the clinical study, after the Primary Completion Date. Select Yes/No.	はい、いいえを選択
108		PI開示制限タイプ	結果開示制限に関する追加情報。様々な契約がある場合は、最も制限の厳しい契約(例えば、厳しい貿易禁止期間に関する契約)を表す以下の種類を選択します。一つ選択してください。	Additional information about the results disclosure restriction. If there are varying agreements, choose the type below that represents the most restrictive of the agreements (for example, the agreement with the greatest embargo time period). Select one.	選択式
109	結果の連絡先(問い合わせ先)	名前または公式のタイトル	窓口として指定された人。これは、特定の人物の名前(例えば、ジェーン・スミス博士)や役職名(例えば、臨床試験の責任者)でもよいです。	The person who is designated the point of contact. This may be a specific person's name (for example, Dr. Jane Smith) or a position title (for example, Director of Clinical Trials).	連絡先の人物の名前
110		組織名	指定された個人の所属組織の名称。	Full name of the designated individual's organizational affiliation.	組織名
111		電話番号	指定された個々のオフィスの電話番号。米国およびカナダ内のフォーマット 123-456-7890 を使用してください。米国およびカナダ以外の場合は、国コードを含む電話番号を提供します。	Office phone number of the designated individual. Use the format 123-456-7890 within the United States and Canada. If outside the United States and Canada, provide the full phone number, including the country code.	電話番号



112		メール	指定された個々の電子メールアドレス。	Electronic mail address of the designated individual.	メールアドレス
113	遅延 (オプション)	遅延タイプ * 1つ選択	いずれかを選択	Select one	選択式
114		介入の名前	証明書が発行される 1 種類以上の薬物、生物学的製剤または機器の名前を入力します。薬の場合は、一般名を入力します。それ以外の場合、簡潔に名称を入力します。名称は、プロトコル記載欄に設けられた介入名と一致しなければいけない。	Provide the name of one or more drugs, biological products or devices to which the certification applies. For drugs use generic name; for other types of interventions provide a brief descriptive name. The name(s) entered should match Intervention Name(s) provided in the protocol section.	薬物名
115		FDA 申請 番号	結果の遅延が「初回承認の認定」または「新規使用の認定」であって、可能な場合は、少なくとも 1 つの FDA 申請番号 (例えば、NDA、BLA、または PMA 番号) を指定します。	Provide at least one FDA application number (for example, NDA, BLA, or PMA number), if available, when Delay Results Type is "Certify Initial Approval" or "Certify New Use."	FDA 申請 番号
116		要求された 提出日	結果の遅延が"延長"の場合、臨床試験の結果情報の提出予定日。	Estimate of the date on which the clinical study results information will be submitted, if the Delay Results Type is "Extension".	提出日
117		説明	臨床研究の結果情報が締切までに入力できない理由。理由は延長を正当化するのに十分な理由と延長依頼を評価ができるように詳細を入力する。特定されていない原因による「出版保留」とデータ分析の遅延は、延長の正当な理由とはならないことに注意してください。制限：999 文字。	Description of the reason(s) why clinical study results information cannot be provided according to the deadline, with sufficient detail to justify good cause for the extension and to allow for the evaluation of the request. Note that "pending publication" and delays in data analysis for unspecified causes are not considered good cause for an extension. Limit: 999 characters.	記述

付表 2. ClinicalTrials.gov で規定されている試験結果の登録項目の説明画面

## ClinicalTrials.gov Results Data Element Definitions for Interventional and Observational Studies

June 29, 2017

This document describes the definitions for results data elements submitted to ClinicalTrials.gov for interventional studies (clinical trials) and observational studies. These definitions are mostly adapted from [42 CFR Part 11](#).

Data element entries are annotated with symbols to indicate generally what information is required to be submitted and under which circumstances. The responsible party must ensure that the information provided complies with any applicable laws, regulations, or policies. For more information about various requirements and definitions of regulatory terms under 42 CFR Part 11, see [Support Materials](#).

Note: The term "clinical study" is used to refer to both interventional and observational studies. The term "participant" is used to refer to a human subject.

---

**\*** Required

**\*§** Required if Primary Completion Date is on or after January 18, 2017

**[\*]** Conditionally required

---

**▼ 1. Participant Flow**

Information to document the progress of research participants through each stage of a study in a tabular format, including the number of participants who started and completed the clinical study. (Identical in purpose to a [CONSORT flow diagram](#), but represented as tables).

The tabular presentation may be separated into "periods," each of which comprises an interval of study activity. Each period consists of "milestones" for reporting numbers of participants at particular points in time within that period.

**Recruitment Details**  
Definition: Key information relevant to the recruitment process for the overall study, such as dates of the recruitment period and types of location (For example, medical clinic), to provide context.  
Limit: 350 characters.

**Pre-assignment Details [\*]**  
Definition: Description of significant events in the study (for example, wash out, run-in) that occur after participant enrollment, but prior to assignment of participants to an arm or group, if any. For example, an explanation of why enrolled participants were excluded from the study before assignment to arms or groups.  
Limit: 350 characters.

**Arm/Group Information \***  
Definition: Arms or groups for describing the flow of participants through the clinical study. In general, it must include each arm to which participants were assigned.

**Arm/Group Title \***  
Definition: Descriptive label used to identify each arm or group.  
Limit: >=4 and <= 62 characters.

**Arm/Group Description \*§**  
Definition: Brief description of each arm or group. In general, it must include sufficient details to understand each arm to which participants were assigned and the intervention strategy used in each arm.  
Limit: 999 characters.

**Type of Units Assigned [\*]**

Definition: If assignment is based on a unit other than participants, a description of the unit of assignment (for example, eyes, lesions, implants).

Limit: 40 characters.

**Period(s) \***

Definition: Discrete stages of a clinical study during which numbers of participants at specific significant events or points of time are reported.

There is no limit to the number of periods that may be used to describe a single study. Each subsequent period represents a study stage following the previous period. That is, participants "flow" from earlier to later periods.

**Period Title \***

Definition: Title describing a stage of the study. If only one period is defined, the default title is Overall Study. When a study has more than one period, none of the Period Titles should be Overall Study.

Limit: 40 characters.

**Started \***

Definition: Number of participants initiating the period. In the first period, it is the number of participants assigned to each arm or group. If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units at the beginning of the period.

**Comments**

Definition: Additional information about the Started milestone or Milestone Data.

Limit: 100 characters.

**Completed \***

Definition: Number of participants at the end of the period. If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units at the end of the period.

**Comments**

Definition: Additional information about the Completed milestone or Milestone Data.

Limit: 100 characters.

**Not Completed** (*calculated automatically*)

Definition: Number of participants (and units, if applicable) that did not complete the study or period. This is calculated automatically by subtracting Completed from Started.

**Additional Milestone(s)**

Definition: Any specific events or time points in the study when the numbers of participants (and units, if applicable) are reported. While there is no limit to the number of milestones that may be used in a single period, data are required for two milestones, Started and Completed, within each period.

**Milestone Title [\*]**

Definition: : Label describing the milestone

Limit: 40 characters.

**Milestone Data [\*]**

Definition: Number of participants to reach the milestone, in each arm/group. If assignment is based on a unit other than participants, also include the number of units to reach the milestone.

**Comments**

Definition: Additional information about the milestone or data.

Limit: 100 characters.

**Reason Not Completed**

Definition: Additional information about participants who did not complete the study or period. If reasons are provided, the total number of participants listed as Not Completed must be accounted for by all reasons for non-completion.

**Reason Not Completed Type [\*]**

Definition: Reason why participants did not complete the study or period. Select one.

- Adverse Event
- Death
- Lack of Efficacy
- Lost to Follow-Up
- Physician Decision
- Pregnancy
- Protocol Violation
- Withdrawal by Subject
- Other

**Other Reason [\*]**

Definition: A brief description of the reason for non-completion, if "Other" Reason Not Completed Type is selected.

Limit: 40 characters.

**Reason Not Completed Data [\*]**

Definition: Number of participants in each arm or group that did not complete the study or period, for each Reason Not Completed.

**▼ 2. Baseline Characteristics**

A table of demographic and baseline measures and data collected by arm or comparison group and for the entire population of participants in the clinical study.

**Arm/Group Information \***

Definition: Arms or comparison groups in the study, including all participants assessed at baseline as specified in the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.

**Arm/Group Title \***

Definition: Descriptive label used to identify each arm or comparison group.

Limit:  $\geq 4$  and  $\leq 62$  characters.

**Arm/Group Description \*§**

Definition: Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow (if different) and the intervention strategy in each arm/group.

Limit: 999 characters.

## Baseline Analysis Population Information

### Overall Number of Baseline Participants \*

Definition: Total number of participants for whom baseline characteristics were measured, in each arm/group and overall.

### Overall Number of Units Analyzed [\*]

Definition: If the analysis is based on a unit other than participants, the number of units for which baseline measures were measured and analyzed, in each arm/group and overall.

### Type of Units Analyzed [\*]

Definition: If the analysis is based on a unit other than participants, a description of the unit of analysis (for example, eyes, lesions, implants).

Limit: 40 characters.

### Baseline Analysis Population Description [\*]

Definition: If the Overall Number of Baseline Participants (or units) differs from the number of participants (or units) assigned to the arm or comparison group and overall, a brief description of the reason(s) for the difference such as how the analysis population was determined.

Limit: 350 characters.

## Baseline Measure Information \*

Definition: A description of each baseline or demographic characteristic measured in the clinical study. Required baseline measures include Age, Sex/Gender, Race, Ethnicity (if collected under the protocol), and any other measure(s) that were assessed at baseline and used in the analysis of the primary outcome measure(s).

### Baseline Measure Title \*

Definition: The name of the baseline or demographic characteristic measured in the clinical study. Select as many as needed.

- Study-Specific Measure \*§ (Select as many as needed)
- Age \* (Select at least one of the following):
  - Age, Continuous: For example - mean or median age
  - Age, Categorical:
    - <=18 years
    - >18 and <65 years
    - >=65 years
  - Age, Customized: Customizable age categories
- Sex/Gender \* (Select at least one of the following):
  - Sex: Female, Male
  - Sex/Gender, Customized
- Race and Ethnicity \*§
  - Race (NIH/OMB): U.S. National Institutes of Health and U.S. Office of Management and Budget Classification Categories
  - Ethnicity (NIH/OMB): U.S. National Institutes of Health and U.S. Office of Management and Budget Classification Categories
  - Race/Ethnicity, Customized
  - Race and Ethnicity Not Collected
- Region of Enrollment

**Study-Specific Baseline Measure Title(s) [\*]**

Definition: If "Study-Specific Measure" is chosen, provide the name of the measure.

Limit: 100 characters.

**Baseline Measure Description**

Definition: Additional descriptive information about the baseline measure, such as a description of the metric used to characterize the specific baseline measure.

Limit: 600 characters.

**Measure Type \***

Definition: The type of data for the baseline measure. Select one.

- Count of Participants
- Mean
- Median
- Least Squares Mean
- Geometric Mean
- Geometric Least Squares Mean
- Number
- Count of Units

**Measure of Dispersion \***

Select one.

- Not Applicable (only if Measure Type is "Number", "Count of Participants", or "Count of Units")
- Standard Deviation
- Inter-Quartile Range
- Full Range

**Number of Baseline Participants [\*]**

Definition: The number of participants analyzed for the baseline measure, if different from the Overall Number of Baseline Participants, in each arm/group and overall.

**Number of Units Analyzed [\*]**

Definition: The number of units analyzed for the baseline measure, if different from the Overall Number of Units Analyzed, in each arm/group and overall.

**Analysis Population Type [\*]**

Definition: Indicate whether the baseline measure analysis is based on participants or units other than participants. Only applies if Type of Units Analyzed is specified. Select Participants/Other Units.

**Measure Analysis Population Description [\*]**

Definition: Explanation of how the number of participants (or units) for analysis was determined, if different from the Overall Number of Participants [or Units] Analyzed.

Limit: 350 characters.

**Category or Row Title [\*]**

Definition: Name of distinct category or row for a baseline measure, if any. Category Titles are only for mutually exclusive and exhaustive categories summarizing data using the Measure Type of a "Count of Participants" or "Count of Units." Row Titles are for any type of data.

Limit: 50 characters.

**Baseline Measure Data \***

Definition: The value(s) for each baseline measure, for each arm/group and overall.

**NA (Not Available) Explanation [\*]**

Definition: Explain why baseline measure data are not available, if "NA" is reported for Baseline Measure Data.

Limit: 250 characters.

**Unit of Measure \***

Definition: An explanation of what is quantified by the data (for example, participants, mm Hg), for each baseline measure.

Limit: 40 characters.

**▼ 3. Outcome Measures**

A table of data for each primary and secondary outcome measure by arm (that is, initial assignment of participants to arms or groups) or comparison group (that is, analysis groups), including the result(s) of scientifically appropriate statistical analyses that were performed on the outcome measure data, if any.

Note: Outcome measure information from the Protocol Section of the record will be copied into the Results Section the first time results are created.

**Outcome Measure Information \***

Definition: A description of each outcome measure.

Note: "Outcome measure" means a pre-specified measurement that is used to determine the effect of an experimental variable on participants in the study. Post-hoc (that is, not pre-specified) outcome measures may also be reported.

**Outcome Measure Type \***

Definition: The type of outcome measure. Select one.

- Primary
- Secondary
- Other Pre-specified
- Post-Hoc

**Outcome Measure Title \***

Definition: Name of the specific outcome measure.

Limit: 255 characters.

**Outcome Measure Description [\*]**

Definition: Additional information about the outcome measure, including a description of the metric used to characterize the specific outcome measure, if not included in the Outcome Measure Title.

Limit: 999 characters.

**Outcome Measure Time Frame \***

Definition: Time point(s) at which the measurement was assessed for the specific metric used. The description of the time point(s) of assessment must be specific to the outcome measure and is generally the specific duration of time over which each participant is assessed (not the overall duration of the study).

Limit: 255 characters.

**Anticipated Reporting Date**

Definition: If Outcome Measure Data are not included for an outcome measure, provide the expected month and year they will be submitted.

**Arm/Group Information \***

Definition: Arms or comparison groups in the study, including all arms or comparison groups based on the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.

**Arm/Group Title \***

Definition: Descriptive label used to identify each arm or comparison group.  
Limit:  $\geq 4$  and  $\leq 62$  characters.

**Arm/Group Description \*§**

Definition: Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow (if different) and the intervention strategy in each arm/group.  
Limit: 999 characters.

**Analysis Population Information****Overall Number of Participants Analyzed \***

Definition: Number of participants for whom an outcome measure was measured and analyzed, for each outcome measure and each arm/group.

**Type of Units Analyzed [\*]**

Definition: If the analysis is based on a unit other than participants, a description of the unit of analysis (for example, eyes, lesions, implants).  
Limit: 40 characters.

**Overall Number of Units Analyzed [\*]**

Definition: If the analysis is based on a unit other than participants, the number of units for which an outcome was measured and analyzed, for each outcome measure and each arm/group.

**Analysis Population Description [\*]**

Definition: If the Number of Participants Analyzed or Number of Units Analyzed differs from the number of participants or units assigned to the arm or comparison group, a brief description of the reason for the difference (such as how the analysis population was determined).  
Limit: 350 characters.

**Outcome Measure Data Table****Measure Type \***

Definition: The type of data for the outcome measure. Select one.

- Count of Participants
- Mean
- Median
- Least Squares Mean
- Geometric Mean
- Geometric Least Squares Mean
- Number
- Count of Units



**Measure of Dispersion/Precision \***

Select one.

- Not Applicable (only if Measure Type is "Number," "Count of Participants," or "Count of Units")
- Standard Deviation
- Standard Error
- Inter-Quartile Range
- Full Range
- 80% Confidence Interval
- 90% Confidence Interval
- 95% Confidence Interval
- 97.5% Confidence Interval
- 99% Confidence Interval
- Other Confidence Interval Level
- Geometric Coefficient of Variation (only when Measure Type is "Geometric Mean")

**Other Confidence Interval Level [\*]**

Definition: The numerical value for the confidence interval level, if "Other Confidence Interval Level" is selected. Provide a rationale for choosing this level in the Outcome Measure Description.

**Category or Row Title [\*]**

Definition: Name of distinct category or row for an outcome measure, if any. Category Titles are only for mutually exclusive and exhaustive categories summarizing data using the Measure Type of a "Count of Participants" or "Count of Units". Row Titles are for any type of data.

Limit: 50 characters.

**Number of Participants Analyzed [\*]**

Definition: The number of participants analyzed for the outcome measure in the row and for each arm/group, if different from the overall Number of Participants Analyzed.

Limit: 50 characters.

**Number of Units Analyzed [\*]**

Definition: The number of units analyzed for the outcome measure in the row and for each arm/group, if different from the overall Number of Units Analyzed.

**Outcome Data \***

Definition: The measurement value(s) for each outcome measure, including each category/row and each arm/group.

**NA (Not Available) Explanation [\*]**

Definition: Explain why outcome measure data are not available, if "NA" is reported for Outcome Data.

Limit: 250 characters.

**Unit of Measure \***

Definition: An explanation of what is quantified by the data (for example, participants, mm Hg), for each outcome measure.

Limit: 40 characters.

**Statistical Analyses [\*]**

Definition: Result(s) of scientifically appropriate tests of statistical significance of the primary and secondary outcome measures, if any. Such analyses include: pre-specified in the protocol and/or statistical analysis plan; made public by the sponsor or responsible party; conducted on a primary outcome measure in response to a request made by FDA.

If a statistical analysis is reported "Comparison Group Selection" and "Type of Statistical Test" are required. In addition, one of the following data elements are required with the associated information: "P-Value," "Estimation Parameter," or "Other Statistical Analysis."

**Statistical Analysis Overview**

Definition: Summary description of the analysis performed.

**Comparison Group Selection [\*]**

Definition: The arms or comparison groups involved in the statistical analysis (check all to indicate an "omnibus" analysis).

**Comments**

Definition: Additional details about the statistical analysis, such as null hypothesis and description of power calculation.

Limit: 500 characters.

**Type of Statistical Test [\*]**

Definition: Identifies the type of analysis. Select one.

- Superiority
- Non-inferiority
- Equivalence
- Other (for example, single group or other descriptive analysis)
- Non-Inferiority or Equivalence (*legacy selection*)
- Superiority or Other (*legacy selection*)

**Comments [\*]**

Definition: If, "Non-inferiority" or "Equivalence," provide additional details, including details of the power calculation (if not previously provided), definition of non-inferiority or equivalence margin, and other key parameters.

Limit: 500 characters.

**Statistical Test of Hypothesis (or Method of Estimation or Other Statistical Analysis required)**

Definition: Procedure used for statistical analysis of outcome data and the calculated p-value.

**P-Value [\*]**

Definition: Calculated p-value given the null-hypothesis

**Comments**

Definition: Additional information, such as whether the p-value is adjusted for multiple comparisons and the *a priori* threshold for statistical significance

Limit: 250 characters.

**Method [\*]**

Definition: The statistical test used to calculate the p-value, if a P-Value is reported. Select one.

- ANCOVA
- ANOVA
- Chi-Squared
- Chi-Squared, Corrected
- Cochran-Mantel-Haenszel
- Fisher Exact
- Kruskal-Wallis
- Log Rank
- Mantel Haenszel
- McNemar
- Mixed Models Analysis
- Regression, Cox
- Regression, Linear
- Regression, Logistic
- Sign Test
- t-Test, 1-Sided
- t-Test, 2-Sided
- Wilcoxon (Mann-Whitney)
- Other

**Other Method Name [\*]**

Definition: If "Other" is selected, provide name of statistical test.

Limit: 40 characters.

**Comments**

Definition: Any other relevant information about the statistical test, such as adjustments or degrees of freedom.

Limit: 150 characters.

**Method of Estimation** (or *Statistical Test of Hypothesis or Other Statistical Analysis required*)

Definition: Procedure used to estimate effect of intervention.

**Estimation Parameter [\*]**

Select one.

- Cox Proportional Hazard
- Hazard Ratio (HR)
- Hazard Ratio, Log
- Mean Difference (Final Values)
- Mean Difference (Net)
- Median Difference (Final Values)
- Median Difference (Net)
- Odds Ratio (OR)
- Odds Ratio, Log
- Risk Difference (RD)
- Risk Ratio (RR)
- Risk Ratio, Log
- Slope
- Other

**Other Parameter Name [\*]**

Definition: The name of the estimation parameter, if "Other" Estimation Parameter is selected.

Limit: 40 characters.

**Estimated Value [\*]**

Definition: The calculated value for the estimation parameter.

**Confidence Interval** *(If applicable)***Level [\*]**

Expressed as a percentage.

**Number of Sides [\*]**

Select 1-sided or 2-sided.

**Lower Limit [\*]**

Definition: Required if confidence interval is "2-sided" or if confidence interval is "1-sided" and no Upper Limit is entered.

**Upper Limit [\*]**

Definition: Required if confidence interval is "2-sided" or if confidence interval is "1-sided" and no Lower Limit is entered.

**NA (Not Available) Explanation [\*]**

Definition: Explain why the upper limit data are not available, if "NA" is reported as upper-limit of "2-sided" confidence interval.

Limit: 250 characters.

**Parameter Dispersion Type**

Select one.

- Standard Deviation
- Standard Error of the Mean

**Dispersion Value**

Definition: The calculated value for the dispersion of the estimated parameter.

**Estimation Comments**

Definition: Any other relevant estimation information, including the direction of the comparison (for example, describe which arm or comparison group represents the numerator and denominator for relative risk).

Limit: 250 characters.

**Other Statistical Analysis**

Definition: If the statistical analysis cannot be submitted using the Statistical Test of Hypothesis or Method of Estimation options, provide a description and the results of any other scientifically appropriate tests of statistical significance.

#### ▼ 4. Adverse Event Information

Information for completing three tables summarizing adverse events.

1. All-Cause Mortality: \*§ A table of *all* anticipated and unanticipated deaths due to any cause, with number and frequency of such events in each arm/group of the clinical study.
2. Serious Adverse Events: \* A table of *all* anticipated and unanticipated serious adverse events, grouped by organ system, with number and frequency of such events in each arm/group of the clinical study. (See [Adverse Events](#) definition below).
3. Other (Not Including Serious) Adverse Events: \* A table of anticipated and unanticipated events (not included in the serious adverse event table) that exceed a frequency threshold (for example, 5 %) within any arm of the clinical study, grouped by organ system, with number and frequency of such events in each arm/group of the clinical study.

##### **Time Frame \*§**

Definition: The specific period of time over which adverse event data were collected.

Limit: 500 characters.

##### **Adverse Event Reporting Description [\*]**

Definition: If the adverse event information collected in the clinical study is collected based on a different definition of adverse event and/or serious adverse event than the [Adverse Events](#) definition below, a brief description of how the definitions differ. May also be used to provide any additional relevant information about adverse event collection, including details about the method of systematic assessment (for example, daily questionnaire) or information about how the analysis population was determined (if the Number of Participants at Risk differs from the number of participants assigned to the arm or comparison group).

Limit: 500 characters.

##### **Source Vocabulary Name for Table Default**

Definition: Standard terminology, controlled vocabulary, or classification and version from which adverse event terms are drawn, if any (for example, SNOMED CT, MedDRA 10.0). Default value for Source Vocabulary Name to be applied to all adverse event terms entered in the "Serious Adverse Event" and "Other (Not Including Serious) Adverse Event" tables. If necessary, Source Vocabulary Name may also be specified for specific Adverse Event Terms.

Limit: 20 characters.

##### **Collection Approach for Table Default \*§** (or *Collection Approach for each Adverse Event Term required*)

Definition: The type of approach taken to collect adverse event information. Default value for the type of approach taken to collect adverse event information (Systematic or Non-Systematic Assessment) to be applied to all adverse event terms entered in the "Serious Adverse Event" or "Other (Not Including Serious) Adverse Event" tables. If necessary, Collection Approach may also be specified for specific Adverse Event Terms. Select one.

- Systematic Assessment: Any method of routinely determining whether or not certain adverse events have occurred, for example through a standard questionnaire, regular investigator assessment, regular laboratory testing, or other method
- Non-Systematic Assessment: Any non-systematic method for determining whether or not adverse events have occurred, such as self-reporting by participants or occasional assessment/testing

**Arm/Group Information \***

Definition: Arms or comparison groups in the study, including all arms or comparison groups based on the pre-specified protocol and/or statistical analysis plan.

**Arm/Group Title \***

Definition: Label used to identify each arm or comparison group.  
Limit: >=4 and <= 62 characters.

**Arm/Group Description \*§**

Definition: Brief description of each arm or comparison group. In general, it must include sufficient detail to understand how the arm(s) or comparison groups were derived from the arm(s) to which participants were assigned in Participant Flow and the intervention strategy in each arm/group.  
Limit: 999 characters.

**Adverse Events**

Definition: Any untoward or unfavorable medical occurrence in a participant, including any abnormal sign (for example, abnormal physical exam or laboratory finding), symptom, or disease, temporally associated with the participant's participation in the research, whether or not considered related to the participant's participation in the research.

Three types of adverse event data are to be reported: "All-Cause Mortality," "Serious," and "Other (Not Including Serious)" Adverse Events.

1. All-Cause Mortality: The occurrence of death due to any cause.
2. Serious Adverse Events: Include adverse events that result in any of the following outcomes: death, a life-threatening adverse event, inpatient hospitalization or prolongation of existing hospitalization, a persistent or significant incapacity or substantial disruption of the ability to conduct normal functions, or a congenital anomaly/birth defect. Important medical events that may not result in death, be life-threatening, or require hospitalization may be considered serious when, based upon appropriate medical judgment, they may jeopardize the participant and may require medical or surgical intervention to prevent one of the outcomes listed in this definition.
3. Other (Not Including Serious) Adverse Events: Adverse events that are not Serious Adverse Events.

**Total Number Affected by All-Cause Mortality \*§**

Definition: Overall number of participants, in each arm/group, who died due to any cause.

**Total Number at Risk for All-Cause Mortality \*§**

Definition: Overall number of participants, in each arm/group, included in the assessment of deaths due to any cause (that is, the denominator for calculating frequency of all-cause mortality).

**Total Number Affected by Any Serious Adverse Event \***

Definition: Overall number of participants affected by one or more Serious Adverse Events, for each arm/group.

**Total Number at Risk for Serious Adverse Events \* (or Number at Risk for each Serious Adverse Event Term required)**

Definition: Overall number of participants included in the assessment of serious adverse events (that is, the denominator for calculating frequency of serious adverse events), for each arm/group.

**Frequency Threshold for Reporting Other (Not Including Serious) Adverse Events \***

Definition: Specify the frequency of occurrence that an Other (Not Including Serious) Adverse Event must exceed, within any arm or comparison group, to be reported in the Other (Not Including Serious) Adverse Event table. The number for the frequency threshold must be less than or equal to the allowed maximum (5%). Do not include symbols (for example, > or %) in the data field, it will be expressed as a percentage.

For example, a threshold of 5 percent indicates that all Other (Not Including Serious) Adverse Events with a frequency greater than 5 percent within at least one arm or comparison group are reported.

**Total Number Affected by Any Other (Not Including Serious) Adverse Event Above the Frequency Threshold \***

Definition: Overall number of participants affected, for each arm/group, by at least one Other (Not Including Serious) Adverse Event(s) reported in the table. Adverse events reported in the table are those that occurred at a frequency exceeding the specified Frequency Threshold (for example, 5%) within at least one arm or comparison group.

**Total Number at Risk for Other (Not Including Serious) Adverse Events \*** (or Number at Risk for each Other, [Not Including Serious], Adverse Event Term required)

Definition: Overall number of participants, for each arm/group, included in the assessment of Other (Not Including Serious) Adverse Events during the study (that is, the denominator for calculating frequency of Other (Not Including Serious) Adverse Events).

**Adverse Event Term \***

Definition: Descriptive word or phrase for the adverse event.

Limit: 100 characters.

**Organ System \***

Definition: High-level categories used to group adverse event terms by body or organ system. Select one. (Adverse events that affect multiple systems should be classified as "General disorders.")

- Blood and Lymphatic System Disorders
- Cardiac Disorders
- Congenital, Familial and Genetic Disorders
- Ear and Labyrinth Disorders
- Endocrine Disorders
- Eye Disorders
- Gastrointestinal Disorders
- General Disorders
- Hepatobiliary Disorders
- Immune System Disorders
- Infections and Infestations
- Injury, Poisoning and Procedural Complications
- Investigations
- Metabolism and Nutrition Disorders
- Musculoskeletal and Connective Tissue Disorders
- Neoplasms Benign, Malignant and Unspecified (Including Cysts and Polyps)
- Nervous System Disorders
- Pregnancy, Puerperium and Perinatal Conditions
- Product Issues
- Psychiatric Disorders
- Renal and Urinary Disorders
- Reproductive System and Breast Disorders
- Respiratory, Thoracic and Mediastinal Disorders
- Skin and Subcutaneous Tissue Disorders
- Social Circumstances
- Surgical and Medical Procedures
- Vascular Disorders

**Adverse Event Term Additional Description**

Definition: Additional relevant information about the adverse event.

Limit: 250 characters.

**Source Vocabulary Name**

Definition: Standard terminology, controlled vocabulary, or classification and version from which adverse event terms are drawn, if any (for example, SNOMED CT, MedDRA 10.0). Leave blank to indicate that the value specified as the Source Vocabulary for Table Default should be used.

Limit: 20 characters.

**Collection Approach \*§ (or Collection Approach for Table Default required)**

Definition: The type of approach taken to collect adverse event information. Select one or leave blank to indicate that the value specified as the Assessment Type for Table Default should be used.

- Systematic Assessment: Any method of routinely determining whether or not certain adverse events have occurred, for example through a standard questionnaire, regular investigator assessment, regular laboratory testing, or other method
- Non-Systematic Assessment: Any non-systematic method for determining whether or not adverse events have occurred, such as self-reporting by participants or occasional assessment/testing

**Adverse Event Data****Number of Participants Affected \***

Definition: Number of participants, in each arm/group, experiencing at least one event being reported.

**Number of Participants at Risk \***

Definition: Number of participants assessed, in each arm/group, for adverse events (that is, the denominator for calculating frequency of adverse events). Leave blank to indicate that the value specified as the total at risk in the arm/group for the table should be used.

**Number of Events**

Definition: Number of occurrences, in each arm/group, of the adverse event being reported.

**▼ 5. Limitations and Caveats****Overall Limitations and Caveats**

Definition: Describe significant limitations of the study. Such limitations may include not reaching the target number of participants needed to achieve target power and statistically reliable results or technical problems with measurements leading to unreliable or uninterpretable data.

Limit: 250 characters.

**▼ 6. Certain Agreements**

Information indicating whether there exists an agreement between the sponsor or its agent and the principal investigators (unless the sponsor is an employer of the principal investigators) that restricts in any manner the ability of the principal investigators (PIs), after the completion of the study, to discuss the results of the study at a scientific meeting or any other public or private forum, or to publish in a scientific or academic journal information concerning the results of the study. This does not include an agreement solely to comply with applicable provisions of law protecting the privacy of participants.



**Are all PIs Employees of Sponsor? \***

Definition: Indicate whether the principal investigator is an employee of the sponsor. Select one.

- Yes: The principal investigator is an employee of the sponsor
- No: The principal investigator is not an employee of the sponsor

If "No" the following information is required:

**Results Disclosure Restriction on PI(s)? [\*]**

Definition: Indicate whether there exists any agreement (other than an agreement solely to comply with applicable provisions of law protecting the privacy of participants participating in the clinical study) between the sponsor or its agent and the principal investigator (PI) that restricts in any manner the ability of the PI to discuss the results of the clinical study at a scientific meeting or any other public or private forum or to publish in a scientific or academic journal the results of the clinical study, after the [Primary Completion Date](#). Select Yes/No.

If there are agreements with multiple PIs who are not employees of the sponsor and there is a disclosure restriction on at least one PI, select "Yes."

**PI Disclosure Restriction Type**

Definition: Additional information about the results disclosure restriction. If there are varying agreements, choose the type below that represents the most restrictive of the agreements (for example, the agreement with the greatest embargo time period). Select one.

- The only disclosure restriction on the PI is that the sponsor can review results communications prior to public release and can embargo communications regarding study results for a period that is **less than or equal to 60 days** from the date that the communication is submitted to the sponsor for review. The sponsor cannot require changes to the communication and cannot unilaterally extend the embargo.
- The only disclosure restriction on the PI is that the sponsor can review results communications prior to public release and can embargo communications regarding study results for a period that is **more than 60 days but less than or equal to 180 days** from the date that the communication is submitted to the sponsor for review. The sponsor cannot require changes to the communication and cannot unilaterally extend the embargo.
- Other disclosure agreement that restricts the right of the PI to disclose, discuss, or publish study results after the study is completed

**Other Disclosure Restriction Description**

Definition: If "Other disclosure agreement..." is selected, describe the type of agreement including any provisions allowing the sponsor to require changes, ban the communication, or extend an embargo.

Limit: 500 characters.

**▼ 7. Results Point of Contact**

Point of contact for scientific information about the clinical study results information.

**Name or Official Title \***

Definition: The person who is designated the point of contact. This may be a specific person's name (for example, Dr. Jane Smith) or a position title (for example, Director of Clinical Trials).

**Organization Name \***

Definition: Full name of the designated individual's organizational affiliation.

**Phone:** \*§ Office phone number of the designated individual. Use the format 123-456-7890 within the United States and Canada. If outside the United States and Canada, provide the full phone number, including the country code.

**Extension (Ext.):** Phone extension, if needed

**Email:** \*§ Electronic mail address of the designated individual.

▼ **8. Delayed Results** (*Optional*)

A responsible party may delay the deadline for submitting results information if one of the two certification conditions below applies to the clinical study. Alternatively, the responsible party may request an extension of the results submission deadline for good cause. The extension must be granted by the NIH Director.

**Delay Results Type [\*]** : Select one

- **Certify Initial Approval:** Trial studies an FDA-regulated drug product (including a biological product) or device product that was not approved, licensed or cleared by FDA for any use before the Primary Completion Date of the trial, and the sponsor intends to continue with product development and is either seeking, or may at a future date seek, FDA approval, licensure, or clearance of the drug product (including a biological product) or device product under study.
- **Certify New Use:** Trial studies an FDA-regulated drug product (including a biological product) or device product that previously has been approved, licensed, or cleared, for which the manufacturer is the sponsor of the trial and for which an application or premarket notification seeking approval, licensure, or clearance of the use being studied (which is not included in the labeling of the approved, licensed, or cleared drug, product (including a biologic product) or device product) has been filed or will be filed within one year with FDA.
- **Extension:** Request, for good cause, an extension of the deadline for submitting results information

Note: If a responsible party who is both the manufacturer of the drug product (including a biological product) or device product studied in an applicable clinical trial and the sponsor of the applicable clinical trial submits a certification under "Certify New Use," that responsible party must submit such a certification for each applicable clinical trial that meets the following criteria: (1) the applicable clinical trial is required to be submitted in an application or premarket notification seeking approval, licensure, or clearance of a new use; (2) the applicable clinical trial studies the same drug product (including a biological product) or device product for the same use as studied in the applicable clinical trial for which the initial certification was submitted. [42 U.S.C. 282 (j)(3)(E)(v)(II) and 42 CFR 11.44(b)(3)]

**Intervention Name(s)**

Definition: Provide the name of one or more drugs, biological products or devices to which the certification applies. For drugs use generic name; for other types of interventions provide a brief descriptive name. The name(s) entered should match Intervention Name(s) provided in the protocol section.

**FDA Application Number(s)**

Definition: Provide at least one FDA application number (for example, NDA, BLA, or PMA number), if available, when Delay Results Type is "Certify Initial Approval" or "Certify New Use."

**Requested Submission Date [\*]** (*Required when Delay Results Type is "Extension."*)

Definition: Estimate of the date on which the clinical study results information will be submitted, if the Delay Results Type is "Extension".

**Explanation [\*]** (Required when Delay Results Type is "Extension.")

Definition: Description of the reason(s) why clinical study results information cannot be provided according to the deadline, with sufficient detail to justify good cause for the extension and to allow for the evaluation of the request. Note that "pending publication" and delays in data analysis for unspecified causes are not considered good cause for an extension.

Limit: 999 characters.

---

▼ **A.1 Document Upload Information \*§**

The full study protocol and statistical analysis plan must be uploaded as part of results information submission, for studies with a Primary Completion Date on or after January 18, 2017. The protocol and statistical analysis plan may be optionally uploaded before results information submission and updated with new versions, as needed. Informed consent forms may optionally be uploaded at any time.

Documents must be uploaded in Portable Document Format Archival (PDF/A) format. It is strongly encouraged that the PDF/A file also be consistent with the PDF Universal Accessibility (PDF/UA) format, to optimize accessibility.

For each uploaded document, provide the following information.

**Document Type \***

Definition: Type of uploaded study document. Select one.

- **Study Protocol:** The written description of the clinical study, including objective(s), design, and methods. It may also include relevant scientific background and statistical considerations (if the protocol document includes the statistical analysis plan, use "Study Protocol with SAP and/or ICF" option). Note: All amendments approved by a human subjects protection review board (if applicable), before the time of submission and that apply to all clinical trial Facility Locations must be included.
- **Statistical Analysis Plan (SAP):** The written description of the statistical considerations for analyzing the data collected in the study. Includes how data are analyzed, what specific statistical methods are used for each analysis, and how adjustments are made for testing multiple variables. If some analysis methods require critical assumptions, the written description should allow data users to understand how those assumptions were verified.
- **Informed Consent Form (ICF):** The final version of the legal document approved by a human subjects protection review board. It is written in lay language and describes, among other things, the study's purpose, procedures, risks and potential benefits.
- **Study Protocol with SAP and/or ICF:** The study protocol that also includes a statistical analysis plan (SAP) and/or an informed consent form (ICF). Select one or both.
  - Statistical Analysis Plan (SAP)
  - Informed Consent Form (ICF)

**Document Date \***

Definition: The date on which the uploaded document was most recently updated and, if needed, approved by a human subjects protection review board.

**Subtitle [\*]**

Definition: If there is more than one document for a study of the same Document Type, provide additional descriptive information to differentiate between documents. For example, there may be more than one document of the same Document Types if there are two populations studied in the same study (such as, infants and mothers). Do NOT use Subtitles for uploading a new version of the same document.

**Document \***

Definition: The study protocol, statistical analysis plan, and/or informed consent form document(s) uploaded in Portable Document Format Archival (PDF/A) format. It is strongly encouraged that the PDF/A file also be consistent with the PDF Universal Accessibility (PDF/UA) format, to optimize accessibility. Each document must include a cover page with the Official Title of the study, NCT number (if available), and date of the document.

Note: The study document may include redaction of names, addresses, and other personally identifiable information, as well as any trade secret and/or confidential commercial information (as those terms are defined in the Freedom of Information Act (5 U.S.C. 552) and the Trade Secrets Act (18 U.S.C. 1905)) contained in the protocol or statistical analysis plan. Information that is otherwise required to be submitted as part of clinical trial registration or results information may not be redacted.

**▼ History of Changes**

January 18, 2017: Document updated with data element changes per the FDAAA 801 final rule (42 CFR Part 11).

April 18, 2017: Modified Outcome Measure Description definition to describe when the Description is required.

June 29, 2017: Added Document Upload Information data elements as Appendix 1 (A.1.).

付表 3. ClinicalTrials.gov における試験結果の報告例

[Show definition](#) National Library of Medicine  
**ClinicalTrials.gov**
[Find Studies](#) [About Studies](#) [Submit Studies](#) [Resources](#) [About Site](#)

---

[Home](#) > [Search Results](#) > Study Record Detail  Save this study

Trial record **24 of 836** for: [Completed, Terminated Studies](#) | [Studies With Results](#) | [breast cancer](#)  
[◀ Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study ▶](#)

**Abraxane, Avastin, and Gemcitabine as First-Line Therapy for Patients With Metastatic Breast Cancer**

**⚠** The safety and scientific validity of this study is the responsibility of the study sponsor and investigators. Listing a study does not mean it has been evaluated by the U.S. Federal Government. Read our [disclaimer](#) for details.

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT00503906

Recruitment Status **📌**: Completed  
 First Posted **📌**: July 19, 2007  
 Results First Posted **📌**: April 2, 2013  
 Last Update Posted **📌**: May 12, 2017

**Sponsor:**  
University of Miami

**Information provided by (Responsible Party):**  
University of Miami

**Study Details**
**Tabular View**
**Study Results**
Disclaimer
📖 How to Read a Study Record

<b>Study Type:</b>	Interventional
<b>Study Design:</b>	Intervention Model: Single Group Assignment; Masking: None (Open Label); Primary Purpose: Treatment
<b>Condition:</b>	<b>Breast Cancer</b>
<b>Interventions:</b>	Drug: Avastin Drug: Gemcitabine Drug: Abraxane

**▶ Participant Flow**

[📄 Hide Participant Flow](#)

**Recruitment Details**

Key information relevant to the recruitment process for the overall study, such as dates of the recruitment period and locations

No text entered.

**Pre-Assignment Details**

Significant events and approaches for the overall study following participant enrollment, but prior to group assignment

No text entered.

**Reporting Groups**

Reporting Group	Description
<b>Abraxane, Avastin and Gemcitabine</b>	Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression: <ul style="list-style-type: none"> <li>Gemcitabine: 1500 mg/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>Abraxane: 150 mg/m<sup>2</sup> IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

**Participant Flow: Overall Study**

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
STARTED	30
COMPLETED	29
NOT COMPLETED	1
Withdrawal by Subject	1

► **Baseline Characteristics**

 [Hide Baseline Characteristics](#)

**Population Description**

Explanation of how the number of participants for analysis was determined. Includes whether analysis was per protocol, intention to treat, or another method. Also provides relevant details such as imputation technique, as appropriate.

No text entered.

**Reporting Groups**

	Description
<b>Abraxane, Avastin and Gemcitabine</b>	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m<sup>2</sup> IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

**Baseline Measures**

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
<b>Overall Participants Analyzed</b> [Units: Participants]	<b>30</b>
<b>Age</b> [Units: Participants] Count of Participants	
<=18 years	0 0.0%
Between 18 and 65 years	27 90.0%
>=65 years	3 10.0%
<b>Age</b> [Units: Years] Mean (Standard Deviation)	<b>52.3 (9.2)</b>
<b>Age</b> [Units: Years] Median (Full Range)	<b>53.8 (34 to 69)</b>
<b>Sex: Female, Male</b> [Units: Participants] Count of Participants	
Female	29 96.7%
Male	1 3.3%
<b>Race (NIH/OMB)</b> [Units: Participants] Count of Participants	
American Indian or Alaska Native	0 0.0%
Asian	1 3.3%
Native Hawaiian or Other Pacific Islander	0 0.0%
Black or African American	8 26.7%
White	20 66.7%
More than one race	0 0.0%
Unknown or Not Reported	1 3.3%
<b>Region of Enrollment</b> [Units: Participants]	
United States	<b>30</b>

► Outcome Measures

[Hide All Outcome Measures](#)

1. Primary: Median Progression-Free Survival [ Time Frame: Up to 24 months ]

Measure Type	Primary
Measure Title	Median Progression-Free Survival
Measure Description	Progression-free survival will be measured from the first dose date to the earliest date of documented evidence of progressive disease or the date of death due to any causes, whichever occurs first.
Time Frame	Up to 24 months

Population Description

Explanation of how the number of participants for analysis was determined. Includes whether analysis was per protocol, intention to treat, or another method. Also provides relevant details such as imputation technique, as appropriate.

No text entered.

Reporting Groups

	Description
Abraxane, Avastin and Gemcitabine	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m<sup>2</sup> IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

Measured Values

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
Participants Analyzed [Units: Participants]	29
Median Progression-Free Survival [Units: Months] Median (95% Confidence Interval)	10.4 (5.6 to 15.2)

No statistical analysis provided for Median Progression-Free Survival

2. Secondary: Rates of Partial Response (PR), Complete Response (CR) and Overall Response (ORR) in Study Participants [ Time Frame: After two cycles, about 60 days ]

Measure Type	Secondary
Measure Title	Rates of Partial Response (PR), Complete Response (CR) and Overall Response (ORR) in Study Participants
Measure Description	Rates of partial response (PR), complete response (CR) and overall response (PR+CR = ORR) in study participants according to Response Evaluation Criteria In Solid Tumors (RECIST) version 1.0.
Time Frame	After two cycles, about 60 days

Population Description

Explanation of how the number of participants for analysis was determined. Includes whether analysis was per protocol, intention to treat, or another method. Also provides relevant details such as imputation technique, as appropriate.

Evaluable patients are study-eligible patients who receive an initial infusion of combination chemotherapy consisting of Gemcitabine, NAB paclitaxel and Bevacizumab and have had at least one CT scan for evaluation of disease status.

Reporting Groups

	Description
Abraxane, Avastin and Gemcitabine	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m<sup>2</sup> IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

Measured Values

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
Participants Analyzed [Units: Participants]	29
Rates of Partial Response (PR), Complete Response (CR) and Overall Response (ORR) in Study Participants [Units: Percentage of participants]	
Overall Response Rate (ORR)	75.6
Complete Response (CR)	27.6
Partial Response (PR)	48.3

No statistical analysis provided for Rates of Partial Response (PR), Complete Response (CR) and Overall Response (ORR) in Study Participants

**3. Secondary: Rate of Toxicity in Study Participants [ Time Frame: Over the course of study treatment. ]**

<b>Measure Type</b>	Secondary
<b>Measure Title</b>	Rate of Toxicity in Study Participants
<b>Measure Description</b>	Determination of safety and side effect profile of the protocol therapy including the rate of toxicity in study participants. The descriptions and grading scales found in the revised NCI Common Terminology Criteria for Adverse Events (CTCAE) version 3.0 will be utilized for adverse event reporting.
<b>Time Frame</b>	Over the course of study treatment.

**Population Description**

Explanation of how the number of participants for analysis was determined. Includes whether analysis was per protocol, intention to treat, or another method. Also provides relevant details such as imputation technique, as appropriate.
No text entered.

**Reporting Groups**

	Description
<b>Abraxane, Avastin and Gemcitabine</b>	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m2 body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m2 IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

**Measured Values**

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
<b>Participants Analyzed</b> [Units: Participants]	29
<b>Rate of Toxicity in Study Participants</b> [Units: Percentage of participants]	
Alopecia, Grade 1/2	65.5
Fatigue, Grade 1/2	37.9
Bone Pain, Grade 1/2	31
Nausea, Grade 1/2	31
Skin rash/lesions, Grade 1/2	27.6
Neutropenia, Grade 1/2	10.3
Grade 3/4 Toxicities	27.6

No statistical analysis provided for Rate of Toxicity in Study Participants

**4. Secondary: Relationship Between Circulating Tumor Cells (CTC) and Disease Progression as Measured by Presence of CTC at Baseline and Over the Course of Study Treatment [ Time Frame: Baseline, over the course of Treatment, about 1 year ]**

<b>Measure Type</b>	Secondary
<b>Measure Title</b>	Relationship Between Circulating Tumor Cells (CTC) and Disease Progression as Measured by Presence of CTC at Baseline and Over the Course of Study Treatment
<b>Measure Description</b>	Exploration of the relationship between circulating tumor cells (CTC) and disease progression, by measuring CTC at baseline and over the course of treatment.
<b>Time Frame</b>	Baseline, over the course of Treatment, about 1 year

**Population Description**

Explanation of how the number of participants for analysis was determined. Includes whether analysis was per protocol, intention to treat, or another method. Also provides relevant details such as imputation technique, as appropriate.
Data were not collected for this outcome measure.

**Reporting Groups**

	Description
<b>Abraxane, Avastin and Gemcitabine</b>	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m2 body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m2 IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

**Measured Values**

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
<b>Participants Analyzed</b> [Units: Participants]	0
<b>Relationship Between Circulating Tumor Cells (CTC) and Disease Progression as Measured by Presence of CTC at Baseline and Over the Course of Study Treatment</b>	

No statistical analysis provided for Relationship Between Circulating Tumor Cells (CTC) and Disease Progression as Measured by Presence of CTC at Baseline and Over the Course of Study Treatment



**5. Secondary: Relationship Between SPARC Expression and Response to Protocol Therapy. [ Time Frame: Baseline, over the course of treatment, about 1 year ]**

Measure Type	Secondary
Measure Title	Relationship Between SPARC Expression and Response to Protocol Therapy.
Measure Description	Relationship between SPARC expression and response to this chemotherapy combination and relation to progression free survival.
Time Frame	Baseline, over the course of treatment, about 1 year

**Population Description**

Explanation of how the number of participants for analysis was determined. Includes whether analysis was per protocol, intention to treat, or another method. Also provides relevant details such as imputation technique, as appropriate.
Data were not collected for this outcome measure.

**Reporting Groups**

	Description
<b>Abraxane, Avastin and Gemcitabine</b>	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m<sup>2</sup> IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul> <p>Avastin Gemcitabine Abraxane</p>

**Measured Values**

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
<b>Participants Analyzed</b> [Units: Participants]	0
<b>Relationship Between SPARC Expression and Response to Protocol Therapy.</b>	

No statistical analysis provided for Relationship Between SPARC Expression and Response to Protocol Therapy.

**6. Post-Hoc: Rate of Overall Survival in Study Participants [ Time Frame: 18 months ]**

Measure Type	Post-Hoc
Measure Title	Rate of Overall Survival in Study Participants
Measure Description	Rate of overall survival in study participants. Overall survival will be measured from the date of enrollment to the date of death from any cause, or the date of last contact (censored observations.)
Time Frame	18 months

**Population Description**

Explanation of how the number of participants for analysis was determined. Includes whether analysis was per protocol, intention to treat, or another method. Also provides relevant details such as imputation technique, as appropriate.
No text entered.

**Reporting Groups**

	Description
<b>Abraxane, Avastin and Gemcitabine</b>	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m<sup>2</sup> IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

**Measured Values**

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
<b>Participants Analyzed</b> [Units: Participants]	29
<b>Rate of Overall Survival in Study Participants</b> [Units: Percentage of participants] Median (95% Confidence Interval)	77.2 (51.1 to 90.5)

No statistical analysis provided for Rate of Overall Survival in Study Participants

## ► Serious Adverse Events

### ▢ Hide Serious Adverse Events

Time Frame	No text entered.
Additional Description	No text entered.

#### Reporting Groups

	Description
Abraxane, Avastin and Gemcitabine	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m<sup>2</sup> IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

#### Serious Adverse Events

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
<b>Total, Serious Adverse Events</b>	
# participants affected / at risk	8/29 (27.59%)
<b>Blood and lymphatic system disorders</b>	
Leukopenia † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Thrombocytopenia † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Infections and infestations</b>	
Abscess † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Breast Abscess † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Fever/Sepsis † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Neutropenic Fever † 1 [4]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Nervous system disorders</b>	
Peripheral Neuropathy † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Seizure/Syncope † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Renal and urinary disorders</b>	
Hematuria † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
UTI † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Respiratory, thoracic and mediastinal disorders</b>	
Shortness of breath † 1 [3]	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Skin and subcutaneous tissue disorders</b>	
PortAcath infection † 1 [3]	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
<b>Surgical and medical procedures</b>	
Tamponade † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)

† Events were collected by systematic assessment

1 Term from vocabulary, CTCAE (3.0)

[3] Grade 3

[4] Grade 4

## Other Adverse Events

[Hide Other Adverse Events](#)

Time Frame	No text entered.
Additional Description	No text entered.

### Frequency Threshold

Threshold above which other adverse events are reported	3%
---	----

### Reporting Groups

Reporting Group	Description
Abraxane, Avastin and Gemcitabine	<p>Each treatment cycle is 28 days. Participants will be treated until disease progression:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Gemcitabine: 1500 mg/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) intravenously (IV) over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Abraxane: 150 mg/m<sup>2</sup> IV over 30 minutes (+/- 5 minutes) on days 1 and 15 of each cycle, followed by;</li> <li>• Avastin: 10 mg/kg IV on days 1 and 15 of each cycle.</li> </ul>

### Other Adverse Events [@](#)

	Abraxane, Avastin and Gemcitabine
<b>Total, Other (not including serious) Adverse Events</b>	
# participants affected / at risk	29/29 (100.00%)
<b>Blood and lymphatic system disorders</b>	
Neutropenia <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	3/29 (10.34%)
Leukopenia <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Thrombocytopenia <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Anemia <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Lymphedema <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
<b>Cardiac disorders</b>	
Chest Pain <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Pericardial effusion <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Tachycardia <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Tricuspid Regurg <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)

<b>Endocrine disorders</b>	
Heat intolerance <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Hot flashes <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Eye disorders</b>	
Blurred Vision <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
Conjunctivitis <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Scotoma <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Gastrointestinal disorders</b>	
Nausea <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	8/29 (27.59%)
Diarrhea <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	4/29 (13.79%)
Constipation <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Heartburn <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Reflux <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Regurgitation (valve) <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Vomiting <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)

<b>General disorders</b>	
Fatigue † 1	
# participants affected / at risk	11/29 (37.93%)
Headache † 1	
# participants affected / at risk	7/29 (24.14%)
Insomnia † 1	
# participants affected / at risk	4/29 (13.79%)
Cough † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
Weight Loss † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
Pelvic pain † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Hepatobiliary disorders</b>	
Jaundice † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Infections and infestations</b>	
Abscess † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Flu-like symptoms † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
Oral infection † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
Rhinorrhea † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
Mucositis † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Painful edema † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Pedal edema † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Metabolism and nutrition disorders</b>	
Dysgeusia † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
Loss of appetite † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)

<b>Musculoskeletal and connective tissue disorders</b>	
Bone Pain † 1	
# participants affected / at risk	9/29 (31.03%)
Hand/Foot syndrome † 1	
# participants affected / at risk	7/29 (24.14%)
<b>Nervous system disorders</b>	
Peripheral Neuropathy † 1	
# participants affected / at risk	5/29 (17.24%)
<b>Psychiatric disorders</b>	
Anxiety † 1	
# participants affected / at risk	3/29 (10.34%)
Depression † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
<b>Renal and urinary disorders</b>	
Acute renal insufficiency † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
<b>Reproductive system and breast disorders</b>	
Amenorrhea † 1	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
<b>Respiratory, thoracic and mediastinal disorders</b>	
Shortness of breath † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Pharyngitis † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Upper respiratory infection † 1	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)

Skin and subcutaneous tissue disorders	
Alopecia <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	19/29 (65.52%)
Skin rash/lesion <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	8/29 (27.59%)
PortAcath Disorder <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)
Skin discoloration <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	2/29 (6.90%)
Vascular disorders	
Epistaxis <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	6/29 (20.69%)
Hypertension <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	3/29 (10.34%)
Thrombus <sup>† 1</sup>	
# participants affected / at risk	1/29 (3.45%)

<sup>†</sup> Events were collected by systematic assessment

<sup>1</sup> Term from vocabulary, CTCAE (3.0)

## ▶ Limitations and Caveats

 [Hide Limitations and Caveats](#)

Limitations of the study, such as early termination leading to small numbers of participants analyzed and technical problems with measurement leading to unreliable or uninterpretable data

No text entered.

## ▶ More Information

 [Hide More Information](#)

### Certain Agreements:

All Principal Investigators **ARE** employed by the organization sponsoring the study.

### Results Point of Contact:

Name/Title: Stefan Gluck MD

Organization: UM/Sylvester Comprehensive Cancer Center

phone: 305-243-4909

e-mail: [sgluck@med.miami.edu](mailto:sgluck@med.miami.edu)

### Publications of Results:

[Lobo C, Lopes G, Baez O, Castrellon A, Ferrell A, Higgins C, Hurley E, Hurley J, Reis I, Richman S, Seo P, Silva O, Slingerland J, Tukiya K, Welsh C, Glück S. Final results of a phase II study of nab-paclitaxel, bevacizumab, and gemcitabine as first-line therapy for patients with HER2-negative metastatic breast cancer. Breast Cancer Res Treat. 2010 Sep;123\(2\):427-35. doi: 10.1007/s10549-010-1002-0. Epub 2010 Jun 29.](#)

Responsible Party: University of Miami

ClinicalTrials.gov Identifier: [NCT00503906](#) [History of Changes](#)

Other Study ID Numbers: 20060913

SCCC-2006081 ( Other Identifier: University of Miami Sylvester Comprehensive Cancer Center )

First Submitted: July 17, 2007

First Posted: July 19, 2007

Results First Submitted: January 22, 2013

Results First Posted: April 2, 2013

Last Update Posted: May 12, 2017

付票 4. EU- CTR で規定されている項目

Trial Information

Section	EudraCT UI (user interface) field name	EudraCT Data type/description characters (length), numeric, list of terms (single or multiple selection), Y/N selection	Comments	Mandatory fields M=mandatory R= conditionally required O=optional	EudraCT UI Text (Tooltip)
<b>Trial identification</b>				R	No tool tip
	Full title of trial	2000 characters	This field is prepopulated from field A.3 of the CTA and can be amended by the user	M	Update the full title of the trial, if necessary. The title of the trial should be the same as the one specified in the trial protocol and /or the clinical study report.
	EudraCT number	YYYY-XXXXXX-XX	This field is prepopulated from section A.2 of the CTA and it is read-only	R	no tool tips
	Sponsor protocol code	35 characters	This field is prepopulated from field A.4.1 of the CTA and can be amended by the user	M	Update the sponsor protocol code, if necessary. The sponsor protocol code should be the same as the one specified in the trial protocol and /or the clinical study report.
<b>Additional study identifiers</b>				O	
	ISRCTN number	The value entered should have the format: ISRCTNxxxxxxx where x is a digit	This field is prepopulated from the A.5 subsection of the CTA and can be amended/added by the user	O	If the trial is registered on the Current Controlled Trials website, enter the International Standard Randomised Controlled Trial Number (ISRCTN) using the following format: ISRCTNxxxxxxx where 'x' is a number (0-9 inclusive). Otherwise, leave this blank.
	ClinicalTrials.gov identifier (NCT number)	The value entered should have the format: NCTxxxxxxx where x is a digit	This field is prepopulated from the A.5 subsection of the CTA and can be amended/added by the user	O	Provide the US National Clinical Trial (NCT) unique identifier in the format of "NCT" followed by an 8-digit number, e.g.: NCT00000419, if available. Otherwise, leave this blank.
	WHO universal trial number (UTN)	The value entered should have the format: Uxxxx-xxxx-xxxx where x is a digit	This field is prepopulated from the A.5 subsection of the CTA and can be amended/added by the user	O	Enter the WHO Universal Trial Reference number if the trial is registered on the WHO Clinical Trials portal. Otherwise, leave this blank. For more information visit the WHO ICTRP website.
<b>Other trial identifiers</b>				O	
	Other identifier name	50 characters	This field is prepopulated from the A.5.4 of the CTA and can be amended [Comment GUE: UC 29 reads: Read-write: Y]	O	If other identifiers for this trial are available, click in the left-hand field and enter the name of the identifier, then enter the identification code in the right-hand field. Otherwise, leave this blank. To add additional fields, click the + button.

