厚生労働行政推進調査事業費補助金

厚生労働科学特別研究事業

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

令和７年度　総括・分担研究報告書

研究代表者　楠岡　英雄

令和８（２０２６）年　５月

目　　次

Ⅰ．総括研究報告
日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究 ---------- 1
楠岡　英雄

II. 分担研究報告
１．日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究 ---------- 10
成川　衛
２．日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究 ---------- 14
中村　健一
３．日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究
―医療機器・体外診断用医薬品の臨床試験に係る各国の考え方― ---------- 19
池田　浩治
４．日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究
―医療機器等の臨床試験に係る各国の考え方（総論）― ---------- 26
谷城　博幸
５．倫理審査委員会に関する規制の各国比較 ---------- 32
田代　志門
６．「被験者保護」の制度の枠組みに関する検討 ---------- 37
井上　悠輔
７．日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究 ---------- 40
渡邉　裕司
８．日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究 ---------- 43
佐々木　真理
９．日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究 ---------- 48
滝沢　牧子
10. 日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究 ---------- 53
益山　光一

その他

資料1　日本・米国・EU・英国における臨床試験の法規制
資料1－1　日本・米国・EU・英国における臨床試験の法規制の比較表
資料1－1－1　医薬品　比較表 ---------- 57
資料1－1－2　医療機器　比較表 ---------- 60
資料1－2　日本・米国・EU・英国における臨床試験の法規制
資料1－2－1　日本における医薬品の臨床試験の法規制 ---------- 62
資料1－2－2　日本における医療機器の臨床試験の法規制 ---------- 80
資料1－2－3　米国における医薬品の臨床試験の法規制 ---------- 97
資料1－2－4　米国における医療機器の臨床試験の法規制 ---------- 116
資料1－2－5　EUにおける医薬品の臨床試験の法規制 ---------- 132
資料1－2－6　EUにおける医療機器の臨床試験の法規制 ---------- 150
資料1－2－7　英国における医薬品の臨床試験の法規制 ---------- 170
資料1－2－8　英国における医療機器の臨床試験の法規制 ---------- 186

資料2　臨床研究中核病院・国立高度専門医療研究センター実態調査
資料2－1　臨床研究中核病院実態調査
資料2－1－1　臨床研究中核病院実態調査　集計・分析 ---------- 205
資料2－1－2　臨床研究中核病院実態調査　回答・グラフ ---------- 246
資料2－1－3　臨床研究中核病院実態調査　アンケート項目 ---------- 302
資料2－2　国立高度専門医療研究センター実態調査
資料2－2－1　国立高度専門医療研究センター実態調査　集計・分析 ---------- 312
資料2－2－2　国立高度専門医療研究センター実態調査　回答・グラフ ---------- 386
資料2－2－3　国立高度専門医療研究センター実態調査　アンケート項目 ---------- 455

資料3　臨床研究法に基づく認定臨床研究審査委員会の実態調査
資料3－1　臨床研究法に基づく認定臨床研究審査委員会の実態調査　アンケート項目 ---------- 470
資料3－2　臨床研究法に基づく認定臨床研究審査委員会の実態調査　集計結果 ---------- 484
資料4　日本・米国・EU・英国における臨床試験の法規制（英文）
資料4－1 Laws and Regulations for Clinical Studies of Drugs in Japan ---------- 518
資料4－2 Laws and Regulations for Clinical Studies of Medical Devices in Japan ---------- 534
資料4－3 Laws and Regulations for Clinical Investigations of Drugs in the United States ---------- 554
資料4－4 Laws and Regulations for Clinical Investigations of Medical Devices in the United States ---------- 571
資料4－5 Regulatory Framework for Clinical Trials of Medicinal Products in the EU ---------- 587
資料4－6 Regulatory Framework for Clinical Investigations of Medical Devices in the EU ---------- 603
資料4－7 Regulatory Framework for Clinical Trials of Medicinal Products in the UK ---------- 623
資料4－8 Regulatory Framework for Clinical Investigations of Medical Devices in the UK ---------- 637

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
総括研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

研究代表者　楠岡　英雄　国立病院機構大阪医療センター　名誉院長

研究要旨：現在の臨床試験の規制を含む臨床研究基盤について欧米と比較・分析するとともに、臨床研究中核病院（臨中）、国立高度専門医療研究センター（NC）、認定臨床研究審査委員会（CRB）等を対象とした実態調査を実施し、日本の臨床研究体制の現状と課題を検討した。現在の臨床試験の規制に関しては欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い日本の規制との比較検討を行った。対象地域は米国・英国・欧州（EU）の３地域とし、臨床試験の種別毎に規制が異なる国もあり得ることから、医薬品と医療機器のそれぞれについて調査しとりまとめた。臨床研究中核病院の評価指標として、厚生科学審議会臨床研究部会で議論されている臨床研究の拠点の役割や機能に関する内容を踏まえ、研究実績や国際競争力の向上を考慮した創薬・医療機器の実用化への貢献度等について 16 の臨床研究中核病院へのアンケートにより調査した。また、特定領域に係る臨床研究中核病院の承認要件見直しに向けて、国立高度専門医療研究センター5 機関に研究体制・研究実績等にかかるアンケート調査を行った。認定臨床研究審査委員会の実態調査は認定臨床研究審査委員会事務局を対象にアンケート調査を行った。その結果、日本では承認申請目的を中心とした制度分立により、研究現場に複雑性と負担が生じている一方、欧米では被験者リスクに応じた「リスク比例的（risk proportionate）」な運用や制度横断的な統合が進められていることが明らかとなった。また、臨中・NC はいずれも高い研究実施能力を有するものの、研究成果の実用化、FIH 試験、国際共同研究対応には施設間偏在が認められ、役割分担型ネットワーク構築の必要性が示唆された。さらに、CRB・ARO 部門では QA、薬事、IT、生物統計等の高度専門人材不足や制度分立による業務負担が大きな課題であり、Single IRB、デジタル基盤、研究支援体制の統合化が求められるとともに、専門人材育成と安定的雇用が不可欠であることが示された。総じて、日本の臨床研究力向上には、リスクベースの制度改革、機能分化とネットワーク化、実用化志向の研究推進、専門人材基盤強化を統合した戦略的再設計が必要であると考えられた。特に、「被験者保護を前提としつつ研究推進を支える制度」への転換が、今後の我が国の臨床研究エコシステム再設計における重要課題であることが示唆された。

研究分担者氏名・所属研究機関名及び所属研究機関における職名
・池田浩治・国立大学法人東北大学・臨床研究推進センター副センター長
・谷城博幸・大阪歯科大学・医療イノベーション研究推進機構教授

・井上悠輔・国立大学法人京都大学・大学院医学研究科教授

・田代志門・国立大学法人東北大学・大学院文学研究科教授

・成川衛・学校法人北里研究所北里大学・薬学部教授

・中村健一・国立研究開発法人国立がん研究センター・中央病院国際開発部門長

・渡邉裕司・国立大学法人浜松医科大学・学長

・佐々木真理・八戸赤十字病院・脳神経疾患センターセンター長

・滝沢牧子・埼玉医科大学・総合医療センター教授

研究協力者氏名・所属研究機関名及び所属研究機関における職名

・益山光一・学校法人東京薬科大学・薬学部薬事関係法規研究室教授

A．研究目的

本研究は、臨床試験に関する我が国の規制の課題の抽出及び臨床研究中核病院が有すべき要件を検討するものである。前者は、今後の臨床試験に係る各法令の改正の方向性について国際整合性の視点から検討を行うものであり、各規制の改正時に反映されることにより、合理的な臨床試験の実施手順の実装及びヒューマンリソースの削減が達成されることにより円滑な臨床試験の実施体制につながることが期待される。後者は、現在、厚生科学審議会臨床研究部会で審議されている臨床研究中核病院の承認要件の見直しの議論に資するための提案を行うものであり、承認要件の見直しに反映されることにより、従前の承認要件を充足するための臨床試験を実施立案するのみではなく、真に実施すべき「質の高い」臨床試験に注力し、国内における国際水準の臨床試験の中心的役割の一翼を担う拠点にシフトチェンジすることが期待される。さらに、日本起点の国際共同試験の実施の能力を有し、国内の大規模多施設共同試験をリードしつつ海外からの国際共同試験にも対応できるような国際共同治験に関する中核的な役割を担う拠点の新設につながることも期待される。いずれも研究が実施される現場の視点を中心として、本来必要とされるべき規制及び承認要件について、国際競争力を考慮して提案を行うことにより、我が国が世界トップレベルの創薬及び研究開発の地となることを期待できる。分担研究者・池田浩治、谷城博幸、井上悠輔、田代志門、成川衛、中村健一は、上記２課題のうち、我が国の臨床試験の規制を米国、EU,英国における規制と比較し、規制における課題の抽出を担当し、今後の方向性についての検討を行った。分担研究者・渡邉裕司、佐々木真理、滝沢牧子は、臨床研究中核病院が有すべき要件の検討を担当した。また、臨床研究法に基づく認定臨床研究審査委員会に関して、取り扱う臨床研究の数やその審査の質について検討すべきとの意見がある。そのため、研究協力者・益山光一により、認定臨床研究審査委員会の実態についてアンケート調査による検討を行った。

B．研究方法

現在の臨床試験の規制に関しては、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域としては、米国、英国、欧州（EU）の３地域とし、臨床試験の種別毎に規制が異なる国もあり得ることから、医薬品と医療機器のそれぞれについて調査し、とりまとめた。

臨床研究中核病院の評価指標の検討として、厚生科学審議会臨床研究部会で議論されている臨床研究の拠点の役割や機能に関する内容を踏まえ、研究実績や国際競争力の向上を考慮した

創薬・医療機器の実用化への貢献度等について、16 の臨床研究中核病院（北海道大学病院、東北大学病院、千葉大学医学部附属病院、国立がん研究センター東病院、東京大学医学部附属病院、慶應義塾大学病院、順天堂大学医学部附属順天堂医院、国立がん研究センター中央病院、名古屋大学医学部附属病院、京都大学医学部附属病院、大阪大学医学部附属病院、神戸大学医学部附属病院、岡山大学病院、広島大学病院、九州大学病院、長崎大学病院）へのアンケート（資料２−１−３参照）により調査した。また、特定領域に係る臨床研究中核病院の承認要件見直しに向けて、国立高度専門医療研究センター5 機関（国立精神神経研究センター、国立成育医療研究センター、国立国際医療研究センター、国立循環器病研究センター、国立長寿医療研究センター）に研究体制・研究実績等にかかるアンケート調査（資料２−２−３参照）を行った。認定臨床研究審査委員会の実態調査は、81 の認定倫理審査委員会事務局を対象にアンケート（資料３−１参照）により調査を行った。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

現在の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域は、米国、英国、欧州（EU）の３地域とし、医薬品ならびに医用機器について整理した。各国の法規制については資料１−２−１〜資料１−２−８にまとめており、その比較対照表を資料１−１−１（医薬品）および資料１−１−２（医療機器）としてとりまとめた。

医薬品にかかる臨床試験の規制に関する日本と欧米との比較は分担研究者成川衛と中村健一により検討され、それぞれの分担研究報告書にまとめられた。

医療機器・体外診断用医薬品にかかる臨床試験の規制に関する日本と欧米との比較は分担研究者池田浩治と谷城博幸により検討され、それぞれの分担研究報告書にまとめられた。

被験者保護の制度の枠組みに関する日本と欧米との比較は分担研究者井上悠輔により検討され、分担研究報告書にまとめられた。

倫理審査委員会に関する規制の日本と欧米との比較は分担研究者田代志門により検討され、分担研究報告書にまとめられた。

臨床研究中核病院 16 病院（北海道大学病院、東北大学病院、千葉大学医学部附属病院、国立がん研究センター東病院、東京大学医学部附属病院、慶應義塾大学病院、順天堂大学医学部附属順天堂医院、国立がん研究センター中央病院、名古屋大学医学部附属病院、京都大学医学部附属病院、大阪大学医学部附属病院、神戸大学医学部附属病院、岡山大学病院、広島大学病院、九州大学病院、長崎大学病院）に対するアンケート結果を集計したものを資料２−１−１に示す。また、国立高度専門医療研究センター（国立精神神経研究センター、国立成育医療研究センター、国立国際医療研究センター、国立循環器病研究センター、国立長寿医療研究センター）に対するアンケート結果を集計したものを資料２−２−１に示す。

臨床研究中核病院における研究実績や創薬・医療機器の実用化への貢献度等については分担研究者渡邉裕司により検討され、分担研究報告書にまとめられた。

国立高度専門医療研究センターにおける研究基盤の状況や研究実績等については分担研究者佐々木真理により検討され、分担研究報告書に

まとめられた。

臨床研究中核病院と国立高度専門医療研究センターにおける研究基盤や実績に関する比較については分担研究者滝沢牧子により検討され、分担研究報告書にまとめられた。

全国の認定臨床研究審査委員会の体制・実績等に関しての行ったアンケート結果を資料3−2に示す。この結果は研究協力者益山光一より検討され、分担研究報告書にまとめられた。

D．考察

日本と欧米における医薬品・医療機器の臨床試験規制の比較からは、各国の制度設計の違いを通じ、日本の制度が抱える課題と今後の方向性が明らかになった。特にいずれの分担研究でも共通して指摘されたのは、日本の制度が「承認申請目的か否か」という試験目的を中心に規制体系を構築しているのに対し、欧米では被験者リスクや介入の程度に応じた「リスク比例的（risk proportionate）」な運用が重視されている点である。

医薬品分野では、日本では薬機法（GCP 省令）、臨床研究法、倫理指針という複数の制度が並立し、同種の介入研究であっても目的によって異なる制度・審査経路が適用される。一方、欧米では、介入研究を原則として統一的な臨床試験規制の枠組みで扱い、その中で被験者リスクや医薬品特性に応じた柔軟な運用を行っている。このため、日本の制度は承認申請データの信頼性確保という点では合理性を有するものの、研究現場に複雑さや負担をもたらしていることが明らかになった。また、EU の low-intervention clinical trial のように、既承認薬を通常診療に近い形で使用する低リスク研究に対して簡素化した運用を認める制度設計は、日本でも参考にすべきと考えられる。さらに、申請・審査基盤の一元化の重要性も指摘された。EU では CTIS、英国では IRAS によって、規制審査と倫理審査が統合的に管理されているのに対し、日本の jRCT は主として登録・公開機能にとどまり、規制対応や安全性報告、変更管理までを統合的に扱う仕組みにはなっていない。今後は、治験や特定臨床研究を横断的に支えるデジタル基盤を整備し、透明性向上と現場負担軽減を両立させる必要性が示唆された。

医療機器分野では、医薬品以上にリスクや使用方法の多様性が大きく、施術者の技量が性能に影響するという特性を踏まえた柔軟な規制の必要性が示された。日本では医療機器 GCP、臨床研究法、倫理指針が目的別に使い分けられているが、その結果、制度運用が複雑化し、特に未承認機器を用いた研究の障壁となっているとの指摘があった。欧米ではリスク分類に応じて規制内容を変える考え方が浸透しており、日本でもリスクベースの柔軟な審査体制への転換が求められる。また、医療機器開発を促進するためには、医療機器臨床試験に精通した審査組織や人材を集約し、実施支援体制を強化する必要があると考えられる。加えて、体外診断用医薬品について、日本では医療機器制度の中に十分整理されていないため、治験に該当しない臨床性能試験の位置づけが不明確であり、制度上の空白が存在するとの問題提起もあった。欧米のように医療機器カテゴリーとして包括的に整理することが、今後の制度整備の課題と考えられる。

倫理審査委員会や被験者保護に関する議論では、日本の制度の分立構造が大きな課題として挙げられた。再生医療法や臨床研究法では一括審査が義務化されている一方、GCP 省令や生命・医学系指針では任意であり、制度間の整合性が十分ではない。また、欧米では同一の IRB・REC が複数規制に対応できるのに対し、日本では制度ごとに別委員会が必要とされ、人

的・運営的資源の分散と非効率を招いている。さらに、委員会審査の質保証についても、日本ではばらつきが大きく、近年導入された第三者評価制度も公表にとどまり実効的な改善につながる仕組みはなお限定的である。

総じて、日本の臨床試験制度は、承認申請を中心とした縦割り構造や制度分立により現場負担や非効率性を生じている一方で、欧米ではリスク比例的な運用と制度横断的な統合が進められていることが明らかとなった。今後、日本においては被験者保護と研究の質を維持しつつ、リスクベースの柔軟な制度設計、倫理審査体制の統合・質保証、デジタル基盤整備、さらには医療機器・再生医療等の特性を踏まえた実践的なエコシステム構築を進めることが国際整合性と研究競争力の向上につながる重要な課題である。

臨床研究中核病院（臨中）および国立高度専門医療研究センター（NC）における研究基盤、研究支援体制、研究実績についての比較・分析からは我が国の臨床研究推進体制の特徴と課題が明らかとなった。全体として、いずれの施設群も高度専門人材を有し、臨床研究支援体制や教育研修体制は充実しており、日本の臨床研究を支える重要な基盤となっていることが確認された。特に、特定臨床研究、企業治験、多施設共同研究、リアルワールドデータ研究などを通じて、各施設が研究ネットワークの中核的役割を果たしている点は高く評価できる。

一方で、研究成果の実用化・薬事承認への接続については課題も明らかとなった。アカデミア主導研究や企業導出には一定の成果があるものの、製造販売承認申請や承認取得につながる案件数は限定的であり、研究成果を実際の医療実装へ結びつける「トランスレーショナル機能」が十分とは言い難い状況が示された。特にFIH（First in Human）試験や国際共同試験については一部施設への集中が顕著であり、革新的モダリティに対応できる基盤整備には地域差・施設差が存在している。今後は全施設に同一機能を求めるのではなく、薬理解析、画像評価、バイオマーカー解析など各施設の強みを活かした役割分担型ネットワークを形成し、高付加価値データを創出できる「価値創出型 FIH 拠点」への転換が求められる。

また、Single IRB 体制や研究支援人材のキャリアパス整備も重要な課題として明らかになった。Single IRB については、一定の体制整備は進んでいるものの、全国標準としては未成熟であり、標準契約や標準手順書の整備、規制調和型審査体制の構築が必要である。さらに、CRC、データマネージャー、生物統計家、レギュラトリー担当者などの専門職については、競争的資金依存の不安定雇用から基盤経費等を活用した安定的雇用モデルへ移行する必要性も指摘された。

一方、臨中と NC の役割の違いが明確に示された。大学病院を中心とする臨中は、多診療科・大規模病床を背景に、多様なシーズや患者を集積し、幅広い領域の医師主導治験や ARO 支援を担う「水平的ネットワーク支援」に強みを持つ。一方、NC は特定疾患領域に特化し、専門性を活かしたリアルワールドデータ研究、ガイドライン作成、全国レジストリ運営、国際共同研究ネットワークなどを通じて、「垂直的・専門的エビデンス創出」に強みを有していることが示唆された。

総じて、本研究からは、日本の臨床研究基盤が一定の研究実施能力と専門性を有している一方で、研究成果の実用化、FIH 体制、国際共同研究対応、人材基盤整備などにおいてなお発展途上であることを示した。また、臨中と NC は単純な優劣ではなく、それぞれ異なる機能と役割を担っており、両者の特性を活かした相互補

完的ネットワークを構築することが今後の我が国の臨床研究力・国際競争力の向上に重要な役割を負うと考えられる。まず、重要なのは、単に研究件数を増やすことではなく、「研究成果をいかに実用化・薬事承認へ結びつけるか」が中心課題になっていることである。本調査では、特定臨床研究や企業治験、多施設共同研究は活発に実施されている一方、承認申請や実装に直結する案件は限定的であった。これは、日本の臨床研究が「研究実施」には強みを持ちながら、「トランスレーショナル研究」や「出口戦略」の部分がなお弱いことを示している。したがって、今後は研究初期段階から薬事戦略、国際展開、企業連携を組み込んだ“実用化志向型研究基盤”への転換が極めて重要となる。第二に、FIH 試験や国際共同研究体制を「全施設均一型」で整備するのではなく、各施設の専門性に応じた役割分担型ネットワークとして構築する必要性である。FIH、バイオマーカー解析、RWD 解析、画像評価などには高度専門性が求められ、全施設が同じ機能を持つことは現実的ではない。むしろ、各施設の強みを結びつけるネットワーク型体制が日本全体の研究競争力を高める方向性であると本研究から強く示唆される。第三に、臨中と NC は、単純比較すべき対象ではなく、「異なる使命を担う相補的存在」である点である。臨中は総合型病院として多様なシーズを支援する水平的機能を持ち、NC は疾患特化型機関として専門領域の深いエビデンス創出を担う垂直的機能を持つ。この違いを踏まえずに一律基準で評価すると、それぞれの強みを適切に活かせなくなる可能性がある。今後は、両者を競合的に扱うのではなく、役割分担と連携を前提とした国家的研究戦略が必要である。さらに、本研究全体を通じて浮かび上がるのは、「研究基盤は人材基盤である」という点である。CRC、生物統計家、データマネージャー、レギュラトリー担当者などの専門人材なしには、高品質な臨床研究は成立しない。しかし現状では、競争的資金依存による不安定雇用が多く、持続性に課題がある。研究基盤整備とは、施設整備だけではなく、専門人材を長期的に育成・定着させる制度設計を含むことを、特に強調すべきである。総じて、本研究が示している最も重要なメッセージは、「日本の臨床研究力強化には、制度や施設の量的整備だけでなく、機能分化・ネットワーク化・実用化志向・人材基盤強化を統合した戦略的再設計が必要である」という点にある。

認定臨床研究審査委員会（CRB）に関する調査からは、CRB や ARO 部門の現場では、人材・資金・時間不足が大きな制約となっていることが明らかとなった。CRC は一定数確保されている一方、QA、薬事、IT、生物統計など高度専門人材が不足し、研究支援基盤の脆弱性が示唆された。また、有期雇用中心でキャリアパスが不明確なことが人材定着を困難にしている。さらに、複数法令による委員会・事務局・様式の分立が現場負担を増大させ、研究デザインそのものに影響を与えている実態も認められた。現場では、委員会運用や IT 基盤等の共通化・整合化へのニーズが高いことが示された。

E．結論

日本、米国、EU、英国における医薬品・医療機器の臨床試験規制の比較により、日本の制度改善に向けた課題と方向性が整理された。共通して指摘されたのは、日本では薬機法（GCP 省令）、臨床研究法、倫理指針など制度が分立し、試験目的に応じて異なる規制が適用されるため、実施側にとって複雑で非効率な構造となっている点である。一方、欧米では被験者リスクや介入性に応じた「リスク比例的（risk proportionate）」な考え方が浸透しており、審

査や品質管理も柔軟かつ統合的に運用されている。特に倫理審査委員会については、日本では規制ごとに別組織が求められるのに対し、欧米では共通化・ハーモナイズが進んでいる。今後、日本においても、リスクベースの規制運用、審査手続の一元化、倫理審査制度の共通化と質保証の強化を進めることで、国際整合性と実務効率を高める必要がある。また、医療機器や SaMD 等の新規技術開発を促進する臨床試験エコシステムを整備し、世界的な研究開発競争力を強化することが期待される。

本研究を通じて特に強調すべき点は、単なる制度比較にとどまらず、「日本の臨床試験制度が、今後どのような理念で再構築されるべきか」という方向性を示している点にある。第一に強調すべきは、欧米で進む「リスク比例的（risk proportionate）」な規制思想である。従来の日本では、「承認申請目的か否か」に重点を置いた制度設計が中心であり、その結果、同種の研究であっても制度が分断され、実施者にとって複雑で負担の大きい構造となっている。一方、欧米では、被験者への追加リスクや介入の程度を基軸に、必要な規制強度を柔軟に設定している。これは、被験者保護を損なわずに研究の実施可能性と効率性を高める考え方であり、日本でも今後の制度改革の中心理念となるべき点である。第二に、倫理審査委員会制度の分立と非効率性は、日本特有の重要課題である。現在、日本では GCP、臨床研究法、再生医療法、倫理指針ごとに異なる委員会運営が求められ、限られた専門人材や事務局機能が分散している。欧米では、規制が異なっても共通の IRB・REC で審査可能な仕組みが整備されており、日本でも少なくとも主要法令間でのハーモナイズと委員会共通化を進める必要性が強く示唆される。これは単なる効率化ではなく、審査の質向上と安定化にも直結する。第三に、医療機器・SaMD・再生医療等製品といった新規モダリティへの対応である。医療機器は医薬品以上に多様性が高く、施術者依存性や改良サイクルの速さなど独自の特性を持つ。そのため、画一的な規制ではなく、実態に応じた柔軟な臨床試験デザインや評価体系が求められる。本報告では、臨床試験を「高いハードル」として捉えるのではなく、新たな医療技術創出を支えるエコシステムとして位置づけ直す重要性が示されている。さらに、本研究の全体を通じて根底に流れているのは、「被験者保護」と「研究推進」を対立概念として捉えない姿勢である。倫理審査や規制強化は本来、研究を停滞させるためではなく、社会的信頼を担保しながら持続的な研究開発を可能にする基盤である。したがって、日本に求められるのは、制度を細分化して規制を増やすことではなく、リスクに応じた合理的運用と制度間の統合を通じて、質・効率・国際整合性を同時に高める方向への転換である。総じて、本研究が最も強く示しているのは、日本の臨床試験制度は「守るための制度」から、「被験者保護を前提に研究開発を支える制度」へと進化する必要がある、という点にある。

臨床研究中核病院（臨中）および国立高度専門医療研究センター（NC）の研究基盤・研究実績に関する実態調査からは我が国の臨床研究体制の現状と課題が整理された。その結果、臨中・NC ともに高度な研究支援体制と専門人材を有し、各領域において高い研究主導能力を発揮していることが確認された。一方で、FIH 試験や国際共同試験、薬事承認につながる研究成果は一部施設に集中しており、研究成果を実用化へ接続する機能にはなお課題が残されていることが示された。今後は、実用化志向の研究開発体制を強化するとともに、各施設の特性を活かした役割分担型 FIH ネットワークの構築が

求められる。また、Single IRB の標準化や規制調和を進め、国際共同研究にも対応可能な研究基盤を整備する必要がある。さらに、CRC、データマネージャー、生物統計家など研究支援専門職の安定的雇用と持続可能な人材育成体制の確立も重要な課題として挙げられた。加えて、臨中と NC は単純な競合関係ではなく、それぞれ異なる役割を担っている点が明確となった。臨中は総合型・大規模病院として多様な領域の臨床研究を支える基盤を有する一方、NC は疾患特化型機関として、ガイドライン根拠論文、企業治験、リアルワールドデータ研究などに強みを持ち、診療標準化や専門的エビデンス創出を主導している。したがって、今後は両者の機能を相互補完的に活用しつつ、NC については特定領域型臨床研究推進機関として独自の枠組みで発展させることが望ましい。また、被験者保護と医療安全の観点から、NC においても特定機能病院に準じた安全管理体制の整備を進める必要がある。

また、本研究では、CRB・ARO 部門における人員不足や制度分立が、治験・臨床試験の運営負担を増幅し、現場に「負のスパイラル」を生じさせている可能性が示された。今後は、研究資金の充実に加え、複数法令下での委員会運用、事務手続、様式、窓口、IT 基盤等の共通化・整合化を進め、業務効率化を図る必要がある。また、ARO・事務局機能を支える高度専門人材の育成・定着、キャリアパス整備、データ管理・品質保証体制の強化を通じて、持続可能な治験・臨床試験実施体制を構築することが重要である。

本研究全体を通じて考えると、制度分立、倫理審査、FIH、人材不足などが指摘されたが、それらを貫く共通のテーマとして「被験者保護を確保しながら、研究実施と実用化を持続可能に推進する制度への転換」が浮かび上がる。つまり、本研究は単なる制度比較ではなく、「日本の臨床研究エコシステム再設計論」と位置づけてもよいと考えられる。第二に、「リスクベース・リスク比例的（risk proportionate）」という概念が本研究全体のキーワードになっていると考えられる。規制、倫理審査、FIH、医療機器、Single IRB、研究支援体制など、ほぼ全ての論点で、「一律規制から、リスクに応じた柔軟運用へ」という方向性が共通している。これは単なる運用改善ではなく、日本の制度思想そのものの転換を求めていると考えられる。第三に、「人材問題」も中心課題である。多くの箇所で、人材不足、キャリアパス不在、専門人材の不安定雇用が指摘されているが、これは単独の問題ではなく、Single IRB の未成熟、FIH 偏在、ARO 機能不足、研究品質確保困難など、ほぼ全ての問題の基盤にある。したがって、「研究基盤整備とは、施設整備ではなく専門人材基盤整備である」という視点を持つことが重要と考えられる。第四に、臨中と NC については「競争」ではなく「機能分担・ネットワーク化」が非常に重要である。この視点は、日本の限られた研究資源をどう活用するかという国家戦略に直結するものである。特に、全施設一律整備ではなく、「強みを持つ拠点の連携によるネットワーク型研究体制」という方向性は本研究全体を貫く重要な提言と思われる。

最後に、①日本は既に一定の研究基盤を有している、②しかし制度分立と人材基盤脆弱性がボトルネックになっている、③今後は「統合・ネットワーク化・実用化志向」へ進む必要があることの３点を本研究のまとめとする。

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

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
なし

2. 実用新案登録
なし

3.その他
なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

研究分担者　成川　衛　北里大学薬学部教授

研究要旨：日本における医薬品に関する臨床試験の規制を米国の規制と比較検討し、これに基づく課題の抽出及び今後の方向性について考察した。医薬品に関する臨床試験の規制については、日本、米国ともに、試験が有する商業的目的の有無と、試験デザイン及び参加者のリスクの程度によって場合分けをしながらこれを適用している。今後、日本における規制及びその運用を適正化していく上では、各々においてリスクに基づくアプローチの考え方を浸透させ、これを実行していくことが重要であり、これらを通して臨床試験に関するルール及びその運用における合理化・効率化と国際整合性の向上を図っていくことが重要である。

A．研究目的

本研究は、臨床試験に関する我が国の規制の課題の抽出及び臨床研究中核病院が有すべき要件を検討するものである。前者は、今後の臨床試験に係る各法令の改正の方向性について国際整合性の視点から示唆を行うものであり、各規制の改正時に反映されることにより、合理的な臨床試験の実施手順の実装及びヒューマンリソースの削減が達成されることにより円滑な臨床試験の実施体制につながることが期待される。後者は、現在、厚生科学審議会臨床研究部会で審議されている臨床研究中核病院の承認要件の見直しの議論に資するための提案を行うものであり、承認要件の見直しに反映されることにより、従前の承認要件を充足するための臨床試験を実施立案するのみではなく、真に実施すべき「質の高い」臨床試験に注力し、国内における国際水準の臨床試験の中心的役割の一翼を担う拠点にシフトチェンジすることが期待される。さらに、日本起点の国際共同試験の実施の能力を有し、国内の大規模多施設共同試験をリードしつつ海外からの国際共同試験にも対応できるような国際共同治験に関する中核的な役割を担う拠点の新設につながることも期待される。いずれも研究が実施される現場の視点を中心として、本来必要とされるべき規制及び承認要件について、国際競争力を考慮して提案を行うことにより、我が国が世界トップレベルの創薬及び研究開発の地となることを期待できる。上記課題の内、本分担研究者は、我が国の臨床試験の規制と米国、EU、英国における規制との比較に基づく規制における課題の抽出を担当し、今後の方向性について示唆するものである。

B．研究方法

現在の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域としては、米国、英国、欧州（EU）の３地域とし、臨床試験の種別毎に規制が異なる国もあり得ることから、医薬品と医療機器のそれぞれについて調査した。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎

研究には該当しない。

C．研究結果

現在の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域は、米国、英国、欧州（EU）の３地域とし、医薬品ならびに医用機器について整理した。各国の法規制については資料１−２−１〜資料１−２−８にまとめており、その比較対照表を資料１−１−１（医薬品）および資料１−１−２（医療機器）としてとりまとめた。以下、日本と米国における医薬品に関する臨床試験の規制について整理した。

(1) 日本における医薬品の臨床試験の規制

日本では、医薬品の臨床試験に対して、試験の目的、内容に応じて異なる規制が適用される。

「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」（薬機法）に基づく医薬品等の製造販売承認を取得するために、臨床試験成績に関する申請資料の収集を目的として行われる臨床試験は「治験」と定義され、薬機法が適用される。同法には、治験の依頼及び管理（治験依頼者）並びに実施（治験実施医療機関・治験責任医師等）に当たっての「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」（GCP 省令）の遵守が規定されている他、規制当局に対する治験計画の事前届出、治験中の重篤な有害事象の緊急報告、治験依頼者の守秘義務等の規定が設けられている。GCP 省令には、被験者の人権・安全、並びに治験の科学的妥当性及びデータの信頼性の確保を目的として、治験依頼者（製薬企業)、治験責任医師、治験審査委員会等の役割や手続きが定められており、国際的に合意された ICH-GCP の内容を基本としつつ、日本国内での運用に必要な事項が規定されている。

一方、治験以外の臨床試験（つまり医薬品等の製造販売承認を取得するための臨床試験成績に関する申請資料の収集を目的としない試験）のうち、いわゆる介入研究（通常の医療に比べて患者への傷害・負担が大きい研究目的の検査等を診療に追加して行う場合を含む）については、臨床研究法が適用される。同法では、対象とする臨床研究のうち「特定臨床研究」（薬機法における未承認・適応外の医薬品の臨床研究、製薬企業等から資金提供を受けて実施される当該製薬企業等の医薬品の臨床研究）について臨床研究実施基準の遵守が求められ、それ以外の臨床研究については遵守の努力義務が規定されている。また、規制当局に対する研究の実施計画の届出、当該研究の実施に起因するものと疑われる疾病等の報告などの規定が設けられている。臨床研究実施基準には、臨床研究の実施体制及び施設の構造設備、研究実施状況の確認、研究対象者に健康被害が生じた場合の補償等について規定されている。なお、同法に「介入」の定義は明示されていないが、後述する「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（以下「倫理指針」）では、介入とは「研究目的で、人の健康に関する様々な事象に影響を与える要因の有無又は程度を制御する行為をいう」とされている。

また、いわゆる非介入研究については、薬機法又は臨床研究法の適用対象とはならず、上述の倫理指針に基づいて実施されることとなる。同指針には、対象者の権利保護や個人情報の適切な取扱い、インフォームド・コンセントの取得方法、研究計画の妥当性、倫理審査委員会の承認手続きなど、研究を倫理的に実施するための基本的な枠組みが示されている。

なお、再生医療等製品に関する治験について

は、上述の GCP 省令ではなく、「再生医療等製品の臨床試験の実施の基準に関する省令」が適用される。この他、再生医療等が医療として提供される場合には「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」が適用される。

日本における臨床試験情報の登録は、Japan Registry of Clinical Trials（jRCT）が中心的役割を担っており、治験及び特定臨床研究については jRCT への登録が必須とされている。

(2) 米国における医薬品の臨床試験の規制

米国では、食品医薬品局（Food and Drug Administration (FDA)）が規制する新薬の臨床試験については連邦食品医薬品化粧品法（FDC Act）に基づく研究用新薬申請（Investigational New Drug Application (IND)）が必要となり、試験のスポンサーは FDA に対して IND を提出する必要がある。ここで言う「新薬」の定義は広く、米国で未承認の医薬品（製品）のみならず、既承認の医薬品であっても適応症、患者集団、用法・用量、製造方法などが異なるものも含まれる。IND の具体的手続き・内容について規定する連邦規則集（Code of Federal Regulations (CFR) 21 章 Part 312）では、臨床試験におけるスポンサー及び研究者の様々な責務について規定され、また、試験の実施に当たっては、インフォームド・コンセントなどの被験者保護及び倫理審査の規定（21 CFR Part 50、56）を遵守する必要がある。なお、IND は、(1)Commercial IND（企業による商業開発目的の臨床試験（日本で言う企業治験））、(2)Investigator IND（研究者による学術研究)、(3)Emergency Use IND (緊急使用、個別患者対応)、(4)Treatment IND (重篤/生命脅威疾患の治療拡大アクセス)の 4 つに分類される。IND 規制の対象となる臨床試験については、IND 提出後 30 日間の FDA による確認が行われ、重篤な有害事象等の FDA への報告義務が課されるとともに、場合によっては FDA による試験停止命令の発出の対象となる。

一方、既承認薬に関する臨床試験であって IND 免除規定*のすべてを満たす場合は IND の提出が免除される。この場合でも、インフォームド・コンセントなどの被験者保護及び倫理審査の規定（21 CFR Part 50、56）は適用される。

* 試験が効能追加その他製品ラベルの重大な変更を目的とするものではないこと、当該製品の広告の重大な変更を目的とするものではないこと、当該製品の使用に付随するリスクを著しく高めるような投与経路、用量、患者集団での使用などを含まないこと、倫理審査及びインフォームド・コンセントに関する要件（21 CFR Part 56 及び 50）を遵守して実施されること、試験薬の広告禁止に関する要件を遵守して実施されること

FDA が規制する臨床試験に該当しない場合であっても、連邦政府資金が関与する臨床研究に対しては、被験者保護に関する基本規制であるいわゆる Common Rule（45 CFR Part 46）が適用される。これは臨床研究における倫理審査と被験者保護の共通基準として機能し、米国保健福祉省の担当組織（Office for Human Research Protections）によって運用監督がなされている。