					To delete any fields added in error click the X button.
	Other identifier code	50 characters	This field is prepopulated from the A.5.4 of the CTA and can be amended [Comment [GUE: UC 29 reads: Read-write: Y]	O	If other identifiers for this trial are available, click in the left-hand field and enter the name of the identifier, then enter the identification code in the right-hand field. Otherwise, leave this blank. To add additional fields, click the + button. To delete any fields added in error click the X button.
<b>Sponsor details</b>			All the fields for the Sponsor details are prepopulated from section B.5	M	
	N/A	N/A	this field is prepopulated from B.5.1 and can be amended	M	
	Name of organisation	160 characters		M	
	Street address	100 characters	this field is prepopulated from B.5.3.1 and can be amended	M	
	Town/city	100 characters	this field is prepopulated from B.5.3.2 and can be amended	M	
	Postcode	20 characters	this field is prepopulated from B.5.3.3 and can be amended	O	
	Country	picklist (prepopulated)	this field is prepopulated from B.5.3.4 and can be amended	M	
	Another Sponsor	a new display of the same information			
<b>Scientific contact point</b>				M	
	Name of organisation	100 characters	This field is prepopulated from field B.5.2 of the CTA and can be amended	M	Enter the name of the organisation responsible for addressing scientific and/or technical questions.
	Functional contact point name	100 characters	This field is prepopulated from field B.5.1 of the CTA and can be amended	M	Enter the name of the functional contact point for scientific and/or technical questions (e.g. clinical trial disclosure desk).
	Telephone number/country code	8 characters (country code) & 8 characters Telephone number	This field is prepopulated from field B.5. of the CTA and can be amended	O	no tool tip
	Email address	100 characters	This field is prepopulated from field B.5.6 of the CTA and can be amended	O	no tool tip
	Another Sponsor	a new display of the same information		O	
<b>Public contact point</b>				M	
	Name of organisation	100 characters		M	Enter the name of the organisation responsible for addressing general questions from members of the public.

	functional contact point name	100 characters		M	Enter the name of the functional contact point for general questions from members of the public (e.g. clinical trial disclosure desk).
	telephone number country code	8 characters (country code) & 8 characters Telephone number	This field is prepopulated from field B.5.4 of the CTA and can be amended	O	No tool tip
	email address	100 characters	This field is prepopulated from field B.5.6 of the CTA and can be amended	O	No tool tip
	Another Sponsor	a new display of the same information			
<b>Paediatric regulatory details</b>				M	No tool tip
	Is trial part of an agreed paediatric investigation plan (PIP)? (Y/N)	radio button Y/N	This field is prepopulated from field A.7 of the CTA and can be amended by the user	M	Select 'Yes' for a trial which is part of an agreed paediatric investigation plan (PIP), otherwise select 'No'. An agreed paediatric investigation plan is a development plan agreed with the European Medicines Agency (EMA), aimed at ensuring the necessary data is obtained to evaluate a medicine for use in children. For more information, visit the EMA's paediatric medicine webpages.
	EMA paediatric investigation plan(s)	the actual PIP number character is EMEA-nnnnnn-PIPnn-yy where nnnnnn is an integer between 1 and 999999, leading zeros allowed; nn is exactly two numerals each between 0 and 9; yy is exactly two numerals each between 0 and 10		R	Enter the EMA paediatric investigation plan number(s) (PIP) using the following format: EMEA-xxxxxx-PIPxx-xx, where x is a number (0-9 inclusive).
	Does Article 45 of REGULATION (EC) No 1901/2006 apply to this trial?	radio button Y/N	this field is defaulted to NO	M	Select 'Yes' for a trial which is in the scope of Article 45 of said Regulation, otherwise select 'No'. Article 45 of Regulation (EC) 1901/2006 (Paediatric Regulation) applies to paediatric studies in respect of products authorised in the European Union, which were completed by 26 January 2007.
	Does Article 46 of REGULATION (EC) No 1901/2006 apply to this trial?	radio button Y/N	this field is defaulted to NO	M	Select 'Yes' for a trial which is in scope of Article 46 of said Regulation, otherwise select 'No'. Article 46 of Regulation (EC) 1901/2006 (Paediatric Regulation) applies to marketing authorisation holder sponsored paediatric studies in respect of products authorised in the European Union, which were



					completed after 26 January 2007.
<b>Results analysis stage</b>			this section has been incorporated into the General information about trial (simple form)	M	No tool tip
	Analysis stage	radio button Y/N	Validation rule (see last column right)	M	If you are reporting on an interim analysis, select 'interim'. An interim analysis is an analysis intended to compare treatment arms with respect to efficacy or safety at any time prior to the formal completion of a trial . Otherwise select 'final'.
	Date of interim/final analysis	drop-down calendar		M	Select the date for the cut-off data point for the reported analysis.
	Is this the analysis of the primary completion data?	radio button Y/N		M	Select 'Yes' if you are reporting data collected up to the primary completion date, otherwise select 'No'. The primary completion date is the date that the final subject was examined or received an intervention for the purposes of final collection of data for the primary end point.
	Primary completion date	drop-down calendar		R	Enter the final date on which data was collected.
	Global end of trial date reached?	radio button Y/N		M	The global end of trial date is when the last subject in the trial was examined, or received an intervention globally. Select 'Yes' if the global end of the trial has been reached, otherwise select 'No'.
	Global end of trial date	drop-down calendar	Validation rule (see last column right)	R	No tool tip
	Was the trial ended prematurely?	N/A		O	
<b>General Information about trial</b>				M	
	Main objective of the trial	1000 characters	This field is prepopulated from field E.2.1 of the CTA and can be amended	M	Enter a description for the main objective(s) of the trial
	Actual start date of recruitment	Format dd-mmm-yyyy, date field	For EEA CTA this field is prepopulated from E.8.10.1 OR E.10.2; for 3rd countries file this field is prepopulated from E.8.10.2	M	Select the date when the recruitment of subjects began. The recruitment date is to be defined by the sponsor and can correspond to the date the subjects were consented, enrolled or screened in the trial.
	Long term follow up planned?	radio button Y/N	the process of long-term monitoring the progress of a patient after a period of active treatment. This field is defaulted to NO	M	Select 'Yes' if long-term monitoring of patients is planned, otherwise select 'No'.
	long term follow up rationale	pick-list: Safety	If answer is YES one or several items from	O	Select the main reason(s) for long-term follow up.

		Efficacy Ethical reason Regulatory reason Scientific research	the rationale drop-down list should be selected (safety/efficacy/ethical reason/regulatory reason/scientific research)		
	long term follow up duration	select from a list of integers only. Range 1-100 and indicate the duration months or years		O	
	Independent data monitoring committee (IDMC) involvement?	radio button Y/N	Y/N	M	
	Protection of trial subjects	Free text (2000 characters)		M	
	Background therapy	Free text (2000 characters)		O	
	Evidence for comparator(s)	Free text (2000 characters)		O	
<b>Population of trial subjects</b>	<b>Subject number per country</b>			M	
	country	pick list (as per EU-TCT list)	The system will pull in countries from the CTAs and 3rd Country files related to the trial and show the planned number of subjects as it appears in the CTA and which are derived from fields F.4.1, F.4.2.1 and F.4.2.2	R	Provide the actual number of subjects enrolled in each country. Enter "0" if no subjects were enrolled.
	actual number of subjects enrolled	integer and $\geq 0$		M	The table of countries has been pre-populated according to the protocol data for this trial in EudraCT. If a country is missing from the table, select it from the list and add it to the table.
	Total: EEA ONLY	derived value		M	no tool tip
	Total: whole clinical trial	derived value	This field is prepopulated from field F.4.2.2 of the CTA	R/O	No tool tip
<b>Age group breakdown for trial</b>	<b>Age range</b>		The system pulls the planned number of subjects per age categories as it appears in the CTA and which are derived from fields F.1.1.1.1 up to field F.1.3.1 respectively.	M	Provide the actual number of subjects enrolled in each age group. Enter "0" if no subjects were enrolled.
	in utero	integer and $\geq 0$		M	No tooltip.
	preterm newborn - gestational age <37 wk	integer and $\geq 0$		M	No tooltip.
	newborns (0-27 days)	integer and $\geq 0$		M	No tooltip.
	infants and toddlers (28 days - 23 months)	integer and $\geq 0$		M	No tooltip.
	children (2-11 years)	integer and $\geq 0$		M	No tooltip.
	Adolescents	integer and $\geq 0$		M	No tooltip.

	(12-17 years)				
	Adults (between 18 and 64 years)	integer and $\geq 0$		M	No tooltip.
	From 65 years	this field is a title, no entry available		M	No tooltip.
	from 65 to 84 years	integer and $\geq 0$	NEW CATEGORY not present in the CTA	M	No tooltip.
	85 years and over	integer and $\geq 0$	NEW CATEGORY not present in the CTA	M	No tooltip.

## Subject Disposition

Section	EudraCT UI (user interface) field name	EudraCT Data type/description (length), numeric, list of terms (single or multiple selection), Y/N	Comments	Mandatory fields M=mandatory R=conditionally required O=optional	EudraCT UI Text (Help tip)
<b>Recruitment</b>		<b>Title</b>	Key information relevant to the recruitment process for the overall study, such as dates of the recruitment period and types of location to provide context	O	
	Recruitment details	350 Characters	screening details are required if the results will not contain a pre-assignment period.	O	Enter key information relevant to the recruitment process for the trial (e.g. dates of recruitment period and territories).
<b>Pre-assignment</b>					
	Screening details	350 Characters		O	Enter relevant information related to screening (e.g. screening criteria, significant events and approaches (e.g. wash-out, run-in)). It may also be relevant to provide the number of subjects screened for inclusion and a breakdown of the reasons for excluding subjects during screening by completing the pre-assignment period fields. This could help clarify the appropriate patient population for eventual drug use.
<b>Pre-assignment period</b>				O	
	<b>Number of subjects at each milestone</b>				
	Started (number of subjects)	integer and $\geq 0$		M	Enter the number of subjects enrolled at the beginning of the pre-assignment period.
	Intermediate milestone title	40 characters		O	Enter a title for any specific event or time point that defines an intermediate milestone within the pre-assignment period for which the numbers of subjects will be reported.
	Number of subjects	integer and $\geq 0$		O	Enter the number of subjects that reached the specific event, or time point.
	Completed (number of subjects)	integer and $\geq 0$		M	Enter the number of subjects at the end of the pre-assignment period.
	<b>Subject non-completion reasons</b>		derived data (started-completed)	R	
	Reason for non-completion	picklist: Adverse event, not fatal Adverse event, serious fatal Consent withdrawal by subject Physician decision Pregnancy Protocol deviation Other (please specify)		O	Select one or more reasons for non-completion.
	Number of subjects	integer and $\geq 0$		O	No tooltip.
<b>Periods</b>				M	
	<b>Period details</b>			R	
	Period title	40 characters		M	Enter a title describing the stage of the trial. If only one period is defined, the default title should be "overall trial".
	Is this the baseline	tick box		R	Check this box if this is the

	period				baseline period (i.e. the period for which you wish to report baseline characteristics). Otherwise, leave it un-checked. One period must be defined as the baseline period. It is expected that the baseline period is the first period after assignment. Select the most appropriate period as a baseline period, from the ones created in subject disposition.
	Allocation method	picklist: randomised-controlled Non-randomised controlled Not applicable		M	Select the method of assigning subjects to treatment group in this period.
	Blinding used	picklist: double-blind single-blind not-blinded		M	Select the blinding method used in this period.
	Roles blinded	picklist: subject, investigator, monitor, data analyst, carer, assessor		O	Select the role(s) that were blinded in this period.
	Blinding implementation details	500 characters		O	If relevant, provide details about the specific procedures used to carry out blinding (e.g. double dummy techniques, measures to prevent unblinding by laboratory measurements)
<b>Milestones</b>				R	
	<b>Milestone title</b>			N/A	
	Started	this field is a title, no entry available		M	No tooltip.
	Enter intermediate milestone title	40 characters		O	Enter a title for any specific event or time point that defines an intermediate milestone for which the numbers of subjects will be reported.
	Completed	this field is a title, no entry available		M	No tooltip.
<b>Arms</b>				M	
	<b>Arm information</b>			M	
this is displayed when more than one arm is present	Are the arms mutually exclusive? (Y/N)	radio button Y/N	this field is defaulted to NO	R	Only answer "No" if the subjects are present in more than one arm in a period. If the arms are not mutually exclusive, the total number of subjects in the period will not automatically be calculated.
	Arm title	62 characters		M	Enter a title to identify the arm.
	Arm description	999 characters		O	Enter a brief description of the arm to distinguish it from other arms in the trial.
	Arm type	picklist: Experimental active comparator placebo no intervention other		M	No tooltip.
	if 'other' specify	50 characters		R	No tooltip.
<b>Products</b>				M	
	IMP name	160 characters		M	Enter the name of an investigational medicinal product (IMP) administered in this arm.
	IMP code	50 characters		O	Enter the code for the investigational medicinal product (IMP).
	Other names	160 characters		O	No tooltip.
	Route of Administration	picklist: as per EU-TCT list		M	No tooltip.
	Pharmaceutical forms	picklist: as per EU-TCT list		M	No tooltip.
	Dosage and administration details	1000 characters		M	Enter details of the dosage and administration (e.g. frequency of dosing, formulation details).
<b>Milestones</b>				R	

	<b>Number of subjects at each milestone</b>			M	
	Started	Started		M	Enter the number of subjects enrolled in the arm.
	Intermediate milestone(s)	40 characters		R	Enter the number of subjects that reached the specific event or time point.
	Completed	Completed		M	Enter the number of subjects who have completed the arm.
	<b>Subject non-completion reasons</b>			R	
	Subject non-completion reason	picklist: Adverse event, not fatal Adverse event, serious fatal Consent withdrawal by subject lack of efficacy Lost to follow up Physician decision Pregnancy Protocol deviation Transferred to another arm/group Other (please specify)		O	Select one or more reasons for non-completion.
	Number of subjects	integer and >=0		O	No tooltip.
	<b>Subject joining reasons</b>			O	
	Subject joining reason	picklist: late recruitment transferred in from another group/arm other (please specify)		O	Complete these fields only to report a number of subjects who have joined the arm although they were not counted in the started milestone (e.g. transferred from another group because of incorrect treatment allocation).
	Number of subjects	integer and >=0		O	No tooltip.

## Baseline characteristics

Section	EudraCT UI (user interface) field name	EudraCT Data type/description characters (length), numeric, list of terms (single or multiple selection), Y/N selection	Comments	Mandatory fields M=mandatory R=conditionally required O=optional	EudraCT UI Text (Help tip)
<b>Baseline characteristics - settings</b>				M	
	<b>Select baseline period</b>			R	
Change baseline period settings	Select baseline period	Select the period	derived from subject disposition but the baseline period can be amended	O	Select change baseline period to select a different period as baseline.
Change baseline characteristics settings	How are baseline characteristics being reported?	radio button: Per Arm in the baseline period OR For the overall baseline period		O	You can report per arm in the baseline period or for the overall baseline period.
<b>Reporting groups</b>				M	
	Reporting group title	Reporting group title		M	No tooltip
	Number of subjects at the baseline	derived from subject disposition		M	No tooltip
	Reporting group description	derived from subject disposition or to be completed in the text field provided 999 characters		O	No tooltip
<b>Subject analysis sets</b>				O	
	Add subject analysis set			O	Add a subject analysis set if you wish to additionally report on groups different from the reporting groups defined above.
	Subject analysis set title	62 characters	The subject analysis sets are used in both the end points and baseline characteristics sections. Is it required to mention it in both places.	M	Enter a title for a subject analysis set.
	Subject analysis set type	picklist: intent to treat per protocol full analysis safety analysis sub-group analysis modified intention-to-treat		M	Select the subject analysis set type.
	Subject analysis set description	999 characters		M	No tooltip
	Number of subjects in subject analysis set	positive integer		M	No tooltip
<b>Age characteristics</b>			Complete either the age categorical, age continuous or complete both these characteristics in order to collect values for the reporting groups and optionally the subject analysis sets.	M	
	<b>Age categorical characteristic</b>			R	
	Characteristic title	prepopulated	this field is a title, no entry available	M	No tooltip
	Units	prepopulated	this field contains the units, no entry available	M	No tooltip
	Description	600 characters		O	Enter additional details about the collection method, or subject population.
	Age category title	50 characters	can add as many age categories as d	R	Enter a title for a distinct category if you want to report on a category other than the default ones.

	Age categories In Utero Preterm newborn-gestational age < 37 wk Newborns (0-27days) Infants and toddlers (28days – 23months) Children (2-11 years) Adolescents (12-17 year) From 18 - 64 years From 65 – 84 years Over 85 years	Age categories In Utero Preterm newborn-gestational age < 37 wk Newborns (0-27days) Infants and toddlers (28days – 23months) Children (2-11 years) Adolescents (12-17 year) From 18 - 64 years From 65 – 84 years Over 85 years	Age categories In Utero Preterm newborn-gestational age < 37 wk Newborns (0-27days) Infants and toddlers (28days – 23months) Children (2-11 years) Adolescents (12-17 year) From 18 - 64 years From 65 – 84 years Over 85 years	O	No tooltip
	Value	integer (>= 0)		R	No tooltip
	<b>Age continuous characteristic</b>			R	
	Characteristic title	prepopulated	these categories can be replaced and are not mandatory	M	
	Description	600 characters	[description not required]	O	Enter additional details about the collection method, or subject population.
	Units	picklist: years/months/weeks/days/hours/minutes	[description not required]	M	No tooltip
	Central tendency type	Picklist: arithmetic mean, median, least squares mean, geometric mean, log mean	Central tendency type	M	No tooltip
	Central tendency type value	Decimal	Central tendency type value	R	No tooltip
	Dispersion type	picklist: standard deviation, inter-quartile range (Q1-Q3), full range (min-max)	Dispersion type	M	No tooltip
	Dispersion type value	decimal (>= 0)	Dispersion type value	R	No tooltip
	<b>Gender characteristic</b>			M	
	Characteristic title	Gender categorical	this field is a title, no entry available	M	No tooltip
	Units	Subjects	this field contains the units, no entry available	M	No tooltip
	Description	600 characters	[description not required]	O	Enter additional details about the collection method, or subject population.
	Gender category title	50 characters	[description not required]	M	Enter a title for a distinct category if you want to report on a category other than the default ones.
	Gender categories	Customised picklist: male/female	the list can be amended and customised as required	M	No tooltip
	Value	integer and >=0	[description not required]	M	No tooltip
	<b>Study specific characteristics</b>			O	
	<b>Study specific categorical characteristic</b>			O	
	Characteristic title	100 characters		M	Enter a title to describe a characteristic measured at the start of the trial (e.g. ethnic group).
	Units	prepopulated with the word 'Subjects'	this field contains the units, no entry available	M	No tooltip
	Description	600 characters	[description not required]	O	Enter additional details about the collection method, or subject population.
	Category title	50 characters	Category title	R	Enter a title for a distinct category.
	Value	integer and >=0	[description not required]	R	No tooltip
	<b>Study specific continuous characteristic</b>			O	
	Characteristic title	100 characters		M	Enter a title to describe a



					characteristic measured at the start of the trial.
	Description	600 characters	[description not required]	O	Enter additional details about the collection method, or subject population.
	Units	40 characters	[description not required]	M	
	Central tendency type	picklist: arithmetic mean geometric mean least squares mean log mean median	[description not required]	M	No tooltip
	Central tendency value	decimal	[description not required]	R	No tooltip
	Dispersion type	picklist: standard deviation, inter-quartile range (Q1-Q4), full range (min-max)	Dispersion type	M	No tooltip
	Dispersion type value	decimal ( $\geq 0$ )	Dispersion type value	R	No tooltip

## Endpoints

Section	EudraCT UI (user interface) field name	EudraCT Data type/description (length), numeric, list of terms (single or multiple selection), Y/N selection	Comments	Mandatory fields M=mandatory R=conditionally required O=optional	EudraCT UI Text (Tooltip)
<b>Reporting groups</b>	<b>Periods/Arms</b>	derived from subject disposition		O	
	<b>Subject analysis sets</b>			O	
	Add subject analysis set				Add a subject analysis set if you wish to report on groups different from the reporting groups defined above.
	Subject analysis set title	62 characters		M	Enter a title for a subject analysis set.
	Subject analysis set type	picklist: intent to treat per protocol full analysis safety analysis sub-group analysis set modified intention-to-treat		M	Select the subject analysis set type.
	Subject analysis set description	999 characters		M	Enter a clear description which defines this set of subjects.
	Number of subjects in subject analysis set	integer (> 0)		M	No tooltip
<b>End point definition</b>				M	
	<b>Add end point</b>			M	No tooltip
	End point title	255 characters		M	Enter an end point title. An end point is used to assess the effect of experimental variables in a trial. For example 'change in measure A between time point X and time point Y', 'proportion of patients with outcome B at time point X', 'disease-free survival at time point X', 'pharmacokinetic parameter C'.
	countable or measurable?	radio button		M	The selection of either countable or measurable determines the type of input for the end point data. Select countable when the end point represents data that contains distinct values. In this case the end point accepts positive integers (i.e. whole numbers greater than zero) usually for the different categories representing the distinct values. Select measurable when the end point represents data that can assume any value within a range. In this case the end point can report decimal numbers for a measure of central tendency together with a dispersion or precision value. Note that the system does not support the input of countable data expressed as a percentage. Instead select countable and enter the totals for each of the discrete categories of the data recorded for this end point.
	Countable units	40 characters	Unit of measure	M	Select measurable when the end point represents data that can assume any value within a range. In this case the end point can report decimal numbers for a measure of central tendency together with a dispersion or precision value.
	Measurable units	40 characters	Unit of measure	M	Note that the system does not support the input of countable data expressed as

					a percentage. Instead select countable and enter the totals for each of the discrete categories of the data recorded for this end point.
	Measure type	picklist: arithmetic mean geometric mean least squares mean Log mean Median Number		M	Select the measure of central tendency type.
	Precision/Dispersion type	For measurable variable only: when the measure type is a number, the picklist includes not applicable, confidence interval ; otherwise the picklist includes standard deviation, inter-quartile range (Q1-Q3), full range (min-max), standard error, confidence interval (This applies only when the user choose 'measurable' type = number)	The precision type of confidence interval requires a percentage level, which is a value between 0 and 100. Dispersion type = full range or interquartile range	M	Select the precision/dispersion type. The precision/ dispersion indicates how stretched, or squeezed a distribution is.
	End point type	picklist: primary secondary post-hoc other pre-specified		M	Select the end point type. The primary end point should be the end point providing evidence directly related to the primary objective of the trial. In general, there should be one primary end point per trial.
	Timeframe	255 characters		M	Enter the time point(s) or periods of assessment for the end point. This information is to supplement the end point title.
	Description	999 characters		O	Enter details for the end point if required.
	Category title	50 characters - Option to add more than one category in the Categories box		O	Enter as many distinct category titles as required. Categories could be for example 'size reduction of lesion by > 5%', 'size reduction of lesion by 2.5 to 5%', 'size reduction of lesion by < 2.5%.
	Reporting groups	Specify the groups of subjects applicable to this end point		M	No tooltip
	<b>End point values</b>			M	
	Number of subjects analysed	integer and >=0		M	No tooltip
	Measure type value	Number (integer if countable otherwise decimal depending on kind of measure type used)		M	No tooltip
	Precision/dispersion type value	Decimal		M	No tooltip
	Confidence interval min. value	Decimal		M	No tooltip
	Confidence interval max. value	Decimal		M	No tooltip
	<b>Statistical analyses</b>			O	
	<b>Statistical analysis details</b>			M	
	Statistical analysis title	50 characters		M	Enter a statistical analysis title.
	Analysis description	500 characters		O	Enter a description for the analysis. If necessary provide additional details on the analysis to include information on the null hypothesis, power calculation, adjustments for covariates, handling of missing data or adjustments for multiple comparisons. If the number of subjects in this analysis differs from the number of subjects in the selected comparison groups

	Comparison groups	Specify the groups of subjects applicable to this analysis		M	enter a reason. Select the arms or subject analysis sets involved in the analysis. If you are reporting a single arm study and there is no comparison, select the one arm.
	Analysis specification	radio buttons: pre-specified post-hoc		M	No tooltip
	Analysis type	picklist: equivalence non-inferiority superiority other		M	No tooltip
	Analysis type comment	500 characters		O	Enter additional details about the analysis, including definition of non-inferiority margin (if applicable), and other key parameters.
<b>Statistical hypothesis test</b>				O	
	P-value	picklist: = > < ≤ ≥		O	The p-value is the probability of obtaining a test statistic at least as extreme as the one actually observed, assuming that the null hypothesis of the study is true. Enter the p-value that corresponds to the primary comparison of the analysis. If you want to report other p-values (e.g. for multiple comparisons or multiple time points) then enter the additional p-values in the 'p-value comment' field.
	P-value comment	250 characters		O	Enter additional p-values (e.g. for multiple comparisons or multiple time points) in the 'p-value comment' field.
	Method	picklist: ANCOVA ANOVA Chi-squared Chi-squared corrected Cochran-Mantel-Haenszel   Fisher exact Kruskal-wallis Logrank Mantel-Haenszel McNemar Mixed models analysis Regression, cox Regression, Linear Regression, Logistic Sign test t-test, 1-sided t-test, 2 sided Wilcoxon (Mann-Whitney) Other (specify)		O	Select or specify the procedure/test used for statistical analysis of end point data.
	Other method	40 characters		O	No tooltip
	N/A	N/A			
<b>Parameter estimate</b>				O	
	Parameter type	picklist: Cox proportional hazard Hazard ratio (HR) Log hazard ratio Mean difference (final values) Mean difference (net) Median difference (final values) Median difference (net) Odds ratio (OR) Log odds ratio Risk difference (RD) Risk ratio (RR) Log risk ratio Slope Other (please specify)		O	Select the type of parameter estimate provided by the statistical analysis. Parameter Hazard ratio log, Odds ratio log and Risk ratio log has been changed to Log hazard ratio, Log odds ratio and Log risk ratio in order to clarify potential misinterpretation of the values to be provided in this specific part of the system.
	Other parameter type	40 characters		O	No tooltip
	Point estimate	Decimal		O	Enter the parameter point estimate.

	Confidence interval:sides	radio buttons: 1-sided 2-sided		O	No tooltip
	Confidence interval:level	Decimal		O	No tooltip
	lower limit	Decimal		O	For 1-sided enter either the lower or the upper limit, for 2-sided enter both limits.
	Upper limit	Decimal		O	For 1-sided enter either the lower or the upper limit, for 2-sided enter both limits.
	Variability estimate	radio buttons: Standard deviation Standard error of the mean		O	No tooltip
	Dispersion value	Decimal		O	No tooltip
	N/A	N/A			
	<b>Charts</b>			O	
	Add attachments	50 MB	PDF, DOC, DOCX, RTF, TXT, PPT, PPTX, XLS, XLSX, TIFF, TIF, PNG, GIF, JPEG, JPG, BMP	O	

## Adverse Events

Section	EudraCT UI (user interface) field name	EudraCT Data type/description	Comments	Mandatory fields	EudraCT Text (Tooltip)
		characters (length), numeric, list of terms (single or multiple selection), Y/N selection		M=mandatory R=conditionally required O=optional	
<b>Adverse events information</b>				O	
	Timeframe for adverse event reporting	255 characters	Timeframe for adverse event reporting	M	Enter the time point(s) or time period for adverse events assessment.
	Adverse events reporting additional description	350 characters	Adverse events reporting additional description	O	Enter information about the adverse event collection and provide details about the method of assessment and monitoring (e.g. daily questionnaire).
	Assessment type	picklist: Systematic Non-systematic	Method	M	Select the default adverse events assessment type to apply to adverse event terms entered in the serious and non-serious adverse event tables, unless otherwise specified. Systematic Assessment: Any method to routinely determine if certain adverse events have happened, for example through a standard questionnaire, regular investigator assessment, regular laboratory testing, or other method. Non-systematic Assessment: Any non-systematic method to determine if adverse events have happened, such as self-reporting by participants or occasional assessment/testing.
	Frequency threshold for reporting non-serious adverse event	Decimal (no more than 5%)	Frequency threshold for reporting non-serious adverse event	M	Enter the frequency of non-serious adverse events that, when exceeded within any arm or reporting group, are reported in the results database for all arms or reporting groups. The number must be less than or equal to the allowed maximum (5%), and must not include any symbols (e.g., >=, %).
	Dictionary name	picklist: snomed, MedDRA, other		M	Select or specify the name of the default dictionary name (e.g., SNOMED CT, MedDRA 10.0) to apply to adverse event terms entered in the serious and non-serious adverse event tables, unless otherwise specified. If Other is selected, the Other dictionary field must be completed.
	Dictionary name - if other	20 characters		R	No tooltip.
	Dictionary version	10 characters		M	No tooltip.
<b>Adverse events reporting groups</b>				R	
	Reporting group title	62 characters		M	Enter a title for the reporting group.
	Reporting group description	999 characters		O	Enter a description to define this group of subjects.
	Subjects exposed	integer and >=0		M	Enter the number of subjects in this reporting group exposed to the treatment. It is assumed that all subjects who received at least one dose of the treatment are included in the reporting group.
	subjects affected by serious adverse events	integer and >=0		M	Enter the number of subjects in this reporting group for whom at least one serious adverse event was reported.
	subjects affected by non-serious	integer and >=0		M	Enter the number of subjects in this reporting group for

	adverse events				whom at least one non-serious adverse event was reported.
	Total number of deaths (all causes)	integer and $\geq 0$		M	Enter the number of deaths in this reporting group. This includes deaths not related to the trial.
	Total number of deaths resulting from adverse events	integer and $\geq 0$		O	Enter the number of deaths from adverse events in this reporting group regardless of causality.
<b>Serious adverse events</b>				O	
	<b>Serious adverse event details</b>			R	
	System organ class	Picklist: MedDRA high-level categories		M	Select a system organ class (SOC). Adverse events that affect multiple systems should be classified as 'general disorders'. SOCs are high-level categories (derived from the Medical Dictionary for Regulatory Activities (MedDRA)) used to group adverse event terms by body or organ system.
	Event term	100 characters		M	Enter an event term, (e.g. headache, diarrhoea). This field is predictively populated based on the letters entered. Select the correct option from the drop-down list, if possible. Duplicate serious adverse event terms are accepted only if they belong to a different system organ class.
	Additional description	350 characters		O	
	Assessment type	picklist - Systemic/Non systemic		O	This field is populated based on your selection for the default assessment type in the adverse events information section. Change the assessment type for this adverse event if required.
	Dictionary name	default dictionary (already specified in the main page of the Adverse Events)		R	Select or specify the name of the dictionary name (e.g., SNOMED CT, MedDRA 10.0) to apply to this adverse event. If Other is selected, the Other dictionary field must be completed.
	Other dictionary if required	20 characters		R	No tooltip.
	Version	10 characters		R	No tooltip.
<b>Values for Serious adverse event per reporting group</b>				R	
	Arm/Group title	62 characters		R	
	subjects affected, number	integer and $\geq 0$		M	Enter the number of subjects in this reporting group affected by any occurrence of this adverse event.
	subjects exposed, number	prepopulated/option to edit		M	In most cases the number of subjects exposed is the same as the number of subjects in this reporting group. However, the number of subjects can be amended if a justification is provided.
	occurrences - all, number	integer and $\geq 0$		M	Enter the number of occurrences of this adverse event in this reporting group.
	occurrences causally related to treatment, number	integer and $\geq 0$		M	Enter the number of occurrences of this adverse event in this reporting group thought to be causally related to the treatment.
	fatalities, number	integer and $\geq 0$		M	Enter the number of fatalities (deaths) related to this adverse event recorded during the assessment period for this reporting group.
	fatalities causally related to treatment,	integer and $\geq 0$		M	Enter the number of fatalities (deaths) related to the serious adverse

	number				<b>event thought to be causally related to the treatment.</b> Under the table 'Values for serious adverse event per reporting group' the number of 'Fatalities causally related to treatment number' should not be higher than the number in the 'Fatalities number' field.
<b>Non-serious adverse events</b>				O	
	<b>Non-serious adverse event details</b>			R	
	System organ class	picklist: MedDRA high level categories		M	Select a system organ class (SOC). Adverse events that affect multiple systems should be classified as 'general disorders'. SOCs are high-level categories (derived from the Medical Dictionary for Regulatory Activities (MedDRA)) used to group adverse event terms by body or organ system.
	Event term	100 characters		M	Enter an event term, (e.g. headache, diarrhoea). This field is predictively populated based on the letters entered. Select the correct option from the drop-down list, if possible. Duplicate serious adverse event terms are accepted only if they belong to a different system organ class.
	Additional description	350 characters		O	No tooltip.
	Assessment type	picklist: systematic, non-systematic		O	This field is populated based on your selection for the default assessment type in the adverse events information section. Change the assessment type for this adverse event if required.
	Dictionary name	picklist MedDRA SNOMED CT Other (specify)		R	Select or specify the name of the dictionary name (e.g., SNOMED CT, MedDRA 10.0) to apply to this adverse event. If Other is selected, the Other dictionary field must be completed.
	Other dictionary	20 characters		R	No tooltip.
	Version	10 characters		R	No tooltip.
<b>Values for non-serious adverse event per reporting group</b>	Arm/Group title	prepopulated		R	
	Arm/Group title	prepopulated	number of subjects affected by non- Serious adverse events	R	Enter the number of subjects in this reporting group affected by any occurrence of this adverse event.
	Arm/Group description	999 characters	number of subjects exposed	M	In most cases the number of subjects exposed is the same as the number of subjects in this reporting group. However, the number of subjects can be amended if a justification is provided.
	subjects affected, number	integer and >=0	occurrences - all	M	Enter the number of occurrences of this adverse event in this reporting group.
	subjects exposed, number	prepopulated/option to edit	N/A	M	
	occurrences - all, number	integer and >=0	N/A	M	



## More Information

Section	EudraCT UI (user interface) field name	EudraCT Data type/description	Comments	Mandatory fields	EudraCT Text (Tooltip)
<b>Substantial protocol amendments (globally)</b>				M	
	Were there any global substantial amendments to the protocol?	radio button (Y/N)		M	Amendments are considered substantial when they are likely to have an impact on the safety of the trial subjects, or to change the interpretation of the scientific documents in support of the conduct of the trial. Select 'Yes' if any substantial amendments to the protocol globally affected the trial, otherwise select 'No'.
	Add global substantial protocol amendment	add button		M	No tooltip.
	Amendment date	<dd-mmm-yyyy> (10/11 characters)		M	Select the date when the substantial amendment was first approved by a regulatory authority.
	Amendment description	200 characters, if longer truncated description		M	Enter a description and a reason for the main changes to the protocol.
<b>Interruptions (globally)</b>				M	
	Were there any global interruptions to the trial?	radio button (Y/N)		M	Select 'Yes' if there were any interruptions that globally affected the trial, otherwise select 'No'.
	Add global interruption	add button		M	No tooltip.
	Interruption date	<dd-mmm-yyyy> (10/11 characters)		M	Select the date when the interruption took effect.
	Interruption description	200 characters, if longer truncated description		M	Enter a description and reason for the interruption.
	Restart date	<dd-mmm-yyyy> (10 characters)		R	Select the restart date if the trial was restarted after an interruption.
<b>Limitations and caveats</b>				O	
	Limitations and caveats applicable to this summary of the results	250 characters		O	Describe any significant limitations of the trial (e.g. early termination leading to a small number of subjects analysed; technical problems with measurement leading to unreliable, or uninterpretable data).
<b>Online references</b>				O	
	PubMed identifier (PMID)	8 numerical characters		O	Enter the unique number (PubMed identifier) of a PubMed record related to this trial and click on add this link.
	N/A	N/A			

付表 5. EU- CTR の結果登録画面のインターフェース

Summary report(s)に、レポートの PDF を貼付している形式と、web 上へ直接入力している形式の二つの報告型が存在していた。

(1) レポートの PDF を貼付している形式

The screenshot shows a search results page for clinical trials. At the top, there are two tabs: "Trials with a EudraCT protocol (1)" and "Paediatric studies in scope of Art45 of the Paediatric Regulation (0)". Below the tabs, it states "1 result(s) found for: 2010-019261-28. Displaying page 1 of 1." The main content area contains a table with the following information:

<b>EudraCT Number:</b> 2010-019261-28					
<b>Sponsor Protocol Number:</b> NN8555-3796					
<b>Start Date:</b> 2010-07-26					
<b>Sponsor Name:</b> Novo Nordisk A/S					
<b>Full Title:</b> A randomised, single-dose, double-blind, placebo-controlled, parallel-group trial to assess clinical efficacy of NNC 0142-0000-0002 in subjects with active rheumatoid arthritis					
<b>Medical condition:</b> Rheumatoid arthritis					
<b>Disease:</b>	<b>Version</b>	<b>SOC Term</b>	<b>Classification Code</b>	<b>Term</b>	<b>Level</b>
	12.1		10039073	Rheumatoid arthritis	LLT
<b>Population Age:</b> Adults, Elderly			<b>Gender:</b> Male, Female		
<b>Trial protocol:</b> DE (Completed)					
<b>Trial results:</b> <a href="#">View results</a>					

On the right side of the interface, there are several options for downloading and subscribing to the search results:

- Subscribe to this Search:** To subscribe to the RSS feed for this search click [here](#). This will provide an RSS feed for clinical trials matching your search that have been added or updated in the last 7 days.
- Download Options:** Number of Trials to download: Trials shown on current page
- Download Content:** Summary Details
- Download Format:** Plain Text
- Download** button

Note, where multi-state trials are shown in search results, selecting "Full Trial details" will download full information for each of the member states/countries involved in the trial.

#### Clinical Trial Results:

A randomised, single-dose, double-blind, placebo-controlled, parallel-group trial to assess clinical efficacy of NNC 0142-0000-0002 in subjects with active rheumatoid arthritis

<b>Summary</b>	
EudraCT number	<a href="#">2010-019261-28</a>
Trial protocol	<a href="#">DE</a>
Global completion date	17 Apr 2012
<b>Paediatric regulatory details</b>	
Is the trial part of an agreed EMA paediatric investigation plan?	No
Is the trial in scope of article 45 of Regulation (EC) No 1901/2006?	No
Is the trial in scope of article 46 of Regulation (EC) No 1901/2006?	No
<b>Results information</b>	
Results version number	v1(current)
This version publication date	29 Jan 2016
First version publication date	29 Jan 2016
Other versions	
Summary report(s)	<a href="#">Synopsis</a>

Note: The legislation allows summary attachments to be posted instead of the full dataset for this trial. Refer to [Commission Guideline 2012/C 302/03](#) for further information.

Synopsis をクリックすると、次のような PDF ファイルがダウンロードされた。  
 ClinicalTrials.gov の結果画面の PDF がダウンロードしている試験も見受けられた。

NNC0142-0002 Trial ID: NN8555-3796 Clinical Trial Report Report Synopsis	<b>CONFIDENTIAL</b>	Date: 16 November 2012 Version: 1.0 Status: Final Page: 1 of 6	Novo Nordisk
---	---------------------	---	--------------

### Clinical trial report synopsis

<b>Trial registration ID-number</b> NCT01181050	<b>UTN: U1111-1114-9194</b> <b>EudraCT number: 2010-019261-28</b>
<b>TITLE OF TRIAL</b> A randomised, single-dose, double-blind, placebo-controlled, parallel-group trial to assess clinical efficacy of NNC 0142-0000-0002* in subjects with active rheumatoid arthritis <i>*will hereinafter be referred to as NNC0142-0002</i>	
<b>INVESTIGATOR</b> Signatory/principal investigator: Prof Dr [REDACTED]	
<b>TRIAL SITES</b> The trial was conducted at 8 trial sites in 3 different countries (Germany, the Russian Federation and Ukraine) as follows: Germany: 1 site, the Russian Federation: 6 sites, and Ukraine: 1 site. All sites enrolled, randomised and dosed at least 1 subject.	
<b>PUBLICATIONS</b> None	
<b>TRIAL PERIOD</b> Initiation date: 16 August 2010 Completion date: 17 April 2012	<b>DEVELOPMENT PHASE</b> Phase 2a
<b>OBJECTIVES</b> <b>Primary objective</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>To evaluate the change in disease activity following a single s.c. dose of NNC0142-0002 compared to placebo in subjects with active RA on background MTX therapy, measured 12 weeks after administration</li> </ul> <b>Secondary objectives</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>To assess the following in subjects with active RA on background MTX treatment, up to 24 weeks after administration of a single s.c. dose of NNC0142-0002 compared to placebo:               <ul style="list-style-type: none"> <li>Signs of clinical efficacy, as measured by change in disease activity over time, and clinical responses determined at various time points up to Week 24</li> <li>Signs of effects as assessed by imaging and various PD biomarkers</li> <li>Safety and tolerability, including immunogenicity of NNC0142-0002</li> <li>Quality of life</li> <li>PK of NNC0142-0002 and occupancy of the NKG2D receptor by NNC0142-0002</li> </ul> </li> </ul>	
<b>METHODOLOGY</b> This was a randomised, single-dose, double-blind, placebo-controlled, parallel-group trial to assess the clinical efficacy of NNC0142-0002 in subjects with active RA concomitantly treated with methotrexate (MTX). The trial included two parallel treatment arms, and subjects were randomised in a 2:1 ratio with 41 subjects allocated to treatment with NNC0142-0002 and 22 subjects to placebo treatment. Subjects received a single dose of 4 mg/kg NNC0142-0002 or placebo via subcutaneous injection into the abdominal wall. All subjects were closely monitored for 24 hours after dosing for clinical and laboratory safety assessments, pharmacokinetics and receptor occupancy. Local tolerability was assessed before the subject left the clinic. The dosing visit was followed by regular out-patient visits for 20 weeks (at Weeks 1, 2, 4, 6, 8, 12, 16 and 20), and a final visit at 24 weeks after dosing. An internal safety committee performed ongoing safety surveillance, and all safety laboratory data were reviewed at least every 3 months. The primary endpoint, change in DAS28 (based on C-reactive protein; CRP) from baseline to Week 12, was evaluated in an interim analysis conducted after Week 12-assessments had been performed for the last dosed subject.	
<b>NUMBER OF SUBJECTS PLANNED AND ANALYSED</b> The trial was planned for a total of 160 screened, 63 randomised and exposed, and 51 completing subjects. A total of 86 subjects were screened for the trial and 63 subjects were randomised and exposed (41 subjects to NNC0142-0002 and 22 subjects to placebo). All 63 subjects completed the trial and were included in the full analysis set and the safety analysis set.	

**DIAGNOSIS AND MAIN CRITERIA FOR INCLUSION**

Men and women (not pregnant and not nursing) between  $\geq 18$  and  $\leq 75$  years of age, with active RA meeting the ACR1987 diagnosis criteria and characterised by a DAS28-CRP  $\geq 4.5$  and at least five tender/swollen joints, including one swollen wrist or at least two swollen ipsilateral metacarpophalangeal joints (second to fifth). Subjects should receive treatment with MTX (7.5–25 mg/week) for at least 12 weeks during the trial, and should have been treated with a stable MTX dose for at least 4 weeks prior to receiving trial product. They should not have failed any biologic therapy for RA and no more than two non-biologic DMARDs (primary or secondary failure to therapy). Further, they should not have any other chronic inflammatory autoimmune disease than RA (except secondary Sjögren's syndrome or stable and appropriately treated hypothyroidism).

**Withdrawal criteria**

The subject could withdraw at will at any time. The subject could be withdrawn from the trial at the discretion of the investigator or the sponsor due to a safety concern or if judged non-compliant with trial procedures. A subject had to be withdrawn if the following applied: i) Non-compliance with protocol procedures, which in the clinical judgement of the investigator and/or after discussion with the sponsor may invalidate the trial; ii) Sponsor closure of the trial; iii) Withdrawal of informed consent; iv) Pregnancy or intention of becoming pregnant.

**INVESTIGATIONAL MEDICINAL PRODUCT, DOSE AND MODE OF ADMINISTRATION, BATCH NUMBER**

All doses of NNC0142-0002 were administered s.c. in the abdominal wall, at 4 mg/kg. NNC0142-0002 was provided as freeze-dried powder in 12 mL vials, which was reconstituted with sterile water to a final concentration of 100 mg/mL per vial. Batches of NNC0142-0002 used in the trial were VLDP031 and YLDP017.

**DURATION OF TREATMENT**

Subjects received a single dose of trial product.

**REFERENCE THERAPY, DOSE AND MODE OF ADMINISTRATION, BATCH NUMBER**

All doses of placebo were administered s.c. in the abdominal wall. Placebo was provided as a liquid formulation in 12 mL vials. The batch of placebo used in the trial was VLDP033.

**CRITERIA FOR EVALUATION – EFFICACY**

**Primary efficacy assessments**

- tender joint count (28 joints assessed) (TJC28)
- swollen joint count (28 joints assessed) (SJC28)
- C-reactive protein (CRP) level
- subject's global assessment of disease activity (VAS) (PtGA)

**Secondary efficacy assessments**

- swollen joint count (SJC66)
- tender joint count (TJC68)
- subject's assessment of pain (VAS)
- subject's global assessment of disease activity (VAS) (PtGA)
- physician's global assessment of disease activity (VAS) (PhGA)
- subject's self-assessed disability using a health-assessment questionnaire-disability index (HAQ-DI) questionnaire
- CRP level
- patient-reported outcomes: HAQ-DI, short form 36 (SF-36) health survey, RA quality of life (RAQoL), multidimensional assessment of fatigue (MAF)
- MRI assessment of synovitis, oedema and erosion
- ultrasonography

**Secondary pharmacodynamic assessments**

- NKG2D receptor occupancy by NNC0142-0002
- CRP level
- Cell markers
- Cytokines, chemokines and other proteins, including anti-cyclic citrullinated peptide (a-CCP), rheumatoid factor (RF), soluble MICA (sMICA) and Granzyme B
- Genomic biomarkers: mRNA expression levels

<b>Secondary pharmacokinetic assessments</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Serum concentrations of NNC0142-0002</li></ul>
<b>CRITERIA FOR EVALUATION – SAFETY</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Adverse events (AEs) including local tolerability</li><li>• Physical examination including vital signs</li><li>• Clinical laboratory safety (haematology, biochemistry, urinalysis, coagulation, lipids and viral screening)</li><li>• Electrocardiogram (ECG)</li><li>• Antibodies against NNC0142-0002</li></ul>
<b>STATISTICAL METHODS</b> <p>The sample size calculation was based on the primary endpoint. Under the assumption of a standard deviation of 1.3 and based on a two-sided t-test, a significance level of 5%, a difference in DAS28 score of 1.2 and a 2:1 randomisation ratio, completion of a total of 51 subjects with a DAS28 <math>\geq 4.5</math> in the trial was expected to ensure 85% power to detect a difference between treatment with NNC0142-0002 and placebo at Week 12. Accounting for drop outs, 63 subjects were to be enrolled in the trial. The following analysis sets were defined:</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• The safety analysis set: All randomised patients exposed to at least one dose of the trial product</li><li>• The full analysis set (FAS): All randomised subjects exposed to at least one dose of trial product and with at least one post-treatment measurement</li></ul> <p>All tests were two-sided and a significance level of 5% was used. No adjustment for multiplicity was made, as all secondary endpoints were regarded as supportive. The treatment effect was quantified in terms of the estimated difference (NNC0142-0002 – placebo) or, if the endpoint was log transformed, the ratio (NNC0142-0002 / placebo), together with the 95% confidence interval and p-value.</p> <p><b>Primary endpoint</b> – change in DAS28-CRP from baseline to Week 12</p> <p>The primary model was a mixed-effect model repeated measures (MMRM). The effect at Week 12 (active – placebo) was estimated from this model and presented together with the 95% confidence interval and the p-value for testing no treatment effect.</p> <p><b>Supportive efficacy endpoints</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>• Change in DAS28-CRP from baseline to Weeks 6 and 24</li><li>• ACR20 response at Weeks 6, 12 and 24</li><li>• ACR50 and ACR70 responses at Week 12</li><li>• EULAR responses at Weeks 6, 12 and 24</li><li>• Change in patient-reported outcome from baseline to Week 12, using Health Assessment Questionnaire – Disability Index (HAQ-DI), Short Form 36 (SF-36), Rheumatoid Arthritis Quality of Life (RAQoL) questionnaire and Multidimensional assessment of fatigue (MAF) scale</li></ul> <p>The analyses of change in DAS28 from baseline to Weeks 6 and 24 was based on the MMRM model used for the primary analysis of the primary endpoint, and the ANOVA model using LOCF imputation.</p> <p>ACR20/50/70 responders at Week 12 were compared between the two treatment groups using the Fisher's exact test. The odds ratios for achieving ACR20/50/70 for active versus placebo (active/placebo) were estimated by fitting a logistic regression model. The same analysis was also implemented to ACR20 at Week 6 and Week 24, respectively.</p> <p>The EULAR response at each timepoint (Weeks 6, 12 and 24) was compared between the two groups by fitting a proportional odds model. A supplementary analysis not specified in the trial protocol was implemented for comparing the two treatment arms using a Cochran-Mantel-Haenszel test. The change from baseline to Week 12 in patient-reported outcome using HAQ-DI and SF-36 questionnaires was each compared by fitting an ANOVA. The same analysis was conducted for the RAQoL questionnaire and MAF scale (not specified in the protocol).</p> <p><b>Supportive efficacy endpoints not specified in the protocol</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>• Remission scores according to various criteria: DAS28-CRP <math>\leq 2.6</math> and <math>\leq 2.0</math>, SDAI <math>\leq 3.3</math>, CDAI <math>\leq 2.8</math> and DA<sub>All comp</sub> <math>\leq 1</math> (the latter being a Boolean-based definition stating that at any time point, a subject had to satisfy all of the following criteria to be in remission: TJC28 <math>\leq 1</math>, SJC28 <math>\leq 1</math>, CRP <math>\leq 1</math> [mg/dL] and PtGA <math>\leq 1</math> [cm])</li></ul> <p>The number and percentage of subjects reaching remission scores were summarised by treatment groups.</p> <p><b>Supportive efficacy endpoints associated with imaging</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>• Change in the synovitis RAMRIS from baseline to Week 12</li><li>• Change in the oedema RAMRIS from baseline to Week 12 (endpoint not specified in the trial protocol)</li></ul>

- Change in the erosion RAMRIS from baseline to Week 12 (endpoint not specified in the trial protocol)
  - Change in ultrasound assessment of joint inflammation from baseline to Week 12
- Change in the RAMRIS score from baseline to Week 12 was analysed using an ANOVA model. No statistical analysis was performed for the ultrasound assessment, as this was done only for subjects at the trial site in Germany.

**PD endpoints**

- Level of NNC0142-0002 occupancy of NKG2D receptor on circulating leukocyte subsets, up to Week 24
- Biomarkers: CRP; ESR; cell markers; cytokines and chemokines; genomic biomarkers (polymorphic DNA sequences [optional] and gene expression); and levels of anti-CCP, RF, sMICA and MMP-3.

PD effect was evaluated by fitting an ANOVA to the maximum concentration ( $E_{max}$ ), and the minimum concentration ( $E_{min}$ ) of the respective parameter.

Changes in NKG2D receptor occupancy, CRP, ESR, cell markers, cytokines, anti-CCP, RF, sMICA and MMP-3 after 12 weeks were each analysed using an ANOVA, where serum concentrations of CRP, anti-CCP, RF, sMICA and MMP-3 were logarithmic-transformed before analysis (analysis not specified in the trial protocol).

**Safety endpoints**

- AEs including local tolerability
- Physical examination, incl. vital signs; ECG
- Clinical laboratory safety (haematology, biochemistry, urinalysis, lipids and viral screening)
- Antibodies against NNC0142-0002

All safety endpoints were summarised descriptively based on all collected data. The PD effect based on the safety parameters was investigated using the same statistical methods as described for the PD effect based on the efficacy parameters (analysis not specified in the trial protocol).

**PK endpoints**

- AUC,  $C_{max}$ ,  $t_{max}$  and  $t_{1/2}$
- AUC/AUC<sub>(0-W12)</sub> (endpoint not specified in the trial protocol)

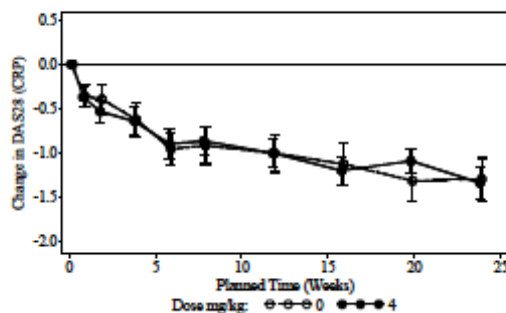
All PK endpoints were summarised descriptively.

**DEMOGRAPHY OF TRIAL POPULATION**

All subjects were White with a mean age of 52 years and a mean BMI of 27.5 kg/m<sup>2</sup>. The majority of subjects (63.5%) were enrolled from the Russian Federation, followed by Ukraine (19.0%) and Germany (17.5%). More females than males (90% versus 10%) were included. Subjects had been diagnosed with RA for a mean of 7.1 years, had a mean DAS28 of 5.4, and approximately 80% of the subjects were seropositive (positive for RF or antibodies against CCP). Subjects had been treated with stable doses of MTX for a mean of 3.3 years (range: 0.3 to 13.4 years), and the time from RA diagnosis to initiation of MTX therapy was 3.8 years (range: 0 to 24 years). The two dose groups were comparable with respect to demography, disease profile and MTX treatment.

**EFFICACY RESULTS**

- A single subcutaneous administration of 4 mg/kg NNC0142-0002 did not result in a statistically significant reduction in disease activity in terms of DAS28-CRP at 12 weeks after treatment, when compared to placebo. Neither was any reduction observed at 6 or 24 weeks after treatment.



- No statistically significant difference in ACR20/50/70 or EULAR responses was observed during the trial, when compared to placebo.
- No statistically significant difference in change in patient-reported outcomes (HAQ-DI, SF-36 and MAF) was observed during the trial when compared to placebo, with the exception of significant improvements in the RA quality of life (RAQoL) for the placebo group at 12 and 20 weeks after treatment.
- Numbers of subjects achieving remission according to the different remission criteria were comparable between the two treatment groups. 3 (7%) actively treated subjects and 1 (5%) placebo-treated subject achieved remission according to the DAS28  $\leq 2.6$  remission criterion. Single or no subjects achieved remission according to the other remission criteria applied (DAS28  $\leq 2.0$ , SDAI  $\leq 3.3$ , CDAI  $\leq 2.8$  and DA<sub>(All comp  $\leq 1$ )</sub>). The single remissions occurred in the group with actively treated subjects.
- No statistically significant difference in change in MRI (RAMRIS) scores on synovitis, oedema or erosion were observed during the trial, when compared to placebo.
- Full (i.e., above 95%) mean NKG2D receptor occupancy by NNC0142-0002 was observed at Week 1 and maintained throughout the 12 weeks after dosing. A mean NKG2D receptor occupancy of above 90% was maintained in blood for 13.2 weeks (SD: 3.3 weeks). For 85% of the subjects, the occupancy had declined below 20% by Week 24. For 15% of the subjects, occupancies were  $\geq 20\%$  at Week 24.
- No statistically significant difference in changes in biomarker parameters (anti-CCP, sMICA, MMP-3, CRP or ESR) was observed at Week 12 or in the follow-up period when compared to placebo, with the exception of a reduction in RF at Week 12 (ratio: 1.2; 95% CI: 1.02, 1.42;  $p=0.032$ ) in placebo-treated subjects.
- Statistically significant reductions in the mean  $E_{\min}$  of NKG2D receptor-expressing fraction (%) of CD8<sup>+</sup> T cells and NK cells, respectively, were observed when compared to placebo (overall cell numbers remained within normal range). In addition, a statistically significant reduction in the  $E_{\min}$  of the absolute (MEF) mean NKG2D receptor expression was evident for the pooled CD8<sup>+</sup> T cell and NK cell fraction when compared to placebo. At Week 24, the proportion of NKG2D receptor-expressing NK cells approached normalisation.
- No statistically significant reduction of the mean fraction (%) NKG2D<sup>+</sup>CD28<sup>-</sup> T cells of CD4<sup>+</sup> T cells was observed when compared to placebo. However, NKG2D<sup>+</sup>CD28<sup>-</sup>CD4<sup>+</sup> T cells levels were relatively low throughout the trial.
- No statistically significant differences in surface expression of CD69, CCR3/CCR5, CD45RA/CCR7 or VLA-4 at  $E_{\min}$  or  $E_{\max}$  were observed when compared to placebo. However, most cell markers were measured only in subjects enrolled at the German trial site because of lacking cell-marker stability during shipment.
- No effect of treatment with NNC0142-0002 on peripheral blood gene-expression profiles was observed. No genotyping was performed.
- The mean observed maximum serum concentration ( $C_{\max}$ ) was 27.8  $\mu\text{g/mL}$  (95% CI: 25.0, 30.9), and the median time to maximum observed serum concentration ( $t_{\max}$ ) was approximately 7 days (95% CI: 6.9, 7.0). An average of 94% of NNC0142-0002 was eliminated at 12 weeks after treatment.

#### SAFETY RESULTS

- A single subcutaneous administration of NNC0142-0002 at 4 mg/kg was well tolerated in subjects with active RA concomitantly treated with MTX.
- A total of 53 AEs were reported for 33 (52%) subjects during the trial. Comparable proportions of subjects with AEs were observed for the two treatment groups, with 31 AEs reported for 22 (54%) actively treated subjects, and 22 AEs reported for 11 (50%) placebo-treated subjects. The mean time of trial participation was comparable between actively treated subjects (24.1 weeks; range: 23.1 to 25.3 weeks) and placebo-treated subjects (24.1 weeks; range: 23.3 to 24.3 weeks).
- Comparable proportions of subjects experiencing possibly/probably related AEs were observed for the two treatment groups, with 3 AEs reported for 3 (7%) actively treated subjects (single events of moderate rheumatoid arthritis, moderate stomatitis and moderate headache), and 2 AEs reported for 2 (9%) placebo-treated subjects (single events of moderate herpes zoster and mild viral respiratory tract infection). None of these possibly/probably AEs were evaluated as severe; 1 (rheumatoid arthritis) was classified as serious.
- AEs were mainly mild (49% of events) or moderate (42% of events) in severity. A total of 5 (9% of events) events were evaluated as severe: single events of musculoskeletal [shoulder] pain and [aggravated] RA in 2 (5%) actively treated subjects, and single events of [aggravated] rheumatoid arthritis, portal hypertension and hepatic fibrosis in 2 (9%) placebo-treated subjects. All severe AEs were resolved at end of trial, with the exception of the portal hypertension and hepatic fibrosis ( ). None of the severe events were



evaluated as possibly or probably related to trial product; 2 severe events (portal hypertension and musculoskeletal pain) were classified as SAEs.

- A total of 5 SAEs were reported for 4 (6%) subjects: single events of moderate erosive gastritis, moderate chronic pancreatitis, severe musculoskeletal pain and moderate rheumatoid arthritis, in a total of 3 (7%) actively treated subjects; and severe portal hypertension in 1 (5%) placebo-treated subject. All SAEs were evaluated as unlikely related to the trial product, with the exception of the rheumatoid arthritis event, which was evaluated possibly related to the trial product.
- There were no deaths, AEs leading to withdrawal of a subject or medical events of special interest (such as medication errors or suspected transmission of an infectious agent via a trial product) reported during the trial.
- A total of 2 injection-site reactions were reported for 2 (3%) subjects, both administered placebo: 1 event of redness and 1 event of haematoma.
- Statistically significant decreases in mean  $E_{min}$  of B cells and sodium were observed in actively treated subjects when compared to placebo, but were not considered clinically relevant. Infrequent and transient levels outside the normal range were observed for various cell subtypes, but there were no consistent trends indicative of relationship to treatment with NNC0142-0002.
- Urinalysis parameters, viral screen, physical exam and ECG results were without remarks throughout the trial. No statistically significant difference in coagulation, lipid or cytokines, body weight, body temperature, pulse, diastolic or systolic blood pressure was observed for the actively treated group when compared to placebo.
- Treatment-induced anti-drug antibodies of low titre (titre: 1) were observed in samples collected from 3 (7%) of the subjects: at Week 12 for 1 subject, Week 16 for 1 subject and Weeks 20 and 24 for 1 subject. The anti-drug antibodies were not neutralising; i.e. did not interfere with NNC0142-0002 binding to the NKG2D receptor *in vitro*.

#### CONCLUSIONS

- A single subcutaneous administration of 4 mg/kg NNC0142-0002 did not result in a statistically significant reduction in disease activity in terms of DAS28-CRP at 12 weeks after treatment, when compared to placebo. Neither was any reduction observed at 6 or 24 weeks after treatment. No statistically significant difference in ACR20/50/70 or EULAR responses was observed for subjects treated with NNC0142-0002 when compared to placebo.
- Elimination of NNC0142-0002 in serum was almost complete after 12 weeks. Full (i.e., above 95%) mean NKG2D receptor occupancy by NNC0142-0002 was maintained throughout the 12 weeks after dosing.
- Treatment with NNC0142-0002 reduced the NKG2D receptor-expressing fraction of CD8<sup>+</sup> T cells and NK cells, respectively. There were no significant differences in changes of the biomarkers investigated, and no effect of treatment with NNC0142-0002 on peripheral blood gene-expression profiles or MRI scores on synovitis, oedema or erosion.
- No statistically significant improvement in patient-reported outcomes for actively treated subjects was observed for subjects treated with NNC0142-0002 when compared to placebo.
- No safety concerns were raised during the trial, and NNC0142-0002 was well tolerated within the context of the trial. Treatment-induced, non-neutralising anti-drug antibodies of low titres were observed in 3 (7%) subjects.

*The trial was conducted in accordance with the Declaration of Helsinki (2008) and ICH Good Clinical Practice (1996). The results presented reflect the data available in the clinical database as of 12-June-2012.*

(2) web 上へ直接入力している形式

**Trials with a EudraCT protocol (1)**
Paediatric studies in scope of Art45 of the Paediatric Regulation (0)

1 result(s) found for: 2011-001192-39. Displaying page 1 of 1.

<b>EudraCT Number:</b> 2011-001192-39 <b>Sponsor Protocol Number:</b> P11-1 <b>Start Date :</b> 2012-01-26					
<b>Sponsor Name:</b> Dendreon Corporation					
<b>Full Title:</b> AN OPEN-LABEL STUDY OF SIPULEUCEL-T IN EUROPEAN MEN WITH METASTATIC, CASTRATE RESISTANT PROSTATE CANCER					
<b>Medical condition:</b> metastatic castrate resistant prostate cancer					
Disease:	Version	SOC Term	Classification Code	Term	Level
	14.1	10029104 - Neoplasms benign, malignant and unspecified (incl cysts and polyps)	10036909	Prostate cancer metastatic	PT
	14.1	10029104 - Neoplasms benign, malignant and unspecified (incl cysts and polyps)	10036910	Prostate cancer NOS	LLT
	14.1	10029104 - Neoplasms benign, malignant and unspecified (incl cysts and polyps)	10066489	Progression of prostate cancer	LLT
	14.1	10029104 - Neoplasms benign, malignant and unspecified (incl cysts and polyps)	10036916	Prostate cancer stage D	LLT
	14.1	10029104 - Neoplasms benign, malignant and unspecified (incl cysts and polyps)	10062904	Hormone-refractory prostate cancer	PT
<b>Population Age:</b> Adults, Elderly			<b>Gender:</b> Male		
<b>Trial protocol:</b> <a href="#">AT (Completed)</a> <a href="#">GB (Ongoing)</a> <a href="#">NL (Completed)</a>					
<b>Trial results:</b> <a href="#">View results</a>					

**Subscribe to this Search**  
To subscribe to the RSS feed for this search click [here](#). This will provide an RSS feed for clinical trials matching your search that have been added or updated in the last 7 days.

**Download Options:**  
Number of Trials to download:  
Trials shown on current page

Download Content:  
Summary Details

Download Format:  
Plain Text

[Download](#)

Note, where multi-state trials are shown in search results, selecting "Full Trial details" will download full information for each of the member states/countries involved in the trial.

**Clinical Trial Results:**


**AN OPEN-LABEL STUDY OF SIPULEUCEL-T IN EUROPEAN MEN WITH METASTATIC, CASTRATE RESISTANT PROSTATE CANCER**


Summary	
EudraCT number	<a href="#">2011-001192-39</a>
Trial protocol	<a href="#">AT</a> <a href="#">GB</a> <a href="#">NL</a>
Global end of trial date	10 Jun 2014
Results information	
Results version number	v1(current)
This version publication date	14 Dec 2016
First version publication date	27 Jun 2015
Other versions	

- [Trial Information](#)
- [Subject Disposition](#)
- [Baseline Characteristics](#)
- [End Points](#)
- [Adverse Events](#)
- [More Information](#)

[Collapse all](#) [Expand all](#)

<b>Trial information</b>		<a href="#">Top of page</a>
<b>Trial identification</b>		
Sponsor protocol code	P11-1	
<b>Additional study identifiers</b>		
ISRCTN number	-	
US NCT number	-	
WHO universal trial number (UTN)	-	
<b>Sponsors</b>		
Sponsor organisation name	Dendreon Pharmaceuticals, Inc	
Sponsor organisation address	1301 2nd Avenue, Seattle, United States,	
Public contact	Jennifer Lill, Dendreon Pharmaceuticals, Inc, +1 206-455-2174, jlill@dendreon.com	
Scientific contact	Jennifer Lill, Dendreon Pharmaceuticals, Inc, +1 206-455-2174, jlill@dendreon.com	
<b>Paediatric regulatory details</b>		
Is trial part of an agreed paediatric investigation plan (PIP)	No	
Does article 45 of REGULATION (EC) No 1901/2006 apply to this trial?	No	
Does article 46 of REGULATION (EC) No 1901/2006 apply to this trial?	No	
<b>Results analysis stage</b>		
Analysis stage	Final	
Date of interim/final analysis	10 Jun 2014	
Is this the analysis of the primary completion data?	Yes	
Primary completion date	10 Jun 2014	
Global end of trial reached?	Yes	
Global end of trial date	10 Jun 2014	
Was the trial ended prematurely?	No	
<b>General information about the trial</b>		
Main objective of the trial	To demonstrate that sipuleucel-T can be successfully manufactured for subjects with mCRPC at a European manufacturing facility.	
Protection of trial subjects	Utilization of an Independent Data Monitoring Committee that met at 3 month intervals and established procedures regarding chain of identity to ensure autologous product is delivered correctly.	
Background therapy	-	
Evidence for comparator	-	
Actual start date of recruitment	13 Jun 2012	
Long term follow-up planned	No	
Independent data monitoring committee (IDMC) involvement?	Yes	
<b>Population of trial subjects</b>		
Number of subjects enrolled per country		
Country: Number of subjects enrolled	Netherlands: 15	
Country: Number of subjects enrolled	United Kingdom: 7	
Country: Number of subjects enrolled	Austria: 17	
Country: Number of subjects enrolled	France: 8	
Worldwide total number of subjects	47	
EEA total number of subjects	47	
Number of subjects enrolled per age group		
In utero	0	
Preterm newborn - gestational age < 37 wk	0	
Newborns (0-27 days)	0	
Infants and toddlers (28 days-23 months)	0	
Children (2-11 years)	0	
Adolescents (12-17 years)	0	
Adults (18-64 years)	12	
From 65 to 84 years	34	
85 years and over	1	

<b>Subject disposition</b>		 <a href="#">Top of page</a>
<b>Recruitment</b>		
Recruitment details	-	
<b>Pre-assignment</b>		
Screening details	Administration of informed consent, evaluation of inclusion criteria, clinical evaluations and assorted laboratory tests.	
<b>Period 1</b>		
Period 1 title	Overall Trial (overall period)	
Is this the baseline period?	Yes	
Allocation method	Not applicable	
Blinding used	Not blinded	
<b>Arms</b>		
<b>Arm title</b>	sipuleucel-T	
Arm description	Each dose of sipuleucel-T contains a minimum of 50 million autologous CD54+ cells activated with PAP-GM-CSF. The recommended course of therapy for sipuleucel-T is 3 complete doses, given at approximately 2-week intervals. sipuleucel-T: Each dose of sipuleucel-T contains a minimum of 50 million autologous CD54+ cells activated with PAP-GM-CSF. The recommended course of therapy for sipuleucel-T is 3 complete doses, given at approximately 2-week intervals.	
Arm type	Experimental	
Investigational medicinal product name	Sipuleucel-T	
Investigational medicinal product code		
Other name		
Pharmaceutical forms	Dispersion for infusion	
Routes of administration	Intravenous use	
Dosage and administration details	3 250 mL doses infused approximately 2 weeks apart.	
<b>Number of subjects in period 1</b>		
	sipuleucel-T	
Started		47
Completed		43
Not completed		4
Started a medication restricted per the protocol		4

<b>Baseline characteristics</b>			 Top of page
<b>Baseline characteristics reporting groups</b>			
Reporting group title	Overall Trial		
Reporting group description	-		
<b>Reporting group values</b>	Overall Trial	Total	
Number of subjects	47	47	
<b>Age categorical</b>			
Units: Subjects			
In utero	0	0	
Preterm newborn infants (gestational age < 37 wks)	0	0	
Newborns (0-27 days)	0	0	
Infants and toddlers (28 days-23 months)	0	0	
Children (2-11 years)	0	0	
Adolescents (12-17 years)	0	0	
Adults (18-64 years)	12	12	
From 65-84 years	34	34	
85 years and over	1	1	
<b>Age continuous</b>			
Units: years			
arithmetic mean (standard deviation)	67.2 ± 7.8	-	
<b>Gender categorical</b>			
Units: Subjects			
Female	0	0	
Male	47	47	

<b>Subject analysis sets</b>		
Subject analysis set title	Full analysis	
Subject analysis set type	Full analysis	
Subject analysis set description	All subjects registered were included in the analysis.	
<b>Subject analysis sets values</b>	Full analysis	
Number of subjects	47	
<b>Age categorical</b>		
Units: Subjects		
In utero	0	
Preterm newborn infants (gestational age < 37 wks)	0	
Newborns (0-27 days)	0	
Infants and toddlers (28 days-23 months)	0	
Children (2-11 years)	0	
Adolescents (12-17 years)	0	
Adults (18-64 years)	12	
From 65-84 years	34	
85 years and over	1	
<b>Age continuous</b>		
Units: years		
arithmetic mean (standard deviation)	67.2 ± 7.8	
<b>Gender categorical</b>		
Units: Subjects		
Female	0	
Male	47	


<b>End points</b>		<a href="#">Top of page</a>
<b>End points reporting groups</b>		
Reporting group title	sipuleucel-T	
Reporting group description	Each dose of sipuleucel-T contains a minimum of 50 million autologous CD54+ cells activated with PAP-GM-CSF. The recommended course of therapy for sipuleucel-T is 3 complete doses, given at approximately 2-week intervals. sipuleucel-T: Each dose of sipuleucel-T contains a minimum of 50 million autologous CD54+ cells activated with PAP-GM-CSF. The recommended course of therapy for sipuleucel-T is 3 complete doses, given at approximately 2-week intervals.	
Subject analysis set title	Full analysis	
Subject analysis set type	Full analysis	
Subject analysis set description	All subjects registered were included in the analysis.	


<b>Primary: Cumulative CD54 Upregulation</b>		<a href="#">Top of page</a>
End point title	Cumulative CD54 Upregulation <sup>[1]</sup>	
End point description		
End point type	Primary	
End point timeframe	Over 3 infusions of Sipuleucel-T	
Notes		
[1] - No statistical analyses have been specified for this primary end point. It is expected there is at least one statistical analysis for each primary end point. Justification: Cumulative CD54 Upregulation parameters will be summarized descriptively (mean, median, standard deviation, minimum, and maximum) by infusion (1, 2, and 3) and cumulative (summed across infusions). Descriptive statistics are sufficient for this single-arm study.		
<b>End point values</b>	Full analysis	
Number of subjects analysed	47	
Units: Ratio		
arithmetic mean (standard error)	34.1 ± 1.24	

No statistical analyses for this end point


<b>Primary: CD54+ cell count</b>		<a href="#">Top of page</a>
End point title	CD54+ cell count <sup>[2]</sup>	
End point description		
End point type	Primary	
End point timeframe	Cumulative through infusion 3	
Notes		
[2] - No statistical analyses have been specified for this primary end point. It is expected there is at least one statistical analysis for each primary end point. Justification: CD54+ cell count parameters will be summarized descriptively (mean, median, standard deviation, minimum, and maximum) by infusion (1, 2, and 3) and cumulative (summed across infusions) Descriptive statistics are sufficient for this single-arm study.		
<b>End point values</b>	Full analysis	
Number of subjects analysed		
Units: 10 <sup>9</sup>		
arithmetic mean (standard error)	1.58 ± 0.1	

No statistical analyses for this end point

<b>Primary: Total nucleated cell count</b>		 <a href="#">Top of page</a>
End point title	Total nucleated cell count <sup>[3]</sup>	
End point description		
End point type	Primary	
End point timeframe	Cumulative through infusion 3	
Notes		
[3] - No statistical analyses have been specified for this primary end point. It is expected there is at least one statistical analysis for each primary end point. Justification: Total nucleated cell count parameters will be summarized descriptively (mean, median, standard deviation, minimum, and maximum) by infusion (1, 2, and 3) and cumulative (summed across infusions) Descriptive statistics are sufficient for this single-arm study.		
<b>End point values</b>	Full analysis	
Number of subjects analysed		
Units: 10 <sup>9</sup>		
arithmetic mean (standard error)	12.54 ± 0.74	
No statistical analyses for this end point		

<b>Primary: Product viability (percentage)</b>		 <a href="#">Top of page</a>
End point title	Product viability (percentage) <sup>[4]</sup>	
End point description		
End point type	Primary	
End point timeframe	Infusion 3	
Notes		
[4] - No statistical analyses have been specified for this primary end point. It is expected there is at least one statistical analysis for each primary end point. Justification: Product viability (percentage) parameters will be summarized descriptively (mean, median, standard deviation, minimum, and maximum) by infusion (1, 2, and 3). Descriptive statistics are sufficient for this single-arm study.		
<b>End point values</b>	Full analysis	
Number of subjects analysed		
Units: percentage		
arithmetic mean (full range (min-max))	96.75 (90.4 to 99.53)	
No statistical analyses for this end point		

V

<b>Adverse events</b>		 Top of page
<b>Adverse events information</b>		
Timeframe for reporting adverse events	From informed consent to last visit	
Assessment type	Systematic	
<b>Dictionary used for adverse event reporting</b>		
Dictionary name	MedDRA	
Dictionary version	14.1	
<b>Reporting groups</b>		
Reporting group title	All subjects	
Reporting group description	-	
<b>Serious adverse events</b>		
	All subjects	
Total subjects affected by serious adverse events		
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)	
number of deaths (all causes)	0	
number of deaths resulting from adverse events		
Injury, poisoning and procedural complications		
Gastroenteritis radiation		
subjects affected / exposed	1 / 47 (2.13%)	
occurrences causally related to treatment / all	0 / 1	
deaths causally related to treatment / all	0 / 0	
General disorders and administration site conditions		
Fatigue		
subjects affected / exposed	1 / 47 (2.13%)	
occurrences causally related to treatment / all	0 / 1	
deaths causally related to treatment / all	0 / 0	
Gastrointestinal disorders		
Pain		
subjects affected / exposed	1 / 47 (2.13%)	
occurrences causally related to treatment / all	0 / 1	
deaths causally related to treatment / all	0 / 0	
Renal and urinary disorders		
Calculus urinary		
subjects affected / exposed	1 / 47 (2.13%)	
occurrences causally related to treatment / all	0 / 1	
deaths causally related to treatment / all	0 / 0	
Urinary Tract Obstruction		
subjects affected / exposed	1 / 47 (2.13%)	
occurrences causally related to treatment / all	0 / 1	
deaths causally related to treatment / all	0 / 0	



Frequency threshold for reporting non-serious adverse events: 5%	
<b>Non-serious adverse events</b>	All subjects
Total subjects affected by non serious adverse events	
subjects affected / exposed	40 / 47 (85.11%)
Vascular disorders	
Hypertension	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3
Injury, poisoning and procedural complications	
Citrate Toxicity	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3
Blood and lymphatic system disorders	
Anaemia	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3
Nervous system disorders	
Dizziness	
subjects affected / exposed	5 / 47 (10.64%)
occurrences all number	5
General disorders and administration site conditions	
Fatigue	
subjects affected / exposed	14 / 47 (29.79%)
occurrences all number	14
Chills	
subjects affected / exposed	10 / 47 (21.28%)
occurrences all number	10
Influenza like illness	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3
Pain	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3
Gastrointestinal disorders	
Nausea	
subjects affected / exposed	5 / 47 (10.64%)
occurrences all number	5
Constipation	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3
Musculoskeletal and connective tissue disorders	
Back pain	
subjects affected / exposed	11 / 47 (23.40%)
occurrences all number	11
Myalgia	
subjects affected / exposed	4 / 47 (8.51%)
occurrences all number	4
Arthralgia	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3

Bone pain	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3
Pain in extremity	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3
Infections and infestations	
Nasopharyngitis	
subjects affected / exposed	3 / 47 (6.38%)
occurrences all number	3

<b>More information</b>		<a href="#">Top of page</a>
<b>Substantial protocol amendments (globally)</b>		
Were there any global substantial amendments to the protocol? Yes		
<b>Date</b>	<b>Amendment</b>	
01 Jun 2012	Quality of Life questionnaire assessments added. Clarification of sample size from 10 up to 45 subjects in the statistical analysis (justification for 45 subjects). Statistical clarification for the decision to stop enrollment.	
09 Jul 2013	Added thromboembolic and CVE reporting criteria of all countries to align with IB, edition 18.	
02 Dec 2013	Updated leukapheresis and sipuleucel-T risks sections, and infusion section to align with IB, edition 19.	
<b>Interruptions (globally)</b>		
Were there any global interruptions to the trial? No		
<b>Limitations and caveats</b>		
Limitations of the trial such as small numbers of subjects analysed or technical problems leading to unreliable data.		
None reported		

2 October 2014  
EMA/240810/2013

## European Medicines Agency policy on publication of clinical data for medicinal products for human use

POLICY/0070

Status: Adopted

Effective date: 1 January 2015

Review date: No later than June 2016

Supersedes: Not applicable

### 1. Introduction and purpose

The aim of the European Medicines Agency ('the Agency') is to protect and foster public health. Transparency is a key consideration for the Agency in delivering its service to patients and society.

Although the Agency since its creation has launched several initiatives to increase transparency of information on medicinal products, there is growing demand from stakeholders for additional transparency, not only about the Agency's deliberations and actions, but also about the clinical data on which regulatory decisions are based. The Agency is committed to continuously extend its approach to transparency and has, therefore, taken the initiative to develop a policy on publication of clinical data, in accordance with article 80 of Regulation (EC) No 726/2004<sup>1</sup>. Consultations with a broad range of stakeholders and European Union (EU) bodies have taken place in drafting this policy. It should be noted that this policy is without prejudice to Regulation (EC) No 1049/2001<sup>2</sup>, and, therefore, it does not replace the existing 'Policy on access to documents (related to medicinal products for human and veterinary use)' (POLICY/0043) ([EMA/110196/2006](#)), which came into effect in December 2010. Moreover, the provisions of this policy are not intended in any manner to limit the application or the rights given by Regulation (EC) No. 1049/2001. Any natural or legal person may continue to submit a request for access to documents to the Agency independently of the proactive publication mechanisms established by this policy.

<sup>1</sup> Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency.

<sup>2</sup> Regulation (EC) No 1049/2001 of the European Parliament and of the Council of 30 May 2001 regarding public access to European Parliament, Council and Commission documents.

This policy is also without prejudice to Regulation (EU) No 536/2014<sup>3</sup>.

## 2. Scope

The scope of the policy relates to clinical data, composed of clinical reports and individual patient data (IPD), submitted under the centralised marketing authorisation procedure after the effective date (see chapter 4.3. for further information), either using the common technical document (CTD) format or another format:

- as part of a marketing authorisation application (MAA);
- or as part of a post-authorisation procedure for an existing centrally authorised medicinal product;
- or as part of a procedure under Article 58 of Regulation (EC) No 726/2004;
- or submitted by a third party in the context of a MAA or a post-authorisation procedure for an existing centrally authorised medicinal product;
- or requested by the Agency/ submitted by the applicant/marketing authorisation holder (MAH) as additional clinical data in the context of the scientific assessment process for the aforementioned situations.

The following clinical data are not covered by the scope of the policy:

- Clinical data held by the Agency for applications submitted under the centralised procedure before 1 January 2015, and for extension of indication applications and line extension applications submitted before 1 July 2015.
- Clinical data (either data provided to the Agency before 1 January 2015 or data not yet held by the Agency) submitted to the Agency for non-centrally authorised products.

These clinical data continue to be made available to external requesters on a reactive basis in accordance with the aforementioned Agency's policy on access to documents.

In addition, the following clinical data are not covered by the scope of the policy:

- Clinical data that are not held by the Agency, even if they concern a medicinal product that has been authorised by the Agency (e.g. clinical trials on an authorised product conducted by independent investigators and not submitted to the Agency).
- Pharmacovigilance data based on individual case safety reports (ICSRs). Access by third parties to ICSR data is addressed in the Agency's 'EudraVigilance access policy for medicines for human use' ([EMA/759287/2009 corr.](http://EMA/759287/2009_corr.)).

## 3. Definitions

For the purpose of this policy the following definitions apply:

- **Applicant/MAH:**

Applicant/MAH shall mean the natural or legal person(s) or organisation(s) that submitted the clinical reports to the Agency in the context of applications in support of centralised marketing authorisations (MAs)/post-authorisation submissions for existing centrally authorised medicinal products, as well as

<sup>3</sup> Regulation (EU) No 536/2014 of the European Parliament and of the Council of 16 April 2014 on clinical trials on medicinal products for human use, and repealing Directive 2001/20/EC.

any person(s) or organisation(s) who own(s) copyright or other intellectual property rights in the clinical reports.

- **Clinical data:**

Clinical data shall mean the clinical reports and IPD.

- **Clinical reports:**

Clinical reports shall mean the clinical overviews (generally submitted in module 2.5) and clinical summaries (generally submitted in module 2.7) and the clinical study reports (generally submitted in module 5, "CSR"), together with appendices to the CSRs no. 16.1.1 (protocol and protocol amendments), 16.1.2 (sample case report form) and 16.1.9 (documentation of statistical methods).

- **Clinical study:**

Clinical study shall mean any investigation in relation to humans intended to:

- discover or verify the clinical, pharmacological or other pharmacodynamic effects of one or more medicinal products;
- identify any adverse reactions to one or more medicinal products; or
- study the absorption, distribution, metabolism and excretion of one or more medicinal products;

with the objective of ascertaining the safety or efficacy of those medicinal products.

- **Commercially confidential information (CCI):**

CCI shall mean any information contained in the clinical reports submitted to the Agency by the applicant/MAH that is not in the public domain or publicly available and where disclosure may undermine the legitimate economic interest of the applicant/MAH.

- **Individual patient data (IPD):**

IPD shall mean the individual data separately recorded for each participant in a clinical study.

- **Personal data:**

Personal data shall mean any information relating to an identified or identifiable natural person ('data subject'); an identifiable person is one who can be identified, directly or indirectly, in particular by reference to an identification number or to one or more factors specific to their physical, physiological, mental, economic, cultural or social identity (Article 2(a) of Regulation (EC) No 45/2001).

## 4. Policy statement

The following aspects are addressed in this policy:

- Objectives of the policy.
- Characteristics of the policy.
- Date of coming into effect of the policy.

### 4.1. Objectives of the policy

The main objectives of the policy by making clinical data available proactively, are to enable

- public scrutiny,

- and application of new knowledge in future research,

all this in the interest of public health.

A high degree of transparency will take regulatory decision-making one step closer to EU citizens, and promote better-informed use of medicines. In addition, the Agency takes the view that access to clinical data will benefit public health in future. The policy has the potential to make medicine development more efficient by establishing a level playing field that allows all medicine developers to learn from past successes and failures. Furthermore, it will enable the wider scientific community to make use of detailed clinical data to develop new knowledge in the interest of public health. Access to clinical data will allow third parties to verify the original analysis and conclusions, to conduct further analyses, and to examine the regulatory authority's positions and challenge them where appropriate.

The Agency also takes the view that transparency should be mutually respected. Those who perform secondary analysis of clinical data, published in accordance with this policy, must be held to the same standard of transparency as those who generate clinical data in the first place. Hence, all secondary analyses are expected to also be in the public domain and accessible for further scrutiny by the scientific community. In addition, those who perform secondary analysis of clinical data published in accordance with this policy, are encouraged to provide the Agency with a copy of any article resulting from such secondary analysis before publication, in particular in those circumstances where the secondary analysis might result in the need for regulatory action to protect public health. This is a critical consideration in view of the Agency's role and responsibilities for a timely review of all available information which might have an impact on the benefit/risk ratio of centrally authorised products.

The Agency cannot guarantee that all secondary data analyses that are enabled by the policy will be conducted and reported to the highest possible scientific standard; this is not possible with a truly open approach.

Allowing external parties access to clinical data held by the Agency will directly or indirectly affect different stakeholders' rights, interests and values. In developing this policy the Agency had to consider a number of competing principles which needed to be carefully balanced in order to best ensure the overarching, long-term goal of protecting and fostering public health. These principles, as well as the Agency's positions and views, are described below:

- **Protecting personal data:**

The protection of personal data is enshrined in EU legislation; it is a fundamental right of EU citizens. The policy has to ensure adequate personal data protection; it must be fully compliant with applicable regulations in the EU, in particular Regulation (EC) No 45/2001 and Directive 95/46/EC. There are ways and means to anonymise data and protect patients from retroactive identification. Yet, the Agency is primarily concerned that emerging technologies for data mining and database linkage will increase the potential for unlawful retroactive patient identification. The Agency, therefore, takes a guarded approach to the sharing of patient-level data, which is done to enable legitimate learning from sharing patient-level data while preventing rare but potentially damaging instances of patient identification. Furthermore, patients' informed consent should be respected. The secondary analysis of personal data will have to be fully compatible with the individual privacy of clinical trial participants and data protection.

- **Protecting commercially confidential information (CCI):**

The Agency respects and will not divulge CCI. In general, however, clinical data cannot be considered CCI. The Agency acknowledges that there are limited circumstances where information could constitute CCI.

- **Protecting the Agency's and the European Commission's deliberations and decision-making process:**

Regulators have a legal mandate to evaluate medicines. In doing so, they should only focus on the science and the best interests of patients. The decision-making process should be protected against external pressures from whatever direction. Once a decision has been reached, this consideration no longer applies.

- **Ensuring future investment in pharmaceutical research and development (R&D):**

Sustained and extensive pharmaceutical research activity is a precondition for future improvements in public health. The policy has no intention to negatively impact on the incentives to invest in future pharmaceutical R&D. It is designed to guard against unintended consequences, e.g. breaches of intellectual property rights that might disincentivise future investment in R&D.

## **4.2. Characteristics of the policy**

The main characteristics of the policy are:

- Introduction of a publication process for clinical reports.
- Management of CCI in clinical reports.
- Methods for balancing the protection of patients' privacy whilst retaining scientific value of the data.
- Stepwise implementation of the policy.

### **4.2.1. Introduction of a publication process for clinical reports**

The introduction of a publication process for clinical reports is based on 2 pillars:

- Terms of use (ToU) which govern the access to and use of clinical reports.
- A user-friendly technical tool allowing access to such clinical reports.

The ToU provide more information in relation to the access to the information contained in the clinical reports and the intended use of such information. Two sets of ToU are available, depending on the intended use of the information contained in the clinical reports, as described below:

- **Clinical reports available on-screen for any user, with a simple and limited registration process:**

The main characteristics are:

*Registration process:*

- Obtaining a user ID/password.
- Accepting the ToU.

*ToU for general information purposes (see annex 1):*

- Intended use is for general information and non-commercial purposes, including non-commercial research purposes.
- Clinical reports are made available in a "view-on-screen-only" mode.
- Clinical reports will be made available in a searchable format and will be permanently available.

- **Downloadable clinical reports available to identified users:**

The main characteristics are:

*Registration process:*

- Obtaining a user ID/password.
- Accepting the ToU.
- Providing the Agency with elements concerning the identity of the user (i.e. name, date of birth, passport or ID card number, expiry date of the document; for juridical persons, the affiliation and position within the organisation of the user should also be provided).

*ToU for academic and other non-commercial research purposes (see annex 2):*

- Intended use is for academic and non-commercial research purposes.
- Clinical reports can be downloaded, saved and printed.
- Clinical reports will be made available in a searchable format and will be permanently available.

Common to the two sets of ToU are the following elements:

- No attempt shall be made to re-identify the trial subjects or other individuals from the information.
- The clinical reports may not be used to support a MAA/ extensions or variations to a MA nor to make any unfair commercial use of the clinical reports.
- A watermark is applied to the published information to emphasise the prohibition of its use for commercial purposes.
- The Agency accepts no responsibility for the user's compliance with the ToU.

#### **4.2.2. Management of CCI in clinical reports**

Although generally the information contained in clinical reports should not be considered CCI, the Agency acknowledges that in limited circumstances the clinical reports could contain CCI, and could, therefore, be subject to redaction prior to publication. Where redaction of CCI is proposed by the applicant/MAH, a consultation with the applicant/MAH will be undertaken, following scrutiny by the Agency of the proposed redaction, including the justification provided by the applicant/MAH, as to whether the definition of CCI applies (see annexes 3 and 4).

##### **4.2.2.1. Redaction principles**

The clinical reports that will be published in accordance with this policy shall only be subject to redactions when needed to protect those specific elements which qualify as CCI that should not be released. This complements the aforementioned use controls that will need to be accepted by recipients of the documents in order to protect the originator against misuse of the data as a whole. This covers information that is not in the public domain or publicly available and where disclosure may undermine the economic or competitive position of the applicant/MAH. In this regard, the assessment of this information will take into account the justification provided by the applicant/MAH with regard to various factors, including the nature of the product concerned, the competitive situation of the



therapeutic market in question, the approval status in other jurisdictions, the novelty of the clinical development, and new developments by the same company.

In general, as already mentioned, most of the information in clinical reports would not be considered CCI. There are, however, limited circumstances where the clinical reports could contain CCI.

The information referred to in annex 3, which is contained in the sections of the clinical reports, may be considered CCI and, therefore, may have to be redacted as per the aforementioned redaction principles, after assessment by the Agency of the justification provided by the applicant/MAH. The same rules regarding CCI and the redaction principles will apply to the same information presented in other formats or other sections in the documents submitted by the applicant/MAH to the Agency.

If justification for additional redaction going beyond the list in annex 3 has been provided by the applicant/MAH, and agreed upon by the Agency, the Agency will then proceed with the publication of the so redacted clinical reports. The Agency will, once further experience with the implementation of the policy has been obtained, undertake first a consultation with all relevant stakeholders in order to explore if the outcome of the individual case(s) should exceptionally lead to a revision of the redaction principles.

#### **4.2.2.2. Process for publication of clinical reports**

The process for publication of clinical reports is described in annex 4. This process foresees in consultation with the applicant/MAH in case the Agency disagrees with the redaction proposed by the applicant/MAH.

#### **4.2.3. Methods for balancing the protection of patient's privacy whilst retaining scientific value of the data**

Protection of patients' identity is of crucial importance. In order to achieve this objective both identification and re-identification of patients need to be avoided. Particular challenges in this respect are continuous developments in the field of technologies relating to data mining and database linkage, as well as specific scenarios to be considered in the area of medicine regulation, for instance the situation of rare diseases. In deciding on the most optimal approach (anonymisation versus pseudonymisation) the Agency will take due account of recent developments, e.g. the work undertaken by the network of EU Data Protection Authorities on anonymisation techniques<sup>4</sup>, and subsequently discuss with stakeholders (e.g. patients' organisations, academia, pharmaceutical industry) to agree on the best way forward.

#### **4.2.4. Stepwise implementation of the policy**

The implementation of the policy will be undertaken in a stepwise manner:

- In a first phase, the publication of clinical data will relate to clinical reports only.
- In a second phase, the Agency will review various aspects in relation to IPD, including finding the most appropriate way to make IPD available, the latter in compliance with privacy and data protection laws<sup>5</sup>.

<sup>4</sup> Opinion 05/2014 on anonymisation techniques, adopted on 10 April 2014 by the Article 29 Data Protection Working Party.

<sup>5</sup> The Agency will notify the European Data Protection Supervisor (EDPS) accordingly.

#### **4.2.4.1. First phase: publication of clinical reports**

The publication of clinical reports will be in accordance with the arrangements described in chapters 4.2.1., 4.2.2. and 4.2.3. of the policy.

In addition, the following principles will apply as regards the timing of publication:

The timing of publication takes into account the need to protect the Agency's and the European Commission's deliberations and decision-making process. In order not to undermine such decision-making process the Agency will only publish clinical data once the concerned procedure has been finalised. In practical terms this means:

- following the European Commission Decision granting or refusing the MA/post-authorisation submission outcome; or
- following the scientific committee Opinion if there is no subsequent European Commission Decision; or
- following the scientific committee conclusion if there is no Opinion; or
- following receipt of the applicant's/MAH's letter notifying the withdrawal of the MAA/post-authorisation submission.

The process described in chapter 4.2.2.2. for publication of clinical reports, including where necessary interaction with the applicant/MAH, will start following the adoption of the scientific committee Opinion/conclusion or the receipt of the withdrawal letter, as referred to above.

#### **4.2.4.2. Second phase: reviewing various aspects in relation to IPD**

Before IPD can be made available, there is a need to first clarify:

- the submission of IPD for subsequent scientific review by the Agency, and
- how to best provide access to such IPD, including the conditions to be fulfilled.

It is important to emphasise in this regard that the Agency will not request applicants/MAHs to submit IPD for the sole purpose of publication of IPD.

The Agency will first undertake a targeted public consultation with all concerned stakeholders on the various aspects in relation to IPD to provide clarification. Subsequently, in consultation with the Agency's Management Board, the policy will be amended to reflect the outcome of this targeted public consultation.

### **4.3. Date of coming into effect of the policy**

For the coming into effect of the policy a stepwise approach will be applied.

The effective date will be 1 January 2015 for any new MAAs, and Article 58 applications submitted as from the effective date onwards.

The effective date will be 1 July 2015 for extension of indication applications and line extension applications relating to existing centrally authorised medicinal products submitted as from the effective date onwards. For all other post-authorisation procedures relating to existing centrally authorised medicinal products where supporting clinical reports have been submitted, the effective date will be determined in 2015.

## 5. Related documents

Further information on the development and implementation of the policy is provided in a Q&A document<sup>6</sup>.

## 6. Changes since last revision

Not applicable, new policy.

The policy will be revised, as appropriate taking into account the experience obtained, not later than 18 months after coming into effect.

London, 2 October 2014

*Signature on file*

Guido Rasi  
Executive Director

<sup>6</sup> Q&A on the European Medicines Agency policy on publication of clinical data for medicinal products for human use (EMA/357536/2014).

# Annex 1

## Terms of Use for general information purposes

These Terms of Use ("**Terms**") govern the access and use of clinical data, as defined in chapter 3. of the EMA policy on publication of clinical data, Policy 0070 ("**Policy**"), that are made available to *Users* via such *Policy*. By accepting these *Terms* and upon being granted access to the *Clinical Reports*, you agree to be bound by these *Terms*. Please read them carefully.

### 1. Definitions

In these *Terms* the terms below have the following meaning:

"**EMA**" means the European Medicines Agency.

"**Clinical Reports**" means the clinical overviews (module 2.5), the clinical summaries (module 2.7) and the clinical study reports (module 5, "CSR"), together with appendixes to the CSRs no. 16.1.1, 16.1.2 and 16.1.9 which are accessible via the *EMA* website as a result of the implementation of the *Policy*.

"**Applicant/MAH**" means the natural or legal person(s) or organisation(s) that submitted the *Clinical Reports* to the *EMA* in the context of applications in support of centralised marketing authorisations/post-authorisation submissions under Regulation (EC) No 726/2004, as well as any person(s) or organisation(s) who own(s) copyright or other intellectual property rights in the *Clinical Reports*.

"**User**" means the natural or legal person or organisation who, having registered with the *EMA* website in connection with the implementation of the *Policy*, receives access to the *Clinical Reports*.

### 2. Access to the *Clinical Reports* under the *Policy*

The *User* acknowledges that the *Clinical Reports* are protected by copyright or other intellectual property rights of the *Applicant/MAH* and can be considered commercially valuable when used for commercial and regulatory purposes.

The *User* acknowledges that the *Clinical Reports* will be made available to the *User* on the *EMA* website in a "view-on-screen-only" mode, after completing the registration process. The *User* agrees that the *User* is not permitted to download, save, edit, photograph, print, distribute or transfer the *Clinical Reports*. The *User* agrees not to access the *Clinical Reports* using a method other than the interface provided by the *EMA*, or remove, bypass, circumvent, neutralise or modify any technological protection measures which apply to the *Clinical Reports*.

### 3. Use of the *Clinical Reports*

The *User* agrees to use the *Clinical Reports* according to these *Terms* and, in particular, that:

- a) The *User* may use the *Clinical Reports* for general information and non-commercial purposes, including non-commercial research purposes, subject to these *Terms*.

- b) The *User* is not granted any intellectual property or other commercial rights in relation to the *Clinical Reports* other than as expressly set out in these *Terms*.

When using the *Clinical Reports*, the *User* shall:

- a) acknowledge that its source is the *Applicant/MAH*;
- b) not use it in a way that suggests that the *Applicant/MAH* endorses the *User's* use of the *Clinical Reports* for any other purpose than general information and non-commercial purposes, including non-commercial research purposes;
- c) ensure that the use of the *Clinical Reports* comply at all times with applicable law;
- d) not misrepresent the source of the *Clinical Reports*;
- e) not seek to re-identify the trial subjects or other individuals from the *Clinical Reports* in breach of applicable privacy laws.

The *User* may not:

- use the *Clinical Reports* to support an application to obtain a marketing authorisation and any extensions or variations thereof for a product anywhere in the world;
- share the *User's* username, password or other account details with a third party or otherwise provide a third party with access to the *User's* account;
- make any unfair commercial use of the *Clinical Reports*.

If the *User* fails to accurately complete the registration process, comply with these conditions, or uses the *Clinical Reports* in breach of these *Terms*, the rights to access and use the *Clinical Reports* will be revoked.

## 4. Warranties and liability

Without prejudice to any obligation of the *Applicants/MAHs* in accordance with the Union legislation:

- The *EMA* and the *Applicant/MAH* exclude all representations, warranties, obligations and liabilities in relation to the *Clinical Reports* as accessible via the *EMA* website to the maximum extent permitted by law;
- Neither the *EMA* nor the *Applicant/MAH* are liable for any errors or omissions in the *Clinical Reports* as provided via the *EMA* website and shall not be liable for any loss, injury or damage of any kind caused by its use.
- The Agency accepts no responsibility for the *User's* compliance with the *Terms*.

## 5. Third party rights

The restrictions and conditions and the warranty and liability provisions of these *Terms* are also made for the benefit of any and all *Applicants/MAHs* and, accordingly, each such *Applicant/MAH* may in its own right enforce these *Terms* in accordance with the provisions of the Contracts (Rights of Third Parties) Act 1999.

## **6. Governing law**

These *Terms* and any dispute or claim arising out of or in connection with them or their subject matter or formation (including non-contractual disputes or claims) shall be governed by and construed in accordance with the law of England and Wales.

## **7. Jurisdiction**

The courts of England and Wales shall have non-exclusive jurisdiction to settle any dispute or claim arising out of or in connection with these *Terms* or their subject matter or formation (including non-contractual disputes or claims).

## Annex 2

### Terms of Use for academic and other non-commercial research purposes

These Terms of Use ("**Terms**") govern the access and use for academic and non-commercial research purposes of clinical data, as defined in chapter 3. of the EMA policy on publication of clinical data, Policy 0070 ("**Policy**"), that are made available to *Users* via such *Policy*. By accepting these *Terms* and upon being granted access to the *Clinical Reports*, you agree to be bound by these *Terms*. Please read them carefully.

#### 1. Definitions

In these *Terms* the terms below have the following meaning:

**"EMA"** means the European Medicines Agency.

**"Clinical Reports"** means the clinical overviews (module 2.5), the clinical summaries (module 2.7) and the clinical study reports (module 5, "CSR"), together with appendixes to the CSRs no. 16.1.1, 16.1.2 and 16.1.9 which are accessible via the *EMA* website as a result of the implementation of the *Policy*.

**"Applicant/MAH"** means the natural or legal person(s) or organisation(s) that submitted the *Clinical Reports* to the *EMA* in the context of applications in support of centralised marketing authorisations/post-authorisation submissions under Regulation (EC) No 726/2004, as well as any person(s) or organisation(s) who own(s) copyright or other intellectual property rights in the *Clinical Reports*.

**"User"** means the natural or legal person or organisation who, having registered with the *EMA's* website in connection with the implementation of the *Policy*, receives in electronic format a copy of the *Clinical Reports*.

#### 2. Access to the *Clinical Reports* under the *Policy*

The *User* acknowledges that the *Clinical Reports* are protected by copyright or other intellectual property rights of the *Applicant/MAH* and can be considered commercially valuable when used for commercial and regulatory purposes.

The *User* acknowledges that the *Clinical Reports* will be made available to the *User* in electronic format for academic and non-commercial research purposes. Before being granted access to the *Clinical Reports* in electronic format, the *User* shall provide the *EMA* with:

- An e-mail address,
- A place of address in the European Union; in the event that the *User* does not have a place of address in the European Union and wishes to avail itself of the services of a third party resident or domiciled in the European Union, such third party shall be considered *User* for the purposes of these *Terms* and shall comply with all the terms hereof,

- Elements concerning the identity of the user (i.e. name, date of birth, passport or ID card number, expiry date of the document; for juridical persons, the affiliation and position within the organisation of the user should also be provided).

### **3. Use of the *Clinical Reports***

The *User* agrees to use the *Clinical Reports* according to these *Terms* and, in particular, that:

- a) The *User* may use the *Clinical Reports* solely for academic and non-commercial research purposes, subject to these *Terms*.
- b) The *User* is not granted any intellectual property or other commercial rights in relation to the *Clinical Reports* other than as expressly set out in these *Terms*.

The *User* may not:

- use the *Clinical Reports* to support an application to obtain a marketing authorisation and any extensions or variations thereof for a product anywhere in the world;
- share the *User's* username, password or other account details with a third party or otherwise provide a third party with access to the *User's* account;
- make any unfair commercial use of the *Clinical Reports*;
- seek to re-identify the trial subjects or other individuals from the *Clinical Reports* in breach of applicable privacy laws.

For the avoidance of doubt, the *User* is permitted to download, save and print the *Clinical Reports*, subject to these *Terms*.

If the *User* fails to accurately complete the registration process, comply with these conditions, or uses the *Clinical Reports* in breach of these *Terms*, the rights to access and use the *Clinical Reports* will be revoked.

### **4. Warranties and liability**

Without prejudice to any obligation of the *Applicants/MAHs* in accordance with the Union legislation:

- The *EMA* and the *Applicant/MAH* exclude all representations, warranties, obligations and liabilities in relation to the *Clinical Reports* as made accessible to the *Users* to the maximum extent permitted by law;
- Neither the *EMA* nor the *Applicant/MAH* are liable for any errors or omissions in the *Clinical Reports* as made accessible to the *Users* and shall not be liable for any loss, injury or damage of any kind caused by its use.
- The Agency accepts no responsibility for the *User's* compliance with the *Terms*.

### **5. Third party rights**

The restrictions and conditions and the warranty and liability provisions of these *Terms* are also made for the benefit of any and all *Applicants/MAHs* and, accordingly, each such *Applicant/MAH* may in its own right enforce these *Terms* in accordance with the provisions of the Contracts (Rights of Third Parties) Act 1999.



## **6. Governing law**

These *Terms* and any dispute or claim arising out of or in connection with them or their subject matter or formation (including non-contractual disputes or claims) shall be governed by and construed in accordance with the law of England and Wales.

## **7. Jurisdiction**

The courts of England and Wales shall have non-exclusive jurisdiction to settle any dispute or claim arising out of or in connection with these *Terms* or their subject matter or formation (including non-contractual disputes or claims).

## **Annex 3**

### **Information contained in the sections of the clinical reports that may be considered CCI**

The information contained in the clinical reports that may be considered CCI and the reference to the relevant sections is provided in the table below. Guidance described in column 2 advises what should be discussed in case of information that may be considered CCI.

Title	Information that may be considered CCI	Justification for redaction
<p><b>Elements relating to clinical trials and contained in "The common technical document for the registration of pharmaceuticals for human use" (from ICH harmonised tripartite guideline, Module 2 and 5)</b></p>		
<p>Product Development Rationale Information expected to be found in section 2.5.1 of the clinical overview as per ICH M4(R3) guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• "Describe the clinical development programme of the medicinal product, including ongoing and planned clinical studies and the basis for the decision to submit the application at this point in the programme...."</li> <li>• "Regulatory guidance and advice from outside the EU should be identified, with discussion of how that advice was implemented."</li> <li>• "Formal advice documents (e.g., official meeting minutes, official guidance, letters from non EU regulatory authorities) should be referenced...."</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Information for planned clinical studies may include "exploratory endpoints" that are not intended to yield data in support of the then-current approval of a use or indication, but could provide clues to potential uses and indications for competitors.</li> <li>• Regulatory advice from outside the EU is typically non-public and includes agreements with regulators on study design, strategies for organisation and presentation of findings, and other aspects of the regulatory process that competitors could copy.</li> <li>• Same justification as above.</li> </ul>
<p>Overview of Biopharmaceutics Information expected to be found in section 2.5.2 of the clinical overview as per ICH M4(R3) guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Detailed assay information/quantitative composition/lot numbers</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• As the Biopharmaceutical Summary Documents (2.7.1) are considered CCI, this section may contain some overlapping information.</li> </ul>
<p>Overview of Clinical Pharmacology Information expected to be found in section 2.5.3 of the clinical overview as per ICH</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Stereochemistry issues.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Competitors could gain a detailed understanding of the stereoisomers and three-dimensionality of the molecule.</li> </ul>

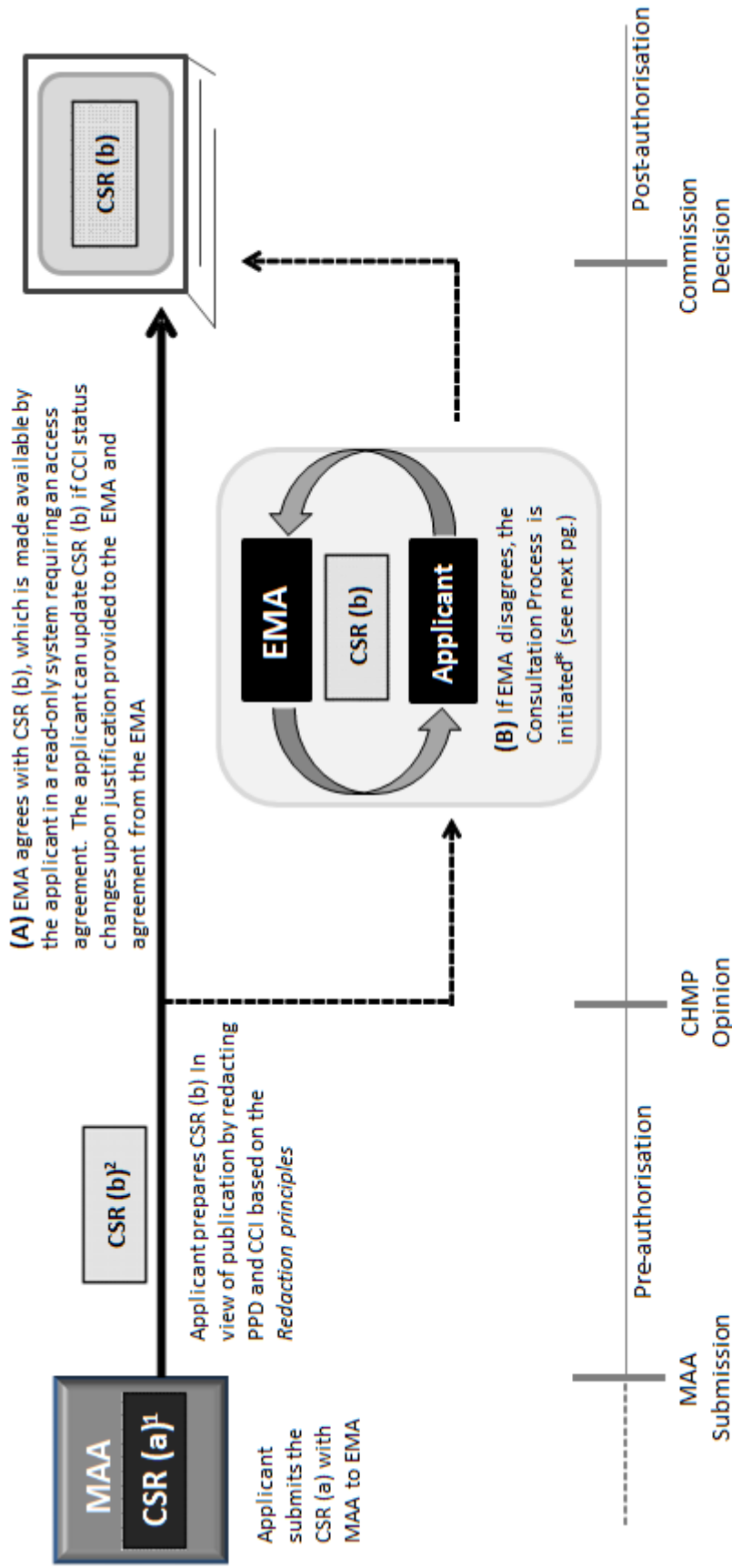
Title	Information that may be considered CCI	Justification for redaction
<p>M4(R3) guideline</p> <p>Benefits and Risks Conclusions</p> <p>Information expected to be found in section 2.5.6 of the clinical overview as per ICH M4(R3) guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Implications of any deviations from non EU regulatory advice or guidelines.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>The company may include justifications for any deviation from regulatory advice or guidance outside of the EU jurisdiction, a competitor may have an unwarranted new perception of the regulatory risk associated with a certain regulatory strategy.</li> </ul>
<p>Summary of Biopharmaceutic Studies and Associated Analytical Methods</p> <p>Information expected to be found in section 2.7.1 of the clinical summary as per ICH M4(R3) guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Information about specifications on company assays.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>This section may contain CCI in the form of details and specifications on assays developed by the company. The information may bring significant advantages to competitors if published.</li> </ul>
<p>Summary of Clinical Pharmacology Studies</p> <p>Information expected to be found in section 2.7.2 of the clinical summary as per ICH M4(R3) guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Information about specifications on company assays and immunogenicity assays.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>This section may contain CCI in the form of details and specifications on assays developed by the company. The information may bring significant advantages to competitors if published.</li> </ul>
<p>Reports of Biopharmaceutic Studies</p> <p>Information expected to be found in section 5.3 of module 5 "Clinical study reports" as per ICH M4(R3) guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Information about specifications on company assays by which the results of the studies (e.g. Bioavailability, In Vitro – In Vivo Correlation) are obtained.</li> <li>Information about company innovative bioassays/analytical methods.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>This section may contain CCI in the form of details and specifications on assays developed by the company. The information may bring significant advantages to competitors if published.</li> </ul>

Title	Information that may be considered CCI	Justification for redaction
<b>Structure and content of clinical study reports (CSRs) (from ICH harmonised tripartite guideline, E3)</b>		
<p>Introduction</p> <p>Information expected to be found in section 7 of the clinical study reports as per ICH E3 guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Development of the protocol or any other agreements/meetings between the sponsor/company and non EU regulatory authorities that are relevant to the particular study, should be identified or described.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>May contain non-public information that the sponsor agreed in another jurisdiction outside of the EU.</li> </ul>
<p>Study Objectives (Including Exploratory Endpoints and Efficacy and Safety Variables)</p> <p>Information expected to be found in sections 8 and 9.5 of the clinical study reports as per ICH E3 guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Statements/descriptions relating to objectives that are not supportive of a label claim and they were not taken into consideration in the overall benefit/risk evaluation. This includes the definition of efficacy and safety variables collected and analysed in support of exploratory objectives.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>The exploratory study objectives could be used by a competitor to gain insights into additional future study plans and/or indications for the product. For example, in some trials for a new anti-inflammatory medicinal product, an exploratory lipid profile was included, investigating the lipid metabolism in patients treated with the product, to inform future studies rather than to support the MAA. The results of these analyses were included in the CSRs submitted to the EMA in the course of the MAA procedure.</li> <li>Alternatively the exploratory objectives may include biomarkers that could be used as 'hypothesis generating' for future studies. At that stage there would not be enough information to file patent applications on these objectives until some data are available from clinical and non-clinical studies. Disclosing these exploratory objectives may preclude obtaining patents that would cover biomarkers/diagnostics themselves, as well as method of use patents directed to</li> </ul>

Title	Information that may be considered CCI	Justification for redaction
<p>Determination of Sample Size</p> <p>Information expected to be found in section 9.7.2 of the clinical study reports and appendix 16.1.9 as per ICH E3 guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Analysis of the information that drives the sample size calculation (e.g. estimates of endpoint variability, measurement precision, screening and retention rates).</li> </ul>	<p>patient subpopulations.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>The sample size per se is not considered CCI. However there may be occasions when the intellectual consideration that goes into the analysis of the information that drives the sample size calculation (e.g. estimates of endpoint variability, measurement precision, screening and retention rates) is considered CCI.</li> </ul>
<p>Method of PK/PD determination</p> <p>Information expected to be found in section 9.5.4 of the clinical study reports as per ICH E3 guideline</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>CCI on analytical methods.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>This section may have proprietary information on how analyses are performed.</li> </ul>

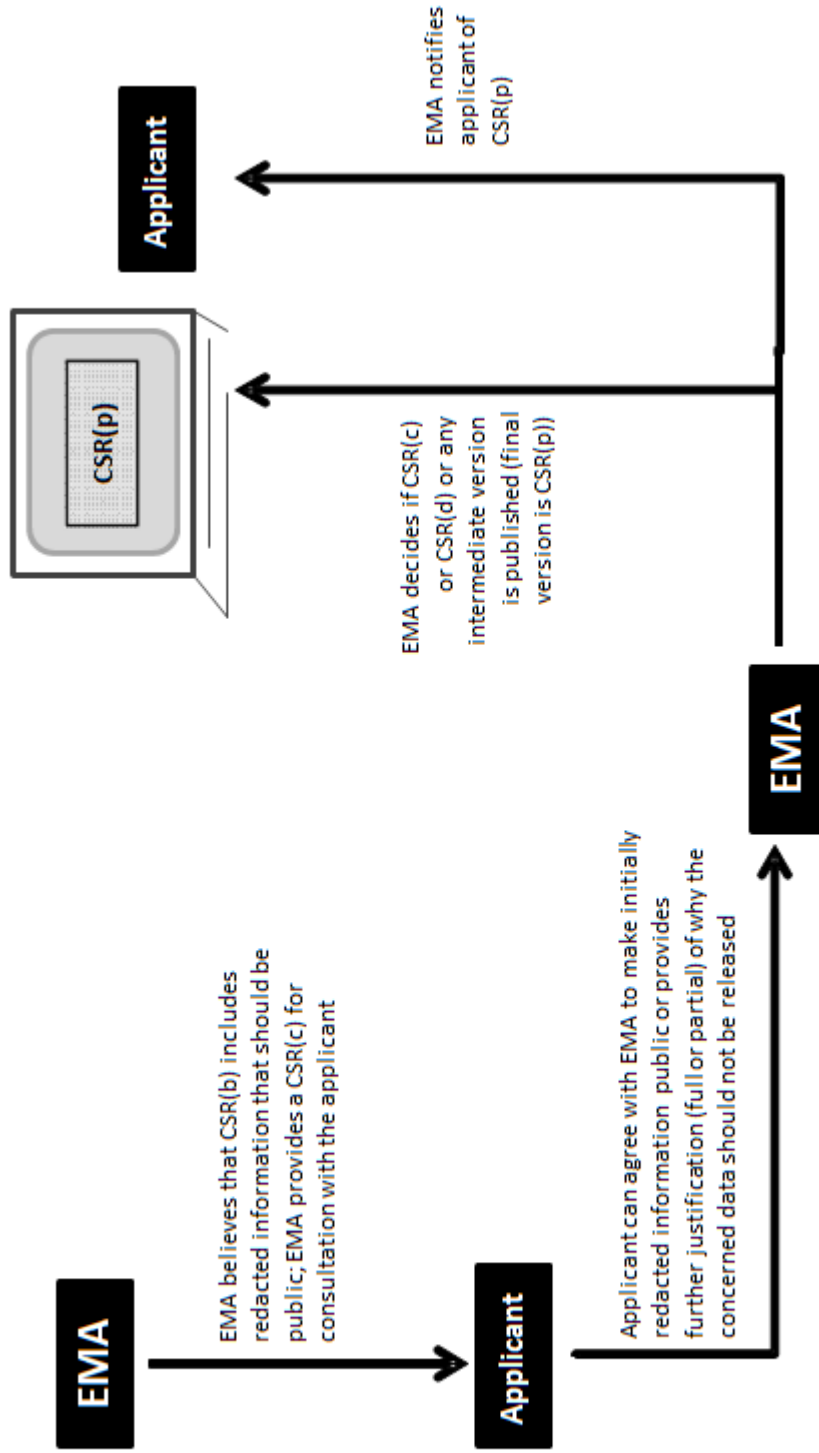
# Annex 4

## Process for publication of clinical reports (scenario: MAA)



1. CSR (a) = CSR in accordance with EMA guidance (1995 and 2004)
2. CSR (b) = CSR available under the EMA policy

**\* Consultation process**



\* Consultation process to be concluded within Decision making process timelines – exact timing still to be determined.