米国における臨床試験情報の登録は、ClinicalTrials.gov が中心的役割を担っており、FDA が規制する臨床試験（Phase 2 試験以降）については ClinicalTrials.gov への登録が必須とされている。

D. 考察

医薬品等の臨床試験に関する規制について、

日本では、先ず臨床試験を目的（当該試験で得られるデータを薬機法に基づく医薬品等の製造販売承認申請に用いるかどうか（いわば商業的目的の有無））で分類し、その上で、商業的目的を有さない試験について、試験デザイン（介入）や参加者のリスクの程度に応じて臨床研究法（その中でも特定臨床研究）の適用対象とするかどうかの場合分けを行っている。一方、米国では、臨床試験を、FDA が管轄する製品（医薬品）の使用、連邦政府資金が関与する研究であるか否かで分類し、前者における IND 提出の要否について、商業的目的の有無と臨床試験（参加者）のリスクの程度で線引きするという対応となっている。

薬機法における「治験」は、試験の目的によって定義され除外規定が設けられていないこと、また、医薬品等の製造販売承認のための申請データの信頼性確保という点からは、将来の商業的目的を有する臨床試験については広く治験の枠内に取り込み、その適正な実施を確保することが望ましいと考える。一方で、国内で治験を実施しようとする際の手続きの煩雑性や高コストといった従来から指摘されてきた課題を背景に、治験の合理化・効率化を目指して、ICH-E6（R3）の合意や独立行政法人医薬品医療機器総合機構等による治験エコシステム導入推進事業を踏まえた GCP 省令の改正が近々予定されている。治験の合理化・効率化を実現するためには、このような制度改正の機会を捉えて付随事項の具体的な運用改善を図り、リスクに基づくアプローチの促進、国際整合性の向上を確実に実行していくことが不可欠である。また、臨床研究法については、最近、非介入研究に関する同法の適用範囲や適応外薬を使用する研究に係る特定臨床研究の対象範囲について、研究参加者へのリスク等を考慮した形で見直しがなされたところである。臨床現場にわかりやすい形で、これらの情報の周知を図っていくことが重要であろう。今後も、臨床試験に関与する様々なプレーヤーの声を聞きながら、各々の規制においてリスクに基づくアプローチの考え方を浸透させ、これを実行していくことが重要であり、これらを通して臨床試験に関するルール及びその運用における合理化・効率化と国際整合性の向上を図っていくことが重要である。

E．結論

医薬品に関する臨床試験の規制については、日本、米国ともに、試験が有する商業的目的の有無と、試験デザイン及び参加者のリスクの程度によって場合分けをしながらこれを適用している。今後、日本における規制及びその運用を適正化していく上では、各々においてリスクに基づくアプローチの考え方を浸透させ、これを実行していくことが重要であり、これらを通して臨床試験に関するルール及びその運用における合理化・効率化と国際整合性の向上を図っていくことが重要である。

G．研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

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

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

研究分担者　中村 健一　国立がん研究センター中央病院 国際開発部門長

研究要旨：本分担研究では、日本の制度を EU、英国の規制と比較し、今後の制度見直しへの示唆を得るため、医薬品の臨床試験に関する法規制を網羅的に調査・整理した。その結果、EU では CTR と CTIS を中核とする統一的制度の下で、介入を伴う医薬品試験を原則として同一の法的枠組みで扱い、日常診療への上乗せリスクが低い試験については low-intervention clinical trial として合理的運用を認めていた。英国では、介入の有無で CTIMP と Non-CTIMP を区別し、CTIMP では MHRA と REC による Combined Review が整備され、試験リスクに応じた quality and risk proportionality に基づいた運用が重視されていた。両者に共通するのは、承認申請目的の有無のみではなく、介入の有無や追加リスクに応じて審査・実施要件を設計している点である。これに対し日本では、治験と臨床研究が制度上分かれており、同種の介入研究でも異なる手続が求められる。今後は、被験者リスクに応じた規制の合理化、申請・審査基盤の一元化、新規モダリティに対する追加要件の整理を進めることが、国際整合性と実務効率の向上に資するものと考えられた。

A．研究目的

本研究は、臨床試験に関する我が国の規制の課題の抽出及び臨床研究中核病院が有すべき要件を検討するものである。前者は、今後の臨床試験に係る各法令の改正の方向性について国際整合性の視点から示唆を行うものであり、各規制の改正時に反映されることにより、合理的な臨床試験の実施手順の実装及びヒューマンリソースの削減が達成されることにより円滑な臨床試験の実施体制につながることが期待される。後者は、現在、厚生科学審議会臨床研究部会で審議されている臨床研究中核病院の承認要件の見直しの議論に資するための提案を行うものであり、承認要件の見直しに反映されることにより、従前の承認要件を充足するための臨床試験を実施立案するのみではなく、真に実施すべき「質の高い」臨床試験に注力し、国内における国際水準の臨床試験の中心的役割の一翼を担う拠点にシフトチェンジすることが期待される。さらに、日本起点の国際共同試験の実施の能力を有し、国内の大規模多施設共同試験をリードしつつ海外からの国際共同試験にも対応できるような国際共同治験に関する中核的な役割を担う拠点の新設につながることも期待される。いずれも研究が実施される現場の視点を中心として、本来必要とされるべき規制及び承認要件について、国際競争力を考慮して提案を行うことにより、我が国が世界トップレベルの創薬及び研究開発の地となることを期待できる。上記課題の内、本分担研究者は我が国の臨床試験の規

制を米国、EU,英国における規制との比較により、規制における課題の抽出を担当し、今後の方向性について示唆するものである。

B．研究方法

現在の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域としては、米国、英国、欧州（EU）の３地域とし、臨床試験の種別毎に規制が異なる国もあり得ることから、医薬品と医療機器のそれぞれについて調査した。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

現在の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域は、米国、英国、欧州（EU）の３地域とし、医薬品ならびに医用機器について整理した。各国の法規制については資料１−２−1〜資料１−２−8 にまとめており、その比較対照表を資料１−１−1（医薬品）および資料１−１−２（医療機器）としてとりまとめた。以下では EU と英国における医薬品を用いた臨床試験に関する法規制をまとめる。

1)　EU での医薬品の臨床試験規制要件

EU における医薬品の臨床試験の中核をなすのは、加盟国に直接適用される Clinical Trials Regulation（Regulation (EU) No 536/2014, CTR）である。CTR は、EU 域内での臨床試験の申請、審査、実施に関する基本要件を統一し、被験者保護と国際共同試験の効率化の両立を図る制度として位置づけられている。CTR は 2022 年 1 月 31 日から適用が開始され、Clinical Trials Information System（CTIS）が同時期に稼働し、申請、審査、変更、終了報告、情報公開を含む臨床試験プロセス管理の共通基盤として機能している。ガバナンスとしては、EU レベルでは欧州委員会が制度設計・改正に関与し、European Medicines Agency（EMA）が CTIS を運用し、各加盟国の National Competent Authority（NCA）が審査・監督を実施し、必要に応じて各国の倫理審査委員会が関与する構造となっている。

EU では、まず CTR 上の clinical trial に該当するか否かによって、適用される規制枠組みが分かれる。CTR 上の clinical trial は以下のいずれかに該当するものと定義されており、医薬品の介入研究とほぼ同義である。

a）被験者を特定の治療戦略に割り付けることが、あらかじめ決定されており、かつ、当該加盟国における通常の臨床診療（normal clinical practice）の範囲に含まれない場合
b）臨床試験用医薬品（investigational medicinal products, IMP）を処方する決定が、被験者を当該臨床研究に組み入れる（登録する）決定と同時に行われる場合
c）通常の臨床診療に加えて、追加の診断手順またはモニタリング手順が被験者に適用される場合

この定義のいずれかに該当する場合、未承認薬の評価試験のみならず、既承認薬の新用量、新適応、新規投与方法等を検証する試験も CTR の適用対象となる。他方、non-interventional study は CTR 上別に定義され、通常診療の範囲内で得られるデータを観察・解析する研究は原則として CTR の適用対象外となる。

CTR 適用試験については、申請・審査・実施・安全性報告・透明性確保に関する基本要件

が CTR により定められ、これらの手続は CTIS を通じて実施される。申請資料は、EU 共通評価事項である Part I と、各加盟国固有事項である Part II から構成される。Part I には臨床試験の科学的妥当性、製品の品質、安全性等に関する情報が含まれ、Part II には被験者向け情報、同意取得、補償、募集方法等の各国固有事項が含まれる。同一プロトコールに基づく多国間試験では、Part I を共通化しつつ Part II のみを各国事情に応じて補完する仕組みになっており、各国ごとに全面的に申請資料を作り分ける負担を低減しながら、統一的な枠組みの下で承認取得を進めることが可能となっている。また、CTR の運用においては ICH-GCP 遵守が前提とされ、個人データの取扱いには GDPR が横断的に関係する。

EU 制度の特徴の一つとして、low-intervention clinical trial の概念が制度化されている点が挙げられる。これは CTR Article 2(2)(3)に定義され、プラセボを除く臨床試験用医薬品（IMP）が承認済みであること、IMP の使用が販売承認条件に従う、またはエビデンスに基づく使用であること、追加の診断又はモニタリング手技が通常の診療行為に加えて被験者に最小限を超える追加リスク又は負担を生じさせない場合を指す。このような low-intervention clinical trial では、被験者保護を損なわない範囲で、モニタリング、品質管理、試験薬管理、文書化等について合理的に運用することが認められている。

さらに EU では、ATMP、小児試験、希少疾病用医薬品試験等について、CTR を基本枠組みとしつつ追加的要件が上乗せされる。小児試験については CTR Article 32 が未成年者を対象とする臨床試験の追加条件を定めており、別途 Paediatric Regulation の下で Paediatric Investigation Plan（PIP）または waiver が求められる。ATMP については、CTR に加え ATMP Regulation や関連ガイドラインを踏まえ、製造・品質管理、生物学的リスク評価等への追加対応が必要となる。

2） 英国での医薬品の臨床試験規制要件

英国における医薬品の臨床試験規制は、Acts of Parliament、Statutory Instruments、規制当局ガイダンス、IRAS・倫理審査関連指針等から成る階層構造を有し、法的基盤として Medicines and Medical Devices Act 2021 が位置づけられる。医薬品臨床試験については The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 が中心的規制を構成していたが、2025 年に大幅な制度刷新が行われ、2026 年 4 月 28 日から新制度が施行される。

英国では、製造販売承認を目的とする臨床試験か否かでは区別せず、まず主に「介入の有無」によってその研究が CTIMP に該当するか、Non-CTIMP に該当するかで適用される法規制が区分されている。CTIMP に該当する場合、MHRA による Clinical Trial Authorisation（CTA）と Research Ethics Committee（REC）による審査が必要であり、申請は IRAS を通じた Combined Review で行われる。なお、MHRA と REC の審査プロセスは整合化・迅速化されており、IRAS を通じた Combined Review が義務化され、承認、重要変更（modifications）、終了報告まで一体的な手続が明確化されている。

英国制度の特徴は、規制審査と倫理審査の連携に加え、risk proportionate な運用を明確に採用している点にある。MHRA は従前、Type A、Type B、Type C の分類を含む risk-adapted approach を示していたが、現在は ICH E6(R3) および ICH E8(R1)に沿った quality and risk proportionality の考え方の下で、試験デザイ

ン、モニタリング、文書化等を試験のリスクに応じて設計する方向に整理されている。したがって、英国の本質は固定的な法令上の類型分類というより、被験者保護とデータ信頼性を前提にした risk proportionate な運用にあると理解される。

以上を総括すると、EU は CTR と CTIS を中核とする域内統一型制度を採用し、介入を伴う医薬品試験を原則として同一の法的枠組みに取り込みつつ、low-intervention clinical trial により限定的な合理化を認めている。これに対し英国は、CTIMP と Non-CTIMP の区分を中心に、Combined Review と quality and risk proportionality の考え方により、機動的かつ実務主導の制度を形成している。両者に共通するのは、承認申請目的の有無のみで規制体系を二分するのではなく、介入性、追加リスク、試験薬特性、被験者保護の必要性に応じて審査と実施要件を組み立てている点である。EU と英国の規制の詳細は別添資料を参照のこと。

D. 考察

EU および英国の制度から導かれる日本の規制要件への重要な示唆は、医薬品を用いる介入研究に対する規制体系を、承認申請目的の有無のみならず、研究に伴う追加リスク、介入の態様、医薬品の特性に応じて、risk proportionate に運用するという考え方である。日本では、承認申請目的の試験は薬機法および医薬品 GCP 省令に基づく治験として扱われ、承認申請を目的としない研究は臨床研究法又は倫理指針の枠組みで扱われる。これに対し EU では、介入を伴う医薬品試験は原則として CTR の下に統合され、英国でも CTIMP に該当する限り一貫した規制の下で扱われる。日本の現行制度は、承認申請データの信頼性確保という観点では合理性を有する一方、同種の医薬品介入研究であっても試験目的により異なる制度・審査ルートに分かれるため、研究現場にとって複雑性と負担を生じさせやすい構造となっている。

第二に、日本においても、被験者リスクに応じた制度上の簡素化の仕組みをより明示的に導入することが示唆される。EU では low-intervention clinical trial が CTR で定義され、被験者に対する追加リスクが低い試験における合理的運用の余地が明文化されている。英国でも固定的な Type A/B/C 分類がより柔軟なリスク評価へ移行しており、quality and risk proportionality の考え方により、試験のリスクに応じた柔軟な品質管理が求められている。これに対し日本では、リスクに応じた品質保証の考え方は導入されているものの、EU のような法令上の明示的区分は乏しい。既承認薬を通常診療に近い条件で使用し、追加リスクが小さい試験にまで画一的な要求を課すことは、実施可能性と国際競争力の観点からはデメリットも存在する。

第三に、申請・審査基盤の一元化は、日本における制度改善の重要な論点である。EU では CTIS が申請、評価、変更、透明性確保を一体的に支え、英国では IRAS を用いた Combined Review が MHRA と REC の審査連携を実現している。日本でも jRCT は重要な登録・公開基盤であるが、EU の CTIS や英国の IRAS のように、規制審査と倫理審査を統合して扱う単一窓口としては設計されていない。今後、治験と特定臨床研究の双方を視野に入れ、安全性報告、変更管理、倫理審査、規制当局対応をより統合的に処理できるデジタル基盤の整備を検討し、患者市民向けの情報公開基盤とは設計を分けることは、現場負担の軽減と手続の透明性向上に資すると考えられる。

第四に、新規モダリティへの対応については、日本の再生医療等製品という独立区分は一

定の明確性を有する一方、EU・英国のように一般的な臨床試験規制を基盤としつつ、製品特性に応じて追加的要件を重ねる整理から参考にすべき点がある。日本では、再生医療等製品の治験には再生医療等製品 GCP 省令等が適用され、承認申請目的でない再生医療等の提供には再生医療等安全性確保法が適用される。EU や英国では、ATMP も医薬品臨床試験規制の下で扱いつつ、品質、原材料、由来材料、GMO 該当性等の追加論点を整理する構造となっている。日本においても、基盤部分と追加部分の関係を参照して再整理することが、開発者・医療機関双方にとって有益な可能性がある。

E．結論

EU および英国の医薬品臨床試験規制は、介入性と被験者リスクを基軸に、申請・審査・実施要件を risk proportionate に設計している点に特徴がある。日本においても、治験と臨床研究の制度的分断を前提としつつ、低リスク試験の合理化、審査手続の一元化、新規モダリティに対する追加要件の明確化を進めることにより、国際整合性と実務効率の双方を高める余地がある。

G．研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

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

なし

2. 実用新案登録

なし

3.その他

なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究
―医療機器・体外診断用医薬品の臨床試験に係る各国の考え方―

研究分担者　池田　浩治　東北大学病院臨床研究推進センター

研究要旨：
臨床試験に関する我が国の規制の課題抽出を行うため、米国、EU、英国の医療機器に関する臨床試験の規制を比較した。本研究では、体外診断用医薬品の総論と医療機器に関する臨床試験の規制に関する各論について、各国の考え方を整理し考察した。

A．研究目的

本研究は、臨床試験に関する我が国の規制の課題の抽出及び臨床研究中核病院が有すべき要件を検討するものである。前者は、今後の臨床試験に係る各法令の改正の方向性について国際整合性の視点から示唆を行うものであり、各規制の改正時に反映されることにより、合理的な臨床試験の実施手順の実装及びヒューマンリソースの削減が達成されることにより円滑な臨床試験の実施体制につながることが期待される。後者は、現在、厚生科学審議会臨床研究部会で審議されている臨床研究中核病院の承認要件の見直しの議論に資するための提案を行うものであり、承認要件の見直しに反映されることにより、従前の承認要件を充足するための臨床試験を実施立案するのみではなく、真に実施すべき「質の高い」臨床試験に注力し、国内における国際水準の臨床試験の中心的役割の一翼を担う拠点にシフトチェンジすることが期待される。さらに、日本起点の国際共同試験の実施の能力を有し、国内の大規模多施設共同試験をリードしつつ海外からの国際共同試験にも対応できるような国際共同治験に関する中核的な役割を担う拠点の新設につながることも期待される。いずれも研究が実施される現場の視点を中心として、本来必要とされるべき規制及び承認要件について、国際競争力を考慮して提案を行うことにより、我が国が世界トップレベルの創薬及び研究開発の地となることを期待できる。上記課題の内、本分担研究者は、我が国の医療機器や体外診断用医薬品の臨床試験の規制を米国、EU,英国における規制との比較により、規制における課題の抽出を担当し、今後の方向性について示唆するものである。

B．研究方法

現在の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域としては、米国、英国、欧州（EU）の３地域とした。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

現在の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域は、米国、英国、欧州（EU）の３地域とし、医薬品ならびに医用機器について整理した。各国の法規制については資料１−２−１〜資料１−２−８にまとめており、その比較対照表を資料１−１−１（医薬品）および資料１−１−２（医療機器）としてとりまとめた。

なお、医療機器の臨床試験の規制に関する総論は別の分担研究者（谷城博幸）報告書にまとめることから、本報告書では体外診断用医薬品の総論と医療機器に関する臨床試験の規制に関する各論について取りまとめる。

１．体外診断用医薬品に関する臨床試験の規制

我が国では、体外診断用医薬品は「専ら疾病の診断に使用されることが目的とされている医薬品のうち、人又は動物の体に直接使用されることのないもの」と定義されている。人に与える影響によりクラスⅠからⅢに分類され、それぞれのリスクに応じた審査方法が取られていることから、医療機器と同様の取り扱いになっている。一方、海外（US、EU、英国）では規制自体が医療機器として扱われており、不具合報告等も医療機器と同様に取り扱っている。

体外診断用医薬品で実施される（薬事承認申請を目的とした）臨床試験は、残余検体、バイオバンク、前向きに収集した検体を用いた臨床性能試験として実施されることから、日本ではGCP適用外となっている。欧米では医療機器として取り扱われていることから、診断機器等で実施する臨床性能試験と同様な考え方で行われている。このように、国内ではGCP省令の対象外となっているため、海外と不整合が起きている。

２．医療機器に関する臨床試験の規制に関する各論

１）臨床試験の実施の承認

我が国では治験は医療機器GCP省令に基づく治験計画届の届出が原則として必要であり、臨床研究法の特定臨床研究に該当する場合は実施計画を厚生労働大臣に提出する必要がある。一方、それ以外の臨床研究は倫理審査委員会等の審査・承認を受ける必要はあるが、国や規制当局への申請や届け出のプロセスは不要である。なお、治験計画届の提出を必要としない医療機器については、令和２年８月31日付 薬生機審発0831第８号「機械器具等に係る治験の計画等の届出の取り扱い等について」に記されていることに留意する必要がある。

米国ではリスクに応じて対応が異なっている。Significant Risk（SR）についてはIDE承認が必須であるが、Non-Significant Risk（NSR）に該当する医療機器では、FDAへのIDE申請は求められておらず、略式 IDE（Abbreviated IDE）に従い IRB承認で実施可能である。

EUにおいてMDRに基づく臨床試験を実施する場合、加盟国の規制当局の承認が必要である。この手続きは未承認の医療機器だけでなく、CEマーク取得済みの医療機器に対しても必要である。MDRでは、臨床試験が被験者の権利・安全を守りつつ、医療機器の性能や有効性・安全性評価が適切に行えるか見ており、EU共通の枠組みとして提示されている一方で、国内法上の義務や違反時の対応などは国内制度として整備する必要があるため、加盟国承認という二段階での対応が求められている。

英国では、グレートブリテン（イングランド、スコットランド、ウェールズ、以下GB）と北アイルランド（以下NI）で対応が異なっている。NIではEUのMDRが適用されるため、ここではGBの取り扱いについて述べる。

GB において臨床試験を実施する際には、試験開始 60 日前までに MHRA に申請が必要となっており、MHRA の審査の結果が 60 日以内に通知される形をとっている。

2）ISO14155 への適合

日本、米国、GB では自国の基準に基づいて臨床試験を実施することが求められており、ISO14155 は参照規格として扱われている。一方、EU（NI 含む）では、MDR が法的枠組みとして適用されるが、ISO14155 が実務上の基準として不可欠な参照規格として取り扱われているため、注意が必要である。

3）倫理審査委員会

日本においては、準拠する法令ごとに審査委員会の名称、要件、審査資料が異なることが特徴である。米国では倫理審査は IRB（Institutional Review Board）、EU では倫理審査委員会（EC: Ethics Committee）、GB では REC（Research Ethics Committee）が審査にあたるが、法令ごとに分かれていることはない。

米国において IRB は FDA が規制する臨床試験において被験者保護を担う独立した倫理審査委員会であり、21CFR Part56 で IRB の構成、責務、審査手続き、継続審査等を定めている。さらに、研究への連邦政府資金が関与する場合には、Common Rule（45 CFR Part46）が適用されることもあり、二重のコンプライアンスが求められることとなる。

EU において医療機器の臨床試験を開始するにあたり、加盟国の規制当局による承認と EC による倫理審査が必須であると MDR に規定されている。EC は米国の IRB と同様の役割を持つが、EU では国ごとに法規制が異なるため、EC は各国の法規制に基づいて運営される独立機関によって行われている。

4）利益相反に関する法規制

日本では医療機器 GCP では利益相反について明確に規定されていないが、治験審査委員会が必要と認める場合に利益相反に関する資料が求められている。一方、臨床研究法では、策定された背景から利益相反管理の方法や基準が厳密に規定されており、CRB に提出する資料に含まれている。倫理指針下で実施する研究においても利益相反管理が規定されており、医学研究の適正な実施に資する指針となっている。

米国では医療機器の臨床試験に関与する研究実施者の利益相反は、21 CFR Part 54 において厳格に管理されており、臨床試験の結果に研究者の経済的利益が影響を与える可能性を排除し、臨床データの透明性と信頼性の確保に貢献している。

EU では、米国同様に医療機器の臨床試験の関係者の利益相反管理は重要視されている。特に審査・評価・助言を行う主体には、独立性や透明性の観点から明文化がされている。一方で実施側（研究者）の利益相反管理においては、MDR では「透明性の確保」が求められ、「実効的な管理」については、倫理審査委員会と国内制度に委ねられている形が取られている。

5）同意説明、同意取得、多言語化に関する法規制

医療機器 GCP 省令では、同意説明文書に記載すべき事項が 18 項目あり、原則として本人から同意を取得する規定等が定められており、臨床研究法も同様である。一方で、資金源に関する情報や利益相反を被験者に説明する規定については、医療機器 GCP 省令では規定されていないが、臨床研究法では規定されている。同意説明文書の多言語化については、医療機器 GCP 省令、臨床研究法、倫理指針ともに規定されていない。

米国では連邦規則 21 CFR Part 50 により、臨

床試験を実施する際の同意説明・同意取得が法的に義務付けられている。また、被験者が研究に参加する際に十分に理解できる情報を提供することを義務づけており、同意説明文書や関連資料は、被験者が理解できる言語で提供されなければならないと規定されている。同意説明文書はIRBでも審査され、IRBの承認がなければ試験を開始できない。

EUではMDR Article 63においてインフォームド・コンセントの要件を規定している。同意説明文書等については、ECで審査する形式をとっている。また、医療機器の臨床試験に用いる文書・情報の言語はEU共通の単一言語ではなく、試験を行う国、期間が定める要件に従うとされているため、当該国で理解できる言語で提示することが実務上不可欠といえる。

6）被験者の補償に関する法規制

日本では、医療機器GCP省令、臨床研究法共に被験者に補償を提供するよう規定がされている。

米国において、医療機器の臨床試験で研究関連傷害（research-related injury）が発生した場合の補償に関する取り扱いは、補償制度の内容そのものを連邦法が定めているわけではないが、21 CFR Part 50に基づくインフォームド・コンセントの要件の中で規定されている。

EUではMDRのArticle 69において、各加盟国に対して、臨床試験への参加によって被験者が被った損害を補償するための制度が、保険・保証または目的に照らして同等の取決めとして整備されていることを確保するよう求めている。

GBでは被験者の補償に関する要件は単一法令で定められているものではないが、MHRAの届出と倫理審査の中で、実務上組み込まれている。

7）規制当局への安全性情報報告に関する法規制

日本では、治験の場合は薬機法第80条の2第6項、施行規則274条の2に基づき、医療機器の使用に関連する死亡、重篤な紹介、不具合等を規制当局に報告する義務がある。未承認医療機器を用いた臨床研究法下で実施している試験においては、臨床研究法 第14条、施行規則第56条に基づく報告が規定されている。

米国の医療機器における安全性情報の規制当局への報告は、臨床試験実施中のUADE 等の迅速報告・継続審査と、市販後の死亡・重篤傷害・重大不具合の期限内報告という二層の枠組みで構成されている。報告主体・期限・様式が明確に定義されており、IRB・FDA・スポンサーの三者連携で迅速かつ網羅的な安全性管理が図られている。

EUの臨床試験における安全性情報の報告は、MDR Chapter VIによって法的義務として位置づけられ、MDCG 2020-10/1によって定義・対象・経路・暫定運用が具体化されるという二層構造で運用されている。

GBの医療機器の臨床試験では、安全性情報（有害事象やデバイス不具合など）の報告は、参加者の保護と試験の倫理性を担保する上で不可欠な要素とされており、法令による枠組みとMHRAガイダンスによる具体的な運用基準が組み合わさった多層構造で運用されている。

8）被験者の情報保護（個人情報保護）に関する法規制

医療機器GCP省令では、被験者の身元を明らかにする可能性のある記録は、被験者のプライバシー及び秘密の保全に配慮して保護することが規定され、第2条では、被験者の秘密を保護するため、各被験者に割り付ける識別記号（被験者識別コード）の活用が定められているとともに、第67条 治験責任医師の責務（症例

報告書等）において、報告書データでは被験者識別コードを用いることを保証すると明記されている。臨床研究法では、第 11 条にて研究対象者の秘密を漏洩してはならないことが規定されている。倫理指針では、第 9 章において、個人情報の取り扱いに関しての基本規定が示されている。

米国では IC を取り扱う 21 CFR Part 50、IRB を所管する 21 CFR Part 56、個人識別可能な健康情報を扱う HIPAA Privacy Rule（45 CFR Part 164 Subpart E）において、個人情報保護が規定されている。

EU では、個人データ保護に関する GDPR (General Data Protection Regulation)が土台となり、その上に MDR の臨床試験枠組みと ISO14155 が運用面の要件を取り扱うという構造となっている。

英国では EU 離脱後も個人データ保護に関する法令（General Data Protection Regulation）の原則が UK GDPR として国内法化されており、その運用詳細は Data Protection Act 2018 によって補完されている。

9）臨床試験登録に関する法規制

日本では、薬機法施行規則 第 272 条の 2 第 1 項「治験を実施する場合には世界保健機関が公表を求める事項その他治験実施の透明性の確保及び国民の治験への参加の選択に資する事項をあらかじめ公表しなければならない」と示されたことを受けて、薬生薬審発 0831 第 9 号「治験の実施状況等の登録について」にて治験の実施に際し jRCT への登録が規定されている。

米国では、Clinical Trials.gov による登録・結果公表が法令（FDAAA 801／42 CFR Part 11）で義務化されており、適用臨床試験（Applicable Clinical Trial, ACT）に該当する医療機器試験は、被験者登録から 21 日以内の登録と、主要評価項目に関するデータ収集完了から 12 か月以内の結果提出が求めている。

EU では、EUDAMED という医療機器に特化したデータベースがあり、登録・公開されている。EUDAMED は欧州委員会が運用する公式データベースで、透明性を高めるために臨床試験／性能試験（Clinical Investigation / Performance Study, CI/PS）情報を含めて公開する仕組みが組み込まれている。

英国における医療機器の臨床試験では、試験内容および結果の透明性を確保することが、参加者保護と社会的信頼の維持に不可欠な要素として位置づけられている。一方で、EU における EUDAMED のような中央データベースや、日本の jRCT に相当する英国専用レジストリが整備されているわけではない。

１０）　データの電子化に関する法規制

日本では、平成 17 年 4 月 1 日付 薬食発第 0401022 号「医薬品等の承認又は許可等に係る申請等における電磁的記録及び電子署名の利用について」において、申請等に関する資料における電磁的記録による申請資料の信頼性を確保するための規定がなされている。

米国では、医療機器の臨床試験におけるデータの電子化は、電子記録および 電子署名の取り扱いを定めた 21 CFR Part 11 で規制されており、規制当局が審査に使える資料の要件を定めている。

EU では、電子記録の信頼性は ISO 14155 によって具体化され、システムのバリデーション（適格性確認）、アクセス権管理、監査証跡、原資料の所在と転記ルール、ALCOA++に基づくデータ完全性を CIP／SOP に手順化することが求められている。

英国では直接関係する英国の代表的な公式文書として、MHRA の Electronic Health Records（EHR）ガイダンスが運用されている。

D．考察

この報告書では医療機器の臨床試験の規制に関する細目について、日本、米国、EU、英国の比較を行った。日本では、臨床試験の活用目的に合わせて、薬機法に基づく医療機器 GCP 省令、臨床研究法、倫理指針を使い分ける形が取られている。目的に合わせて求められる精度や内容が異なる場合には、使い分ける形も有用かもしれないが、被験者の保護や安全性の確保などにおいては、臨床試験の目的よりも製品のリスクの重みづけが大きいかもしれないため、細目によっては使い分ける形がかえって複雑さを招いているといえる。また、使い分ける形で 3 つの制度を運用すると、制度改正に伴う周知などの手間が大きく、不十分な理解による混乱も起こしやすいため、基本的に一本化されている欧米のように制度を収斂させていく方向性は理解しやすい。

米国では、リスクの大きさに応じて臨床試験の実施承認の規定を変えているが、医療機器の承認審査もリスクの大きさに合わせて変えていることを鑑みると、リスクの大きさに応じて対応を変える規制が馴染みやすいと思われる。実際、治験計画届においてはリスクや新規性に応じた対応がなされているが、臨床研究法などでは審査が CRB に委ねられているため、CRB によっては柔軟な対応が取られているとは言い難く、未承認医療機器を用いた臨床研究のハードルを上げてしまっている。

医療機器の場合、医薬品に比べて製品の多様性が大きく、製品の性能に及ぼす手技（施術者の技量）の影響も避けられないため、リスクに応じた柔軟な対応が求められる。医療機器の臨床試験に慣れた医療機関や人材が多くないことを考慮すると、医療機器の臨床試験を審査できる組織を集約するなど、医療機器の特性に応じて柔軟に対応できる体制整備を検討する時期にあるのではないかと考える。

体外診断用医薬品の臨床試験の規制については、欧米では体外診断用医薬品を医療機器と同じカテゴリーで規制していることに対し、日本では医療機器として整理されていないため、制度上の空白地帯に陥りやすい状況が続いている。加えて薬事承認申請に用いる臨床試験を日本では治験として別の取り扱いを設けていることから、治験に当たらない体外診断用医薬品の臨床性能試験の取り扱いを複雑にしている。これらの背景を踏まえ、体外診断用医薬品の臨床試験の制度整備が必要かもしれない。

E．結論

医療機器の臨床試験の規制について、日本、米国、EU、英国の 4 つの国（地域）の比較を行った。海外の臨床試験の規制は、臨床試験の実施承認を規制当局が行い、被験者保護を中心とした倫理審査を倫理審査委員会等が担う形で概ね統一されており、利益相反管理や同意説明文書、被験者の補償などの細目でも、国ごとの小さな違いがあっても概ね同じような運用がなされている。一方で、日本では医療機器 GCP 省令、臨床研究法、倫理指針を使い分けているため、対応する規制の特性が表れやすく実施側からすると複雑でわかりにくい制度になっている。医療機器の特性を考慮すると、日本の現制度の見直しも必要かもしれない。

G．研究発表

1．論文発表

なし

2．学会発表

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

なし

2. 実用新案登録

なし

3.その他

なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究
―医療機器等の臨床試験に係る各国の考え方（総論）―

研究分担者　谷城　博幸　大阪歯科大学　医療イノベーション研究推進機構
（現；長崎大学病院　臨床研究センター長）

研究要旨：
医療機器の臨床試験について、日本、米国、EU、英国における規制や評価の考え方を比較しながら、その特徴と課題を整理した。医療機器の臨床試験は、ヒトに対する有効性・安全性を評価する点では医薬品と共通するが、その評価方法には大きな違いがある。医薬品ではランダム化比較試験を中心とした高いエビデンスレベルが重視される。一方、医療機器では構造、材料、操作性、使用者訓練など多様な要素が性能に影響するため、単純な比較試験だけでは評価が難しい。そのため、シングルアーム試験、既存治療との比較、動物試験、ファントム試験、文献評価、レジストリデータ等を組み合わせて総合的に評価することが重視される。
臨床試験に係る各国の規制にも違いがみられ、日本では、製造販売承認を目的とする治験には薬機法と医療機器 GCP 省令が適用され、IRB による審査を中心に運用される一方、規制当局による関与は主として事後的な調査である。また、研究目的の臨床試験は臨床研究法等に基づいて実施され治験とは別の法規制の適用を受ける。欧米では、日本のように臨床試験と治験を区別する考え方はない。米国では FDA による IDE 制度が特徴であり、リスクに応じて FDA または IRB の事前承認が必要となる。EU・英国でも MDR に基づき、規制当局の事前承認を受けて臨床試験が実施される。
SaMD（医療機器プログラム）では、従来の医療機器と異なり、頻繁なソフトウェア更新やセキュリティ対策が必要となる点から、各国で独自の規制体系が整備されており、臨床試験の扱いもそれぞれである。特に米国や欧州では臨床試験も含め、有効性・安全性に関する継続的評価を重視した制度が導入されている。
日本では医療機器の臨床試験が海外に比べ十分活発とはいえず、それが国産医療機器開発の停滞要因の一つでもあると考える。医療機器の臨床試験は必ずしも高度で大規模な試験のみを意味するものではなく、目的を明確にした柔軟な試験設計こそ重要であり、その点を活かしながら、新たな医療技術や医療機器開発につなげる循環型エコシステムを構築し、日本の国際競争力向上につなげる必要がある。

A. 研究目的

本研究は、臨床試験に関する我が国の規制の課題の抽出及び臨床研究中核病院が有すべき要件を検討するものである。前者は、今後の臨床試験に係る各法令の改正の方向性について国際整合性の視点から示唆を行うものであり、各規制の改正時に反映されることにより、合理的な臨床試験の実施手順の実装及びヒューマンリソースの削減が達成されることにより円滑な臨床試験の実施体制につながることが期待される。後者は、現在、厚生科学審議会臨床研究部会で審議されている臨床研究中核病院の承認要件の見直しの議論に資するための提案を行うものであり、承認要件の見直しに反映されることにより、従前の承認要件を充足するための臨床試験を実施立案するのみではなく、真に実施すべき「質の高い」臨床試験に注力し、国内における国際水準の臨床試験の中心的役割の一翼を担う拠点にシフトチェンジすることが期待される。さらに、日本起点の国際共同試験の実施の能力を有し、国内の大規模多施設共同試験をリードしつつ海外からの国際共同試験にも対応できるような国際共同治験に関する中核的な役割を担う拠点の新設につながることも期待される。いずれも研究が

実施される現場の視点を中心として、本来必要とされるべき規制及び承認要件について、国際競争力を考慮して提案を行うことにより、我が国が世界トップレベルの創薬及び研究開発の地となることを期待できる。上記課題の内、本分担研究者らは、我が国の医療機器・体外診断用医薬品の臨床試験に係る各国の考え方について、米国、EU,英国における規制との比較による課題の抽出を担当し、今後の方向性について示唆するものである。

B．研究方法

現在の医療機器・体外診断用医薬品の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域としては、米国、英国、欧州（EU）の３地域とした。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

現在の医療機器・体外診断用医薬品の臨床試験の規制に関して、欧米における臨床試験の規制に関する網羅的な調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。対象地域は、米国、英国、欧州（EU）の３地域とし、各国の法規制の比較においてトピックとなる項目については、資料１−１−２としてとりまとめた。