## 日本の臨床試験情報登録機関における結果公開の項目・様式

研究分担者 湯川 慶子, 藤井 仁, 佐藤 元<sup>1)</sup>

1) 国立保健医療科学院 政策技術評価研究部

### 研究要旨

**目的：**本研究においては、日本国内の臨床研究登録機関の結果公開の動向を調査し、臨床研究法に伴う新システムの構築および発展への示唆を得ることを目的とする。

**方法：**日本での臨床試験の結果に関する登録項目を検討する。データの可用性、情報の透明性などで世界的な水準を十分に満たし、かつ既存の臨床試験登録におけるデータ形式（CDISC、WHO の定めるデータ形式 DTD 等）とも齟齬がないように、登録項目、データ形式などについて検討する。

**結果：**登録項目、データ形式などを検討したところ、国内 3 機関において現状では JAPIC 以外の機関において臨床試験結果の登録という項目が明記されているものは存在しなかった。ただし、UMIN、JMACCT とともに、まず試験を登録し結果が出た時点で各登録フォームを更新することにより、結果の反映及び公開を行うシステムとなっている。

**結論：**国内 3 機関では、現状、国内における臨床試験の結果登録の項目における統一性は希薄であると同時に、定義にも差が認められた。

### 研究協力者

土井 麻理子

(国立保健医療科学院 政策技術評価研究部)

**A. 研究目的：**本研究においては、日本国内の臨床研究登録機関の結果公開の動向を調査し、臨床研究法に伴う新システムの構築および発展への示唆を得ることを目的とする。

**B. 研究方法：**日本での臨床試験の結果に関する登録項目を検討する。データの可用性、情報の透明性などで世界的な水準を十分に満たし、かつ既存の臨床試験登録におけるデータ形式（CDISC、WHO の定めるデータ形式 DTD 等）とも齟齬がないように、登録項目、データ形式などについて検討する。

### C. 研究結果

#### 1. 日本の結果公開に関する項目

日本での臨床試験の結果に関する登録項目を検討し、データの可用性、情報の透明性などで世界的な水準を十分に満たし、かつ既存の臨床試験登録におけるデータ形式（CDISC、WHO の定

めるデータ形式 DTD 等）とも齟齬がないように、登録項目、データ形式などを検討したところ、国内 3 機関において現状では JAPIC 以外の機関において臨床試験結果の登録という項目が明記されているものは存在しなかった。

ただし、UMIN、JMACCT とともに、まず試験を登録し結果が出た時点で各登録フォームを更新することにより、結果の反映及び公開を行うシステムとなっている。

**1) UMIN (University hospital Medical Information Network; 大学病院医療情報ネットワーク研究センター)**

UMIN では臨床試験登録の手順及びデータの定義が簡潔にまとめられており（手順：<http://www.umin.ac.jp/ctr/HowToUse.htm>、定義：[http://www.umin.ac.jp/ctr/UMIN-CTR\\_Yougo.htm](http://www.umin.ac.jp/ctr/UMIN-CTR_Yougo.htm)）、それぞれ日本語及び英語での表記がなされている。試験結果に関するデータ定義の詳細は資料 1、2 の通りである。

**2) JAPIC**

JAPIC について臨床試験登録に必要な関係資料は、JAPIC の「iyakuSearch」(<http://database.japic.or.jp>) の「臨床試験情報」からダウンロードするシステムとなっている。登録のフローに関しては PDF にて公開されている ([http://www.clinicaltrials.jp/cti/JapicCTI-registration\\_flow\\_20130415.pdf](http://www.clinicaltrials.jp/cti/JapicCTI-registration_flow_20130415.pdf))。試験結果に関する項目の詳細は資料 3 の通りである。

### 3) JMACCT(医師会)

JMACCT に関しても UMIN と同じようにデータ及びシステム更新により臨床試験の結果情報が公開される。臨床試験登録システムの利用と試験情報登録に関わる各資料については HP よりダウンロードできるようになっている (<https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmacctr/>)。

他の機関と異なるのは、使用できる文字についての規定がある点である（上記の HP リンク先に記載あり）。試験結果に関する項目の詳細は資料 4 の通りである。

### D. 考察

国内 3 機関では、現状、国内における臨床試験の結果登録の項目における統一性は希薄であると同時に、その定義にも差が認められた。

それぞれの機関で定義や詳細は異なるが、ある程度の共通項としては参加フロー、結果のアウトカム、有害事象の登録が挙げられる。日本の臨床試験機関に関してはスポンサーの入力や倫理規

定欄が海外と比較して少なくなっている。日本の場合、有害事象は PMDA が扱っているため、スポンサー、倫理規程が強化されれば WHO や CONSORT 声明の規定に近い形となるものと考えられる。

### E. 結論

国内 3 機関では、現状、国内における臨床試験の結果登録の項目における統一性は希薄であると同時に、その定義にも差が認められた。

### F. 健康危険情報

なし

### G. 研究発表

#### 1. 論文発表

特になし

#### 2. 学会発表

特になし

### H. 知的財産権の出願・登録状況

(予定を含む。)

#### 1. 特許取得

特になし

#### 2. 実用新案登録

特になし

#### 3. その他

特になし

資料 1 UMIN

進捗・結果等

分類	フィールド名	必須	公開	フィールド型	サイズ (Byte)	説明
試験進捗状況	Recruitment status/ 試験進捗状況	必須	○	選択	-	定義：参加者登録や試験の進行状況 選択肢：開始前、一般募集中、限定募集中、参加者募集中断、参加者募集終了-試験継続中、主たる結果の公表済み、試験中止、試験終了 ノート：一般募集中は（参加医療機関受診により、基準を満たせば被験者となる）限定募集中は（参加医療機関受診中の患者が、基準を満たす場合に被験者になれる）※旧選択肢の[参加者募集中/Recruiting]を選択されていた場合には、再選択が必要。再選択されるまでは、[参加者募集中]が表示される。 試験終了について、 1.プロトコルに試験終了時点について記載があればその時点とする。 2.プロトコルに試験終了時点について記載が無ければ、UMIN CTRとしては試験終了時点を下記と規定する。 2-1.単施設臨床試験の場合データ固定後、IRBに試験終了報告がなされた日 2-2.多施設臨床試験の場合試験中央事務局がデータ固定後に全施設でIRBに試験終了報告がなされたことを確認後 試験終了宣言した日（各施設の試験終了日は異なるため）
	Date of protocol fixation/ プロトコル確定日	必須	○	日付	-	定義：プロトコルが確定した日付。
	Anticipated trial start date/ 登録・組み入れ開始（予定）日	必須	○	日付	-	定義：最初の参加者の登録・組み入れ開始予定日。最初の参加者が登録された後は、実際に最初の組み入れが行われた日付。 ノート：試験の登録時は、予定の日付を記載し、実際に登録が行われた後、必要に応じてデータを更新してください。
	Last follow-up date/ フォロー終了（予定）日	-	○	日付	-	定義：最後の参加者の最終観察予定日。最後の参加者の観察が終了した後は、実際に観察が終了した日付。 ノート：試験の登録時は、予定の日付を記載し、実際に観察が終了した後、必要に応じてデータを更新してください。

	Date of closure to data entry/ 入力終了（予定）日	-	○	日付	-	定義：試験データの入力終了予定日。データ入力が終了した後は、実際に最後の入力を実施された日付。 ノート：試験の登録時は空欄でもかまいませんが、試験の進捗状況が「試験中止」「試験終了」になった段階では記載が必要です。また、実際に入力が終了した後、必要に応じてデータを更新してください。
	Date trial data considered complete/ 試験終了データ固定（予定）日	-	○	日付	-	定義：試験データの固定予定日。データが確定した後は、実際にデータが確定した日付。 ノート：試験の登録時は空欄でもかまいませんが、試験の進捗状況が「試験中止」「試験終了」になった段階では記載が必要です。また、実際にデータ固定した後、必要に応じてデータを更新してください。
	Date analysis concluded/ 解析終了（予定）日	-	○	日付	-	定義：解析が終了し、結論を得る予定日。解析が終了した後は、実際に解析が終了した日付。 ノート：試験の登録時は空欄でもかまいませんが、試験の進捗状況が「試験中止」「試験終了」になった段階では記載が必要です。また、実際に解析が終了した後、必要に応じてデータを更新してください。
関連情報	URL releasing protocol/ プロトコル掲載URL	-	○	テキスト	100	定義：プロトコルが一般に公開され、閲覧できるURL。 ノート：この欄では、「http://」で始まる文字列を受け付けます。閲覧画面では、URLをクリックすることにより直接当該ページに移動することができます。一般に公開されていない場合は、入力しないで下さい。また、商業的広告を主な目的とするサイトは入力しないで下さい。
	Publication of results/ 試験結果の公開状況	必須	○	選択	-	定義：本試験の結果の公開状況 選択肢：未公表、公表されている ノート：結果の公開先の種類（論文、学会発表、HPへの掲載 など）は問いません。
	URL releasing results/ 結果掲載URL	-	○	テキスト	100	定義：結果が一般に公開され、閲覧できるURL。 ノート：結果の公開先の種類（論文、学会発表、HPへの掲載 など）は問いません。この欄では、「http://」で始まる文字列を受け付けます。閲覧画面では、URLをクリックすることにより直接当該ページに移動することができます。
	Results 主な結果	-	○	テキスト	2000	定義：主要な結果の記述 ノート：試験実施者の判断で自由に記述してください。なお、学会発表をされている場合は、発表した大会名を記載することをお勧めします。
	Other related information	-	○	テキスト	2000	定義：関連する情報を自由に記載できる欄。 ノート：入力欄が設定されておらず、入力できていないが、重要な情報がある場合には、入力をお願いします。「継続・拡大投与」試験の場合は、こちらに本試験の情報(UMIN試験IDなど)をご記載ください。観察研究の場合は、この欄に研究デザイン（コホート研究、症例対照研究など）、対象者の募集方法（XX年XX月-XX月に当施設を受診した患者で選択基準に合致した全員、など）、測定する項目等を可能な範囲でご記載ください。とくに、対象者の募集方法、募集を行った期間については観察研究では重要になりますので、できるだけご記載ください。
	その他関連情報	-	○	テキスト	2000	

▲ [上に戻る](#)

資料2 UMIN

#	大項目	小項目	データ定義（日本語）	データ定義（英語）	データ形式
1	関連情報	試験結果の公開状況	本試験の結果の公開状況	Open status of the results of this study	選択式
2		結果掲載 URL	結果が一般に公開され、閲覧できる URL	URL that results are publicly available and can be viewed.	記述、ハイパーリンク
3		主な結果	主要な結果の記述	Description of key results	記述
4		その他の関連情報	関連する情報を自由に記載できる	A column where you can freely describe relevant informations.	自由記載

資料3 JAPIC

#	項目	データ定義（日本語）	データ定義（英語）	データ形式
1	登録時期	IFPMA の共同声明に準拠し、いずれかの国で承認、販売されてから原則 1 年以内に登録。	Compliant with the IFPMA joint statement Registered within one year in principle since it was approved and sold in any country.	年月日
2	試験名	試験の名称	Name of study	記述
3	試験薬剤名	試験薬剤名(商品名、成分の一般名、治験名・治験番号)を記入。	Fill in the name of the test drug (product name, general name of ingredient, trial name・trial number).	記述
4	対象疾患名	試験の対象となった疾患(症状)名を具体的に記入	Specify the name of the disease (symptom) to be tested concretely	記述
5	薬効分類	既承認のものについては、薬効分類名、同コード(日本標準商品分類名及び番号)を記入。 未承認のものについては、対象疾患名に相当する薬効分類名及び JAPIC の責任で記入。	For those that have already been approved, enter the name of the drug classification, the same code (Japanese standard product category name and number). For unapproved ones, enter the medicinal-substance classification name corresponding to the target disease name and responsibility of JAPIC.	薬効分類コード
6	機関名	本システムに登録した試験実施者(会社名・機関名)を記入	Fill in the test practitioner (company name / institution name) registered in this system	社名、機関名
7	JAPIC-ID	本システムの臨床試験情報(試験の概要)に登録されている場合は、JAPIC-ID(JapicCTI-No.) を記入	If it is registered in the clinical trial information (outline of the examination) of this system, fill in JAPIC-ID (Japic CTI-No.)	JAPIC-ID
8	関連 ID	Clinicaltrials.gov など他の機関への登録がある場合、その名称と ID を記入	If there is registration to other agencies like Clinicaltrials.gov, enter their name and ID	他機関の ID
9	試験結果の概要(リンク情報)	試験結果の概要を「ICH E3」 <sup>a)</sup> 総括報告書ガイドラインの要約フォーマットに従って記載し、臨床試験結果登録票に添付。 電子メールで提出する場合にはその PDF を添付。	An outline of the test result is described according to the summary format of "ICH E 3" summary report guidelines, Attached to registration form for clinical trial results. If submitted by e-mail, attach that PDF.	記述、添付ファイル

a) ICH E3 の要約フォーマット記載項目

治験依頼者名、有効成分名、治験の標題、治験責任医師名、治験実施施設、公表文献（引用文献）、治験期間（年数、最初の患者の組入れ日、最後の患者の完了日）、開発のフェーズ、目的、治験方法、患者数（計画時及び解析時）、診断及び主要な組入れ基準、被験薬（用量及び投与方法、ロット番号）、治療期間、対照治療（用量及び投与方法、ロット番号）、評価基準（有効性、安全性）、統計手法、要約結論（有効性の結果、安全性の結果、結論）、報告書の日付。

（以上、日本製薬工業協会医薬品評価委員会「臨床試験の登録・結果公開に関する実施要領」2005 年より。

<http://www.jpma.or.jp/about/basis/rinsyo/pdf/rinsyou.pdf>

## 資料4 JMACCT(医師会)

#	大項目	小項目	データ定義（日本語）	データ定義（英語）	データ形式
1	試験結果の公開	試験結果の公開状況	試験結果の公開状況	Are the results published?	選択式
2		治験の全般的デザイン及び計画 - 記述	治験の全般的デザイン及び計画 - 記述	Overall study design – description	記述
3		有効性の結論	有効性の結論	Efficacy conclusions	記述
4		安全性の結論	安全性の結論	Safety conclusions	記述
5		考察と全般的結論	考察と全般的結論	Discussion and overall conclusions	記述
6		結果の開示先	結果の開示先	Results links	記述



## 国立病院医療情報ネットワーク（UMIN）を含む国内外における 試験結果公開システムの技術的水準および課題の検討

研究分担者 岡田 昌史, 木内 貴弘<sup>1)</sup>

1) 東京大学医学部附属病院 大学病院医療情報ネットワークセンター

### 研究要旨

**目的：**UMIN 臨床試験登録における試験結果公開の現状をまとめ、今後電子的表現の国際的な標準規格として検討されている CDISC CTR2 プロジェクトについても UMIN で提供されている試験結果個別症例データ公開システム UMIN-ICDR における対応可能性を検討した。

**方法：**UMIN 臨床試験登録については最新の結果公開項目の状況を整理してまとめた。CDISC CTR2 プロジェクトについてはチームの代表者に連絡し、現時点の最新の資料の提供を受けて、情報をまとめた。次に、UMIN-ICDR で CTR2 を用いたデータを格納する際の問題点を検討した。

**結果：**UMIN 臨床試験登録の結果公開項目についてはシステム開設当初から導入されており、一定の結果が入力されているものの、必須の項目とはされていないために、試験が終了していても結果登録がなされていない事例も相当数あることがわかった。また、CDISC CTR2 プロジェクトは臨床試験登録のみならず、臨床試験のプロトコル文書の標準化を見据えて行われており、実用性の高い標準規格となると考えられた。

### A. 研究目的

臨床試験の結果公開は、臨床試験登録と密接に関係している。臨床試験登録の目的の一つに、出版バイアスをなくすために、実施された臨床試験の全ての結果に報告を求めるといふことがあるためである。

東京大学医学部附属病院 大学病院医療情報ネットワークセンター(UMIN センター)は、2005 年から臨床試験登録システム UMIN-CTR を運用しているが、運用開始当初より、試験結果を記載するための項目が含まれている。また、2013 年からは試験結果の個別症例情報を共有するための機能である UMIN 症例データリポジトリ(UMIN-ICDR)も運用している。

一方、臨床試験の計画段階から結果報告、そして医薬品承認申請までの全ての過程においてデータの相互交換性を向上させるための国際標準規格として、Clinical Data

Interchange Standards Consortium (CDISC)による標準規格群(以下、CDISC 標準とよぶ)がある。CDISC 標準には、臨床試

験登録のためのデータ標準規格として、Clinical Trial Registry XML(CTR-XML)が定められている。

しかし、CTR-XML の最新版(バージョン 1.0)においては、臨床試験登録に必要な情報の規格化はされているものの、臨床試験結果公開に関する規格化はまだなされていない。CDISC では結果公開の規格化を CTR2 プロジェクトと呼称し、CTR-XML をベースとて、より適用範囲を拡大した規格として策定することを計画しているとのことであった。

本研究では、UMIN 臨床試験登録における試験結果公開の現状をまとめ、今後電子的表現の国際的な標準規格として検討されている CDISC CTR2 プロジェクトについても UMIN で提供されている試験結果個別症例データ公開システム UMIN-ICDR における対応可能性を検討した。

### B. 研究方法

UMIN-CTR の結果公開関連項目、ならびに UMIN-ICDR については、現状で動作してい

る最新バージョンの機能、および格納されているデータの概要を集計してまとめた。

CDISC CTR2 の最新情報については、プロジェクトチームの代表者に連絡し、現時点の最新の資料の提供を受けて、情報をまとめた。次に、UMIN-ICDR を運営している立場から、CTR2 を用いたデータを格納する際の具体的な問題点を検討し、現状の UMIN-ICDR の機能のみでサポートされる部分と、システムバージョンアップを実施することによりサポートされる機能にどのようなものがあるかを検討した。

## C. 研究結果

### 1. UMIN-CTR における試験結果開示の状況

UMIN-CTR には、臨床試験登録の趣旨をふまえて、開設当初より試験の結果情報として「結果掲載 URL/URL releasing results」「主な結果/Results」の2項目が設けられている。これらは任意のテキスト（日本語文字で 1000 文字まで）を記載できる欄であり、記載事項については登録者に任せられている。また、開設当初から現在に至るまで、研究の進捗状況に関わらず、必須項目とはしていない。また、試験結果自体ではなく、その公表状況を記載する必須項目として、「試験結果の公開状況/Publication of results」の項目があり、「未公表」「中間解析等の途中公開」「最終結果が公表されている」の3つの選択肢から選択される。このほか、「試験進捗状況/Recruitment status」の項目も必須であり、この中には「主たる結果の公表済み」の選択肢が存在する。

試験結果自体を記載する欄への情報登録件数については、平成 29 年度末の時点で、UMIN-CTR 総登録件数 31420 件のうち、「主な結果」もしくは「結果掲載 URL」のどちらかに何らかの記載がある件数は 3266 件（10.4%）であった。この 3266 件について、「試験結果の公開状況」および「試験の進捗状況」をクロス集計したものを表 1 に示す（表 1 結果情報の記載がある臨床試験登録の進捗状況と結果公表状況）。

逆に、結果の記載がない件数は 28154 件（89.6%）であった。これについても同様のクロス集計を行なった結果を表 2 に示す（表 2 結

果情報の記載がない臨床試験登録の進捗状況と結果公表状況）。

### 2. UMIN-ICDR における個別症例データ開示の状況

UMIN 症例データリポジトリサービス（以下 ICDR）は、平成 25 年 11 月 28 日に開設された UMIN のサービスであり、臨床研究症例の匿名化したオリジナルのデータセットを研究者自身の同意のもとに UMIN サーバに保管し、UMIN がその内容を第三者（当該の研究者以外のすべての研究者）に担保するものである。UMIN ID を持っていればどこに所属する研究者であっても、研究の資金源がどの組織であっても、データの登録が可能であるというオープンなリポジトリとしては世界初の実運用サービスである。

ICDR の役割としては、

1. 臨床研究データの散逸防止と長期保存
  2. 臨床研究データの質の担保
  3. 論文で公表された以外の新たな知見を得るための統計解析のリソース
- ということがある。

ICDR は、UMIN 臨床試験登録システム（以下 UMIN-CTR）の拡張機能として開発されており、症例データを登録するためには UMIN-CTR に研究が登録されている必要がある。ICDR には研究計画書、研究症例データ仕様書、研究症例データファイルの3種類のファイルを1ファイルずつ添付することが可能である。図 1 に登録画面例を示す（図 1 ICDR のアップロード画面（試用系））。添付されたファイルのダウンロードは登録者からの明示的な許可が必要であり、ダウンロードする者の UMIN ID を登録者があらかじめ指定する。ダウンロードされた履歴も取得が可能である。一方、アクセス制限をつけないで一般に公開する機能は備えていない。また、一度アップロードされたファイルは登録者であっても削除することは不可能であるが、ダウンロード可能であるのは最新のファイルのみである。したがって、誤ったファイルをアップロードした場合は、正しいファイルをさらにアップロードすることで修正が可能であるが、アップロードされたファイルの実体およ



び更新履歴は全て ICDR システムに残るため、データを誰にも知られずに差し替えるといったことは不可能である。

ICDR に「研究計画書」ファイルがアップロードされている件数は平成 29 年度末の時点で 368 件、「研究症例データ仕様書」は 111 件、「研究症例データ」は 167 件が登録されている。

### 3. CDISC CTR2 プロジェクトの最新状況

プロジェクトの最新状況については、添付資料「CDISC CTR2 プロジェクトについて」としてまとめた。

### 4. UMIN-ICDR における CTR2 サポートの検討

UMIN では、2013 年より臨床研究の結果公開を目的として、症例データリポジトリ (Individual Case Data Repository, 以後 UMIN-ICDR とよぶ) を運用している。このシステムは、UMIN 臨床試験登録システム (UMIN-CTR) の登録研究 1 つ 1 つに紐付けされた形で、研究計画書、研究症例データ仕様書、研究症例データファイルの 3 種類のファイルを添付することができる仕組みである。添付されたファイルは UMIN ID 単位で閲覧許可を出すことができ、ダウンロードされた履歴も取得が可能である (ただし、アクセス制限のない一般公開は不可能)。また、一度アップロードされたファイルは削除することが不可能であり (ただし、ダウンロード可能なのは最新版のみであるので、誤りの訂正は可能)、更新履歴は全て残ることから、現在の臨床試験結果公開の趣旨にも合致した先進的な仕組みであると考えている。

UMIN-ICDR の概要と現状については、参考資料「UMIN 症例データリポジトリ (UMIN Individual Case Data Repository, 通称 ICDR) について」として別添したので参照されたい。

UMIN-ICDR においては、アップロードできるファイル形式に制限は設けていないので、CTR2 の規格が XML 文書である CDISC Operational Data Model (ODM) を基礎としたものとなる状況を考慮すると、公開される結果ファイルも XML 文書となるため、アッ

プロードすることに技術的障害はないと考えられた。

## D. 考察

UMIN-CTR における結果開示項目には、全登録件数のうち 1 割近く (3266 件) に登録があり、有用に活用されていると考えられる。しかし、「試験結果の公開状況」で「未公表」とされている件数が 1193 件あり、また「試験の進捗状況」で「主たる結果の公表済み」とされている件数は 316 件にとどまっており、乖離が認められる。未公表のまま臨床試験登録に結果を記載する例はそれほど多くないと考えられるので、臨床試験登録のデータの更新が不完全となっている可能性がある。

一方で、結果開示項目に全く記載がないし試験登録は 28154 件あるが、このうち「試験結果の公開状況」が「最終結果が公表されている」とされているものが 1285 件ある。また、「試験進捗状況」で見ると「試験終了」となっているものが 7897 件、「主たる結果の公表済み」と登録されているものが 407 件ある。このうち、進捗状況が「主たる結果の公表済み」で公開状況が「未公表」のように矛盾するものは明白な登録誤りであるが、この件数は 110 件と多くはない。試験が終了したり、主たる結果が公表されているにもかかわらず、臨床試験登録にはそれを記載していない事例が非常に多いことは大きな問題であるといえよう。

UMIN-ICDR については、個別症例データの共有という比較的新しい試みであるが、それなりに利用数があり、今後も活用されていくことが期待できる。現在の ICDR は、アップロードするファイルの形式に制限はなく、どのような形式のファイルでも登録できるという利点があるが、その一方で複数の試験結果を統合しようとしても容易ではないという問題があるので、臨床試験の結果の再現性、再利用性の向上を目指すためには、CDISC CTR2 のような標準ファイル形式を積極的にサポートしていくことが必要と考えられる。

CDISC CTR2 プロジェクトにおいて特徴的な点は、欧州を中心に進められている統一的な医薬品コード標準である Identification of

Medical Products(IDMP)を CDISC 標準に準拠したデータ内で用いるための戦略を含んでいる点、ならびに CDISC の基幹部分をなすデータ転送標準規格である ODM の未リリースであるが最新のバージョンであるバージョン 2.0 をベースにしている点、そして、臨床試験登録と結果情報だけではなく、臨床試験プロトコル文書そのものを記述する標準規格プロジェクト(CDISC Protocol Representation Implementation Model, PRIME)との連携を当初から想定している点である。

IDMP の導入は CDISC 全体の根幹をなす統制用語に影響を与えるが、その対応が CTR2 プロジェクトにおいて実施されていることは、CTR2 の CDISC 内での重要性の高さをあらわしているものと考えられる。また、ODM 2.0 をベースにした規格となることから、既存の医薬品関連ソフトウェアベンダーが比較的容易に CTR2 対応機能を実装できるよう配慮されているといえよう。

ODM 2.0 は未だ正式リリースされていないが、CDISC Interchange 等での進捗状況の発表をみる限り、臨床試験の各実施段階で発生するデータ間でのトレーサビリティを記述する機能が強化されたものとなる見込みである。PRIME と CTR2 が連携する際も ODM を介した連携となると考えれば、臨床試験のプロトコル策定から臨床試験登録、CRF 作成、データ収集、固定、解析、そして結果の報告までが全て ODM 文書ファイルで接続されるという将来像が描かれているものと考えられる。

その一方で、臨床試験結果の情報自体を具体的に表現する ODM 内の XML タグ構造等については未だ決定されておらず、実装準備にも入れない状態である。まずは ODM 2.0 のリリースが先行する見込みであるため、実際に CTR2 による臨床試験結果公開の準備を行う際には、ODM 2.0 の動向を注視していく必要があると考えられる。

次に、UMIN-IDCR における CTR2 への対応については、前述の通り現状ではどのような形式のファイルでもアップロードが可能であるため、CTR2 の情報を含む ODM 文書も現状で対応は可能である。臨床試験結果の一

般公開が単にデータのトレーサビリティ向上を目的とするのであれば現状でもその機能は果たすと考えられるが、一歩進んで具体的な結果情報の利活用、すなわち実際に得られたサンプルサイズの情報や被験者特性テーブルの内容、報告されたアウトカム値などを結果から抽出して活用しようとする場合には、自由な形式でアップロードされたファイルは利用できない。臨床試験登録の目的の1つである、類似した臨床試験の重複実施の抑制、過去の研究結果を活用した研究計画の質の向上といったことを推進するためには、CTR2 の ODM 文書がアップロードされた場合にはその内容をシステムが読んで、臨床試験登録システムと同様に項目分けを行った上で、活用しやすい形で提示するような改良が実施されることが望ましいと考えられる。

## E. 結論

UMIN-CTR における結果公開関連項目は活用されているが、記載すべき情報があるにもかかわらず登録がされていないと思われる試験が多数存在することが示唆されるので、個別症例データの共有機能をもつ

UMIN-ICDR の活用と共に、今後も結果登録の促進を行っていくことが必要であると考えられる。CDISC CTR2 プロジェクトはまだ策定途上段階ではあるが、臨床試験の計画段階から結果報告までを包括的に取り扱う将来構想の一部として位置付けられている。その一方で、IDMP への対応が当初から組み込まれており、非常に広く使われている ODM を基礎技術として用いているため、CDISC の他の標準と同様に、実用性が高い標準規格となることが期待される。

## F. 研究発表

なし

## G. 知的財産権の出願・登録状況

なし

表 1 結果情報の記載がある臨床試験登録の進捗状況と結果公表状況

進捗状況	最終結果が公表されている	中間解析等の途中公開	未公表	合計
一般募集中	0	70	127	197
開始前	0	4	52	56
限定募集中	0	49	85	134
参加者募集終了 - 試験継続中	0	116	91	207
参加者募集中断	0	3	4	7
試験終了	1261	232	654	2147
試験中止	20	9	163	192
主たる結果の公表済み	261	44	11	316
未記載	0	4	6	10
合計	1542	531	1193	3266

表 2 結果情報の記載がない臨床試験登録の進捗状況と結果公表状況

進捗状況	最終結果が公表されている	中間解析等の途中公開	未公表	合計
一般募集中	0	179	5850	6029
開始前	0	34	4084	4118
限定募集中	0	135	3993	4128
参加者募集終了 - 試験継続中	0	255	3037	3292
参加者募集中断	0	12	125	137
試験終了	1104	537	6256	7897
試験中止	5	18	1293	1316
主たる結果の公表済み	176	121	110	407
未記載	0	21	809	830
合計	1285	1312	25557	28154

研究計画書		
登録日時	登録者	ファイル名
ファイル名/File name	<input type="button" value="ファイルを選択"/> <input type="button" value="ファイル未選択"/>	
<input type="button" value="ファイルアップロード"/>		
研究症例データ仕様書		
登録日時	登録者	ファイル名
ファイル名/File name	<input type="button" value="ファイルを選択"/> <input type="button" value="ファイル未選択"/>	
<input type="button" value="ファイルアップロード"/>		
研究症例データ		
登録日時	登録者	ファイル名
ファイル名/File name	<input type="button" value="ファイルを選択"/> <input type="button" value="ファイル未選択"/>	
<input type="button" value="ファイルアップロード"/>		

図1 ICDR のアップロード画面(試用系)

# CDISC CTR2 プロジェクトについて

UMIN センター

2018年3月31日

## 目次

1	概要 .....	- 3 -
2	メリット .....	- 3 -
3	ビジネスケース .....	- 4 -
4	プロジェクトのステージ .....	- 4 -
5	資金 .....	- 5 -
6	関連情報 .....	- 5 -
6.1	CDISC ODM.....	- 5 -
6.2	CDISC CTR-XML.....	- 14 -
	添付資料 .....	- 20 -
	CDISC CTR-XML 仕様 .....	- 21 -
	CDISC ODM-XML 仕様 .....	- 23 -
	CDISC SDM-XML 仕様 .....	- 25 -

## 図表目次

図 1	CDISC ODM メタデータ部分の例 .....	- 6 -
図 2	CDISC ODM クリニカルデータ部分の例 .....	- 6 -
図 3	型有りの場合のデータのセット例(正/誤)と型無しの場合のデータのセット例比較 .....	- 7 -
図 4	CDISC ODM の要素一覧 .....	- 11 -
図 5	利用可能な属性の一覧 .....	- 14 -
図 6	CDISC CTR-XML の利用イメージ .....	- 14 -
図 7	CDISC CTR-XML の構造 .....	- 15 -
図 8	CDISC CTR-XML の構造 (続き) .....	- 16 -
図 9	CDISC CTR-XML の構造 (続き) .....	- 17 -
図 10	トライアルサマリの記述のための情報 .....	- 18 -
図 11	CDISC CTR-XML の参照スキーマ .....	- 18 -

## 1 概要

CDISC は 2016 年に、一つのスーパーセットで臨床試験情報を複数のレジストリ（ClinicalTrials.gov、EMA(EudraCT)、WHO のプライマリークリニカルレジストリ）に登録可能な CDISC CTR-XML をリリースした。

CTR2 は、この CDISC CTR-XML に結果概要、新プロトコル標準、CDISC 標準群の ISO IDMP 標準を拡張し充実させる。

CDISC SHARE と協調しより情報表現力が高く、上流から下流までのデータセットの作成を助け、規制開示をより効率的にサポートする。

CTR2 プロジェクトは実装と、上流から下流までの調和のとれた標準に焦点を当てている。

## 2 メリット

- 試験とその結果に対する効率的で低コストの情報開示
- より効率的で迅速な、試験設計と試験計画のセットアップ
- 広範囲なグローバル規制当局へのコンプライアンスと IDMP（Identification of Medical Products）の調和（まず欧州、その後世界へ）
- 拡張された情報と粒度による統計分析の改善
- 上流から下流までのデータ整合性を助ける。非臨床から市販後調査、試験開始から試験終了まで
- より効率的な EDC セットアップ
- スポンサーの IDMP や MDR（Metadata Repository）実装プロジェクトに不可欠な基盤
- 規制当局のレビューと申請の助けになる
- SHARE による CTR&R とプロトコル標準の公開（TransCelerate CPT とのマージの可能性）
- ODM 2.0 による外部ボキャブラリの簡単なマッピング



### 3 ビジネスケース

承認された化合物あたりのコストは25億5,800万ドルで、平均13億9,500万ドルのコスト負担と1億1,630万ドルの時間コストになる。CDISC標準群を試験開始から終了まで採用することで平均12年間の試験サイクルを平均2年短縮できると考えられている。CDISC標準群を拡張することにより試験開始から終了まで、プロトコルから結果までのCTR2のサポートによりそれらの時間とリソースの節約を増加させ、スポンサーの臨床及び非臨床のビジネス分析の可能性を改善する。

試験登録に関して複数のサイトから複数の試験レジストリへの登録を調整するコストを削減することが期待できる。このような標準はデータ入力や人為的なミスの繰り返しを減らし、試験デザインとプロトコルの再利用性をサポートする。最初からCDISC標準群を使用することでプロトコルのセットアップを簡素化することができ、ひいてはスポンサーが重要な収集データに注力することができるようになる。試験セットアップ時の被験者参加時間の70から90%を節約することができる。

昨今 Clinicaltrials.gov は CTR2 のような標準のサポートを表明した。

CDISC は EMA、FDA、Clinicaltrials.gov と協力して彼らの要求に完全に対応し、また結果を自動的に集計するアルゴリズムを構築するつもりである。

EMA IDMP タイムラインのおかげでこのプロジェクトはヨーロッパの規制要件適合を完全に満たすようになる。ステージ1の資金調達が基本的に合意されたらこのプロジェクトはこれらの規制上の要件を満たし、新しい EMA CT データベースと Clinicaltrials.gov の基準を満たす標準が作られる。

### 4 プロジェクトのステージ

CTR2 は二つのパートに分けられる。

パート1：IDMP のハーモナイゼーション

ISO の IDMP 標準は 2018 年後半に EMA で義務付けられる。FDA はすでに SPL(構造化製品ラベル)のターミノロジーを使用している。PMDA はこれらに準拠することを検討している。これらの標準は治験薬の情報に更に詳細な情報を追加し、より堅牢なデータセットを作成し、スポンサーの MDR 及び EDC 内のより良い分析を推進する。パート1ではギャップ分析と CDISC 標準群規格の更新に関する推奨事項を含む。これらは CDISC のスタンダードチームとステークホルダーグループが密接に協力して定義される。

## パート2：CDISC CTR&R と CDISC プロトコル

ステージ2では二つの新しい標準が作られる。CTR&R (Clinical Trial Registration & Results) と CDISC プロトコルである。

それとパート1からの IDMP エレメント。

両方の標準もパート1の IDMP エレメントにマッピングさる。これらの新しい標準は SHARE を通じて公開される。これらのプロジェクトは最終的にスポンサー、規制当局及びレジストリのメリットを多数生み出す。

- ステージ0： スコープとプランニング
- ステージ1： アイデンティフィケーションとバイオメディカルコンセプトのモデリング
- ステージ2： ドラフトの標準開発
- ステージ3a： インターナルレビュー
- ステージ3b： パブリックレビュー
- ステージ3c： パブリックリリース
- ステージ4： 保守

## 5 資金

CDISC の重要な戦略目標を達成して CDISC メンバーに大きな価値をもたらすために CDISC は本プロジェクトの資金調達を支援するために、ステークホルダーからの資金調達を募集していた。

CDISC は CTR2 ステークホルダーとスポンサーのためのステアリンググループを作っていた。必要な資金はステージ1で\$150kである。スポンサーが10社の場合は\$15k、6社の場合は\$25kとなる。

## 6 関連情報

### 6.1 CDISC ODM

CDISC ODM (Operational Data Model) は CDISC によって開発されたデータの交換とアーカイブを支援する標準である。執筆時の最新バージョンはバージョン 1.3.2 で 2013 年 12 月 1 日付けの公開である。

CDISC ODM は大きくメタデータ部分とクリニカルデータ部分に分けられる。他にも要素はあるが大きな部分を占めるのはこの2つの部分になる。

CDISC ODM のメタデータの部分はクリニカルデータ部分のデータの型等データに対する情報を定義しておりこの部分をコンピュータで処理等実施することにより自動でクリニカルデータ部分のデータの整合性や妥当性の担保に利用することが可能になる。CDISC ODM は CDISC が規格の策定・保守している他の標準規格のベースになっている。CDISC ODM は CDISC CTR-XML、CDISC Define-XML、CDISC DataSet-XML、CDISC SDM-XML などの標準のベースになっている。CDISC ODM は現在バージョン 2.0 が開発中である。

CDISC ODM のメタデータの部分が CDISC Define-XML、CDISC SDM-XML、CDISC CTR-XML のベースになっており CDISC ODM のクリニカルデータ部分が CDISC DataSet-XML のベースになっている。

CDISC ODM は CDISC の他の標準と異なり主にデータの物理的交換・保存等を目的としておりその用途から臨床データの交換に使われるケースも見受けられる。EDC からの臨床データ交換や電子カルテからの臨床データ交換などである。

日本では UMIN センターが臨床研究用 EDC をサービスしておりこの EDC にて各医療機関から臨床データの電子的送付に対応しておりその臨床データは CDISC ODM 形式となっている。UMIN センターは試験実装や実際の臨床試験での医療機関からの臨床データの電子的送付に関して CDISC 実装の経験を多く持ちサービスを継続中である。

```
<Study OID="S.001">
  <MetaDataVersion OID="MDV.001" Name="First Metadata version">
    <ItemGroupDef OID="IG.001" Name="First ItemGroup">
      <ItemRef ItemOID="I.001" Mandatory="Yes" OrderNumber="1"/>
    </ItemGroupDef>
  </MetaDataVersion>
</Study>
```

図 1 CDISC ODM メタデータ部分の例

```
<ClinicalData StudyOID="P2006-101" MetadataVersionOID="101.01">
  <SubjectData SubjectKey="1000" TransactionType="Insert">
    <StudyEventData StudyEventOID="Screen">
      <FormData FormOID="DEMOG">
        <ItemGroupData ItemGroupOID="DM">
          <ItemDataString ItemOID="USUBJID">101-001-001</ItemDataString>
          <ItemDataString ItemOID="SEX">F</ItemDataString>
        </ItemGroupData>
      </FormData>
    </StudyEventData>
  </SubjectData>
</ClinicalData>
```

図 2 CDISC ODM クリニカルデータ部分の例

CDISC ODM はデータの要素定義において型あり (Typed) と型無し (Un-typed) の両方の形式が可能である。旧仕様では型無しのみであり新しいバージョンでは型有りとなった。ただし CDISC ODM の仕様では旧仕様も含まれている。

バージョン 1.2 が型無しでバージョン 1.3 以降が型有りとなっている。  
 上記図 2 は最新の型有りの例である。

```
[Typed (version 1.3) Data Transmission]

Valid data    <ItemDataInteger ItemOID="ID.INT">1</ItemDataInteger>
Invalid data  <ItemDataAny ItemOID="ID.INT">text</ItemDataAny>           correct
Invalid data  <ItemDataInteger ItemOID="ID.INT">text</ItemDataInteger>   incorrect

[Un-typed (version 1.2) Data Transmission]

Valid data    <ItemData ItemOID="ID.INT" Value="1"/>
Invalid data  <ItemData ItemOID="ID.INT" Value="text"/>
```

図 3 型有りの場合のデータのセット例(正/誤)と型無しの場合のデータのセット例比較

上記 図 3 はデータ型有無とそのデータのセットの例である。  
 また CDISC ODM1.3.2 で利用可能な要素の一覧を以降に示す。

Address
AdminData
Alias
Annotation
Annotations
ArchiveLayout
ArchiveLayoutRef
Association
AuditRecord
AuditRecords
BasicDefinitions
Certificate
CheckValue

City
ClinicalData
CodeList
CodeListItem
CodeListRef
Comment
ConditionDef
Country
DateTimeStamp
Decode
Description
DisplayName
Email
EnumeratedItem
ErrorMessage
ExternalCodeList
ExternalQuestion
Fax
FirstName
Flag
FlagType
FlagValue
FormalExpression
FormData
FormDef
FormRef
FullName
GlobalVariables
Include
InvestigatorRef
ItemData
ItemDataAny

ItemDataBase64Binary
ItemDataBase64Float
ItemDataBoolean
ItemDataDate
ItemDataDatetime
ItemDataDouble
ItemDataDurationDatetime
ItemDataFloat
ItemDataHexBinary
ItemDataHexFloat
ItemDataIncompleteDate
ItemDataIncompleteDatetime
ItemDataIncompleteTime
ItemDataInteger
ItemDataIntervalDatetime
ItemDataPartialDate
ItemDataPartialDatetime
ItemDataPartialTime
ItemDataString
ItemDataTime
ItemDataURI
ItemDef
ItemGroupData
ItemGroupDef
ItemGroupRef
ItemRef
KeySet
LastName
LegalReason
Location
LocationRef
LoginName

Meaning
MeasurementUnit
MeasurementUnitRef
MetaDataVersion
MetaDataVersionRef
MethodDef
ODM
Organization
OtherText
Pager
Phone
Picture
PostalCode
Presentation
Protocol
ProtocolName
Question
RangeCheck
ReasonForChange
ReferenceData
Signature
SignatureDef
SignatureRef
Signatures
SiteRef
SourceID
StateProv
StreetName
Study
StudyDescription
StudyEventData
StudyEventDef

StudyEventRef
StudyName
SubjectData
Symbol
TranslatedText
User
UserRef
ds:Signature

図 4 CDISC ODM の要素一覧

以降に CDISC ODM1.3.2 で資料可能な属性を示す。

属性	要素
AnnotationID	ItemData[TYPE]
Archival	ODM
ArchiveLayoutOID	ArchiveLayoutRef
AsOfDateTime	ODM
AuditRecordID	ItemData[TYPE]
Category	StudyEventDef
Code	ExternalQuestion
CodedValue	CodeListItem
CodeListOID	CodeListRef, FlagType, FlagValue
CollectionExceptionConditionOID	StudyEventRef, FormRef, ItemGroupRef, ItemRef
Comment	ItemDef, ItemGroupDef
Comparator	RangeCheck
Context	Alias, FormalExpression
CreationDateTime	ODM
DataType	CodeList, ItemDef
Description	MetaDataVersion, ODM
Dictionary	ExternalCodeList, ExternalQuestion
Domain	ItemGroupDef
EditPoint	AuditRecord
EffectiveDate	MetaDataVersionRef
FileOID	ODM



FileType	ODM
FormOID	FormData, FormRef, KeySet
FormRepeatKey	FormData, KeySet
Granularity	ODM
ID	ODM, AuditRecord, Signature, Annotation
Id	ds:Signature
ImageType	Picture
IsNull	ItemData
IsReferenceData	ItemGroupDef
ItemGroupOID	ItemGroupData, ItemGroupRef, KeySet
ItemGroupRepeatKey	ItemGroupData, KeySet
ItemOID	ItemData, ItemRef, KeySet
KeySequence	ItemRef
Length	ItemDef
LocationOID	LocationRef, SiteRef
LocationType	Location
Mandatory	FormRef, ItemGroupRef, ItemRef, StudyEventRef
MeasurementUnitOID	MeasurementUnitRef, ItemData[TYPE]
MetaDataVersionOID	Association, ClinicalData, Include, MetaDataVersionRef, ReferenceData
MethodOID	ItemRef
Methodology	SignatureDef
Name	Alias, CodeList, ConditionDef, FormDef, ItemDef, ItemGroupDef, Location, MeasurementUnit, MetaDataVersion, MethodDef, StudyEventDef
ODMVersion	ODM
OID	ArchiveLayout, CodeList, ConditionDef, FormDef, ItemDef, ItemGroupDef, Location, MeasurementUnit, MetaDataVersion, MethodDef, Presentation, SignatureDef, Study, StudyEventDef, User
OrderNumber	FormRef, ItemGroupRef, ItemRef, StudyEventRef, CodeListItem, EnumeratedItem
Origin	ItemDef, ItemGroupDef

Originator	ODM
PdfFileName	ArchiveLayout
PictureFileName	Picture
PresentationOID	ArchiveLayout
PriorFileOID	ODM
Purpose	ItemGroupDef
Rank	CodeListItem, EnumeratedItem
ref	ExternalCodelist
Repeating	FormDef, ItemGroupDef, StudyEventDef
Role	ItemGroupDef, ItemRef
RoleCodeListOID	ItemRef
SASDatasetName	ItemGroupDef
SASFieldName	ItemDef
SASFormatName	CodeList
SDSVarName	ItemDef
SeqNum	Annotation
SignatureID	ItemData[TYPE]
SignatureOID	SignatureRef
SignificantDigits	ItemDef
SoftHard	RangeCheck
SourceSystem	ODM
SourceSystemVersion	ODM
SponsorOrSite	Comment
StudyEventOID	KeySet, StudyEventData, StudyEventRef
StudyEventRepeatKey	KeySet, StudyEventData
StudyOID	AdminData, Association, ClinicalData, Include, KeySet, MetadataVersionRef, ReferenceData
SubjectKey	KeySet, SubjectData
TransactionType	Annotation, FormData, ItemData, ItemGroupData, StudyEventData, SubjectData
Type	StudyEventDef, MethodDef
UsedImputationMethod	AuditRecord
UserOID	InvestigatorRef, UserRef
UserType	User
Value	ItemData

Version	ExternalCodeList, ExternalQuestion
xml:lang	Presentation, TranslatedText
xmlns	ds:Signature

図 5 利用可能な属性の一覧

以上のように CDISC ODM を利用して臨床データの受け渡しを行う場合は仕様に許された要素と属性を正しく理解してデータの整合性を保ちながらシステム実装することが求められる。

## 6.2 CDISC CTR-XML

CDISC CTR-XML は CDISC によりその標準が開発されバージョン 1.0 が 2016 年 3 月 28 日に公開された。CDISC CTR-XML は CDISC ODM をベースに開発され WHO、EMA EudraCT、US ClinicalTrials.gov に試験情報を登録する仕様である。

CDISC CTR-XML はこれらのレジストリへのデータハーモナイズが考えられており一つのデータで何度も使えることを考えられている。

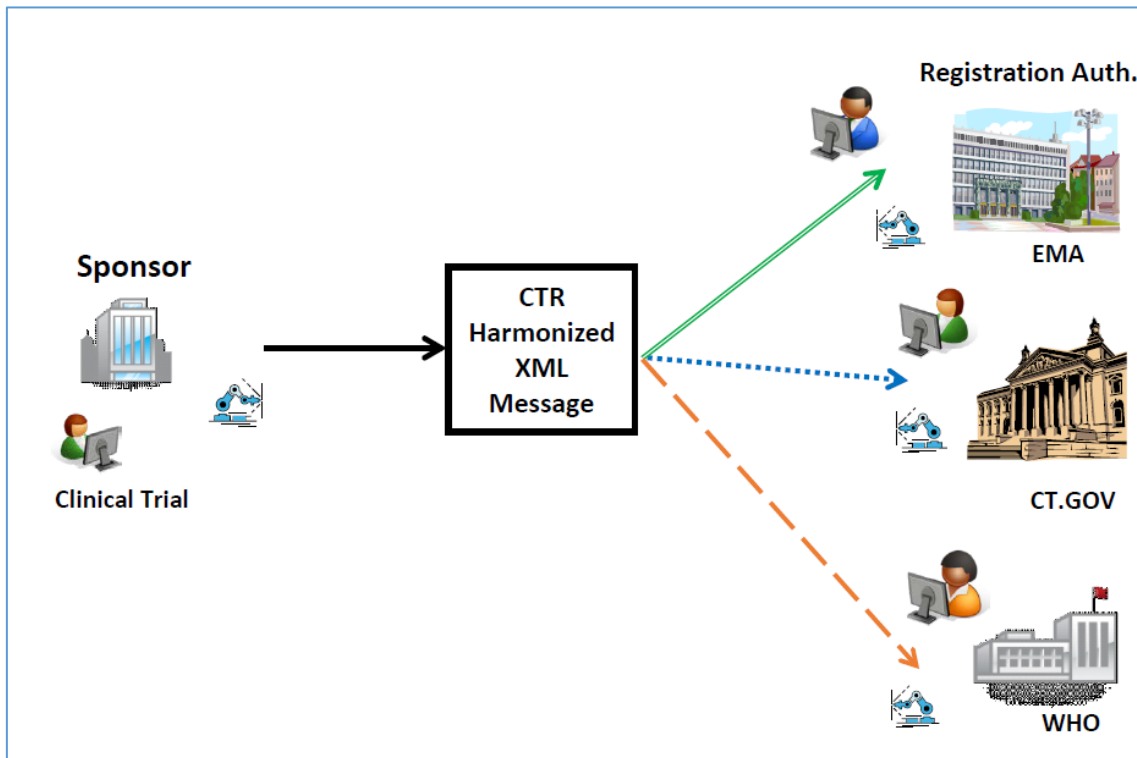


図 6 CDISC CTR-XML の利用イメージ

CDISC CTR-XML は WHO の 20 個の TRDS (Trial Registration Data Set) を基本としている。

CDISC CTR-XML は同じ CDISC が標準の開発・保守をしている CDISC ODM をベースとして開発及び ODM の拡張を実施することにより標準が策定されている。特に CDISC ODM のメタデータ部分を利用している。また同じく CDISC が標準を策定・保守している CDISC SDM-XML (Study Design Model in XML) もベースにしている。CDISC SDM-XML はバージョン 1.0 が公開されている。ちなみに CDISC CTR-XML も CDISC SDM-XML も CDISC ODM をベースにその標準が開発されているが、CDISC CTR-XML は CDISC ODM バージョン 1.3.2 をベースとし CDISC SDM-XML は CDISC ODM のバージョン 1.3.1 がベースになっている。

以下に CDISC CTR-XML の構造を示す。

赤字についてはオリジナルの CDISC ODM や CDISC SDM-XML 要素に CDISC CTR-XML 用の属性が追加されていることを示している。

```
ODM
  Study
    GlobalVariables [1..1]
      StudyName [1..1]
        ctr:StudyNameLocalizations [0..1]
          TranslatedText [1..n]
      StudyDescription [1..1]
      ProtocolName [1..1]
      ctr:Authorities [0..1]
        ctr:FDAInformation [0..1]
        ctr:InstitutionalReviewBoardEthicsCommittee [0..n]
          ctr:OrganizationRef [1..1]
          ctr:OversightAuthority [0..n]
          ctr:OrganizationRef [1..1]
      ctr:PublicTitle [0..1]
```

図 7 CDISC CTR-XML の構造

```

    TranslatedText [1..n]
  ctr:StudyDetailedDescription [0..1]
    TranslatedText [1..n]
  ctr:Registrations [0..1]
    ctr:Registration [1..n]
  ctr:FundingSupport [0..1]
    ctr:Sponsor [0..n]
  ctr:Contacts [0..1]
    ctr>Contact [0..n]
BasicDefinitions [0..1]
...
MetaDataVersion [0..n]
  Protocol [0..1]
    Description [0..1]
    StudyEventRef [0..n]
    Alias [0..n]
    sdm:Summary [1..1]
      Description [0..1]
      sdm:Parameter [0..n]
        sdm:Value [1..n]
    sdm:InclusionExclusionCriteria [1..1]
      Description [0..1]
      sdm:InclusionCriteria [0..1]
        sdm:Criterion [1..n]
      sdm:ExclusionCriteria [0..1]
        sdm:Criterion [1..n]
    sdm:Structure [1..1]
      sdm:Epoch [0..n]
      sdm:Arm [0..n]
      sdm:CellDef [0..n]
        sdm:ArmAssociation [0..1]
          sdm:ArmRef [1..n]
          ctr:BlindedRole [0..n]
          sdm:SegmentRef [0..n]
        sdm:SegmentDef [0..n]
          sdm:ActivityRef [0..n]
        sdm:ActivityDef [0..n]
          FormRef [0..n]
    StudyEventDef [0..n]
    FormDef [0..n]
      ItemGroupRef [0..n]
    ItemGroupDef [0..n]
      ItemRef [0..n]
    ItemDef [0..n]
      CodeListRef [0..1]
    CodeList [0..n]
      EnumeratedItem [0..n]
      CodeListItem [0..n]
        Decode [1..1]
      ExternalCodeList [1..1]
    ConditionDef [0..n]
  ctr:Recruitment [0..1]
    ctr:RecruitmentCountries [1..1]
      ctr:RecruitmentCountry [1..n]
    ctr:RecruitmentStatus [1..n]
      ctr:RecruitmentStatusOther [0..1]
  ctr:Interventions [0..1]
    ctr:Intervention [1..n]
      Description [0..1]
      ctr:InterventionOtherName [0..n]
  ctr:OutcomeMeasures [0..1]
    ctr:OutcomeMeasure [1..n]
      ctr:Timepoint [1..n]

```

図 7 CDISC CTR-XML の構造 (続き)

```

    FormalExpression [0..n]
    ctr:StudyStartDate [0..1]
    ctr:StudyEndDate [0..1]
    ctr:StudyEndDatePrimaryOutcome [0..1]
    ct:medicinal product information [0..1]
    | ct:medicinal_product [0..n]
    ct:population_information [0..1]
AdminData [0..1]
  User [0..n]
  | FullName [0..1]
  | Organization [0..1]
  | Email [0..1]
  | ctr:Role [0..n]
  | ctr:OrganizationRef [0..n]
  | ctr:Qualifications [0..1]
ctr:Organization [0..n]
  Address [0..n]
  | StreetName [0..n]
  | City [0..1]
  | StateProv [0..1]
  | Country [0..1]
  | PostalCode [0..1]
  | OtherText [0..1]
  Email [0..n]
  Fax [0..n]
  Certificate [0..n]
  ctr:Role [0..n]
ctr:CentralTechnicalFacilities [0..1]
  ctr:CentralTechnicalFacility [1..n]
  | ctr:OrganizationRef [1..1]
  | ctr:Contact [0..1]
  | ctr:CentralTechnicalFacilityDuty [0..n]
ctr:Networks [0..1]
  ctr:Network [1..n]
  | ctr:OrganizationRef [1..1]
  | ctr:Contact [0..1]
  | ctr:NetworkActivities [1..1]
ctr:SubContractors [0..1]
  ctr:SubContractor [1..n]
  | ctr:OrganizationRef [1..1]
  | ctr:Contact [1..1]
  | ctr:SubContractorDuty [0..n]

```

図 7 CDISC CTR-XML の構造 (続き)

CDISC CTR-XML においてはトライアルサマリの情報を記述する場合において CDISC の統制用語中の TSPARMCD と TSPARM 及びそれらのコードリストの利用を義務付けている。

ShortName	Term	Comments / Remarks
OBJPRIM	Trial Primary Objective	
OBJSEC	Trial Secondary Objective	
OUTMSEXP	Exploratory Outcome Measure	
OUTMSPRI	Primary Outcome Measure	
OUTMSSEC	Secondary Outcome Measure	
PLANSUB	Planned Number of Subjects	
RANDOM	Trial is Randomized	
STYPE	Study Type	
INTMODEL	Intervention Model	
TPHASE	Trial Phase	
INDIC	Trial Indication	
TCNTRL	Control Type	
TTYPE	Trial Type	
TITLE	Trial Title	
HLTSUBJI	Healthy Subject Indicator	
INTTYPE	Intervention Type	
THERAREA	Therapeutic Area	Term requested to CDISC-CT team

図 8 トライアルサマリの記述のための情報

また CDISC CTR-XML においては XML スキーマとして下記を参照している。

CTR-XML schema	schema/ctr1-0-0.xsd
	schema/ctr-extension.xsd
	schema/ctr-ns.xsd
	schema/ctr-sdm-extension.xsd
EudraCT-XML schema	schema/eudract-ns.xsd
	schema/eudract-ns.xsd
	schema/EudraCT_v10/medicinal_product_information.xsd schema/EudraCT_v10/population_information.xsd
SDM-XML schema	schema/sdm1-0-0.xsd
	schema/sdm-ns.xsd
	schema/sdm-ns-common.xsd
	schema/sdm-ns-structure.xsd
	schema/sdm-ns-timing.xsd schema/sdm-ns-workflow.xsd
ODM 1-3-2 schema	schema/cdisc-odm-1.3.2/ODM1-3-2.xsd
	schema/cdisc-odm-1.3.2/ODM1-3-2-foundation.xsd
	schema/cdisc-odm-1.3.2/xlink.xsd
	schema/cdisc-odm-1.3.2/xml.xsd
	schema/cdisc-odm-1.3.2/xmlsig-core-schema.xsd

図 9 CDISC CTR-XML の参照スキーマ

CDISC CTR-XML においては単一の情報を複数の方法で記述可能なことが仕様上許容されているところがある。利用者の利便性や他のシステムとの連携性を鑑み状況に応じて使い分けることなどの利用が可能である。

どちらにしても仕様を正しく理解してシステム実装することが求められる。

UMIN センターは JPRN の一つであり試験情報登録システムである UMIN-CTR を運営している。UMIN センターはいち早く CDISC CTR-XML による試験情報の登録に対応し CDISC CTR-XML を利用した試験情報定義データを Web よりアップロードし取り込んで情報登録が可能になっている。

取り込まれた試験情報は UMIN-CTR 内の論理チェックルーチンに処理されその定義情報の正確性が検証される。論理チェックルーチン処理後エラーが発見された場合はそのエラーを修正して本登録を実施する。



添付資料

CDISC CTR-XML 仕様



## CDISC CTR-XML Specification Version 1.0

Prepared by the  
**XML Technologies Team**

### Notes to Readers

- This is the specification for Version 1.0 of the CDISC CTR-XML standard.
- CTR-XML is based on ODM v1.3.2.1

### Revision History

Date	Version	Summary of Changes
2016-03-28	1.0 Provisional	Updates to reflect public comments.
2015-10-28	1.0 Draft	Version 1.0 for public comment.

See [Appendix D](#) for Representations and Warranties, Limitations of Liability, and Disclaimers.

CDISC ODM-XML 仕様

Clinical Data Interchange Standards Consortium

# Specification for the Operational Data Model (ODM)

Version 1.3.2 Production  
Source File: ODM1-3-2.htm  
Last Update: 2013-12-01

Copyright © CDISC 2013 This document is the property of CDISC Inc. This document can be freely used and reproduced without limitation as long as (1) it is not modified, and (2) the entire copyright statement is included in the copy. Modifications to this document can only be made with written consent of CDISC Inc.

An official copy of this document is available on the ODM page of the CDISC website <http://www.cdisc.org/odm>.

Please see [Section 7.0](#) for Review Period; Licensing Obligations, Representations and Warranties; Limitations of Liability, and Disclaimers.

This document is the specification for ODM version 1.3.2. A list of additions and changes since ODM version 1.3.0 is provided in [Section 2.5 Changes from Previous Versions](#). All changes are backward compatible -- ODM XML files conforming to the ODM version 1.2, 1.2.1, 1.3.0 or 1.3.1 schema will also conform to the ODM version 1.3.2 schema.

## Table of Contents

- [1 Introduction \(non-normative\)](#)
- [2 General Issues](#)
  - [2.1 Content of the Standard](#)
  - [2.2 File Conformity](#)
  - [2.3 System Conformity](#)
  - [2.4 Vendor Extensions](#)
  - [2.5 Changes from Previous Versions \(non-normative\)](#)
    - [2.5.1 OrderNumber on CodeListItem and EnumeratedItem](#)
  - [2.6 Entities and Elements](#)
  - [2.7 Clinical Data Keys](#)
  - [2.8 Single Files and Collections](#)
  - [2.9 Transactions](#)
  - [2.10 Element Ordering](#)
  - [2.11 Element Identifiers and References](#)
  - [2.12 Syntax Notation](#)
  - [2.13 Data Formats](#)
  - [2.14 ItemData\[TYPE\] Elements](#)
- [3 General Elements](#)
  - [3.1 ODM](#)
    - [3.1.1 Study](#)
      - [3.1.1.1 GlobalVariables](#)
        - [3.1.1.1.1 StudyName](#)
        - [3.1.1.1.2 StudyDescription](#)
        - [3.1.1.1.3 ProtocolName](#)
      - [3.1.1.2 BasicDefinitions](#)
        - [3.1.1.2.1 MeasurementUnit](#)
          - [3.1.1.2.1.1 Symbol](#)
            - [3.1.1.2.1.1.1 TranslatedText](#)

CDISC SDM-XML 仕様



**Document Title**    **CDISC Study Design Model in XML (SDM-XML)**  
**Release**            **Version 1.0**  
**Copyright**         ©2008-2011, Clinical Data Interchange Standards Consortium, Inc.  
                             All rights reserved.