１．総論

１）臨床試験の意義

医療機器と医薬品の臨床試験の意義（ヒトへの有効性及び安全性評価）は共通しているものの、臨床試験のデザインや評価の位置づけは大きく異なる。医薬品においては、専らランダム化比較試験が用いられ、臨床試験のデザインやエビデンスレベルが重視されるとともに、臨床試験がその評価の中心となる。一方、医療機器では、必ずしも医薬品のような比較臨床試験のデザインに縛られない。医療機器はその物理的作用によってヒトに対する治療効果や診断を行うため、それぞれの医療機器がもつ材料特性や構造、操作性・使用者訓練、既存治療との同等性や既存治療に対する新規性などが性能評価に強く影響する。類似した使用目的を持つものを比較するような場合であっても、単純に医薬品のような比較臨床試験のデザインは当てはめにくい。また、新規の使用目的や効果を評価する場合でも、医療機器としての効果を持たないことを想定したモデル（医薬品でいう、いわゆるプラセボ）を比較対照として設定することは困難なことが多く、その場合にはシングルアームによる使用前後の評価や、類似した治療効果を得られる医薬品を比較対照として評価すること等も想定される。したがって、臨床試験の評価だけではなく、これらを補完する動物試験等を含めた他の非臨床評価や臨床試験に代替する他の臨床データ（実臨床でのエビデンスをまとめた文献等の利活用）をあわせて評価することが重要視される。故に、医療機器の有効性・安全性評価においては、臨床試験は必ずしもその評価の中心としては限定されない。

この考え方は、医療機器の臨床試験を活用した各国の医療機器上市前の規制の考え方にも現れている。日本では「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」（法律第百四十五号、以下「薬機法」という。）に基づく医療機器製造販売承認申請では、その申請資料において臨床試験の添付を必須とするものだけではなく、臨床試験に代替する評価として、ヒトを用いない動物モデルやファントムを利用した非臨床評価を行うものや、電気・機械的特性、生物学的安全性等の国際規格に基づく安全性評価試験により既存医療機器との同等性を評価す

るものを認めている。これらは、米国やEU、英国でも、各国固有の臨床試験に係る規制において差はあるものの、臨床試験そのものに対する位置づけや考え方としては概ね差がない。臨床試験は、医療機器に必要となる有効性及び安全性評価のうちの１つとして、非臨床評価や臨床試験に代わる評価を踏まえて、なぜ、臨床試験による評価を必要とするのか、必要とするのであれば、どの部分を臨床試験が担うのか、等を明らかにしたうえで実施するという考え方が主軸である。

２）臨床試験の規制

医療機器の臨床試験の規制については、各国に差がある。日本では、臨床試験の計画や実施に係る規制において、医療機器製造販売承認を目的とするか否かによって管轄する法規制が異なる。1）でも述べた医療機器製造販売承認を目的とした臨床試験は治験として区別され、その計画や実施において、治験依頼者（企業等）及び医師又は歯科医師（自ら治験を実施する者）に対して薬機法に基づく「医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令」（平成十七年厚生労働省令第三十六号、以下「医療機器 GCP 省令」という。）への遵守が求められる。保健衛生上の見地から治験の実態を把握し、治験の安全性を確保するため、厚生労働大臣（国）への治験計画の届出義務はあるものの、医療機器GCP省令は治験計画や実施の際の規制側の許可基準として用いられるものではない。治験計画の承認については、治験実施機関において設置される当該治験に関わらない第三者による治験審査委員会（IRB）によって行われる。一方で、規制側の関与としては、医療機器製造販売承認申請に基づく審査の段階で、申請書に添付された治験の実施手順の妥当性やデータの信頼性について、医療機器 GCP 省令や薬機法における信頼性基準に基づいて適正に行われたかどうかの調査が行われる。要するに、治験実施に係る規制側の関与は、事前ではなく事後となる。また、製造販売承認申請を目的としない研究目的の臨床試験は、臨床研究法や医学系倫理指針に基づいて実施される。なお、未承認・適応外使用や企業資金提供がある臨床試験は、臨床研究法上、他の臨床研究とは区別され、特定臨床研究として、厚生労働大臣が認定した認定臨床研究審査委員会（CRB）による実施前の審査等が法的に義務化されているが、治験と同様に、特定臨床研究の計画や実施に関する許可等の直接的な規制の関与はない。

一方、米国やEU、英国においては、日本のように治験や特定臨床研究に該当するものを他の臨床試験と区別することはないが、臨床試験の計画や実施に係る規制側の承認手続きの必要性等によって分類される。EUでは、基本的に医療機器の有効性及び安全性を評価するための臨床試験はMDR（EU加盟国が共通の規範とする医療機器規制）に基づいて実施され、臨床試験の計画については、臨床試験を実施する EU 加盟国ごとの規制当局による倫理審査委員会のもとで承認が必要であり、いわば、日本の特定臨床研究の体系と類似した運用となっている。英国では、EU の MDR が適用される地域、英国の規制当局である MHRA の MDR が適用される地域があり、臨床試験の計画、実施上の運用について細かな差はあるものの、EUと同様な規制当局の関わり方となっている。米国では、臨床現場で使用される医療機器については、連邦食品・薬品・化粧品法（FD&C Act）による医療機器のリスク分類に基づき、PMA、DeNovo、510(k)等の規制当局が求める上市前の審査や評価が必要であり、これらがなされていないものは、上市（日本でいう製造販売承認）を目的としない研究目的であっても原則臨床使用することができない。したがって、規制当局であるFDAが求める審査や評価前に医療機器を臨床使用するための除外適用としてIDE（治験機器免除）の規制が用意され、

IDE 承認の下で、臨床現場で医療機器を使用した臨床試験が実施できるという建付けとなる。医療機器のリスク分類に基づき、臨床試験の IDE 承認も分類され、人体に直接介入し安全性について臨床上のリスクが高いものや生命維持、治療・診断上の重要な目的を有する（SR: Significant Risk）ものについては、FDA の直接的関与として IDE 承認が必須である。また、臨床上のリスクが中程度（NSR: Non- Significant Risk）のものについては、FDA の承認は免除されるものの IRB による略式の IDE 承認が必要、臨床上のリスクが低いもの（適用範囲（ラベリング）どおりのものや、人体に直接介入しない非侵襲なもの）については、Exemption（除外）として IDE 承認免除となる。

3）製品評価のための臨床試験

医療機器の製品評価のための臨床試験の取り扱いについては、各国でそれぞれの考え方がある。日本では治験のほか、当初製造販売を目的としないで実施された特定臨床研究の結果を製造販売承認申請における臨床評価の添付資料として利用することや、市販後臨床試験のように、医療機器 GCP 省令に準拠し、製造販売承認事項に基づく医療機器の有効性・安全性の範囲内で継続的に評価していく中で、患者特有の治療効果や安全性等を更に明確化し、その医療機器の特徴的な有効性等について、改めて製造販売承認申請につなげること等が挙げられる。また、レジストリ等、医療機器の臨床使用実績を取りまとめた大規模な集積データについては、後ろ向きの観察研究（非介入研究）に該当するものの、類似した使用目的の新たな医療機器における有効性・安全性の評価に対するコントロール（対照群）としても利用される。また、これらの臨床試験により有効性・安全性評価を行う場合において、医療機器のクラス分類（安全性リスクの程度に応じて定められた薬機法における医療機器の分類、IV（高リスク）～ I（低リスク）の 4 段階）により原則として規制の取扱いが変わることはない。一方で、新規性が高いもの、改良点の有効性・安全性を臨床試験で評価したものについて、製造販売承認申請に臨床試験の添付を必須としている。米国では、日本と同様に様々な臨床試験を上市前の医療機器の評価に活用しているが、日本とは異なり、医療機器のリスクに応じた取り扱いが行われる。PMA を要する医療機器では臨床試験による評価を必須とし、臨床試験に対する厳格なエビデンスや管理が求められるが、DeNovo では、日本と同様に多角的な臨床試験の受入れがなされる。この点は、PMA では臨床的有効性・安全性について、臨床試験の結果を中心に評価している点、DeNovo では既存の医療機器との差分を中心としたものが多く、臨床試験で何を明らかにしたのかという目的性を中心に評価している点に起因する。EU や英国では、それぞれの MDR において、高リスクのものや、臨床試験による評価によって有効性・安全性を立証する必要になるものにおいて製品評価に臨床試験を活用するか否かが求められている。

ここで、医療機器に該当する SaMD（Software as Medical Device）についても触れておく。SaMD は、ソフトウェア単体で医療機器としての体をなすものとして、診断・治療・予防に用いられるソフトウェアのことであり、我が国では「医療機器プログラム」（薬機法第二条第十三項）と定義づけられている。「医療機器プログラム」には、医療機器の中に組み込まれているソフトウェア（当該組み込みソフトウェアが診断・治療・予防の主機能であるかどうかは問わず）は含まれない。当該組み込みソフトウェアは、海外では SiMD（Software in Medical Device）として取り扱われている。SiMD は、既存の医療機器にも含まれていた概念であり、前述の医療機器への臨床試験の考え方を踏襲する。SaMD については、直接ヒトに介入しない（治療として侵襲的

作用を及ぼさない、または、診断において医師の判断を必要とし、SaMD 自身がその診断の決定権を持たない等) 場合において、一定の安全性が確保されていること前提に、有効性の評価を主体とした体外診断用医薬品の臨床性能試験（体外診断用医薬品に関する臨床試験の規制については別報告書（池田浩治）を参照。）的な考え方を適用する場合もある。SaMD については、各国における規制が全く異なっており、特に、米国・欧州、また日本に近いところでは韓国、中国等においても、医療機器とは異なる SaMD 特有の規制体系を準備している。ソフトウェアに特有の頻繁な更新やセキュリティ対策等、上市されてからもなお継続的に変化する有効性・安全性の評価を臨床試験やレジストリ等を用いて評価し、適宜、規制側へ報告する等の特別な規制体系である。日本では、基本的に医療機器の規制を踏襲しており、規制上の扱いは異ならないが、「医療機器プログラム」に関する臨床評価に関連する運用として各種の通知（PMDA ホームページ：https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/devices/0053.html 等の情報を参照）が医療機器とは別に発出されている状況にある。

D．考察

医療機器の臨床試験は、ヒトへの有効性・安全性を明確に評価するための手段として、我が国、海外を含めて規制側でも多様な受け入れを考慮している。これらは、臨床現場での治療・診断技術の向上のみならず、それらに関連した新しい医療機器や改良のための研究開発につながりやすい、最も臨床現場の現実に近いところでの評価である。海外ではこの臨床試験による評価を積極的に行うことで、医療機器や SaMD 等の新規開発が進められる。一方で、日本では、治験を含む臨床試験の実施を医療機器メーカー（特に国内企業）も臨床現場もなかなか積極的ではないところもうかがえる（コストや体制等の面での課題もあるが本分担研究のスコープではないため、ここでは述べない)。なかなか我が国初の医療機器が出てこない背景もその一つの要因ではないかと考える。

前述したように、医療機器の臨床試験は、医薬品のそれとは異なり、様々な評価デザインで有効性・安全性をはかる手段として実施され各国の規制も取り入れ活用している。この点を鑑みると、我が国でも積極的な臨床試験の取り組みをさらに推進しつつ、そこから新たな医療技術創造を図り社会に還元し、患者の利益だけではなく医療機器の価値を生み、さらにそこからまた新たな医療技術の発想に寄与する臨床試験へとつなげていく循環したエコシステムの構築が重要となる。医療機器の臨床試験の全てが、ハードルの高い評価や質の高いデザインを求めているというわけではなく、何を目的に評価したいか、どういうことを明らかにしたいか、という点でしっかりとした組み立てをすれば、それが医療機器の臨床試験における質の高いデザインとなり、評価としてもより高いものが得られうる（そもそも、医療機器の臨床試験のハードルは高い、として勝手に思い込んでいる点に課題がある)。我が国での様々な医療機器の臨床試験の実施に向けて、積極的でよりよい発想が得られるよう、臨床現場や医療機器メーカー等の臨床研究に係るステークホルダーにおいて、本分担研究が一助になることを期待したい。

E．結論

本報告書では、医療機器に関する臨床試験の扱いについて、日本と海外の状況を踏まえて総論的に論じた。体外診断用医薬品及び各国規制の比較に関する各論については、別報告書（池田浩治）を参考に理解を深めていただきたい。

医療機器特有の臨床試験の考え方を参考に、我が国での臨床試験が活発に実施され、国際競

争力を意識した提案を行うことにより、本研究の目的とした、我が国が世界トップレベルの医療機器やSaMD等の研究開発の地となることを期待する。

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

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

なし

2. 実用新案登録

なし

3.その他

なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

倫理審査委員会に関する規制の各国比較

研究分担者　田代　志門　　東北大学大学院文学研究科教授

研究要旨

主に倫理審査委員会制度に着目して、欧米との比較から臨床試験に関する我が国の規制上の課題を明らかにした。現在、日本では多施設共同研究における一括審査の義務化が一部の規制でしか実現しておらず、審査の質に関する取り組みも十分に進められていない。また、規制ごとに異なる委員会の設置・運営を求めることにより、委員会のリソースを十分に活用できていない現状がある。今後の望ましい政策の方向としては、少なくとも倫理審査委員会に関する規制を法令・指針間でハーモナイズし、委員会ごとにリソースを融通し合える仕組みを実現すべきである。

A．研究目的

本研究は、臨床試験に関する我が国の規制上の課題を、欧米の規制との比較を通じて明らかにし、今後の望ましい規制のあり方を検討することを目的としている。本分担研究では、主に倫理審査委員会に関する規制に着目してこの課題を検討した。

なおここでいう「倫理審査委員会」とは、研究対象者の権利・安全・福利の保護のために人を対象とする研究の審査を担当する組織を指す。構成員の多様性が必須とされ、医学・医療の専門家、法律・倫理の専門家、一般市民・患者代表などからなり、合議によって１つの意見（承認や却下など）を出す役割を担う。

委員会の名称は世界各国で多様だが（アメリカではIRB、イギリスではREC、フランスではCPP等）、果たすべき役割と基本的な考え方は概ね共通している。日本ではGCP省令の定める「治験審査委員会」や、臨床研究法の定める「認定臨床研究審査委員会」、再生医療法の定める「認定再生医療等委員会」、人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（以下「生命・医学系指針」という）の定める「倫理審査委員会」等がこれに該当する。

B．研究方法

現在の倫理審査委員会に関する規制に関して、欧米の規制に関する調査及び整理を行い、日本の規制との比較検討を行った。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

欧米における倫理審査委員会は、概ねアメリカ型の各研究機関が倫理審査委員会を設立・運営するタイプ（自由市場型）とヨーロッパ型の各地域で研究機関とは独立に国の機関が倫理審査委員会を設立・運営するタイプ（国管理型）

に分けられる。最も、近年ではアメリカにおいてはindependent IRBやcommercial IRBと呼ばれる研究機関とは別に設置された倫理審査委員会による審査の比重が増しており、ヨーロッパ諸国においても国や時期により多様な形態が見られるが、大まかな区分としては今なお有効である。

日本は歴史的にはアメリカ型の各研究機関によって設立・運営される倫理審査委員会を導入してきた。この形態を取った場合の典型的な課題としては委員会の数が膨大になることから、必然的に（1）多重審査の解消と（2）質保証の困難という課題が生じる。

（1）については、特に多施設共同研究の増大とともに問題になってきた。そのため、2000年代以降、各国では多施設共同研究の倫理審査を集約化し、1つの委員会による審査で臨床試験の実施を可能にするための規制改革が進められてきた。EUにおいては、2001年に公布されたEU臨床試験指令において「1加盟国、1つの意見（single opinion）」の原則が導入され、EU加盟国においては国境をまたがない限りは、多数の研究機関が参加した研究であっても、1つの委員会による集約化した倫理審査（一括審査）で実施できる仕組みが整備された。研究機関ごとの倫理審査を原則としてきたアメリカにおいても、2017年に公布された研究対象者保護に関する行政規則（いわゆる「コモンルール」）改正により、多施設共同研究の一括審査（single IRB）が義務化された（2020年1月より完全施行されている）。

以上のような議論を背景として、日本でも多重審査の解消に向けた動きが2000年代後半から少しずつ進められてきた。まず行われたのは、治験審査委員会と倫理審査委員会の原則自機関への設置義務の廃止である。これは2008年のGCP省令改正と現在の生命・医学系指針の前身である「臨床研究に関する倫理指針」の改正の際に行われた。次に2014年の「臨床研究に関する倫理指針」と「疫学研究に関する倫理指針」の統合の際には、多施設共同研究における審査の取りまとめ（「一括した審査」）が可能である旨が新たに追記された。この方向をさらに推し進めたのが臨床研究法であり、2017年の臨床研究法制定により、多施設共同研究の一括審査が義務化された。これは実質的にはアメリカのコモンルール改正と同等の方向である。その後、指針に関しても2021年の改正により、現在では一括審査が「原則」となっている。

同様に、（2）の質保証に関しても、アメリカとヨーロッパでは対照的な動向が見られる。欧米諸国において、審査の質保証を行うメカニズムとしてしばしば用いられるのは委員会の認証・認定制度である（ただし、必ずしも認証・認定の対象は委員会に限定されないこともあるし、認定や認証という表現が使用されないこともある）。しかしこの認証・認定を行う主体には顕著な違いがあり、アメリカでは民間団体（AAHRPP）が、ヨーロッパでは国が主体となることが多い。なお、多くのアジア諸国においては自前の認証・認定の仕組みが存在しないため、民間団体による認証が活用される傾向がある（AAHRPP以外にもFERCAPによる認証を活用することが多い）。

日本においても、倫理審査委員会の質保証に関しては2010年代から一定の取り組みが進められてきた。その最初のものは文部科学省と厚生労働省が2012年に定めた「臨床研究・治験活性化5か年計画2012」である。ここでは「中・長期的目標」として「倫理審査委員会の認定制度」が掲げられ、「国等による倫理審査委員会の認定制度（倫理審査委員会の質を保証するシステム）の導入」が提案された。これを受けて翌年には認定要件を検討する研究班が設置された。ここで検討された認定要件に基づ

き、2014 年から指針下で運営されている倫理審査委員会に対する認定事業が開始され、2017 年までの 4 年間で計 42 機関が認定を受けた。

ただし、これらの認定はあくまでも任意の申請に基づく事業として行われたものであり、認定を取得しなければできない業務等は存在していない。そのため、研究機関にとっては認定取得のインセンティブが働きにくいという問題もあり、その後事業は継続しなかった。

これに対して臨床研究法と再生医療法は、国による認定を法的義務とするという点で、従来の政策を大きく変化させるものだった。しかしその一方で、これらの認定は形式要件に留まり、実際には質保証の仕組みとしては十分に機能しなかった。その典型が認定再生医療等委員会であり、当初案では全国に数個しか作られないはずの委員会が 50 近く作られ、現在では 150 を超える委員会が運営されている。認定臨床研究審査委員会についても同様であり、やや減少傾向にあるものの、現在でも 80 以上の委員会が存在している。ヨーロッパ型の国による認定を採用する場合、質のコントロールをするリソースの限界もあり、政策的に委員会の数を絞る必要があるが、日本の法に基づく認定制度はその仕組みを欠いていた。そのため、臨床研究法と再生医療法に関しては、その後何度も審査の質の担保や委員会運営に関する不備が指摘されるようになる。

こうした現状に対して、2024 年の再生医療法改正においては委員会に対して立入検査ができる規定を整備するとともに、審査に関する記録の保存や委員の利益相反管理の厳格化が図られた。また、同年の臨床研究法改正においては、委員会の認定更新要件の厳格化等による対応が進められた。特に審査の質の担保という点で注目されるのは、臨床研究法改正で導入された審査に関する第三者評価を義務づけるという仕組みである。また、認定更新要件の厳格化も、委員会の数を絞る上で一定の役割を果たす可能性がある。

D．考察

（1）の倫理審査の集約化については、再生医療法や臨床研究法においては、多施設共同研究における一括審査の義務化が図られており、この点は国際的な動向に沿うものである。しかしながら、GCP 省令と生命・医学系指針においては、一括審査は任意であって義務ではない。今後いずれも一括審査の義務化へと向かう可能性はあるものの、現時点では規制間で一括審査の義務化に関する違いが存在しており、多施設共同研究の倫理審査に関する国の方針が全体としてどこに向かっているのかが分かりにくい状況にある。

（2）の質保証に関しては、2010 年代に指針の委員会を対象に試行されていたものの、その後は委員会の質保証に関する取り組みは全体としては十分には進んでいない。その結果、再生医療法や臨床研究法のように設置に際して国の認定が必要な委員会にあっても、審査の質という観点からは十分な評価が行われず、審査のばらつきの大きさが課題とされてきた。

これに対して近年の臨床研究法改正に伴い導入された第三者による評価の義務化は注目すべき取り組みである。ただし、今回導入された仕組みは基本的には評価を受けてその結果を公表することのみであり、評価に基づいて国が何らかの判断を下すものではない。また、こうした審査の質のモニタリングは今のところ臨床研究法下で運営される委員会にのみ課されている。

くわえて、集約化と質保証以外の観点で、欧米と日本の倫理審査委員会を比較した場合の顕著な違いに、日本の倫理審査委員会が制度ごとに別の委員会の設立・運営を求めている点がある。この点、欧米諸国においては、特に医薬品や医療機器の臨床試験に関しては、どの規制に

服していても同じ委員会での審査が可能となっており、規制ごとに別委員会の設立・運営を求める仕組みになっていない。

もちろん、欧米においても規制は医薬品に関わる規制と人を対象とする研究一般に関する規制は区別されており、また、法令等による公的規制により審査を行う委員会とそれ以外の自主規制による委員会は区別されている。そのため、アメリカを例に挙げれば、IRB に関して FDA の規制と OHRP の規制は必ずしも統一されていない。また、IRB が審査する研究も FDA や OHRP の規制に基づくものもあれば、各研究機関の自主規制により審査される研究もある。

しかしその一方で、倫理審査委員会に関する FDA と OHRP の規制は基本的にハーモナイズされており、いずれの規制を受けるにしても同じ委員会で審査することが可能である。これに対して、日本においても規制間のハーモナイズは意識されてきたものの、近年の再生医療法や臨床研究法の改正により、むしろ規制間で倫理審査委員会に関する規定の違いが増大しつつある。

くわえて、欧米諸国とは異なり、規制によって異なる委員会での審査を求められているため、委員会の設立・運営に多大なリソースが割かれ、かつ非効率な運営になりがちである。そのため、例えば、1 つの研究機関において治験審査委員会の審査件数がどれほど少ない月であっても、臨床研究法や生命科学・医学系指針下での臨床試験の審査を治験審査委員会では受けることができないという事態が生じている。この点は、欧米諸国と比較した場合の日本の倫理審査委員会制度の最大の特徴である。

E．結論

アメリカ型の倫理審査委員会を導入した日本にとって課題となる（1）多重審査の解消と（2）質保証の困難という 2 点について検討した。(1）については国際的な流れである「一括審査の義務化」は再生医療法と臨床研究法でのみ実現しており、これが他の規制では実現していない。(2）についても近年の改正により臨床研究法で明示的に審査の質をモニタリングする仕組みが導入されたが、これも他の規制では実現していない。また、日本の規制の特徴として規制毎に別の委員会の設立・運営を求めている点があり、これが非効率な委員会運営を生んでいる可能性がある。

以上のことから、今後の望ましい政策の方向としては、少なくとも倫理審査委員会に関する規制を法令・指針間でハーモナイズし、運用面でどの委員会で審査しても問題がない制度設計を実現すべきである。

ただし、制度面で考えた場合に、生命科学・医学系指針は行政指導に基づくものであり、法的拘束力はないため、その他の法令と同一で考えることは難しい。そのため、まずは GCP 省令、臨床研究法、再生医療法（研究に関わる部分）の 3 つの法令間での倫理審査に関する規定のハーモナイズと委員会の共通化を可能にする方向での検討を先行すべきである。

G．研究発表

1．論文発表

なし

2．学会発表

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

なし

2. 実用新案登録

なし

3.その他

なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

「被験者保護」の制度の枠組みに関する検討

研究分担者　井上悠輔　京都大学大学院医学研究科教授

研究要旨：

被験者保護の制度は大きく「モノ規制」「人権規制」といった二つの流れがあり、一つのみで成り立っているわけではない。それぞれの面から日本の制度のあり方の評価が必要である。日本の規制、特に臨床試験の倫理をめぐる課題の一つは「モノ規制」それぞれに手順が設定されていることであり、その象徴的な例が委員会制度の分立である。加えて、日本における「研究者保護」をめぐる議論の場が明確でないことも指摘されるべきである。

A．研究目的

本研究は、研究班の「我が国の臨床試験の規制を米国、EU,英国における規制との比較により、規制における課題の抽出を担当し、今後の方向性について示唆するもの」を得るべく、その一環として医学・健康領域における被験者保護の枠組みについて、各国と日本とを比較検討して、知見を得ることを目的とする。特に制度の「一本化」論へのコメントについて考える。

B．研究方法

欧米主要国の当局から公開されている被験者保護に関する法令やその解説文献の検討。「認定臨床研究審査委員会 評価指標調査（厚生労働省委託事業・調査報告書、井上悠輔, 高嶋佳代, 小門穂、2023 年 3 月)」を土台としたほか、日本医療研究開発機構・研究倫理・社会共創推進プログラム「グローバルな視点からの倫理審査制度の実態把握と課題検討」における検討により得た知見も参考にしている。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

結果を整理すると次のページ（図1）のようになる。

まず、日本の被験者保護をめぐる制度が各国で一本化されているかといえば、形式的には一本化されている訳ではない。①医薬品・医療機器など、医療製品規制の文脈で臨床試験に関する実務的なルールを政策的に検討しつつ、これとは別に②患者保護・人権保障の観点から被験者保護と言う社会的な課題考える議論、この二つに整理されることが多いと言える。

この二つの流れについて、代表的な例がアメリカである。連邦厚生省の行政規則とこれを「コモン・ルール」として連邦政府傘下の医学研究に関する規範が提示されつつ、それと重複しながらも並行して FDA も被験者保護に関する議論を行なっている。ここまで極端ではないにせよ、各国で被験者保護の原則とその適応を考える際には、両方の流れを見る必要がある。

図１：主要先進国における「被験者（研究参加者）保護」をめぐる制度の整理

	モノ規制（製品の臨床試験） 範囲は限定的だが**ハードロー**が多い	人権・活動の性質に注目したアプローチ 範囲は広いが、ソフト／ハードそれぞれ	その他・留意点
EU	**臨床試験規則**（←旧指令）	欧州基本権憲章	前者は「医薬品」、内容は各国に広範に委ねる
米国	**FDA**と関連法規	**コモンルール**（連邦助成研究＋α） 当局としての**OHRP**の取り組み	連邦権限、後者は連邦助成研究が直接の対象
英国	MHRA/臨床試験規則	**NHS系：HRA（当局）**（ソフト） 各大学の取り組み	人組織、胚研究など それ以外の法律・当局も
オーストラリア	TGAと関連法規	**NHMRC**–**AHEC**の取り組み（ソフト） （ナショナル・ステートメント） 州政府	胚研究など
フランス	（→被験者保護法に一本化）	**被験者保護法**	CNIL？ それ以外の機関ごとの取り組み
スウェーデン	Act (2018:1091) が研究倫理法と製品の臨床試験を橋渡し	**研究倫理法**	バイオバンク法、データ研究と倫理審査、胚研究など
ドイツ	医薬品法・医療機器法・体外診断ほか →**医学研究法（2024）**	（医師会のルール、ドイツ基本法など）	それ以外？ 胚研究など
日本	薬機法　再生医療等安全性確保法？ 臨床研究法？	**倫理指針**	倫理指針は法律のカバーしないところを対象とする

参照：AMED研究班「グローバルな視点からの倫理審査制度の実態把握と課題検討」の知見を一部変更

D．考察

上記の流れに比して、日本のあり方を考える上で考慮すべき点は次のようになる。

まず、日本の場合は、あえて①と②とに分類した上で、①の区分があまりに縦割りになっている点、②の議論が不明確であること、これら両方の課題を提示することができる。前者の①は薬機法、再生医療等安全性確保法、臨床研究法とに分かれている。これがリスクベースの分類になっているかも不明確である上、委員会制度自体も別々に運営・評価されてきた。制度の統合がすぐには困難であるにせよ、希少な委員会・事務局の人材を最大限効率かつ効率的に運用する必要がある。例えば、３つの委員会の実質的な統合を図る取り組みを支援し、またその際に留意すべき課題の抽出が必要になる。

一方、②については、規制としては明確なものがない。現場への影響力をもとに強いて挙げれば、国（厚労省等の３省が共同で作成してきた）「倫理指針」、また実務で意識されることが少ないが、国際人権規約の批准（特に国際人権B規約）などが挙げられる。医学研究をはじめとした、科学研究の対象者の保護をめぐる制度のあり方は、ハード面とソフト面の両方にまたがる制度設計が必要である。特に、「被験者」「研究参加者」の概念や射程が広がる中、人々の生活や生き方への影響の評価も進歩させる必要がある。議論が明確でないことは、①にあるような制度の分立を許す上、審査範囲の設定が不明確となり、委員会審査の濫用や審査の質評価自体を困難にさせている。

E．結論

被験者保護の制度は大きく「モノ規制」「人権規制」といった二つの流れがあり、一つのみで成り立っているわけではない。それぞれの面から日本の制度のあり方の検討が必要である。日本の規制、特に臨床試験の倫理をめぐる課題

の一つは「モノ規制」それぞれに手順が設定されていることであり、その象徴的な例が委員会制度の分立である。加えて、日本における「研究者保護」をめぐる議論の場が明確でないことも指摘されるべきである。

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

H. 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

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

研究分担者　渡邉 裕司　　浜松医科大学長

研究要旨：近年、創薬を取り巻く環境は、新規モダリティの多様化、国際共同試験の拡大、開発の迅速化などにより大きく変化している。一方、我が国においては「ドラッグ・ロス」が顕在化し、国際的な創薬競争力の低下が懸念されている。このような背景のもと実施された臨床研究中核病院の実態調査は、我が国の治験・臨床試験体制の現状を可視化し、政策立案に資する重要な基盤を提供するものである。

本分担研究者は、当該実態調査結果を踏まえ、特に（1）研究成果の実用化への接続、（2）FIH（First-in-Human）試験体制、（3）Single IRB 体制、（4）人材育成、の観点から課題を整理し、臨床研究中核病院の機能強化および制度改善の方向性を提示する。

A．研究目的

本研究は、臨床試験に関する我が国の規制の課題の抽出及び臨床研究中核病院が有すべき要件を検討するものである。前者は、今後の臨床試験に係る各法令の改正の方向性について国際整合性の視点から示唆を行うものであり、各規制の改正時に反映されることにより、合理的な臨床試験の実施手順の実装及びヒューマンリソースの削減が達成されることにより円滑な臨床試験の実施体制につながることが期待される。後者は、現在、厚生科学審議会臨床研究部会で審議されている臨床研究中核病院の承認要件の見直しの議論に資するための提案を行うものであり、承認要件の見直しに反映されることにより、従前の承認要件を充足するための臨床試験を実施立案するのみではなく、真に実施すべき「質の高い」臨床試験に注力し、国内における国際水準の臨床試験の中心的役割の一翼を担う拠点にシフトチェンジすることが期待される。

さらに、日本起点の国際共同試験の実施の能力を有し、国内の大規模多施設共同試験をリードしつつ海外からの国際共同試験にも対応できるような国際共同治験に関する中核的な役割を担う拠点の新設につながることも期待される。いずれも研究が実施される現場の視点を中心として、本来必要とされるべき規制及び承認要件について、国際競争力を考慮して提案を行うことにより、我が国が世界トップレベルの創薬及び研究開発の地となることを期待できる。上記課題の内、本分担研究者は、臨床研究中核病院が有すべき要件の検討を担当するものである。

B．研究方法

臨床研究中核病院の評価指標の検討として、厚生科学審議会臨床研究部会で議論されている臨床研究の拠点の役割や機能に関する内容を踏

まえ、研究実績や国際競争力の向上を考慮した創薬・医療機器の実用化への貢献度等を、臨床研究中核病院（16 医療機関）へのアンケートにより調査した。また、特定領域に係る臨床研究中核病院の承認要件見直しに向けて、国立高度専門医療研究センター（5 医療機関）への研究実績等にかかるアンケート調査を行った。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

臨床研究中核病院 16 病院（北海道大学病院、東北大学病院、千葉大学医学部附属病院、国立がん研究センター東病院、東京大学医学部附属病院、慶應義塾大学病院、順天堂大学医学部附属順天堂医院、国立がん研究センター中央病院、名古屋大学医学部附属病院、京都大学医学部附属病院、大阪大学医学部附属病院、神戸大学医学部附属病院、岡山大学病院、広島大学病院、九州大学病院、長崎大学病院）に対するアンケートを資料２−１−３に、その結果を集計したものを資料２−１−１に示す。また、国立高度専門医療研究センター（国立精神・神経医療研究センター、国立成育医療研究センター、国立健康危機管理研究機構国立国際医療センター（国府台病院を含む）、国立循環器病研究センター、国立長寿医療研究センター）に対するアンケートを資料２−２−３に、その結果を集計したものを資料２−２−１に示す。

D．考察

本実態調査から、我が国の臨床研究中核病院は一定の研究実施件数を有するものの、FIH 試験や国際共同試験が一部施設に集中し、さらに実用化・薬事承認への接続が限定的であるという構造的課題が明らかとなった。以下に主要論点ごとに考察する。

1．研究成果と薬事承認・実用化への接続

アカデミア主導研究の届出や企業導出については一定の実績が認められる一方で、製造販売承認・認証申請件数の中央値は 0〜1 件程度にとどまり、申請フェーズに到達する案件は極めて限定的である。また、薬事承認の根拠となる特定臨床研究の件数も同様に低水準であり、「承認につなげる機能」が十分に発揮されていない現状が示された。

厚生労働省臨床研究部会「治験・臨床研究の推進に関する今後の方向性について 2025 年版とりまとめ（以下、「2025 年版とりまとめ」）では、ドラッグ・ロス対応および革新的モダリティへの対応を前提に、FIH、薬事対応、英語対応、DX、規制調和を含む国際競争力のある開発体制構築が求められている。今後は、研究段階から薬事戦略を組み込むトランスレーショナルな体制強化が不可欠である。

2．FIH 試験体制

FIH 試験の実施件数は各施設で中央値 1 件前後にとどまり、実際に試験へ接続した案件は中央値 0 件であるなど、実績の偏在が顕著である。これは革新的モダリティに対応した FIH 実施基盤が、依然として限られた拠点に集中していることを示唆する。今後は、全施設に均質な機能を求めるのではなく、薬理・PK 解析、疾患特異的集積、バイオマーカー評価、画像・デジタル解析等の強みを活かした役割分担型の FIH ネットワークを構築することが重要である。

さらに FIH 試験を単なる安全性確認の段階としてではなく、「高付加価値データを創出し次相試験・実用化を加速する基盤」として再定義し、臨床研究中核病院を価値創出型 FIH の実践拠点へと転換する必要がある。

3．Single IRB 体制

2025 年版とりまとめでは、国際共同治験推進

と審査の質向上を目的としてSingle IRBの原則化が明示されている。実態調査においては体制整備を行っている施設は一定数存在するものの、審査実績や院外対応は限定的であり、全国標準としては未成熟である。

今後は、契約、責任分担、有害事象報告、監査対応を含む標準契約・標準手順書の統一整備を臨床研究中核病院間で進めるとともに、特定臨床研究も含めた規制調和型審査体制の構築が求められる。

4. 人材育成

研究従事者および支援人材のキャリアパスについては、整備済み施設が約75%に達するものの、依然として4分の1の施設では未整備である。

今後は、CRC、DM、CRA、biostatistician、regulatory specialist、project manager、data engineer等を病院の恒常的職種として位置付け、競争的資金依存の有期雇用から、基盤経費・間接経費・受託収入を組み合わせた混合財源型の安定雇用モデルへの移行が必要である。

また医師についても、診療・教育・研究に加え、治験・臨床試験への関与を評価する人事・昇進指標の導入が重要である。

E．結論

本実態調査は、我が国の臨床試験体制の構造的課題を明らかにし、政策的対応の方向性を示す重要なエビデンスを提供した。今後は、

・実用化志向の研究開発体制の強化
・役割分担型FIHネットワークの構築
・Single IRBの標準化と規制調和
・持続可能な人材育成・雇用モデルの確立

を柱として、臨床研究中核病院の機能を再定義し、国際競争力のある創薬基盤の構築を進めることが求められる。

G．研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

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

なし

2. 実用新案登録

なし

3.その他

なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

研究分担者　佐々木　真理　八戸赤十字病院脳神経疾患センター長

研究要旨：国立高度専門医療研究センター5 施設に対するアンケート調査の結果を分析した。いずれの施設も充実した臨床研究実施・支援体制の下、各領域の医師主導治験、特定臨床研究、企業治験等において先進的・主導的役割を果たしていた。一方で、研究実績の施設間差異は大きく、各施設の特性・多様性を反映していると考えられた。本結果は、今後の特定領域型臨床研究中核病院の要件を再検討するうえで参考になると思われる。

A．研究目的

本研究は、臨床試験に関する我が国の規制の課題の抽出及び臨床研究中核病院が有すべき要件を検討するものである。前者は、今後の臨床試験に係る各法令の改正の方向性について国際整合性の視点から示唆を行うものであり、各規制の改正時に反映されることにより、合理的な臨床試験の実施手順の実装及びヒューマンリソースの削減が達成されることにより円滑な臨床試験の実施体制につながることが期待される。後者は、現在、厚生科学審議会臨床研究部会で審議されている臨床研究中核病院の承認要件の見直しの議論に資するための提案を行うものであり、承認要件の見直しに反映されることにより、従前の承認要件を充足するための臨床試験を実施立案するのみではなく、真に実施すべき「質の高い」臨床試験に注力し、国内における国際水準の臨床試験の中心的役割の一翼を担う拠点にシフトチェンジすることが期待される。さらに、日本起点の国際共同試験の実施の能力を有し、国内の大規模多施設共同試験をリードしつつ海外からの国際共同試験にも対応できるような国際共同治験に関する中核的な役割を担う拠点の新設につながることも期待される。いずれも研究が実施される現場の視点を中心として、本来必要とされるべき規制及び承認要件について、国際競争力を考慮して提案を行うことにより、我が国が世界トップレベルの創薬及び研究開発の地となることを期待できる。

上記課題の内、本分担研究者は臨床研究中核病院が有すべき要件の検討を担当するものである。

B．研究方法

臨床研究中核病院の評価指標の検討として、厚生科学審議会臨床研究部会で議論されている臨床研究の拠点の役割や機能に関する内容を踏まえ、研究実績や国際競争力の向上を考慮した創薬・医療機器の実用化への貢献度等を、臨床研究中核病院（16 医療機関）へのアンケートにより調査した。また、特定領域に係る臨床研究中核病院の承認要件見直しに向けて、国立高度専門医療研究センター（5 医療機関）への研究実績等にかかるアンケート調査を行った。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

臨床研究中核病院 16 病院（北海道大学病院、東北大学病院、千葉大学医学部附属病院、国立がん研究センター東病院、東京大学医学部附属病院、慶應義塾大学病院、順天堂大学医学部附属順天堂医院、国立がん研究センター中央病院、名古屋大学医学部附属病院、京都大学医学部附属病院、大阪大学医学部附属病院、神戸大学医学部附属病院、岡山大学病院、広島大学病院、九州大学病院、長崎大学病院）に対するアンケートを資料 2－1－3 に、その結果を集計したものを資料 2－1－1 に示す。また、国立高度専門医療研究センター（国立精神・神経医療研究センター、国立成育医療研究センター、国立健康危機管理研究機構国立国際医療センター（国府台病院を含む）、国立循環器病研究センター、国立長寿医療研究センター）に対するアンケートを資料 2－2－3 に、その結果を集計したものを資料 2－2－1 に示す。

そのうち、国立高度専門医療研究センターに対するアンケートの結果は以下の通りである。

1．臨床研究に携わる従業者

資料 2－2－1 p.1～6 Q4～5 が示すように、臨床研究に携わる職員として、医師（4～10 名）のみならず薬剤師（3～13 名）、看護師（6～13 名）など多職種にわたる人員が確保されている。専従・専任の支援業務者も十分な数が確保されており、中でも CRC が多く（5～11 名）、次いで研究倫理相談員（1～5 名）、研究調整員（0～7 名）が多い。また、生物統計・薬事の高度専門人材（各 1～4 名、1～3 名）も従事している。

2．臨床研究に関する実績

a）医師主導治験

資料 2－2－1 p.7～11 Q7－1 が示すように、医師主導治験（過去 3 年間に主導的に実施）は 1～5 件（中央値 4 件）であり、他施設への包括支援も実施されている。内訳では医薬品が主体だが、医療機器や再生医療等製品の実績を有する施設もある。対象は成人が多いが、特定の施設では小児や小児・成人が多い。多施設共同での実施が単施設に比し多く、Phase II および Phase III が主体となっている。

b）特定臨床研究

資料 2－2－1 p.12～16 Q7－2 が示すように、特定臨床研究（過去 3 年間に主導的に実施）は 12～30 件（中央値 24 件）と医師主導治験に比し多く、ほとんどで統括責任者を務めている。内訳では、医薬品（中央値 12 件）のほか医療機器（中央値 4 件）の研究も実施されている。対象は成人が主体だが、特定の施設では小児あるいは小児・成人を対象とした研究が行われている。単施設（中央値 12 件）のみならず多施設共同（中央値 10 件）も多く、Phase II（中央値 8 件）のほか、Phase I（中央値 3 件）、Phase III（中央値 4），その他（中央値 7 件）と多岐にわたっている。

c）企業治験

資料 2－2－1 p.17～21 Q7－3 が示すように、企業治験（過去 3 年間に主導的に実施）はが中央値 69 件と特定臨床研究に比し多いが、施設間差異が 1～162 件と大きい。内訳では、医薬品が 1～160 件（中央値 49 件）と多いが、医療機器（最大 9 件）や再生医療等製品（最大 6 件）も一部の施設で実施されている。対象は成人が 1～152 件（中央値 34 件）と主体だが、小児（最大 69 件）および小児・成人（最大 28 件）も一部の施設で実施されている。全例が多施設共同で、Phase III が 0～113 件（中央値 37 件）、次いで Phase II が 1～40 件（中央値 10 件）と多いが、施設間差異も大きい。

d）その他の臨床研究

資料 2－2－1 p.22～24 Q7－4 が示すように、FIH 試験（過去 3 年間に主導的に実施、治験に限る）は特定の施設のみで実施されており（4～5 件）、内訳は、医薬品（4 件）、医療機器

（4 件）、再生医療等製品（1 件）、成人（1〜3 件）、小児（2 件）、小児・成人（1〜2 件）となっている。

資料 2－2－1 p.25 Q7－5 が示すように、リアルワールドデータを用いた臨床研究（過去 1 年間に実施）は、3〜63 件（中央値 57 件）であり、事前に統計解析計画をたてマッチングを行う高度な手法（最大 20 件）やナチュラルヒストリー活用（最大 2 件）も実施されている。

3. 論文に関する実績

a）特定臨床研究による論文

資料 2－2－1 p.26〜32 Q8－1 が示すように、特定臨床研究の実施に伴い発表した論文数（令和 4〜6 年度の 3 年間）は、14〜28 件（中央値 24.5 件）で、内訳では、プロトコル論文（中央値 9.5 件）が主解析論文（中央値 5 件）、サブ解析論文（中央値 4.5 件）に比し多い。医薬品に関連する論文が多く（中央値 17.5 件）、医療機器に関連する論文もあるが（中央値 5 件）、再生医療等製品に関連する論文は発表されていない。対象は成人が 4〜28 件（中央値 13.5 件）と主体であるが、特定の施設では小児、小児・成人も多い（最大各 7 件、19 件）。Phase II が 3〜13 件（中央値 4 件）と主体だが、レジストリ研究を含むその他の論文も 4〜10 件（中央値 9 件）と多い。論文の多くで当該施設が統括責任者（中央値 21 件）、筆頭著者（中央値 17.5 件）を務めている。

b）特定臨床研究以外の臨床研究による論文

資料 2－2－1 p.33〜32 Q8－2 が示すように、特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表した論文数（令和 4〜6 年度の 3 年間）は、175〜238 件（中央値 206.5 件）で、その大半で当該施設所属者が筆頭著者を務めている（44〜234 件、中央値 139 件）。内訳では、Phase I〜IV に該当しないその他が 160〜236 件（中央値 198 件）と大半を占めている。それ以外の内訳は一施設のみの結果であるが、観察研究による論文が主体であり（238 件中 200 件）、医薬品関連（46 件）、医療機器（8 件）、手術・手技（16 件）に比し、診断・疫学等のその他による論文が大半で（169 件）、多施設共同研究による論文が半数近くを占めている（114 件）。

c）診療ガイドラインの根拠論文等

資料 2－2－1 p.39〜40 Q8－4 が示すように、診療ガイドラインの根拠になった論文数（令和 4〜6 年度の 3 年間）は 1〜57 件（中央値 29 件）だが、薬事申請・承認の根拠になった研究・論文は確認されなかった。

4. 多施設共同臨床研究に関する実績

資料 2－2－1 p.41〜45 Q9－1 が示すように、当該施設が主導的役割を果たした多施設共同医師主導治験（令和 4〜6 年度の 3 年間）は 1〜4 件（中央値 3 件）で、医薬品が 0〜3 件（中央値 3 件）、Phase II が 0〜3 件（中央値 2 件）と多い。

一方、資料 2－2－1 p.46〜50 Q9－2 が示すように、当該施設が主導的役割を果たした特定臨床研究（令和 4〜6 年度の 3 年間）は 5〜21 件（中央値 10 件）で、医薬品 2〜12 件（中央値 9 件）に加え医療機器も 0〜12 件（中央値 3 件）と多く、Phase I 0〜9 件（中央値 1 件）、Phase II 1〜8 件（中央値 3 件）が主体だが、その他も 0〜7 件（中央値 3 件）と多い。

5. 他施設に対する支援の実績

資料 2－2－1 p.51〜52 Q10 が示すように、他の病院・診療所に対する特定臨床研究に係る支援数（令和 4〜6 年度の 3 年間）は 3〜50 件（中央値 9 件）で、研究実施調整業務に留まらず、プロトコル作成支援（最大 9 件）、データマネジメント（最大 8 件）、統計解析（最大 7 件）などを支援している。

6. 研修会の開催実績

資料 2－2－1 p.53〜55 Q12－14 が示すように、令和 6 年度の特定臨床研究に関する研修会

は 1〜20 回（中央値 10 回）開催されており、研修終了制度は 3 施設で有している。また、認定臨床研究審査委員に対する研修会は内部委員に対し 10〜14 回（中央値 10 回）、外部委員に対し 22〜64 回（中央値 25 回）開催されている。

7. 臨床研究の実施・支援体制

資料 2－2－1 p.56〜71 Q15 が示すように、各施設において統括的な特定臨床研究の実施・支援体制が整備されており、データ管理、安全管理、審査体制、利益相反管理、知財管理、広報・啓発・相談に関する体制も整備されている。

特定臨床研究審査委員会は月 1 回開催されており、審査実績（令和 6 年度）は、自施設については新規審査 2〜15 件（中央値 4 件）、変更審査 18〜53 件（中央値 29.5 件）、定期報告 4〜15 件（中央値 11.5 件）、疾病等報告 0〜10 件（中央値 5 件）等となっており、他施設については新規 0〜3 件（中央値 0.5 件）、変更 1〜14 件（中央値 2 件）、定期報告 1〜6 件（中央値 2 件）等となっている。

特定臨床研究以外の審査実績は、ほとんどが自施設のもので、新規 3〜5 件（中央値 0.5 件）、変更 1〜14 件（中央値 4 件）、定期報告 1〜6 件（中央値 2 件）等となっている。

8. 特徴的な取り組みや重視している活動

資料 2－2－1 p.72 Q16 が示すように、全国規模レジストリの運用、全国臨床試験ネットワークの主宰、国際共同試験ネットワークの国内ハブ、国立がん研究センターや治験専門医療機関との連携などに取り組んでいる。

D. 考察

今回、国立高度専門医療研究センター5 施設に対するアンケート調査の結果を分析したが、いずれの施設においても臨床研究に携わる従事者は高度専門人材を含め十分に確保されており、臨床研究の実施・支援体制や研修体制も充実していることが明らかとなった。

一方、研究実績に関しては、種類・件数・対象の施設間差異が大きく、各施設の対象疾患の特性、患者層の差異、検査法・治療法の多様性等を反映していると考えられた。特定領域に特化した医療機関の臨床研究の実績を同一基準で評価することの難しさを確認することができた。

臨床研究の中では、医師主導治験の件数は限られているものの、特定臨床研究や企業治験は各施設で多数実施されており、FIH 試験やリアルワールドデータ研究にも取り組んでおり、各領域の臨床研究で施設の専門性を発揮して先進的・主導的役割を果たしていると考えられた。また、いずれの施設も多くの多施設共同研究を主導的に実施するのみならず、他施設に対する支援も実施しており、研究ネットワークの中核的役割を果たしていることが確認できた。さらに、一部の施設では全国規模レジストリの運用、全国臨床試験ネットワークの主宰、国際共同試験ネットワークの国内ハブ、他の専門医療機関との連携に取り組んでおり、全国規模・国際規模の臨床研究を円滑に実施する基盤を担っていることが明らかとなった。

論文実績については、特定臨床研究およびそれ以外の研究のいずれにおいても多くの論文が発表されており、その多くで当該施設が統括責任者・筆頭者を務めており、論文発表についても主導的役割を果たしていることが確認できた。なお、ガイドラインの根拠論文は一定数発表されているが、薬事申請・承認の根拠論文は確認できず、今後の課題と考えられた。

今回アンケートを実施した施設は特定領域型臨床研究中核病院の要件を必ずしも満たしていないが、各領域の高度専門医療研究センターとして充実した体制のもと施設の特色を活かした臨床研究を主導的に実施し大きな成果を上げて

おり、高い研究主導能力を有していることがうかがえた。今回のアンケート結果は、今後の特定領域型臨床研究中核病院の要件を再検討するうえで参考になると思われる。

Ｅ．結論

国立高度専門医療研究センター5 施設に対するアンケート調査の結果を分析した。いずれの施設も充実した臨床研究実施・支援体制の下、施設の専門性を活かし、各領域の臨床研究で高い研究主導能力を有していたが、研究実績の施設間差異は大きく、各施設の特性・多様性を反映していると考えられた。

Ｇ．研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

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

なし

2. 実用新案登録

なし

3.その他

なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

研究分担者　滝沢　牧子　埼玉医科大学総合医療センター　医療安全管理学　教授

研究要旨：本分担研究は、臨床研究中核病院（以下「臨中」）及びナショナルセンター（以下「NC」）を対象として実施した実態調査の結果を系統的に比較分析したものである。比較の結果、臨中は医師主導治験・特定臨床研究・論文・他施設支援において現行承認要件を概ね充足していることが確認された。一方、NC は企業治験・リアルワールドデータ（RWD）活用研究・診療ガイドライン根拠論文において非常に高い実績を有しており、人員体制・法定体制の整備水準も高い。

医療安全の観点からは、臨中では特定機能病院として高度な医療安全管理体制の整備が行われており、令和 8 年度にはさらなる報告体制の強化が行われる予定である。NC の制度的位置づけを検討するにあたっては、各領域の特性をふまえつつも、同水準の体制整備が望まれる。

A．研究目的

本研究は、現在、厚生科学審議会臨床研究部会で審議されている臨床研究中核病院の承認要件の見直しに向けた包括的な検討を目的として実施された調査研究である。臨床研究中核病院（以下「臨中」、n=16 施設）及び国立高度専門医療研究センター・国立健康危機管理研究機構（以下「NC」、n=5 施設）を対象として質問票による実態調査を行い、その結果を系統的に比較分析することにより、臨床研究中核病院が有すべき要件の見直しのための基礎資料を提供することを目的とする。

臨床研究中核病院は、平成 27（2015）年 4 月に医療法第 4 条の 3 に基づき位置づけられ、令和 8 年 1 月時点で全国 16 病院が厚生労働大臣の承認を受けている。一方、国立高度専門医療研究センターは独立行政法人格を有する国の専門医療機関として、疾患特異的な臨床研究を主導してきた。

厚生科学審議会臨床研究部会での「治験・臨床試験の推進に関する今後の方向性について 2025 年版とりまとめ」においても、NC は、国の専門医療機関として、担当する各特定領域において治験・臨床試験ネットワークのハブとなる事が期待されている。今後、評価指標の見直しにあたり、現状を踏まえた合目的的な基準となるよう、本分担研究では、臨中と NC の実態調査の結果を比較し、体制的な課題や研究実態の特徴を検討した。

また、臨床試験を適切に実施し、被験者・患者の保護を行うために求められる医療安全管理体制についても現状を踏まえた検討を行った。

B．研究方法

臨床研究中核病院の評価指標の検討として、厚生科学審議会臨床研究部会で議論されている臨床研究の拠点の役割や機能に関する内容を踏まえ、研究実績や国際競争力の向上を考慮した創薬・医療機器の実用化への貢献度等を、臨中（16 施設）へのアンケートにより調査した。また、特定領域に係る臨床研究中核病院の承認要件見直しに向けて、NC（5 施設）への人員

配置や研究実績にかかるアンケート調査を行った。

実績については、令和3年から5年度の3年間の実態調査とし、比較可能な項目について検討した。

（倫理面への配慮）

人を対象とする臨床研究、動物を用いた基礎研究には該当しない。

C．研究結果

臨床研究中核病院16病院（北海道大学病院、東北大学病院、千葉大学医学部附属病院、国立がん研究センター東病院、東京大学医学部附属病院、慶應義塾大学病院、順天堂大学医学部附属順天堂医院、国立がん研究センター中央病院、名古屋大学医学部附属病院、京都大学医学部附属病院、大阪大学医学部附属病院、神戸大学医学部附属病院、岡山大学病院、広島大学病院、九州大学病院、長崎大学病院）に対するアンケートを資料2−1−3に、その結果を集計したものを資料2−1−1に示す。また、国立高度専門医療研究センター（国立精神・神経医療研究センター、国立成育医療研究センター、国立健康危機管理研究機構国立国際医療センター（国府台病院を含む）、国立循環器病研究センター、国立長寿医療研究センター）に対するアンケートを資料2−2−3に、その結果を集計したものを資料2−2−1に示す。なお、国立がん研究センター中央病院・東病院は臨中として別途調査・集計されており、NC（5施設）には含まれていない。

はじめに、人員体制について、臨床研究に携わる医師・薬剤師・看護師、支援職種（CRC、モニター、プロジェクトマネージャー、研究調整員、研究倫理相談）、データマネージャー、生物統計家、薬事承認機関経験者について調査し比較分析した。臨中は規模の大きな医師・薬剤師・看護師の合計人員数はエフォート換算（FTE）で評価した。

臨中の医師・歯科医師の中央値は7.1FTEであるのに対して、NCでは4.5FTEであった。薬剤師は臨中の中央値16.1FTEに対して、NCでは8.6FTE、看護師は臨中16.4FTEに対してNCでは6.6FTEであった。臨中は規模の大きな大学病院・国立がん研究センターを含み、全職種で承認要件値を大きく上回る。NCは疾患特化型機関として絶対数は少ないが、薬剤師（FTE中央値8.6名、要件値の1.7倍）が突出しており、薬物管理・調剤等における高いコミットメントが示されている。

臨床研究の支援職種については、臨中の中央値が15.5名に対して、NCでは15.0名でほぼ同等であった。特筆すべき点として、NCの研究倫理相談員（中央値3.0名）は臨中（中央値1.0名）を3倍上回り、生物統計家（中央値3.0名）及び薬事承認審査機関経験者（中央値2.0名）も臨中を上回る配置がなされていた。これらはNCが研究の「質・適正性・倫理」を担保する専門体制に重点を置いていることを示しており、特定型として評価すべき重要な要素である。CRC（NC中央値7.0名）は絶対数では臨中の中央値15.5名を下回るが、疾患特化型機関の業務量・専門性を踏まえると、1名あたりの貢献度は相当に高いものと考えられる。

次に、研究実績について、令和3−5年度の累積3年間の臨中の実績報告書データとNCに対する調査データを比較分析した。はじめに、自ら行う特定臨床研究の実施における医師主導治験では、臨中は令和3〜5年度（R5時点）において中央値8.0件であるのに対してNCの3年間累積中央値は4.0件と臨中の要件値を下回るが、多施設共同試験が中央値3.0件であり、NCが疾患特異的な治験ネットワークのハ

ブとして機能していることがうかがわれる。また、一部のNCでは、多施設への包括支援を3件行うなど、ネットワーク調整拠点として機能しているものと考えられる。

自らが主導して行う特定臨床研究においては、臨中は令和3～5年度累積で中央値37件と現行要件値（年間40件×3年評価）に対して高い充足率を示す。NCの3年累積中央値は24件（年換算8件）であるが、自施設が統括管理者を担う件数が中央値21件、自施設が主導する多施設共同研究が中央値10件と研究の主導性が非常に高い。また、医療機器研究（最大12件）が活発である点は疾患特化型NCの特徴的な強みである。

特定臨床研究に関わる論文実績は差異が大きい調査結果となった。特定臨床研究関連論文数は、臨中は3年累積で中央値49報と要件値（45報）を全施設で安定して充足している。NCの3年累積中央値（24.5報）は要件値を下回るが、その他の幅広い臨床研究論文は3年累積平均206.5報であり、研究論文の作成ついては実績が認められた。さらに、学会等の診療ガイドライン作成・改訂に至った根拠論文数はNCでは中央値29報、最大57報と非常に多く、臨中の中央値2.5報、最大67報を大幅に上回っていた。ガイドライン貢献は今後より重みのある評価を求める重要指標であり、この観点でNCが最も強みを発揮する領域であると考えられた。

次に、他施設の支援については、年間の中央値29件と要件値（15件）を大幅に上回り、特に国立がん研究センター中央病院の令和5年度100件は突出していた。NCでは3年累積中央値9件（最大値50件）と件数が少ないが、プロトコール作成・統計解析・データマネジメント等の実務的・専門的支援を実施していた。また、研修については、臨中・NC双方が要件値を上回る実施状況にあり、外部参加者を含む審査委員会委員研修等も実施されていた。

企業治験はNCで3年間累積中央値69件（最大162件）のすべてが多施設共同形態であり、Phase III（中央値37件）が最多であった。臨中では令和6年度の単年のみ調査が実施され、年間中央値は33.5件であったため直接比較は困難であるが、いずれも国内の後期臨床開発において不可欠な機能を果たしていると考えられた。

リアルワールドデータ（RWD）活用研究では、NCでは年間中央値（57件）と多く実施されていた。臨中については令和6年度の単年調査であり、直接比較は困難であるが最大19件、中央値0件であった。NCでは全国規模の疾患別レジストリやネットワークを長期的に蓄積・支援してきた実績があり、その結果が反映されていると考えられた。

ヒト初回投与試験（FIH試験）は臨中では、中央値は年間1~1.5件（最大22件）で、NCでは、3年累積の中央値は0件、最大5件（3年累積）であったが、医薬品や医療機器について、小児、成人を対象とした高度なFIH試験が一部で集中的に実施されていた。ただし、内訳については回答施設が限定的であり、解釈には留意が必要である。

臨床研究中核病院に求められる体制の整備状況について、NCへのアンケート調査を行った。NCは安全管理・支援・データ管理・利益相反・知財・広報の6項目で5施設（100%）が整備済みであり、臨中と同等の法定体制水準が確認された。一部未整備は、NCへの参画時期・規模に関わる経緯によるものと解されるが、今後の整備が求められる。

医療安全の観点についても検討した。現在の臨中全16施設、および、NCのうち国立国際医療センターと国立循環器病研究センターは、

医療法第４条の２に基づく特定機能病院として厚生労働大臣の承認を受けている。特定機能病院は、高度な医療の提供、高度の医療技術の開発および評価、高度の医療に関する研修を行う能力を備える医療機関であり、一般病院と比較して高度な医療安全体制整備が義務づけられている。具体的には①医療安全管理責任者の配置や部門の設置（専従の医師・看護師・薬剤師の配置）等の内部組織体制、②外部監査や第三者評価の実施、③全死亡事例の検証、インシデント事例の報告義務、④高難度医療技術および未承認医薬品等の使用にかかる管理体制、などが求められている。さらに、令和８年度には要件のさらなる厳格化を求める省令改正が行われる予定である。これらの制度的要件は、臨床研究の実施においても重要な意味を持つ。特定機能病院における有害事象報告・安全管理体制は、通常の診療行為と臨床研究行為の双方をカバーする形で整備されており、被験者保護の観点からも高い水準にあると考えられる。

NC 全５施設は実態調査において安全管理のための体制が整備され、「医療安全管理室」と「臨床研究部門」が組織的に連携する体制が標準化されていることが確認された。今後は、NC についても、研究被験者保護・医療安全管理の観点から特定機能病院と同等水準の安全管理体制を担保する仕組みを制度設計に組み込む事が望まれる。

D．考察

本研究では、実施したアンケート調査に基づき臨中と NC の比較を実施したが、両者は医療機関としての成り立ちや組織特性や診療機能が根本的に異なる点には、注意が必要である。臨中の大多数は大学病院であり、総合型の大規模医療機関であり、400 床以上・16 診療科以上という要件が示すとおり、多疾患・複合病態への対応能力を有し、高度急性期から希少疾患まで幅広い診療科を擁する。この総合性は、様々なシーズを抱える研究者や多様な患者を一つの施設に集めることを可能にし、幅広い領域での医師主導治験・特定臨床研究・ARO 支援機能の基盤となっている。病床規模も概ね 700〜1,200 床台と大規模であり、CRC・データマネージャー等の支援人材を多く抱える経営規模も持っている。

一方、NC は高度専門医療に関する研究等を行う独立行政法人に関する法律に基づく国立研究開発法人であり、がん・循環器・精神神経・成育・感染症・長寿という特定の疾患領域に特化した専門病院群である。病床規模は 300〜700 床台と大学病院より相対的にコンパクトであり、標榜診療科も専門領域に絞られている。こうした機関特性の根本的差異が実態調査の数値に直接反映されている可能性が高く、企業治験・RWD 活用研究・ガイドライン貢献論文において NC が強みをもつ。臨中が「多様なシーズを幅広く支援し、他施設への波及効果を最大化する水平的ネットワーク支援」を強みとするのに対し、NC は「単一疾患領域において世界水準のエビデンスを積み重ね、診療標準化に貢献する垂直的・専門的エビデンス創出」を強みとするという役割の相違が示唆される結果となった。

本調査では、調査対象が少数であり、中央値や平均値の統計的意義は高くない。また、国立がん研究センター（中央病院、東病院）は臨中であるが、NC でもある二重性があり、対比的に記述することに限界がある。

E．結論

本分担研究では、臨床研究中核病院（n=16）とナショナルセンター（n=5）を対象とした令和３〜５年度相当の実態調査データを

系統的に比較分析した。

臨中はすべて特定機能病院として高度な病院機能を有する総合型・大規模医療機関であり、この前提の上に臨床研究中核病院としての機能が付加されている。一方、NC は人員規模や特定臨床研究の論文数において臨中と異なる特性を示した一方で、ガイドライン根拠論文・企業治験・RWD 活用研究において高い実績を有しており、疾患特化型の専門機関として特定領域における診療標準化・エビデンス創出・産業界との連携に特化した機能を担っていることが示された。

以上から、NC は独自の機能・役割を有しており、現行の特定領域型とは別の枠組みのもとで各 NC が領域特化の臨床研究を推進していくことが適当と考えられる。あわせて、臨床研究を実施する医療機関として求められる高度な医療安全管理体制の整備および被験者保護の観点から、NC においても特定機能病院に準じた安全管理体制の整備が望まれる。

F. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

なし

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

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
分担研究報告書

日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

研究協力者　益山　光一　東京薬科大学薬学部教授

研究要旨：本研究は、我が国における臨床研究の推進を阻害している要因を明らかにし、制度的課題の整理および改善に資する知見を得ることを目的とし、国内 80 の認定臨床研究審査委員会（CRB）を対象に、現場が直面する実態を把握する研究支援部門の実態と制度運用上の課題を把握するための Web 調査を行った。アンケート内容は、臨床研究規制に関する現状の課題、各機関の CRB および学術研究機関（ARO）の組織体制・業務内容、さらに規制対応に伴う負担感など、多岐にわたる項目を調査し、57 件の回答（回収率約 70%）が得られた。本調査により、現場の最大の制約は人材・時間・資金の不足であることが明らかとなり、特に、人材については、臨床研究コーディネーター（CRC）は一定程度確保されている一方、品質保証担当（QA）、IT・システム担当、薬事担当、統計解析担当（生物統計家）といった高度専門人材は専従・兼任ともに不足している実態等が把握された。そのような研究支援や体制を確保する人員不足等により、治験・臨床試験等に関する複数の規制法令の分立による業務負担への改善に手が回らず、さらに、ARO 部門や事務局等の業務量を増大させ、人員等に余裕のない現場にさらなる負荷を与える「負のスパイラル」となっている可能性が考えられた。

A．研究目的

本研究は、厚生労働科学特別研究「日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究」（研究代表者：楠岡英雄）の一環として、我が国における臨床研究の推進を阻害している要因を明らかにし、制度的課題の整理および改善に資する知見を得ることを目的とするものである。 特に、医療機関において臨床試験を適切かつ効率的に実施するために不可欠な研究支援部門（CRB、ARO 等）に着目し、その運営体制、業務負担、人材確保、資源配分、制度運用上の課題など、現場が直面する実態を把握する。 本アンケート調査を通じて、研究支援部門が抱える具体的な課題を体系的に抽出し、今後の臨床研究推進に向けた制度整備および支援方策の検討に資する基礎資料を得ることを目的とする。

B．研究方法

本研究の対象は、日本国内に設置されている 80 の認定臨床研究審査委員会（CRB）機関とし、これらの機関に対して Web アンケート調査を実施した。調査は Google Forms を活用し、2026 年 2 月 5 日から 2026 年 3 月 6 日までの期間に実施した。

アンケート内容は、臨床研究規制に関する現状の課題、各機関の CRB および学術研究機関（ARO）の組織体制・業務内容、さらに規制対応に伴う負担感など、多岐にわたる項目を含んでいる。本研究で実施した Web アンケートの詳細は、資料 3－1 に示したとおりである。

調査は Google Forms の機能を活用し匿名性を確保した上で行われた。収集した回答データは Microsoft Excel および JMP Student Edition を用いて集計・分析を行い、現状把握と課題抽出を目的とした。

（倫理面への配慮）

本研究は組織単位を対象とした調査であり、個人情報や個人が特定可能な情報は取得していないため、倫理審査委員会の審査は実施していない。

C．研究結果

本研究の対象は、日本国内に設置されている80の認定臨床研究審査委員会（CRB）機関とし、合計57件の回答（回収率71.3%）をいただいた。

本研究結果の主なポイントは以下の通りである。詳細な結果については資料3−2（以下、「資料」という。）に示している。

本調査における研究結果として、まず、回答のあった施設の種別では、全体の約2割にあたる11施設が臨床研究中核病院として認定されており、そのほとんどを大学病院が占めている。一方、認定を受けていない施設は約8割を占め、こちらも多数が大学病院であった。（資料スライド2）

職種別の人員構成は、認定臨床研究審査委員会（CRB）には統計学・疫学の専門家が38施設に在籍しておらず、薬剤師についても施設内の専門スタッフとしての配置が不十分な状況が顕著であり、専従・兼任を含め 29 施設（約51%）でまったく在籍していない点が特徴的であった。研究運営を支える倫理委員や事務局は兼任も含めて一定数確保されているが、専門性の高い職種の人員不足は課題の一つとなっている。（資料スライド3）

さらに、臨床研究プロジェクトの中核となるAcademic Research Organization（ARO）においては、臨床研究コーディネーター（CRC）の専従者は一定数確保されているが、薬事担当や品質保証（QA）、IT担当の専従者は著しく少なく、多くが兼任者に頼らざるを得ない現状である。特に品質保証やIT担当については兼任者もほぼ不在である施設が半数を超えており、専門人材の不足が業務遂行に影響を及ぼしている。（資料スライド3・4・5）

データセンターの設置状況では、約56%の施設で設置されていたが、未設置の施設も約44%を占めている。未設置のうち約6割はデータセンターの必要性を認識していた。（資料スライド6・7）

CRBの主な業務内容は、全施設が「研究計画書・同意説明文書の審査」を実施し、「臨床研究の審査」もほぼ全施設で行われていた。「被験者保護に関する審査・監督」も多数の施設で行われていた。一方で、委員会間の調整業務などはやや限定的に行われている状況である。AROの業務では、「プロトコル作成・改訂支援」「治験・臨床試験の企画・立案支援」「医師主導治験の運営支援」が上位を占め、研究の企画から運営まで幅広い支援が提供されていた。（資料スライド8・9）

一方、マンパワーの状況には課題が顕著であり、「人材不足やスキル偏在が業務に支障をきたしている」との回答が多い反面、「必要な人数が十分に確保されている」との肯定的回答は少なく、全般的に人員やスキルの確保に課題を抱えていた。（資料スライド12）

各種審査委員会の設置状況では、倫理審査委員会、治験審査委員会（IRB）、認定臨床研究審査委員会（CRB）が多くの施設で運営され、特にこれらの委員会を各1件設置するケースが多かった。研究試験への関与割合も「臨床研究法に基づく臨床研究」および「薬機法に基づく治験」が高く、これらの法規制に則った研究運営が行われていた。（資料スライド13・14）

臨床研究推進の障壁としては、スタッフの人員不足が最大の課題であり、次いで研究資金の確保困難、専門家の人員不足、研究時間の確保困難が挙げられた。こうした中、AROの組織

的権限に関しては、病院経営層への直接的な意見具申権は約半数の施設で整備されていたものの、予算や人事権の独立性は低い結果だった。（資料スライド 15・16）

また、専門職のキャリア形成については、明確な昇進・昇格基準（ラダー）が整備されておらず、有期雇用が中心で長期的な展望が描きにくい環境であることが明らかとなった。専門性の正当な評価や給与体系も十分に整備されていない点等も課題であった。（資料スライド 17）

さらに、複数の法令に対応する必要性から業務量が著しく増加していると感じている施設が約 9 割に達していた。特に審査委員会対応や法令の該当性判断、当局届出準備が負担の大きい分野であった。（資料スライド 18・19）

制度面では、複数の法令に基づく審査委員会の共通化は進んでおらず、約半数の施設が各委員会を独立して運営を行っていた。一方、様式や書式の統一化は進んでおらず、多くの施設で申請書類の管理負担が増大していた。こうした制度の複雑さにより、研究試験のデザイン変更や中止に至る例もあり、介入研究から観察研究への変更や多施設共同研究の断念といった影響があった。（資料スライド 22・27・28・29・30）

教育面では、医・歯・薬・看護・保健をはじめとした全ての医療系学部での基礎的な臨床研究教育の必要性が強調されていた。医学生に対する系統的な教育や研究倫理・被験者保護の意識向上も求められていた。さらに工学部や生命科学系といった非医療系学部への教育拡大や、研修の必須化、中核病院による e ラーニング導入なども提案された。（資料スライド 34）

D. 考察

本調査から、現場の最大の制約は人材・時間・資金の不足であることが明らかとなった。特に、人材については、臨床研究コーディネーター（CRC）は一定程度確保されている一方、品質保証担当（QA）、IT・システム担当、薬事担当、統計解析担当（生物統計家）といった高度専門人材は専従・兼任ともに不足していた。つまり、日本の ARO 支援は、調整役となる CRC 等に偏在し、教育の質保証や規制対応を下支えする基盤機能を支える専門人材が不足している実態が明らかとなった。つまり、薬剤師や統計家などの専門職が施設内に在籍していないことで、日常的な研究支援や迅速な該当性判断を行う上での組織的な脆弱性に影響する可能性があると考えられる。

また、キャリアパス不在の問題は、人材不足を慢性化させる構造要因と考えられる。明確な昇進・昇格基準の欠如、有期雇用中心、給与体系未整備は、専門職人材がアカデミアに定着しにくい背景であり、結果として CRO 等への流出を促している可能性も示唆された。単なる採用数の不足ではなく、制度的に人材再生産が難しい構造が存在していると考えられる。

さらに重要な点として、規制対応が研究デザインそのものに影響を及ぼしていることが挙げられる。実際、自由記述において、特定臨床研究該当を回避するためのデザイン変更、介入研究から観察研究へのダウングレード、多施設共同研究の断念などの報告も認められた。これは、規制負担やコスト負担が、研究の科学性や社会的意義よりも先に設計選択を左右しうることを示しており、研究の質の面から課題であると考えられる。

委員会運用の面では、複数委員会の並立には一定の合理性がある一方、現状ではその効率化が十分に進んでいなかった。 各法令に応じた専門審査という利点はあるが、様式の不統一、事務局の分断、同一案件への重複対応、システム不統一等が、現場に冗長な負荷を与えている。とりわけ、様式共通化がほとんど進んでいないことは象徴的であり、「委員会の設置」は

行われていても、「実務の統合」は進んでいない状況といえる。

一方で、将来的に法令上可能であれば一つの委員会で審査・運用したいとの意向が 7 割弱を占めたことは、ワンストップ化・共通化への現場ニーズが高いことを示している。ただし、単純な一本化のみでは解決しない側面もある。法令ごとに審査観点や定義が異なる以上、必要なのは制度の拙速な統合ではなく、審査窓口、事前仕分け、様式、教育、IT 基盤など運用面の整合化を段階的に進めることも必要であると考えられる。

教育面では、研究規制や倫理、被験者保護に関する理解を、医師のみならず医療系学部全体、さらには関連分野に広げる必要性が示された。該当性判断や適切な申請に研究者が迷う背景には、研究計画立案段階からの教育不足もあると考えられる。現場の負担軽減のためにも、研究者教育の体系化は中長期的に重要であると考える。

E．結論

本調査から、我が国の CRB/ARO 部門等からみた治験・臨床試験等の障壁として、研究支援や体制を確保する人員不足等により、治験・臨床試験等に関する複数の規制法令の分立による業務負担への改善に手が回らず、ARO 部門や事務局等の業務量を増大させ、人員・資金・時間に余裕のない現場にさらなる負荷を与えている「負のスパイラル」となっている可能性が考えられた。

今後の課題は、研究資金の強化とともに、複数法令下での委員会運用・事務手続・様式・窓口・IT 基盤等の共通化・整合化を進め、現場の業務効率化を図ることである。 併せて、ARO・事務局機能を担う高度専門人材の育成・定着、キャリアパス整備、データ管理・品質保証体制の強化を進めることが、日本の治験・臨床試験実施体制を持続可能なものとするために不可欠であると考える。