## 臨床試験の結果記載の標準書式に関する研究

研究分担者 佐藤 元, 湯川 慶子, 藤井 仁<sup>1)</sup>

1) 国立保健医療科学院 政策技術評価研究部

### 研究要旨

**目的：**CONSORT 声明とは、臨床試験報告に関する統合基準を示したものであり、ランダム化比較試験の報告の質を改善するために世界中で広く用いられているものである。CONSORT 声明の内容を整理し、米国の ClinicalTrials.gov と欧州の EU-CTR、日本の臨床試験登録 3 機関で定められている結果報告の内容とを比較することで、各機関がどの程度の報告を必要としているのか検討することを本研究の目的とする。

**方法：**まず CONSORT 声明の内容を確認の上、WHO、ClinicalTrials.gov、EU-CTR との比較を行う。次に、UMIN-CTR と JMACCTCTR、JapicCTI について同様の比較検討を行った。この比較結果より、結果記載の標準書式を作成し、CONSORT 声明と WHO で設定されている項目を含んでいるか検討を行った。

**結果：**結果については、どのレジストリも CONSORT 声明に準じた書式を策定していたが、考察に係る内容を項目として設定していたのは、ClinicalTrials.gov の制限事項と警告、JMACCTCTR の考察と全般的結論の 2 つであった。作成された結果記載の標準書式は、CONSORT 声明と WHO の要求を満たすものであった。

### 研究協力者

土井 麻理子

(国立保健医療科学院 政策技術評価研究部)

### A.研究目的

CONSORT 声明とは、臨床試験報告に関する統合基準を示したものであり、ランダム化比較試験 (RCT) の報告の質を改善するために世界中で広く用いられているものである。RCT は、適切に計画され、実施され、報告されたときには、ヘルスケアの介入の評価におけるゴールド・スタンダードである。しかし、方法論的な厳格性を欠いた場合、RCT はバイアスの入った結果を生み出すことになる。多くの臨床試験報告の著者は、重要な情報について明確に記述することを怠るため、試験を適切に評価することが困難となる。適切に報告された臨床試験が少ないことから、CONSORT 声明が開発された (付表 1)。CONSORT 声明は、1996 年に開

発されて以来、改訂を重ねており、2010 年に改訂されたものが最新版となっている。

CONSORT2010 声明は、25 項目のチェックリストとフローチャートからなる (付表 1)。

CONSORT 声明は報告について述べるものであるが、間接的に試験計画と実施に影響するものである。従って CONSORT 声明に沿った報告を求めることは、研究者が試験計画を立てる際にも有用になると考えられる。

CONSORT は多くの支援を集めてきており、1996 年には医学雑誌国際編集者委員会 (International Committee of Medical Journal Editors:ICMJE) により CONSORT 声明が承認された (付表 2)。加えて、世界中で様々な言語で発行されている 400 以上の雑誌が CONSORT 声明を明示的に支持している。これは、CONSORT を使用した場合、報告の質が改善されることを意味している。

臨床研究新法が平成 30 年 4 月より施行されることになり、日本における臨床試験の実施がより厳格に規則化されることになった。従って、RCT の結果報告のスタンダードである CONSORT 声明の内容を整理し、米国の ClinicalTrials.gov と欧州の EU-CTR で定められている結果報告の内容とを比較することで、各機関がどの程度の報告を必要としているのか検討することを本研究の目的とする。

## B. 研究方法

CONSORT 声明の内容を確認し、臨床試験結果の報告に関連すると考えられる項目を抽出する。

次に、標準フォーマット策定のために、CONSORT 声明と各国のレジストリの登録内容を比較することで、適切な報告フォーマットを検討する。比較する対象には、WHO ICTRP、ClinicalTrials.gov、EU-CTR、UMIN-CTR、JMACCTCTR、JapicCTI の 6 つとする。

(倫理面への配慮)本研究は個人のデータを扱っていないことから倫理面への配慮は必要ない。

## C. 研究結果

### 1. CONSORT 声明の内容確認

CONSORT 声明の中で、結果 (Results) に係る内容には、次のような項目が挙げられていた。

#### 結果 (Results)

参加者の流れ (フローチャート)  
募集 (募集期間と追跡機関、試験終了・中止理由)  
ベースラインデータ

解析された人数

アウトカムと推定 (各群の主要アウトカム、副次アウトカムの結果、エフェクトサイズとその信頼区間)

補助的解析 (サブグループ解析、調整解析など)

害 (すべての重要な害または意図しない効果)

### 考察(Discussion)

限界 (可能性のあるバイアス、精度低下の原因、解析の多重性の原因)

一般化可能性 (外的妥当性、適用性)

解釈 (有益性と有害性のバランス)

## 2. 各国レジストリとの比較

### (1) WHO との比較

WHO はレジストリではないため、比較対象として挙げることは不適切かもしれないが、各国から報告される内容がどの程度満たされる内容となっているのかを把握するため対象に含めた。WHO の収集項目が CONSORT 声明をどの程度満たしているか検討した。(「付表 3 CONSORT 声明と世界 3 機関の比較」)

WHO での報告内容ではすべてを満たす内容とはなっていないが、大部分はカバーされている内容となっている。考察の部分を追加することで CONSORT 声明を満たす報告内容となると考えられる。

### (2) ClinicalTrials.gov との比較

ClinicalTrials.gov は、米国国立公衆衛生研究所 (NIH) と米国医薬食品局 (FDA) が共同で、米国国立医学図書館 (NLM) を通じて、現在行われている治験及び臨床研究に関する情報を提供しているデータベースである。

登録内容は最も細かく定義されており CONSORT 声明を最も満たしているレジストリであることがわかる。（「付表 3 CONSORT 声明と世界 3 機関の比較」）

### (3) EU-CTR との比較

EU 加盟国に対し、一律に同じルールを適用させる臨床研究を実施するための規則として、登録が義務付けられているものである。

臨床試験の結果としては記述式の 1 項目が存在するだけで、詳細は定義されていない。

（「付表 3 CONSORT 声明と世界 3 機関の比較」） CONSORT 声明を満たすかどうかは詳細にどの程度の内容を記載するかによるため、本比較結果では満たす項目はないものとして記載している。

## 3. 日本国内レジストリとの比較

国内レジストリについても同様に比較した。（「付表 4 CONSORT 声明と国内 3 機関の比較」）

### (1) UMIN-CTR との比較

試験結果に係る項目として、試験進捗情報（試験進捗状況と試験終了日などの各日付）と関連情報（試験結果の公開状況、結果掲載 URL、主な結果など）の項目が設定されていた。この中に、CONSORT 声明の「募集」と「アウトカムと推定」に関連する項目が、項目として設定されていた。その他の安全性情報や考察については、「主な結果」欄に入力することは可能であるが、明確な記入欄は設けられていなかった。フローやベースラインデータに関する項目は設定されていなかった。

### (2) 日本医師会臨床試験登録 (JMACCTCTR) との比較

試験結果に係る項目として、試験結果の公開状況、治験の全般的デザイン及び計画・記

述、有効性の結論、安全性の結論、考察と全般的結論が設定されていた。

この中に、CONSORT 声明の「募集」と「アウトカムと推定」に関連する項目が、項目として設定されていた。有効性の結果報告だけでなく、安全性情報や考察についても、記載欄が設けられていた。フローやベースラインデータに関する項目は設定されていなかった。

### (3) JAPIC 臨床試験情報 (JapicCTI) との比較

臨床試験結果が報告された試験については、試験開始前の登録時に付与された ID (JapicCTI-) に R をつけた ID (JapicCTI-R) が付与される。

対応する試験結果に係る項目として、試験結果の概要が設定されていた。

試験結果の概要は、PDF ファイルを添付する形式となっており、PDF ファイルに盛り込む項目は、試験期間と結果の要約・結論のみの記載に留める報告書から、シノプシス（概要）としてフローやベースラインデータ、募集、アウトカムと推定に関して報告しているものまで、試験によって異なった。

## 4. 結果報告の標準フォーマット案の作成

上記の内容を考慮して検討した標準フォーマットが「付表 4. CONSORT 声明と国内 3 機関の比較」である。CONSORT 声明で定義されている項目との比較した結果では、すべての項目を満たすフォーマットとなっていた。（付表 5. CONSORT 声明と標準フォーマットの比較結果）

WHO で必要とされている項目を比較した結果においても必要な項目を満たしていた。（付表 6. WHO の結果項目と標準フォーマットの比較結果）各項目における入力データについては、細かく定義していないため研

究者により粒度があいまいになることが予想されるが、すべての項目を入力することを求めることで、一定水準の品質を確保できるのではないかと考えられる。

## 5. 結果報告の標準フォーマット案の詳細

前章で提示した標準フォーマット案で挙げた各項目について、詳細を提示する。研究者は本解説に記載されている内容を記述することを推奨する。

### (1) 抄録

読者が容易にその研究について分かるように記載する。通常用いられている語句で明確に記すこと。背景、目的、測定方法、結果、結論を記載することを推奨する。

### (2) 参加者の流れ

各群についてランダム割り付けされた人数、意図された治療を受けた人数、主要アウトカムの解析に用いられた人数をフローチャート形式で記述する。

### (3) 事前割り当ての詳細

各群において、追跡不能となった例とランダム化後に除外した例の理由を記述する。

### (4) 募集期間

参加者を募集した期間を年月日の形式で、開始日と終了日を記述する。

### (5) 追跡期間

データ収集の対象となる期間を年月日の形式で、開始日と終了日を記述する。

### (6) 終了または中止した理由

試験が終了した際は、その終了した理由をその理由に問わず記載する。計画時の中止基準に基づいて理由を記載することが望ましい。

### (7) ベースラインデータ

各参加者について試験の開始後から介入が施行されるまでに収集された人口統計学的、臨床データ及びその他のデータについて表形式で記述する。

### (8) 解析対象の人数

各群について、解析における参加者数を表形式で記載する。

### (9) 主要アウトカムの評価

各群の結果、介入の効果の推定とその精度について評価を行い記述する。

### (10) 副次アウトカムの評価

主要アウトカムと同様の内容を副次アウトカムについて記述する。

### (11) 補助的な解析結果

サブグループ解析や調整解析を含む実施した他の解析の結果を記述する。

### (12) 有害事象

すべての重要な有害事象または意図しない効果について記述する。

### (13) 制限事項

試験の限界、可能性のあるバイアスや制度定価の原因、関連する場合は解析の多重性の原因を記述する。

#### (14) 一般化可能性

試験結果の外的妥当性や適用性などについて一般的な事象として適用することが可能であるかどうか考察した内容を記述する。

#### (15) 結果の解釈

試験全体を通して、有益性や有害性を考慮して結果を総合的に評価した内容を記述する。

### D.考察

CONSORT 声明と各レジストリ (ICTRP 含む) を比較した結果、どのレジストリも、CONSORT 声明の結果に係る項目は含んでいた。しかしながら、考察に係る内容については、ClinicalTrials.gov 以外の他のレジストリでは、限界と警告を含めていなかった。これはレジストリの、患者への試験参加への機会を増やすという目的や、有害事象を含めた試験結果を広く世間に情報提供する、Publication bias を防ぐための結果の公表を考慮したものであるためと考えられた。

国外の臨床試験登録機関の登録項目には、WHO の最新データフォーマット (Ver.1.3) よりも機能的に優れており、学問的にもより望ましい形式が散見されたが、今回付表 4 で提示した登録項目にはそれらを採用せず、臨床試験法で必要な項目と WHO の最新データフォーマットを満たすことを優先した。臨床試験登録の今後の国際的動向を鑑みると、最新のデータフォーマットに準拠することが最優先されると考えたためである。なお現在 WHO は各国のプライマリレジストリ (ICTRP が認可している臨床試験登録機関) に、最新フォーマットに準拠した試験登録システムの構築を 2019 年末までに完成させるよう要請している。この要請自体に強制力は

ないが、ICMJE の取り決めによると、2019 年 1 月 1 日以降に参加者の組み入れを開始する臨床試験は、臨床試験登録機関に IPD (individual participant data) の共有に関する宣言をする必要がある。IPD の共有は WHO の最新のフォーマットに含まれている登録項目であり、これが登録できない臨床試験登録機関には、ICMJE 加盟雑誌への投稿を前提とした臨床試験が登録されなくなると考えられる。WHO の要請に応じない場合、最新の基準を満たしていない登録機関であるとみなされ、IPD の問題に類した弊害が生じると考えられる。よって、今回付表 4 に定めた登録項目は WHO の最新フォーマットへの準拠を優先させた。今後、WHO の要請などで項目が追加された場合は、登録システムの機能で対応することとした。今回構築した登録システムは登録項目を事後的に増やせる機能を有しており、今後の議論でデータのフォーマットに変化があったとしても対応が可能である。電子的様式についても、WHO のデータ定義に準拠し、データの型等については定めなかった。今回提案したフォーマットは、CONSORT 声明で提案されている項目と WHO 臨床試験登録データセットの両方の内容を包含するものとした。これは汎用性が高く、システム変更の可能性が少なくできること、変更による入力者への混乱が少ないことが利点として考えられる。一方で、学術雑誌に記載されているような考察の内容を記載することは、閲覧者を混乱させることや学術雑誌との著作権の問題等も懸念される。ClinicalTrials.gov のように、必須項目とせずに、任意入力とするなどの入力ルールを検討することが必要とも思われる。

## **E.結論**

今回提案した臨床試験の結果報告フォーマットは、CONSORT 声明で提案されている項目と WHO 臨床試験登録データセットの両方の内容を包含している様式となっていた。

## **F. 健康危険情報**

特になし

## **G. 研究発表**

### **1. 論文発表**

特になし

### **2. 学会発表**

特になし

## **H. 知的財産権の出願・登録状況**

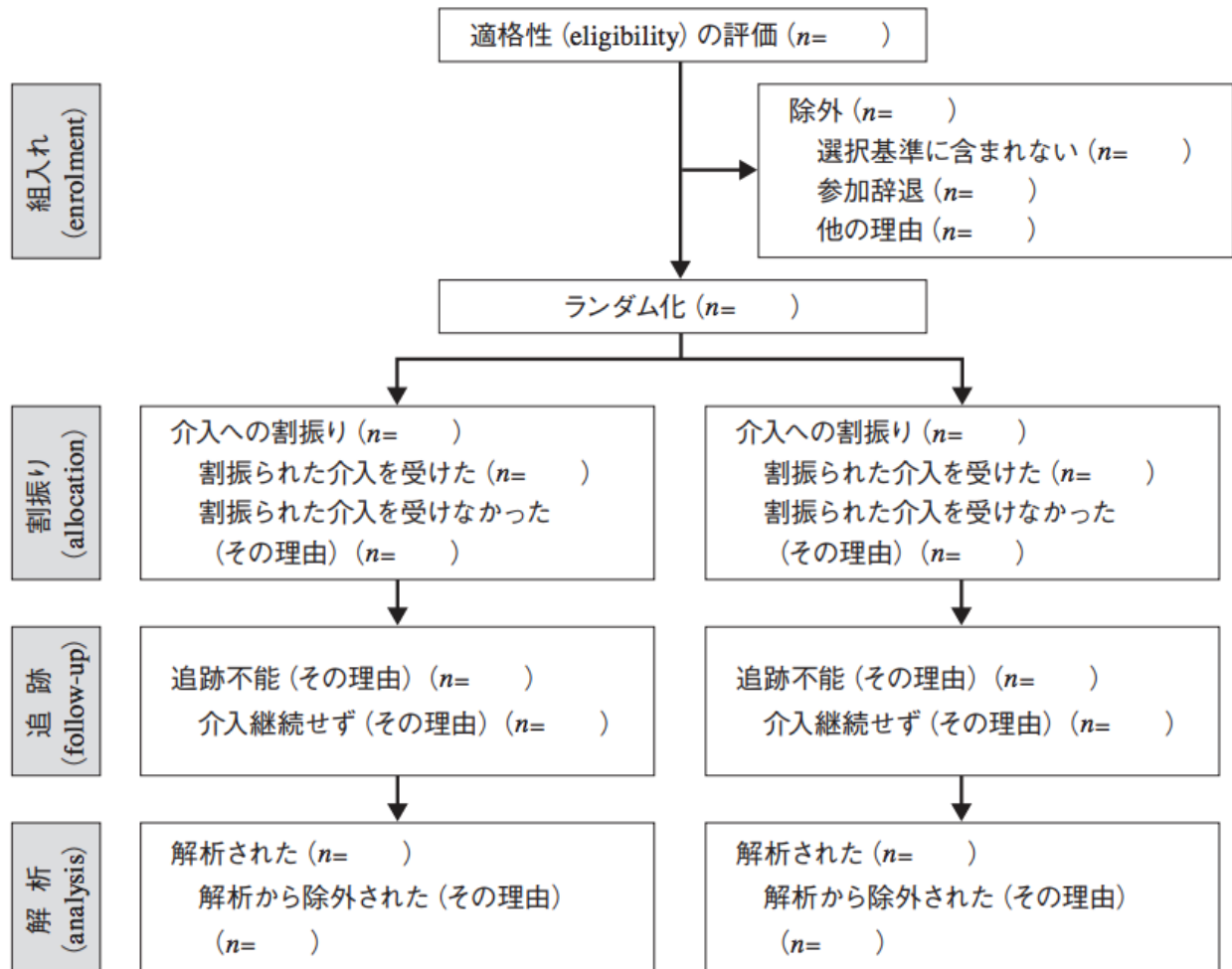
予定を含めて、特になし

付表 1. CONSORT 2010 声明のチェックリスト  
(薬理と治療 col.38 no.11 2011)

章/トピック (Section/Topic)	項目番号 (Item No)	チェックリスト項目 (Checklist Item)	報告頁 (Reported on page No)
<b>タイトル・抄録 (Title and Abstract)</b>			
	1a	タイトルにランダム化比較試験であることを記載。	
	1b	試験デザイン (trial design), 方法 (method), 結果 (result), 結論 (conclusion) の構造化抄録 (詳細は「雑誌および会議録でのランダム化試験の抄録に対する CONSORT 声明」 <sup>21, 31)</sup> を参照)。	
<b>はじめに (Introduction)</b>			
<b>背景・目的 (Background and Objective)</b>			
	2a	科学的背景と論拠 (rationale) の説明。	
	2b	特定の目的または仮説 (hypothesis)。	
<b>方法 (Method)</b>			
<b>試験デザイン (Trial Design)</b>			
	3a	試験デザインの記述 (並行群間, 要因分析など), 割付け比を含む。	
	3b	試験開始後の方法上の重要な変更 (適格基準 eligibility criteria など) とその理由。	
<b>参加者 (Participant)</b>			
	4a	参加者の適格基準 (eligibility criteria)。	
	4b	データが収集されたセッティング (setting) と場所。	
<b>介入 (Intervention)</b>			
	5	再現可能となるような詳細な各群の介入。実際にいつどのように実施されたかを含む。	
<b>アウトカム (Outcome)</b>			
	6a	事前に特定され明確に定義された主要・副次的アウトカム評価項目。いつどのように評価されたかを含む。	
	6b	試験開始後のアウトカムの変更とその理由。	
<b>症例数 (Sample size)</b>			
	7a	どのように目標症例数が決められたか。	
	7b	あてはまる場合には, 中間解析と中止基準の説明。	
<b>ランダム化 (Randomization)</b>			
<b>順番の作成 (Sequence generation)</b>			
	8a	割振り (allocation) 順番を作成 (generate) した方法。	
	8b	割振りのタイプ: 制限の詳細 (ブロック化, ブロックサイズなど)。	
<b>割振りの隠蔽機構 (Allocation concealment mechanism)</b>			
	9	ランダム割振り順番の実施に用いられた機構 (番号付き容器など), 各群の割付けが終了するまで割振り順番が隠蔽されていたかどうかの記述。	
<b>実施 (Implementation)</b>			
<b>ブラインディング (Blinding)</b>			
	10	誰が割振り順番を作成したか, 誰が参加者を組入れ (enrollment) たか, 誰が参加者を各群に割付けた (assign) か。	
	11a	ブラインド化されていた場合, 介入に割付け後, 誰がどのようにブラインドかされていたか (参加者, 介入実施者, アウトカムの評価者など)。	
	11b	関連する場合, 介入の類似性の記述。	
<b>統計学的手法 (Statistical method)</b>			
	12a	主要・副次的アウトカムの群間比較に用いられた統計学的手法。	
	12b	サブグループ解析や調整解析のような追加的解析の手法。	
<b>結果 (Results)</b>			
<b>参加者の流れ (Participant flow) (フローチャートを強く推奨)</b>			
	13a	各群について, ランダム割付けされた人数, 意図された治療を受けた人数, 主要アウトカムの解析に用いられた人数の記述。	
	13b	各群について, 追跡不能例とランダム化後の除外例を理由とともに記述。	
<b>募集 (Recruitment)</b>			
	14a	参加者の募集期間と追跡期間を特定する日付。	
	14b	試験が終了または中止した理由。	
<b>ベースライン・データ (Baseline data)</b>			
	15	各群のベースラインにおける人口統計学的 (demographic), 臨床的な特性を示す表。	
<b>解析された人数 (Number analyzed)</b>			
	16	各群について, 各解析における参加者数 (分母), 解析が元の割付け群によるものであるか。	
<b>アウトカムと推定 (Outcome and estimation)</b>			
	17a	主要・副次的アウトカムのそれぞれについて, 各群の結果, 介入のエフェクト・サイズの推定とその精度 (95% 信頼区間など)。	
	17b	2項アウトカムについては, 絶対エフェクト・サイズと相対エフェクト・サイズの両方を記載することが推奨される。	
<b>補助的解析 (Ancillary analysis)</b>			
	18	サブグループ解析や調整解析を含む, 実施した他の解析の結果。事前に特定された解析と探索的解析を区別する。	
<b>害 (Harm)</b>			
	19	各群のすべての重要な害 (harm) または意図しない効果 (詳細は「ランダム化試験における害のよりよい報告: CONSORT 声明の拡張」 <sup>28)</sup> を参照)。	
<b>考察 (Discussion)</b>			
<b>限界 (Limitation)</b>			
	20	試験の限界, 可能性のあるバイアスや精度低下の原因, 関連する場合は解析の多重性の原因を記載。	
<b>一般化可能 (Generalisability)</b>			
	21	試験結果の一般化可能性 (外的妥当性, 適用性)。	
<b>解釈 (Interpretation)</b>			
	22	結果の解釈, 有益性と有害性のバランス, 他の関連するエビデンス。	
<b>その他の情報 (Other information)</b>			
<b>登録 (Registration)</b>			
	23	登録番号と試験登録名。	
<b>プロトコル (Protocol)</b>			
	24	可能であれば, 完全なプロトコルの入手方法。	
<b>資金提供者 (Funding)</b>			
	25	資金提供者と他の支援者 (薬剤の供給者など), 資金提供者の役割。	

(続き)

付表 1 CONSORT 2010 声明のフローチャート (組み入れ、介入への割振り、追跡、データ解析) (薬理と治療 col. 38 no. 11 2011)





付表 2. 医学雑誌における学術研究の実施、報告、編集、および出版への推奨（2017年12月改訂版）  
（見出しのみ）

- I. 本勧告について
  - A. 本勧告の目的
  - B. 本勧告の対象者
  - C. 本勧告の沿革
- II. 著者、研究貢献者、査読者、編集者、雑誌の発行元および所有者の役割と責務
  - A. 著者と研究貢献者の役割の定義
    - 1. 著者となることの重要性
    - 2. 著者とは?
    - 3. 著者以外の研究貢献者
  - B. 著者の責務・利益相反
    - 1. 参加者
      - a. 著者
      - b. 査読者
      - c. 編集者および雑誌スタッフ
    - 2. 利益相反の報告
  - C. 投稿および査読の過程における責務
    - 1. 著者
      - a. ハゲタカジャーナル
    - 2. 雑誌
      - a. 機密保持
      - b. 適時性
      - c. 査読
      - d. 公正性
    - 3. 査読者
  - D. 雑誌の所有者と編集の自由
    - 1. 雑誌の所有者
    - 2. 編集の自由
  - E. 研究参加者の保護
- III. 医学雑誌での掲載に関わる出版および編集上の問題
  - A. 訂正、撤回、再出版、およびバージョン管理
  - B. 科学における不正行為、懸念の表明、および撤回
  - C. 著作権
  - D. 重複出版
    - 1. 多重投稿
    - 2. 多重出版と事前掲載
    - 3. 容認される二次出版
- 4. 同一のデータベースに基づいて執筆された原稿
- E. 通信欄
- F. 料金
- G. 増刊号、テーマ特集、特別シリーズ
- H. 出資、連携
- I. 電子出版
- J. 広告
- K. 学術雑誌とメディア
- L. 臨床試験
  - i. 登録
  - ii. データの共有
- IV. 原稿の作成および投稿
  - A. 医学雑誌に投稿する原稿の作成
    - 1. 一般原則
    - 2. 報告ガイドライン
    - 3. 原稿のセクション
      - a. タイトルページ
      - b. 抄録
      - c. 緒言/序論
      - d. 方法
        - i. 参加者の選定および記述
        - ii. 技術情報
        - iii. 統計
      - e. 結果
      - f. 考察
      - g. 参考文献
        - i. 一般的注意事項
        - ii. スタイルおよび形式
      - h. 表
      - i. 図版(図)
      - j. 測定単位
      - k. 略語と記号
  - B. 雑誌への原稿送付

付表 3. CONSORT 声明と世界 3 機関の比較

#	CONSORT 声明			WHO	ClinicalTrials.gov	EU-CTR
	章	トピック	記載内容	該当する項目	該当する項目	該当する項目
1-1	結果	参加者の流れ フローチャート を強く推奨	ランダム割付けされた人数、意図 された治療を受けた人数、主要ア ウトカムの解析に用いられた人 数の記述	結果の要約/参加者 のフロー	参加者フロー/*	参加者の取り扱い/ マイルストーン
1-2			追跡不能例とランダム化後の除 外例を理由とともに記述	—	参加者フロー/事前 割り当ての詳細	参加者の取り扱い/ マイルストーン/完 遂できなかった理由
2-1		募集	参加者の募集期間と追跡期間を 特定する日付	最初の組み入れ日 終了日	参加者フロー/期間	試験情報/ 結果解析情報、 試験に関する一般情 報
2-2			試験が終了または中止した理由	—	参加者フロー/完了 しなかった理由	試験情報 追加情報/中断（グロ ーバル）
3		ベースライン・デ ータ	各群のベースラインにおける人 口統計学的（demographic）、臨 床的な特性を示す表	結果の要約/ベース ラインとなる特性	ベースライン特性	ベースライン特性
4		解析された人数	各群について、各解析における参 加者数（分母）、解析が元の割付 け群によるものであるか	サンプルサイズ	アウトカム測定/解 析集団情報	エンドポイント/報 告グループ
5-1		アウトカムと推 定	主要・副次的アウトカムのそれぞ れについて、各群の結果、介入の エフェクト・サイズの推定とその 精度（95%信頼区間など）。	主要アウトカム 重要な副次アウトカ ム 結果の要約/アウト カムの評価	アウトカム測定/統 計解析	エンドポイント
5-2			2 項アウトカムについては、絶 対エフェクト・サイズと相対エフ ェクト・サイズの両方を記載する ことが推奨される。	—	—	—
6		補助的解析	サブグループ解析や調整解析を 含む、実施した他の解析の結果。 事前に特定された解析と探索的 解析を区別する。	結果の要約/アウト カムの評価	アウトカム測定/他 の統計解析	エンドポイント
7		害	各群のすべての重要な害（harm） または意図しない効果	結果の要約/有害事 象	有害事象	有害事象
8	考 察	限界	試験の限界、可能性のあるバイア スや精度低下の原因、関連する 場合は解析の多重性の原因を記 載	—	制限事項と警告	
9		一般化可能	試験結果の一般化可能性（外的妥 当性、適用性）。	—	—	—
10		解釈	結果の解釈、有益性と有害性のバ ランス、他の関連するエビデ ンス。	—	—	—

付表 4. CONSORT 声明と国内 3 機関の比較

#	CONSORT 声明			UMIN	日本医師会	JAPIC
	章	トピック	記載内容	該当する項目	該当する項目	該当する項目
1-1	結果	参加者の流れ フローチャート を強く推奨	ランダム割付けされた人数, 意図 された治療を受けた人数, 主要ア ウトカムの解析に用いられた人 数の記述	—	—	—
1-2			追跡不能例とランダム化後の除 外例を理由とともに記述	—	—	—
2-1	募集	参加者の募集期間と追跡期間を 特定する日付	試験進捗状況	試験スケジュール	(試験結果の概要)	
2-2			試験が終了または中止した理由	試験進捗状況 (試験 終了日のみ)	試験スケジュール (試験終了日のみ)	—
3	ベースライン・デ ータ	各群のベースラインにおける人 口統計学的 (demographic), 臨 床的な特性を示す表	—	—	—	
4	解析された人数	各群について, 各解析における参 加者数 (分母), 解析が元の割付 け群によるものであるか	—	—	—	
5-1	アウトカムと推 定	主要・副次的アウトカムのそれぞ れについて, 各群の結果, 介入の エフェクト・サイズの推定とその 精度 (95%信頼区間など)。	(関連情報/主な結 果)	試験結果の公開状況 /有効性の結論	(試験結果の概要)	
5-2			2 項アウトカムについては, 絶 対エフェクト・サイズと相対エフ ェクト・サイズの両方を記載する ことが推奨される。	—	—	—
6	補助的解析	サブグループ解析や調整解析を 含む, 実施した他の解析の結果。 事前に特定された解析と探索的 解析を区別する。	—	—	—	
7	害	各群のすべての重要な害 (harm) または意図しない効果	—	試験結果の公開状況 /安全性の結論	—	
8	考 察	限界	試験の限界, 可能性のあるバイア スや精度低下の原因, 関連する 場合は解析の多重性の原因を記 載	—	—	—
9		一般化可能	試験結果の一般化可能性 (外的妥 当性, 適用性)。	—	—	—
10		解釈	結果の解釈, 有益性と有害性のバ ランス, 他の関連するエビデン ス。	—	試験結果の公開状況 /考察と全般的結論	—

付表 5. CONSORT 声明と標準フォーマットの比較結果

#	CONSORT 声明			標準 フォーマット
	章	トピック	記載内容	
1-1	結果	参加者の流れ フローチャートを強く推奨	ランダム割付けされた人数、意図された治療を受けた人数、主要アウトカムの解析に用いられた人数の記述	○
1-2			追跡不能例とランダム化後の除外例を理由とともに記述	○
2-1	募集		参加者の募集期間と追跡期間を特定する日付	○
2-2			試験が終了または中止した理由	○
3		ベースライン・データ	各群のベースラインにおける人口統計学的 (demographic)、臨床的な特性を示す表	○
4		解析された人数	各群について、各解析における参加者数 (分母)、解析が元の割付け群によるものであるか	○
5-1	アウトカムと推定		主要・副次的アウトカムのそれぞれについて、各群の結果、介入のエフェクト・サイズの推定とその精度 (95%信頼区間など)。	○
5-2			2 項アウトカムについては、絶対エフェクト・サイズと相対エフェクト・サイズの両方を記載することが推奨される。	○
6		補助的解析	サブグループ解析や調整解析を含む、実施した他の解析の結果。事前に特定された解析と探索的解析を区別する。	○
7		害	各群のすべての重要な害 (harm) または意図しない効果	○
8	考察	限界	試験の限界、可能性のあるバイアスや精度低下の原因、関連する場合は解析の多重性の原因を記載	○
9		一般化可能	試験結果の一般化可能性 (外的妥当性、適用性)。	○
10		解釈	結果の解釈、有益性と有害性のバランス、他の関連するエビデンス。	○

付表 6. WHO の結果項目と標準フォーマットの比較結果

WHO 項目		標準フォーマット
大項目	小項目	
参加者の流れ	フローチャート	○
募集	追跡期間	○
結果	ベースラインデータ	○
	アウトカムの評価	○
	有害事象	○
倫理調査	倫理審査の状況	計画時
	倫理審査の提出日	計画時
	倫理審査の連絡先	計画時
出版	投稿日	登録日
	最初の出版日	登録日
	結果の URL	URL
	プロトコルの URL	計画時
	サマリー	○
参加者データの共有	IPD の共有を計画する	計画時
	計画の説明	計画時

付表 7. 臨床研究報告における標準フォーマット案

#	標準フォーマット項目		入力形式
1	抄録	抄録	テキスト
2	参加者の流れ	参加者の流れ	フローチャート
3		事前割り当ての詳細	テキスト
4	募集	募集期間	年月日
5		追跡期間	年月日
6		終了または中止した理由	テキスト
7	ベースラインデータ	ベースラインデータ	テキスト
8	解析された人数	解析対象の人数	テキスト
9	アウトカムと推定	主要アウトカムの評価	テキスト
10		副次アウトカムの評価	テキスト
11	補助的解析	補助的な解析結果	テキスト
12	害	有害事象	テキスト
13	限界	制限事項	テキスト
14	一般化可能性	一般化可能性	テキスト
15	解釈	結果の解釈	テキスト

## 結果公開システムのインターフェイスに関する研究

研究分担者 佐藤 元, 湯川 慶子, 藤井 仁<sup>1)</sup>

1) 国立保健医療科学院 政策技術評価研究部

### 研究要旨

**目的：**結果報告の様式を公開している米国の ClinicalTrials.gov と EU の EU-CTR を用いて、臨床試験の結果内容をエンドユーザーとして検索を行い、実際の検索を行うにあたりどのような機能実装が望ましいか検討することを本研究の目的とする。

**方法：**検索を検討した内容は、検索候補表示機能、検索項目のハイライト機能、試験結果が報告されている試験の抽出の可否、類義語検索機能、And/Or 検索機能等とし、neoplasms、cancer、breast cancer、high blood pressure の 5 つの単語を用いて検討を行った。

**結果：**ClinicalTrials.gov では、検索候補表示機能、検索項目のハイライト機能、試験結果が報告されている試験の抽出の可否、類義語検索機能、And/Or 検索機能についてすべて実装されていた。EU-CTR では、試験結果が報告されている試験の抽出の可否、類義語検索機能、And/Or 検索機能についてすべて実装されていたが、検索候補表示機能と検索項目のハイライト機能は実装されていなかった。

**結論：**利用者の検索しやすさを考慮すると、臨床試験の結果公開システムにも類義語検索や And/Or 検索などの機能実装が望まれる。

### 研究協力者

土井 麻理子

（国立保健医療科学院 政策技術評価研究部）

### A. 研究目的

臨床試験の結果公開システムのデータ形式を確定したことから、さらにシステムの公開方法や web 上での機能実装について検討する必要がある。すでに結果報告の様式を公開している米国の ClinicalTrials.gov と EU の EU-CTR について検討し、どのような機能実装が望ましいか検討することを本研究の目的とする。

### B. 研究方法

本研究の調査対象機関を、米国の ClinicalTrials.gov と EU の EU-CTR を調査の対象サイトとする。

実際の ClinicalTrials.gov と EU-CTR をエンドユーザーとして臨床試験の結果内容について検索する。

検索するワードは、次のとおりとした。

neoplasms、cancer、breast cancer、high blood pressure

検索を検討した内容は、検索候補表示機能、検索項目のハイライト機能、試験結果が報告されている試験の抽出の可否、類義語検索機能、And/Or 検索機能等とする。

（倫理面への配慮）本研究は個人のデータを扱っていないことから倫理面への配慮は必要ない。

### C. 結果

#### （1）ClinicalTrials.gov での検索

検索の結果の詳細は付表 1 のとおりとする。

「noeplas」と途中まで入力すると、臓器別の検索候補が 10 件表示され、「neplasm」と誤って入力すると、修正された検索候補が 10 件表示された。「cancer」と入力すると、neoplasms と同様に臓器別の検索候補が 10 件表示された。

「noeplas」「neplasm」などの誤入力され

た用語での検索結果は、いずれも 0 件であった。「cancer」で検索すると、61222 件の試験が結果として返され、「Cancer, Breast」で検索すると、8151 件の試験が結果として返された。

試験結果を検索する場合、画面左端に表示されるフィルター機能により探すことができるようになっていた。「Cancer, Breast」のキーワードで検索し、かつ試験結果が報告されている試験は、928 件であった。結果が 1 度でも報告されている場合は検索結果の「Results First Posted」の列に日付が表示されていた。「See Search Results」をクリックすると、同義語での検索結果も確認することができた。

検索者は、デフォルトで実装されている「Country」を用いて、実施されている国を確認することができる。また、「Download」により、検索結果を保存することも可能となっていた。「Download」により、検索結果を保存することや、「Subscribe to RSS」により、検索結果の更新情報を継続的に入手することも可能となっていた。また、試験結果の検索方法はいくつか用意されていた。試験結果を見つけるための助けとして「How to Find Results of Studies」というページが用意されていた。

「high blood pressure」と検索した結果、「high blood pressure」とその類義語である「Hypertension」の両方で検索され、両方の単語がハイライト表示されていた。

検索機能については、And/Or 検索機能に加えて、Not も検索機能に実装されていた。複数の単語を入力する場合、デフォルトでは And 機能による検索となっていた。

## (2) EU-CTR での検索

検索の結果の詳細は付表 2 のとおりとする。

「neoplas」「neplasm」などの誤入力に対する検索候補の表示機能は実装されていなかった。「cancer」で検索すると、7040 件の試験が結果として返され、「Cancer, Breast」で

検索すると、1310 件の試験が結果として返された。双方とも今回の検索用語である

「cancer」「Cancer, Breast」はハイライトされていなかった。

試験結果を検索する場合は、「Advanced Search」の「Results Status」から設定することが可能となっていた。「Cancer, Breast」のキーワードで検索し、かつ試験結果が報告されている試験は、315 件であった。

試験結果が報告されている研究では、項目「Trial Results」が“View Results”と表示されていた。“View Results”をクリックすると、さらに試験結果の詳細画面に遷移した。報告されていない場合は、“(No results available)”と表示されていた。試験結果の詳細の画面は、「Summary report(s)」から、試験結果の PDF がダウンロードされる場合と、直接表示されるものの 2 つの型が存在した。直接表示されるものは、“Download PDF”により画面の PDF を作成しダウンロードする機能が実装されていた。

検索方法は、EU-CTR のホーム画面上の「How to search[pdf]」にも記載されていた。「How to search[pdf]」の説明によると、シソーラスによる類義語検索機能を実装しているとの記載があった。

「high blood pressure」と検索した結果、「high blood pressure」とその類義語である「Hypertension」の両方で検索され、両方の単語はハイライト表示されていなかった。

検索機能については、And/Or 検索機能に加えて、Not と+ (“+”の後ろにくる用語を必須とする) も検索機能に実装されていた。

## D. 考察

### ① データの登録等に必要な機能

WHO の最新のデータフォーマットでは、Health Condition や Intervention の項目において、MeSH(Medical Subject Headings)コードの入力が求められている。これに関しては入力補助機能が必要であると考えられる。例えば「cancer」と入力したときに、「neoplasms」が MeSH コードの候補として表示されるような



機能が必要であろう。

## ② データの公開、検索等に必要な機能

現在公開されている臨床研究実施計画・研究概要公開システムでは、まだデータの登録が可能な状態ではなく、情報公開、検索機能がどの程度機能しているかを確認することはできない。よって、ここでは設計段階で不足していると考えられる機能について述べる。

米国等のレジストリや現行の臨床研究情報検索ポータルサイトには、類義語検索機能が実装されており、MeSH コードや医学中央雑誌の類義語辞典などを利用して、検索語と類義語の検索結果を合わせて表示することが可能になっている。臨床研究法に対応した新しいデータベースにも、この機能は必須であると考えられる。臨床試験の情報を必要とするものが、「がん」で検索したとき、「悪性新生物」の検索結果が表示されないとすると、必要な臨床試験の情報を得られない可能性が高くなる。よって、通常データベース等よりも類義語検索の重要性は高く、この機能の実装は必要不可欠である。

また、臨床試験の情報を必要とするものは、通常ウェブのユーザよりも健康面で不安を持つものを多く含んでいると考えられる。ゆえに、通常ウェブサイトよりもそれらのユーザに配慮したサイト構成にする必要がある。具体的には、視覚障害者に配慮した配色、運動機能に障害がある利用者向けのマウスを利用しない動作環境などが考えられる。全般的にはWCAG(Web Content Accessibility Guidelines)が定める基準を満たすようにチェックされるべきであろう。加えて、検索語のハイライト機能やリンク先のオーバーレイによるプレビュー機能など、視認性を高めるための機能についても実装すべきであると考えられる。

## ③ その他（データの保存、転送など）

臨床試験登録データの二次的な解析には、検索結果を任意の形式で保存できることが好ましい。データを構造化したXML形式、ダウン

ロードするデータ量をより少なくできるCSV形式などがデータ形式の選択肢として考えられる。

データの出力は一般の利用者向けのみならず、ICTRPに向けても必要であり、そのデータ形式はWHOのデータ定義に従う必要がある。現状ではICTRP向けデータはデータフォーマット1.1に準拠した形でしか出力できない状態になっており、フォーマット1.3での出力を可能にする機能の追加が必要である。

臨床試験ポータルサイトにすでに実装されている検索項目のハイライト機能、類義語検索機能（日本語は医中誌等のDB、英語はMeSHコード等を参照）、And/Or検索機能などについては、あいまい検索などが可能になりユーザーフレンドリーであることから実装することが望ましいと考えられる。

## E. 結論

利用者の検索しやすさを考慮すると、類義語検索やAnd/Or検索などの機能実装が望まれる。

## F. 健康危険情報

特になし

## G. 研究発表

### 1. 論文発表

特になし

### 2. 学会発表

特になし

## H. 知的財産権の出願・登録状況

（予定を含む。）

### 1. 特許取得

特になし

### 2. 実用新案登録

特になし

### 3. その他

特になし

## 付表 1 ClinicalTrials.gov での検索結果

1. 「noeplas」と途中まで入力すると、臓器別の候補が 10 件表示された。

The screenshot shows the ClinicalTrials.gov homepage. The navigation bar includes the NIH logo, "U.S. National Library of Medicine", and the site name "ClinicalTrials.gov". A blue banner states: "ClinicalTrials.gov is a database of privately and publicly funded clinical studies conducted around the world." Below this, there is a section titled "Explore 272,087 research studies in all 50 states and in 203 countries." with a brief description and an "IMPORTANT" note. The main search area is titled "Find a study (all fields optional)". It contains a "Recruitment status" section with two radio buttons: "Recruiting and not yet recruiting studies" (selected) and "All studies". Below that is a "Condition or disease" section with a text input field containing "noeplas". A dropdown menu is open, showing 10 suggestions: "Neoplasms", "Neoplasm Metastasis", "Neoplasm, Breast", "Neoplasm Malignant", "Neoplasm of Lung", "Neoplasm, Prostate", "Neoplasm of Skin", "Neoplasm, Ovarian", "Neoplasm of Liver", and "Neoplasm of Bone". The suggestions are enclosed in a red box. At the bottom, there are three tabs: "Patients and Families", "Researchers", and "Study Record Managers".

2. 「neplasm」と誤って入力すると、修正候補が 10 件表示された。

The screenshot shows the ClinicalTrials.gov search results page. The navigation bar is the same as in the first screenshot. Below the banner, there is a breadcrumb "Home > Search Results" and two buttons: "Hide Search" and "Start Over". The search area is titled "Condition or disease" and "Other terms". The "Condition or disease" input field contains "neplasm". A dropdown menu is open, showing 10 suggestions: "Neoplasms", "Neoplasm, Breast", "Neoplasm Malignant", "Neoplasm of Lung", "Neoplasm, Prostate", "Neoplasm of Skin", "Neoplasm, Ovarian", "Neoplasm of Liver", "Neoplasm, Colorectal", and "Neoplasm of Stomach". The suggestions are enclosed in a red box. Below the suggestions, there is a message: "No Studies found for: neplasm". At the bottom, there is a section titled "Search Suggestions" with a link to "222 studies)".

3. 「cancer」と入力すると、neoplasmsと同様に臓器別の候補が10件表示された。

U.S. National Library of Medicine  
**ClinicalTrials.gov**

Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

ClinicalTrials.gov is a database of privately and publicly funded clinical studies conducted around the world.

Explore 272,087 research studies in all 50 states and in 203 countries.

ClinicalTrials.gov is a resource provided by the U.S. National Library of Medicine.

**IMPORTANT:** Listing a study does not mean it has been evaluated by the U.S. Federal Government. Read our [disclaimer](#) for details.

Before participating in a study, talk to your health care provider and learn about the [risks and potential benefits](#).

Find a study (all fields optional)

Recruitment status ⓘ  
 Recruiting and not yet recruiting studies  
 All studies

Condition or disease ⓘ (For example: breast cancer)  
 cancer X  
 Cancer  
 Cancer of Pancreas X  
 Cancer of Liver X  
 Cancer of Stomach X  
 Cancer of Rectum X  
 Cancer of Colon X  
 Cancer of Kidney X  
 Cancer of Esophagus X  
 Cancer of Skin X  
 Cancer, Breast X

Advanced Search  
[Studies by Topic](#) | [Studies on Map](#) | [Glossary](#)

4. 「cancer」で検索すると、61222件の試験が結果として返された。今回の検索用語である「cancer」が黄色にハイライトされている。

U.S. National Library of Medicine  
**ClinicalTrials.gov**

Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

Home > Search Results

Hide Search Start Over

Condition or disease ⓘ Other terms ⓘ  
 cancer X

Country ⓘ  
 X

Search Advanced Search

61222 Studies found for: **cancer**  
 Also searched for **Neoplasm** and **Tumor**. [See Search Details](#)

List By Topic On Map Search Details

Show Filters Download Subscribe to RSS

Showing: 1-100 of 61,222 studies 100 studies per page Show/Hide Columns

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Results First Posted	Locations
1	<input type="checkbox"/>	Recruiting	<a href="#">Rehabilitation After Breast Cancer</a>	• Breast Cancer	• Behavioral: Individually tailored nurse navigation		• Rigshospitalet Copenhagen, Denmark
2	<input type="checkbox"/>	Recruiting	<a href="#">Carboplatin +/- Nivolumab in Metastatic Triple Negative Breast Cancer</a>	• Breast Cancer	• Drug: Carboplatin • Drug: Nivolumab		• The Stamford Hospital Stamford, Connecticut, United States • Beth Israel Deaconess Medical Center Boston, Massachusetts, United States • Dana-Farber Cancer Institute Boston, Massachusetts, United States
3	<input type="checkbox"/>	Not yet recruiting	<a href="#">A Pilot Study of the Combination of Entinostat With Capecitabine in High Risk Breast Cancer After Neo-adjuvant Therapy</a>	• Metastatic Breast Cancer	• Drug: Entinostat • Drug: Capecitabine		

5. 「Cancer, Breast」で検索すると、8151件の試験が結果として返された。今回の検索用語である「Cancer, Breast」や「Breast Cancer」が黄色にハイライトされている。

The screenshot shows the ClinicalTrials.gov search interface. At the top, the NIH logo and 'U.S. National Library of Medicine' are visible, along with navigation links like 'Find Studies', 'About Studies', 'Submit Studies', 'Resources', and 'About Site'. The search bar contains 'Cancer, Breast' and 'Breast Cancer'. Below the search bar, it indicates '8151 Studies found for: Cancer, Breast' and 'Also searched for Breast Cancer, Breast Neoplasms, Neoplasm and more.' The results table shows a list of studies with columns for Row, Saved, Status, Study Title, Conditions, Interventions, Results First Posted, and Locations. The first study is highlighted, showing a status of 'Recruiting' and a study title related to 'Biomarker Study of Immune-mediated Mechanism of Action of Neoadjuvant Trastuzumab in Patients With HER2-positive Breast Cancer'.

6. 試験結果の検索方法はいくつか用意されていた。試験結果を見つけるための助けとして「How to Find Results of Studies」というページが用意されていた。下図に示されているように、試験結果が報告されている場合は、「Status」の「Has Results」の表示から見つけることができる。



## How to Find Results of Studies

### Contents

- [Overview of Studies With Results](#)
- [Find Studies With Results Posted to ClinicalTrials.gov](#)
- [Find Studies With Results Published in a Medical Journal](#)

### Overview of Studies With Results

When the results of a study have been posted on ClinicalTrials.gov, the Status column of the search results list includes the note **Has Results**:

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions
11	<input type="checkbox"/>	Completed Has Results	Efficacy Study of DiaPep277 in Newly Diagnosed Type 1 Diabetes Patients	Type 1 Diabetes	Drug: DiaPep277; Drug: Placebo

To view the study results, click on the study title to view the record. Then click on the **Study**

7. 試験結果が報告されている研究を検索する場合は、画面左端に表示されるフィルター機能により探すことができるようになっていた。

NIH U.S. National Library of Medicine  
**ClinicalTrials.gov**

Find Studies About Studies Submit Studies Resources About Site

Home Search Results

Hide Search Start Over

Condition or disease **Cancer, Breast** Other terms

Country

Search Advanced Search

8151 Studies found for: **Cancer, Breast**  
Also searched for **Breast Cancer, Breast Neoplasms, Neoplasm** and more. [See Search Details](#)

List By Topic On Map Search Details

Hide Filters

Filters

Apply Clear

Recruitment Status

Clinical Study

Not yet recruiting

Recruiting

Enrolling by invitation

Active, not recruiting

Showing: 1-100 of 8,151 studies 100 studies per page

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Results First Posted	Locations
1		Recruiting	Biomarker Study of Immune-mediated Mechanism of Action of Neoadjuvant Trastuzumab in Patients With HER2-positive Breast Cancer	Cancer, Breast	Biological: Trastuzumab IV Biological: Trastuzumab SC Biological: Pertuzumab Drug: Docetaxel		UO di Oncologia Ematologia, Azienda Ospedaliero-Universitaria di Ferrara Cona, Ferrara, Italy UOC Oncologia Medica, Azienda ULSS21 di Legnago Legnago, Verona, Italy Oncologia Medica, Ospedale

フィルター機能を用いて、試験結果が報告されている研究のみを抽出する設定は下記のとおりであった。

Hide Filters

Filters

Apply Clear

Recruitment Status +

Eligibility Criteria +

Study Type +

Study Results -

All

1  With Results

Without Results

Study Phase +

Funder Type +

2 Apply Clear

8. 「Cancer, Breast」のキーワードで検索し、かつ試験結果が報告されている試験は、928件であった。結果が1度でも報告されている場合は検索結果の「Results First Posted」の列に日付が表示されていた。

検索者は、デフォルトで実装されている「Country」を用いて、実施されている国を確認することができる。また、「Download」により、検索結果を保存することも可能となっていた。「Download」により、検索結果を保存することや、「Subscribe to RSS」により、検索結果の更新情報を継続的に入手することも可能となっていた。

928 Studies found for: **Studies With Results | cancer, breast**  
 Also searched for **Breast Neoplasms, Breast Cancer, Neoplasm** and more [See Search Details](#)

Applied Filters:  With Results

Showing: 1-100 of 928 studies | 100 studies per page

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Results First Posted	Locations
1	<input type="checkbox"/>	Completed <a href="#">Has Results</a>	<a href="#">Breast Cancer Risk Reduction: A Patient Doctor Intervention</a>	Breast Cancer	Other: BreastCARE	May 16, 2013	San Francisco General Hospital (SFGH) San Francisco, California, United States University of California, San Francisco Mt. Zion campus San Francisco, California, United States
2	<input type="checkbox"/>	Terminated <a href="#">Has Results</a>	<a href="#">Locally Advanced Breast Cancer: Individualized Treatment Based On Tumor Molecular Characteristics</a>	Breast Cancer	Radiation: Radiation Therapy (RT)	January 18, 2018	Weill Medical College of Cornell University New York, New York

「See Search Results」をクリックすると、同義語での検索結果も確認することができた。

**Terms and Synonyms Searched:**

Terms	Search Results*	Entire Database**
Synonyms		
<b>cancer, breast</b>	928 studies	8,138 studies
Breast Cancer	916 studies	7,837 studies
Breast Neoplasms	811 studies	6,421 studies
breast carcinomas	60 studies	564 studies
Breast tumor	11 studies	124 studies
cancer of the breast	11 studies	57 studies
cancer of breast	3 studies	31 studies
CARCINOMA OF BREAST	3 studies	28 studies

9. 「high blood pressure」と検索した結果、「high blood pressure」とその類義語である「Hypertension」の両方で検索され、両方の単語がハイライト表示されていた。

852 Studies found for: **Studies With Results | high blood pressure**  
 Also searched for **Hypertension** and **Elevated**. [See Search Details](#)

Applied Filters:  With Results

List By Topic On Map Search Details

Hide Filters Download Subscribe to RSS

Showing: 1-100 of 852 studies 100 studies per page Show/Hide Columns

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Results First Posted	Locations
1	<input type="checkbox"/>	Completed <a href="#">Has Results</a>	<a href="#">The Effect of Nebivolol on Endothelial Dysfunction in African Americans With Hypertension</a>	• High Blood Pressure	• Drug: Nebivolol • Drug: Metoprolol XL	December 19, 2014	• Emory University Atlanta, Georgia, United States
2	<input type="checkbox"/>	Completed <a href="#">Has Results</a>	<a href="#">Community Study to Reduce High Blood Pressure Through Text Messaging (REACH OUT)</a>	• Hypertension • Stroke	• Behavioral: Text Messaging	July 17, 2017	
3	<input type="checkbox"/>	Completed <a href="#">Has Results</a>	<a href="#">Breathe: Slow Paced Breathing to Lower Blood Pressure</a>	• High Blood Pressure	• Behavioral: Guided Breathing • Device: RESPeRATE	July 2, 2017	• NIA Clinical Research Unit Baltimore, Maryland, United States
4	<input type="checkbox"/>	Completed <a href="#">Has Results</a>	<a href="#">A Study to Evaluate the Effectiveness and Safety of a Fixed Dose Combination of Azilsartan Medoxomil and Chlorthalidone in Patients With High Blood Pressure Who do Not Achieve Target Blood Pressure Following Treatment With Azilsartan Medoxomil Alone</a>	• Essential Hypertension	• Drug: Azilsartan medoxomil/placebo • Drug: Azilsartan medoxomil - chlorthalidone	April 23, 2014	• Haskovo, Bulgaria • Pazardzhik, Bulgaria • Pleven, Bulgaria • (and 105 more...)
5	<input type="checkbox"/>	Completed <a href="#">Has Results</a>	<a href="#">Assessment of Efficacy and Safety of Olmesartan Medoxomil in Children</a>	• Hypertension	• Drug: olmesartan medoxomil	April 2, 2010	• Birmingham, Alabama.

**Filters**

Apply Clear

**Recruitment Status**

**Clinical Study** :

- Not yet recruiting
- Recruiting
- Enrolling by invitation
- Active, not recruiting
- Suspended
- Terminated
- Completed
- Withdrawn
- Unknown status†

Expanded Access : +

**Eligibility Criteria**

Age :  years OR

Age Group :

## 10. 個別に試験結果を閲覧する

「Study Results」のタブから試験結果を閲覧することが可能となっていた。

NIH U.S. National Library of Medicine  
**ClinicalTrials.gov**

Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

Home > Search Results > Study Record Detail Save this study

Trial record **1 of 931** for: Studies With Results | breast cancer  
[Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study](#) ▶

### Breast Cancer Risk Reduction: A Patient Doctor Intervention (BreastCARE)

**⚠** The safety and scientific validity of this study is the responsibility of the study sponsor and investigators. Listing a study does not mean it has been evaluated by the U.S. Federal Government. Read our [disclaimer](#) for details.

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT01830933

**Recruitment Status** ⓘ : Completed  
**First Posted** ⓘ : April 12, 2013  
**Results First Posted** ⓘ : May 16, 2013  
**Last Update Posted** ⓘ : August 19, 2014

**Sponsor:**  
University of California, San Francisco

**Collaborators:**  
Susan G. Komen Breast Cancer Foundation  
California Breast Cancer Research Program

**Information provided by (Responsible Party):**  
University of California, San Francisco

**Study Details** | **Tabular View** | **Study Results** | Disclaimer | **How to Read a Study Record**

<b>Study Type:</b>	Interventional
<b>Study Design:</b>	Allocation: Randomized; Intervention Model: Parallel Assignment; Masking: Single (Participant); Primary Purpose: Prevention
<b>Condition:</b>	<b>Breast Cancer</b>
<b>Intervention:</b>	Other: BreastCARE

▶ **Participant Flow**  
[Show Participant Flow](#)

▶ **Baseline Characteristics**  
[Show Baseline Characteristics](#)



付表 2. EU-CTR での試験結果の検索方法

1. 「Advanced Search」の「Results Status」から設定することが可能となっている。検索方法は、EU-CTR のホーム画面上の「How to search[pdf]」にも記載されていた。

Please enter search term... X Search

Examples: Cancer AND drug name. Pneumonia AND sponsor name.

[How to search \[pdf\]](#)

**Advanced Search:** [Search tools](#)

Select Country:

Austria  
Belgium  
Bulgaria  
Croatia

Select Age Range:

Adolescent  
Adult  
Children  
Elderly

Select Trial Status:

Completed  
Not Authorised  
Ongoing  
Prematurely Ended

Select Trial Phase:

Phase One  
Phase Two  
Phase Three  
Phase Four

Select Gender:

Select Date Range:

to

Select Rare Disease:

IMP with orphan designation in the indication

Orphan Designation Number:

Results Status:

Trials with results  
Trials without results

[Clear](#)

Search

2. 試験結果が報告されている研究では、「Trial Results」が“View Results”と表示されていた。“View Results”をクリックすると、試験結果の詳細画面に遷移した。報告されていない場合は、“(No results available)”と表示されていた。

検索結果の右側に表示されている「Subscribe to this research」により、検索結果の更新情報を継続的に入手することも可能となっていた。

## 検索結果の画面

X
Search

**Examples:** Cancer AND drug name. Pneumonia AND sponsor name.  
[How to search \[pdf\]](#)

**Advanced Search:** [Search tools](#)

**Trials with a EudraCT protocol (315)**
Paediatric studies in scope of Art45 of the Paediatric Regulation (0)

315 result(s) found for: Cancer, Breast. Displaying page 1 of 16.

1
2
3
4
5
6
7
8
9
Next»
Last»»

<b>EudraCT Number:</b> 2006-005592-17						<b>Sponsor Protocol Number:</b> P05059						<b>Start Date</b> * : 2006-12-14					
<b>Sponsor Name:</b> Schering-Plough AB Sweden																	
<b>Full Title:</b> Caelyx® in Breast Cancer in the Elderly Pegylated Liposomal Doxorubicin (Caelyx®) as monotherapy in elderly patients with locally advanced and/or metastatic breast cancer																	
<b>Medical condition:</b> Locally advanced and/or metastatic breast cancer, not amenable to surgery.																	
<b>Disease:</b>				<b>Version</b>		<b>SOC Term</b>		<b>Classification Code</b>		<b>Term</b>		<b>Level</b>					
				8.1				10006187		Breast cancer		PT					
<b>Population Age:</b> Elderly						<b>Gender:</b> Female											
<b>Trial protocol:</b> <a href="#">SE</a> (Completed)																	
<b>Trial results:</b> <a href="#">View results</a>																	

<b>EudraCT Number:</b> 2010-019001-42						<b>Sponsor Protocol Number:</b> NEUGR-003						<b>Start Date</b> * : 2010-07-08					
<b>Sponsor Name:</b> Teva Pharmaceutical Works Private Limited Company																	
<b>Full Title:</b> A Randomized, Double-Blind, Active Comparator, Non-Inferiority Study of Subcutaneously Administered Neugranin (Recombinant Human Albumin-Human Granulocyte Colony Stimulating Factor) or Pegfilgrasti...																	
<b>Medical condition:</b> breast cancer patients receiving myelosuppressive chemotherapy (doxorubicin/docetaxel)																	
<b>Disease:</b>				<b>Version</b>		<b>SOC Term</b>		<b>Classification Code</b>		<b>Term</b>		<b>Level</b>					
				12.1				10006187		Breast cancer		LLT					

**Subscribe to this Search**

To subscribe to the RSS feed for this search click [here](#). This will provide an RSS feed for clinical trials matching your search that have been added or updated in the last 7 days.

---

**Download Options:**

Number of Trials to download:

Download Content:

Download Format:

[Download](#)

Note, where multi-state trials are shown in search results, selecting "Full Trial details" will download full information for each of the member states/countries involved in the trial.

試験結果が報告されている研究

<b>EudraCT Number:</b> 2008-008336-85		<b>Sponsor Protocol Number:</b> MO22225		<b>Start Date</b> * : 2009-06-05	
<b>Sponsor Name:</b> F. Hoffmann-La Roche Ltd.					
<b>Full Title:</b> A single-arm Phase II clinical study of the combination of carboplatin and weekly paclitaxel plus bevacizumab as first-line treatment in patients with epithelial ovarian cancer					
<b>Medical condition:</b> Epithelial ovarian cancer, fallopian tube or primary peritoneal carcinoma					
<b>Disease:</b>	<b>Version</b>	<b>SOC Term</b>	<b>Classification Code</b>	<b>Term</b>	<b>Level</b>
	9.1		10033128	Ovarian cancer	LLT
	9.1		10016180	Fallopian tube cancer	LLT
	9.1		10061344	Peritoneal neoplasm	LLT
<b>Population Age:</b> Adults, Elderly			<b>Gender:</b> Female		
<b>Trial protocol:</b> <a href="#">FR</a> (Ongoing) <a href="#">NL</a> (Completed) <a href="#">GB</a> (Ongoing) <a href="#">SE</a> (Completed) <a href="#">IT</a> (Completed)					
<b>Trial results:</b> <a href="#">View results</a>					

試験結果が報告されていない研究

<b>EudraCT Number:</b> 2006-006251-12		<b>Sponsor Protocol Number:</b> DBTY 000/Capsulin/2Mar		<b>Start Date</b> * : 2007-01-23	
<b>Sponsor Name:</b> Diabetology Ltd					
<b>Full Title:</b> A Phase Ib, Single Centre, Open Label, Parallel-Group, Controlled Study of Effects on Metabolic Control of an Oral Insulin Formulation in a Type 2 Diabetic Population.					
<b>Medical condition:</b> Type 2 diabetes					
<b>Disease:</b>	<b>Version</b>	<b>SOC Term</b>	<b>Classification Code</b>	<b>Term</b>	<b>Level</b>
	8.1		10045242	Type II diabetes mellitus	LLT
<b>Population Age:</b> Adults, Elderly			<b>Gender:</b> Male, Female		
<b>Trial protocol:</b> <a href="#">GB</a> (Ongoing)					
<b>Trial results:</b> (No results available)					

3. 試験結果の詳細の画面は、「Summary report(s)」から、試験結果の PDF がダウンロードされる場合と、直接表示されるものの 2 つの型が存在した。

Clinical Trial Results:

The QUTIE Study: A Randomized, Double-Blind, Placebo-controlled Study Comparing Aflibercept Versus Placebo on the QTc interval in Cancer Patients treated with Docetaxel

<b>Summary</b>	
EudraCT number	<a href="#">2008-006796-80</a>
Trial protocol	<a href="#">DE</a> <a href="#">BE</a> <a href="#">DK</a> <a href="#">IT</a>
Global completion date	08 Nov 2010
<b>Paediatric regulatory details</b>	
Is the trial part of an agreed EMA paediatric investigation plan?	No
Is the trial in scope of article 45 of Regulation (EC) No 1901/2006?	No
Is the trial in scope of article 46 of Regulation (EC) No 1901/2006?	No
<b>Results information</b>	
Results version number	v1(current)
This version publication date	29 Apr 2016
First version publication date	29 Apr 2016
Other versions	
Summary report(s)	<a href="#">TES10897</a>

Note: The legislation allows summary attachments to be posted instead of the full dataset for this trial. Refer to [Commission Guideline 2012/C 302/03](#) for further information.

直接表示されるものは、“Download PDF”により画面のPDFを作成しダウンロードする機能が実装されていた。

[Download PDF](#)

Clinical Trial Results:

MicroBubble detection and Ultrasound guided Biopsy of axillary Lymph nodes in patients with Early breast cancer.

Summary	
EudraCT number	2012-001889-14
Trial protocol	GB
Global end of trial date	23 Sep 2015
Results information	
Results version number	v1(current)
This version publication date	30 Sep 2016
First version publication date	30 Sep 2016
Other versions	

[Trial Information](#)  
[Subject Disposition](#)  
[Baseline Characteristics](#)  
[End Points](#)  
[Adverse Events](#)  
[More Information](#)

[Collapse all](#) [Expand all](#)

Trial information		☰ Top of page
<b>Trial identification</b>		
Sponsor protocol code	Bubble2012	
<b>Additional study identifiers</b>		
ISRCTN number	-	
US NCT number	-	
WHO universal trial number (UTN)	-	
Other trial identifiers	R&D Protocol Number: A092595	
<b>Sponsors</b>		
Sponsor organisation name	Cambridge University Hospitals NHS Foundation Trust	
Sponsor organisation address	Cambridge Biomedical Campus, Hills Road, Cambridge, United Kingdom, CB2 0QQ	

4. 「high blood pressure」と検索した結果、「high blood pressure」とその類義語である「Hypertension」の両方で検索された。検索に用いられた両方の用語はハイライト表示されなかった。

high blood pressure X Search

Examples: Cancer AND drug name. Pneumonia AND sponsor name.  
[How to search \[pdf\]](#)

Advanced Search: [Search tools](#)

Trials with a EudraCT protocol (200)

Paediatric studies in scope of Art45 of the Paediatric Regulation (0)

200 result(s) found for: high blood pressure. Displaying page 1 of 10. 1 2 3 4 5 6 7 8 9 Next» Last»»

EudraCT Number: 2012-000509-54		Sponsor Protocol Number: MB121-008		Start Date * : 2012-09-12	
Sponsor Name: Bristol-Myers Squibb International Corporation					
Full Title: A Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Parallel Group, Phase 2B Trial to Evaluate the Safety and Efficacy of BMS-823778 in Overweight and Obese Subjects with Inadequately Cont...					
Medical condition: Hypertension					
Disease:	Version	SOC Term	Classification Code	Term	Level
	14.1	10047065 - Vascular disorders	10020772	Hypertension	PT
Population Age: Adults, Elderly			Gender: Male, Female		
Trial protocol: <a href="#">SE</a> (Completed) <a href="#">HU</a> (Ongoing)					
Trial results: <a href="#">View results</a>					

EudraCT Number: 2011-004192-37		Sponsor Protocol Number: CRO1749		Start Date * : 2012-04-24	
Sponsor Name: Joint Research Compliance Office, Imperial College					
Full Title: Hellenic Anglo Research into Morning Or Night antihypertensive drug deliverY trial.					
Medical condition: Hypertension					
Disease:	Version	SOC Term	Classification Code	Term	Level
	17.0	10047065 - Vascular disorders	10020772	Hypertension	PT
Population Age: Adults, Elderly			Gender: Male, Female		
Trial protocol: <a href="#">GB</a> (Ongoing)					

**Subscribe to this Search**  
 To subscribe to the RSS feed for this search click [here](#). This will provide an RSS feed for clinical trials matching your search that have been added or updated in the last 7 days.

---

**Download Options:**  
 Number of Trials to download:

Download Content:

Download Format:

[Download](#)

Note, where multi-state trials are shown in search results, selecting "Full Trial details" will download full information for each of the member states/countries involved in the trial.

(参考) 新システムにおけるインターフェイス

## ログイン画面



臨床研究実施計画・研究概要公開システム

[トップ画面](#)

このシステムは、医療機関等で実施される臨床研究について、臨床研究法の規定に基づき、厚生労働大臣に対して、実施計画の提出などの届出手続を行うためのシステムです。また、同法に規定する臨床研究実施基準に基づき、世界保健機関（WHO）が公表を求める事項や研究過程の透明性確保及び国民の臨床研究への参加の選択に資する情報について公開しています。

登録者はログインしてから利用してください。  
新規に登録者として登録される場合は、登録者のアカウント登録はこちらボタンからアカウント登録を行ってください。

治験情報については、現在入力環境を整備中です。  
このため、当面の間は引き続き、国内の臨床試験情報登録センター（JapicCTI、日本医師会臨床試験登録システム等）に登録いただくようお願いいたします。

### Q 特定臨床研究計画情報検索

検索条件を入力して、検索ボタンを押してください。

検索条件	
臨床研究実施計画番号	<input type="text"/>
医療機関の住所	-- 都道府県 -- <input type="text"/>
研究の名称	<input type="text"/>
対象疾患名	<input type="text"/>
研究の進捗状況	選択してください
<a href="#">検索</a>	

### ➡ 登録者ログイン

登録者のアカウント登録がお済の方は、こちらから特定臨床研究計画情報の登録・変更を行うことができます。  
ログインしてからご利用ください。

[登録者のログインはこちら](#)

### 📌 登録者アカウント登録

特定臨床研究計画情報の登録を行う方は、先にアカウント登録を行ってください。  
アカウント登録後、本システムをご利用いただくことができます。

[登録者のアカウント登録はこちら](#)

### 📖 登録者操作マニュアル

特定臨床研究計画情報の登録に係る操作マニュアルをダウンロードすることができます。

[操作マニュアルのダウンロードはこちら](#)

内容に関するお問い合わせはこちら([sec-jrct@niph.go.jp](mailto:sec-jrct@niph.go.jp))  
システムに関する不具合・ご要望はこちら([webadmin-jrct@niph.go.jp](mailto:webadmin-jrct@niph.go.jp))

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.



臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。  
登録をやめてトップページに戻るには、戻るボタンを押してください。

研究情報

特定、非特定の別  特定臨床研究  
 非特定臨床研究

届出日 年 月 日

臨床研究実施計画番号

研究名称

研究名称を入力してください（1200文字以内）

Scientific Title

研究名称を入力してください（英語2000文字以内）

Scientific Title (Acronym)

研究名称の略称を入力してください（英語255文字以内）

平易な研究名称

平易な研究名称を入力してください（1200文字以内）

Public Title

平易な研究名称を入力してください（英語2000文字以内）

Public Title (Acronym)

平易な研究名称の略称を入力してください（英語255文字以内）

戻る 一時保存 次へ

内容に関するお問い合わせはこちら(sec-jrct@niph.go.jp)  
システムに関する不具合・ご要望はこちら(webadmin-jrct@niph.go.jp)



臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

✎ 研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）に関する事項

研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）の連絡先  
Contact for Scientific Queries

姓	<input type="text"/>	研究責任医師の姓を入力してください（50文字以内）
Family Name	<input type="text"/>	研究責任医師の姓を入力してください（英語50文字以内）
名	<input type="text"/>	研究責任医師の名を入力してください（50文字以内）
First Name	<input type="text"/>	研究責任医師の名を入力してください（英語50文字以内）
e-Rad番号	<input type="text"/>	研究責任医師のe-Rad番号を入力してください（10文字以内）（任意記載）
所属機関（実施医療機関）	<input type="text"/>	研究責任医師の所属機関を入力してください（200文字以内）
Affiliation	<input type="text"/>	研究責任医師の所属機関を入力してください（255文字以内）
所属部署	<input type="text"/>	研究責任医師の所属部署を入力してください（100文字以内）
所属機関の郵便番号	<input type="text"/>	研究責任医師の所属機関の郵便番号を入力してください（数字ハイフンのみ）
所属機関の所在都道府県	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>	研究責任医師の所属機関の所在都道府県を入力してください
所属機関の住所	<input type="text"/>	研究責任医師の所属機関の住所（市区町村以降）を入力してください（200文字以内）
Address	<input type="text"/>	研究責任医師の所属機関の住所（都道府県以上）を入力してください（英語255文字以内）
電話番号	<input type="text"/>	電話番号を入力してください（数字ハイフンのみ）
電子メールアドレス	<input type="text"/>	電子メールアドレスを入力してください（255文字以内）

研究に関する問い合わせ先  
Contact for Public Queries

姓	<input type="text"/>	問い合わせ担当者の姓を入力してください (50文字以内)
Family Name	<input type="text"/>	問い合わせ担当者の姓を入力してください (英語50文字以内)
名	<input type="text"/>	問い合わせ担当者の名を入力してください (50文字以内)
First Name	<input type="text"/>	問い合わせ担当者の名を入力してください (英語50文字以内)
担当者所属機関	<input type="text"/>	問い合わせ担当者の所属機関を入力してください (200文字以内)
Affiliation	<input type="text"/>	問い合わせ担当者の所属機関を入力してください (英語255文字以内)
担当者所属部署	<input type="text"/>	問い合わせ担当者の所属部署を入力してください (100文字以内)
担当者所属機関の郵便番号	<input type="text"/>	問い合わせ担当者所属機関の郵便番号を入力してください (数字ハイフンのみ)
所属機関の所在都道府県	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>	問い合わせ担当者所属機関の所在都道府県を入力してください
担当者所属機関の住所	<input type="text"/>	問い合わせ担当者所属機関の住所 (市区町村以降) を入力してください (200文字以内)
Address	<input type="text"/>	問い合わせ担当者所属機関の住所 (都道府県以上) を入力してください (英語255文字以内)
電話番号	<input type="text"/>	電話番号を入力してください (数字ハイフンのみ)
FAX番号	<input type="text"/>	FAX番号を入力してください (数字ハイフンのみ)
電子メールアドレス	<input type="text"/>	電子メールアドレスを入力してください (255文字以内)
研究責任医師の所属する実施医療機関の管理者の氏名	<input type="text"/>	研究責任医師の所属する実施医療機関の管理者の氏名を入力してください (50文字以内)
当該臨床研究に対する管理者の許可の有無	<input type="radio"/> あり <input type="radio"/> なし	
認定臨床研究審査委員会の承認日	年 <input type="text"/> 月 <input type="text"/> 日 <input type="text"/>	当該研究の実施が承認された日を入力してください
救急医療に必要な施設又は設備	<input type="text"/>	救急医療に必要な施設、設備又は体制についての説明を入力してください (250文字以内)

[前へ](#) [一時保存](#) [次へ](#)

内容に関するお問い合わせはこちら(sec-jrct@niph.go.jp)  
システムに関する不具合・ご要望はこちら(webadmin-jrct@niph.go.jp)

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.

[画面トップへ](#)

臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

✎ 研究責任医師以外の研究に従事する者に関する事項

データマネジメント担当機関

データマネジメント担当機関の名称を入力してください（100文字以内）

データマネジメント担当責任者

氏名◎

データマネジメント担当責任者（部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者）の氏名を入力してください（40文字以内）

e-Rad番号

データマネジメント担当責任者のe-Rad番号を入力してください（10文字以内）（任意記載）

所属

データマネジメント担当責任者の所属を入力してください（100文字以内）

役職

データマネジメント担当責任者の役職を入力してください（100文字以内）

データマネジメント担当機関を追加

モニタリング担当機関

モニタリング担当機関の名称を入力してください（100文字以内）

モニタリング担当責任者

氏名◎

モニタリング担当責任者（部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者）の氏名を入力してください（40文字以内）

e-Rad番号

モニタリング担当責任者のe-Rad番号を入力してください（10文字以内）（任意記載）

所属

モニタリング担当責任者の所属を入力してください（100文字以内）

役職

モニタリング担当責任者の役職を入力してください（100文字以内）

モニタリング担当機関を追加

監査担当機関

監査担当機関の名称を入力してください（100文字以内）

監査担当責任者

氏名

監査担当責任者（部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者）の氏名を入力してください（40文字以内）

e-Rad番号

監査担当責任者のe-Rad番号を入力してください（10文字以内）（任意記載）

所属

監査担当責任者の所属を入力してください（100文字以内）

役職

監査担当責任者の役職を入力してください（100文字以内）

監査担当機関を追加

統計解析担当機関

統計解析担当機関の名称を入力してください（100文字以内）

統計解析担当責任者

氏名

統計解析担当責任者（部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者）の氏名を入力してください（40文字以内）

e-Rad番号

統計解析担当責任者のe-Rad番号を入力してください（10文字以内）（任意記載）

所属

統計解析担当責任者の所属を入力してください（100文字以内）

役職

統計解析担当責任者の役職を入力してください（100文字以内）

研究・開発計画支援担当機関

研究・開発計画支援担当機関の名称を入力してください（100文字以内）

研究・開発計画支援担当者

氏名

研究・開発計画支援担当者（部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者）の氏名を入力してください（40文字以内）

e-Rad番号

研究・開発計画支援担当者のe-Rad番号を入力してください（10文字以内）（任意記載）

所属

研究・開発計画支援担当者の所属を入力してください（100文字以内）

役職

研究・開発計画支援担当者の役職を入力してください（100文字以内）

調整・管理実務担当機関

調整・管理実務担当機関の名称を入力してください（100文字以内）

調整・管理実務担当者

氏名

調整・管理実務担当者（部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者）の氏名を入力してください（40文字以内）

e-Rad番号

調整・管理実務担当者のe-Rad番号を入力してください（10文字以内）（任意記載）

所属

調整・管理実務担当者の所属を入力してください（100文字以内）

役職

調整・管理実務担当者の役職を入力してください（100文字以内）

研究代表責任医師以外の研究を総括する者

氏名

研究代表責任医師以外の研究を総括する者（部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者）の氏名を入力してください（40文字以内）

Name

研究代表責任医師以外の研究を総括する者（部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者）の氏名を入力してください（40文字以内）

e-Rad番号

研究代表責任医師以外の研究を総括する者のe-Rad番号を入力してください（10文字以内）（任意記載）

所属

研究代表責任医師以外の研究を総括する者の所属を入力してください（100文字以内）

Affiliation

研究代表責任医師以外の研究を総括する者の所属を入力してください（100文字以内）

役職

研究代表責任医師以外の研究を総括する者の役職を入力してください（100文字以内）

Secondary Sponsorの該当性

- 該当  
 非該当

Secondary Sponserとは、Primary Sponser（研究責任医師）が負う研究の実施に係る責務のうち、研究の立案や研究資金の調達に係る責務について、Primary Sponser（研究責任医師）と共同してその責務を負う者とする。

研究代表責任医師以外の研究を総括する者担当機関を追加

前へ

一時保存

次へ

内容に関するお問い合わせはこちら（sec-jrct@niph.go.jp）  
システムに関する不具合・ご要望はこちら（webadmin-jrct@niph.go.jp）

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.

画面トップへ

臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
 必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
 一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

✎ 多施設共同研究における研究責任医師に関する事項など

- 多施設共同研究の該当の有無
- あり
  - なし

研究責任医師の連絡先

氏名 

研究責任医師の氏名を入力してください(40文字以内)

Name 

研究責任医師の氏名を入力してください(英語40文字以内)

e-Rad番号

研究責任医師のe-Rad番号を入力してください(10文字以内)（任意記載）

所属機関（実施医療機関）

研究責任医師の所属機関（実施医療機関）を入力してください(100文字以内)

Affiliation

研究責任医師の所属機関（実施医療機関）を入力してください(255文字以内)

所属部署

所属部署を入力してください(100文字以内)

所属機関の郵便番号

所属機関の郵便番号を入力してください(8文字以内、数字/ハイフンのみ)

所属機関の所在都道府県

所属機関の所在都道府県を選択してください

所属機関の住所

所属機関の住所（市区町村以降）を入力してください(100文字以内)

電話番号

所属機関の電話番号を入力してください(40文字以内、数字/ハイフンのみ)

電子メールアドレス

携帯電話以外のメールアドレスを入力してください(100文字以内)

研究に関する問い合わせ先

担当者氏名

研究責任医師の氏名を入力してください(40文字以内)

担当者所属機関

担当者所属機関を入力してください(100文字以内)

担当者所属部署

担当者所属部署を入力してください(100文字以内)

担当者所属機関の郵便番号

担当者所属機関の郵便番号を入力してください(8文字以内、数字/ハイフンのみ)

担当者所属機関の所在都道府県

担当者所属機関の所在都道府県を選択してください

担当者所属機関の住所

担当者所属機関の住所（市区町村以降）を入力してください(100文字以内)

電話番号

担当者所属機関の電話番号を入力してください(40文字以内、数字/ハイフンのみ)

FAX番号

担当者所属機関のFAX番号を入力してください(40文字以内、数字/ハイフンのみ)

電子メールアドレス

携帯電話以外のメールアドレスを入力してください(100文字以内)

研究責任医師の所属する実施医療機関の  
管理者の氏名

研究責任医師の所属する実施医療機関の管理者の氏名を入力してください(40文字以内)

当該特定臨床研究に対する管理者の許可  
の有無

- あり  
 なし

認定臨床研究審査委員会の承認日

当該研究責任医師の研究実施について記載された実施計画が委員会に承認された日を入力してください

救急医療に必要な施設又は設備

救急医療に必要な施設又は設備を入力してください(250文字以内)

共同研究機関情報追加

前へ

一時保存

次へ

内容に関するお問い合わせはこちら(sec-jrct@niph.go.jp)  
システムに関する不具合・ご要望はこちら(webadmin-jrct@niph.go.jp)

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.

臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
 必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
 一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

✎ 特定臨床研究の目的及び内容並びにこれに用いる医薬品等の概要

研究の目的	<input type="text"/>
	研究の目的を入力してください（400文字以内）
試験のフェーズ	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
	試験のフェーズを選択してください
Phase	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
	試験のフェーズを選択してください
症例登録開始予定日	<input type="text" value="年"/> <input type="text" value="月"/> <input type="text" value="日"/>
第1症例登録日	<input type="text" value="年"/> <input type="text" value="月"/> <input type="text" value="日"/>
	第1症例登録後遅延なく、法第6条第1項の規定による実施計画の変更を行ってください
実施期間（開始日）	<input type="text" value="年"/> <input type="text" value="月"/> <input type="text" value="日"/>
実施期間（終了日）	<input type="text" value="年"/> <input type="text" value="月"/> <input type="text" value="日"/>
実施予定被験者数	<input type="text"/>
	実施予定被験者数を入力してください（半角数字のみ）
試験の種類	<input type="text" value="介入研究"/>
	試験の種類を入力してください
Study Type	<input type="text" value="Interventional"/>
	試験の種類を入力してください



試験デザイン  
Study Design

無作為化	<input type="text" value="無作為化比較"/>
allocation	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
盲検化	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
masking	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
対照	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
control	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
割付け	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
assignment	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
研究目的	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>
purpose	<input type="text" value="-- 選択してください --"/>

プラセボの有無

あり

なし

盲検の有無

あり

なし

無作為化の有無

あり

なし

保険外併用療養費の有無

あり

なし

臨床研究を実施する国（日本以外）

臨床研究を実施する国を入力してください（400文字以内）

Countries of Recruitment

臨床研究を実施する国を入力してください（英語400文字以内）

研究対象者の適格基準  
Key inclusion & exclusion criteria

主たる選択基準

主たる選択基準を入力してください（6000文字以内）

Inclusion Criteria

主たる選択基準を入力してください（英語8000文字以内）

主たる除外基準

主たる除外基準を入力してください（6000文字以内）

Exclusion Criteria

主たる除外基準を入力してください（英語8000文字以内）

年齢下限

年齢下限を入力してください

Age Minimum

年齢下限を入力してください

年齢上限

年齢上限を入力してください

Age Maxmum

年齢上限を入力してください

性別

- 男性・女性
- 男性
- 女性

Gender

- Both
- Male
- Female

中止基準

中止基準を入力してください（6000文字以内）

対象疾患名

対象疾患名を入力してください（100文字以内）

Health Condition(s) or Plobrem(s)  
Studired

対象疾患名を入力してください（英語100文字以内）

対象疾患コード / Code

対象疾患コードを入力してください（任意記載）  
[こちらを参考に該当のMeSHコードを入力してください。](#)

対象疾患キーワード

対象疾患キーワードを入力してください（任意記載）

Keyword

対象疾患キーワードを入力してください（任意記載）

介入の有無

- あり
- なし

介入の内容

介入の内容を入力してください。介入がなしの場合は「なし」と記載してください（6000文字以内）

Intervention(s)

介入の内容を入力してください。介入がなしの場合は「none」と記載してください  
(英語8000文字以内)

介入コード / Code

介入コードを入力してください (任意記載)  
こちらを参考に該当のMeSHコードを入力してください。

介入キーワード

介入キーワードを入力してください (任意記載)

Keyword

介入キーワードを入力してください (任意記載)

主要たる評価項目

主要たる評価項目を入力してください (6000文字以内)

Primary Outcome(s)

主要たる評価項目を入力してください (8000文字以内)

副次的な評価項目

副次的な評価項目を入力してください (任意記載 6000文字以内)

Secondary Outcome(s)

副次的な評価項目を入力してください (任意記載 8000文字以内)

前へ

一時保存

次へ

内容に関するお問い合わせはこちら( [sec-jrct@niph.go.jp](mailto:sec-jrct@niph.go.jp) )  
システムに関する不具合・ご要望はこちら ( [webadmin-jrct@niph.go.jp](mailto:webadmin-jrct@niph.go.jp) )

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.

臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
 必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
 一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

✎ 特定臨床研究に用いる医薬品等の概要等

特定臨床研究に用いる医薬品毎の概要

- 医薬品、医療機器、再生医療等製品の別
- 医薬品
  - 医療機器
  - 再生医療等製品

- 未承認、適応外、既承認の別
- 未承認
  - 適応外
  - 既承認

医薬品

一般名称   
医薬品の一般名称(国内外で未承認の場合は開発コード)を入力してください(100文字以内)

販売名   
医薬品の販売名を(海外製品の場合は国名も)入力してください(100文字以内)

承認番号   
医薬品の承認番号を入力してください(50文字以内)

医療機器

類別   
医療機器の類別を入力してください(100文字以内)

一般的名称   
医療機器の一般名称を入力してください(100文字以内)

承認・認証・届出番号   
医療機器の承認・認証・届出番号を入力してください(50文字以内)

再生医療等製品

類別   
再生医療等製品の類別を入力してください(100文字以内)

一般的名称   
再生医療等製品の一般名称を入力してください(100文字以内)

承認番号   
再生医療等製品の承認番号を入力してください(50文字以内)

被験者等提供者

名称

被験者等提供者の名称を入力してください(100文字以内)

被験者等提供者の所在都道府県

被験者等提供者の所在都道府県を選択してください

所在地

被験者等提供者の所在地（市区町村以降）を入力してください(100文字以内)

特定臨床研究に用いる医薬品等製造販売業者からの研究資金等の提供等

医薬品等製造販売業者等の名称

特定臨床研究に用いる医薬品等の製造販売をし、又は製造販売しようとする医薬品等製造販売業者等の名称を入力してください(100文字以内)

研究資金等の提供の有無

- あり  
 なし

研究資金等の提供組織名称

研究資金等の提供組織名の名称を入力してください(1200文字以内)

Source(s) of Monetary Support/Secondary Sponsor(s)

研究資金等の提供組織名の名称を入力してください(2000文字以内)

Secondary Sponsorの該当性

- 該当  
 非該当

Secondary Sponsorとは、Primary Sponsor（研究責任医師）が負う研究の実施に係る責務のうち、研究の立案や研究資金の調達に係る責務について、Primary Sponsor（研究責任医師）と共同してその責務を負う者とする。

契約締結の有無

- あり  
 なし

契約締結日

研究資金提供組織を追加

物品提供の有無  あり  
 なし

物品提供の内容

物品提供の内容を入力してください(200文字以内)

役務提供の有無  あり  
 なし

役務提供の内容

役務提供の内容を入力してください(200文字以内)

医薬品等の概要及び医薬品等製造販売業者等情報の追加

臨床研究に用いる医薬品等が複数ある場合は  
上記を押下し、医薬品等毎に全項目を入力してください。

[前へ](#) [一時保存](#) [次へ](#)

内容に関するお問い合わせはこちら( [sec-jrct@niph.go.jp](mailto:sec-jrct@niph.go.jp) )  
システムに関する不具合・ご要望はこちら ( [webadmin-jrct@niph.go.jp](mailto:webadmin-jrct@niph.go.jp) )

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.

臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

「特定臨床研究の実施状況の確認」及び「特定臨床研究の対象者に健康被害が生じた場合の補償及び医療の提供」に関する事項

監査の実施予定の有無  あり  
 なし

特定臨床研究の進捗状況

進捗状況 -- 選択してください --

公開後すぐに研究を開始する場合には「募集中」を選択してください

Recruitment status -- 選択してください --

公開後すぐに研究を開始する場合には「募集中」を選択してください

主たる評価項目に係る研究成果

主たる評価項目に係る研究成果を入力してください。ただし、施行規則第24条第2項の主要評価項目報告書を作成後遅延なく、法第6条第1項の規定による実施計画の変更を行ってください。（400文字以内）

Summary Results (Primary Outcome Results)

主たる評価項目に係る研究成果を入力してください。ただし、施行規則第24条第2項の主要評価項目報告書を作成後遅延なく、法第6条第1項の規定による実施計画の変更を行ってください。（400文字以内）

研究対象者への補償の有無  あり  
 なし

補償の内容

保険への加入の有無  あり  
 なし

保険の補償内容

保険への加入に係る具体的な内容を入力してください（400文字以内）

保険以外の補償の内容

保険以外の補償内容を具体的に（400文字以内）

前へ 一時保存 次へ

内容に関するお問い合わせはこちら(sec-jrct@niph.go.jp)  
システムに関する不具合・ご要望はこちら(webadmin-jrct@niph.go.jp)

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.

臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

✎ 特定臨床研究に用いる医薬品等製造業者等以外からの研究資金等の提供

研究資金等の提供組織の有無  あり  
 なし

研究資金等の提供組織名称

研究資金等の提供組織の名称を入力してください(800文字以内)

Source(s) of Monetary Support

研究資金等の提供組織の名称を入力してください(英語1000文字以内)

Secondary Sponsorの該当性  該当  
 非該当

Secondary Sponsorとは、Primary Sponser（研究責任医師）が負う研究の実施に係る責務のうち、研究の立案や研究資金の調達に係る責務について、Primary Sponser（研究責任医師）と共同してその責務を負う者とする。

医薬品等製造業者等以外からの研究資金等の提供組織を追加

前へ

一時保存

次へ

内容に関するお問い合わせはこちら( sec-jrct@niph.go.jp )  
システムに関する不具合・ご要望はこちら (webadmin-jrct@niph.go.jp)

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.



臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

審査意見業務を行う認定委員会の名称等

認定委員会の所在都道府県（入力補助）	-- 選択してください --
	認定委員会の所在都道府県を選択してください
認定委員会の認定番号と名称（入力補助）	-- 選択してください --
	認定委員会の認定番号と名称を選択してください
認定臨床研究審査委員会の名称	<input type="text"/>
	当該特定臨床研究について審査意見業務を行う認定臨床研究審査委員会の名称を入力してください
Name of Certified Review Board	<input type="text"/>
	当該特定臨床研究について審査意見業務を行う認定臨床研究審査委員会の名称を入力してください
上記委員会の認定番号	<input type="text"/>
都道府県	-- 選択してください --
Prefectures	-- 選択してください --
住所	<input type="text"/>
Address	<input type="text"/>
電話番号	<input type="text"/>
電子メールアドレス	<input type="text"/>
審査受付番号	<input type="text"/>
	当該委員会が当該研究に発行した受付番号を入力してください（30文字以内）
当該臨床研究に対する審査結果	<input type="radio"/> 承認 <input type="radio"/> 未承認

前へ 一時保存 次へ

内容に関するお問い合わせはこちら( sec-jrct@niph.go.jp )  
システムに関する不具合・ご要望はこちら (webadmin-jrct@niph.go.jp)

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.

臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

その他の事項

臨床研究の対象者等への説明及び同意の内容

その記載事項の全てを記載する事ができないときには、同欄に「別紙のとおり。」と記載し、PDF形式にして、次ページに添付資料（2. その他（本文中に掲載しきれない説明書類等））として添付してください

他の臨床研究登録機関発行の研究番号

他の臨床研究登録機関発行の研究番号を入力してください

他の臨床研究登録機関の名称

他の臨床研究登録機関の名称を入力してください

Issuing Authority

他の臨床研究登録機関の名称を入力してください

備考

国際共同研究

- 該当する  
 該当しない

遺伝子治療等臨床研究に関する指針（平成27年厚生労働省令第344号）の対象となる臨床研究

- 該当する  
 該当しない

遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成15年法律第97号）の対象となる薬物を用いる臨床研究

- 該当する  
 該当しない

生物由来製品に指定が見込まれる薬物を用いる臨床研究

- 該当する  
 該当しない

全体を通しての補足事項

その他1

その他2

その他3

前へ

一時保存

次へ

内容に関するお問い合わせはこちら ([sec-jrct@niph.go.jp](mailto:sec-jrct@niph.go.jp))  
システムに関する不具合・ご要望はこちら ([webadmin-jrct@niph.go.jp](mailto:webadmin-jrct@niph.go.jp))

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.

臨床研究実施計画情報登録

研究情報 / 事項1 / 事項2 / 事項3 / 事項4 / 事項5 / 事項6 / 事項7 / 事項8 / 事項9 / 添付資料

臨床研究実施計画の登録を行います。  
必要事項を入力して次へボタンを押してください（次へボタンを押しても記載内容は消えませんが一時保存されません）。  
一時保存ボタンを押すと入力内容が一時保存されます（登録は行いません）。

添付資料

1. 認定臨床研究審査委員会意見書

ファイルを選択 選択されていません

認定臨床研究審査委員会から審査結果を通知された文書（承認時）を添付してください。

2. その他（本文中に掲載しきれない説明書類等）

ファイルを選択 選択されていません

前へ

一時保存

届出手続

内容に関するお問い合わせはこちら(sec-jrct@niph.go.jp)  
システムに関する不具合・ご要望はこちら(webadmin-jrct@niph.go.jp)

Copyright © National Institute of Public Health, All Rights Reserved.



(参考) 臨床研究法施行規則 (平成 30 年厚生労働省令第 17 号) 様式の一部抜粋

様式第一 (第三十九条関係)

実施計画

年 月 日

地方厚生局長 殿

研究責任医師 (多施設共同研究とし 氏 名 印  
て実施する場合は、研究代表医師) 住 所

下記のとおり、特定臨床研究を実施したいので、臨床研究法第 5 条第 1 項の規定により実施計画を提出します。

記

1 特定臨床研究の実施体制に関する事項及び特定臨床研究を行う施設の構造設備に関する事項

(1) 研究の名称

研究名称	
Scientific Title (Acronym)	
平易な研究名称	
Public Title (Acronym)	

(2) 研究責任医師 (多施設共同研究の場合は、研究代表医師) に関する事項等

研究責任医師 (多施設共同研究の場合は、研究代表医師) の連絡先 Contact for Scientific Queries	氏名	
	Name	
	e-Rad番号	
	所属機関(実施医療機関)	
	Affiliation	
	所属部署	
	所属機関の郵便番号	
	所属機関の住所	
	Address	
電話番号		
電子メールアドレス		
研究に関する問い合わせ先 Contact for Public Queries	担当者氏名	
	Name	
	担当者所属機関	
	Affiliation	
	担当者所属部署	
	担当者所属機関の郵便番号	
	担当者所属機関の住所	
	Address	
	電話番号	
FAX番号		
電子メールアドレス		
研究責任医師 (多施設共同研究の場合は、研究代表医師) の所属する実施医療機関の管理者の氏名		

当該特定臨床研究に対する管理者の許可の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
認定臨床研究審査委員会の承認日（当該研究の実施が承認された日）		
救急医療に必要な施設又は設備		

（３）研究責任医師以外の臨床研究に従事する者に関する事項

データマネジメント担当機関		
データマネジメント担当責任者	氏名	
	e-Rad番号	
	所属	
	役職	

※複数該当がある場合は、上記の項目を複写して記載すること

モニタリング担当機関		
モニタリング担当責任者	氏名	
	e-Rad番号	
	所属	
	役職	

※複数該当がある場合は、上記の項目を複写して記載すること

監査担当機関		
監査担当責任者	氏名	
	e-Rad番号	
	所属	
	役職	

※複数該当がある場合は、上記の項目を複写して記載すること

統計解析担当機関		
統計解析担当責任者	氏名	
	e-Rad番号	
	所属	
	役職	

研究・開発計画支援担当機関		
研究・開発計画支援担当者	氏名	
	e-Rad番号	
	所属	
	役職	

調整・管理実務担当機関		
調整・管理実務担当者	氏名	
	e-Rad番号	
	所属	
	役職	

研究代表医師・研究責任医師以外の研究を総括する者	氏名		
	Name		
	e-Rad番号		
	所属		
	Affiliation		
	Secondary Sponsorの該当性	<input type="checkbox"/> 該当	<input type="checkbox"/> 非該当

※複数該当がある場合は、上記の項目を複写して記載すること

(4) 多施設共同研究における研究責任医師に関する事項等

多施設共同研究機関の該当の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
-----------------	-----------------------------	-----------------------------

研究責任医師の連絡先	氏名		
	Name		
	e-Rad番号		
	所属機関（実施医療機関）		
	Affiliation		
	所属部署		
	所属機関の郵便番号		
	所属機関の住所		
	電子メールアドレス		
研究に関する問い合わせ先	担当者氏名		
	担当者所属機関		
	担当者所属部署		
	担当者所属機関の郵便番号		
	担当者所属機関の住所		
	電話番号		
	FAX番号		
電子メールアドレス			
研究責任医師の所属する実施医療機関の管理者の氏名			
当該特定臨床研究に対する管理者の許可の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし	
認定臨床研究審査委員会の承認日（当該研究責任医師の研究実施について記載された実施計画が委員会に承認された日）			
救急医療に必要な施設又は設備			

※複数該当がある場合は、上記の項目を複写して記載すること

2 特定臨床研究の目的及び内容並びにこれに用いる医薬品等の概要

(1) 特定臨床研究の目的及び内容

研究の目的		
試験のフェーズ		
Phase		
症例登録開始予定日		
第1症例登録日		
実施期間		
実施予定被験者数		
試験の種類		
Study Type		
試験デザイン		
Study Design		
プラセボの有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
盲検の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
無作為化の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
保険外併用療養の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
臨床研究を実施する国(日本以外)		
Countries of Recruitment		
研究対象者の 適格基準 Key Inclusion & Exclusion Criteria	主たる選択基準	
	Inclusion Criteria	
	主たる除外基準	
	Exclusion Criteria	
	年齢下限	
	Age Minimum	
	年齢上限	
Age Maximum		
性別		
Gender		
中止基準		
対象疾患名		
Health Condition(s) or Problem(s) Studied		
対象疾患コード / Code		
対象疾患キーワード		
Keyword		
介入の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
介入の内容		
Intervention(s)		
介入コード / Code		
介入キーワード		
Keyword		
主たる評価項目		
Primary Outcome(s)		
副次的な評価項目		
Secondary Outcome(s)		



(2) 特定臨床研究に用いる医薬品等の概要

医薬品、医療機器、再生医療等製品の別		<input type="checkbox"/> 医薬品	<input type="checkbox"/> 医療機器	<input type="checkbox"/> 再生医療等製品
医薬品医療機器等法における未承認、 適応外、承認内の別		<input type="checkbox"/> 未承認	<input type="checkbox"/> 適応外	<input type="checkbox"/> 承認内
一般名称等	医薬品	一般名称（国内外で 未承認の場合は開発 コードを記載すること）		
		販売名（海外製品の 場合は国名も記載す ること）		
		承認番号		
	医療機器	類別		
		一般的名称		
		承認・認証・届出番号		
	再生医療等 製品	類別		
		一般的名称		
		承認番号		
被験薬等提供者		名称		
		所在地		

3 特定臨床研究の実施状況の確認に関する事項

(1) 監査の実施予定

監査の実施予定の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
------------	-----------------------------	-----------------------------

(2) 特定臨床研究の進捗状況

特定臨床研究の 進捗状況	進捗状況	
	Recruitment Status	
	主たる評価項目に係 る研究結果	
	Summary Results (Primary Outcome Results)	

4 特定臨床研究の対象者に健康被害が生じた場合の補償及び医療の提供に関する事項

特定臨床研究の対象者への補償 の有無		<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
補償 の内容	保険への加入の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
	保険の補償内容		
	保険以外の補償の内容		

5 特定臨床研究に用いる医薬品等の製造販売をし、又はしようとする医薬品等製造販売業者及びその特殊関係者の当該特定臨床研究に対する関与に関する事項等

(1) 特定臨床研究に用いる医薬品等の医薬品等製造販売業者等からの研究資金等の提供等

特定臨床研究に用いる医薬品等の製造販売をし、又はしようとする医薬品等製造販売業者等の名称		
研究資金等の提供の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
研究資金等の提供組織名称		
Source of Monetary Support/ Secondary Sponsor		
Secondary Sponsorの該当性	<input type="checkbox"/> 該当	<input type="checkbox"/> 非該当
研究資金等の提供に係る契約締結の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
契約締結日		
物品提供の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
物品提供の内容		
役務提供の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
役務提供の内容		

※複数該当がある場合は、上記の項目を複写して記載すること

(2) 特定臨床研究に用いる医薬品等の医薬品等製造販売業者等以外からの研究資金等の提供

研究資金等の提供の有無	<input type="checkbox"/> あり	<input type="checkbox"/> なし
研究資金等の提供組織名称		
Source of Monetary Support		
Secondary Sponsorの該当性	<input type="checkbox"/> 該当	<input type="checkbox"/> 非該当

※複数該当がある場合は、上記の項目を複写して記載すること

6 審査意見業務を行う認定臨床研究審査委員会の名称等

当該特定臨床研究について審査意見業務を行う認定臨床研究審査委員会の名称	
Name of Certified Review Board	
上記委員会の認定番号	
住所	
Address	
電話番号	
電子メールアドレス	
審査受付番号（上記委員会が当該臨床研究に発行した受付番号）	
当該特定臨床研究に対する審査結果	

7 その他の事項

(1) 特定臨床研究の対象者等への説明及び同意に関する事項

特定臨床研究の対象者等への説明及び同意の内容	
------------------------	--

(2) 他の臨床研究登録機関への登録

他の臨床研究登録機関発行の研究番号	
他の臨床研究登録機関の名称	
Issuing Authority	

(3) 特定臨床研究を実施するに当たって留意すべき事項

備考	国際共同研究	<input type="checkbox"/> 該当する	<input type="checkbox"/> 該当しない
	遺伝子治療等臨床研究に関する指針（平成27年厚生労働省告示第344号）の対象となる臨床研究	<input type="checkbox"/> 該当する	<input type="checkbox"/> 該当しない
	遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成15年法律第97号）の対象となる薬物を用いる臨床研究	<input type="checkbox"/> 該当する	<input type="checkbox"/> 該当しない
	生物由来製品に指定が見込まれる薬物を用いる臨床研究	<input type="checkbox"/> 該当する	<input type="checkbox"/> 該当しない

(4) 全体を通しての補足事項等

その他1	
その他2	
その他3	

(留意事項)

- 1 用紙の大きさは、日本工業規格A4とすること。
- 2 提出は、正本1通とすること。
- 3 1の「e-Rad番号」、2(1)の「対象疾患コード」、「対象疾患キーワード」、「介入コード」、「介入キーワード」については、任意記載とする。
- 4 1(1)「Scientific Title(Acronym)」の欄には、Scientific Titleの後に、()でその略称を記載すること。「Public Title(Acronym)」の欄も同様とする。
- 5 1(3)の研究責任医師以外の臨床研究に従事する者に関する事項の「氏名」の欄には、所属における担当部門の長ではなく、当該特定臨床研究における担当責任者を記載すること。
- 6 1(3)「研究代表医師・研究責任医師以外の研究を総括する者」、5(1)「研究資金等の提供組織名称」、5(2)「研究資金等の提供組織名称」については、個別の研究毎にSecondary Sponsorの該当性を判断し、記入すること。Secondary Sponsorは、Primary Sponsor(研究責任医師)が負う研究の実施に係る責務のうち、研究の立案や研究資金の調達に係る責務について、Primary Sponsor(研究責任医師)と共同してその責務を負う者とする。
- 7 2(1)の「第1症例登録日」については、空欄で提出すること。ただし、第1症例登録後遅滞なく、法第6条第1項の規定による実施計画の変更を行うこと。
- 8 2(2)の「一般名称等」については、医薬品、医療機器又は再生医療等製品のうち該当する項目にのみ記載すること。
- 9 3(2)の「主たる評価項目に係る研究結果」については、空欄で提出すること。ただし、臨床研究法施行規則第24条第2項の主要評価項目報告書を作成後遅滞なく、法第6条第1項の規定による実施計画の変更を行うこと。
- 10 7(1)の「特定臨床研究の対象者等への説明及び同意の内容」の欄には、その記載事項の全てを記載する事ができないときには、同欄に「別紙のとおり。」と記載し、別紙を添付すること。



## 日本の JPRN 構成機関における臨床試験の結果公開の現状および課題

研究分担者 湯川 慶子, 藤井 仁, 佐藤 元<sup>1)</sup>

1) 国立保健医療科学院 政策技術評価研究部

### 研究要旨

**目的：**本研究においては、臨床研究登録機関の結果公開対応に関する日本の JARN 構成機関間での調整を図り、今後の展望を検討することを目的とする。

**方法：**定期的な連絡を行うと共に、2017 年 12 月に JPRN 構成 5 機関が集まり会合を行った。また、厚生労働省が臨床研究法のシステムについて説明・報告するとともに、WHO のデータセット ver.1.3、特に結果の公開への対応および現状の課題や連携等について確認した。日本の結果公開の対応について、3 臨床試験登録機関の結果の登録と公開状況について問い合わせた。

**結果：**3 機関で連携しながら日本の登録システム、特に登録項目を整備していく必要があることが確認された。また、3 機関の結果の公開状況は、10～30%程度であった。

**結論：**データの標準化については各登録機関の間での積極的な議論が必要である。また、jRCT のシステム上の課題等を改善し、ユーザーにとって利用しやすいシステムにすることも喫緊の課題である。

### A.研究目的

WHO が 2017 年 5 月に開催した会議では、結果公開について対応期限等は設定されていないものの、現時点で統一した形式での結果の公開が実現されていないのは先進国中で日本のみであり、可能な限り速やかな実現が目指される場所である。

新システムの電子的な仕様の確定にむけて、関係各機関（UMIN-CTR、JAPIC-CTI、JMACCT）と調整のための会議を開催し、実現可能性や予算等を考慮に入れつつ、合意点を模索する必要がある。3 登録機関の結果の公開の現状を把握すると同時に、電子的仕様が確定した段階で、各レジストリとの実現に向けたスケジュール調整を進めることを目的とする。

さらに、臨床研究法に対応する臨床試験のレジストリの運用が開始された後も、引き続き、臨床試験を取り巻く環境、また技術環境の変化も鑑み、今後の展開について考察する。

### B.研究方法

臨床試験の近年の動きから、レジストリに関係すると思われる項目を抽出し、考察する。

### 1. 日本の結果公開の対応について

以下の 3 点について、3 臨床試験登録機関：UMIN センター、日本医師会、JAPIC に対して回答を求めた。

#### 1. 結果登録のある件数について

これまでの総数を対象に、結果あり/登録総数の割合。昨年 1 年間の期間中における、結果あり/登録件数の割合

#### 2. 結果記載の方法について

例えば、概要テキストの入力としている、PDF や WORD などの別ファイルのアップロード、リンク参照先の記載、などについて。リンクを参照している場合は、ファイルの置き場所をどこに設定しているかについて。

#### 3. 結果記載の開設や例示について

例示や推奨記載方法の解説の有無。意図的に結果開示をしていない場合は、告示の有無について。

（倫理面への配慮）本研究は個人のデータを扱っていないことから倫理面への配慮は必要ない。

### C.研究結果

#### 1. 日本の 3 臨床試験登録機関の結果の登録と公

## 開状況について

### 1) UMIN-CTR

UMIN-CTR での結果登録と公開状況について

#### ①結果登録のある件数について

2018年3月31日までのCTR総登録件数31420件であり、そのうち、「主な結果」もしくは「結果掲載URL」のどちらかに何らかの記載がある件数3266件(10.4%)。

2017年4月1日から2018年3月31日までのCTR新規登録件数5077件  
そのうち、「主な結果」もしくは「結果掲載URL」のどちらかに何らかの記載がある件数146件(2.88%)。

2017年1月1日から2017年12月31日までのCTR新規登録件数5041件  
そのうち、「主な結果」もしくは「結果掲載URL」のどちらかに何らかの記載がある件数213件(4.23%)。

ただし、上記の結果には、結果が未公表の段階にある試験も含まれている。そこで、参考までに、結果公表済み（「試験結果の公開状況」が「最終結果が公表されている」と設定されている。もしくは、「試験進捗状況」が「主たる結果の公表済み」となっている）試験を抽出した場合について以下に示す。

2018年3月31日までのCTR総登録件数31420件、そのうち、結果公表済みの件数3113件、そのうち、「主な結果」もしくは「結果掲載URL」のどちらかに何らかの記載がある件数は1597件であった。

2017年4月1日から2018年3月31日までのCTR新規登録件数は5077件であり、そのうち、結果公表済みの件数98件、そのうち、「主な結果」もしくは「結果掲載URL」のどちらかに何らかの記載がある件数は34件であった。

2017年1月1日から2017年12月31日までのCTR新規登録件数は5041件であり、そのうち、結果公表済みの件数133件、そのうち、「主な結果」もしくは「結果掲載URL」のどちらかに何らかの記載がある件数61件であった。

なお、「結果公表済み」で絞り込みをすると、結果登録がされている件数が半減以下になった。内容を概観したところ、「試験進捗状況」が単に

「試験終了」となっている事例や、「試験結果の公開状況」が「未公表」のまま更新されていない事例が多く見受けられた。今後入力システムの登録時データチェックに改善の余地があることがわかった。

#### ②結果記載の方法について

UMIN-CTRの機能としては、「主な結果」「結果掲載URL」の2つの自由入力フィールドがあるのみである。URLの参照先は任意であるため、登録者自身が用意する必要がある。

2013年にCTRに追加して開発されたUMIN ICDRシステムが統合されてからは、研究計画書、研究症例データ仕様書、研究症例データの3種類のファイル（形式は任意）を登録することができる。こちらは一般公開ではなく、UMIN ID指定による対象者を限定した公開となっている。

#### ③結果記載について

例示や推奨記載方法については記載していないが、結果入力欄がある画面上には、以下の注記が出力されている。

「WHOがTRDS(トライアル登録データセット)をバージョン1.3に改訂したため、今後すべての臨床試験登録において、試験結果の要約とIPD(個々の臨床試験参加者レベルのデータ)共有状況の記載が必須となります。UMIN-CTRでも近い将来これらの項目を必須とする予定です。IPDを共有するには、UMIN-CTRと密接に結合しているUMIN ICDR (Individual Case Data Repository) サービスを活用されると便利です。詳細については、ICDR ウェブサイトを参照してください。」

### 2) JAPIC

#### ①結果登録のある件数について

これまでの総数(2018年4月30日まで)を対象とした場合

結果の件数	登録試験件数	割合
日本語	1088/3862	28.2%
英語	743/2369	31.4%

昨年1年間(2017/04/01 - 2018/03/31)の結果あり/登録件数の割合

日本語	30/941	13.8%
英語	88/604	4.6%

## ②結果記載の方法について

JapicCTI 中の個々の試験情報に対して、PDF もしくは Word ファイルを添付する形式をとっている。

## ③結果記載について

例示や推奨記載方法の解説の有無：「ICH E3」総括報告書ガイドラインのサマリーフォーマットに従って作成することを推奨している。

なお、JapicCTI では、現在システム改修を行っているため、次期システムでは上記 2 および 3 の回答はその仕様により変わる可能性がある。

## 3) 医師会

### ①結果登録のある件数について

1.1. これまでの総数(～2018/5/12)を対象にした  
結果あり/登録総数 の割合  
78 件/346 件 (結果あり/登録総数)

1.2. 昨年 1 年間(2017/1-2017/12)における、  
結果あり/登録件数 の割合  
2 件/47 件 (結果あり/登録件数)

なお、上記は期間中に「公開された」試験をカウントしている。試験終了時期について検索できる機能がないため、試験終了時期を指定した集計は難しいことがわかった。

### ②結果記載の方法について

一部のみ抜粋して調査した。

調査対象：39 件(総件数 78 件)

#### ・ JMACCT-CTR の

結果入力欄へ記入：39 件(100%)

うち、日本語のみ記入	14 件
英語のみ記入	1 件
日英両方記入	24 件

#### ・「結果公開先」欄へ URL 等を記載：14 件(36%)

うち、

JMACCT-CTR 内専用

ファイルアップロード先	3 件
当該治験専用 HP	1 件
論文電子ライブラリサイト等	3 件
論文雑誌投稿誌名/号数(非リンク)	3 件
PMDA 当該治験審査結果ページ	2 件
治験薬提供者企業 HP	1 件
他レジストリ発行 ID(重複登録先)	1 件

## ③結果記載について

例示や推奨記載方法の解説の有無：特にない。

## 2. 新登録機関の設定について

臨床研究法案に対応して設置された第 4 登録機関(jRCT)に関しても、既存の 3 登録機関の項目をもとに、電子的な仕様を実現するように計画を策定する。このレジストリに関しては登録項目、データ形式を自由に設定できる仕様で開発されており、既存のレジストリで上記の電子的な仕様の実現が困難な場合は、本システムの他機関への導入を含めて検討する。

## 3. JPRN 構成機関との調整、経過報告

電子的な仕様の確定を目標に、関係各機関 (UMIN-CTR、JAPIC-CTI、JMACCT) からの情報収集を行い、また、調整のための会議を 2017 年 12 月に開催した。

臨床研究法(平成 29 年法律第 16 号)の施行について、認定臨床研究審査委員会および臨床研究実施計画・研究概要公開システムの内容、厚生労働省の今後の方針が、厚生労働省より報告された。

次に、各機関の現状報告として、(1)日本医薬情報センター(JAPIC)、(2)日本医師会・治験促進センター(JMACCT)、(3)大学病院医療情報ネットワーク研究センター(UMIN)、(4)国立保健医療科学院(NIPH)からそれぞれの活動や課題について報告された。

また、相互の意見交換や WHO の動向と協調体制の構築に関する協議も行われた(資料 1)。

最終的に電子的な仕様がすべて確定した段階で、各レジストリとの項目の統一実現に向けたスケジュール調整を進める WHO が 2017 年 5 月に開催した会議では、結果の公開について期限等は設定していないが、現時点ですでに統一した形式での結果の公開ができていないのは先進国中

で日本のみであり可能な限り速やかな実現を目指すことが望まれる。

#### D. 考察

WHO のデータフォーマット 1.3 の公開とそれに準拠したシステム構築の要請は、データの信頼性と透明性の一層の向上を企図したものだと考えられる。従来の臨床試験登録データは各国で同じ形式をとっていないばかりか、登録項目すら WHO の定義を満たしていない。それは最も先進的な米国の Clinicaltrial.gov においても例外ではない。データの標準化はデータの質の向上のための第一歩であり、その意味で各国の臨床試験登録機関が最も優先させるべきは WHO のデータ定義への準拠であると考えられる。それは各国が独自の判断で項目を追加することを否定するものではない。最低限の共通項目を共通のフォーマットで登録するという要件さえ満たせば、あとは各登録機関が各国の状況に合わせた独自項目を追加すればよいと考えられる。より必要な項目を考案し、今後のフォーマット改定に活用できれば学問的にも有意義であり、今後の臨床試験登録制度にとって建設的であろう。

米国の登録情報等と比較して、WHO のデータフォーマット 1.3 は先進的なものではなく、欠点も散見される。具体例として、上記フォーマットでは、IPD の共有に関して計画の有無を答えたのちに、構造化がされていない平文で内容について記載することになっている（資料 2、24a、24b）。しかし、2015 年の段階で世界の医療用医薬品売上上位 10 社はすべて IPD データを構造化された形で登録、公開しており、医薬品名や対象疾患名、スポンサー名等で検索を可能にしている（臨床試験の被験者レベルデータの共有 JPMA NEWS LETTER 2016 年 5 月号）。WHO が IPD

の共有について具体的提案をしたのは 2016 年であり、現実の臨床試験登録情報の潮流に追随できているとはいえない状況である。ゆえに、各レジストリは今後もフォーマットの改善のために積極的な議論を継続すべきであると考えられる。

#### E. 結論

データの標準化は優先課題であるが、そのデータフォーマットに関しては改善の余地を残しており、各登録機関の間での積極的な議論が必要であると考えられる。

また、今後の展望として、jRCT のシステムを使いやすいものにするために、管理・運営側である厚生労働省や国立保健医療科学院に寄せられた問合せや課題を集約して、ユーザーにとって使いやすく改善することも喫緊の課題である。

#### F. 健康危険情報

なし

#### G. 研究発表

##### 1. 論文発表

特になし

##### 2. 学会発表

特になし

#### H. 知的財産権の出願・登録状況

（予定を含む。）

##### 1. 特許取得

特になし

##### 2. 実用新案登録

特になし

##### 3. その他

特になし



## 出席者

黒川 典誉 (厚生労働省 医政局研究開発振興課 治験推進室 臨床研究推進係係長)  
田中 太平 (厚生労働省 医政局研究開発振興課 治験推進室 課長補佐)  
中濱 洋子 (厚生労働省 医政局研究開発振興課 治験推進室 治験推進指導官)  
若井 修治 (社団法人 日本医師会・治験促進センター推進事業部 部長)  
奥山 正隆 (社団法人 日本医師会・治験促進センター推進事業部 研究員)  
伊藤 真由美 (社団法人 日本医師会・治験促進センター推進事業部 研究員)  
村上 貴久 (一般財団法人 日本医薬情報センター理事長)  
岡本 恵 (一般財団法人 日本医薬情報センター 医薬文献情報担当課長)  
木内 貴弘 (大学病院医療情報ネットワーク研究センター長)  
岡田 昌史 (大学病院医療情報ネットワーク研究センター特任講師)  
佐藤 元 (国立保健医療科学院 政策技術評価研究部 部長)  
藤井 仁 (国立保健医療科学院 政策技術評価研究部 主任研究官)  
湯川 慶子 (国立保健医療科学院 政策技術評価研究部 主任研究官)

## 1. 臨床研究法 (平成 29 年法律第 16 号) の施行について

- (1) 認定臨床研究審査委員会について
- (2) 臨床研究実施計画・研究概要公開システムについて
- (3) 厚生労働省の今後の方針について

## 2. 各機関の現状報告 (各 5-10 分)

- (1) 日本医薬情報センター (JAPIC)
- (2) 日本医師会・治験促進センター (JMACCT)
- (3) 大学病院医療情報ネットワーク研究センター (UMIN)
- (4) 国立保健医療科学院 (NIPH)

## 3. 意見交換等

## 4. その他

WHO の動向と協調体制の構築



## 臨床試験情報の公開にかかる法制度： 臨床試験の結果公開にかかる日米欧の法令および判例

研究分担者 佐藤 元, 湯川 慶子<sup>1)</sup>

1) 国立保健医療科学院 政策技術評価研究部

### 研究要旨

**目的：**臨床試験情報の登録・公開制度の設計・運用上の課題を整理し議論に資するため、欧米日の法令・制度ならびに関連する判例を収集し詳細な検討を加えた。

**方法：**・欧米および日本の法令について、法曹関係者および法令データベース、行政官・実務家などに広く意見を求めたうえ、法令・判例情報を総覧した。

**結果：**EU および米国においては、一般的な方向性として臨床試験情報の公開を進める方向で制度の設計や製薬会社の取り組みが進められているものの、臨床試験の情報については、営業秘密への該当性が問題とされる。また、個別被験者レベルの情報の開示については、個人の病歴の開示等プライバシーの問題を内包している。臨床試験の情報・医薬品の製造販売承認に関しては、臨床試験情報の公開データベースへの登録等にプロアクティブな開示、情報公開制度に基づく請求に対応するリアクティブな開示がある。後者の場合、当局と申請者の間、当局と製薬会社等の間での裁判事例が存する。いずれの法域においても詳細な利益衡量がなされている。

**結論：** 欧米日何れにおいても、臨床試験情報の公開が進められており、その公開範囲は拡大されつつある。しかし実運用においては、開発研究（結果）の知財権ならびに被験者個人情報保護が課題であり、その法理の理解と共に、裁判判例ならびに運用実態などを広く把握したうえで制度設計、ならびに国際調和に向けた取り組みを図る必要がある。

### 研究協力者

近藤 純一(アンダーソン・毛利・友常法律事務所)

武士 俣隆介(同上)

日野 優子(同上)

### A.研究目的

EU および米国においては、一般的な方向性として臨床試験情報の公開を進める方向で制度の設計や製薬会社の取り組みが進められている。臨床試験の情報の公開については、研究者・患者が医薬品の有効性や安全性を確認することができるといったメリットが指摘されている。2008 年 11 月 18 日には、欧州製薬団体連合会 (EFPIA)、国際製薬団体連合会 (IFPMA)、日本製薬工業協会 (JPMA)、および米国研究製薬工業協会 (PhRMA) の連名で、臨床試験の登録・結果公開に関する IFPMA 共同指針が公開され、「1 カ国以上で承認され、上市されている薬剤に関して実施されたすべての検証的試験、および有効性をみ

るすべての探索的試験の結果は最低限、結果の如何にかかわらず公開する。」という公開の方針が確認された。

一方で、臨床試験の情報については、営業秘密への該当性が問題となる。特に、臨床試験はスポンサーが多額の費用を投じたものであることから、性急な開示はスポンサーによる開発のインセンティブを削ぐこと、競業他社による情報のフリーライドを許すことになりかねないことが指摘されている。営業秘密の法的保護については、EU、米国および日本は、知的所有権の貿易関連の側面に関する協定（以下「TRIPS 協定」という。）に加盟しており、TRIPS 協定 39 条では、加盟国に対して商業上の秘密保護を求めている。この TRIPS 協定を踏まえて、各国では営業秘密保護法制が設けられている。EU では、2016 年 5 月 27 日、営業秘密の保護に関する EU 指令案を採択した。各 EU 加盟国は、2018 年 6 月 9 日までに、当該指令を遵守するために必要な法令および行政上

の措置を講じる必要がある（19条1項）。また、米国では、2016年5月に連邦民事トレード・シークレット法が成立した。日本では営業秘密は主に不正競争防止法によって保護される。

また、個別被験者レベルの情報の開示については、公開によって個人の病歴等を開示することにつながるというプライバシーの問題を内包している。

今般、EU、米国および日本の各法令等を比較して分析を行った。なお、臨床試験の情報・医薬品の製造販売承認に関しては、臨床試験情報の公開データベースへの登録等による、いわゆるプロアクティブな開示に加えて、情報公開制度に基づく研究者や患者団体等からの請求に対応する、いわゆるリアクティブな開示がある。リアクティブな開示に際しては、開示を拒む当局と申請者の間、または開示を容認しようとする当局と元の情報を提供した製薬会社等の間で裁判となった事例も存在する。これらの裁判例は、プロアクティブな開示とは文脈を異にするものの、いずれの法域においても詳細な利益衡量がなされており、その検討はプロアクティブな開示の文脈においても有用と考えられる。これらの法令および裁判例に加えて近時の学説の状況のうち主要なものを併せて紹介する。

## B.研究方法

欧州連合（EU）、米国および日本の臨床試験にかかる情報の公的な登録と公開に関する法令・規則、中でも臨床試験の結果情報の公開に関する法令・規則および判例について、各国法ならびに判例データベースより検索して情報収集を行った。また、関連する法理および議論の整理を試みると共に、現地政府行政官に法令の確認ならびに運用実態についての情報収集を実施した。（倫理面への配慮）本研究は個人情報等は扱わない。また裁判判例などにかかる事項も公開情報のみを利用した。

## C.研究結果

欧州（EU）、米国、日本における臨床試験情報の情報公開について現行法令を整理した後、プロアクティブな情報開示、リアクティブな情報開示に関連した判例を提示する。

## EUにおける臨床試験情報の公開

1. プロアクティブな開示-EU 臨床試験指令に基づく公開

### (1) 概要

EUにおける医薬品の臨床試験に係る臨床試験の基本的規定は、EU 臨床試験指令5である。EU 臨床試験指令は、欧州議会（the European Parliament）および欧州連合理事会（Council of the European Union）において、EU域内における臨床試験に対する管理規定を簡素化および統一する目的で、2001年4月4日に決議されている。なお、EUにおける指令（Directive）は、各国内で直接適用されるものではなく、EU域内における統一的な法規制を志向するものであって、EUから各加盟国に対して、一定の内容の規制を制定・施行することを求める。各加盟国はこの指令に従って自国内において法令を制定または修正し、かかる法令が当該国内において法的拘束力を有することとなる。例えば、英国においてはThe Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 (SI 2004/1031)として2004年に立法されており、英国内で実際に適用されるのはEU臨床試験指令ではなく、この法令である。

同様に、フランスでは2004年8月9日法律第806号および2006年4月26日政令第477号が制定されており、他の加盟国においても同様に国内法が制定されている。本稿においては、EU域内における全般的な規制を考察するので、主にEU臨床試験指令を検討する。

EU臨床試験指令は、臨床試験結果の公開にとどまらず、臨床試験全般について規定している。中でも、臨床試験の対象者の保護（3条以下）について手当がなされており、保護についての一般的なルールを規定する3条に加え、未成年者およびインフォームド・コンセントを提供することができない成人に関する追加的な保護のルールが定められる（4条、5条）。また、6条として倫理委員会に関する規定が置かれている。

### (2) 適用の対象

EU臨床試験指令の適用対象は臨床試験（clinical trial）とされ、非介入試験（non-interventional trial）には適用されない（1条1項）。clinical trialとは、単一もしくは複数の試験薬の臨床的、薬理学的もしくはその他の薬力

学的な効果を発見もしくは確認する目的、単一もしくは複数の試験薬の副作用を確認する目的、または単一もしくは複数の試験薬の安全性もしくは効能を確認するためにその吸収、薬剤分布、代謝もしくは排泄を研究する目的で行われる、人体に対する試験と定義している（2条(a)）。複数国にまたがることのある多施設試験も、臨床試験の定義に含まれる（2条(a)）。

他方で、non-interventional trialは、医薬品が製造販売承認の条件に沿って通常の方法で処方される試験と規定されている（2条(c)）。非介入試験とされるためには、患者に対する治療方針が試験のプロトコールによって予め定められているのではなく、当該時点でのプラクティスに沿っていなければならない、薬の処方当患者を試験に含める決定とは明確に区別されなければならない（2条(c)）。また、非介入試験とされるためには、患者に対して追加的な診察またはモニタリングが行われてはならず、収集されたデータに対して疫学的な分析が加えられるものでなければならない（2条(c)）。上記のようにEU臨床試験指令の適用対象となる臨床試験の範囲は広く、我が国においてGCPの対象となるような製造販売承認取得目的の試験のみならず、既に製造販売承認を取得済みの医薬品を適応外で用いる場合、その他医薬品を人に対して投与することにより新たな情報を得るための試験は、EU臨床試験指令の規律を受けることとなる。

### （3）公開に関する細則

EU臨床試験指令に基づく情報公開に関する規定としては、Regulation (EC) No 726/2004（いわゆるEU Pharmaceutical Legislation）およびRegulation (EC) No 1901/2006の2つが挙げられる。

EU Pharmaceutical Legislationは人または動物に用いる医薬品に関する規定であり（EU Pharmaceutical Legislation 1条第1パラグラフ）、Regulation (EC) No 1901/2006は、小児に対する特定の治療に適合するように開発される人に用いる医薬品に関する規定である（Regulation (EC) No 1901/2006 1条）。

EU Pharmaceutical LegislationではEUの欧州医薬品庁（EMA）が実施すべき事項として医薬品に関するデータベースを構築して、これを一

般に公開し、定期的に最新の内容に更新することが規定されている。（57条1項(I)）。小児用医薬品については、後掲のEudraCT個別項目リストとは別にEudraCT個別項目リスト（小児用医薬品）が設けられ、詳細は後述するが公開の範囲が多少異なっている。

また、EU Pharmaceutical Legislation 57条2項第3パラグラフは、欧州委員会ガイドラインにもとづいて、データベースに含めるべき情報および一般公開すべき情報を明らかにする旨規定する。これを踏まえて、EU Pharmaceutical Legislation 57条2項に基づくガイダンスおよびRegulation (EC) No 1901/2006 41条に基づくガイダンスが規定されている。これらのガイダンスでは、臨床試験の結果を公開すること、および登録における手続を規定している。当該結果を入力するデータベースをEudraCTという。

これらのガイダンスは、公開対象となる臨床試験情報の個別項目のリストによって具体的に規定されている。上記の医薬品一般および小児用医薬品の区別に対応して、2つのリストが存在する。本稿では、便宜上、医薬品一般に関するリストを「EudraCT個別項目リスト」といい、小児用医薬品に関するリストを「EudraCT個別項目リスト（小児用医薬品）」という。

なお、EMAは、2015年1月1日付けでEU Pharmaceutical Legislation 80条を踏まえて、継続的に透明性に関する取り組みを実施するため、臨床試験情報の公開に関するEuropean Medicines Agency policy on publication of clinical data for medicinal products for human use (Policy 0070)を作成した。

### （4）公開の対象

#### （ア）製品情報

データベースにおいて公開の対象となる項目には、製品の特性の概要、患者または使用者のための添付文書、包装上の表示が含まれる（EU Pharmaceutical Legislation 57条2項第1パラグラフ）。

#### （イ）臨床試験情報

また、「本件データベースは、Directive 2001/20/EC 11条に基づいて提供される臨床試験データベースに含まれており、現在実施され、ま

たは既に完了した臨床試験に関するデータに対する参照を適切な時期に含めなければならない。」(第3パラグラフ)と規定されており、医薬品の製品情報を公開することに加えて、臨床試験に関する情報を EudraCT 経由でアクセス可能にする旨規定されている。もともと、これらの情報は、臨床試験の内容、開始および終了について加盟国の当局に対して開示し、加盟国当局間で同一の情報を共有するために作成された European データベースに含まれる情報である (EU 臨床試験指令 11 条)。これらの内容を踏まえて、公開の対象となる項目は、EudraCT 個別項目リストに規定されており、別紙 1 記載のとおりである。

#### (ウ) 臨床試験結果情報

EudraCT 個別項目リストにおいては、当該リスト公表時 (2009 年 2 月 4 日) 時点では、情報公開の対象としていないが、今後 EudraCT において臨床試験の結果を公表すべきであると規定している。公開の対象となる項目は別紙 2 のとおりである。

小児に対する臨床試験については、EU 臨床試験指令 11 条に基づいて作成された European データベースに含まれる情報として、合意された小児臨床試験計画に含まれる第三国で実施された臨床試験、ならびに EU 臨床試験指令 1 条および 2 条に規定する臨床試験が規定されており

(Regulation (EC) No 1901/2006 41 条 1 項第 1 パラグラフ)、これらの臨床試験の結果の詳細は公開の対象である (同条 2 項)。また、中止した臨床試験や、第 I 相臨床試験に関する情報も公開の対象に含まれる。

#### (エ) ファーマコビジランス情報

EMA は、加盟国および欧州委員会と協力して、EU 内で承認された医薬品に関するファーマコビジランス情報を照合するためのデータベースおよびデータ処理ネットワークを立ち上げおよび維持しなければならない。当該データベースは EudraCT と別のデータベースであり、Eudravigilance データベースと呼ばれる (EU Pharmaceutical Legislation 24 条 1 項第 1 パラグラフ)。

#### (5) 公開の方法

スポンサーが情報を登録して、EudraCT データベース等によって一般に公開される。

#### 2. リアクティブな開示・裁判例

##### (1) 概要

臨床試験情報の公開には、上述のデータベースへの登録というプロアクティブな公開に加えて、情報開示請求に応じたリアクティブな公開の場合がある。

EU では、EU 機能条約 15 条・EC 条約 255 条に基づいて、欧州議会、欧州連合理事会および欧州委員会の文書にアクセスする権利が規定されており、当該文書に対する可能な限り広範なアクセスを確実にするため、Regulation (EC) No 1049/2001 が規定されている (Regulation (EC) No 1049/2001 1 条(a))。更に、Regulation (EC) No 726/2004 の 73 条により、EMA の情報も情報公開請求の対象となることとされており、EMA は施行規則を定めるほか、Policy 0043 を発して情報公開請求経由での公開に関する原則を定めている。ここにおいては、原則として請求があればアクセスコントロール無しに自動的に開示がなされるが、個人情報または営業秘密に該当する情報は開示対象外となり、承認申請中の書類は開示対象外とされる。営業秘密とは、公知または一般的に入手可能ではない情報であって、それを開示することによって情報保有者の経済的利益または競争上の地位が害される可能性のある情報と定義されている (Policy 0043 第 4.1.2 項)。

この Regulation (EC) No 1049/2001 に基づく情報公開請求に関連して、いくつかの訴訟が起こされている。

##### (2) EMA v AbbVie

###### (ア) 概要 (当事者・訴えの内容・経緯)

2013 年、AbbVie, Inc. および AbbVie Ltd (以下併せて「AbbVie」という。) ならびに InterMune UK Ltd, InterMune, Inc., および InterMune International AG (以下併せて「InterMune」という。) は、それぞれ EMA を提訴した。

2012 年 11 月 13 日、大学の学生が、EMA に対して、AbbVie が製造販売承認申請中の Humira に関する 3 通の臨床試験報告書の開示を求めた。EMA は医薬品の臨床試験報告書は「秘密情報」に該当しないという判断をして、学生の申請に対

してアクセス請求を認容する決定を行い、当該決定の内容は AbbVie に 2013 年 1 月 16 日に通知された。

AbbVie が一般裁判所に対して、同月 29 日に差止めの仮処分の申請を行い、開示処分は執行停止された。その後、2013 年 4 月 25 日に、一般裁判所の長官は、EMA の第三者に対する開示決定の差止めをする決定をした。EMA が控訴して、当該差止めの仮処分に関する控訴に対する理由の有無を判断したのが、司法裁判所の副長官決定の以下の内容である。

#### (イ) 司法裁判所の副長官決定の内容

訴訟法的な論点を含めて、決定の内容は多岐にわたるが、本稿との関係では、EMA が情報開示を行うことで AbbVie が「重大かつ回復困難な損害」を被るかという論点が重要であるため、以下裁判所の決定内容を詳述する。

##### \* 開示の基準

「重大かつ回復困難な損害」が認められるためには、十分な程度での確からしさで、損害の発生が予見されることが必要であり、「重大かつ回復困難な損害」の発生可能性に関する主張を基礎づける事実については、仮処分を求める当事者が証明責任を負う。

AbbVie は、3 通の臨床試験報告書の中には秘密情報が含まれ、それが開示されれば競争者はそれを使用して医薬品を製造し、製造販売承認を得ることができるという点で、AbbVie が損害を被ると主張している。とりわけ、主張によればそれらの臨床試験報告書には、AbbVie がクローン病を適応症として Humira の承認を得るために必要な臨床研究を AbbVie が計画し、実施した方法が記載されている。

本件においては、開示によって侵害される AbbVie の利益が、営業秘密の保護に関する基本権であること（および適切な救済を求める基本権であること）をもって、重大かつ回復困難な損害の発生可能性を十分に認定できるとした一般裁判所の判断は誤っている。

他方において、金銭的な損害は、原則としては被害者を被害以前の状態に回復することが可能なので、例外的な場合を除いては回復不能とはみなされない。そのような損害は、被害者が金銭賠償を請求することによって回復することができ

る。しかしながら、金銭的な損害であっても、その損害を計量できない場合には、重大かつ回復困難な損害に該当する。

本件で主張されているのは、第三者が 3 通の臨床試験報告書に含まれる情報を将来的に利用することによって、経済的な損害を発生させる可能性である。本件においては、3 通の臨床試験報告書に含まれる情報に関して、それを個別または総合的に考慮した場合に、AbbVie がその中のいくつかの情報について重大かつ回復困難な損害を立証できる可能性は排除されない。仮処分の手続に必要な迅速性のために、裁判官が個別の情報または個別の書類毎に個別に判断することを妨げられるものではない。AbbVie が個別の情報または個別の書類に関して証拠を提出した場合には、当該情報または書類に関してのみ、仮差止めが認められるべきである。

##### \* 一部不開示の提案

以上に加えて、AbbVie は、Humira に関する文書中の情報の一部を不開示とする提案をしている。一般裁判所の長官は、このような提案に鑑みて、3 通の臨床試験報告書の一部の開示を認めながら、「重大かつ回復困難な損害」の蓋然性を回避することができるかを検討すべきであった。

司法裁判所は、以上の理由から、一般裁判所の決定を取り消し、本件を一般裁判所に差し戻した。

#### (ウ) 一般裁判所における訴えの取下げ

2014 年 7 月 17 日、当事者双方が、訴訟を継続しない旨申し入れがあったことから、一般裁判所は本件訴訟を訴訟記録から除外した。AbbVie と EMA の間で、開示すべき箇所と開示しない箇所についての合意が成立したと言われている。

#### (エ) 類似事件

AbbVie の司法裁判所における決定と同日に InterMune の事案に対する決定も出された。当該事案は、製造販売承認申請書類における 2.4 章非臨床概観、2.5 章臨床概観、2.6 章非臨床の概要および 2.7 章臨床の概要の各記載の開示が問題となった事案である。

開示の請求者は、バーリンガーインゲルハイム GmbH（ドイツ）であった。上記の AbbVie の事案に対する決定と同様、一部不開示とした上での文書の開示が認められるか判断するため、一般裁判所に審理が差し戻され、2014 年 5 月 21 日、当

事者双方が、訴訟を継続しない旨申し入れがあったことから、一般裁判所は本件訴訟を訴訟記録から除外することとした。

### (3) PTC Therapeutics International v EMA

#### (ア) 概要 (当事者・訴訟物)

原告は、PTC Therapeutics International Ltd (以下「PTC」という。)であり、European Confederation of Pharmaceutical Entrepreneurs (Eucope) が参加人として PTC を補助していた。被告は、EMA である。

EMA は、2015 年 11 月 25 日付けの決定 (EMA/722323/2015、以下、「本件開示決定」という。)において、第三者に対して、Regulation (EC) No 1049/2001 に基づいて、医薬品である Translarma の製造販売承認申請に際して提出された情報を含む文書 (以下、「本件文書」という。)についてアクセスすることを認めた。これに対して、PTC は、本件開示決定を無効にする訴えを提起した。2018 年 2 月 5 日付けで EU 一般裁判所第二部は、原告の請求を棄却した。以下、詳細について説明する。

#### (イ) 事件の経緯

EMA は、2015 年 7 月 29 日付けで、ある製薬会社から、Translarma の製造販売承認申請書類に含まれている臨床試験報告書 (clinical study report) に対する開示申請を受領した。当該報告書は、Translarma の有効成分である Ataluren に関するフェーズ 2B、プラセボ・コントロールされた、安全性および有効性に関する臨床試験に関するものであり、被験者は、ナンセンス突然変異のデュシェンヌ型およびベッカー型筋ジストロフィーに罹患している。

2016 年 7 月 20 日付けで、一般裁判所の長官は、本件開示決定の執行停止を命令し、EMA は当該命令に対して控訴したが、2016 年 7 月 20 日付けで司法裁判所副長官は控訴を棄却していた。

#### (ウ) CCI についての考え方

##### \* Regulation (EC) No 1049/2001 の解釈

原告の主張は多岐にわたるが、主要な主張として、本件文書は、Regulation (EC) No 1049/2001 の 4 条 2 項 1 行および 3 項によって、秘密性の一般的推定が働くという主張がある。Regulation

(EC) No 1049/2001 の 4 条 2 項は、政府機関が開示請求を拒否すべき場合を挙げており、第 1 行では開示によって人の知的財産権を含む商業的利益が損なわれる場合を挙げている。同 4 条 3 項第 1 パラグラフは、政府機関の内部使用文書または政府機関の決定事項に関して受領した文書であって決定が下されていないものについては原則として開示請求を拒否すべき旨が規定されている。原告は、医薬品の承認申請において申請書類に含まれる文書、特に臨床試験報告書は、上記 4 条 2 項および 4 条 3 項の適用に際しては秘密性の一般的推定を受けると主張した。当該主張に対して、裁判所は、以下のとおり判示した。

まず、Regulation (EC) No 1049/2001 2 条 3 項に基づく、EMA 文書に対するパブリック・アクセスの規定は、EMA の保有するすべての文書について適用される。しかしながら、公的または私的な利益を根拠として、一定の制約に服するのはいうまでもない。政府機関は、一定の種類の文書に関して、文書に関する検討は同種の性質を有する他の文書にも一般的に適用されると考えることが許されるが、他方において開示申請者はそのような推定にもかかわらず、請求対象の特定の文書が推定の対象外であることを主張することができる。

他方において、一定種類の文書について秘密性の一般的推定に該当する場合には、政府機関は、開示請求対象の文書が 4 条 2 項の例外に該当するかを判断するに際して、各文書をそれぞれ個別に検討しなければならないという義務から免れる。この場合、ある文書に対して秘密性の一般的推定が適用されるかの解釈については、関連する法令において当該文書に対するアクセスを個別に規律する規則を考慮しなければならない。

そして、本件において関連する書類は、2012 年に Translarma の条件付き承認の申請に際して提出されているが、当該申請は 2014 年に承認が認められることで完了しており、問題となる報告書は係属中の行政手続に関するものではない。

その上で、一般裁判所は、EU Pharmaceutical Legislation 73 条で、EMA が保有している文書について、Regulation (EC) No 1049/2001 を適用することを規定していること、EU Pharmaceutical Legislation 11 条、12 条、36 条、37 条 3 項の規定が、製造販売承認の手続きについ



て透明性を要求していること等を指摘して、医薬品の製造販売承認の申請につき提出されたファイルの文書、特に臨床試験の報告書については、Regulation (EC) No 1049/2001 および EU Pharmaceutical Legislation 等の規定に基づいて秘密性の一般的推定を受けるものではないと判断した。従って、EMA は、4 条 2 項第 1 行に基づく商業的秘密の適用の是非の判断に際しては、製造販売承認申請に関する各文書を具体的かつ個別に検討すべきであるとされた。

一般裁判所は、Regulation 1049/2001 等において、営業秘密、個人情報およびその他の個別の利益を適切に保護しながらも、文書開示の要求が否定されるのは、Regulation 1049/2001 の 4 条に規定する例外事由のいずれかに該当する場合のみと規定されていることを指摘した。更に、医薬品に関連する文書の公開に関する EMA のポリシー等を明らかにした EMA/127362/2006 および EMA/484118/2010 において、EMA は臨床試験報告書を医薬品の承認申請手続が終了した時点で公開されるべきものと考えていることが指摘された。

また、一般裁判所は、判断の時点においては EU 臨床試験規則が適用されないとしつつ、当該規則が、秘密性の一般的推定を予定していないことも指摘している。当該規則は、前文 68 項から明らかであるように、製造販売承認が付与された後、臨床試験報告書が、原則として公衆に対してアクセス可能になるという方針を採用している。

EU Pharmaceutical Legislation や EU 臨床試験規則といった関連法令の規定の内容を考慮して、制度の解釈上、開示の可否を導いたものと評価できる。

#### \* Data Exclusivity / TRIPS との関係

原告は、そのほかにもデータ保護制度の保護期間や TRIPS 協定等に関連して主張を展開したが、データ保護の制度と本件文書の開示は無関係であること、TRIPS 39 条 2 項および 3 項は、医薬品の製造販売承認申請において提出された情報の開示に対して、知的財産が絶対的に優越することを意味するものではないこと等を理由に、原告の主張は退けられている。

#### \* 競争者のロード・マップ

次に、原告は、報告書に対してアクセスを付与することで、競争者が自己の利益のために報告書

に含まれる情報およびデータを利用できること、ゆえに、競争者が関連した医薬品について自己名義の製造販売承認を取得する「ロード・マップ」を提供することになることを主張して、EMA が報告書を商業上秘密に該当しないとした点について法律の解釈の誤りがあると主張する。

しかし、Regulation 1049/2001 の 4 条 2 項第 1 行の例外を適用するためには、対象の文書が、開示された場合には人の商業的利益を深刻に害するおそれのあることを示す必要がある。原告は、モデル、分析または方法論の新規性を証明することに失敗しているという判断を裁判所は示した。その理由として、EMA が指摘するとおり、臨床試験で用いられるモデルおよび測定方法は、被験者選定、エンドポイントおよび統計的解析に関するノウハウを基礎としているが、これらは科学的なコミュニティで広範に用いられており、適用されるガイドラインに従ったものであり、だからこそ最先端の原理に基づくものであるという点が指摘された。

#### (エ) 一部非開示の内容

更に裁判所は、本件文書は、アメリカ食品医薬品局（以下「FDA」という。）とのプロトコル・デザインに関する協議、バッチ・ナンバー、原料および器具、説明的測定、定量的および定性的な医薬品の濃度測定に関する方法に関する説明、治療の開始日および終了日、ならびに患者の特定につながる日付が、EMA によってプロアクティブに一部非開示とされていることからすると、医薬品 Translarma の化合物や製造方法に関する情報を含まないとと言えることから、報告書の開示は、原告の競争者に対して、Translarma について既に利用可能である情報に加えて、長期的な臨床開発戦略および試験デザインに関する価値のある知見をもたらすものではないことを指摘した。

また、裁判所は、EMA 自身のポリシーに則り、EMA が医薬品の品質および製造の細目に関する情報のような営業秘密を非開示としているにもかかわらず、原告は EMA による非開示範囲が不十分だとする証拠を提出していないことを指摘した。

以上の理由から、裁判所は原告の請求を棄却した。

### (オ) 類似事件

本決定と同日付けで **Pari Pharma GmbH** を原告、**EMA** を被告（フランス共和国および **Novartis Europharm Ltd** が参加人として被告に協力していた。）として、原告が製造販売承認を保有する **Vantobra** の **EMA** ヒト用医薬品委員会（**CHMP**）評価報告書の開示に対して争った事案および、**MSD Animal Health Innovation GmbH** および **Intervet international BV**（以下「**Intervet**」という。）を原告、**EMA** を被告として、**Intervet** が製造販売承認を有する動物用医薬品 **Bravecto** の 5 通の毒性試験報告書の開示について争った事案についても、決定がなされた。一般裁判所は、両事案について **PTC** の事案と同様の理由付けで請求を棄却している。

## 3. EU 臨床試験規則に基づく規制

### (1) 概要

EU 臨床試験規則が 2014 年 4 月 16 日に採択された。EU 臨床試験指令は撤回され、今後は EU 臨床試験規則が EU 臨床試験指令に代わる欧州における臨床試験に関する基本的なルールとなる。前述のとおり、EU における指令（**Directive**）は、EU 域内における統一的な法規制を志向するものであって、EU から各加盟国に対して、一定の内容の規制を制定・施行することを求める一方で、「規則」（**Regulation**）は、直接に加盟国内で法的拘束力を有する。このため、欧州委員会は、EU 臨床試験規則によって、EU による加盟国に対する、より強度のコントロールを進めることになった。

EU 臨床試験規則は、EU 領域内において臨床試験手続の規則の平仄を合わせることが特徴である。スポンサーに対するメリットとしては、EU ポータルを通じて登録することにより、単一の申請によって、EU 加盟国各国における申請が可能になる（EU 臨床試験規則前文 5, 24 項）。加えて、臨床試験データベースの透明化が進められる（同 25 項）。

### (2) EU 臨床試験規則の適用の対象

EU 臨床試験規則の適用対象は、臨床試験（**clinical trial**）とされ、非介入試験（**non-interventional trial**）には適用されない（1 条 1 項）。これは EU 臨床試験指令と同様である。

EU 臨床試験規則は、まず、「**clinical study**」を、あらゆる人に関連する研究で、①単一もしくは複数の試験薬について臨床的、薬理学的もしくはその他の薬力学的効果を発見もしくは証明すること、②単一もしくは複数の試験薬について副作用を確認すること、または③試験薬の安全性および／もしくは効能を確認するために、吸収、薬剤分布、代謝および排泄を研究する目的で行われること、のいずれかに該当するものとして定義する（2 条 2 項 1 号）。

その上で、①治療方針について、臨床試験参加者に対する割付けが事前に規定されており、加盟国における日常的な診療の範囲を超えるもの、②臨床試験参加者の臨床試験への組入決定に従って、試験薬（**IMP**）の処方が決定されるもの、または③通常の診療に加えて、追加的に診断・観察を実施するもののいずれかに該当する「**clinical study**」を「臨床試験」（**clinical trial**）と定義しており、EU 臨床試験規則の適用の対象としている。

### (3) 公開に関する EU 臨床試験規則の規定

EU 臨床試験規則 80 条以下が、公開に関する規定であり、これらの規定に基づいて EU ポータルおよび EU データベースが規定されている。EU ポータルおよび EU データベースに関する細則として、**Functional specifications of the EU portal and EU database to be audited - EMA/42176/2014**、および、**Appendix, on disclosure rules, to the “ Functional specifications for the EU portal and EU database to be audited - EMA/42176/2014 ” - EMA/228383/2015**（以下「**Appendix**」という。）が制定されている 23。

### (4) EU ポータルおよび EU データベースの仕組み

EU ポータルおよび EU データベースは、臨床試験データベースの公開を通じて臨床試験データの透明化をはかる制度の中心的なシステムである。臨床試験の申請を行う際は、EU ポータルが単一の窓口機能を果たし、スポンサーは、EU ポータルを通じて EU 臨床試験規則上求められる情報を提供する。

EU ポータルは、高度に技術化され、かつ不要

な作業が発生しない、ユーザーによって使いやすい仕様でなければならない（EU 臨床試験規則 80 条）。そして、EU データベースは、一般的にアクセス可能にする必要があり、データは検索可能な形式で提供される必要がある（EU 臨床試験規則前文 67 項）。

臨床試験に関連するあらゆる情報は、EU ポータルを通じて EU データベースに格納される（EU 臨床試験規則前文 67 項）。まず、EMA は、加盟国および欧州委員会と協力して、EU 臨床試験規則に基づく臨床試験のデータおよび情報の提出につき、連合レベルで単一化した申請窓口として EU ポータルを設立および維持する（EU 臨床試験規則 80 条）。そして、臨床試験の透明性のレベルを十分に高めるために、臨床試験に関連するあらゆる情報は、EU ポータルを通じて EU データベースに格納される（EU 臨床試験規則前文 67 項）。EMA は、EU データベースの運営者であり、EU データベース、EudraCT および Eudravigilance データベースの間で不要な重複の発生を防ぐ責任を負う（EU 臨床試験規則 81 条 1 項第 1 パラグラフ）。

現時点において、EMA および加盟国は、EU ポータルおよび EU データベースを作成中である。

#### （5）公開の対象

EU 臨床試験規則は、臨床試験のデータに関する透明性を高めることを主眼としている。EU の情報開示は、加盟国間の情報共有の仕組みを一般人にも適用範囲を広げる形で構築されてきた。

EU データベースは、EU 臨床試験規則に基づく申請を行うに際して必要であり、特定の臨床試験について検索するために必要な範囲で加盟国の関連する当局間での協力を可能にするために設立される。これに加えて、加盟国とスポンサーとの間でのコミュニケーションを促進し、スポンサーは、臨床試験の許可申請や重要な変更について過去に提出した書類を参照することができる。また、欧州連合の住人が、医薬品の臨床試験の情報にアクセスすることができる（EU 臨床試験規則 81 条 2 項）。

その結果、EU データベースは、一般にアクセス可能であるが、全部または一部のデータおよび情報が次の事由のいずれかに該当する場合、秘密とすることが認められる。これらの事由とは、①

Regulation (EC) No 45/2001 に基づいて個人情報保護を保護する事由、②公開によって上回る公益がない限り、商業上秘密情報（以下「営業秘密」という。）として保護される事由（特に医薬品の製造販売承認の申請状況を考慮する）、③評価報告書を準備することに関する加盟国間の秘密のコミュニケーション、または、④加盟国において、臨床試験に対する実効的な監督を進める目的、のいずれかである（EU 臨床試験規則 81 条 4 項）。また、特に、公開によって上回る公益がない限り、申請書類に含まれるデータは、臨床試験に関する判断がなされる前に、一般にアクセス可能にしてはならない（EU 臨床試験規則 81 条 5 項）。

#### （6）営業秘密について

Appendix では、「営業秘密」をデータベースに提出されたデータまたは書類に含まれている一切の情報であり、パブリック・ドメインまたは一般に利用可能な情報であって、公開することで「スポンサーの正当な経済的利益」を損なわないものと定義している（4.3.1 第 1 パラグラフ）。

臨床試験における「スポンサーの正当な経済的利益」とは、臨床試験の対象となる医薬品について製造販売承認または追加効能申請を申請することや、臨床試験によって獲得した情報が将来における研究資金の獲得を目的とすることが挙げられる（4.3.1 第 3 パラグラフ）。

スポンサーは、要件を充足する情報について、正当な経済的利益があり、営業秘密であることを主張する権利を有しており、少なくとも特定の期間について営業秘密であると主張することも可能である（4.3.1 第 3 パラグラフ）。

Appendix において、スポンサーの商業性、非商業性、または学術性等によって規制は区別されていない。営業秘密の「営業」性は、主に臨床試験の性質や、臨床試験の対象となる医薬品の状態によって判断される（4.3.1 第 2 パラグラフ）。

上記にかかわらず、開示・不開示の判断においては、公益が考慮される。公益（一般にとって情報が利用可能になるメリット）と、スポンサーが情報を一般に開示することのデメリットを比較衡量し、スポンサーのデメリットを上回る公益の有無を検討することになる（4.3.2 第 1 パラグラフ）。スポンサーのデメリットを上回る公益の有無の判断は、加盟国がアド・ホックに実施する。

このような開示は、例外的な場合にのみ認められる（4.3.2 第3パラグラフ）。

#### (7) 一部非開示

Appendix においては、臨床試験報告書における製造販売承認保有者・申請者の従業員氏名は開示すべきでない情報とされている（4.2.5）。また、中間データ解析のための臨床試験結果の概要（4.3.4 テーブル1 (g) オプション2）、臨床試験結果概要および一般人の概要（同）、加盟国による臨床試験の実施に対する効果的な監督を可能にする報告書や文書（4.5）、監査報告書（4.5.1.4）、Union Control レポート（4.5.2）、重大な違反および是正措置（4.5.3.1.6）、想定外の事象に対する報告（4.6.6）、製造販売承認申請者によって提出された、臨床試験報告書（4.7.2）については、営業秘密および個人データ等、前述の EU 臨床試験規則 81 条 4 項上の例外に該当する個所を申請者または EMA が一部非開示とすることが認められている。

その具体的な方法は、External guidance on the implementation of the European Medicines Agency policy on the publication of clinical data for medicinal products for human use に記載されている。

#### (8) 公開の方法

スポンサーが情報を登録して、EU ポータルによって一般に公開される。なお、臨床試験に対する EU 臨床試験規則の適用は、当初は 2018 年 10 月を予定したが、延期されて 2019 年を予定している。

### 米国における臨床試験情報公開

#### 1. 法令

##### (1) 概要

医薬品に関する一般的規定として FDAAA が規定されている。FDAAA は、医薬品・医療機器の安全性強化を目的として、連邦議会の決議を経て、2007 年 9 月 27 日に成立した。市販後安全性監視に関連して新たに FDA に権限を付与すること等、FDA の権限を強化することを主要な内容としている。その中で、本稿との関係では、公衆衛生法（42 U.S.C. 282）に、新しく 402 条(j)を設ける

ことを目的とした情報公開に関する第 8 章 (Title VIII) が重要であり、FDAAA801 と呼ばれている。臨床試験登録の要件に違反した場合等の罰則が設けられているほか、登録義務の対象となる試験の範囲を拡大している。FDAAA 制定以前は、重篤または生命を脅かす疾患を対象とした臨床試験が FDA 近代化法 113 条 (Section 113, Food and Drug Modernization Act : FDAMA 113) により登録対象とされていた。

そして、臨床試験情報提出の要件および手続等について規定した、公衆衛生法 402 条(j)に関連する規則である 42 Code of Federal Regulations (CFR) 11.2 が存在する。

また、FD&C Act に製造販売後臨床試験 (post-marketing clinical trial) にかかる規定が設けられている。

##### (2) 適用の対象

「適用のある医薬品臨床試験」は、コントロールされた臨床試験であり、第 I 相以外の clinical investigation で、FD&C Act505 条、FDAAA 351 条に基づく医薬品に関するものをいう (FDAAA801 条 (a)(1)(A) (iii))。clinical investigation とは、1 人または複数の人間を対象とした、医薬品を投与し、処方し、または使用する研究をいう。この場合、研究とは、治療の過程で上市されている医薬品を使用する以外の医薬品の使用のことをいう。医療機器に関する臨床試験についても同様の定義がなされ、適用のある医療機器臨床試験と適用のある医薬品臨床試験を合わせたものが「適用のある臨床試験」と定義される (801 条(a)(1)(A)(i))。

米国国立衛生研究所（以下「NIH」という。）によって資金が提供される臨床試験に関する情報については、第 I 相の臨床試験であっても、情報を公開しなければならない (NOT-OD-16-149)。

##### (3) 公開の仕組み

FDA 長官は、医薬品一般に関する臨床試験の登録データバンク（以下「登録データバンク」という。）を管理し、NIH の所長が当該データバンクを一般に公開する。そして、FDA 長官は、患者の登録を促進して、臨床試験の経過を追跡可能にするメカニズムを提供するために、NIH の所長を通じて、登録データバンクを拡張しなければなら

ない。NIHの所長は、登録データバンクをインターネットを通じて一般に利用可能にする義務を負う（FDAAA 801条(a)(2)(A)(i)）。

#### (4) 公開の対象

##### (ア) 医薬品一般の場合

FDAAA上、公開が要求される情報として、FDAの保有する臨床試験に関する情報がある。まず、適用のある医薬品臨床試験に関する別紙3記載の情報を記載する必要がある（FDAAA 801条(a)(2)(A)(i)）。また、臨床試験の結果に関する次の情報を登録データバンクに含める必要がある。まず、①諮問委員会は、臨床試験が適用のある医薬品臨床試験に該当すると考えた場合、当該適用のある医薬品臨床試験に関するFDAの概要文に対するリンクを登録データバンクに含めなければならない。また、②FD&C Act 505条Aまたは505条B（小児医薬品）に基づいて適用ある医薬品臨床試験が実施された場合、適用ある医薬品臨床試験結果に関するFDA評価資料に対するリンクを含める必要がある。これに加えて、③適用ある医薬品臨床試験の目的である医薬品または医療機器に関するFDA公衆衛生勧告（Food and Drug Administration public health advisories）がある場合には、当該勧告も掲載の必要がある。そして、④適用ある医薬品臨床試験について、FD&C Act 505条(l)(2)に基づいて要求される承認に係る一連のFDA文書（Food and Drug Administration package for approval documents）も、掲載の必要がある（FDAAA 801条(a)(3)(A)(ii)(I)）。

以上はFDA関連の情報であるが、FDA長官は、登録データバンクにつき、以下の情報に対するリンクも含めなければならない。第一に、NIHの運営するMedlineで公表されている、適用ある医薬品臨床試験に関するあらゆる文献が対象となる。次に、もし利用可能であれば、アメリカ国立医学図書館データベースにおける製品ラベルデータベースに保存されている、適用ある医薬品臨床試験の対象である医薬品に関するエントリーを公開する必要がある（同(II)）。

製造販売承認済の医薬品については、臨床試験の結果が登録の対象となる。公表すべき臨床試験の結果に関する基本情報としては、①人口統計学のおよびベースライン特性、②主要評価項目・

副次評価項目、③連絡先、ならびに④結果開示に関する合意事項がある。①人口統計学のおよびベースライン特性については、全体、および実際に臨床試験に参加した投薬群ごとの人口統計学のおよびベースライン特性の表を公開する必要があり、臨床試験から脱落した参加者の数および解析から除外された患者の数を含めなければならない。②主要評価項目・副次評価項目については、(2)(A)(ii)(I)(II)項に基づいて提出済みの主要評価項目測定基準・副次評価項目測定基準、およびそれぞれの主要評価項目測定基準・副次評価項目測定基準についての数値を投薬群ごとに記載した表を公開する必要があり、当該評価項目が統計学的有意であることを科学的に適切に試験した結果を含めなければならない。③連絡先は、臨床試験の結果に関する科学的情報に関する連絡先である。④結果開示に関する合意事項とは、スポンサーと（スポンサーが principal investigator の雇用主でない限り）principal investigator との間で、試験終了後、principal investigator による試験結果に係る発言、または科学誌や学術誌に試験結果を公表することを制限するような何らかの合意事項（もっぱら参加者のプライバシー保護に関する適用ある法律の条項に従った合意を除く。）を記載する（FDAAA 801条(a)(3)(C)）。

##### (イ) 製造販売後臨床試験に関する特則

製造販売後臨床試験については、別途FD&C Actに規定が設けられており、FDA長官との間で、医薬品について製造販売後臨床試験に関する合意をしたスポンサーは、承認の1年以内および臨床試験が完了または中止されるまで1年ごとに、臨床試験の進行状況、または臨床試験の失敗に係る理由に関する報告（以下「製造販売後臨床試験報告」という。）をしなければならない（21 U.S. Code 356条(a)(1)）。

また、製造販売後臨床試験報告については、スポンサーを特定することが必要であり、(a)項で定める臨床試験進行状況や（もしあれば）失敗の理由を証明するために必要な限度で公の情報とみなされる（(b)）。

FDA長官は、1年ごとにFederal Registerにおいて、製造販売後臨床試験に関する報告書を発行しなければならない。当該報告書は、スポンサーが実行するために締結した契約、および(a)(1)項

に基づいて提出された報告書（製造販売後臨床試験報告）における、製造販売後臨床試験の状況に関する情報を提供するものである（(c)）。

スポンサーが、FDA 長官との間で合意した臨床試験を期限内に完了することができなかった場合、FDA 長官は、FDA のインターネットサイトにおいて、①当該臨床試験が終了しなかったこと、および②FDA 長官が失敗の理由が十分でないと判断した場合は、その旨の表明を掲載する（(d)）。

(ウ) NIH によって資金が提供される臨床試験に関する規則

NIH によって資金が提供される臨床試験については、NOT-OD-16-149 という情報公開に関するルールが規定され、2017 年 1 月 18 日付けで発効している。NOT-OD-16-149 の目的は、NIH によって資金が提供される臨床試験について、広範囲かつ責任のある情報の伝達を進める点にある。NIH は、情報の伝達によって、臨床試験の結果を、知識、製品や人間の健康を向上する手段に帰着させることを目的としている。

NOT-OD-16-149 は、臨床試験のフェーズ、介入の種類、規制の遵守の有無にかかわらず適用される。たとえば、NIH によって資金が提供される第 I 相臨床試験を FDA によって規制される製品について実施する場合、NOT-OD-16-149 が適用される。この点で、FDAAA では、「臨床試験」を第 I 相以外の比較臨床試験と定義して、FDAAA の適用の対象外としている点で異なる。したがって、NIH によって資金が提供されるすべての臨床試験は、ClinicalTrials.gov に情報を登録および提出しなければならない。

NIH による資金提供を受けることを希望する者は、NIH によって資金が提供される臨床試験の情報をどのように伝達するかについての計画を策定して提出する必要がある。NIH によって資金提供がなされることが決まった場合は、受領者および治験責任医師は、提供条件に拘束され、当該計画を実行しなければならない。

(エ) 承認されなかった医薬品に関する特則

承認されなかった医薬品について、FD&C Act では、サブセクション (b) に基づいて製造販売申請の際に提出された有効性および安全性に関するデータおよび情報のうち、過去に一般に公開

されていないデータおよび情報を、請求により、一般に公開することを規定しており、製造販売承認申請を認められずすべての法的な不服申立てが主張し尽くされた場合 (B) やサブセクション (c) に基づく製造販売承認申請が撤回されてすべての法的な不服申立てが主張し尽くされた場合 (C) 等のいずれかが、公開事由として規定されている (21 U.S. Code § 355 (l))。

また、情報公開に係る Clinical Trials Registration and Results Submission (NIH-2011-0003) では、承認されなかった医薬品について臨床試験の概要文の提出を要請している。

(オ) 一部非開示に関する特則

スポンサー等は、プロトコールおよび統計解析計画書上の氏名・住所その他個人の特定につながる情報、もしくはトレード・シークレットまたは営業上の秘密に属する情報（これらは、情報公開法およびトレード・シークレット法で定義される）を修正の上、提出することができる (42 CFR 11.48(a)(5))。

(5) 公開の方法

原則としてスポンサーが情報を登録して、ClinicalTrials.gov によって一般に公開される。

2. 情報公開をめぐる裁判

(1) US の情報公開制度：FOIA

米国では、連邦情報公開法（The Freedom of Information Act、FOIA 法）に基づいて情報公開制度が定められている。医薬品の製造販売承認に関する情報を含む、行政に関する情報については、同法に従って、情報開示請求が行われ、行政が開示を行う。また、行政が開示を行わない場合は、市民が行政に対して情報開示請求を内容とする裁判（FOIA 訴訟）を提起して、情報公開がなされてきた。

(2) 情報公開をめぐる裁判

臨床試験関連の情報公開に関する 1990 年代の裁判例として、Public Citizen Health Research Group, Appellee v. FDA がある。Public Citizen Health Research Group は、医薬品の開発に先立って提出される研究新薬承認申請 (IND) に含ま

れる前臨床試験および臨床試験案の開示を求めて、FDA に対して FOIA 訴訟を提起した。FDA は一審で敗訴したが、控訴審である連邦巡回区控訴裁判所 (D.C.巡回区) は、新薬に係る製造販売承認申請 (NDA, 前掲の 21 U.S. Code § 355 (l) における、サブセクション (b) に基づく製造販売申請) に該当しないと判断して、開示を認めなかった。

近時の臨床試験結果の公表に関する訴訟としては、Treatment Action Group v. FDA の事案がある。民間団体である Treatment Action Group (原告) は、C 型肝炎に対する医薬品である Sovaldi および Harvoni のすべての臨床試験データおよび FDA と医薬品を開発した企業との間でなされたすべてのコミュニケーションの開示につき、FOIA に基づいて請求を行った。この際、FDA に対して優先処理の申し入れを行ったところ、FDA は、当該申し入れを拒否したため、原告は FDA を提訴した。2016 年 9 月 20 日に連邦地方裁判所 (コネチカット) は、当該開示請求に対する被告 (FDA) の差止めの申立てを棄却し、原告主張の優先処理の権利がある旨の略式判決を求める請求を棄却し、あわせて被告の優先処理に関して原告の請求を棄却する略式判決を求める申立てを認容した。裁判所は、現在 FDA が情報を作成中であることを踏まえて、今後作成のスケジュールについて裁判所同席で協議をすることを命じた。

## 日本における情報公開の現況

### 1. 臨床研究法について

臨床研究法は、2017 年 4 月 14 日公布され、2018 年 4 月 1 日に施行された。臨床研究の実施の手続、認定臨床研究審査委員会による審査意見業務の適切な実施のための措置、臨床研究に関する資金等の提供に関する情報の公表の制度等を定めることにより、臨床研究の対象者をはじめとする国民の臨床研究に対する信頼の確保を図ることを通じてその実施を推進し、もって保健衛生の向上に寄与することを目的とする (臨床研究法 1 条)。厚生労働大臣は、厚生労働省令で、臨床研究の実施に関する基準 (以下「臨床研究実施基準」という。) を定めなければならない (臨床研究法 3 条 1 項)。臨床研究法施行規則 (厚生労働省令 17 号) 8 条で、臨床研究の実施に関する基準は、次条か

ら 38 条までに定めるところによる、と規定されており、24 条で臨床研究の結果の公表に関する規定が置かれている。

研究責任医師は、臨床研究を実施する場合には、あらかじめ、臨床研究を実施するに当たり世界保健機関が公表を求める事項その他の臨床研究の過程の透明性の確保および国民の臨床研究への参加の選択に資する事項を厚生労働省が整備するデータベースに記録することにより、当該事項を公表しなければならない (臨床研究法施行規則 24 条 1 項 1 文)。研究責任医師は、臨床研究の内容に関する事項 (臨床研究法施行規則 14 条 4 号) として記載した主たる評価項目に係るデータの収集を行うための期間が終了したときは原則としてその日から 1 年以内に主要評価項目報告書を、当該臨床研究の内容に関する事項として記載した全ての評価項目に係るデータの収集を行うための期間が終了したときは原則としてその日から 1 年以内に研究計画書につき一の総括報告書 (臨床研究の結果等を取りまとめた文書をいう。) およびその概要を、それぞれ作成しなければならない (臨床研究法施行規則 24 条 2 項)。研究責任医師は、主要評価項目報告書または総括報告書およびその概要を作成したときは、遅滞なく、実施医療機関の管理者に提出するとともに、主要評価項目報告書または総括報告書の概要を公表しなければならない。

特定臨床研究を実施する研究責任医師は、前項の規定による提出をしようとするときは、あらかじめ認定臨床研究審査委員会の意見を聴くとともに、当該認定臨床研究審査委員会が意見を述べた日から起算して 1 月以内に 1 項の規定による公表をしなければならない。この場合において、当該研究責任医師は、同項の規定により、総括報告書の概要を提出をしたときは、速やかに、当該総括報告書の概要に加えて、研究計画書および統計解析計画書 (統計的な解析を行うための計画書をいう。) を作成した場合にあっては、当該統計解析計画書を添えて厚生労働大臣に提出しなければならない (臨床研究法施行規則 24 条 5 項)。特定臨床研究を実施する研究責任医師は、特定臨床計画の実実施計画 (臨床研究法 5 条 1 項) もしくは当該計画の変更計画 (臨床研究法 6 条 1 項) の提出をした場合、実施計画軽微変更 (臨床研究法 6 条 3 項) の規定による届出をした場合または総括

報告書の概要の厚生労働大臣への提出をした場合にあっては、1項の公表を行ったものとみなす（臨床研究法施行規則24条6項）。

## 2. 営業秘密に関する法制

### (1) 公務員の守秘義務

国家公務員および地方公務員は、公務員は、職務上知ることのできた秘密を漏らしてはならず、守秘義務を負う。したがって、臨床試験に関する情報を公開する場合は、①当初より臨床試験に関する情報が、守秘義務の対象外である、または②臨床試験に関する情報について、守秘義務を解除する法的な根拠があることが必要となると解される。

### (2) 「秘密」の定義

ここで、「秘密」とは、行政機関が秘密指定していることに加えて、実質的にも秘密として保護に値することを要する、と考えるのが、最高裁の判断である。したがって、①守秘義務の対象外である、というためには、秘密指定がない、または秘密としての保護の必要性がない、ということを示す必要があると解される。

### (3) 情報公開制度

国民の請求によって、行政機関は、行政文書を公開することができ、行政機関の保有する情報の公開に関する法律（以下「情報公開法」という。）が規定されている。情報公開法は、その法律の趣旨を「行政文書の開示を請求する権利につき定める」、「政府の有するその諸活動を国民に説明する責務が全うされるようにする」（1条）と規定し、国民に情報公開請求権を法律によって認め、また、政府の説明の責務を制度の根拠としている。

具体的には、何人も、この法律の定めるところにより、行政機関の長に対し、当該行政機関の保有する行政文書の開示を請求することができる

（3条）。当該請求に対応して、行政機関の長は、開示請求があったときは、開示請求に係る行政文書に次の各号に掲げる情報（以下「不開示情報」という。）のいずれかが記録されている場合を除き、開示請求者に対し、当該行政文書を開示しなければならない（5条1項柱書）。個別の「不開示情報」に該当する事由については、後掲の東京地判平成19年1月26日に詳しい。もっとも、行政

機関の長は、開示請求に係る行政文書に不開示情報が記録されている場合であっても、公益上特に必要があると認めるときは、開示請求者に対し、当該行政文書を開示することができる（7条）。

### (4) 国民の請求によらない情報公開

国民の請求によらない情報公開の例として、①ハザードマップ、②出願公開、③制裁としての公表の例を紹介する。

行政機関は、国民に有益な情報を公開する等の目的で、国民の請求を待たずに情報を公開する場合がある。まず、災害の洪水による被害をできる限り少なくするため、洪水氾濫時に想定される浸水区域図（浸水想定区域図）を公表する制度が整備されており、「洪水ハザードマップ」と呼ばれている。水防法14条1項を根拠に、都道府県知事は、河川が氾濫した際に浸水が想定される区域を浸水想定地域として指定することができ、浸水想定区域をその区域に含む市町村の長は、住民に周知させるため、浸水想定区域について記載した印刷物の配布その他の必要な措置を講じる義務を負う（法15条3項）。なお、津波や火山の爆発による被害が予想される地域についても、地域防災計画に基づいて（或いは事実上）ハザードマップが作成されているところがあり、これらは法律に基づくものではない、とされる。

行政が保有する情報を公開する制度として、特許法の出願公開制度（特許法64条1項）がある。特許庁長官は、特許出願の日から一年六月を経過したときは、特許掲載公報の発行をしたものを除き、その特許出願について出願公開をしなければならない。65条1項に規定する出願公開の請求があつたときも、同様である。なお、出願公開前に特許出願が、取下げ、放棄または却下され、あるいは拒絶査定が確定した場合、出願公開はなされないが、出願公開作業との関係から実際上出願公開がされてしまう場合がある。

また、行政は違反行為を間接的に抑止するため、違反行為に対する制裁として違反者に関する情報の公表をすることがある。このような場合においては、公表の目的は情報提供を主たる目的とすべきであり、また、公表について法律または条例の根拠が必要であるという見解がある。

## 3. 治験情報に係る情報公開開示請求訴訟



## (1) 概要

特に、治験情報を公開するにあたって重要なのが、抗がん剤（イレッサ）の動物実験および臨床実験等に関する行政文書の開示請求に係る訴訟である。東京地裁・東京高裁では情報に対する企業の利益を比較的重視する判断をした点が特徴である。

原告らは、情報公開法に基づいて、抗がん剤（イレッサ）の動物実験および臨床実験等に関する行政文書の開示請求を行った。被告（厚生労働大臣）は、参加人が提出したイレッサの製造販売承認申請書の添付文書の一部を開示したが、その他の部分について、不開示決定をした。不開示決定につき、原告らが取消訴訟を提起した。原告らの請求に対して、被告が特定した文書は毒性試験報告書および臨床試験報告書であった。

論点は多岐にわたるが、おおむね承認申請者の売上げ・利益が減少し、相対的に競争力の低下という事態を招きかねないこと、それに比して、競合者が、類似試験実施時に、承認申請者が利用した施設を試験の委託先の候補に加えたり、これを実際の委託先に決定したりすることも起こり得ることで、試験の委託・新薬の開発をより迅速かつ効率的に進めることが可能になることを理由に、法人の利益を害する（法5条2号イ）と判断している。

また、上記の各情報が開示されても直ちに毒性試験の正確性・信憑性の検証が可能になるとは認め難く、開示により人の生命または健康の保護に資することが相当程度具体的に見込まれる場合とは言えないので、公益上の開示が認められない（法5条2号ただし書または1号ロ）と判断している。以下、具体的に裁判例を検討する。

## (2) 東京地方裁判所の判断（東京地判平成19年1月26日）

被告の不開示決定につき、本件査察情報および本件日付情報（以下で定義する。）をのぞき、いずれも被告の不開示決定を支持している。

### (ア) 毒性試験報告書記載の実験施設およびその部署の名称、ならびにその住所、電話番号、ファックス番号およびメールアドレス

東京地裁は、以下の理由で「公にすることにより、当該法人等または当該個人の権利、競争上の

地位その他正当な利益を害するおそれがあるもの」（法5条2号イ）に該当すると判断した。

スポンサーの不利益として、競合する医薬品が早期に市場で売り出されることにより、自身の売上げ・利益が減少し、相対的に競争力の低下という事態を招きかねないことを指摘している。

一方で、競合者が、類似の試験を実施するに当たって、上記実験施設を試験の委託先の候補に加えるほか、これを実際の委託先に決定することも起こり得ることで、試験の委託、ひいては、新薬の開発をより迅速かつ効率的に進めることが可能になることを指摘している。

また、情報を開示しても、毒性試験に関与した実験施設を特定・識別することができるようになるだけであって、そのことから直ちに毒性試験の正確性・信憑性の検証が可能になるとは認め難いのであって、ひいては、その開示により人の生命または健康の保護に資することが相当程度具体的に見込まれる場合に当たるものとはいえないと述べて「人の生命、健康、生活または財産を保護するため、公にすることが必要であると認められる情報」（法5条2号ただし書または1号ロ）に該当しないと判断した。

東京高裁（東京高判平成19年11月16日。以下同様。）も、以上の結論を支持している。

### (イ) 毒性試験報告書記載の試験責任者、病理担当者、試験従事者および信頼性保証部門担当者の氏名、署名、所属、役職および資格、ならびに引用文献の人名

東京地裁は、これらの情報は、「法令の規定によりまたは慣行として公にされ、または公にすることが予定されている情報」（法5条2号イ）に該当せず、当該個人が公務員等であり、当該情報がその職務の遂行に係る情報である場合における開示事由（法5条2号ハ）にも該当しない、と判断した。

また、情報を開示しても、毒性試験に関与した個人を特定・識別することができるようになるだけであって、そのことから直ちに毒性試験の正確性・信憑性の検証が可能になるとは認め難いのであって、ひいては、その開示により人の生命または健康の保護に資することが相当程度具体的に見込まれる場合に当たるものとはいえないと述べて「人の生命、健康、生活または財産を保護す

るため、公にすることが必要であると認められる情報」(法5条2号ただし書または1号ロ)に該当しないと判断した。

東京高裁も、以上の結論を支持している。

(ウ) 毒性試験報告書記載のプロトコール(治験実施計画書)承認日、初回投与日、最終剖検日、報告日および署名日その他の日付(本件日付情報)

東京地裁では、本件日付情報について毒性試験の内容・結果を含むほとんどの部分が開示・公表されていることを指摘し、「法令の規定によりまたは慣行として公にされ、または公にすることが予定されている情報」(法5条2号イ)であるとして開示を認めた。これに対して、東京高裁では、製薬会社は、新薬の早期の開発・販売を実現すべく、過去の経験や実績、技術等を駆使して、新薬の有効性・安全性の確保とその開発の迅速化という要請の調和を図るとともに、試験の中止や試験計画の再考という開発の長期化をもたすリスクを回避しながら、毒性試験相互のタイミング、順序等を独自に策定しているのであって、その内容およびそれを構築するための技術は、当該製薬会社のノウハウということができる、として、開示によるスポンサーの不利益を指摘した。そのうえで、ノウハウによって、競合者がイレッサの競合医薬品を開発する際に、毒性試験の実施に要する期間を短縮し、その結果、当該競合医薬品の承認に至るまでの期間をより短縮することが可能になると指摘し、不開示情報に該当するとした。

(エ) 毒性試験報告書記載の査察日および査察項目(本件査察情報)

東京地裁では、本件査察情報について毒性試験の内容・結果を含むほとんどの部分が開示・公表されていることを指摘し、「法令の規定によりまたは慣行として公にされ、または公にすることが予定されている情報」(法5条2号イ)であるとして開示を認めた。これに対して、東京高裁では、信頼性保証部門責任者による査察のタイミングと頻度およびその査察項目が明らかになり、それによって毒性試験の全体像が時系列的に示されることにつながるから、本件日付情報が開示された場合と同様に、他の製薬会社によるイレッサの競合医薬品の開発期間の短縮を可能ならしめ、1審被告参加人グループの競争上の地位を害する

おそれがあると指摘し、不開示情報に該当するとした。

(オ) 臨床試験報告書

原告らは、すべての死亡例および有害事象によるイレッサ中止例の臨床経過が記載されたすべての文書(ただし、海外の臨床試験における有害事象以外による死亡例は除く。)の開示を求めたのに対して、被告は、当該文書を臨床試験報告書と特定したうえで、不開示決定を行った。

東京地裁では、以下の理由で「公にすることにより、当該法人等または当該個人の権利、競争上の地位その他正当な利益を害するおそれがあるもの」(法5条2号イ)に該当すると判断した。参加人と競合する他の製薬会社が、独自に添付資料を収集する費用や労力を節約して同一製剤に係る申請を行い、早期に承認を得る可能性が高まるというべきであって、こうした事態が参加人の競争上の地位を害することは明らかといえる、と指摘している。

また、以下の理由で「人の生命、健康、生活または財産を保護するため、公にすることが必要であると認められる情報」(法5条2号ただし書または1号ロ)に該当しないと判断した。①個別の症例の詳細な臨床経過や判断の具体的な根拠までは記載されていないものと認められるのであるから、文書の開示によって、臨床試験における治験担当医師の判断の妥当性を検証することはできない。②緊急安全性情報の発出や医薬品添付文書の改訂が行われていることからすると、上記副作用の発生の危険性については、患者に対しても相応の情報提供がされているものとみることができるのであって、臨床試験において本来副作用と判定すべき事例がそう判定されていなかったという誤りが幾つか判明したとしても、そのことによってイレッサ錠250の安全性の評価に大きな影響が生じたり、患者の自己決定の前提が左右されたりすることになるとまでは考えにくい。③臨床試験報告書に肺毒性を否定した判断過程やその具体的根拠が記載されていると認めるに足りる証拠はないのであって、申請資料概要に記載のなかった肺の剖検および病理組織検査の結果が明らかになることによっても、肺毒性の存否に関する判断の妥当性を検証することが可能になるという。相当の蓋然性があるともいえない。

④臨床試験報告書に個別の症例の詳細な臨床経過や判断の具体的な根拠までは記載されていないことも勘案すると、これらが開示されたからといって、副作用の発現状況に関する治験担当医師の判断の妥当性を検証できる可能性は小さなものにとどまる。

東京高裁も上記の結論を支持している。

### (3) 東京高等裁判所の判断（東京高判平成 19 年 11 月 16 日）

本件査察情報および本件日付情報は、本件日付情報を製薬会社のノウハウにかかわる情報とし、また、本件査察情報を競合医薬品の開発期間の短縮を可能ならしめる情報であると判断して、東京地裁と異なり不開示決定を支持している。その他の部分については、東京地裁の判断を支持している。

## D. 考察

欧米の法制度の現況を踏まえて、臨床試験の情報公開についての概要・開示方法、公開対象、一部非開示、公開にかかるコストの諸点について考察を加える。

### 1. 概要

#### (1) 当事者

臨床試験およびその情報公開については、さまざまな当事者が存在する。論者は、①公衆または患者、②被験者、③科学的団体、④規制当局、⑤スポンサーに分類して、臨床試験のデータの公開に係るメリットを述べる。たとえば、新しい科学的な問題探索のために、臨床試験データの二次的な解析を促進するという意義、スピード・イノベーションという意義からは、①③⑤の当事者がメリットを享受する。医薬品の臨床試験報告書について利益やリスクを正確に特徴づけることを促進し、臨床試験および医薬品の社会的信頼を向上させるという点で、①③④⑤の当事者がメリットを享受する。被験者が不必要なリスクにさらされず、臨床試験への参加は科学の向上に貢献するという点について関係者の理解を高める、という点では、②③の当事者がメリットを享受する。また、臨床試験の結果を開示することで、不正があった場合におけるチェック機能も期待できる。このように臨床試験の情報公開については、多数の当事

者が複合的なメリットを享受するという見解が主張されている。

### (2) 開示の方法

開示の方法については、当局が開示する場合と医薬品企業が独自に開示する場合がある。当局の開示も、FOIA 等による請求に基づくリアクティブな開示、および一般公開によるプロアクティブな開示（データベース等を閲覧させる方法がある。）の方法がある。

医薬品企業における自主的な開示の取り組みも実施されている。国際製薬団体連合会 (IFPMA)、欧州製薬団体連合会 (EFPIA)、日本製薬工業協会 (製薬協・JPMA)、および米国研究製薬工業協会 (PhRMA) の連名で、臨床試験登録簿およびデータベースを介した臨床試験情報の開示に関する共同指針が公開され、随時アップデートされている（最終改訂 2018 年 1 月 15 日）。共同指針においては、第 I 相を含む介入試験を臨床試験と定義して、固有の識別子を付した臨床試験登録制度を推奨すると共に、1 カ国以上で承認され、上市されている薬剤に関し、患者を対象に実施された臨床試験の結果を、結果の如何にかかわらずデータベース上で公開することを推奨している。更に、製薬協は「臨床試験の登録・結果公開に関する実施要領」や「臨床試験の登録・結果公開に関する実施要領 Q&A」により、結果公開についての推奨プラクティスの細目を公表している。また、個々の製薬企業も臨床試験の開示に関する取組を行っている。たとえば、GSK, Medtronic, Merck および Roche は、独自の公開に関する基準と公開に関する判断を行う外部パネルを設置しており、研究者の開示の請求について、パネルにおいて判断を行い、開示を実施している。また、GSK では、外部独立審査パネルが、研究を承認し、治験責任医師がデータ共有契約書に署名した場合、匿名化された個別被験者レベルの臨床試験結果を提供する取り組みが行われている。開示の判断についても上記のように外部パネルが判断する方式 (learned intermediary model) の他に、スポンサーが開示の可否を判断するという方式の採用も検討されている。

### 2. 公開の対象

#### (1) 項目

## (ア) 承認されなかった医薬品

承認されなかった医薬品について、臨床試験が中止となった場合に、当該理由が公開されない場合これを検証する手段がないというリスク、公開の論文にバイアスまたはミスリーディングな記載がある場合に臨床試験の結果や内容がゆがめて伝えられてしまうというリスクがある。米国においては、中止した臨床試験・承認されなかった医薬品に関する情報を開示する運動が提唱された。その影響を受けて、EU でも当該情報を開示するため、EU Pharmaceutical Legislation 57 条 2 項に基づくガイダンスが制定された。

## (イ) 第 I 相臨床試験

第 I 相臨床試験の結果の情報を開示することについては、反対の意見が強い。第 I 相臨床試験の多くが失敗すること、取り扱いに注意を必要とする情報を開示することになること、が理由である。前述のとおり EU の制度上も第 I 相臨床試験については、小児用医薬品を除き、情報公開の対象外としている。米国においては、政府が資金を提供した臨床試験について、第 I 相臨床試験に関する情報が公開の対象とされている。

## (2) 臨床試験データの種類

臨床試験のデータは、時にプロアクティブな開示の場面において、次のような 3 種類のデータに分別されて説明されることがある。まず、カテゴリー 1 として、商業上の秘密情報が含まれる臨床データ／文書がある。商業上の秘密情報が含まれる場合には、当該情報はプロアクティブな開示の対象とならない。カテゴリー 2 として、個人情報保護の必要がない臨床データ／文書がある。さらに、カテゴリー 3 として、個人情報保護の必要がある臨床データ／文書がある。カテゴリー 2 には個別症例一覧を含まない臨床試験報告書、カテゴリー 3 には個別被験者レベルのデータが該当する。

## (3) 臨床試験データに関する議論

医薬品に係る情報の透明性の議論において、臨床試験報告書 (CSR) はもっとも重要なテーマとされている。臨床試験報告書に含まれる有害事象や死亡率等は、有益な情報であると主張されている。また、研究者は、個別被験者レベルのデータを含む完全なデータに対して開示を認めること

が、開発を促進し、医薬品に対する臨床研究を効率化すると主張する。もっとも個別被験者レベルの情報は匿名化された場合であっても、被験者の秘密保護の見地から、パブリック・ドメインにすることは、避けるべきであるという見解も主張されている。

EU では、臨床試験報告書の公開を内容とする Policy 0070 が公開されて、運用されている。学説レベルでは、臨床試験のデータは営業秘密性を有しないという見解が有力であり、前述の PTC の事案のとおり欧州裁判所も、そのような見解に依拠している。一方で、EMA は、2013 年に PhRMA / EFPIA が発表した Principles for Responsible Clinical Trial Data Sharing の内容を追認して、臨床試験報告書の内容の一部を非開示とすることを認めている。このような現状を踏まえて、EU においては、次のステップとして、臨床試験情報をどのように研究者や関連する当事者に拡散していくかが議論されている。開示の相手方について慎重な意見も存在する。ある臨床試験の参加者に対して他の臨床試験の有害な結果を開示する場合、実務的ではないという点や商業上の秘密性から、個別被験者レベルのデータではなく、概要の開示にとどめるべきであるという主張がある。

米国では、プロアクティブな開示が認められるのは、概要文レベルの情報にとどまっている。もっとも FOIA による請求においては、臨床試験情報は、生産プロセスと直接の関係がないため、営業秘密に該当しないという取扱いが確立している。学説は、以下のように指摘し、当局に対して臨床試験情報のプロアクティブな開示を求めている。

連邦当局が、法律で禁止されていない限り、保有している情報を公表することは法律に違反するものではない。FOIA 法では「営業秘密」や「個人のプライバシー」といった規定が存在するが、これらは公開の障害ではなく、当局の開示の裁量を制限することなくプロアクティブにまたは FOIA 請求に対応して、情報の開示を許容するものである。商業上または財務上のデータを許可なく公表してはならないという連邦職員に対する法律の規制はあるものの、研究者がメタ解析および二次的解析に必要な臨床試験データは、端的に「営業秘密」に該当しないし、「営業秘密」に該

当すると懸念される個所を一部非開示とすれば、公開してもよい。このように、米国では、プロアクティブな開示がなく、FOIAによって情報開示が認められてきた状況があるが、学者の中では当局の裁量に基づくプロアクティブな開示が期待されている。

更に、米国では、2015年1月、23の公的および民間のスポンサーの協力を得て Institute of Medicine (IoM) が、臨床試験情報の共有に係る実務的な仕組みに係る大部のレポートを作成している(「IoM レポート」)。IoM レポートの目的は①同様の臨床試験を行う研究者(secondary investigators)が情報にアクセスするタイミングで、臨床試験に関する結果を公開して、臨床試験情報に対してアクセスすることを可能にする、②一定の期間が経過した後または公表された分析を複製することによって、未公開の臨床試験結果について同様の臨床試験を行う研究者にアクセスを認める、③当局の承認を得て、スポンサーの商業的利益を保護し、スポンサーが投資に対する正当な経済的な対価を得られるようにする、という点にある。

IoM レポートにおいては、臨床研究のステージ毎に開示事項を推奨している。具体的には、①臨床研究登録時においては、最初の被験者の登録までに、臨床試験結果の開示計画を WHO の国際臨床試験登録プラットフォーム(CTRP)基準を満たしたデータベース上で開示すること、②臨床試験の完了から12ヶ月以内に、臨床研究のサマリー(有害事象サマリーを含む)の公開および患者サマリー(レイサマリー)の被験者への交付を行い、(規制関連の申請目的での臨床研究の場合を除き)18ヶ月以内にフルデータパッケージを公開すること、③成果発表から6ヶ月以内に発表後データパッケージを公表すること、④承認済み製品または承認済みの適応拡大については、承認から30日以内または臨床研究の完了後180日以内のいずれか遅い方の日までに、承認後データパッケージを公表すること、および承認に至らなかった新製品または新適応については、その確定日から180日以内に承認後データパッケージを公表すること(但し、当該製品が更なる開発のために第三者にライセンスされている場合には、当該データは成果発表、承認または承認されないことの確定まで、開示を要しない)、が推奨されている。

また、IoM レポートにおいては、データ使用契約を適切に利用すること、臨床研究へのアクセスが審査制の場合には独立の審査委員会を設けて、審査委員会には、患者、一般公衆、患者支援団体などの一般人を含めること、などの推奨が盛り込まれている。

### 3. 一部非開示

とくに EU においては、臨床試験の結果については公開が前提とされており、どの範囲で Redaction を認めるかという点で議論がなされている。大きくは、商業上の秘密情報(CCI)またはプライバシー該当性という見地で議論がなされている。特に商業上の秘密情報の該当性では、既に当該情報がパブリック・ドメイン、または一般にアクセスすることが可能な情報であるかどうか、イノベーション性を欠く情報か、開示が公的な利益をもたらすか(一般的または管理的情報、非臨床関連情報、臨床関連情報等の分類に従って External guidance on the implementation of the European Medicines Agency policy 54 頁以下に細目の検討が記載されている。)、一部非開示の正当化に対する十分な理由を欠くか等の分類に従って議論がなされている。

### 4. 公開にかかるコスト

臨床試験情報の公開については、開示の対象となる文書を特定して、開示に必要な同意が取得されているか確認をし、各文書における営業秘密情報・個人情報などを削除するなど、一定の随伴を伴うものであり、それに対するコストが発生する。非商用の臨床試験報告書について、完全な形式のものを提出させることは過重な負担である、という指摘がある。英国において、SANAD という試験のデータの開示に要した時間は50時間であり、3,185ポンド(約47万5019円)を要したという研究の成果がある。

## E. 結論

EU および米国においては、一般的な方向性として臨床試験情報の公開を進める方向で制度の設計や製薬会社の取り組みが進められているものの、臨床試験の情報については、営業秘密への該当性が問題とされる。また、個別被験者レベルの情報の開示については、個人の病歴の開示等プ

ライバシーの問題を内包している。臨床試験の情報・医薬品の製造販売承認に関しては、臨床試験情報の公開データベースへの登録等にプロアクティブな開示、情報公開制度に基づく請求に対応するリアクティブな開示がある。後者の場合、当局と申請者の間、当局と製薬会社等の間での裁判事例が存する。いずれの法域においても詳細な利益衡量がなされている。

## 別紙 1

### EudraCT 個別項目リストに基づく、公開の対象となる項目

#### \* 臨床試験の特定に関する情報

試験届出がされた国、EudraCT の番号、試験の完全なタイトル、容易に理解できる、技術的でない言葉で記載された、素人向けの試験の表題、名前またはもしあれば試験の略称、スポンサーのプロトコールコード番号、もしあれば追加的な国際的試験に関する特定情報 (WHO, ISRCTN, US NCT Number)、小児臨床試験計画の臨床試験の一部か、小児臨床試験計画の EMEA 判断番号

#### \* スポンサーの特定に関する情報

組織名、国、金銭または資材の提供元に関する情報 (組織名、国、スポンサーによって指名された試験の追加的な情報についての連絡先)

#### \* 試験薬 (IMP) に関する情報

試験薬の状態：試験薬に係る試験実施の有無、対照薬を使用するか、承認申請目的の有無、商品名、製造販売承認保有者の名前、承認を付与した国の名前、IMP は欧州諸共同体において小児用医薬品の効能のために設計されたものか、もしそうであれば小児医薬品設計番号