G．研究発表

1． 論文発表

なし

2． 学会発表

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

なし

2. 実用新案登録

なし

3.その他

なし

医薬品	日本	米国	EU	英国
法規制の階層構造	憲法 ＞法律(医薬品医療機器等法：薬機法) ＞政令 ＞省令(GCP省令：法的拘束力あり) ＞告知・通知・ガイドライン(PMDA/MHLW 告示・通知、倫理指針：治験外研究に強く作用、ガイダンス・Q&A：実務運用を補完) ＞条例・規則 “省令”レベルでGCPが法的拘束力を持つ	連邦憲法(法規制の最上位) ＞連邦法(FD&C Act等) ＞連邦規則(CFR, 法律を実装する規制) ＞ガイダンス文書 (FDA Guidance Documents, 実務運用の基準) 連邦法の下にCFRによる規制があり、FDAガイダンス文書が実務基準を提供する(ただし法的拘束力はない)	EU条約 >Regulation >Directive >EU Guidance >ICH Guidelines >Ethical Principles Clinical Trials Regulation(CTR)が臨床試験規制の基本的枠組みとして位置づけられる	議会制定法(Acts of Parliament) ＞法令委任に基づく詳細規定である法定文書(Statutory Instruments) ＞規制当局等のガイダンス ＞IRAS・倫理審査(REC)関連指針 ＞NHSローカルポリシー ※ICH-GCPはStatutory InstrumentsであるThe Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulationsに、遵守することが規定されている 議会制定法が最上位にあり、これに続く法定文書、当局ガイダンス等が現場運用を支える構造となっている
主な規制当局	・厚生労働省(規制の方向性と最終的な行政判断を統括) ・PMDA(審査・相談・GCP調査を一体的に実施)	・FDA(医薬品・生物製剤・医療機器の審査・規制を一元的に担う) 医薬品部門はCDER、生物製剤はCBERが中心 ・OHRP(被験者保護、倫理指針、IRB の規制監督を担う)	・欧州委員会 (European Commission)：CTRの法令制定・改正 ・EMA：中央調整・CTIS管理・GCP監視・科学助言 ・EU加盟各国の規制当局(National Competent Authority：NCA)：国ごとの評価・承認・監視 EU共通の規制(CTR、CTIS)の下で、EMAによる調整と各NCAによる承認・監督が組み合わされる	DHSC：保健省、英国の保健・社会福祉政策を統括する政府機関 ・MHRA：規制当局、医薬品や医療機器の安全性・有効性を規制・監督 ・HRA：Executive Non-Departmental Public Bodyとして設置され、医療研究の倫理およびガバナンスを担当 ・REC：HRAの下に設置され、臨床試験や研究計画が倫理的に適切かどうかを審査・承認する独立委員会
介入の有無	介入の定義：倫理指針において、研究目的で人の健康に影響を与える要因を意図的に制御する行為と規定している 介入ありの場合、治験、特定臨床研究、倫理指針下の介入研究が該当する 介入なしの場合、観察研究等が該当する	介入の定義：NIHの「Clinical Trial Definition」にて規定されるが、臨床試験に対して適用される規則の主要な判断基準ではない 適用される規則は、主として「FDA regulationの対象となるか」「IND/IDEの有無」「承認申請を目的とするか」「連邦政府の資金の関与」等を組み合わせて判断する	介入の定義：横断的な定義なし CTRにおけるClinical Trialの定義は以下の通りであり、実質的に介入を伴う臨床試験(interventional study)に相当する ・被験者を特定の治療戦略に割り付けることが事前に決定されており、その割付が当該加盟国における通常の臨床診療の範囲に含まれない ・IMP処方の決定が、当該研究への被験者組入れ決定と同時に行われる ・通常の臨床診療に加えて、追加の診断手順またはモニタリング手順が被験者に適用される CTRに定義されるclinical trialは、すべてCTRの適用対象となる Non-interventional study(非介入試験)またはobservational study(観察研究)の場合、一般にCTR適用対象外となり倫理審査等の要求は各国制度による	介入の定義：横断的な定義なし The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004において、医薬品の評価を目的とする臨床試験はClinical Trialと定義されており、これらは実務上 CTIMPに相当する CTIMPの場合、The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004（とその改正規則）が適用される Non-CTIMPの場合、UK Policy Framework for Health and Social Care Researchが適用される 介入を伴う研究であっても、医薬品の有効性・安全性等の評価を主目的としない場合はNon-CTIMP として扱われる
リスクに応じた区別	Risk-Based Approachの導入による品質保証の動きはあるものの、制度としては存在しない	試験のリスクレベルによる法的区別ではなく、承認済み薬を使用する試験において、“IND が必要かどうか” を決定する基準の一つとなる	臨床試験の包括的なリスク区分は存在しないが、低介入臨床試験に該当する場合は限定的に運用の合理化が認められている 一方、ATMPやFIH試験等の高リスク試験では、特定ガイドラインへの対応が実務上求められる	CTIMPを対象とした試験をType A(低リスク)／Type B(中リスク)／Type C(高リスク)に分類 低リスクの試験では、モニタリングや手続きを簡素化できる場合があるが、高リスクでは詳細なモニタリング、安全対策や文書整備が求められる 試験開始前にリスク評価とその緩和策を定義し、IRAS申請時に当該内容を提出求められる場合あり ※分類についてのMHRAによるガイダンスあり
再生医療等製品に相当する製品の定義	「人又は動物の細胞に培養等の加工を施したものであって、身体の構造又は機能の再建、修復若しくは形成を目的とするもの、又は疾病の治療若しくは予防を目的として使用されるもの」、ならびに「遺伝子治療を目的として人の細胞に遺伝子を導入して使用されるもの」 医薬品や医療機器からは独立した区分	製品区分はなく、HCT/Pの361/351に該当するかどうか により、drug/biologic/device としての規制が適用される 細胞・遺伝子治療は主に生物学的製剤(biologic)として規制	ATMP： 遺伝子治療医薬品 体細胞治療医薬品 組織工学製品 ＋(機器一体型の複合ATMP) 医薬品として分類	ATMP： 遺伝子治療医薬品 体細胞治療医薬品 組織工学製品 ＋(機器一体型の複合ATMP) 医薬品として分類 英国にも独自PIPやHTA relevant material確認があり、EUと完全同一ではない
再生医療等製品に相当する製品の臨床試験	承認申請目的なら治験として薬機法＋医薬品GCP省令が適用 承認申請目的でないなら臨床研究として臨床研究法に該当 再生医療等製品の治験では再生医療等製品GCP省令とGCTP省令が適用 承認申請を目的とせず再生医療等を医療として提供する場合は、再生医療等安全性確保法が適用	ヒトの細胞・組織を用いる製品はHCT/Pとして分類され感染症のリスクによって351 HCT/Pと361 HCT/Pに分岐 361 HCT/Pである場合はINDの枠組みで実施	ATMPに該当する場合、CTRに加えてATMPに関する個別の規制・ガイドライン等を踏まえた追加対応が求められる ATMPの規制上の位置づけはATMP Regulationにより整理される	ATMP試験はCTIMPの枠組みで実施されるが、ATMPガイダンスに準拠した対応が必要となる
緊急時に実施される試験	特有の規制はなし ただし、緊急時における承認制度(特例承認・緊急承認)は薬機法にて定められている	公衆衛生上の非常事態(PHE)が宣言されると、FDAは特別ガイダンスを速やかに発出し、試験運用の柔軟化措置を提示 また、様々な重大混乱シナリオを対象とした汎用ガイダンスがあり、試験継続に係わる各要素を横断的に整理した原則を提示している	公衆衛生上の緊急事態(PHE)下では、CTRに基づき実施されるが、これに加えてEMA内に設置されたETFによる支援が活用される場合がある ETFは、治療薬・ワクチン等の開発に関する科学的助言等を行い、EU域内での臨床試験の迅速かつ円滑な実施を支援する	緊急治療を要し事前同意が不可能なCTIMP等について、HRAガイダンスに基づきRECが事前承認した手続きの下で例外的に無同意組入れが認められている 被験者本人回復後または代理人接触後に速やかな同意取得が義務付けられている
複合製品	主作用に応じて医薬品/医療機器/再生医療等製品のいずれとして扱うか決定される それに応じて関連する規制も決定(医療機器として扱われる場合も薬剤部分の安全性/放出特性の評価は必要) 抗体薬物複合体は医薬品として扱われる	主要作用機序(PMOA)で医薬品/生物製剤/デバイスの扱いを決定し、それに応じて所管 (CDER/CBER/CDRH)およびIND/IDEの規制が決定 抗体薬物複合体(ADC)は通常生物製剤として扱う 医薬品＋デバイスの場合、薬物の安全性/有効性に加え、機器の操作/安全要件も組込む	CTR適用対象となる試験はCTRに基づき実施 主たる作用(PMOA)を医薬品もしくは医療機器のどちらが担うかにより、対応が必要なMRDの要求事項が異なる	医薬品主体か医療機器主体かにより適用規制は異なるが、実務上はMHRAとHRAによるCombined Reviewが基本 医薬品として扱う場合、CTA承認とREC倫理審査をIRASによる単一申請で並行審査する必要がある
小児を対象とした試験	特有の規制はないが、成人以上の倫理的配慮と負担の最小化が求められる ICH E11および補遺E11(R1)が導入されている	二つの連邦法(PREA、BPCA)が中心的役割 ・PREA：小児試験計画(iPSP)提出と小児専門委員会(PeRC)審査を義務化 ・BPCA：FDAが必要と判断した小児試験(WR)には独占販売期間6か月延長を付与 PREAは「義務」、BPCAは「インセンティブ」 被験者保護は21 CFR 50 Subpart D(IRB、リスク区分、保護者許可・アセント)	CTR適用対象となる試験はCTRに基づき実施 CTR Article 32により追加要件(利益・負担のバランス、法定代理人の同意、年齢・成熟度に応じたアセントの尊重等)を規定 医薬品開発制度としてはPaediatric Regulationが適用され、原則としてPIP(Paediatric Investigation Plan)の提出・承認が求められる	MHRA・HRAの小児試験専用ガイダンスが適用され、PIP提出、小児向け同意手続き(16歳未満は法定代理人が同意)、用量探索や安全性モニタリング等の特別要件が求められる ICH E11/E6準拠の文書化を前提に、MHRAが提供する専用チェックリストに基づく慎重な審査が行われる

希少疾病用医薬品	薬機法や臨床研究法に加えて、希少疾病用医薬品指定制度が適用(オーファン指定) オーファン指定を受けると多方面でインセンティブが付与される 超希少疾病では国際試験データのみの承認が可能なケースあり	オーファンドラッグ法と21 CFR 316が中核 FDAガイダンスに基づき単群・外部対照等の柔軟運用が許容 OOPDが希少疾患向けの臨床試験を支援する助成制度を運営 オーファン適応はPREA義務免除	CTRに基づき実施 別途Orphan Regulationにより希少疾患の指定要件が定められ、指定を受けた場合には開発・承認プロセスにおいて科学的助言、規制手数料の減免、承認後の市場独占等の支援が付与	原則としてCTIMPとして扱われるため、Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004が適用され、MHRA承認およびHRA/RECの倫理審査を要する 加えてMHRAは2025年以降、希少疾患特有の課題に対応するため、試験から承認までを柔軟かつ連続的に扱う新たな規制枠組みの導入を進めている
第一相試験	FIH指針で初回投与量や安全管理の要件が整理され、非臨床資料の提出基準も明確化 国際共同開発では日本人第一相原則不要の方針が示され、安全確保策の選択肢も提示された	FDAガイダンスにて、Phase1試験では21 CFR 312.22-.23に基づくIND要件を安全性重視でリスクに応じ簡素化し、非臨床・CMCの最小要件を示している 製造管理においてもガイダンスが発出されており、簡易化されたGMP原則に従い21 CFR 211より柔軟に管理が許容	CTRに基づき実施 包括的な区分はないが、特にFIH試験では初回投与量設定、用量漸増、安全性モニタリング等についてリスク低減策を明確に示す必要がある 実務的には、EMAのFIHガイドラインを参照する	CTIMPとしてCTA承認とREC審査が共通要件であり、専用の法的申請枠組みはない 実務上はMHRAのPhase I Accreditation SchemeやEMAのFIHリスク指針、自庁ガイダンスに基づき、哨兵投与、初回用量設定、停止規則等の安全対策を明確化することが強く求められる 倫理面では報酬・同意の妥当性や放射線関連規制の適用が審査される
規制麻薬の臨床試験	麻薬取締法により、麻薬を扱う臨床試験では医療機関の取扱者免許と医師の施用者免許が必須 輸入・保管も許可と帳簿管理が義務化され厳格な管理体制が求められる	FDAのINDに加え、DEA研究者登録(Form225)が必須	CTR適用対象となる試験はCTRに基づき実施 乱用・逸脱リスクを踏まえ、各EU加盟国の国内法令に基づく追加要件(許認可、管理体制、記録管理等)への対応が必要となる	規制薬物はMisuse of Drugs Act/Regulationsに基づき厳格管理され、臨床試験でも特別要件が適用 特にSchedule 1薬物はCTIMP手続に加え、各施設によるHome Officeの研究ライセンス取得が必須 輸入や製造には別途許可が要
臨床研究非該当研究	規制はなく、「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」に基づいて実施	FDAが規制する"clinical investigation"に該当しない研究(非介入観察研究、患者報告アウトカム等) 研究が HHS の定義する human subjects research に当たる場合は Common Rule(45 CFR 46)が適用される	CTR適用対象外となる非介入研究(観察研究等)については、EUとして一律の規定なし 各EU加盟国の国内制度に基づき実施される	Non CTIMPは、UK Policy Framework for Health and Social Care Researchに従う
規制当局による試験実施の承認	・GCP適用試験：開始前の治験計画届の提出が必須 (IND免除に相当する制度はなし) ・臨床研究法適用試験：開始前に研究実施計画の提出が必要で、jRCTに登録することで提出したとみなされる ・倫理指針下の研究：規制当局への届出不要	新規薬剤をヒトに投与する試験はIND提出(21 CFR Part 312) 受理後30日審査が実施される FDAは疑義があればClinical Hold可 実施中は安全性迅速報告(§312.32)、計画変更届出(§312.30/31)が必要	CTR適用試験では、EMAが運用するCTISを通じて申請が行われ、各EU加盟国の規制当局(NCA)が審査・承認を行う 申請資料は、EU共通の評価対象(Part I)と、EU加盟国固有の評価対象(Part II)で構成される	CTIMPを実施するには、Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004に基づくCTA承認が必要で、申請はMHRA手順に従う 第1相試験でもCTIMP該当時は必須 近年は制度簡素化が進んでいるため、最新要件確認が重要 non-CTIMPは原則不要
倫理委員会等による審査	・治験：IRB承認後、実施機関の長の許可が必要 ・特定臨床研究：CRB承認後、実施機関の長の許可が必要 ・倫理指針下の研究：倫理審査委員会承認後に実施機関の長の許可が必要	FDA規制下の臨床試験はIRB審査必須であり、初回・継続審査と記録保存が義務付け(21 CFR 56) IRB審査はFDAのIC原則(21 CFR Part 50)と連動して運用される 連邦資金研究ではCommon Rule(45 CFR 46)が併用適用され、singleIRB義務やIRB構成・審査基準を規定	CTR適用試験では、CTISを通じた審査のうち国別評価(Part II)にて各国の国内制度に基づきECが倫理審査を行う その評価は当該国の承認判断に反映される ECの体制や運用はEU加盟国ごとに異なる	CTIMPを実施するには、HRA枠組みに基づきRECの倫理審査を受け、肯定的意見の取得が必要 申請は通常IRASを通じて行う NHS環境ではHRA Approvalが追加で求められる場合がある non-CTIMPでも内容や実施環境によりREC審査やHRA Approvalが必要となる
利益相反	・GCP適用試験：COI資料提出は義務でなく、IRBや実施期間・企業がガイドライン等に基づき自主的に管理/審査し、企業は担当医師の持株等を確認するケースもある ・臨床研究法適用試験：臨床研究法はCOI管理適正化のため制定された背景から基準が厳格化され、CRB審査資料にCOI情報を含める ・倫理指針下の研究：研究計画書に利益相反の状況を記載する規定があり、倫理審査委員会の審査対象でもある	FDA提出試験では21 CFR Part 54で臨床研究者の財務情報を申請者が収集・提出することを要求 連邦資金研究では、42 CFR 50 Subpart Fで実施機関にSFI開示・FCOI審査・管理・PHS報告を義務付け	CTR、ICH-GCP、EU加盟国の倫理審査・研究ガバナンス制度、ならびに業界コード等を組み合わせた枠組みの中で管理される 研究者等の金銭的・非金銭的関係を把握・記録し、試験への影響を評価したうえで、EC審査等を通じて適切な管理措置を講じる	CTIMPにおける利益相反管理は、Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004およびGCPに基づくスポンサー責任として実施される 資金源や研究者の利害関係を把握・開示し、REC審査で倫理的妥当性が評価される non-CTIMPではUK Policy Frameworkに基づき研究主体が管理し、特にNHS環境では透明性確保が求められる
同意説明/取得と多言語化	・GCP適用試験：ICFへ記載すべき事項(18項目)や自由意思による同意取得の規定があり、多言語化の規定はなし ・臨床研究法適用試験：GCPと同等の規定があり、利益相反/資金源について被験者へ通知する旨の規定もあるが、多言語化の規定はなし ・倫理指針下の研究：研究の性質に合わせて同意取得方法を選択し、多言語化の規定はなし	FDA規制下では21 CFR Part 50に基づく同意取得が必須(IRB審査と連動) 小児はSubpart Dに準拠し、緊急時の限定免除は50.23/50.24の条件下で可(厳格な例外規定のため通常の治験では利用されない) 連邦資金関与時はCommon Rule(45 CFR 46)によりKey Information提示 多言語化は理解可能な言語での説明・翻訳・通訳手当が明示要件	CTR適用試験では、CTRにおいて同意取得ｍｐ一般要件および被験者属性(判断能力を欠く被験者、未成年者等)に応じた追加要件が規定されている 実務上の要件はICH-GCPに準拠する 同意文書は各EU加盟国においてECが審査し、多国間試験では多言語化に加え、国別要件(補償、医療制度、苦情窓口等)を踏まえたローカライゼーションが必要となる	被験者への説明・同意取得は研究種別を問わずREC審査の中核要件で、理解可能性と自由意思が重視される CTIMPではGCP等の規制に基づき、治験薬のリスクや安全性対応を含む詳細説明が強く求められる 言語対応は法令では定められていないが、被験者の理解が重視される そのため、特にCTIMPでは翻訳の品質確保や運用体制の妥当性がより厳しく評価される
補償	・GCP/臨床研究法適用試験：試験実施前に体制構築することが義務付け その妥当性をIRB/CRBが審査することも規定 ・倫理指針下の研究：侵襲を伴う研究かつ通常診療範囲を超えた研究の場合はGCPおよび臨床研究法等を参照した体制構築が必要 健康被害が発生する恐れのない研究については規定なし	研究関連傷害の補償提供を一律義務化せず FDA 21 CFR50と2023年IC指針が補償・医療の可用性等の事項を同意書で開示することを要求(補償の提供ではなく、提供有無と内容の透明化を義務付けるもの) Common Ruleも情報開示は求めるが補償義務は規定しない	CTRにより被験者補償(保険等)が求められるが、補償内容はEUで統一されていない 各EU加盟国の国内法および倫理審査の運用に委ねられる	CTIMP実施時、被験者損害に備えスポンサーが補償・賠償責任体制を整備することが重要で、ABPI補償ガイドラインに沿う運用が一般的 補償内容は事前に明確化し、被験者説明文書で開示する non-CTIMPでもリスクに応じ補償整理が必要で、特にNHS環境では既存の補償スキームや追加保険の要否を研究ガバナンスの観点から確認する必要がある
安全性情報報告	・GCP適用試験：治験依頼者/自ら治験を実施するものにSAE/SUSAR等を所定の期限内に規制当局へ報告することを義務づけ ・臨床研究法適用試験：予測不能のSAEは研究責任医師が所定の期限内にPMDAへ報告 ・倫理指針下の研究：当局への直接報告義務はなく、製品仕様の場合は製販業者へ共有し、薬機法68条の10に基づき市販後報告する	IND下は21 CFR 312.32によりスポンサーが所定の期限内にFDAへ迅速報告 責任医師は312.64/312.66に従い、スポンサー/IRBへの迅速報告を行う IND免除のBA/BE試験では重篤かつ予期しない事象をFDAへ報告、他のIND免除は312.32対象外でIRB中心となり56.108(b)に従い対応される	CTR適用試験では、CTRにてSUSARの迅速報告および年次安全性報告が義務付け 提出はEudraVigilanceを通じて電子的に実施し、各EU加盟国規制当局で共有する 安全性管理は試験リスクに応じた運用(risk-proportionate)が認められ、試験特性に応じて合理化または強化される	CTIMPでは被験者安全確保のため、Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations等に基づき、SUSARの迅速報告やDSURの定期報告を含む安全性情報をスポンサーがMHRAへ提出する義務がある non-CTIMPは原則対象外だが、研究内容に応じRECや施設規程に基づく安全性管理・報告が求められる
個人情報保護	・GCP適用試験：医薬品GCPではプライバシー保護を規定し、被験者識別コードで記録・報告することで、個人特定情報を開示しないよう示されている ・臨床研究法適用試験：特定臨床研究では守秘義務を法定し、統一様式では対象者識別コードを使用する ・倫理指針下の研究：個人情報の基本規定が示されている 個人情報・仮名加工・匿名加工・個人関連情報の定義が活用され、個人情報保護法と整合が取られている	FDA規制下の試験は21 CFR 50/56で同意・IRB審査必須 機密保持の記載や個人情報の取り扱いはIRBが確認 個人識別可能な健康情報(PHI)を扱う場合は患者のHIPAA認可が必要(45 CFR 164) 認可免除の場合、IRB等承認されたデータ保護措置が必要 匿名化・限定データセット＋データ利用契約(DUA)等も規則で整備されている	CTRの適用対象か否かを問わず、臨床研究全般にGDPRが適用 個人データ(健康情報等を含む)の処理については、法的根拠、利用目的、データ最小化、被験者への情報提供、セキュリティ管理、域外移転管理等が求められる CTR適用試験では、ICFを通じたデータ取扱いの説明が必須となる	CTIMP・non-CTIMPともに個人データの処理にはUK GDPR、Data Protection Act 2018、Data(Use and Access) Act2025が適用 CTIMPではスポンサー等が適法性根拠やアクセス管理、国外移転管理を含む体制を整備し、被験者への透明性を確保することが求められる Non-CTIMPのうち、特にNHSデータ利用研究では、機密性確保と利用目的限定の厳格な説明・管理が重要となる

情報公開	薬機法にてjRCTへの登録が ・GCP適用試験：義務 ・臨床研究法適用試験： 特定臨床研究→義務 非特定臨床研究→努力義務(多くの実施機関では「登録必須」としている) ・倫理指針下の研究： 介入研究→指針上の義務 非介入試験→努力義務(登録を推奨) jRCT登録義務あり	FDA規制対象の医薬品・生物製剤の臨床試験(Phase 2以降が中心)は ClinicalTrials.gov への登録および結果公表が義務 FDA規制試験はClinicalTrials.gov登録必須	CTR適用試験では、CTISへの試験登録および結果公開が義務付け 試験終了後に、結果概要および一般向け要約(layperson summary)を公開する CTR適用対象外の研究は原則としてCTIS登録・結果公開義務は適用されない	CTIMPではISRCTN等の公的データベースへの事前登録および結果公開が求められる HRAは倫理要件として登録を重視し、MHRAガイダンスに基づき計画的実施が重要 Non-CTIMPでも研究登録・結果公開は研究ガバナンス上重要で、倫理審査を踏まえ適切な公開方針を定める必要がある CTIMP・Non-CTIMPとも公的レジストリ登録が重視される The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations2025の改正により、CTIMPに対して研究の透明性要件(公的レジストリ登録を含む)が義務化
データ等の電子化	厚労省ER/ES指針 紙と同等の真正性・完全性・監査証跡等を電子データに要求する 電子化された試験データ全般に適用 特定臨床研究/倫理指針下の研究は義務外だが、実施機関の内部規程で参照・要求される場合がある	医薬品臨床試験のデータ電子化は21 CFR Part 11が中核 電子記録・電子署名の真正性・完全性・監査証跡等を規定し、EDC/eCRF等の規制記録に適用	CTRは電子化を前提とした枠組みであり、実務運用はICH-GCP(ICH E6)に基づき管理 電子システムはバリデーション、アクセス管理、監査証跡等による信頼性の確保と、原資料の特定やALCOA+に基づく完全性が求められる 電子署名についてはeIDAS規則が適用される	MHRAのEHRガイダンスおよびICH-GCPに基づき、電子化医療記録は試験を忠実に再構築できる完全性・整合性が必須とされる 電子システムは適切に設計・バリデートされ、アクセス管理も求められる 電子署名は要件を満たせば有効とされ、MHRA・HRAガイダンスで信頼性確保の要件が定められている

医療機器	日本	米国	EU	英国
法規制の階層構造	（法的拘束力あり） 憲法> 法律（薬機法）> 政令> 省令（GCP省令） （法的拘束力なし） 告示・通知・ガイドライン> ガイダンス 法的拘束力のある省令で臨床試験手順が細かく規定	（法的拘束力あり） 連邦法（FD&C Act, 法規制の最上位）> 連邦規制（CFR, 法律を実装する規制）> （法的拘束力なし） ガイダンス文書（FDA Guidance Documents, 実務運用の基準）	（法的拘束力あり） Regulation（MDR）> Directive> （法的拘束力なし） MDCG guidance	（法的拘束力あり） 議会制定法（MMDA）> 法定文書（UK MDR）> （法的拘束力なし） MHRA等のガイダンス > 倫理審査（REC）関連指針 北アイルランド（NI）ではEU MDRが適用される等、地域によって要件が異なる
規制当局	厚生労働省：法規制の制定主体 PMDA：審査の実施主体	FDA（Food and Drug Administration）：規制と審査の主体 └CDRH（Center for Devices and Radiological Health）：医療機器の審査を担当	EC（European Commission）:法規を制定 各加盟国規制当局（Competent Authorities）：治験の承認・運用 各加盟国 CA が承認権限を持つ分権型	MHRA（Medicines and Healthcare products Regulatory Agency）：規制・審査主体
製造販売承認申請を目的とした臨床試験	「治験」として薬機法に基づき医療機器GCP省令の遵守が必須、ISO14155は整合の参照規格	（特にClass III機器のPremarket Approval）PMAに耐える高品質エビデンス創出が必須で、臨床実施規則（IDE/IC/IRB/電子記録）と申請規則（PMA要件）を明確に分けて遵守	（CEマーキング） MDR/IVDRを最上位規制として臨床試験を統一しつつ、実務は加盟国CA・倫理委員会の承認で運用され、MDCGガイダンスにより要求事項が具体化	製造販売申請の有無にかかわらず、未承認・適応外使用など安全性・性能評価を目的とする「clinical investigation」は UK MDRの規制対象
製造販売承認申請を目的としない臨床試験	臨床研究法または倫理指針が適用される領域で、未承認／適応外使用や企業資金提供がある場合は特定臨床研究として法的義務（届出・CRB審査・モニタリング・COI管理）が発生 該当しない研究は倫理指針の対象となる	安全性・有効性評価を行う臨床試験は原則 IDE（21 CFR 812）に基づき、SRはFDA IDE承認、NSR は IRB 承認の略式IDE、Exempt はIDE免除というリスクベース規制が適用	安全性・性能評価を行う体系的研究はMDRのclinical investigationに該当すればArt. 82（other clinical investigations）が適用され、Art. 62の被験者保護要件と加盟国追加要件（届出等）を遵守	未承認機器または承認済機器の目的外使用で安全性・性能を評価する体系的試験はUK MDRのclinical investigationとして扱われる
クラス分類	I/II/III/IV	I/II/III 分類がそのまま提出ルート（510(k)、De Novo、PMA）と直結	Ⅰ/Ⅱa/Ⅱb/Ⅲ	I/（Is/Im）/IIa/IIb/III
体外診断用医薬品の定義	専ら疾病の診断に使用されることが目的とされている医薬品のうち、人又は動物の体に直接使用されることのないもの	疾病その他の状態の診断、健康状態の判定等を目的として、ヒト由来検体（採取・調製・検査）に使用される試薬・機器・システム	ヒト由来検体をin vitroで検査し、生理・病態、遺伝的素因、治療反応性等に関する情報を提供することを目的とする試薬・機器・装置・システム・ソフトウェア等	医療機器の一類型で、ヒト検体を in vitro で検査して診断・安全性・治療モニタリング情報を提供する目的の試薬・キット・機器等
体外診断用医薬品で実施される試験	人体非侵襲の特性から、残余検体/バイオバンク/前向き収集検体を用いた臨床性能試験で承認申請エビデンスを構築（GCP適用外）	医療機器として扱い、臨床試験（臨床性能評価）の要否はIDE（21 CFR Part 812）等の医療機器一般の枠組みで判断 必要に応じた臨床性能試験（前向き・残余検体・ブリッジング等）でエビデンスを整える	医療機器規則 IVDRの下で規制され、臨床性能試験はChapter VIに従って実施 試験の設計・実施・記録・報告、ならびに所管当局への申請・承認と倫理審査が必要 （一部の類型では所管当局への通知のみで実施可能な場合も）	「性能評価用機器」として事前に適合性表明とMHRA 登録を行った上で、UK MDR 2002 Part IV に基づく性能評価研究として実施
体外用診断医薬品の副作用報告	医薬品扱いで副作用報告が求められるが、人体へ直接使用されないため「副作用」の概念と整合しにくい問題がある	医療機器として扱われ、医療機器のMDRに基づき、死亡・重篤傷害・再発時に重篤化し得る不具合（malfunction）等を報告する	IVDR Article 76に基づき、SAE（serious adverse event）やdevice deficiency（DD）等の安全性報告が義務付け	UK MDR 2002 Part 4A に基づき、重篤インシデントをMHRAへMOREで迅速報告（2日／10日／15日） NI：EU IVDR基準で報告
国や規制当局による臨床試験の実施の承認	治験は治験計画届が必須（免除制度なし） 特定臨床研究はCRB承認＋jRCT登録 倫理指針研究は国への届出不要 届出制（治験計画届）であり、当局承認ではない	SR機器はFDAのIDE承認が必須 NSR機器はIRB 承認＋略式IDEで開始可 IDE試験は21 CFR 812の義務（監視・報告等）を遵守	MDRに基づき、臨床試験は加盟国当局の承認＋倫理審査が必須 未承認機器だけでなく新用途の CE 機器にも適用	試験開始60日前までにMHRAへ通知し承認を取得 REC の倫理審査も必須 申請・改訂・報告はIRASを通じて実施 NI：MHRA による authorisation（許可）が必要
ISO 14155への適合	治験ではプロトコル・機器概要書・試験報告書作成時にISO14155の参照を規定 臨床研究（国際共同試験）ではISO14155準拠が求められる場合がある 明確に法規で参照を規定している	臨床試験は21 CFRが法的基準で、ISO14155 はFDAの認識規格として参考利用はできるが、必須要件ではない	MDRが法的基準 ISO14155は実務標準として広く参照されるが、MDRの法的要件を置き換えるものではない	法的義務ではないが、MHRAが審査で ISO14155と整合した設計・文書・運用を事実上前提としており、実務上は準拠が必須に近い
ECやIRBでの実施の承認	準拠法ごとに委員会（IRB／CRB／EC）と審査要件が異なるが、いずれも委員会の承認＋実施医療機関長の許可で試験開始 法体系ごとに異なる委員会が存在する	FDA規制下の試験は、IRB承認＋適切なインフォームドコンセントが必須	MDRでは、臨床試験開始に規制当局の承認と ECの倫理審査承認の双方が必須 ECは加盟国ごとの制度で運営され、EC承認がなければ試験は開始できない	MHRAへの届出審査とRECの倫理審査を並行してIRASから申請し、MHRAの「異議なし」通知と RECの肯定的意見の両方を得て試験開始 効率的な同一ポータルによる並行審査
利益相反	GCPではCOI管理の明確義務なし（委員会判断） 臨床研究法はCOI管理を法的義務化 医学系倫理指針でもCOI管理を求めるが指針ベース	21 CFR Part 54により、研究者の財務的利益の開示をスポンサーに義務付け、申請時にFDAへ報告することを求める 研究者個人の財務情報を法規で明確に要求する	MDRは当局側のCOI排除と独立性を明確に規定 研究者側は利益申告が必須だが、具体的な管理は倫理委員会や国内法・ISO14155に委ねられる 審査側のCOI排除を法規で強く規定する	当局側は審査者の独立性確保のため明確な内部COI方針を制度化し公開 研究者のCOI管理は主に倫理審査（REC）が担保
同意説明・同意取得・多言語化	GCPは厳密な同意説明を規定（COI・資金源の説明義務なし） 臨床研究法は厳密な同意説明を規定（COI・資金源の説明義務あり） 医学系倫理指針は研究内容に応じた多様な同意形式を認める いずれも多言語化規定なし 法体系ごとに同意の仕組みが異なる	同意取得は21 CFR Part 50で法的義務 被験者が理解できる言語で提供することが必須で、多言語化が求められる 明確に多言語化を法的義務化	MDRで同意取得要件が明記され、ISO14155 に整合した倫理原則の下でECが審査 言語要件は加盟国法に従う（被験者が理解できる言語で説明すること）	RECで同意説明文書・同意取得手続の妥当性が審査＋MHRAも申請資料としてPIS/ICFを要求 （被験者が理解できる言語で提供） 多言語化は必要性に応じ倫理審査の中で判断
被験者補償	GCP・臨床研究法は被験者補償を準備する義務を明確に規定 倫理指針は侵襲研究のみ補償準備を求める 制度設計は業界ガイドラインに大きく依存	21 CFR Part 50で同意文書に補償の有無・範囲・治療の提供の有無を明確に記載することが義務付け 補償制度の内容そのものは義務化されていない	MDR Article 69により、加盟国は臨床試験のリスクに見合った補償（保険・保証等）制度を整備することが義務 補償内容は加盟国法で異なる	MHRAは申請時に保険・補償証明を必須とし、RECも被験者保護の観点から補償体制の妥当性を審査する 補償内容を直接定めた法令はない NI：EU MDRの補償要件準拠
規制当局への安全性情報報告	GCP・臨床研究法では、未承認医療機器に関する死亡・重篤障害・不具合等を 7日／15日／30日で報告義務あり 倫理指針研究では当局報告義務はなく、製造販売業者が薬機法に基づき報告	IDE下の臨床試験では、スポンサーがUADEなどをFDAと IRBに期限内報告し、重大逸脱・変更も報告義務あり	MDRにより安全性報告が法的義務となり、MDCG 2020-10/1が AE/SAEなどの分類と報告手順・期限・経路を具体化 スポンサーは迅速報告と定期報告を加盟国当局へ実施	UK MDR＋MHRAガイダンスにより、スポンサーは 臨床試験中のSAE/SADEやデバイス不具合等を迅速に報告する義務あり 報告はMORE（オンライン報告システム）を通じて行う NI：EU MDR/IVDRの基準で報告
被験者情報保護	個人情報保護法が基本枠組み GCP・臨床研究法・倫理指針はいずれも被験者秘密保護と識別コード化（匿名化）を必須とする	FDA規制下の試験では、Part 50/56に基づき IRBが個人情報保護を審査 PHIを扱う場合はHIPAA Privacy Ruleが適用 （患者同意またはIRB/Privacy Boardの Waiverによる保護措置が必須）	GDPRが個人データ保護の基盤規則 健康情報は原則禁止データで、明示的同意または研究目的例外でのみ処理可 MDRとISO14155が運用上の保護要件を補完	UK GDPR、Data Protection Act 2018、Data (Use and Access) Act 2025が個人データ・健康データ保護の基盤 HRAの指針の下で個人データの適法処理と安全措置が求められる

臨床試験実施データの開示	GCP・臨床研究法・倫理指針（介入研究）ではjRCTへの登録が義務 倫理指針（観察研究）では公開が努力義務（UMIN-CTRへの登録も可）	FDAAA 801／42 CFR Part 11により、ACTはClinicalTrials.govへの登録と結果公表が法的義務 登録は被験者登録後21日以内、結果は主要評価項目完了から12か月以内 登録・結果公表の法定期限がある	MDRに基づき、EUDAMEDに登録・公開（EUDAMEDは段階導入中）	医療機器専用の中央レジストリはなく法的義務も限定的 HRAは倫理審査条件としてClinicalTrials.gov・ISRCTN等の一般レジストリへの登録と結果公開を推奨
データ等の電子化	ER/ES指針（電磁的記録・電子署名の運用基準）は治験のみ対象 対象が治験に限定される	21 CFR Part 11が電子記録・電子署名の要件を規定し、EDC・eCRF・電子署名・監査証跡などの電子データを紙と同等の信頼性で管理することを義務付け 強く明文化された電子データ規制を持つ	電子記録はISO 14155によりバリデーション・監査証跡・アクセス管理・ALCOA++などのデータ完全性要件が具体化 電子署名はeIDAS規則によりQES（適格電子署名）が手書き署名と同等の法的効力を持つ	電子記録は試験の完全な再構築性とアクセス管理を満たす必要があり、MHRA/HRA基準に適合する信頼性のある電子署名が認められている NI：EU MDR/IVDR＋EU GDPR準拠

日本における医薬品の臨床試験の法規制

作成日：2026 年 2 月 20 日

第 1 章：日本における医薬品の臨床試験を取り巻く規制

1. 法規制の階層構造

1-1. 法体系

日本の法体系は、効力の強さに応じて階層的な構造を持っています。最も上位に位置するのは憲法であり、これは国の最高法規として、すべての法律や命令は憲法に従わなければなりません。その下には国会で制定される法律があり、国民全体に適用される基本的なルールを定めています。法律を具体的に運用するために、内閣が定める政令が置かれ、さらにその下には各省庁の大臣が定める省令があります。省令は、法律や政令で定められた事項をさらに詳細化し、実務で必要な手続きや基準を規定します。

これらの法令の下には、行政機関が発出する告示、通知、ガイドラインがあります。これらは法的拘束力を持たない場合が多いものの、実務上は重要な役割を果たし、法律や省令の解釈や運用を補足します。さらに、地方公共団体が制定する条例や規則も存在し、国の法令に反しない範囲で地域に適用されます。このように、日本の法体系は「憲法 → 法律 → 政令 → 省令 → 告示・通知・ガイドライン → 条例、規則」というピラミッド構造を形成しており、上位の法規に反する内容は無効となります。この階層構造によって、法の整合性と秩序が保たれています。

本調査の対象は規制当局（厚生労働省、医薬品医療機器総合機構（Pharmaceuticals and Medical Devices Agency、PMDA））が発出した法令、政令、省令、ガイダンス、通知に限ります。学会指針や業界団体の自主基準など、規制当局以外が作成した文書は本調査の対象外とします。

1-2. 規制当局

日本における規制当局の概要は以下の通りです。

厚生労働省：

日本政府の中央省庁の一つであり、医療・公衆衛生・労働・福祉など幅広い分野の政策立案と実行を担っています。医薬品規制においては、医薬局を中心とする各部局が薬機法に基づく制度設計や行政通知の発出、承認に関する最終判断などを行い、日本における医薬品等の規制の最終責任を負

います。臨床試験に関連する領域では、治験・臨床研究の推進、治験環境整備、研究開発政策などを担当する部局が、制度面および政策面の整備を担っています。これらの役割により、厚生労働省は日本の臨床試験制度の根幹を形成し、規制の方向性と最終的な行政判断を統括する行政機関として位置づけられています。

PMDA：

薬機法および厚生労働省の施策に基づき、医薬品・医療機器・再生医療等製品の科学的審査、安全対策、健康被害救済などを担う専門機関です。臨床試験に関しては、治験計画届や治験中に発生した副作用・不具合の受理を行い、その情報を厚生労働省に報告するほか、治験開始前の相談支援や審査に向けた科学的検討を実施します。さらに、承認審査を行う中心的な技術機関として、臨床試験データの評価、適切な効能・用法設定、安全対策に関する判断の基礎を提供します。これによりPMDA は、治験データに基づく科学的評価を担う専門機関として、厚生労働省の最終判断を支える役割を果たしています。

2. 医薬品の臨床試験に適用される規制

日本の臨床試験に関する法規制の最も上位にあるのは「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」であり、薬機法に基づき、内閣が定める政令が運用の詳細を補足し、その下に厚生労働省が定める省令が位置します。医薬品の臨床試験に適応される規制とその概要について列挙します。

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（昭和 35 年法律第 145 号）［最新改正：令和 7 年 5 月 21 日公布］：

医薬品・医療機器・再生医療等製品の品質、有効性、安全性を確保することを目的とした日本の基本法制です。製品の承認制度、製造販売業の許可、臨床試験の実施基準、市販後安全対策など、研究段階から上市後まで一貫した規制枠組みを定めています。臨床試験に関しては、規制下で実施される医薬品の治験に関するルール（医薬品 GCP 省令準拠）を定め、科学性・倫理性・被験者保護の担保を求めています。以下、薬機法と記載します。

臨床研究法（平成 29 年法律第 16 号）［最新改正：令和 7 年 2 月 28 日公布、令和 7 年 5 月 31 日施行］：

医薬品の治験以外の「臨床研究」を対象として、研究の透明性確保、倫理性の担保、利益相反管

理、安全性確保を目的に制定された法律です。特に、特定の医薬品等に関する臨床研究（特定臨床研究）に対し、認定臨床研究審査委員会による審査、研究計画の届出、モニタリング・監査、利益相反情報の適切な管理などを義務づけています。研究不正防止や情報公開義務も規定し、信頼性の高い臨床研究実施を制度的に支えています。

再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号）［最新版：令和 6 年 6 月 14 日公布、令和 7 年 5 月 31 日施行］：

再生医療等（細胞加工製品、細胞治療、遺伝子治療等）を安全に提供するための枠組みを定める法律で、リスクに応じた分類制度、提供計画の届出、審査、細胞加工施設の許可・管理基準等を規定しています。臨床研究段階の再生医療等技術についても適切な安全管理と倫理審査を求め、市販前の研究であってもリスクに応じた規制を課すことで、被験者・患者の安全と技術開発の両立を図っています。

政令（薬機法に基づく施行令）：

薬機法の委任を受けて、法律で定める事項の具体的内容や適用範囲を規定する政令です。治験に関する制度や医薬品分類、許可制度、市販後安全対策など法律の運用に必要な詳細事項を定め、薬機法の実効性を担保する役割を果たしています。

医薬品 GCP 省令（平成 9 年厚生省令第 28 号）［最新改正：令和 7 年 4 月 1 日施行］：

治験（医薬品の臨床試験）を実施する際に遵守すべき倫理的・科学的基準を定めた省令です。被験者の人権・安全の保護、治験の科学的妥当性、データの信頼性確保を目的とし、治験責任医師・治験依頼者（製薬企業）・治験審査委員会（Institutional Review Board, IRB）等の役割や手続きを明確化しています。国際的な ICH-GCP の考え方を基本としつつ、日本国内での運用に必要な事項を規定しています。

厚生労働省および PMDA によるガイダンスならびに通知：

薬機法や医薬品 GCP 省令等の解釈・運用を補足し、実務レベルでの具体的な指針や注意点を示す文書です。治験の企画、実施、データ取扱い、電子システム対応、有害事象報告、市販後の安全対策など幅広い分野で、最新の科学的知見や国際動向を反映した実務上の判断基準を示すことで、研究の質と安全性を高める役割を担っています。

ICH ガイドライン（国際的なガイドライン）：

日米 EU の医薬品規制当局および製薬産業界が共同で策定した、医薬品開発を対象とする国際的に

調和された倫理・科学基準です。被験者の保護とデータの信頼性確保を中心に、臨床試験計画、モニタリング、品質マネジメント、文書管理、IRB 審査などに関する包括的な要件を定めています。日本の医薬品 GCP 省令も ICH E6(GCP)を基礎としており、医薬品開発の国際調和に不可欠な指針となっています。

3. 対象となる規制を検討するための分類

日本で介入を伴う医薬品の臨床試験を実施する際、その対象となる規制・ガイダンスを検討するには様々な分類が考えられます。臨床試験における「介入」の定義は一律に法令で定められていませんが、「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（以下、倫理指針）において、研究目的で人の健康に影響を与える要因を意図的に制御する行為を「介入」としています。以降はこれを前提として、適用される規制を整理しています。

3-1. 製造販売承認申請を目的とした治験に適用される規制

製造販売承認申請を目的とする臨床試験（治験）は、日本の薬機法と医薬品 GCP 省令に基づいて実施されます。薬機法は、医薬品の製造販売承認を得るための法的要件を定めており、治験依頼者は厚生労働省に治験届を提出する義務があります（第 80 条の 2）。治験薬の管理（第 80 条の 2 第 1 項）、治験責任医師の選任（第 80 条の 2 第 1 項）、試験の安全性確保（第 68 条）が法的に求められ、違反時には行政処分や刑事罰が科される可能性があります（第 72 条および第 75 条、第 83 条～第 91 条）。

医薬品 GCP 省令は、治験の品質と信頼性を担保するための詳細な基準を定めています。治験依頼者はモニタリングおよび監査を実施し（GCP 省令第 3 条）、治験責任医師は被験者からのインフォームド・コンセント取得（GCP 省令第 4 条）、症例報告書の作成（GCP 省令第 26 条）、記録の適切な保存（GCP 省令第 28 条）を行う義務があります。倫理審査委員会による事前審査は必須であり（GCP 省令第 5 条）、治験終了後の記録は原則 5 年間保存しなければなりません（GCP 省令第 28 条）。これらの規制は、承認申請に用いるデータの科学的妥当性と倫理性を確保するために不可欠です。

「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」は、日本国内で実施されるすべての人対象研究に適用されます。ただし、他の法令や指針の適用範囲に含まれる研究は対象外とされてい

ます。具体的には、薬機法に基づく治験（製造販売承認申請目的の臨床試験）は医薬品 GCP 省令の適用を受けるため、倫理指針の直接適用外となります。

3-2. 製造販売承認申請を目的としない臨床試験に適用される規制

製造販売承認申請を目的としない臨床試験は、臨床研究法（第 2 条、第 4 条、第 6 条、第 9 条、第 12 条）と倫理指針の適用を受けます。臨床研究法は、医薬品を用いた臨床研究の透明性と信頼性を確保するために制定され、特定臨床研究（第 2 条第 3 項：企業資金提供や未承認薬または適応外使用を含む研究）に該当する研究には研究計画の届出義務があります（第 4 条）。さらに、利益相反の管理（第 6 条）、モニタリング・監査の実施（第 9 条）、研究計画の公開（第 4 条）が義務付けられています。違反した場合には、刑事罰や行政処分が科されることがあります（第 12 条）。

3-3. 新規モダリティに適用される法規制

新規モダリティ（核酸医薬、遺伝子治療薬、細胞医薬等）を対象とした臨床試験に対して適用される法規制は、製品の種類そのものではなく、製造販売承認申請を目的として実施されるか、それ以外の形で実施されるかによって異なります。製造販売承認申請を目的とする場合は治験として位置づけられ、薬機法と医薬品 GCP 省令が適用されます。一方、治験ではない臨床研究として実施される場合には臨床研究法が適用され、特定臨床研究に該当する場合には、認定臨床研究審査委員会の承認および厚生労働省への届出が義務付けられます。

次に、対象が再生医療等製品に該当するか否かにより、適用される法規制が分岐します。再生医療等製品は、薬機法において「人又は動物の細胞に培養等の加工を施したものであって、身体の構造又は機能の再建、修復若しくは形成を目的とするもの、又は疾病の治療若しくは予防を目的として使用されるもの」、ならびに「遺伝子治療を目的として人の細胞に遺伝子を導入して使用されるもの」と定義されています。この区分に該当し、かつ製造販売承認取得を目的で実施される場合は、医薬品 GCP 省令ではなく、再生医療等製品の臨床試験の実施の基準に関する省令（再生医療等製品 GCP 省令）が適用されます。 また、再生医療等製品は製造工程が品質特性に直結しやすいため、再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令（GCTP 省令）に基づく管理が重要になります。

一方で、再生医療等について製造販売承認申請を目的とせず、医療として提供される臨床試験では、再生医療等の安全性の確保等に関する法律が適用され、提供計画の提出や委員会審査等を通じてリスクに応じた安全性確保が求められます。

また、新規モダリティでは、治験または臨床研究といった試験区分にかかわらず、製品特性に応じて追加的な規制やガイドラインへの対応が求められます。

核酸医薬では、化学構造や分解特性が従来の低分子医薬品と大きく異なることから、品質管理および安定性評価について、ICH Q8（製剤設計）、Q9（品質リスクマネジメント）、Q11（原薬製造）等の ICH 品質ガイドラインを踏まえた原材料管理、不純物プロファイル、分解物評価などの追加対応が求められます。

遺伝子治療では、ウイルスベクター等の安全性評価や遺伝子導入に伴う長期的リスク管理が重要となるため、PMDA／厚生労働省が示す「遺伝子治療用製品の非臨床試験の実施に関する指針」等の国内指針や、ICH S6(R1)、M3(R2) 等の関連ガイドラインを参照し、非臨床段階での生体内分布評価や、臨床試験における長期フォローアップ計画が必要となります。

細胞医薬では、原材料である細胞の由来管理や製造工程管理、製造管理・品質管理が重要となり、GCTP 省令等を踏まえた対応が求められます。また、製造ロット間の同等性評価や工程変更時の影響評価については、ICH Q8、Q9、Q10、Q11 等の ICH 品質ガイドラインの考え方を参照します。

3-4. 臨床研究法に該当しない研究に適用される倫理指針

承認された医薬品を承認された用法・用量の範囲内で使用し、企業による資金提供がなく、かつ研究目的で「著しい負担を伴う検査」等を追加しない臨床試験は、臨床研究法の規制対象には該当しません。このような研究は、通常診療の範囲内で行われる介入や観察、あるいは既存の診療情報を用いた研究が中心となり、いわゆる「観察研究」や低リスクの前向き研究が含まれます。

これらの臨床研究は、法規制ではなく「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」に基づいて実施されます。倫理指針は、対象者の権利保護や個人情報の適切な取り扱い、インフォームド・コンセントの取得方法、研究計画の妥当性、倫理審査委員会の承認手続きなど、研究を倫理的に実施するための基本的な枠組みを示すものです。倫理指針は法令ではありませんが、国内の医学系研究に広く適用される標準的な規範として位置づけられています。

3-5. 複合製品（コンビネーション製品）の臨床試験に関する規制

日本では、医薬品・医療機器・再生医療等製品の複数を組み合わせた製品について、薬機法上の個別の製品定義に基づきつつ、厚生労働省および PMDA の通知・ガイダンスにより「コンビネーション製品」として整理されており、薬剤溶出ステント、プレフィルドシリンジ、デバイス一体型投与

製品などが該当します。主たる効能・効果（または主たる機能）に基づき、医薬品・医療機器・再生医療等製品のいずれとして扱うかを PMDA が判断します。これらの取扱いは、厚生労働省通知「コンビネーション製品の承認申請における取扱いについて」をはじめとする関連通知・ガイダンスにより整理されています。

コンビネーション製品の臨床試験では、主たる作用に応じて適用される法令および実務対応が決定されます。すなわち、主作用が薬効である場合は医薬品としての臨床試験（薬機法・医薬品 GCP 省令の枠組み）、主作用が機械的／構造的である場合は医療機器としての臨床試験（医療機器規制の枠組み）、主作用が細胞等の効果である場合は、薬機法上の再生医療等製品としての臨床試験の枠組みが適用されます。申請・審査は PMDA の該当部門が主体となり、必要に応じて部門横断的な協働審査が行われます。

抗体薬物複合体（ADC）は、通常「薬理作用が主」と判断され医薬品として扱われます。一方、薬剤溶出ステントなどデバイスが主作用を担う製品では医療機器としての臨床試験が求められますが、薬剤部分についての安全性や放出特性等の評価が併せて実施されます。

3-6. 第 I 相試験（First-In-Human, FIH/early phase）

第 I 相試験は、被験薬の安全性・忍容性・薬物動態（必要に応じて薬力学）を初期に確認し、後続する相での用量設定とリスク管理の基盤情報を得るための試験です。販売承認申請を目的とした治験として実施する場合は、薬機法および医薬品 GCP 省令の適用を受け、治験依頼者・実施医療機関によるモニタリング、被験者保護、データの信頼性確保が求められます。

FIH/early phase では、厚生労働省通知「ヒト初回投与試験の安全性確保ガイダンス」が実務の基本となり、初回投与量設定、用量漸増、投与中止基準、有害事象モニタリング、適切な施設体制・人員など、安全性確保の要点が具体化されています。また、治験計画届出時における初回ヒト投与薬物の非臨床安全性試験の取扱いについては、同通知に基づき、PMDA が Q&A 等を通じて実務上の考え方を明確化しており、FIH 届出時の非臨床パッケージの明確化が図られています。

近年の国際共同開発の加速を受け、厚生労働省通知「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第 I 相試験の実施に関する基本的考え方について」および PMDA の Q&A 等が公表されています。これらにおいて、原則として海外で初期臨床開発が進んでいる医薬品については、個別の安全性評価や民族差の影響を勘案した判断のうえで、日本人対象の追加の第 I 相試験の実施は不要とする基本的考え方が示されました。

3-7. 希少疾病用医薬品（Orphan Drug）を対象とする試験

日本における Orphan Drug の臨床試験は、薬機法および 医薬品 GCP 省令に基づき実施されるとともに、希少疾病用医薬品指定制度が活用されます。同制度は、本邦における対象患者数が 5 万人未満であり、かつ医療上特に必要性が高い医薬品等を Orphan Drug として位置づけ、厚生労働大臣が薬事・食品衛生審議会の意見を踏まえて指定する制度です。オーファン指定そのものは承認を保証するものではありませんが、指定を受けることで、 優先審査、PMDA による優先的対面助言、申請手数料の減額、再審査期間の延長、研究助成、税制優遇などのインセンティブが付与されます。そのため、臨床開発の早期段階でオーファン指定を取得することが一般的です。

症例数が限られる希少疾患領域では、小規模試験や単群デザイン、過去の臨床データ等を比較対象として用いる試験設計、国際共同治験の利用など、柔軟な試験設計が認められています。また、近年は超希少疾患等において、日本人症例の追加試験が実施困難な場合には、個別の科学的妥当性を評価した上で、国際試験データのみで承認判断を行う場合もあります。

3-8. 小児を対象とした試験

小児を対象とした臨床試験は、小児に適した用量・投与方法・有効性・安全性を確立するために実施されるものであり、成人以上の倫理的配慮と負担の最小化が求められます。製造販売承認申請を目的とする治験では、薬機法および医薬品 GCP 省令が適用され、保護者のインフォームド・コンセントと小児のアセント、採血量や手技の制限、長期的な安全性観察などが特に重視されます。

国際基準としては ICH E11「Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population」および補遺 E11(R1) が採択されており、年齢区分、倫理的配慮、試験デザイン、外挿・モデリング&シミュレーション、小児用の製剤設計など、小児開発に必要な基本原則が示されています。これらについて日本では、厚生労働省通知（医薬審第 1334 号）「医薬品の小児における臨床試験に関するガイダンスについて」により E11 が公式に導入され、また平成 29 年 12 月 27 日付け 薬生薬審発 1227 第 5 号通知「ICH E11(R1)『小児集団における医薬品の臨床試験』の補遺について」により E11(R1) が補遺として採択・周知されています。

3-9. 麻薬および向精神薬を臨床試験で扱う場合の規制

日本において、麻薬および向精神薬は「麻薬及び向精神薬取締法」に基づき厳格に規制されている。臨床試験において麻薬を含む被験薬を取り扱う場合には、実施医療機関が麻薬取扱者としての許可を受けていること、当該被験者を取り扱う医師が麻薬施用者免許を保有していることが必須です。また、麻薬および向精神薬の輸入・保管・使用・廃棄等については、厚生労働省（地方厚生局

麻薬取締部）による許可・届出と帳簿管理が義務付けられています。これらの規制に対応するため、臨床試験においても被験薬の厳格な管理体制が求められます。

第 2 章：日本における医薬品の臨床試験の規制に関する細目

本章では、日本で臨床試験を実施する際に必要となる主要な要素ごとに、関連する規制要件を整理します。

1. 国や規制当局による臨床試験の実施の承認

医薬品 GCP 省令：

薬機法第 80 条の 2 および関連する施行規則により、承認申請を目的とする医薬品の臨床試験（治験）を開始する前に、規制当局への治験計画届の提出が必要です。日本では、未承認・適応外の医薬品を用いて製造販売承認申請を目的とした臨床試験を行う場合、すべて薬機法上の「治験」として管理されます。

なお、日本においては治験目的で未承認医薬品の使用に関する手続きを簡略化する免除制度（例：IND 免除に相当する制度）は存在せず、治験を実施する場合は、治験届の提出が必須となります。

臨床研究法：

臨床研究法の対象となる研究では、研究の開始前に、認定臨床研究審査委員会（Certified Review Board, CRB）で審査および承認を受けた研究実施計画を厚生労働大臣に届け出る必要があります。この届出は、jRCT（臨床研究等提出・公開システム）に研究実施計画を登録することで、厚生労働大臣への届出がなされたものとみなされます。

倫理指針：

国や規制当局への申請、提出、承認などのプロセスは不要です。

2. IRB による臨床試験の実施の承認

日本においては、臨床試験を実施するにあたり、準拠する法令ごとに審査委員会の名称、委員会の要件、審査資料が異なることが特徴です。

医薬品 GCP 省令：

各実施医療機関が設置している、または実施医療機関と審査委託契約を結んだ IRB による審査を受け、承認を得る必要があります。IRB の審査結果を踏まえ、実施医療機関の長が治験の実施を許可した後に、当該医療機関での治験の実施が可能となります。

臨床研究法：

各実施医療機関が設置している、または実施医療機関と審査委託契約を結んだ CRB による審査を受け、承認を得る必要があります。CRB の審査結果を踏まえ、実施医療機関の長が試験の実施を許可した後に、当該医療機関での試験の実施が可能となります。

倫理指針：

各実施医療機関が設置している、または実施医療機関と審査委託契約を結んだ倫理審査委員会による審査を受け、承認を得る必要があります。倫理審査委員会の審査結果を踏まえ、実施医療機関の長が試験の実施を許可した後に、当該医療機関での試験の実施が可能となります。

3. 臨床試験における利益相反（Conflict of Interest, COI）

医薬品 GCP 省令：

医薬品 GCP 省令において、治験実施医療機関の要件や治験責任医師の要件の中で、治験を依頼する者との COI を説明する資料の作成は求められていません。医薬品 GCP 省令に基づく治験審査委員会の責務においても利益相反に関する資料提出は必須とは規定されておらず、個別の裁量に任されています。

加えて、治験を依頼する企業等は、業界団体が規定する透明性ガイドラインを遵守することで自主的に COI 管理を実施し、海外の規制等を参考に治験に参加する医師に自社の株式取得状況などを問い合わせることがあります。治験を実施する医療機関は、その医療機関の規定に基づき、自院に設置された COI の管理委員会による審査を自主的に受けることがあります。

臨床研究法：

臨床研究法は、過去の臨床研究で COI 管理の不備が指摘されたことを契機に、その適正管理を確保する目的で制定された法律です。そのため、COI 管理の方法（管理計画の策定等）や基準が厳密に規定されており、CRB で審査すべき資料にも COI 管理に関する情報が含まれています。

倫理指針：

倫理指針下で実施する研究においても、第 12 章にて「利益相反の管理」が明確に求められています。具体的には、研究計画書に「資金源その他の機関の研究に係る利益相反及び研究者個人の利益相反の状況」を記載することが定められており、倫理審査委員会は審査時に当該 COI 情報を含む研究計画書等を確認し、必要な措置を求めます。なお、法規制である臨床研究法と異なり、倫理指針は医学研究の適正な実施に資するための指針であることが特徴です。

4. 被験者への説明と同意取得、多言語化

医薬品 GCP 省令：

医薬品 GCP 省令では、同意説明文書に記載すべき事項が定められており、原則として本人から自由意思に基づく同意を取得すること等が厳密に定められています。医薬品 GCP 省令では、治験薬の性質、期待される効果、予測されるリスク、代替治療の有無などを明確に説明することが義務付けられていますが、資金源に関する情報や利益相反を被験者に説明する規定はありません。また、同意説明文書の多言語化に関する規定もありません。

臨床研究法：

臨床研究法では、医薬品 GCP 省令と同等の同意説明文書の規定、同意取得方法に関する規定が示されています。なお、被験者に対して利益相反の管理方法や資金源に関する情報を通知することが規定されている点が特徴です。同意説明文書の多言語化に関する規定はありません。

倫理指針：

医薬品 GCP 省令や、臨床研究法とは異なり、医薬品・医療機器を使用しない後ろ向き観察研究などの規定が記載されています。そのため、実施前の書面同意取得、口頭による同意ならびに診療録への記録、オプトアウトの活用など、研究の内容に合わせて様々な選択肢を取ることができます。なお、同意説明文書の多言語化に関する規定はありません。

計画している研究の内容や、侵襲の有無ならびに介入の有無等に伴って、取りうる同意取得の方法が異なるため複雑化していることも特徴です。

5. 被験者の補償

医薬品 GCP 省令、臨床研究法：

試験に起因する健康被害が生じた場合の補償の取扱いについて、試験実施前に方針および体制を定め、治験実施計画書等に反映するとともに、同意説明文書に明記することが求められています。一方で、補償額や算定基準は法令で一律には定められていないことから、医薬品企業法務研究会（医法研）等の業界ガイダンスを踏まえ、各試験の実施主体（治験依頼者や研究実施者等）が試験の特性に応じて決定することが一般的です。加えて、IRB や CRB は、試験の実施に際し被験者に対する補償方針および体制が適切に構築されていることを審査することが、各法令に基づき求められています。

倫理指針：

侵襲（軽微な侵襲を除く）を伴う研究であって、通常診療を超える医療行為を行う研究においては、医薬品 GCP 省令並びに臨床研究法と同様に医法研が示すガイドラインを参考に、適切な補償の取扱いを検討することが求められています。

一方で、後ろ向き観察研究等に代表されるように、研究に起因する健康被害が生じるおそれがない研究については、補償制度の準備は求められていません。また、通常診療の範囲内で実施される臨床研究においては、研究特有の補償制度を設けるのではなく、医療機関や企業が通常保持している補償制度を活用することが一般的です。

6. 安全性情報の規制当局への報告

医薬品 GCP 省令：

薬機法第 80 条の 2 および医薬品 GCP 省令に基づき、治験依頼者または自ら治験を実施する者は、治験において発生した SUSAR（Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction）について、未知かつ死亡または生命の危機に該当する事象は 7 日以内、未知かつその他重篤な事象は 15 日以内に規制当局へ報告する義務があります。

臨床研究法：

未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究において、当該研究の実施によるものと疑われる予測不能の重篤な事象が発生した場合、研究責任医師は臨床研究法第 16 条の 3 に基づき、厚生労働大臣に対して疾病等報告を行う義務があります。報告は jRCT を通じて行われ、報告期限は、死亡または生命の危機に該当する事象は 7 日以内、その他の重篤事象は 15 日以内とされています。

倫理指針：

倫理指針の下で実施される臨床研究では、研究実施者から規制当局へ直接的な迅速報告は義務付けられていません。この場合、研究実施者は製造販売業者等に対して安全性情報を提供します。製造販売業者は、当該情報に基づき、薬機法第 68 条の 10 に基づく安全管理義務の一環として当該情報を評価した上で、必要に応じて、同法第 68 条の 2 および関係省令に従い、副作用等報告として規制当局への報告や適切な安全対策を行います。

7. 被験者の情報保護（個人情報保護、個人ヘルスケア情報保護）

日本において被験者の個人情報保護は、医師等に課される守秘義務（刑法第 134 条）をはじめとする様々な法律によって規制されています。近年では、「個人情報の保護に関する法律」（個人情報保護法）に基づき、適切な管理が求められており、個人情報の定義、取得・利用、管理、第三者提供等について、より体系的かつ厳格な管理が求められています。なお、個人情報保護法は、臨床試験の実施に特化した法律ではなく、一般的な個人情報の取扱い全般に適用される枠組みです。

医薬品 GCP 省令：

医薬品 GCP ガイダンスでは、総則の原則（11）において、被験者の身元を明らかにする可能性のある記録について、被験者のプライバシーおよび秘密の保全に十分配慮して保護することが規定されています。また同ガイダンス第 2 条では、被験者の秘密を保護するため、各被験者に識別記号（被験者識別コード）を割り付けて管理することが定められています。さらに、第 47 条においては、治験依頼者に提供される報告書等のデータには、被験者識別コードを用いることを保証する旨が明記されています。

臨床研究法：

臨床研究法第 11 条では、特定臨床研究に従事する者または従事していた者に対し、研究対象者の秘密を漏洩してはならないことが明記されています。また、臨床研究法に基づき厚生労働省が示す統一書式においても「対象者識別コード」という表現が用いられており、被験者の個人情報はコード化された状態で報告されます。

倫理指針：

倫理指針の第 9 章「個人情報等、試料及び死者の試料・情報に係る基本的責務」では、個人情報の取扱いに関する基本的な考え方および責務が示されています。また、指針において用いられる個人情報関連の用語体系は、個人情報／仮名加工情報／匿名加工情報／個人関連情報と整理されており、個人情報保護法における定義と整合した形で運用されています。

8. 臨床試験実施データの開示（登録・結果公開）

日本における臨床試験登録は、Japan Registry of Clinical Trials（jRCT）が中心的役割を担っており、同制度は国際的な透明性の確保を目的として世界保健機関（WHO） の Primary Registry に承認されています。jRCT は、治験、臨床研究、再生医療等研究に関する情報を一元的に登録・公開する仕組みであり、患者や市民が試験情報にアクセスできる公的なデータベースとして機能しています。

医薬品 GCP 省令：

薬機法施行規則の改正（令和 2 年 8 月 31 日通知）により、当該改正以降に新たに開始される治験については、試験開始前に jRCT への登録が義務化されました。登録情報には、試験名称、治験区分、実施医療機関、進捗状況等が含まれ、登録後は情報が一般公開されます。

臨床研究法：

臨床研究法に基づく特定臨床研究（未承認薬・適応外使用・企業から資金提供を受ける研究等に該当する研究）についても、jRCT への登録が必須とされています。特定臨床研究の場合、認定臨床研究審査委員会（CRB）の承認後、試験開始前に登録する必要があります。臨床研究法の規定に基づき、特定臨床研究では実施計画を厚生労働大臣に提出する必要がありますが、jRCT への登録を行うことで当該届出がなされたものとみなされます。

倫理指針：

特定臨床研究に該当しない臨床研究のうち、介入を伴う研究に関しては倫理指針に基づき原則として jRCT への登録が求められています。ただし、人権や権利利益の保護等を目的とする場合であって、倫理審査委員会および研究機関の長が非公開とすることを許可した情報に限り、公開しないことが許容される規定が設けられています。それ以外の研究（観察研究等）についても、努力義務として研究情報の公開が求められています。

さらに、再生医療等安全性確保法に基づく再生医療等の提供計画についても jRCT に登録されます。これにより、再生医療等技術に関する研究・提供状況も社会に対して可視化される仕組みが整備されています。

公開される登録情報には、個人情報や企業の知的財産に関する情報は含まれませんが、試験内容の基本情報や進捗状況が公開されることで、研究の透明性と信頼性が高められています。

9. データ等の電子化に関する法規制

臨床試験の電子化が進む中、データの記録・署名・保存を電子的に行う場面は増加しており、従来の薬機法、医薬品 GCP、臨床研究法といった「試験実施」に関する法規制だけでは十分に整理できない領域が生じています。こうした電子化に伴うデータの信頼性を確保するため、日本では厚生労働省が ER/ES 指針（電子記録・電子署名に関する指針） を定めています。

ER/ES 指針は、電子的に保存・管理される臨床試験データが紙記録と同等の真正性・完全性・信頼性を備えることを求めるものであり、eCRF や電子日誌、モニタリング記録など電子化された試験

関連データ全般に適用されます。これは 医薬品 GCP 省令で求められるシステムバリデーションや改ざん防止、監査証跡の確保と整合しており、臨床試験の電子的運用を支える基盤的な指針と位置づけられています。

承認申請を目的としない特定臨床研究や倫理指針の下で実施される研究については、ER/ES 指針の遵守は法令上の義務とはされていません。ただし、電子記録の信頼性を確保する必要性は同様に求められるため、ER/ES 指針が実務上の参考として用いられることは多く、研究機関の内部規程や倫理委員会の判断により、 ER/ES 指針に準じた管理を求められる場合があります。

Appendix: 本要約中に引用された法規制・ガイダンス一覧（記載順）

1. 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（昭和 35 年法律第 145 号）［最新改正：令和 7 年 5 月 21 日公布］
   略称：薬機法
   https://laws.e-gov.go.jp/law/335AC0000000145
   （第 80 条の 2 、第 68 条、第 68 条の 10、第 72 条、第 75 条 等）

2. 臨床研究法（平成 29 年法律第 16 号）［最新改正：令和 7 年 5 月 31 日施行］
   https://laws.e-gov.go.jp/law/429AC0000000016

3. 再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号）［最新版：令和 7 年 5 月 31 日施行］
   https://laws.e-gov.go.jp/law/425AC0000000085

4. 政令（薬機法に基づく施行令）
   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施行令及び国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所法施行令の一部を改正する政令（令和 7 年政令第 357 号）
   https://laws.e-gov.go.jp/law/336CO0000000011

5. 医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 9 年厚生省令第 28 号）［最新改正：令和 7 年 4 月 1 日施行］
   略称：医薬品 GCP 省令
   https://laws.e-gov.go.jp/law/409M50000100028

6. 「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」のガイダンスについて［最新：令和 7 年 4 月 1 日］
   https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc9134&dataType=1&pageNo=1

7. ICH ガイドライン
   https://www.ich.org/page/efficacy-guidelines
   （E6、E11、Q8、Q9、Q10、Q11、S6(R1)、M3(R2) 等）

8. 人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 [最新：令和 5 年 3 月 27 日一部改正]

https://www.mhlw.go.jp/content/001077424.pdf

9. コンビネーション製品の承認申請における取扱いについて[最新：平成 28 年 11 月 22 日一部改正]
https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc2324&dataType=1&pageNo=1

10. 医薬品開発におけるヒト初回投与試験の安全性を確保するためのガイダンス [令和 2 年 12 月 25 日]
https://www.pmda.go.jp/files/000243439.pdf

11. 希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて [最新：令和 6 年 1 月 16 日一部改正]
https://www.pmda.go.jp/files/000268405.pdf

12. 小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンス [平成 12 年 12 月 15 日]
https://www.pmda.go.jp/files/000156072.pdf

13. 小児集団における医薬品開発の臨床試験に関するガイダンスの補遺 [平成 29 年 12 月 27 日]
https://www.pmda.go.jp/files/000222107.pdf

14. 麻薬及び向精神薬取締法（昭和 28 年法律第 14 号）[最新改正：令和 7 年 11 月 20 日]
https://laws.e-gov.go.jp/law/328AC0000000014

15. 医薬品等の承認又は許可等に係る申請等における電磁的記録及び電子署名の利用について [平成 17 年 4 月 1 日]
略称：ER/ES 指針
https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00ta8216&dataType=1&pageNo=1

16. 個人情報の保護に関する法律（平成 15 年法律第 57 号）
https://laws.e-gov.go.jp/law/415AC0000000057

日本における医療機器の臨床試験の法規制

作成日：2026 年 2 月 20 日

第 1 章：日本における医療機器の臨床試験を取り巻く規制

1. 法規制の階層構造

1-1. 法体系

日本の法体系は、効力の強さに応じて階層的な構造を持っています。最も上位に位置するのは憲法であり、これは国の最高法規として、すべての法律や命令は憲法に従わなければなりません。その下には国会で制定される法律があり、国民全体に適用される基本的なルールを定めています。法律を具体的に運用するために、内閣が定める政令が置かれ、さらにその下には各省庁の大臣が定める省令があります。省令は、法律や政令で定められた事項をさらに詳細化し、実務で必要な手続きや基準を規定します。

これらの法令の下には、行政機関が発出する告示や通知、ガイダンスがあります。これらは法的拘束力を持たない場合が多いものの、実務上は重要な役割を果たし、法律や省令の解釈や運用を補足します。さらに、地方公共団体が制定する条例や規則も存在し、国の法令に反しない範囲で地域に適用されます。このように、日本の法体系は「憲法 → 法律 → 政令 → 省令 → 告示・通知・ガイダンス → 条例・規則」というピラミッド構造を形成しており、上位の法規に反する内容は無効となります。この階層構造によって、法の整合性と秩序が保たれています。

本調査の対象は規制当局が発出した法令、政令、省令、ガイダンス、通知に限ります。学会指針や業界団体の自主基準など、規制当局以外が作成した文書は本調査の対象外とします。

1-2. 規制当局

日本における規制当局の概要は以下の通りです。

厚生労働省：

日本政府の中央省庁の一つであり、医療・公衆衛生・労働・福祉など幅広い分野の政策立案と実行を担っています。医薬品規制においては、医薬局を中心とする各部局が薬機法に基づく制度設計や行政通知の発出、承認に関する最終判断などを行い、日本における医薬品等の規制の最終責任を負います。臨床試験に関連する領域では、治験・臨床研究の推進、治験環境整備、研究開発政策などを担当する部局が、制度面・政策面の整備を担っています。これらの役割により、厚生労働省は日本の臨床試験制度の根幹を形成し、規制の方向性と最終的な行政判断を統括する行政機関として位置づけられています。

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)：

薬機法および厚生労働省の施策に基づき、医薬品・医療機器・再生医療等製品の科学的審査、安全対策、健康被害救済などを担う専門機関です。臨床試験に関しては、治験計画届や治験中に発生した副作用・不具合の受理を行い、その情報を厚生労働省に報告するほか、治験開始前の相談支援や審査に向けた科学的検討を実施します。さらに、承認審査を行う中心的な技術機関として、臨床試験データの評価、適切な効能・用法設定、安全対策に関する判断の基礎を提供します。これにより PMDA は、治験データに基づく科学的評価を担う専門機関として、厚生労働省の最終判断を支える役割を果たしています。

2. 対象となる規制を検討するための分類

日本で介入を伴う医療機器の臨床試験を実施する際、その対象となる規制・ガイダンスを検討するには様々な分類が考えられます。臨床試験における「介入」の定義は一律に法令で定められていませんが、「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（以下、倫理指針）において、研究目的で人の健康に影響を与える要因を意図的に制御する行為を「介入」としています。以降はこれを前提として、適用される規制を整理しています。