試験薬の説明：もしあれば製品名、もしあれば製品コード、個別の化合物の名前 (標準的な用語を使用する)、特別に小児用に製剤しているか、投与経路 (標準的な用語を使用する)、各有効成分の名称 (もしあれば INN または提案された INN)、その他の各有効成分の名称 (存在する限り)、分量 (使用されるすべての分量を特定する)、濃度の種類 (定数、範囲、以上、または最大)、濃度 (数値)、IMP は化学由来の有効成分を含有する

か、生物的・生物技術由来 (先進治療試験薬を除く)、先進治療試験薬 (ATIMP)、体細胞利用医薬品、遺伝子治療医薬品、組織工学製品、合剤の ATIMP、委員会はこの製品を先進医療に分類したか、もし「はい」であれば分類と参照番号、合剤 ATIMP 以外の製品に含まれる医療機器、放射線医薬品か、免疫医薬品 (ワクチン、アレルゲン、免疫血清など) か、プラズマ由来の医薬品か、他の医薬品から抽出したか、再結合医薬品、遺伝子操作器官を含む医薬品、薬草医薬品か、ホメオパシー医薬品か、その他の種類の医薬品か、そうであれば特定する

\* プラセボに関する情報：試験でプラセボを用いているか、医薬品のフォーム、投与経路

#### \* 臨床試験に関する一般的な情報

医学的状态または試験目的疾患：試験される医学的状态を特定する (自由文)、容易に理解できる、技術的でない言語で書かれた医学的状态、治療領域、MedDRA のバージョン、レベル、用語および分類コード (スポンサーによって完了される回数ごと)、必要な MedDRA のレベル、希少疾患に関する状態について試験を行うか

試験の目的：主要目的、副次目的、サブスタディ、もしあればサブスタディの完全な標題・日付およびバージョンと関連する目的、一次選択基準、一次除外基準、エンドポイント、プライマリーエンドポイント (必要に応じて繰り返す)、このエンドポイントの評価時期、セカンダリーエンドポイント (必要に応じて繰り返す)、このエンドポイントの評価時期

臨床試験の範囲：診断、予防、治療、安全性、有効性、薬物動態、薬力学、生物学的同等性、用量反応、薬理遺伝学、薬理ゲノミクス、薬剤経済学、その他、もしあれば特定する

試験のタイプおよびフェーズ (フェーズ I は公開の対象外)：探索的試験 (フェーズ II)、検証的試験 (フェーズ III)、臨床 (フェーズ IV)

試験デザイン：コントロールの有無 (ランダム化、オープン、単盲検、二重盲検、並行群間比較、クロスオーバー、その他、もしあれば特定する)、コントロールされている場合の対照薬、その他の医薬品、プラセボ、その他、もしあれば特定する、試験の投薬群の数、関係国で単一の実施医療機関、

関係国で複数の実施医療機関、関係国で予定される実施医療機関の数、複数国、EEA 内の予定される施設の数、EEA 域外で実施するか、もしそうであればどの実施医療機関であるか地域を特定する、独立したデータ監視委員会の有無、試験終了の定義と進行中の試験の最後の被験者に関する最終の訪問でない場合どのような理由か、初期的な試験終了の見込期間（年月日）、関係する MS、試験において関係するすべての国

**\* 試験対象母集団に関する予定**

年齢幅：18 歳未満、子宮内、早産児、正期産児、**Infant** と **toddler**、児童、青年、大人、老年  
性別：女、男

対照群：健康人、患者、特定の保護が必要な人、潜在的に避妊を利用しない出産可能年齢の女性、潜在的に避妊を利用する出産可能年齢の女性、妊婦、育児中の女性、緊急時、個別に同意をすることができない被験者、もしそうであれば特定する、その他、もしそうであれば特定する

予定された人数：加盟国内、複数国臨床試験、欧州諸共同体（EEA）内、全体、彼／彼女の臨床試験の参加終了後に治療または手当の計画があつて、その内容が通常の治療の状況と異なる場合その内容を特定する（自由文）

**\* 審査を実施する当局または倫理委員会の情報**：承認された臨床試験（EEA 国）・承認日、倫理委員会の意見—積極または消極・意見日、試験の募集の状況（開始していない、実行中、終了）、試験の終了の状況、グローバルの試験終了日、試験結果が利用可能になる予定日（試験終了日から 25 か月を超えない）

**\* 臨床試験の結果に関する情報**（別紙 2 参照）

---

**別紙 2**

**EudraCT 個別項目リストに基づく、公開の対象となる項目（臨床試験の結果に関する情報）**

**\* 手続的情報**：プロトコール番号、EudraCT 番号、試験報告番号、試験報告の日、小児臨床試験計画の一部の臨床試験か

**\* 試験デザイン**：ランダム化、オープン、単盲検等

**\* 試験における背景事情**：科学的背景と試験実施の原理の説明  
試験実施の原理の説明。例「利用可能な情報が無い」

**\* 試験の参加者**：参加者の適格性、情報を収集する設備・場所  
参加者の適格性：臨床試験結果の一般化可能性の評価を可能にする評価が含まれているか／除外されているか  
情報を収集する設備・場所：実施医療機関の情報、臨床試験の外部的有効性を評価するための募集に関する地理的情報

**\* 介入に関する詳細**  
各集団についての正確な介入に関する詳細、および、いつ、どのように実際に実施されたか。正確な処方量、治療の長さ、対照介入、各投薬群の追加的な治療を含める。

**\* 試験の目的**  
詳細な試験の目的：試験は回答のために計画されていること。例「XY の『適応症』に係る有効性および安全性」

**\* 評価基準**  
明確に主要評価項目測定基準および副次評価項目測定基準を定義する：評価基準および評価に関する基準日を正確に記載する

**\* ランダム化**  
allocation sequence、潜在的な偏りの評価を可能にする被験者の組入れおよび治療集団への割当

**\* ブラインディングに関する情報**：単盲検、二重盲検

**\* 統計的手法**  
主要目的のために集団を比較するため用いられる統計的手法。サブグループ解析および調整された解析などの追加的解析のためのいかなる手段

\* 参加者の手法

各ステージにおける参加者の手法（適切であればダイアグラム）。各グループに被験者がランダムに割り当てられ、目的の治療を受け、臨床試験プロトコルを完了し、および主要目的のための解析につき、指摘が必要である。個別の解析に含まれる各集団における参加者の数、および解析が「治療目的」または「プロトコルごと」に行われたかどうか、を含まなければならない。

\* 募集

募集の期間およびフォローアップを定義する日付。臨床試験の評価を可能にする歴史的背景

\* ベースライン・データ

各集団の人口統計的および治療上の特性のベースライン

\* 中断に関する情報

臨床試験は中断したか。中断に関する理由。例「募集が困難」「プロトコルの修正」等

\* アウトカムと推定

主要評価および副次評価に対しては、各集団の結果の概要ならびに予想される効果量およびその詳細（95%信頼区間）

\* 補助的改正

その他の実施された解析で、サブグループ解析および調整された解析、あらかじめ特定されたものおよび探索的なものについては、多重性の表明を述べる必要がある

\* 有害事象

各試験集団における全ての重要な有害事象または副作用

\* 試験の終了

未完成のまま試験が終了したか（Y/N）、未完成で終了した理由を述べる

\* 試験結果に関する議論と解釈

試験結果の解釈。スポンサーによるもの（もし利用可能であれば）、当局によるもの（もし利用可能であれば）

以上

---

### 別紙 3

#### FDAAA に基づく、公開の対象となる項目

##### 記述的情報

- \* 素人である一般向けの簡潔な標題
- \* 素人である一般向けの簡潔な概要
- \* 主要目的
- \* 試験デザイン
- \* 適用ある医薬品臨床試験の試験フェーズ
- \* 試験の種類
- \* 主要な疾患または試験状況、または試験の目的
- \* 介入名と介入の種類
- \* 試験の開始日
- \* 予定された終了日
- \* 被験者の数、および
- \* アウトカム、主要評価項目測定基準および副次評価項目測定基準を含む

##### 募集に関する情報

- \* 適格性に関する基準
- \* 性別
- \* 年齢制限
- \* 健康な志願者を受け入れるか
- \* 募集の最終的な状況
- \* 個別の施設に関する情報、および
- \* 適用ある医薬品臨床試験が、FD&C Act 505 条または FDAAA 351 条によって承認されていない医薬品に関するものである場合、FD&C Act 561 条によって、臨床試験に適合しない者のための拡張されたアクセスがあるかどうか、およびそのようなアクセスのためにどのように情報を収集できるか

##### 場所および連絡先に関する情報

- \* スポンサーの名前
- \* 正式な職名を記載した責任主体
- \* 施設名、および施設の連絡先情報（各実施医療機関の所在場所の市、州、郵便番号または当該所在場所情報にアクセスすることができる無料電話番号）、および

管理情報（長官が必要に応じて一般に利用可能に



する情報で以下の情報を含む)

\* 固有のプロトコール特定番号

\* その他のプロトコール特定番号 (もしあれば)

\* FDA IND/IDE プロトコール番号および記録認

証日

以上

#### **F. 健康危険情報**

該当情報なし。

#### **G. 研究発表**

##### **1. 論文発表**

なし (投稿中)。

##### **2. 学会発表**

なし。

#### **H. 知的財産権の出願・登録状況**

該当なし。

## 付属資料

### 各国の情報公開規制の詳細

笠原智恵、富岡裕司、高橋広透、三国谷亮太  
(渥美坂井法律事務所・外国法共同事業)

佐藤 元、湯川 慶子

(国立保健医療科学院 政策技術評価研究部)

イギリス、フランス、ドイツ、オランダ、アメリカ合衆国（以下、「アメリカ」という。）及び日本における、医薬品の臨床研究（医療機器を除く）の登録及びその公開について、(1)登録情報及び公開情報の内容、(2)被験者情報（個人情報）の取扱い、(3)知的財産権の成否、(4)データベースに登録されていない情報の公開及び(5)利益相反に関する現状の調査を実施した（以下、「本件調査」という。）。

本件では、4 類型に分類した上で調査を行った。

- ① 研究開発段階の臨床試験薬（上市承認前）  
であって製造販売の承認目的がある場合
- ② 研究開発段階の臨床試験薬（上市承認前）  
であって製造販売の承認目的がない場合
- ③ 市販薬（上市後）であって製造販売の承認  
目的がある場合
- ④ 市販薬（上市後）であって製造販売の承認  
目的がない場合

(1)から(4)については、以下の法律事務所に調査依頼を行った。

イギリス Mayer Brown Europe-Brussels LLP

フランス Mayer Brown Europe-Brussels LLP

ドイツ CMS Hasche Sigle

オランダ Vondst Advocaten N.V.

アメリカおよび日本 Atsumi & Sakai

以下、(1)登録情報及び公開情報の内容、(2)被験者情報（個人情報）の取扱い、(3)知的財産権の成否、(4)データベースに登録されていない情報の公開及び(5)利益相反の各事項について、調査結果を要約して報告する。

### 1. 登録情報及び公開情報の内容

#### (1) イギリス

臨床試験の登録について、イギリス独自のデータベースは存在せず、医薬品については欧州医薬品庁のデータベースに登録される。

臨床試験は、医療研究機構（HRA）により、医薬品、器具その他の臨床的介入のあらゆる臨床試験と定義されており、臨床試験のあらゆるフェーズ及び健康な被験者及び患者に対する臨床試験が含まれる。これには、商業及び非商業的な試験も含まれることから、イギリスについては、原則として①から④の4 類型において回答に違いはない（以下同じ）。

なお、EU の登録制度については、EU 加盟国の主務当局、EMA 及び EU 委員会によってのみアクセスが可能な EudraCT データベース、臨床試験に関する特定の情報が登録されるヨーロッパ連合臨床試験登録簿（EU Clinical Trial Register: EU-CTR）が存在するが、本件調査においては詳述しない（以下同じ）。

#### (2) フランス

臨床試験の登録について、フランス独自のデータベースは存在しない。なお、公衆衛生法典（Public Health Code）第 L. 1121-15 条において、「ヒトに関する研究及びその結果は、国防に関するものを除き、命令（Decree）に定める公開登録簿に記録される。」と定められている。本条は、2016 年 6 月 16 日付け政令第 2016-800 号により採択されたが、Decree は未だ採択されておらず、今後採択されるか不明である。これまで、公衆衛生法典には臨床試験の国内登録に関する規定が多く盛り込まれていたが、こうした規定は無効とされている。

公衆衛生法典第 L. 1126-12 条は、将来の欧州臨床試験に関するデータベースへの情報伝達に関し、臨床試験に関する EU 規則 536/2014（EU Regulation 536/2014 on Clinical Trials）第 37 条、第 42 条、第 43 条及び第 93 条の不遵守について刑事罰を定めている。現状及び第 L. 1126-12 条によると、フランスの臨床試験について、医薬品に関する特定のデータベースはなく、臨床試験に関する EU のデータベースのみが存在することが示唆されている。

### (3) ドイツ

ドイツには、登録済みの臨床試験情報の開示に関し、以下の3つの異なる枠組みがある。

(i) ドイツ薬事法（以下、「AMG」という。）

AMG 第 42b 項に従い、ドイツにおいて実施される検証的臨床試験（フェーズ 3、場合によりフェーズ 2）及び上市後臨床試験（フェーズ 4）の結果は、当局により公表され、当該公表はドイツ医療資料情報機構（以下「DIMDI」という。）のウェブサイトを通じて行われる（当該公表の枠組みを、以下「DIMDI」という）。

(ii) EU 医薬品規制当局臨床試験（以下、「EudraCT」という。）

臨床試験に関する指令第 2001/20/EC 号により、EU において実施されるすべての臨床試験が、検査の承認に責任を負う国家当局により、EudraCT データベースに登録される。本データベースの抜粋が、現在の「EU 臨床試験登録簿」において公開されている。この公開登録簿は、治験責任医師の臨床試験実施施設が EU/EEA である場合、フェーズ 2、フェーズ 3 及びフェーズ 4 すべての成人臨床試験（その目的にかかわらず。）並びに特定の小児科学研究の説明及び結果の要約から構成される（当該公表の枠組みを、以下「EudraCT」という）。

(iii) 欧州医薬品庁（以下、「EMA」という。）

「人用医薬品に係る臨床データ公開に関する」EMA ポリシー第 0070 号により、EMA は、集権化された手続の下、製薬会社が提出した臨床データを公表する（当該公表の枠組みを、以下「EMA ポリシー」という）。

原則として、公開について①から④の 4 類型において回答に違いはない。しかし、上記枠組みごとに公表の内容等は異なる。

(i) DIMDI: フェーズ 3 及びフェーズ 4 研究（その目的にかかわらず）の研究結果のみ

(ii) EudraCT: フェーズ 2、フェーズ 3 及びフェーズ 4 すべての研究（その目的にかかわらず）の詳細及び結果の要約

(iii) EMA ポリシー:（最初の）上市承認取得のため（フェーズ 1 からフェーズ 3 の研究データ）、

又は既に承認済みの市販薬について異なる承認の取得のため（フェーズ 4 の研究データ）、承認取得者が EMA に対して提出するすべての臨床試験データ

本稿ではドイツ特有の事項である DIMDI についてのみ記載する

ICH E 3 ガイダンス及び第 42b 項に従い、DIMDI で開示される臨床試験結果の要約には、以下に関する情報が含まれる。

(i) 治験依頼者名/会社名

(ii) 商品名

(iii) 有効成分の名称

(iv) 申請文書中の該当箇所（分冊番号、頁）である各臨床試験の要約表

(v) 治験責任医師

(vi) 研究センター

(vii) 公表文献（引用文献）

(viii) 研究期間（年数）、最初の患者の組入れ日、最後の患者の完了日

(ix) 開発のフェーズ

(x) 目的

(xi) 方法

(xii) 患者数（計画時及び解析時）

(xiii) 診断及び主要な組入れ基準

(xiv) 被験薬、用量及び投与方法、ロット番号

(xv) 治療期間

(xvi) 対照治療、用量及び投与方法、ロット番号

(xvii) 有効性、安全性の評価に関する基準

(xviii) 統計手法

(xix) 要約？ 結論：有効性の結果、安全性の結果、結論

(xx) レポートの日付

DIMDI では、AMG 第 42b 項及び連邦データ保護法（BDSG）第 4a 項により、個人データが開示される場合があることに关しインフォームドコンセントが得られない場合には、個人データの公開は免除される。臨床試験中に収集されたデータは、治験依頼者に対してのみ、仮名化された形式で提供することができる。

また、AMG 第 42b 項(3)は、副作用や臨床試験の失敗の登録についても定めており、必然的にネガティブな情報も公開される。

#### (4) オランダ

オランダにおける臨床試験の公開情報は、以下の項目等に関し、人を対象とする研究中央委員会 (CCMO) の登録簿を通じてアクセスすることができる。当該登録簿には、ユーザー名又はパスワードがなくてもアクセスでき、キーワード、研究番号、研究又は治療介入分野及び疾患の種類に関して検索することができる。

##### (i) 臨床試験概要

##### (ii) 一般評価及び登録フォームの公開中核部分

第三者は、公開登録簿において中核データを公開しないよう求める書面による要請を CCMO に提出することができる。当該要請においては、研究から導かれた基本情報が公開登録簿から除外すべき理由を述べる必要があり、CCMO は、個別研究毎に各要請を検討する。公開中核データは、一般評価及び登録フォームに含まれ、CCMO が審査委員会 (METC 公認) から決定の是非を受けた上で初めて登録される。健康な被験者のフェーズ I 研究から導かれた中核データの公開は、METC の審査による決定が登録されてから 6 か月後に初めて行われる。

治験依頼者は、臨床試験責任医師によって自己に報告されたすべての有害事象の詳細記録を保管し、当該記録は、要請に応じて CCMO 等に対して提供しなければならない (WMO 第 13 条 o)、致命的な又は生命を脅かすことが証明された治験医薬品に対する想定外の深刻な副作用の疑いについての一切の関連情報を、オランダ医薬品評価委員会 (CBG-MEB) に対して可及的速やか (7 日以内) に、追加情報をさらに 8 日以内に報告しなければならない (WMO 第 13 条 p(1))。そして、CBG-MEB は、当該情報をすべて EudraCT に登録しなければならない (WMO 第 13 条 p(4))、また、治験依頼者は、すべての深刻な副作用の疑いについての年間報告書及び被験者の安全性に係る報告書を CCMO 等に送付する (WMO 第 13 条 q)。

なお、医薬品の研究は、EudraCT データベースにおいて登録されなければならない、また EU-CTR による公開も上記のとおりである。

①及び③の類型の場合に関し、上市承認 (申請) の一環としての臨床試験に関する情報公開について、上市承認が交付される際、国家上市承認手

続において、CBG-MEB は、商取引上の一切の秘密情報を削除した上で (オランダ薬事法第 3.16 項 d(1)(c) 及びオランダ薬事法規制等)、公式評価レポートを一般公開する。評価レポートには、医薬品に関する製薬試験、前臨床試験及び臨床試験の結果が記載される。新たな有効成分を含む医薬品に関する上市承認の場合、製薬試験、前臨床試験及び臨床試験結果が要請の一部に含まなければならない。仮に有効成分が EU/EER において少なくとも 10 年間に亘って医薬用途が確立されていることが示される場合、状況に応じて、試験結果は提出される必要はない。CBG-MEB の製薬情報データベースでは、以下の事項が公開される (オランダ薬事法第 8 条第 4 項)。

##### (i) 上市承認

##### (ii) リーフレット一式

##### (iii) 製品特性概要

##### (iv) 公式評価報告書 (PARs)

##### (v) リスクマネジメントプランの概要

CBG-MEB は、患者及び医療専門家による報告があった副作用の疑いのすべてを登録する。すべての医療専門家は、深刻な副作用について直ちに「副作用センター」(Lareb) に報告しなければならない (薬事法 (Genees middelenwet) 第 78 条(3))、Lareb は、これらの警告を一般に公開する (同法第 78 条(3))。CBG-MEB は、深刻な副作用の疑いについては 15 日以内に、深刻ではない副作用の疑いについては 90 日以内に、副作用電子報告データシステムに報告書を提出するものとされている。

一方、②及び④の類型については、製造販売の承認目的がないが、上記の上市承認 (申請) の一環としての臨床試験に関する情報公開については該当しない。

なお、規制当局は、「情報アクセスの自由」(通称 Wob) 及び「ヨーロッパ情報の自由に関する法」(規制第 1049/2001/EC 号、オランダ語で通称 Eurowob) に基づき、自己の管理する文書へのアクセスを要請される場合がある。そのため、情報公開されていなかったとしても、要請を受けて当該情報が公開される可能性がある。但し、Wob に基づく情報アクセスに関して、企業データ及び製造データを含む情報又は個人情報に対してはア

クセスが付与されないものとされる。また、CCMO ポリシーでは、Web に基づく要請を受領後も、製薬会社に相談する前に情報公開を行わないとされている。

#### (5) アメリカ

食品医薬品改正法（Food and Drug Administration Amendment Act）により、該当するすべての臨床試験について、政府によって運営されるウェブサイト（www.clinicaltrials.gov）上で登録及び報告されるよう義務づけられており、登録された全ての情報が一般に公開される。同法において、該当する臨床試験（以下、「ACT」という。）とは、連邦食品医薬品化粧品法（Federal Food, Drug, and Cosmetic Act）第 505 条又は公衆衛生法（Public Health Service Act）第 351 条の対象となる薬品の比較臨床治験（フェーズ I 試験を除く。）を意味すると定義されており、「臨床治験」とは、CFR 第 21 編第 312.3 条（又はその後の規制）に定義される意味を有し、「フェーズ I」とは、連邦規則集（CFR）第 21 編第 312.21 条（又はその後の規制）に定義される意味を有する。以下に該当する場合は、薬品、生物製剤又は機器に関する一切の臨床試験が含まれる。

- (i) 当該試験が米国において 1 つ又は複数の施設を有する場合。
- (ii) 当該試験が、FDA（食品医薬品局）治験新薬の申請又は治験機器の適用免除に基づいて行われる場合。
- (iii) 当該試験において、米国又はその属領において生産され、かつ、研究用に輸出された薬品、生物製剤又は機器が関係する場合。

かかる定義に基づき、かつ、報告を要する臨床試験にフェーズ I を除くすべてのフェーズが含まれるため、アメリカについては、①から④の 4 類型において回答に違いはない（以下同じ）。

具体的な登録に関するルールとしては、CFR 第 42 編第 11.24 条に基づき、最初のヒト被験者が登録されてから 21 暦日以内に臨床試験登録情報が提出されなければならない CFR 第 42 編第 11.2 条に基づき開示が義務づけられる情報には、以下の情報が含まれる。

- (i) 記述的情報：簡潔な名称、研究計画、一次的評価項目情報等
- (ii) 募集情報：適格基準、全体の募集状況、研究中止の理由（完了前に終了した場合。）
- (iii) 所在地及び連絡先情報：治験依頼者の名称、施設情報
- (iv) 管理データ：二次的 ID、ヒト被験者保護審査会の状況

登録後、責任者は、少なくとも 12 か月に 1 度 ClinicalTrials.gov 上で ACT を更新しなければならない。しかし、一部の項目については変更後 15 日から 30 日以内の更新が義務づけられ（募集状況、一次的完了日については 30 日以内）、当該試験の一次的完了日から 1 年以内に結果の概要（有害事象に関する情報を含む。）を提出しなければならない。但し、一定の場合においては、延期が認められる。また、臨床試験においてフェーズ I の薬品が関わる場合、結果の提出は必要ない。

CFR 第 42 編第 11.48 条(a)により、以下の項目を記載した結果情報の提出が義務づけられる。

- (i) 参加者の流れ（CFR 第 42 編第 11.48 条(a)(1)）：治療グループ別の参加者の試験の進捗に関する情報（治療群別の、試験を開始及び終了した者の人数を含む。）。なお、参加者以外の単位をベースとして割当（assignment）られている場合、割当の単位（例えば、眼球(eyes)、損傷、移植等）及び臨床試験を開始及び終了した単位数も治療群別に記載する。
- (ii) 人口統計学的及び基準値の特性（CFR 第 42 編第 11.48 条(a)(2)）：治療グループ別又は比較グループ別に、試験における参加者の全対象集団について収集された人口統計学的及び基準値の特性（年齢、性別及びジェンダー、人種又は民族並びに基準値において評価されたその他の基準で一次的評価項目の分析において使用されたもの）
- (iii) 判定結果及び統計解析（CFR 第 42 編第 11.48 条(a)(3)）：治療グループ又は比較グループ別の一次的及び二次的評価項目それぞれに関する判定結果及び統計解析（かかる判定結果について実施された科学的に適切な統計解析（もしあれば）を含む。）

- (iv) 有事事象に関する情報(CFR 第 42 編第 11.48 条(a)(4)) : 想定内又は想定外の重要な有事事象並びに単一のグループにおいて発生率が 5% を超えるその他の有事事象の表。時間枠 (又は有事事象に関する情報が収集された特定の期間)、有事事象に関する報告内容 (臨床試験において収集された有事事象に関する情報が、「有事事象」又は「重要な有事事象」について最終規則で使用される定義とは異なる定義に基づき収集された場合)、収集方法 (研究中に有事事象について利用されたもの: 体系的又は非体系的)、治療グループ別又は比較グループ別の死亡数及び死亡率 (死亡原因を問わない。) の表を含む。
- (v) 実施計画書及び統計解析計画 (CFR 第 42 編第 11.48 条(a)(5)) : 結果情報の報告時 (又は選択的にこれより早期) に提出される実施計画書及び統計解析計画。実施計画書及び (実施計画書に含まれていない場合は) 統計解析計画の写し。全地点に適用される、提出前にヒト被験者審査会によって承認された一切の変更 (該当する場合) を含む。
- (vi) 事務的情報 (CFR 第 42 編第 11.48 条(a)(6)) 掲載された結果の概略、並びに研究完了後に治験責任医師 (PI) が結果について協議する権限を制限する治験依頼者及び PI 間の契約に関する追加の情報を得るための連絡先を含む。
- (vii) 未承認又は未許可機器製品の該当機器臨床試験に関する追加の臨床試験結果の情報

## 2. 被験者情報 (個人情報) の取扱い

### (1) イギリス

イギリス独自のデータベースは存在しないことから、該当しない。

### (2) フランス

フランス独自のデータベースは存在しないことから、該当しない。

### (3) ドイツ

被験者情報について、DIMDI には、計画時及び解析時における被験者数が登録される。

AMG 第 42b 項に従い、個人データは公開を免除されるが、治験責任医師の氏名及び住所は、有

効なインフォームドコンセントが得られた場合には開示される場合がある。臨床試験中に収集されたデータは、治験依頼者に対してのみ、仮名化された形式で提供することができる。

原則として、研究に参加する各被験者は、研究の開始時に個別のコード番号を受け取り、当該コード番号に収集されたデータが割り当てられる。被験者の識別が可能なコード及び個人データを含むリストは、それぞれの研究実施施設において治験責任医師のみがアクセスすることができ、第三者による識別が可能となるすべての識別特性 (氏名、生年月日、住所等) は、医療データから削除される。

### (4) オランダ

原則として、データベースは被験者に関する個人情報と保管しない (個人データ保護法 (PDPA) に従う)。受領及び保管された被験者の個人情報は、PDPA に従って、現地臨床試験センターが管理し、公開はされない。また、当該情報が現地で保管されることとは別に、被験者の個人データを保護するために、当該情報は一般的に匿名化及び暗号化される。暗号の一部として又はこれに加えて、イニシャル及び/又は生年月日は、暗号の目的を害するため、CCMO は、これを原則的に容認不可としている。

しかし、特定の研究に必要である場合又はデータの正確性を管理するために必要である場合、個人を追跡しうるデータは、参加者の年齢を特定するためにのみ使用される可能性がある。これは、研究フォームに関する固有のコード番号と併せた生年月日の一部である場合がある。異なるコード化が不十分であり、生年月日に基づくデータ管理の重要性が甚大であるために、他の方法では十分に解決できない状況の場合である。なお、完全な生年月日を使用する必要はなく、日付の一部 (生まれ年等) の使用とされ、その場合においても一切の文書化における使用のためではなくデータ収集のためにのみ認められる。それ以外の場合において、個人情報は、常にコード化の一部を構成する。また、イニシャルの使用が被験者の直接的な特定につながる場合、使用すべきでないと思われる。しかし、イニシャルの省略によってデータ収集における失敗のリスクが増大する場合には、イニシャルの使用は容認可能である。ただし、

上記がインフォームドコンセントにおいて明示的に言及されることとされている。

一方、②の類型に関し、臨床研究の目的において必要とされる範囲、かつ、これを限度として、年齢層(例: 20歳<x<40歳)等の抽象的なデータ、病状タイプ(例:ステージ2 前立腺肝臓がん)等は、現地臨床試験センターにおいて保管され、データベース上で共有される。当該情報は、匿名化され、個人の被験者の身元を直接的に開示しうるデータを含まない。例外状況において、潜在的に個人の身元特定につながりうる情報は現地で保管される情報に含まれる可能性があるが、研究のために必要な場合に限り、被験者の明示的な書面同意がある場合に限られる。

#### (5) アメリカ

被験者に関する参加者個人のデータは、データベースに登録されない。しかし、以下の総合情報は登録され、かつ全て公表される。

##### (i) 参加者データ

- ・臨床試験を開始及び完了したヒト被験者の人数(治療群別)
- ・参加者以外の単位をベースとして割り当てられている場合、割当の単位(眼球、損傷、移植等)及び臨床試験を開始及び終了した単位数に関する記載(治療群別)

##### (ii) 人口統計学的及び基準値の特性

- ・年齢
- ・性別/ジェンダー
- ・人種及び民族(実施計画書に基づき収集された場合)
- ・基準値において評価されたその他の基準で一次的評価項目の分析において使用されたもの

#### (6) 日本

日本では、法律上の根拠を有するデータベースは存在しない。しかし、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」(以下、「指針①」という。)により、研究を行うものは、それが「介入を伴う研究」に該当する場合には、大学病院医療情報ネットワーク、一般財団法人日本医療情報センター又は公益社団法人日本医師会が設置している公開データベースのいずれかに、当該研究の概要をその実施に先立って登録し、研究計画書の変更及

び研究の進捗に応じて適宜更新しなければならず(第9・1)、また、研究を終了したときは、遅滞なく、当該研究の結果を登録しなければならない(第9・2)とされている。もともと、指針①において被験者個人を特定できる情報の記載を要求する規定はなく、また、「臨床研究に関する倫理指針」(以下、「指針②」といい、指針①と併せて以下、「倫理指針」という。)は、「研究者等は、臨床研究の結果を公表する場合には、被験者を特定できないように行われなければならない」(第2・1・(7))と規定しており、原則として被験者個人を特定できる情報が登録されることはない。

なお、平成29年4月14日に公布された臨床研究法(平成29年法律第16号)(以下、「臨床研究法」という。)第10条において、特定臨床研究の実施者に対し、特定臨床研究の対象者の個人情報の保護義務が課せられている。

倫理指針上、①から④の4タイプの区別は大きな意味を持たず、それぞれの指針の要件を満たすか否かによるため、その回答に違いはない。

### 3. 知的財産権の成否

#### (1) イギリス

イギリス独自のデータベースは存在しないことから、該当しない。

#### (2) フランス

フランス独自のデータベースは存在しないことから、該当しない。

#### (3) ドイツ

DIMDIには、1.(3)で記載した各登録情報のうち、以下の情報が製薬情報等に関するものであるが、AMG第42b項(3)に従い、その公開は、知的財産法に反しないようになされるものである。

(i) 治験依頼者名/会社名

(ii) 商品名

(iii) 有効成分の名称

(iv) 開発のフェーズ

(v) 診断及び組入れに関する主な基準

(vi) 被験薬、用量及び投与方法、ロット番号

(vii) 治療期間

(viii) 対照治療、用量及び投与方法、ロット番号

また、営業秘密とは、公知でない又は容易にアクセス可能でない情報で、情報を秘密に保つ正当な利益（商業的利益）が存在するもの及び保有者が情報を秘密に保つ意思を有するものをいうところ（ドイツ不正競争法（UWG）第 17 条）、登録情報が営業秘密に該当する場合があります、その場合にはデータベースの運営者は秘密保持義務を負う（ドイツ法につき AMG 第 42b 項(3)）。

#### (4) オランダ

METC に対して、METC の意見の請求と併せて、以下の（企業秘密）情報が提供される。

##### (i) 以下の事項が記載された臨床試験計画書

- ・採用及びインフォームドコンセントに関する説明
- ・被験者の試験への参加が終了した後の被験者に対する追加医療の提供についての計画に関する説明

(ii) 治験薬に関する情報 (IMP) : 申請書には、IMP、医薬品形態及び強度、投与の用量や投与経路及び治療期間を記載する。

(iii) 採用協定書 : 広告による採用を計画している場合、使用する資料の写しを添付する。

(iv) 被験者に関する情報及びインフォームドコンセント手続 : 被験者が参加を決定する前に提供するすべての情報

(v) 治験責任医師の適合性及び施設の質

(vi) 保険及び補償（被験者負傷又は死亡の場合に備えて）

(vii) 被験者及び治験責任医師に対する金銭的手当

(viii) その他関係施設及び／又は国の提案

なお、METC データベース内の情報は、一般にアクセス可能ではない。

情報自由法（FOIA）請求に基づく開示については、FOIA 開示に関する通常の規則が適用される。政府に機密として提供された一切の CCI は FOIA 請求から除外される。なお、この適用除外は、オランダ判例法において制限的に適用されており、技術的業務、生産工程において、売上データ又はクライアントや供給者に関して、当該情報から知識が得られ又は派生する場合に、その限度で CCI とみなされる。

また、CCMO に対し、臨床試験の承認請求と併

せて、以下の（企業秘密）情報が提供される。なお、CCMO はこれらの情報を EudraCT に登録する。

(i) 臨床試験申請書

(ii) 研究協定

(iii) 治験責任医師のパフレット（IB）

(iv) 試験において使用する IMP 関係書類及び非治験薬（NIMP）

(v) 被験者が参加を決定する前に提供されるすべての情報

(vi) 治験責任医師の適合性及び施設の質

(vii) 保険及び補償（被験者負傷又は死亡の場合に備えて）

(viii) 指令第 2001/20/EC 号 第 6 条(2)に基づき、倫理委員会（Ethics Committee）のみ評価し、国家の所轄官庁に提供すべきでない情報に関連する書類

上記 1. (4) で述べた情報を除き、CCMO データベースからは、さらなる情報を開示されない。FOIA 開示については上記と同様である。特に、CCMO のポリシーは、FOIA 請求後、製薬会社に相談することなくいかなる情報も開示しないとしている。

さらに、①及び③の類型に関し、CBG-MEB に対して、国家上市承認請求と併せて以下の（企業秘密）情報が提供される。

(i) すべての医薬品の成分に関する質的及び定量的明細

(ii) 製造方法の説明

(iii) 治療の適応、禁忌及び副作用

(iv) 薬量学、医薬品形態、投与方法及び経路並びに見込み保存期間

(v) 環境に対する潜在的リスクの表示と共に、保管、その投与及び廃棄物の処分のために講じられる予防及び安全対策の理由

(vi) 製造業者が採用する管理方法の説明

(vii) 製薬、前臨床及び臨床試験の結果（医薬品がジェネリックであり、少なくとも 10 年以上に亘って医薬用途が確立している場合は不要）

(viii) 出願者の医薬品安全性監視制度の概要

(ix) リスク管理計画及び制度

(x) 製品特性概要、外装及び直接包装のモックア



ップ

CBG-MEB 及び CBG-MEB 及び国家上市承認  
手続に関し、すべての CCI は、公簿から削除され  
る。なお、FOIA 開示については上記と同様であ  
る。

なお、売上／販売情報は、データベースに登録  
されないが、国家及び中央上市承認手続において、  
上市承認取得者は、CBG-MEB/EMA に対して売  
上／販売に関する情報を提供する義務がある。国  
家手続において、流通承認の取得者は、医薬品取  
引において、受領、発送又は仲介した日付、製品  
名、受領／供給／仲介した数量、供給業者／荷受  
人の名称及び住所並びに医薬品のロット番号を  
記録しなければならない。このデータは、5年間、  
所轄官庁の閲覧のために備え置かなければなら  
ない。

データベースに登録される情報について、一般  
的には知的財産権は成立しない。もっとも、一部  
の臨床データは、著作権保護の対象となりうる。  
ただし、これは、具体的な案件の事実及び状況に  
よるものである。この著作権保護の対象となる場  
合には、FOIA 請求において考慮され、公開拒否  
の根拠となる。

#### (5) アメリカ

製薬情報や販売情報は、「商業上の秘密情報  
(CCI)」とみなされ、データベースに登録され  
ない。

登録情報のうち、特定の登録情報（臨床試験結  
果の内容、臨床結果の公表、商標登録名）につい  
ては、特許、著作権又は商標法による保護の対象  
となると考えられる。すなわち、薬品の新たな使  
用又は使用方法を示す臨床試験結果により特許  
を取得することができる。但し、基礎となる研究  
は通常特許法によって保護されない。また、臨床  
試験の過程に関する一定の側面及び臨床結果の  
報告又は公表は、これらが表現とみなされる場  
合に限り、著作権法によって保護される場合がある。  
また、臨床試験過程において使用された書式も著  
作権の対象となる場合がある。しかし、基礎とな  
るデータは著作権によって保護されない。さらに、  
データベース内の情報は、すべて一般に開示され  
るため（かつ営業秘密情報は通常登録を免除され  
るため）、一般に営業秘密法の保護の対象とはな

らない。また、商標登録された薬品の名称は、商  
標権の保護の対象となる場合がある。

登録情報が知的財産に該当する場合、秘密保持  
義務又は使用法に関して、運営者に特に制限は課  
されない。登録情報は依然一般に開示されるが、  
当該情報にアクセスする個人又は事業体に対し  
て制限が課されることになる。

#### (6) 日本

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（薬機法）及び倫理指針に  
知的財産権について直接認める規定はないこと  
から、知的財産権の成否については、知的財産法  
一般により権利が生じるかどうかによる。

現在のところ、公開データベースにおいて、知  
的財産権が成立するような情報が登録されるこ  
とはないと考えられる。しかし、今後、医薬品名、  
構造式、効果及び用法についての取り扱いが議論  
の対象となり得ることから、以下これらに関連す  
る知的財産権について記載する。

##### (i) 医薬品名

医薬品名について商標権登録がされている場  
合には、当該名称について商標権が成立する。な  
お、商標権は、著作権等と異なり登録制の制度で  
あるため（商標法 3 条）、全ての医薬品名に自然に  
商標権が成立するわけではない。商標権の有効期  
間は登録から 10 年であるが、更新は可能である  
（商標法 19 条）。

##### (ii) 構造式、効果及び用法

構造式、効果及び用法については、当該医薬品  
について特許が取得されている場合には、これら  
の事項にも特許権が及びうる。特許権が成立する  
範囲は、特許発明の技術的範囲（特許法 70 条）  
であり、上記の構造式、効果用法が当該範囲に含  
まれている場合には、特許権が成立していること  
になる。もっとも、特許申請に際して上記の事項  
がすでに公開されてしまっているような場合には、  
新規性要件が否定され、特許権登録が認めら  
れない。このような観点も踏まえて、臨床研究法  
下において設置が予定されているデータベース  
については、知的財産に係る情報に関しては、  
登録は必要であるが公開を免除する方向で議論  
がなされた（第 2 回厚生科学審議会臨床研究部会  
（2017 年 8 月 31 日開催）議事録）。なお、特許

権も登録を前提とする制度であるため、自然に生じる権利ではない。特許権の有効期間は出願日から20年（特許法67条1項）であるが、医薬品の場合には承認のために治験等を経ることが要求されていることに鑑み、一定の要件を満たすことで5年を限度とする範囲で有効期間が延長されることもある（特許法67条2項）。

#### (iii) その他

医薬品名、構造式、効果及び用法が、「秘密として管理されている（①秘密管理性）生産方法、販売方法その他の事業活動に有用な技術上又は営業上の情報（②有用性）であって、公然と知られていないもの（③非公知性）」（不正競争防止法2条6項）に該当する場合には、営業秘密として保護対象となりうる。しかし、データベースに登録され公開された情報は、非公知性を欠くことになり、営業秘密としては保護されないと考えられる。

なお、公開データベースのデータに著作権が生じうるか問題となりうるが、日本の著作権法においては、著作物の要件として、「思想又は感情を創作的に表現したものであって、文芸、学術、美術又は音楽の範囲に属するもの」であることが要求されている（著作権法2条）ため、学術的な著作物としても著作権が成立する可能性は低いものと考えられる。

#### 4. データベースに登録されていない情報の公開

##### (1) イギリス

イギリスでは、臨床試験の実施前に倫理委員会（REC）の好意的意見が必要であるところ、医療研究機構（HRA）は、全ての臨床試験の公開データベースへの登録を倫理的期待として挙げており、かつこれが好意的意見の条件とされている。臨床試験において一人目のイギリス人参加者の採用後6週間以内に臨床試験を登録しない場合は、HRAによって登録延期の要請が承認された場合を除き、倫理に関する好意的意見の違反に該当することになる。

なお、一般にアクセス可能なデータベースのうちどれが登録要件上受け入れ可能とみなされるか明確ではないが、ISRCTN等の世界保健機関（WHO）国際臨床試験登録プラットフォーム

（ICTRP）の主要登録簿や、clinicaltrials.govへの登録は、受け入れ可能とみなされる。

##### (2) フランス

公衆衛生法典（Public Health Code）第L. 1453-1条は、製薬会社に対して、各自が医療関係者（HCP）に行う支払及び供与する利益を公開することを義務付けている（Sunshine Act）。当該公開については、公衆衛生法典第L. 1453-1条、第L. 1454-3条乃至第L. 1454-5条、第D. 1453-1条及び第R. 1453-2条乃至第R. 1453-7条に規定されており、極めて複雑な規定となっているが、端的に述べると、企業は以下の事項を（公的機関が運営する）公共のウェブサイト上に開示しなければならない。

##### (i) 研究に関連する合意書の内容

##### (ii) 研究に関連して医療関係者に支払われた報酬

##### (iii) 研究に関連して医療関係者に供与された利益

（報酬／利益が10ユーロを超えた場合に限り）

開示は、フランス人医療関係者に対して支払を行い又は利益を供与する非フランス企業に対しても適用されるものである。

補足として、欧州医薬品庁（EMA）の「Policy 70」（臨床データの公表）に該当する国民はいない。

また、資料の一般公開に関する国内規則により、第三者は、その請求によって臨床試験資料を取得することができる。厳密には、これは「臨床データの公表」ではないが、これによって個人が一定の臨床試験情報へアクセスすることを認めるものである。

##### (3) ドイツ

EMA文書に対するアクセスにつき、別紙3の質問4-1を参照されたい。

##### (4) オランダ

①及び③の類型に関し、オランダ薬事法により施行される医薬品指令（Medicine Directive）第106A条に基づき、医薬品安全性監視への懸念に関する情報に関連する公示の要請がある場合には、登録外の情報の公開がありうる。上市承認取

得者が医薬品の使用に関して医薬品安全性監視への懸念に関する情報に関連する公示を行おうとする場合すぐに、また、公示が行われると同時に又はそれに先立ち、当該上市承認取得者は、国の所轄官庁、所轄機関 (Agency) 及び委員会に必ず連絡するよう義務付けられている。上市承認取得者は、一般に提供する情報が、具体的かつ誤解を招くようなものとならないようにしなければならない。

#### (5) アメリカ

無作為化された臨床試験を行う研究者は、臨床研究データについて法的召喚状を受ける場合がある。

召喚状については、連邦証拠開示規則 (federal discovery rule) (例えば、連邦民事訴訟規則 (FRCP) 第 26 条(c)) に基づき又は第三者に対する召喚状については臨床データの要請を行うことができる。開示を要求される情報には、研究対象者の氏名及び住所を除き、臨床研究に関連する実質的すべての書類が含まれる (Farnsworth vs. Proctor & Gamble, 758 F.2d 1545 (1985 年第 11 巡回裁判所) 事件等参照)。連邦証拠開示法に基づく臨床データの要請に関する事件において、裁判所は、当該事件における情報の必要性が患者らの秘密性を保護する必要性を上回るか否かを検討する釣り合い試験を適用する。

国立衛生研究所 (NIH) は、対象者の身元特定に使用され得る、連邦証拠開示法に基づく法定情報開示から治験責任医師及び施設を保護するために研究対象者に対して永続的な保護を提供する守秘義務証明書を発行している。同法律は、「連邦、州又は地方の民事、刑事、行政、立法その他の措置において当該個人を特定するよう強要されないよう、研究対象者のプライバシーを保護する権限を有する個人」を対象とする。かかる証明書は、「身元情報の開示により、対象者に不利な結果が生じ、又は対象者の財政状態、雇用適正、保険適正又は名誉が損なわれる」等センシティブな研究に適用される。かかる研究には、「遺伝子情報」、「精神的充足」、「性的情報」及び「薬物乱用その他の違法危険行為」に関する情報の研究が含まれる。また、「研究に基づく公表に関連して、対象者が訴訟に巻き込まれる可能性のある研究」も含まれる。

また、情報公開法 (Freedom of Information Act) による要請は、データの開示を義務づけることができる。FDA 申請の基礎として使用された成功臨床試験については、情報公開法に基づき大部分の情報が閲覧可能である。但し、特定の例外 (営業秘密例外を含む。) に該当する場合又は秘密情報と判断された場合、政府機関は、情報開示を留保することができる。かかる取り扱いは、情報の開示が、個人のプライバシーの不当な侵害に該当すると判断され得る場合に通常適用されるものである。

製薬会社が米国内で FDA に対して NDA を提出する場合、製薬会社は、CSR 及び参加者レベルデータを提出する義務を負う。研究者は情報開示要請により CSR を取得することもできるが、大抵の場合 CCI は開示されない。

また、FDA は、CFR 第 21 編パート 7 サブパート C の FDA リコール規制に基づく公的警告及びリコール通知に関して、企業に対して情報の開示を義務づけ、又は自ら情報を開示することができる。一定の情報については、CCI の要件を満たす場合があり、これにより通常は一般への開示から免除されるが、「(FDA の) 管轄権内の行政又は裁判所による執行行為」の「効力を発生させるために必要な限度で」開示を認める FDA 規制を参照している。CFR 第 21 編パート 7 サブパート C の FDA リコール規制に基づく公的警告における FDA の公的通知については、FDA は、その週刊回収報告においてリコールの掲示を行う。

なお、1996 年医療保険の携行性と責任に関する法律 (Health Information Portability and Accountability Act (「HIPAA」)) 及びその実施規制は、患者データのプライバシーを規制している。また、被験者保護に関する連邦政府の方針 (Federal Policy for the Protection of Human Subjects)、いわゆる「コモンルール (Common Rule)」は、ヒト被験者に関する研究において収集されたデータも保護の対象とし、これには連邦規制の対象となる特定可能な患者情報の回収及び開示も含まれる。データベースに未登録の臨床研究データ情報の一般への開示については、かかる二つの規制並びに他の連邦及び州の法令が関係する場合がある。

## (6) 日本

臨床研究に関する情報が、行政機関ないし独立行政法人により保有ないし共有されている場合には、行政機関の保有する情報の公開に関する法律（以下、「情報公開法」という。）及び独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律（以下、「独立行政法人等情報公開法」という。）をはじめとする情報公開法令により情報開示請求を受けることがありうる。情報開示請求を受けた場合には、公にすることによりその適正な遂行に支障を及ぼすおそれがあるとして、不開示情報に該当する場合を除き、行政機関ないし独立行政法人は原則として保有情報を開示しなければならない。

（情報公開法 5 条、独立行政法人等情報公開法第 5 条）。

臨床研究に関する情報開示が問題となった事案として、抗癌剤（イレッサ）の動物実験等に関する行政文書の開示請求に関する事件（東京地判平成 19 年 1 月 26 日訴月 55 卷 11 号 3235 頁）がある。同判例によれば、以下の情報について不開示情報と判断された。

- (i) 臨床試験報告書（情報公開法 5 条 2 号イ）
- (ii) 毒性試験報告書中の実験施設及び部署の名称並びに住所等の情報（情報公開法第 5 条第 2 号イ）
- (iii) 毒性試験報告書中の試験関与者の氏名、署名、役職及び資格等（情報公開法第 5 条第 1 号本文）

一方、同判例では、毒性試験報告書中のプロトコール（治験実施計画書）承認日、初回投与日、最終剖検日、考査日、報告日、署名日等について、開示により不利益が生じるという客観的な証拠が認められないとして不開示情報には該当しないと判断された。

## 5. 利益相反

### (1) イギリス

倫理委員会は、その意見を作成するにあたり、金額及び必要に応じて臨床試験担当医師及び被験者に報酬を与え又は補償するための協定を考慮しなければならないが、倫理委員会への申請には、利益相反を示唆し得る特定の情報を開示しな

なければならないとされている。

臨床試験規則（Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations）2004 r.14(6)、r.15(5)(k)及びスケジュール 3 パート 1 によれば、倫理委員会への申請には以下の情報を記載しなければならないとされている。

- (i) 以下の当事者間による財務協定に関する要約の詳細
  - ・臨床試験依頼者又は試験に資金提供する者と臨床試験担当医師
  - ・臨床試験依頼者又は試験に資金提供する者と試験施設の所有者又は占有者
- (ii) 倫理意見の目的に適した被験者と臨床試験担当医師の関係の詳細
- (iii) 臨床試験責任医師及び各臨床試験担当医師に関する詳細（利益相反の可能性を含む。）

倫理委員会への申請は、統合研究申請システム（IRAS）上に電子的に提出することとなるが、申請に関する質問の内容は、別途提供させていただく資料のとおりである。

### (2) フランス

臨床試験担当医師は、臨床試験依頼者から独立していなければならない。但し、臨床試験担当医師は、法律上、正式には、利益関係の宣言書の提出を義務付けられていない。サービスの提供など限られた状況を除き、製薬会社から利益を受けることを原則的に禁止することで、独立性と公平性が確保されているものである。

利益関係の宣言書は、公務員その他無償又は有償で役務を提供する者から、公的機関やその一部（委員会、作業部会）に対して行うことが形式上求められる。適用対象である公的機関には、ANSM や倫理委員会が含まれる。また、利益関係の宣言書は、当該公務の期間中及びその後 5 年間、公的機関が運営するウェブサイト公表される。

利益関係の宣言書には、以下事項が記載される。

- (i) 提出者の氏名
- (ii) 実際の公務
- (iii) 現在の主な活動
- (iv) 過去 5 年で、自ら又は自己が従業員又はメンバーである組織が製薬会社のために無償又は

有償で行った活動(役務に対する対価又は特効薬に係る知的財産権等を含む。)並びにこれらの活動に関連して支払われた報酬

- (v) 価額及び出資割合を含む製薬会社への資金援助(株式又は社債)
- (vi) 同様の事項につき、自らの両親、子供、配偶者等並びに配偶者の両親及び子供等
- (vii) 利益相反を生じ得る役割その他の関係／つながり並びに関連する金額

利益関係の宣言書は、毎年更新しなければならず、該当する管理層により 10 間保管される。

### (3) ドイツ

EMA ポリシーに基づく文書の提出等につき、別紙 3 の質問 5-1 以下及び別途提供させていただき資料を参照されたい。

### (4) オランダ

CCMO に関し、臨床試験用申請書(ABR-フォーム)には、以下の URL の説明にある記入が必要である。

<http://www.ccmo.nl/attachments/files/b1-abr-to-lichting-15-dec-2015-eng.pdf>

また、その書式は以下のとおりである。

<http://www.ccmo.nl/attachments/files/abr-tekst-versie-april2014-eng-zonder-wijzigingen-op-ccmo-nl-op-19-2-2015.pdf>

例えば、臨床試験に参加する患者は、研究者との関係では独立していなければならないこと、患者への報酬が不均衡に高いものであってはならないこと、研究者は患者の治療にあたる医師と同じ人物でないことが理想であること(同じときにはその旨を記載)等とされている。

また、科学研究の場合、行動規範が研究者に適用される。この規範の一部は、王立科学アカデミー(Royal Academy of Sciences)の理事会によって審査される個人的又は金銭的利益相反の可能性に関するフォームを記入することを要求する。

<https://www.knaw.nl/shared/resources/actueel/publicaties/pdf/belangenverklaring>

### (5) アメリカ

治験責任医師資産公開規則(Financial Disclosure by Clinical Investigators regulation)

(CFR 第 21 編パート 54)により、薬品、生物製剤又は機器について販売申請を提出する申請者は、規制の対象となる臨床研究を行う治験責任医師に対する報酬、経済的利益及び取り決めに関する一定の情報を提出するよう義務づけられている(CFR 第 21 編第 54.1 条参照)。

利益相反の報告要件は、CFR 第 42 編パート 50 サブパート F に定められている。当該規制は、製品が効果的であることを立証するために申請者又は FDA が依拠し、販売申請(当初の申請に対する補足又は変更)において提出された臨床研究及び安全性の立証において、1 名の治験責任医師が大きく貢献する研究に適用される(CFR 第 21 編第 54.2 条(e)及び第 54.3 条)。同規則により、申請者は、FDA に提出されたデータの信頼性に影響を与えうる一定の経済的利益及び取り決めが治験責任医師において存在しないことを証明するか、又は当該経済的利益及び取り決めに FDA に対して開示し、かつバイアスの可能性を最小限にするために講じられた措置を特定することが義務づけられている(CFR 第 21 編第 54.4 条(a))。提出を義務づけられる報告とは、書式 FDA3454 を使用し、CFR 第 21 編第 54.4 条(a)(3)における経済的利益及び取り決めが存在しない旨を証明する証明書、又は書式 FDA3455 を使用し、当該利害及び取り決めの性質を完全かつ正確に開示する証明書を指す。申請者が証明書及び／若しくは開示を含めなかった場合、又は適切な配慮を行ったにもかかわらず情報を入手することができなかったことを証明しない場合は、FDA は、申請の届出を拒否することができる(CFR 第 21 編第 54.4 条(c))。

国立衛生研究所(National Institutes of Health (NIH))は、保証者及び治験責任医師が CFR 第 42 編パート 50 サブパート F 「研究における客観性の促進」要件を遵守するよう義務づけている。

保健福祉省(Department of Health and Human Services (DHHS))は、機関 EC 及び治験責任医師の双方が、利益相反を特定し、これに対する保護を行う責任を負う旨を示した。また、DHHS は、機関審査会が利益相反の問題を検討するよう義務づけている。

利益相反とみなされる経済的利益の金額は、5,000 ドル又は会社における持分若しくは株式保有率 5%である。経済的利益には、別紙 5 の質問

5-2 に記載された収入等は含まれない。また、書式については、別途提供させていただく資料のとおりである。

## 考察

### 1. データベースについて

各国の調査の結果、イギリス及びフランスには独自のデータベースが存在しないものの、臨床試験については欧州医薬品庁のデータベースに登録されることから、データベース自体は存在することになる。この点について、日本においても臨床研究法下において設置されるとの理解である。また、各国（イギリス及びフランスを除く。以下同じ。）ともにネガティブ情報の登録及び公開義務（EU-CTR を通じての公開を含む。以下同じ。）を課しているようである。これはデータベースの目的のひとつとして臨床研究に対する信頼の確保が含まれることから当然であると考えられる。

一方、データベースに登録する情報を全て公開すべきかについて、各国のデータベースは非公開情報の存在を認めており、類型としては、①個人情報、②知的財産権及び③公益上の不利益がある場合（監督上の不利益が生じる場合等）がある。このうち、①個人情報及び②知的財産権の対象となる権利については、当該権利を保護するために、当該権利の根拠法令等が許容しない限り非公開とすべきことは当然と考えられる。また、③公益上の不利益がある場合が生じる場合について、データベースの目的や登録情報の内容を総合的に考慮して当該理由による非公開を認めるべきかを判断すべきと思われる。

### 2. 個人情報について

各国ともに、被験者の個人情報についてはデータベースに登録及び公開しないこととしており、これは個人情報保護の観点から当然と思われる。日本においても、個人情報該当性及びその取扱いについては個人情報保護法による。臨床研究法下において、被験者の個人情報に該当する情報は登録ないし公開されないとの理解であり、各国と同様の取扱いといえよう。

### 3. 知的財産権について

米国を除き、各国ともに一定の製薬情報を登録することとしているものの、知的財産権の対象と

なるものについては非公開となるが、これは知的財産法の趣旨からも当然と思われる。なお、米国においても、登録情報が知的財産権の対象となりうることを否定するものではない。日本においても、臨床研究法下において登録される各情報については、各知的財産法制により規律されることで保護の対象となる。また、当該情報の公開により特許権登録が認められない可能性もあることから、臨床研究法下において設置が予定されているデータベースについては、知的財産に係る情報に関しては、登録は必要であるが公開を免除する方向で議論が進んでいるようであり（第2回厚生科学審議会臨床研究部会（2017年8月31日開催）議事録）、これは当然の取扱いと思われる。

## まとめ

以上の通り、臨床試験についてデータベース上の情報公開について検討した結果、各国ともに、個人情報保護及び知的財産権の保護に配慮した仕組みになっており、これはこれらの法益に照らせば当然のことだと思われる。日本に関し、臨床研究法下において設置が予定されているデータベースについてもこれらの権利に配慮した仕組みが構築されることを前提としていることは、上記理由から妥当と思われる。

一方、個人情報保護及び知的財産権の保護の観点からは問題ないとしても、なお公益上の不利益がある場合に登録情報の非公開を認めるべきかについては、具体的な不利益の内容と情報の有用性等を想定の上で、さらなる検討の余地があると思われる。

## 比較表概略版

ドイツ・オランダの内容についてEUのものは除く。

	英	仏	独	蘭	米	日	EU
<b>登録情報及び公開情報の内容</b>							
DBの有無	なし	なし	あり	あり	あり	N/A	あり
非公開情報	N/A	N/A	あり	あり	なし	N/A	あり
ネガティブ情報の登録	N/A	N/A	あり	あり	あり	N/A	あり
ネガティブ情報の公開	N/A	N/A	義務的	義務的	義務的	N/A	義務的
非公開DBにおける例外的な情報公開	N/A	N/A	N/A	あり	N/A	N/A	N/A
法的根拠	N/A	N/A	N/A	あり	N/A	N/A	N/A
<b>被験者情報（個人情報）</b>							
DBの登録個人情報	N/A	N/A	なし	なし	なし	N/A	なし
個人情報の公開免除規定	N/A	N/A	あり	あり	なし	N/A	あり
法的根拠	N/A	N/A	あり	あり	N/A	N/A	あり
公開免除の基準	N/A	N/A	2-2	N/A	N/A	N/A	2-2
公開・非公開の運用	N/A	N/A	あり	N/A	N/A	N/A	あり

### 製薬情報（企業秘密）

製薬情報の登録の有無	N/A	N/A	あり	あり	なし	N/A	あり
非公開情報	N/A	N/A	あり	あり	N/A	N/A	あり
法的根拠	N/A	N/A	あり	1-6	N/A	N/A	あり
公開免除の基準	N/A	N/A	N/A	あり	N/A	N/A	あり
公開・非公開の運用	N/A	N/A	N/A	あり	N/A	N/A	あり
知的財産権成立の情報	N/A	N/A	(有)	(有)	(有)	N/A	(有)
法的根拠	N/A	N/A	あり	3-6	あり	N/A	3-6
DB運営者の制限	N/A	N/A	N/A	3-6	なし	N/A	なし*
運営者の秘密保持義務	N/A	N/A	あり	3-6	なし	N/A	あり
DB運営者の責任	N/A	N/A	N/A	3-6	なし	N/A	あり

\*: 利用者制限有

### その他公開に関する事項

DB未登録情報公開義務	あり	あり	N/A	あり	あり	あり	あり
法的根拠	あり	あり	N/A	4-1	あり	あり	あり

### 利益相反に関する事項

当局へのCOI報告要否	あり	あり	N/A	あり	あり	N/A	あり
具体的内容	あり	あり	N/A	あり	あり	N/A	あり
法的根拠	あり	あり	N/A	あり	あり	N/A	あり
申請書式	あり	あり	N/A	あり	あり	あり	あり







## 研究成果の刊行に関する一覧表

## 雑誌

発表者氏名	論文タイトル名	発表誌名	巻号	ページ	出版年
Fujii H, Yukawa K, Sato H.	International comparison of data from clinical trials registered with the International Clinical Trial Registry Platform (ICTRP) throughout the United States, Europe, and Asia.	Therapeutic Research	38(8)	805-811	2017
Fujii H, Yukawa K, Sato H.	Transition of Intervention of Clinical Trials for Obesity.	Journal of Pharmaceutical Care & Health Systems	5(1)	1-4	2018
津谷喜一郎、中澤幾子、佐藤元.	WHO臨床試験登録データセット (Version 1.3) の背景となる4つの資料の日本語訳.	薬理と治療		in press	2018
近藤純一、佐藤元、武士俣隆介、湯川慶子、日野優子.	臨床試験情報の公開にかかる法制度: 臨床試験の結果公開にかかる日米欧の法令および判例.				投稿中
佐藤元、笠原智恵、湯川慶子、富岡裕司、高橋広透.	欧米各国における臨床研究の登録・公開および利益相反管理: 英国、フランス、ドイツ、オランダおよび米国の各国法令.				投稿中

---

厚生労働科学研究費補助金 厚生労働科学特別研究事業

**臨床試験の結果の公開における電子的様式の構築のための研究** (H29-特別-指定-035)

平成 29 年度 総括・分担研究報告書

2018 年 5 月 20 日発行

研究代表者 佐藤 元

連絡先 国立保健医療科学院政策技術評価研究部  
〒351-0197 埼玉県和光市南 2-3-6  
TEL 048-458-6223 FAX 048-469-3875

---