2-1. 製造販売承認申請を目的とした臨床試験に適用される規制

販売承認申請を目的とする臨床試験、未承認医療機器または適応外使用の安全性・有効性を確認する臨床試験は「治験」と呼ばれ、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）を根拠に、原則として「医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令」（厚生労働省令第 36 号）（以下、「医療機器 GCP 省令」）を遵守し、厚生労働省や PMDA が発出するガイダンス・事務連絡を参考に、国際基準との整合性として ISO 14155（医療機器臨床試験の国際規格）を確保して実施する必要があります。治験を実施する主体が企業である場合と、医師自らが実施する場合において、医療機器 GCP 省令が求める手順が異なることも特徴です。

近年では、事務連絡「特定臨床研究で得られた試験成績を医療機器及び再生医療等製品の承認申請に利用する場合の留意点・考え方の例示について」（令和 6 年 6 月 5 日）により、特定臨床研究で得られた結果を薬事利活用する場合の概念が示されています。

2-1-1. 医療機器 GCP 省令

医療機器 GCP 省令とは、医療機器の臨床試験を倫理的・科学的に正しく行うための基準を定めた日本の法規制です。臨床試験に参加する被験者の安全と権利を守り、試験データの信頼性を確保することが目的です。また、治験の手続き、体制、文書の種類、作成タイミング、作成・保管責任者等が定められており、省令に基づく補償の要件等については日本特有の規定がある等、運用や手順が詳細に規定されているのが特徴です。

日本における医療機器の承認は、臨床試験データが医療機器 GCP 省令の要求を満たしていることが絶対条件であり、以下 2-1-2.に記載の ISO 準拠より医療機器 GCP 省令準拠が優先されます。

2-1-2. ISO 14155（医療機器臨床試験の国際規格）

ISO 14155 は、被験者の安全確保と臨床データの信頼性向上を目的とし、医療機器を対象とした臨床試験（治験）を倫理的かつ科学的に適切に実施するための国際標準です。この内容は ICH-GCP（E6(R3)）とは異なり、医療機器開発のための独立した規格ですが、意図する規定は非常に近しい内容です。

日本の医療機器 GCP 省令は法令であるのに対し、ISO 14155 に法的義務ではなく多くは推奨・基準であることが大きな違いです。また、ISO 14155 では多様な医療機器開発を想定して定められているため、各国の法制度や施設事情にも対応できる柔軟な構造であることが特徴です。一方で、各国の制度にあわせることを前提に定められているため、抽象度が高いという特徴も挙げられます。つまり、ISO 14155 はグローバル標準であると言えます。医療機器 GCP は、治験実施計画書、治験機器概要書などに記載すべき情報について、ISO 14155 を参照するように指示しており、日本国内にも浸透している規格です。

2-2. 製造販売承認申請を目的としない臨床試験に適用される規制

製造販売承認申請を目的としない臨床試験は、薬機法上の「治験」には該当しません。このような臨床試験を実施する場合、薬機法、臨床研究法（平成 29 年法律第 16 号）、人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（倫理指針）に従って臨床試験を実施する必要があります。

2-2-1. 臨床研究法

臨床研究法は、承認申請を目的としないが、人に医薬品や医療機器を用いて安全性・有効性を検証する臨床研究に適用されます。以下のうちいずれかに該当する場合、「特定臨床研究」 として法的義務の対象になります。なお、以下のいずれにも該当せず、医薬品や医療機器を用いた臨床研究を実施する場合、臨床研究法の遵守は努力義務となり、臨床試験の目的のみならず取り巻く資金環境などから法の影響が複雑化しているのが特徴です。

① 未承認または適応外の医療機器を用いる研究
② 製造販売業者（メーカー）から資金提供や機器提供を受けて行う研究

特定臨床研究に該当する場合は、厚生労働大臣への届出義務、認定臨床研究審査委員会（Certified Review Board, CRB）での審査、モニタリング等が必須となります。また、「臨床研究法における利益相反管理ガイダンス」による利益相反の管理が求められます。

臨床研究法に基づき未承認医療機器を使用して臨床試験を実施する場合、いくつか注意点があります。

・ 研究者自らが輸入し、厚生労働省へ届け出る必要がある

・　未承認機器の効能・効果を標榜する行為は禁止

なお、製造・販売の「承認」、「認証」、「届出」が行われていない医療機器は全て「未承認医療機器」となります。また、承認等が得られた医療機器であっても、承認等の範囲外で形状・仕様等を変更した場合や承認等の範囲外の目的で使用する場合も未承認医療機器と同じ扱いとなります。

2-2-2. 倫理指針

倫理指針は、臨床研究法にも治験にも該当しない一般的な医薬品および医療機器研究、例えば観察研究や承認機器の通常使用で追加的介入がない研究（軽微な侵襲を伴う追加検査などは観察研究に含まれることがある）に適用されます。

倫理指針では、インフォームド・コンセント、治験審査委員会（Institutional Review Board：IRB）審査が求められます。

その他、上記 2-2 で述べた臨床研究においては、必要に応じて以下の法律が適用されます。

① 個人情報保護法：研究データ管理や匿名化の取り扱いで必要となります
② 医師法など医療関連法：医療機器を使用する行為は医行為に該当するため、その範囲に関する規制が適用されます
③ 再生医療等安全性確保法：再生医療を扱う場合に適用されます

3. 規制上の医療機器の分類

3-1. クラス分類

医療機器は、その機器に不具合が生じた場合の人体へのリスクの高さに基づき、以下の通り 4 つのクラスに分類されています。

クラス分類	概要	対象機器の例	治験の要否
クラス I	リスクレベルの極めて低い一般医療機器。PMDA への製造販売届出のみで販売が可能	体温計、ガーゼ、聴診器	不要
クラス II	リスクレベルが比較的低い管理医療機器 認証基準がある機器は厚生労働大臣が登録した第三者認証機関による認証が可能	血圧計、超音波診断装置、MRI	認証基準がある機器：不要 上記以外は、PMDA による承認を受ける必要あり

クラス分類	概要	対象機器の例	治験の要否
クラス III	生命に影響を与える可能性があるリスクレベルのものが対象の高度管理医療機器 厚生労働大臣が基準を定めて指定する機器は第三者認証機関での認証が可能	人工透析器、人工呼吸器、カテーテル、人工骨	認証基準がある医療機器：不要 上記以外は治験によるデータを用いて PMDA による承認が必須
クラス IV	生命維持に不可欠で、重大な影響を及ぼす可能性のある最も高リスクの高度管理医療機器	ペースメーカー、人工心臓弁、人工心肺装置	治験によるデータを用いて PMDA による承認が必須

このため、PMDA による承認審査を受ける一部のクラス II やクラス III、IV の医療機器に限り、治験の実施及び臨床試験成績の提出が求められています。

3-2. 医療機器の新規性での分類

医療機器は新医療機器、改良医療機器、後発医療機器のうちどれかによっても、以下の表の通り臨床試験成績の要否が異なります。

医療機器の新規性	臨床試験成績（治験成績）の提出の要否
新医療機器（構造が既存の医療機器と明らかに異なる医療機器）	原則必要
改良医療機器	改良の程度によって提出必要
後発医療機器	不要

既承認機器との同等性を証明できる場合、臨床試験を省略することが可能になることがあります。改良医療機器の場合、材質や外観変更など軽微な改良の場合でも、安全性・性能に影響がある場合は臨床評価を求められる可能性があります。また、機能追加やソフトウエアの更新など中等度の改良の場合、限定的な臨床評価試験を求められる可能性があります。構造変更や適応拡大などの大幅な改良の場合で、新しいリスクが発生すると考えられる場合は治験レベルの臨床試験が必要となります。一方で、新しいリスクが発生しないと考えられる場合は、リスクが増加しないことを科学的に証明できればフルスケールでの治験が不要になる可能性があります。その場合、少数例の治験を実施し、実際に人に使用した実績を示すことで安全性や有効性の確認を行います。しかしながら、新しいリスクがない場合でも、改良が大幅な場合は使用条件や患者への影響

が変わる可能性ありと見なされるため、承認申請のために限定的臨床評価が必要になることが多い傾向にあります。

なお、これらの臨床評価においては、必ずしも薬機法下での治験の実施を求められるわけではありません。実際に臨床試験成績が提出された承認品目は少なく、海外の臨床試験成績のみや臨床評価報告書で承認を受ける割合が多いです。また、改良を重ねることで開発される医療機器においては、その有効性や安全性の検証的な評価のために探索的臨床研究が実施されることも多いです。

4. 体外診断用医薬品

4-1. 日本における体外診断用医薬品の取り扱い

体外診断用医薬品は「専ら疾病の診断に使用されることが目的とされている医薬品のうち、人又は動物の体に直接使用されることのないもの」と定義されており、薬機法上では医薬品に区分されていますが、人に与える影響によりクラス I から III に分類され、それぞれのリスクに応じた審査方法が取られていることから、実質医療機器と同様の取り扱いになっています。

クラス分類	概要	対象製品の例	審査
クラス I	・ 製品の検査結果が与える疾病への診断リスクが比較的小さく、情報の正確さが生命維持に与える影響がクラス III の項目と比較して小さい ・ 較正用標準物質や標準測定方法があり、自己点検が容易なもの ・ 一般用検査薬（OTC）を除く	ヘモグロビン、血液検査用総蛋白 等	自己認証（製造販売届出）
クラス II	・ 製品の検査結果が与える疾病への診断リスクが比較的小さく、情報の正確さが生命維持に与える影響がクラス III の項目と比較して小さいと考えられるもの及び一般用検査薬（OTC）	凝固因子、ヒト絨毛性性腺刺激ホルモンキット　等	登録認証機関（製造販売認証）
クラス III	・ 製品の検査結果が与える疾病への診断リスクが比較的大きく、情報の正確さが生命維持に与える影響が大きいと考えられるもの	自己検査用グルコースキット、組織検査用腫瘍マーカーキット　等	厚生労働省（製造販売承認）

クラス I のうち、承認・認証不要基準（薬機法第 23 条の 2 の 5 第 1 項に基づく基準）に適合す

る品目は届出制度の対象です。
クラス II のうち、認証基準（薬機法第 23 条の 2 の 23 第 1 項に基づく基準）に適合する品目は厚生労働大臣の登録を受けた登録認証機関による認証を受ける必要があります。クラス III 並びに上記クラス I・II の定義（使用目的、一般的名称への該当性等）に該当しない品目は、PMDA の承認審査が必要となります。ここでいう「一般的名称」とは、医療機器の種類を制度上・統一的に示す標準化された名称であり、JMDN（Japan Medical Device Nomenclature：日本医療機器名称）として名称・定義・コードが整理されています。

4-2. 体外診断用医薬品の臨床性能試験

4-2-1. 実施される試験

体外診断用医薬品は人体に直接使用されないことから、承認申請に必要なデータを収集する場合、バイオバンクや残余検体の活用が活発です。加えて、前向きに患者から収集した検体を活用した臨床性能試験を実施する場合もあります。これらは、倫理指針に基づいた医学研究として実施されるため、治験としての臨床試験の実施を求められないものの、薬機法第 14 条の第 3 項に基づき臨床検体を用いた性能試験が求められます。日本では、PMDA 要件、ISO 20916、国際ガイドライン（GHTF/IMDRF SG5）などに則って、ヒト由来検体を用いて試薬の精度を評価します。
体外診断用医薬品の臨床性能試験は、医薬品/医療機器 GCP 省令の対象外のため、いわゆる治験には該当しません。また、臨床研究にも該当しません。現状、日本臨床検査薬協会より産業界向けに「体外診断用医薬品等の臨床研究におけるガイドライン（平成 27 年 3 月 30 日）」が発行されていますが、体外用診断医薬品の臨床性能試験の実施に際し準拠すべき法律やガイダンス等がいまだ不明確であり、明確な実施ルールの不足が指摘されています。

＜体外診断用医薬品等の臨床研究におけるガイドライン（平成 27 年 3 月 30 日）＞
主に述べられていること：

- 研究支援については契約・利益相反管理が必須
- 「共同研究」「委受託研究」「臨床試用」などの分類と実施条件
- 臨床試用の範囲、提供量や試用期間の上限（原則 6 ヶ月以内、1 回限りなど）
- データの帰属や中立性、発表時の契約整備
- 医療機関主導試験の場合、企業サポートには共同研究契約などの整備が必要

なお、外国で実施された臨床性能試験成績を利用することは原則可能です。しかしながら、人種的な差や環境因子、実際の臨床環境の差等がその体外診断用医薬品の性能や臨床的意義に与える影響を考慮する必要があります。

4-2-2. 副作用報告

現在日本では、体外診断用医薬品は医薬品として副作用報告が求められていますが、人体に直接使用されないため副作用という概念に当てはめにくいといった問題点があります。一方で、海外では体外診断用医薬品の報告は医療機器の不具合報告に包含されています。したがって、日本においても海外同様に、体外診断用医薬品の特性を踏まえ不具合報告制度の導入や医療機器に準じた整理が望まれています。

4-3. 今後求められている体外診断用医薬品に関する制度

これまで論じてきたとおり、体外診断用医薬品の臨床性能試験は医薬品/医療機器 GCP 省令の対象外であり、多くは倫理指針下で実施されています。本邦における体外診断薬の臨床試験では、非介入型、既存検体を使用する試験を実施すること等から、体外診断用医薬品に特化した GCP 省令や臨床性能試験ガイドラインの制定が望まれています。

また、海外では体外診断用医薬品の用途が「予後診断、予測、生理学的状態の把握や治療の判断用途等」と明確に定義されているのに対し、日本では、薬機法上、体外診断用医薬品は「専ら疾病の診断に使用されることが目的とされている医薬品のうち、人又は動物の体に直接使用されることのないもの」と比較的曖昧に定義されています。しかしながら、生理学的状態の判定を行うもの（血液型や妊娠判定など）や、特定の医薬品の有効性及び安全性が期待される患者を特定するために使用されるコンパニオン診断薬等、医療上必要かつ重要な情報の獲得を目的とした体外診断用医薬品のニーズが高くなっています。そのため、日本でも海外のように体外診断用医薬品の定義を拡大し、用途やリスクにあわせた適正な規制を検討することが求められています。

第 2 章：臨床試験の規制に関する細目

1. 国や規制当局による臨床試験の実施の承認に関する法規制

医療機器 GCP 省令：

本邦では、薬機法に基づき治験の実施に先立ち、薬機法第 80 条および同法施行規則 275 条により、臨床試験の開始に先立ち治験計画届の提出が求められています。日本においては新用途機器に相当する機器の臨床試験は「治験」として管理されています。なお、本邦においては、未承認デバイスを治験目的で使用するために手続きを簡略化できる免除制度は存在しないのが実情です。

臨床研究法：

研究の開始前に、研究実施計画を厚生労働大臣に届け出る必要があります。
CRB での審査承認を受けたのち、jRCT（Japan Registry of Clinical Trials）に研究実施計画を登録することで、届け出たことと見なされます。

倫理指針：

倫理審査委員会による審査・承認を受けたのち、研究機関の長が許可した場合に実施可能です。国や規制当局への申請、提出、承認などのプロセスは不要です。

2. ISO 14155 への適合

医療機器 GCP 省令：

治験実施計画書、治験機器概要書、臨床試験報告書の作成時には、ISO 14155 を参照することを規定しています。

臨床研究法・倫理指針：

臨床研究法並びに倫理指針の文言の中に ISO 14155 を明示的な引用や準拠指示はありません。しかしながら、国際共同研究を実施する場合には、海外には臨床研究法・倫理指針と近しい規制はなく、ISO 14155 は国際的な臨床試験の実施規格であるため、ISO 14155 準拠することが求められる場合があります。

3. 倫理審査委員会や IRB での実施承認のプロセス、法規制

日本においては、臨床試験を実施するにあたり準拠する法令ごとに、審査委員会の名称、委員会の要件、審査資料が異なることが特徴です。

医療機器 GCP 省令：

各実施医療機関が設置している、または審査依頼契約を結んだ IRB で審査を受け、承認を得る必

要があります。IRB の審査結果を踏まえ、実施医療機関の長が許可したのちに、治験の実施が可能となります。

臨床研究法：

各実施医療機関が設置している、または審査依頼契約を結んだ CRB で審査を受け、承認を得る必要があります。CRB の審査結果を踏まえ、実施医療機関の長が許可したのちに、試験の実施が可能となります。

倫理指針：

各実施医療機関が設置している、または審査依頼契約を結んだ倫理審査委員会で審査を受け、承認を得る必要があります。倫理審査委員会の審査結果を踏まえ、実施医療機関の長が許可したのちに、試験の実施が可能となります。

4. 利益相反に関する法規制（透明性関連）

医療機器 GCP 省令：

医療機器 GCP 省令において治験実施医療機関の要件、治験責任医師の要件などにおいて、治験を依頼する者との利益相反を説明する資料の作成は求められていません。医療機器 GCP 省令第 51 条「治験審査委員会の責務」のガイダンスにて、「その他治験審査委員会が必要と認める資料（企業との連携がある場合、利益相反に関する資料等）」と規定されており、個別の裁量に任されています。

加えて、治験を依頼する企業等は、業界団体が規定する透明性のガイドラインを遵守することで自主的に利益相反管理を実施し、海外の規制等を参考に治験に参加する医師へ、自社の株式取得状況などを問い合わせることがあります。

治験を実施する医療機関は、その医療機関の規定にて基づき、自院に設置された利益相反（Conflict of Interest, COI）の管理委員会での審査を自主的に受けることがあります。

臨床研究法：

臨床研究法が策定された背景として、利益相反の管理が不適切であった問題があるため、制定された法です。そのため、利益相反管理の方法（管理計画の策定等）や基準が厳密に規定されており、CRB で審査すべき資料にも利益相反管理に関する情報が含まれています。

倫理指針：

倫理指針下で実施する研究においても、第 12 章にて「利益相反の管理」が明確に求められています。具体的には、研究計画書への COI 状況の記載、研究機関が利益相反委員会や倫理審査員会による利益相反情報の第三者評価が規定されています。なお、法規制である臨床研究法と異なり、倫理指針は医学研究の適正な実施に資するための指針であることが特徴です。

5. 同意説明、同意取得、多言語化に関する法規制

医療機器 GCP 省令：

医療機器 GCP 省令では、同意説明文書に記載すべき事項が 18 項目あり、原則として本人から同意を取得する規定等が厳密に定められています。医療機器 GCP 省令は、医療機器の特性から「体内に留置する機器の場合、その旨を説明する」という特徴があり、また資金源に関する情報や利益相反を被験者に説明する規定はありません。なお、同意説明文書の多言語化に関する規定もありません。

臨床研究法：

臨床研究法では、医療機器 GCP 省令と同等の同意説明文書の規定、同意取得方法に関する規定が示されています。なお、被験者に対して利益相反の管理、資金源に関する情報を通知することが規定されている点が特徴です。なお、同意説明文書の多言語化に関する規定はありません。

倫理指針：

医療機器 GCP 省令や、臨床研究法とは異なり、医薬品・医療機器を使用しない後ろ向き観察研究などの規定が記載されています。そのため、実施前の書面同意取得、口頭による同意と診療録への記録、オプトアウトの活用など、研究の内容に合わせて様々な選択肢を取ることができます。なお、同意説明文書の多言語化に関する規定はありません。

計画している研究の内容や、侵襲の有無ならびに介入の有無等に伴って、取りうる同意取得の方法が異なるため複雑化していることも特徴です。

6. 被験者の補償に関する法規制

医療機器 GCP 省令、臨床研究法：

臨床試験の実施に先立ち、被験者に補償を提供するように厳密に規定されています。補償の具体的な方法や、基準については法の中には記載はありません。補償の対象となる範囲や金額については、業界団体（日本医療機器産業連合会や医薬品企業法務研究会など）からのガイダンスを踏まえ、各研究実施者が決定することが一般的です。加えて、IRB や CRB は、研究の実施に際し適切な補償を提供できる体制が構築されていることを審査する制度が各法令で規定されています。

倫理指針：

侵襲（軽微な侵襲を除く）を伴う研究であって、通常診療を超える医療行為を行う研究においては、医療機器 GCP 省令ならびに臨床研究法と同様に医薬品企業法務研究会が示すガイドラインを参照することを指示しています。

一方で、後ろ向き観察研究等に代表される前記以外の健康被害が発生するおそれがない研究においては、補償制度の準備は求められていません。また、通常診療の範囲内で実施される臨床研究においては、研究特有の補償制度ではなく、一般的な医療機器販売企業が保持する補償を活用することになります。

7. 規制当局への安全性情報報告に関する法規制

医療機器 GCP 省令：

薬機法第 80 条の 2 第 6 項、施行規則 274 条の 2 に基づき、治験依頼者また自ら治験を実施しようとするものは、治験における医療機器の使用に関連する死亡、重篤な障害、不具合等を規制当局へ報告する義務があります。また、未承認医療機器を用いた臨床研究法下で実施している試験における不具合等報告は、臨床研究法 第 16 条の 4 に基づき研究責任医師が PMDA へ報告する義務があります。

臨床研究法：

臨床研究法 第 14 条、第 16 条の 4、臨床研究法施行規則第 56 条に基づき研究責任医師に基づき以下の対応を取る必要があります。未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究の実施によるものと疑われるものであって予測できないもの事象は、医療機器治験と同様の基準にて 7 日／15 日／30 日報告が必要となります

倫理指針：

倫理指針下で実施が可能となる臨床研究においては、承認範囲内での使用又は観察研究等に限られるため、研究実施者から規制当局へ直接報告義務の規定はありません。そのため、市販後の不具合等報告の手順に基づき製造販売元に対するする情報共有を実施し、製造販売元が主体となり薬機法第 68 条の 10 第 1 項の規定に基づく医療機器の不具合等の報告に基づき、規制当局へ安全性報告がなされます。

8. 被験者の情報保護（個人情報保護、個人ヘルスケア情報保護）に関する法規制

本邦において被験者の個人情報保護は、医師等に対する伝統的な守秘義務と考えられる刑法 134 条から始まり、様々な法律によって規制されています。近年では、個人情報保護法に基づいて適切に管理される必要があり、当該法の中には、個人情報の定義から取扱いに関する細目まで詳細に記載されています。個人情報保護法は、臨床研究の実施に特化した規制ではないことに注意が必要です。

医療機器 GCP 省令：

医療機器 GCP 省令の総則　原則（11）被験者の身元を明らかにする可能性のある記録は、被験者のプライバシー及び秘密の保全に配慮して保護することが規定されています。第 2 条では、被験者の秘密を保護するため、各被験者に割り付ける識別記号（被験者識別コード）の活用が定められているとともに、第 67 条　治験責任医師の責務（症例報告書等）において、報告書データ

では被験者識別コードを用いることを保証すると明記されています。

臨床研究法：

臨床研究法第 11 条にて、特定臨床研究に従事する者または、従事する者であったものに対し、研究対象者の秘密を漏洩してはならないことが明記されています。また、臨床研究法においても、厚生労働省が示す統一書式にて「対象者識別コード」という表現が使用されており、被験者の個人情報はコード化された状態で報告されます。

倫理指針：

倫理指針は、第 9 章　個人情報等、試料及び死者の試料・情報に係る基本的責務にて、個人情報の取り扱いに関しての基本規定が示されています。また、指針中で示されている個人情報関連の用語体系も、個人情報／仮名加工情報／匿名化情報／個人関連情報という定義が活用され個人情報保護法と連動しています。

9.　臨床試験実施データの開示に関する法規制

医療機器 GCP 省令：

薬機法施行規則　施行規則 第 272 条の 2 第 1 項　第 272 条の 2　「情報の公開」に基づき、「治験を実施する場合には世界保健機関が公表を求める事項その他治験実施の透明性の確保及び国民の治験への参加の選択に資する事項をあらかじめ公表しなければならない」と示されました。それに基づき、厚労省 医薬・生活衛生局 医薬品審査管理課長通知「治験の実施状況等の登録について」（薬生薬審発 0831 第 9 号, 令和 2 年 8 月 31 日）にて、治験の実施に際し、jRCT に臨床試験の情報を登録することが義務づけられています。

臨床研究法：

臨床研究法施行規則 第 24 条（情報の公表等）において、研究責任医師は臨床研究を実施する場合には、厚生労働省が整備するデータベースに試験情報を登録することが求められています。また、この公開達成することで厚生労働大臣への情報提出が完了するとみなされます。

倫理指針：

倫理指針では、第 3 章―第 6 研究計画書に関する手続において、介入を伴う研究に関しては jRCT への登録が義務づけられています。また、知的財産や個人上の保護等を目的とする場合であって、倫理審査委員会並びに研究機関の長が許可した情報に限り公開しないことを許容する規定が付帯します。それ以外の研究（観察研究等）においても、努力義務として公開することが指示されています。

倫理指針ガイダンスでは、UMIN-CTR への登録でも良いと指示されています。

10. データ等の電子化に関する法規制

ER/ES 指針は、承認申請を目的とする臨床試験において、電磁的記録及び電子署名を活用する場合に定められた指針となります。承認申請を目的としない、特定臨床研究や倫理指針下での実施される研究においては、遵守することは求められていません。

Appendix：本要約中に引用された法規制・ガイダンス一覧（記載順）

1. 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（昭和 35 年法律第 145 号）［最新改正：令和 7 年 5 月 21 日公布］
   略称：薬機法
   https://laws.e-gov.go.jp/law/335AC0000000145
   - 第 23 条の 2 の 5 第 1 項：医療機器及び体外診断用医薬品の製造販売の承認
   - 第 23 条の 2 の 23 第 1 項：指定高度管理医療機器等の製造販売の認証
   - 第 14 条の第 3 項：医薬品、医薬部外品及び化粧品の製造販売の承認
   - 第 68 条の 10 第 1 項：副作用等の報告
   - 第 80 条の 2 第 6 項：治験の取扱い

2. 医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 17 年厚生労働省令第 36 号）［最新改正：令和 7 年 4 月 1 日施行］
   略称：医療機器 GCP 省令
   https://laws.e-gov.go.jp/law/417M60000100036

3. ISO 14155:2020 Clinical investigation of medical devices for human subjects — Good clinical practice

4. 特定臨床研究で得られた試験成績を医療機器及び再生医療等製品の承認申請に利用する場合の留意点・考え方の例示について（令和 6 年 6 月 5 日）
   https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001298502.pdf

5. 臨床研究法（平成 29 年法律第 16 号）［最新改正：令和 7 年 6 月 1 日施行］
   https://laws.e-gov.go.jp/law/429AC0000000016
   - 第 11 条：秘密保持義務
   - 第 14 条：厚生労働大臣への報告
   - 第 16 条の 4 ：機構による情報の整理及び調査の実施

6. 人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 [最新：令和 5 年 3 月 27 日一部改正]
   略称：倫理指針
   https://www.mhlw.go.jp/content/001077424.pdf

7. 臨床研究法における利益相反管理ガイダンス（令和 7 年 5 月 15 日）
https://www.mhlw.go.jp/content/10800000/001489048.pdf

8. 個人情報の保護に関する法律（平成 15 年法律第 57 号）[最新改正：令和 7 年 6 月 1 日施行]
略称：個人情報保護法
https://laws.e-gov.go.jp/law/415AC0000000057

9. 医師法（昭和 23 年法律第 201 号）[最新改正：令和 7 年 6 月 1 日施行]
https://laws.e-gov.go.jp/law/323AC0000000201

10. 再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号）［最新版：令和 7 年 6 月 1 日施行］
略称：再生医療等安全性確保法
https://laws.e-gov.go.jp/law/425AC0000000085

11. ISO 20916: 2019 In vitro diagnostic medical devices — Clinical performance studies using specimens from human subjects — Good study practice

12. IMDRF MDCE WG/N56:2019 ― Clinical Evaluation
要約内用語：GHTF/IMDRF SG5
https://www.imdrf.org/documents/clinical-evaluation

13. 体外診断用医薬品等の臨床研究におけるガイドライン（平成 27 年 3 月 30 日）
https://jacri-ivd.jp/information/shiryou/798/

14. 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施行規則（昭和 36 年厚生省令第 1 号）[最新改正：令和 7 年 12 月 22 日施行]
https://laws.e-gov.go.jp/law/336M50000100001
・ 第 272 条の 2：情報の公開
・ 第 274 条の 2：機械器具等に係る治験に関する不具合情報等の報告

15. 「医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令」のガイダンス（令和 5 年 12 月 26 日一部改正）
https://www.pmda.go.jp/files/000266400.pdf

16. 臨床研究法施行規則（平成 30 年厚生労働省令第 17 号）[最新改正：令和 7 年 11 月 20 日施

行]

https://laws.e-gov.go.jp/law/430M60000100017

- 第 24 条：情報の公表等
- 第 56 条：厚生労働大臣への疾病等の報告

17. 治験の実施状況等の登録について（令和 2 年 8 月 31 日）

https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/000665717.pdf

18. 人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針ガイダンス（令和 6 年 4 月 1 日）

https://www.mhlw.go.jp/content/001237478.pdf

19. 刑法（明治 40 年法律第 45 号）[最新改正：令和 7 年 6 月 1 日 施行]

https://laws.e-gov.go.jp/law/140AC0000000045/20250601_504AC0000000067

- 第 134 条：秘密漏示

20. 医薬品等の承認又は許可等に係る申請等における電磁的記録及び電子署名の利用について（平成 17 年 4 月 1 日）

略称：ER/ES 指針

https://www.pmda.go.jp/files/000158308.pdf

米国における医薬品の臨床試験の法規制

作成日：2026 年 2 月 20 日

第 1 章：米国における医薬品の臨床試験を取り巻く規制

1. 法規制の階層構造

1-1. 法体系

米国の医薬品臨床試験を支える法規制は、最上位には連邦憲法があり、その下に連邦議会が制定する包括的な医薬品関連法が置かれます。これらの法律は、米国で行われる医薬品開発や臨床試験において、規制当局が持つ権限、事業者が遵守すべき義務、そして違反した場合に適用される行政、民事および刑事手続きの根拠を与えるものです。こうした上位法を、より実務的な水準に落とし込み、具体的な臨床試験手続きや被験者保護、倫理審査、申請手順などを詳細に規定しているのが、連邦規則集（Code of Federal Regulations, CFR）です。これらの規則は法的拘束力を持ち、米国内で臨床試験を実施する企業や研究機関は、これに適合して臨床試験の計画・審査・実施・記録管理を行わなければなりません。違反が確認された場合には、行政上の指導に止まらず、臨床試験の停止、製造・販売の差し止め、罰金、さらには刑事責任が問われることもあります。

このような強制力を伴う上位規範に対し、規則の解釈補助や実務運用の具体的指針として機能するのが、米国規制当局が公開するガイダンス文書です。ガイダンスは法的拘束力を持たないものの、規則に示された義務をどのような方法で満たすべきか、どのような審査姿勢が想定されるかについて、当局の「現時点での考え方」を示すものとして、実際の臨床試験運営や申請活動に強い影響を与えます。ガイダンスに示された内容から逸脱すること自体は法律違反ではありませんが、逸脱する場合には科学的合理性や代替案の妥当性を追加で説明する必要があり、審査の遅延や追加要求につながる可能性があります。

1-2. 主な規制当局

米国の医薬品規制体系は、連邦レベルの複数の政府機関によって構成されています。その中心となるのが、米国保健福祉省（U.S. Department of Health and Human Services, HHS）の下部組織である米国食品医薬品局（Food and Drug Administration, FDA）であり、医薬品の安全性・有効性・品質を監督する法的権限を有します。医薬品の審査・監督業務は、FDA の医薬品評価研究センター（Center for Drug Evaluation and Research, CDER）が担い、臨床試験の実施から市販前審査、市販後の安全性監視に至るまで幅広い役割を果たします。

また、連邦政府資金が関与する研究に対しては、被験者保護に関する規制である「Common Rule（45 CFR Part 46）」が適用され、その運用監督は HHS の Office for Human Research Protections（OHRP）が行います。これは医薬品に限らず、ヒトを対象とする研究における倫理審査と被験者保護の共通基準として機能します。
さらに、医薬品を扱う臨床試験では、個人情報保護に関する HIPAA（Health Insurance Portability and Accountability Act of 1996）規則の遵守も求められ、これらの規則の執行は Office for Civil Rights（OCR）が担当します。

- HHS：米国保健福祉省。米国の保健・福祉政策を統括する連邦政府の省庁
  - FDA：HHS 配下の連邦機関。米国内で流通する食品・医薬品・化粧品・医療機器・放射線放出製品の安全性・有効性・品質を所管し、審査・許認可、基準策定、監視・取り締まりを行う
    - CDER：FDA の医薬品部門。ヒト用医薬品（新薬・ジェネリック・OTC）の審査・承認、製造・表示・品質の規制、承認後の安全性監視を担当。治療用バイオ（therapeutic proteins）であるモノクローナル抗体や多くの治療用タンパク質（サイトカイン、酵素等）の評価・承認（Biologics License Application, BLA）審査・監督も実施
    - CBER（Center for Biologics Evaluation and Research）：FDA の生物製剤部門。ワクチン、血液製剤、細胞・遺伝子治療等の BLA の審査、品質管理・安全性監視を実施
  - OHRP：HHS の下部組織。連邦政府が実施または資金提供する臨床研究に参加する被験者（人間）の権利、福祉、および安全を保護する役割を担う。Common Rule（45 CFR Part 46）を運用し、適用範囲は連邦資金を受けるすべてのヒト対象研究（医学・社会科学含む）
  - NIH（National Institutes of Health）：HHS の下部組織。臨床試験の資金提供や研究実施を行う主要機関。ClinicalTrials.gov を運営し、試験登録・情報公開を義務化

2. 医薬品の臨床試験に適用される規制

2-1. 憲法・連邦法（Statutes）

米国憲法が連邦政府の権限を定め、議会が制定する基盤となります。医薬品の臨床試験・臨床研究に関連する法として、以下が挙げられます。

- FDC Act（Food, Drug, and Cosmetic Act、食品医薬品化粧品法）：
  FDA が医薬品・医療機器等の審査・承認、規制権限を与えられている基本法
- PHS Act（Public Health Service Act、公共衛生サービス法）：
  臨床研究へ直接的な手続き義務を課す法律ではありませんが、臨床試験の登録および結果報告制度（ClinicalTrials.gov）、研究における不正対策、臨床・公衆衛生研究への資金提

供・支援制度等について、重要な根拠を提供しています

- FDAAA（Food and Drug Administration Amendments Act）：
  ClinicalTrials.gov への試験登録と結果情報の公開を義務化しています。42 CFR Part 11 で詳細が規定されています
- HIPAA：
  電子化された患者の医療情報のプライバシー保護とセキュリティ確保を義務付ける連邦法です。医療提供者や関連事業者に、個人を特定できる健康情報（Protected Health Information, PHI）の適切な管理、セキュリティ対策、情報漏洩時の通知などを義務付けています

2-2. 連邦規則集（Code of Federal Regulations, CFR）

臨床試験・臨床研究の実施に際して、FDA は FDC Act 等に基づき自らの所管分野の規則を定め、CFR の Title 21（主に Chapter I：FDA）として編纂しています。この中には、医薬品・医療機器・生物製剤・食品等に関する臨床調査や市販前審査の詳細な要件が含まれ、スポンサー・主要研究者・IRB 等の規制対象者への義務と、FDA の運用・手続が体系化されています。
一方、 Common Rule（45 CFR Part 46）は、連邦省庁が実施・支援・規制対象化する人を対象とする研究に適用される被験者保護の基本ルールです。HHS の OHRP が中心となって、IRB、インフォームド・コンセント、機関の順守保証（Assurance）などの基礎要件を定め、必要に応じて特定集団への追加保護や IRB 登録要件も規定しています。同じ研究が FDA 規則と Common Rule の双方の適用条件を満たすこともあり、その場合は双方の要件を遵守します。共通点は多いものの、定義や免除の扱い等に差異があります。

- FDA 関連（21 CFR）
  - 21 CFR Part 11: 電子記録・電子署名
  - 21 CFR Part 16: 規制聴聞手続
  - 21 CFR Part 50: 被験者保護（インフォームド・コンセント）
  - 21 CFR Part 54: 臨床試験に関する財務情報開示
  - 21 CFR Part 56: Institutional Review Board（IRB）
  - 21 CFR Part 58: 非臨床試験の GLP
  - 21 CFR Part 312: Investigational New Drug（IND）Application
  - 21 CFR Part 314: 新薬承認申請（NDA）
  - 21 CFR Part 320: バイオアベイラビリティ・バイオエクイバレンス
  - 21 CFR Part 601: 生物製剤承認申請（BLA）
- HHS/OHRP 関連（45 CFR Part 46）
  - Subpart A: Common Rule（IRB、同意、連邦資金研究）、連邦機関から資金を受けている場合のみ適用

- Subpart B: 妊婦・胎児・新生児の保護
- Subpart C: 囚人の保護
- Subpart D: 子供の保護
- Subpart E: IRB 登録要件

なお、21 CFR と 45 CFR Part 46 以外で、医薬品の臨床試験・研究に関連する主な連邦規則は次のとおりです。

- 42 CFR Part 11

  FDAAA セクション 801 の実施規則として、ClinicalTrials.gov への対象臨床試験の登録および結果情報の提出、責任主体（Responsible Party）、提出期限、未遵守時の法的帰結までを詳細に規定しています。
- 45 CFR Part 160 & 164

  HIPAA のプライバシー／セキュリティ規則として、PHI の取扱い基準、利用・開示の条件、本人の権利、セキュリティ管理、漏えい時の通知等を定めています。これら医療機関や CRO が PHI を用いてデータ収集・モニタリングを行う際の前提となる規則です。

2-3. 連邦指針・ガイダンス（Guidance）

FDA や OHRP が発行するガイダンス文書は、法律・CFR に基づく「FDA や OHRP の現行解釈」を示します。 ガイダンスは法的拘束力を持たず、代替手段を提案できますが、採用する場合は法令準拠が前提となります。医薬品の臨床試験・研究に関しては、主に FDA と OHRP が多くのガイダンスを発出しています。関連して、ICH-GCP についても FDA は準拠を推奨し、ガイダンスという位置づけで公開しています。

- FDA ガイダンス
  - 対象：FDA が管轄する領域（医薬品、医療機器、生物製剤、IND 試験など）
  - 21 CFR（Part 50, 56, 312 など）の解釈補足、GCP（ICH E6）や技術的要件（電子記録、分散型試験）を実務に落とし込む
  - 国際共同試験や承認申請に直結するため、実務上は必須に近い
- OHRP ガイダンス
  - 連邦資金を受ける研究（Common Rule 適用）
  - Common Rule（45 CFR Part 46）の解釈補足
  - FDA 規制外の社会科学研究や公衆衛生研究も含む。倫理・保護重視

3. 対象となる規制を検討するための分類

米国で介入を伴う医薬品の臨床試験・臨床研究を実施する際、その対象となる規制・ガイダンス

を検討するには、様々な分類が考えられます。NIH の「Clinical Trial Definition」にて介入（Intervention）が定義されていますが、臨床試験に適用される規制は Intervention の有無ではなく、IND の有無、承認申請を目的とするか否か、連邦政府の資金の関与等の点を踏まえて決定されます。

3-1. IND（Investigational New Drug）提出が必要な臨床試験に関する規制

米国で IND 提出が必要な臨床試験は、21 CFR Part 312 により一体的に規律されます。Part 312 は、適用範囲・定義、提出要件、運用変更、安全性報告、年次報告、行政的措置まで、IND 下の全サイクルをカバーします。

新しく開発された化合物をヒトに初めて投与する試験（First-In-Human）や、それ以降の第 I 相から第 III 相試験は、FDC Act に基づき、承認前の医薬品を臨床試験に供給・使用するための法的要件として、IND が必須です。承認済み医薬品を用いる試験であっても、投与量の大幅な変更や新しい投与経路の追加、新しい患者集団（高リスク集団など）での使用、未知の作用を評価する探索的使用など、被験者リスクが増大すると合理的に判断される場合には IND が必要となります。

申請者は、臨床プロトコル、前臨床データ、CMC（Chemistry, Manufacturing and Controls）情報、ラベリングなどを含む IND を提出し、FDA は受理後 30 日以内に安全性と妥当性を審査します。その結果、被験者保護や科学的妥当性に懸念がある場合には、臨床試験の開始または継続を一時的に停止させる措置（Clinical Hold）を命じることができます。
試験開始後は、試験内容の重要な変更を行う場合のプロトコル改訂、新たな非臨床・臨床情報等を追加提出するための IND 改訂、および試験の進捗や安全性情報を総括する年次報告を通じて FDA との継続的な情報共有が求められます。安全性監視については、21 CFR Part 312.32 に基づき、Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction（SUSAR）が認められた場合、事象の性質に応じて 7 日または 15 日以内に迅速報告をする義務が課されます。またスポンサーおよび治験責任医師は、それぞれの立場に応じて、治験薬管理、記録保存、当局および IRB への報告等の責務を負います。
試験用医薬品については、市販薬と誤認されないラベリング、宣伝的行為の禁止、有償提供の制限などの規定が適用されます。試験に重大な問題が生じた場合、FDA は保留・中止などの行政措置をとり、必要に応じて協議や異議申立ての機会が設けられます。また、深刻な疾患に対して試験用医薬品を提供する拡大アクセス、海外臨床データの受理基準なども Part 312 内に規定されています。

3-2. IND 免除（IND-exempt）となる臨床試験に関する規制

21 CFR Part 312.2(b)に規定のとおり、対象となる医薬品が米国内で合法的に販売されており、かつ試験の目的と実施内容が FDA による新たな審査を要しない範囲に限定されている場合は、IND 免除に該当します。

IND 免除が認められる範囲は特に限られており、承認薬を用いる研究であっても、投与量の増加、新たな患者集団での投与、またはリスクの増加が合理的に想定される試験設計が含まれる場合には、IND 免除は認められません。また、研究目的が新たな適応の取得や承認事項（labeling）の変更につながる場合も、IND 免除の対象とはなりません。これらは FDA が示す「IND 免除の判断基準」としてまとめられており、スポンサーは判断に迷う場合、レビュー部門への事前相談が推奨されています。

また、試験が IND を免除される場合であっても、IND 免除の成立要件として IRB による審査およびインフォームド・コンセントの遵守が必要とされ、試験用医薬品については、商業的な販売または販売促進を禁止する規定（Part 312.7）が適用されます。

3-3. 生物学的製剤・新規モダリティの臨床試験に関する規制

米国では、日本の「再生医療等製品」のように医薬品・医療機器と並列する独立した製品区分は設けられておらず、ヒト細胞・組織を用いる製品はまず HCT/P（Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue‐Based Products）として 21 CFR Part 1271 の枠組みで規制されます。21 CFR Part 1271 は、HCT/P による 感染症（communicable diseases）の侵入・伝播・拡大を防止することを目的としており、これを実現するために、施設登録・リスティング、ドナー適格性、Current Good Tissue Practice（cGTP）等の要件を定めています。対象となる製品が 21 CFR Part 1271.10 の要件（最小限の操作、同種用途等）を全て満たす場合は 361 HCT/P として Part 1271 に基づく登録、ドナー適格性、cGTP 等が中心となり、原則として IND や承認は求められません。

一方、当該 HCT/P が 21 CFR Part 1271.10 の基準を満たさない場合（つまり 351 HCT/P である場合）は既存の drug, device, and/or biological product として規制され、実務上は多くの場合生物学的製剤（biologic）として Part 1271 に加えて IND（21 CFR Part 312）や BLA 等の医薬品規制が適用されます。

米国で生物学的製剤や新規モダリティ（細胞・遺伝子治療等）を用いる臨床試験を実施する場合、審査および監督は FDA の CBER が担います。関連する法規制として、21 CFR Part 600 – 680 では、生物学的製剤について、開発から承認に至るまでに求められる製造管理、品質管理、記録管理、逸脱報告等の要件が定められており、製品の安全性、純度および力価を確保することが求められます。臨床段階で提出される IND および最終段階で提出される BLA は、いずれも CBER が審査を行い、臨床試験で得られた安全性・有効性データは、最終的な BLA 審査の根拠資料として用いられます。

3-3-1. 生物学的製剤を用いる場合

生物学的製剤（例：ワクチン、血液由来製剤、アレルゲン製剤など）を用いた臨床試験では、IND 提出時の CMC 情報において、製品の同一性・純度・力価、原材料・工程管理、安定性根拠などが早期から求められます。

試験の進行中は、プロトコル変更や CMC 情報の更新に伴って生じる製品特性や製造工程の変更が、臨床試験で得られるデータの一貫性や解釈に影響を及ぼさないかを継続的に評価する必要があります。例えば、ロット変更やスケール変更に伴う製品特性の差異は、評価項目の再現性や安全性シグナルの解釈に影響を与える可能性があるため、変更の都度、同等性をデータで示す体制が重要となります。

3-3-2. 新規モダリティ（細胞・遺伝子治療等）を用いる場合

細胞・遺伝子治療（Cell and Gene Therapy, CGT）などの新規モダリティは、生物学的製剤に分類される一方で、個別化、少量生産、製造工程への高い感受性といった特性を有しています。このため、臨床試験において求められる CMC 情報の深度、比較同等性評価の考え方、安全性の評価方法は、従来の生物学的製剤と比べてより特徴的なものとなります。

IND では、ベクターの特性、細胞の同一性・生存性・分化・機能、残留不純物やオフターゲットの評価など、製品固有のリスクに応じた情報を初期相から提出することが求められます。こうした特性を踏まえ、FDA および CBER は、CMC 要件について段階的かつ相応的（phase-appropriate）に適用する考え方を明確にしており、初期相における GMP の適用範囲、放出基準の設定、工程変更時の比較同等性評価について、従来製剤より柔軟な審査方針を示しています。これにより、患者ごとの製造や迅速な投与が求められる CGT の臨床試験についても、品質および安全性を確保しながら、現実的に試験を進めることが可能となっています。

一方で、新規モダリティでは、製造工程の変更が臨床アウトカムに与える影響が相対的に大きいため、試験の各段階において、変更前後の比較同等性（comparability）をデータで説明することが不可欠です。FDA は、製品ライフサイクル全体を通じた変更管理および同等性評価の考え方に関するガイダンスを継続的に公表しており、臨床試験段階で得られた品質、非臨床、臨床データを総合的に用いて、変更前後における安全性、活性および有効性の整合性を示すことを求めています。

さらに、遺伝子治療等では長期追跡を要する試験設計が一般的であり、ベクターの持続性や遺伝子導入に伴う遅発性リスクを考慮した安全性評価計画を、IND 段階からあらかじめ策定します。これらの要素は、最終的に BLA において、製造施設および製造工程とあわせて一体的に審査されます。

3-4. 複合製品の臨床試験に関する規制

複合製品は FDA によって 「薬」「デバイス」「生物学的製剤」のうち複数を組み合わせた製品と定義されており、抗体薬物複合体（Antibody Drug Conjugate, ADC）や薬剤と専用デバイスを一体

化した製品がこれに該当します。
臨床試験においては、まず FDA が製品に対して 主要作用機序（Primary Mode of Action, PMOA）を判定し、薬として扱うべきか、デバイスとして扱うべきか、生物学的製剤として扱うべきかを決めます。PMOA に応じて、主に CDER、CBER、あるいは CDRH のいずれかが主たる審査センターとなり、適用される IND／Investigational Device Exemption (IDE)規制の実務が決まります。複合製品であっても臨床試験を進める場合には、一般的に IND（薬または生物学的製剤として扱われる場合）または IDE（デバイスとして扱われる場合）のいずれかのルートで進むことになります。
ADC は、通常「生物学的製剤＋薬」の複合体とみなされ、生物学的製剤としての規制の下で臨床試験が行われます。
薬剤と専用デバイスを組み合わせた製品（例：デバイス内蔵型投与剤、薬剤＋光照射装置など）では、薬物としての安全性・有効性の評価に加えて、デバイス部分の操作性・安全性が臨床試験設計に組み込まれる必要があります。

3-5. Phase 1 試験（First-In-Human/early phase）

米国における医薬品の Phase 1 試験（初期臨床試験）に固有の要件としては、FDA が公表しているガイダンスが重要です。このガイダンスは、21 CFR Part 312.22 － Part 312.23 に基づく IND の構成要素のうち、特に初期臨床試験において必要とされる非臨床・CMC 等の情報について、初回ヒト投与に必要な範囲に絞り込みつつ、安全性確保に必要な最低限の情報を明確にすることを目的として作成されました。FDA はこのガイダンスにおいて、Phase 1 試験では被験者への初回投与における安全性確保に重点を置いた評価を行うため、通常の後期臨床試験と比べてより柔軟な要求水準を適用できるとし、非臨床データや CMC 情報の提出範囲を被験者リスクに応じて調整可能であることを明確にしています。
製造管理に関しても、Phase 1 試験は後期段階より柔軟に扱われており、FDA は「CGMP for Phase 1 Investigational Drugs」という別ガイダンスを発行しています。同ガイダンスでは、Phase 1 試験の段階においては、商用製品に適用される完全な GMP ではなく、試験の安全性および品質を確保するための合理化された GMP 原則の適用で足りると説明されています。これにより、初期開発段階における過度な負担を回避しつつ、被験者の安全性を確保するというバランスが図られています。

3-6. 希少疾病用医薬品（Orphan Drug）を対象とする試験

米国には、希少疾患を対象とした医薬品の臨床試験を支援するための明確な法規制およびガイダンス体系が整備されています。希少疾患は、米国内の患者数が 20 万人未満とされるなど患者数が極めて少なく、疾患の進行経過や臨床像に関する知見が限られていることが多い点が特徴です。このような背景から、米国ではオーファンドラッグ法に基づく制度が中核となっており、対象疾患が希少疾患として指定されると、開発企業は開発支援や一定期間の市場独占といったメリットを受けることができます。さらに、この制度を具体化する規則として 21 CFR Part 316 が設けられ、

希少疾病用医薬品の指定手続き、臨床試験支援、独占期間付与等の枠組みが明確に規定されています。

FDA は希少疾患に特化した臨床試験の進め方について複数のガイダンスを発行しています。これらのうち、最新の総合ガイダンス（Rare Diseases: Considerations for the Development of Drugs and Biological Products）では、患者数の少なさや疾患の多様性、疾患理解の不確実性といった希少疾患特有の課題を踏まえ、試験デザイン、安全性評価、外部対照の活用、小児患者の取扱いなど、開発における主要な論点について FDA の基本的な考え方が示されています。また、FDA は希少疾患開発に対して「最大限の柔軟性（maximum flexibility）」を適用する方針を明確にしており、単群試験や外部対照群の活用、統計的要件の調整、非臨床パッケージの簡素化など、症例数が限られた領域でも開発を前進させるための運用上の配慮が行われています。

加えて、FDA の OOPD（Office of Orphan Products Development）は、希少疾患向けの臨床試験を支援する助成制度を運営しています。同制度では、未充足の医療ニーズを有する希少疾患を対象とした臨床試験に対し、資金援助を行うプログラムが継続的に公募されています。

また、希少疾患は小児患者が多い領域とも重なることから、小児試験を義務づける PREA（Pediatric Research Equity Act）については、オーファン指定を受けた適応では義務免除が認められるなど、制度上の調整も行われています。

3-7. 小児を対象とした臨床試験に関する規制

米国で小児を対象とした臨床試験を進める際には、PREA と BPCA（Best Pharmaceuticals for Children Act）という二つの連邦法が中心的役割を果たします。これらはいずれも米国議会が制定した法律で、FDA が運用します。

まず PREA（Pediatric Research Equity Act）は、特定の医薬品が小児にも使用される可能性がある場合に、企業に対して小児試験の計画および実施を義務づける制度です。新規有効成分や新たな適応の申請に際して、スポンサーは FDA に対し IPSP（Initial Pediatric Study Plan）を提出する必要があります。提出された計画は、FDA 内部の PeRC（Pediatric Review Committee）により審査されます。この仕組みにより、成人開発と並行して小児集団における必要なデータを確保することが求められています。

次に BPCA は、スポンサーが小児試験を自主的に実施した場合に、6 か月の独占販売期間延長（pediatric exclusivity）を付与することで、小児開発を促進する制度です。PREA が義務に基づく制度であるのに対し、BPCA はインセンティブを通じて小児試験を後押しする点が特徴です。BPCA では、FDA が必要と判断した小児試験内容を Written Request として企業に提示し、これに従って試験が実施された場合に独占期間延長が認められます。

被験者保護および倫理面については、21 CFR Part 50 Subpart D において、小児を脆弱な被験者集団として位置づけた上での規定が設けられています。同規定では、IRB による審査義務に加え、研究リスクと便益の区分（最小リスク、直接的利益が見込まれる場合、直接的利益はないが重要

な知見が得られる場合等）と、それぞれにおいて許容される研究条件が整理されています。さらに、保護者の同意（parental permission）および小児本人の同意意思（assent）に関する要件や、その例外についても明確に規定されています。

3-8. 緊急時に実施される臨床試験の規制

米国では、公衆衛生上の非常事態（Public Health Emergency, PHE）が宣言された場合、FDA は臨床試験の継続と被験者保護を両立させることを目的として、特別なガイダンスを速やかに発出します。これらのガイダンスでは、非常時における試験運用の具体的な柔軟化措置が示されます。たとえば COVID-19 期には、FDA が「公衆衛生上の非常事態下における医療製品の臨床試験の実施」に関するガイダンス（2020 年 3 月初版、2021 年 8 月 30 日最終改訂）を公表しました。同ガイダンスでは、被験者の安全確保、GCP 遵守および試験の完全性維持を最優先とすることを前提に、遠隔モニタリング、来院に代わる評価方法、評価スケジュールの調整、試験用医薬品の自宅配送など、現場で必要となる運用上の柔軟な対応とその考え方が明確に示されました。
さらに、COVID-19 対応で得られた経験を踏まえ、FDA は個別のパンデミック対応にとどまらず、感染症、自然災害、軍事衝突、バイオテロなど、幅広い重大な混乱事象を想定した汎用的なガイダンス（Considerations for the Conduct of Clinical Trials of Medical Products During Major Disruptions Due to Disasters and Public Health Emergencies）を 2023 年 9 月に最終化しました。このガイダンスでは、試験継続の可否判断、遠隔評価やデジタル手段の活用、逸脱の記録および報告、統計解析への影響評価、サプライチェーン途絶時の試験用医薬品管理といった論点が横断的に整理されています。また、PHE 宣言の有無にかかわらず適用可能な基本原則が示されている点が特徴です。

3-9. 規制麻薬の臨床試験に関する規制

米国では、臨床試験で規制麻薬（controlled substances）を扱う場合、FDA 規制（IND）に加えて DEA（Drug Enforcement Administration）が規制する重要な追加要件があります。
規制麻薬を研究・臨床試験で扱う場合、研究者（通常は Principal Investigator）または機関は DEA による研究者登録（DEA Form 225）を取得しなければなりません。

第 2 章：米国における医薬品の臨床試験の規制に関する細目

1. 国や規制当局による臨床試験の実施の承認

米国で新しい医薬品をヒトに投与する臨床試験を開始するには、通常、IND を FDA に提出します。FDA が IND を受領してから 30 日間の審査期間に安全性・科学的妥当性を確認し、30 日経過後に FDA から保留通知がなければ試験を開始できるのが原則です。

FDA は、被験者の安全や科学的妥当性に疑義があると判断した場合、Clinical Hold を発出し、試験開始や継続を一時停止できます。典型的には、重篤な安全性懸念、前臨床での安全域の不足、あるいはプロトコルの設計上の致命的な欠陥などが理由です。保留の解除には、スポンサーが補足データの提出やプロトコル改訂で懸念を解消する必要があります。

試験中は、安全性の迅速報告（Part 312.32）と計画変更の適正届出（Part 312.30／Part 312.31）により、「承認条件の下で適切に実施されているか」が継続的に点検されます。

2. Institutional Review Board（IRB）による臨床試験の実施の承認

米国で FDA 規制下の臨床試験を実施する場合、IRB の審査・承認が必須です。これは 21 CFR Part 56 が規定するもので、FDA 規制下の臨床試験（clinical investigation）で人を対象とする研究には、IRB の初回審査・継続審査・記録保存などが義務づけられています。IRB の役割は、被験者の権利・安全・福祉を保護することであり、審査は FDA のインフォームド・コンセント規則（21 CFR Part 50）と連動して運用されます。

初回審査では、プロトコル、同意文書、説明用資材、被験者募集方法、補償時対応、データ管理・機密保持などが対象となります。

連邦資金に支えられた研究では、OHRP が監督する被験者保護の基本方針である Common Rule（45 CFR Part 46）が併せて適用され、IRB の構成・審査基準・機関の保証などを定めています。Common Rule 適用下では、原則として単一 IRB（single IRB, sIRB）を用いることが義務付けられ、倫理審査の一貫性と迅速化が図られています。

3. 臨床試験における利益相反（Conflict of Interest, COI）

米国では、臨床試験に関与する研究者や機関が有する金銭的利害関係が、試験の設計・実施・解析・報告にバイアスを生じさせないことを制度的に担保します。

21 CFR Part 54 は、各臨床研究者の財務的利害関係の提出を申請者に求めます。該当する利害には、研究結果に連動する報酬（outcome-contingent compensation）、スポンサー企業への一定額を超える持分・株式（上場株式の一定額超、非公開持分等）、研究対象製品に対する特許等の権利（proprietary interest）などが含まれます。

連邦資金が関与する研究では、42 CFR Part 50 Subpart F に基づき、研究機関が研究者（配偶者・

扶養子を含む）の SFI を事前開示させ、Financial COI に該当するか審査・管理します。要件には、機関ポリシーの整備・周知、研究者教育、財務的利益の定期開示、Financial COI の管理計画・報告（対 NIH/PHS）、違反時の是正などが含まれます。

4. 被験者への説明と同意取得、多言語化

4-1. 同意取得の原則

米国で FDA 規制下の臨床試験を実施する場合、インフォームド・コンセントは 21 CFR Part 50 により必須であり、すべての FDA 規制下の臨床試験に適用されます。

21 CFR Part 50 は、同意取得時に被験者へ伝えるべき基本要素（研究の目的・期間・手順、予見可能なリスク・不快、合理的に期待される便益、代替治療の開示、機密保持と FDA 査察可能性、傷害発生時の補償と治療、問い合わせ窓口、自由意思と撤回の権利）を明示しています。研究の性質に応じて、追加要素（予見困難なリスク、研究者が同意なく参加を打ち切る条件、追加費用、撤回時の手順、重大な新情報の通知など）を追記します。FDA は 2023 年に同意の実務ガイダンスを更新し、参加者が理解できる言葉で、強制や不当な誘導がない形で説明すること、プロセス全体を重視する姿勢を明確化しています。

4-2. 小児を対象とした研究

未成年への研究では Subpart D（小児に対する追加的保護）の基準に従い、年齢・成熟度に応じたアセント（同意に準ずる意思表示）や保護者同意等の要件が求められます。

4-3. 同意免除が認められるケース

21 CFR Part 50 には、厳格な条件下で同意取得を例外的に免除できる規定も存在します。

生命に危険があり、試験用医薬品の使用が急を要し、同意取得の時間的余裕がない場合、緊急時研究における同意免除として、主治医の証明、IRB への迅速報告などを条件に同意手続きを一時的に免除できます。

また、次の条件をすべて満たす場合、IRB が事前承認したうえで「同意なしの臨床試験参加」が認められます。

- 被験者が生命の危機にある
- 同意を得ることが不可能（本人不可・代理人不可）
- 標準治療が無効または存在しない
- 科学的に必要性が高い研究
- 事前および事後の community consultation と public disclosure

これらは FDA のもっとも厳格な例外規定であり、通常臨床試験ではほとんど利用されません。

4-4. 連邦資金が関与する場合の追加要件

連邦資金が関与する研究では、Common Rule（45 CFR Part 46）の同意規定も併せて適用されるため、同意文書の先頭に「Key Information（要点）」を分かりやすく提示することが求められ、理解容易性が一段と重視されています。

4-5. 多言語化

被験者が理解できる言語で説明と同意取得を行うことは FDA 規則上の明示要件であり、英語話者以外を組み入れる可能性がある計画では、同意文書の翻訳と適切な通訳の手当てをあらかじめ組み込みます。

5. 被験者の補償

米国の連邦法・FDA 規則には、研究関連傷害（research-related injury）に対してスポンサーが補償（medical care/金銭賠償）を必ず提供しなければならないという一律の義務規定はありません。その代わり、21 CFR Part 50 にて被験者に対する説明・開示義務が課されており、「（最小リスクを超える研究で）傷害が発生した場合に、補償や医療が利用可能かどうか、利用可能なら内容や問い合わせ先を説明する」ことがインフォームド・コンセントの必須要素として明記されています。これは補償の提供を義務づけるのではなく、提供有無と内容の透明化を義務づける仕組みです。FDA は 2023 年の同意ガイダンスでも、研究関連傷害が起きた場合の補償（compensation）と医療の可用性・内容・問い合わせ先の明確化を再度整理しています。加えて、被験者の権利放棄（exculpatory language）につながる表現を避けること、分かりやすい言葉で書くこと、不当な誘導や強制がないことを強調しています。「補償がない（または保険任意）場合は、その旨を率直に開示」し、「どの費用を誰が負担するか」を具体的に記すことが望まれます。

Common Rule（45 CFR Part 46）も同様に、説明と同意の枠組みを通じて不当な影響の排除と十分な情報提供を要求するものですが、補償の提供義務そのものは定めていません。したがって、連邦資金の有無にかかわらず、「補償の有無・提供方法を同意文書で明確にする」ことが実務の根幹になります。

6. 安全性情報の規制当局への報告

IND 下の臨床試験中に得られた重要な安全性情報は、21 CFR Part 312.32 に基づき スポンサーが FDA とすべての主要研究者へ迅速報告する義務があります。条文は、有害事象（AE）、重篤（serious）、生命を脅かす（life-threatening）、予期しない（unexpected）、有害反応疑い（suspected adverse reaction）の定義を明示し、どの情報を、いつ、どの形で届けるかの判断基準を示しています。

報告期限は次のとおりです。

- 死亡または生命を脅かす「予期しない疑い有害反応」：7 日以内に速報（その後に追補可）
- 上記以外の重篤な「予期しない疑い有害反応」：15 日以内に速報

この「疑い（suspected）」という概念は、薬剤との因果関係が示唆される合理的可能性があることを意味し、単なる AE より一歩踏み込んだ判断を要します。「予期しない」は Investigator's Brochure（IB）や IND のリスク情報に記載がない、または重症度・特異性の点で不一致のケースを指します。

スポンサーは、国内外のすべての試験・情報源から安全性情報を収集し、個別症例の因果関係だけでなく、集積データ（aggregate）で初めて把握できるリスクも評価します。2025 年 12 月に最終化されたガイダンス 「Sponsor Responsibilities—Safety Reporting Requirements and Safety Assessment for IND and BA/BE Studies」 では、予見可能な重篤事象（例：疾患進行や既知の有害事象）については、個別例ではなく集積評価で「予想を超える頻度・重症度か」を見極めて報告判断を行うという実務の考え方を明確化しました。
主要研究者側の責務も整理されています。即時の重篤有害事象のスポンサー報告（21 CFR Part 312.64(b)）や、IRB への迅速報告（Part 312.66）を含む実務の指針は、2025 年のガイダンス「Investigator Responsibilities—Safety Reporting for Investigational Drugs and Devices」に集約されました。

IND 免除の BA/BE（Bioavailability／Bioequivalence）試験では、重篤（serious）かつ予期しない（unexpected）有害事象は FDA への迅速報告が必要であり、この取り扱いは 上記 2 つのガイダンスにて規定されています。
一方、BA/BE 以外の IND 免除研究には Part 312.32 の 7/15 日速報は適用されず、IRB 中心の「予期しない問題（Unanticipated Problems）」報告が基本で、IRB から機関、機関から（必要に応じ）FDA に迅速報告する体制が 21 CFR Part 56.108(b)で義務づけられています。

7. 被験者の情報保護（個人情報保護、個人ヘルスケア情報保護）

臨床試験を進めるにあたり、被験者保護に関する規制の遵守は不可欠です。インフォームド・コンセントの取得要件を定めた 21 CFR Part 50 は FDA 規制下の臨床試験に適用され、IRB の構成や審査基準などを定めた 21 CFR Part 56 は、FDA が規制する臨床試験を審査する IRB の基準を定め、所定の試験では IRB の初回審査・承認および継続審査が求められます。これらの基準により、同意文書における機密保持の記載（FDA 査察可視性の明記を含む）や、試験中の個人情報の取り扱いが IRB により精査されます。
さらに、研究で PHI を扱う場合には HIPAA プライバシー・ルール（45 CFR Part 164 Subpart E）に従い、原則として患者の HIPAA 認可（authorization）が必要であり、認可が不要な場合でも IRB／

Privacy Board の承認による免除・変更（waiver/alteration）等の特例に基づくデータ保護措置が必要となります。匿名化（de-identification）や限定データセット＋データ利用契約（Data Use Agreement, DUA）といったデータ最小化の選択肢も規則で整備されています。

8. 臨床試験実施データの開示（登録・結果公開）

米国では、ClinicalTrials.gov による登録・結果公表が法令（FDAAA 801／42 CFR Part 11）で義務化されており、適用臨床試験（Applicable Clinical Trial, ACT）に該当する試験は、被験者登録から 21 日以内の登録と、主要評価項目に関するデータ収集完了から 12 か月以内の結果提出が求められます。なお、ACT としては Phase 2 試験以降の controlled clinical investigations が対象であり、Phase 1 試験は原則除外されます。

NIH 資金や ICMJE（International Committee of Medical Journal Editors）方針により、法令対象外の試験でも実務上の登録義務が生じることが多く、FDA は Form FDA 3674 による適合証明、BIMO（Bioresearch Monitoring Program）等の監視活動や、CMP（Compliance Management Program）等の執行枠組みを通じて透明性確保を図っています。日本の jRCT に相当する主要な公的レジストリは米国では ClinicalTrials.gov であり、国際共同試験や承認申請・学術発表を見据えた早期・正確な登録運用が必須です。

9. データ等の電子化に関する法規制

米国において、医薬品の臨床試験におけるデータの電子化（electronization）は、電子記録（Electronic Records）および 電子署名（Electronic Signatures）の取り扱いを定めた 21 CFR Part 11 を中心に規制されています。Part 11 は、電子化されたデータが紙媒体と同等の信頼性・完全性を持ち、規制当局が審査可能な形で保存されることを目的としており、臨床試験で使用される電子データ収集（Electronic Data Capture, EDC）、電子症例報告書（eCRF）、電子署名、監査証跡（audit trail）など、電子的に生成・保存される記録のうち規制要件に基づき作成・維持・提出される電子記録が対象となります。

Appendix: 本要約中に引用された法規制・ガイダンス一覧

（記載順）

1. Federal Food, Drug, and Cosmetic Act, Section 505 and Section 745(a)
   略称：FDC Act
   和訳：食品医薬品化粧品法
   https://www.govinfo.gov/content/pkg/COMPS-973/pdf/COMPS-973.pdf

2. Public Health Service Act
   略称：PHS Act
   和訳：公共衛生サービス法
   https://www.govinfo.gov/content/pkg/USCODE-2011-title42/html/USCODE-2011-title42-chap6A.htm

3. Food and Drug Administration Amendments Act of 2007
   略称：FDAAA
   https://www.congress.gov/crs-product/RL34465?q=%7B%22search%22%3A%22FDAAA%22%7D&s=1&r=10

4. Health Insurance Portability and Accountability Act of 1996
   略称：HIPAA
   和訳：医療保険の相互運用性と説明責任に関する法律
   https://aspe.hhs.gov/reports/health-insurance-portability-accountability-act-1996

5. 21 CFR Part 11 — Electronic Records; Electronic Signatures
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-11

6. 21 CFR Part 16 — Regulatory Hearing Before the Food and Drug Administration
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-16

7. 21 CFR Part 50 — Protection of Human Subjects (Informed Consent)
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-50

8. 21 CFR Part 54 — Financial Disclosure by Clinical Investigators
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-54

9. 21 CFR Part 56 — Institutional Review Boards
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-56

10. 21 CFR Part 58 — Good Laboratory Practice for Nonclinical Laboratory Studies
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-58

11. 21 CFR Part 312 — Investigational New Drug Application
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-D/part-312
    - 312.2(b)
    - 312.6
    - 312.8
    - 312.22-23
    - 312.30-33
    - 312.50
    - 312.53
    - 312.56
    - 312.57
    - 312.60–68
    - 312.110

12. 21 CFR Part 314 — Applications for FDA Approval to Market a New Drug
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-D/part-314

13. 21 CFR Part 320 — Bioavailability and Bioequivalence Requirements
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-D/part-320

14. 21 CFR Part 601 — Applications for FDA Approval of a Biologic License
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-F/part-601

15. 45 CFR Part 46 — Protection of Human Subjects
    https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-A/part-46
    - Subpart A: Common Rule（IRB、同意、連邦資金研究）
    - Subpart B: 妊婦・胎児・新生児の保護
    - Subpart C: 囚人の保護
    - Subpart D: 子供の保護

・ Subpart E: IRB 登録要件

16. 42 CFR Part 11 — Clinical Trials Registration and Results Information Submission
https://www.ecfr.gov/current/title-42/chapter-I/subchapter-A/part-11

17. 45 CFR Part 160 — General Administrative Requirements
https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-C/part-160

18. 45 CFR Part 164 — Security and Privacy
https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-C/part-164

19. INDs — Determining Whether Human Research Studies Can Be Conducted Without an IND
要約内用語：IND 免除の判断基準
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/investigational-new-drug-applications-inds-determining-whether-human-research-studies-can-be

20. 21 CFR Part 1271 — Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue-Based Products（HCT/P）
https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-L/part-1271

21. 21 CFR Part 600-680 — Biologics
https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-F

22. Content and Format of Investigational New Drug Applications (INDs) for Phase 1 Studies
https://www.fda.gov/media/72057/download

23. Current Good Manufacturing Practice for Phase 1 Investigational Drugs
要約内用語：CGMP for Phase 1 Investigational Drugs
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/current-good-manufacturing-practice-phase-1-investigational-drugs

24. 21 CFR Part 316 — Orphan Drugs
https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-D/part-316

25. Rare Diseases: Considerations for the Development of Drugs and Biological Products
https://www.fda.gov/media/119757/download

26. Pediatric Research Equity Act
略称：PREA
https://www.fda.gov/drugs/development-resources/pediatric-research-equity-act-prea

27. Best Pharmaceuticals for Children Act
略称：BPCA
https://www.fda.gov/drugs/development-resources/best-pharmaceuticals-children-act-bpca

28. Considerations for the Conduct of Clinical Trials of Medical Products During Major Disruptions Due to Disasters and Public Health Emergencies
https://www.fda.gov/media/172258/download

29. 42 CFR Part 50 — Policies of General Applicability
- Subpart F：利益相反

https://www.ecfr.gov/current/title-42/chapter-I/subchapter-D/part-50/subpart-F

30. Informed Consent
要約内用語：同意の実務ガイダンス
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/informed-consent

31. Sponsor Responsibilities—Safety Reporting Requirements and Safety Assessment for IND and Bioavailability/Bioequivalence Studies Guidance for Industry
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/sponsor-responsibilities-safety-reporting-requirements-and-safety-assessment-ind-and

32. Investigator Responsibilities – Safety Reporting for Investigational Drugs and Devices
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/investigator-responsibilities-safety-reporting-investigational-drugs-and-devices

米国における医療機器の臨床試験の法規制

作成日：2026 年 2 月 20 日

第 1 章：米国における医療機器の臨床試験を取り巻く規制

1. 法規制の階層構造

1-1. 法体系

米国の医療機器規制は、複数の法体系による階層構造で構成されています。

（1）連邦法（Statutes）— 法規制の最上位

医療機器の規制の根幹は 連邦食品・薬品・化粧品法（FD&C Act） にあり、医療機器に関する規定は 1976 年の Medical Device Amendments によって体系化されました。FD&C Act は、医療機器の定義、市販前審査、市販後監視、違反時の罰則等の基本枠組みを定めます。

（2）連邦規則（Code of Federal Regulations, CFR）— 法律を実装する規制

FD&C Act を具体化する規則は Title 21 CFR にまとめられています。医療機器の臨床試験を実施する際には 21 CFR Part 812 が根幹となりますが、周辺の規制も厳格に定められており、試験の目的に応じて広く対応する必要があります。

医療機器分野で特に重要なパートは以下のとおり：

- 21 CFR Part 11：電子記録・電子署名の信頼性保証
- 21 CFR Part 50：インフォームドコンセントの要件
- 21 CFR Part 56：被験者保護・IRB 要件、IRB 運用
- 21 CFR Part 803（Medical Device Reporting）：市販後の有害事象・不具合報告
- 21 CFR Part 54（Financial Disclosure by Clinical Investigators）：臨床研究実施者の経済的利害の収集・提出
- 21 CFR Part 892：放射線診断機器の分類
- 21 CFR Part 807（510(k) ）：市販前通知
- 21 CFR Part 809： 体外診断用医薬品（IVD）の表示・ラベリング要件
- 21 CFR Part 812（Investigational Device Exemption, IDE）：SR/NSR 判定、IDE 申請・免除、モニタリング、記録・報告（予期しない医療機器関連有害事象等）、Investigator Agreement、Financial Disclosure など臨床試験の実施において中心となる規制
- 21 CFR Part 814（Premarket Approval）：高リスク機器の承認制度
- 42 CFR Part 11（ClinicalTrials.gov）：該当する臨床試験の登録・結果開示

- 45 CFR Part 46（Common Rule）：連邦資金等の研究に適用される被験者保護の共通則

これら CFR は、米国食品医薬品局（Food and Drug Administration, FDA） によって運用され、法的拘束力を持ちます。

（3）ガイダンス文書（FDA Guidance Documents）— 実務運用の基準

ガイダンスは法的拘束力を持ちませんが、FDA の考え方や規制の解釈・実務的な期待値を示す文書であり、申請者は一般的にガイダンスに沿って申請資料を作成します。ガイダンスに従わない場合は、科学的妥当性を自ら証明する義務が生じます。ガイダンスの種類は非常に多く、医療機器の臨床試験の実施に関係するガイダンスの概要は以下の通りです。

- Design Considerations for Pivotal Clinical Investigations for Medical Devices（2013, Final）
- Adaptive Designs for Medical Device Clinical Studies（2016, Final）
- Investigational Device Exemptions (IDEs) for Early Feasibility Medical Device Clinical Studies（2013, Final）
- Significant Risk and Nonsignificant Risk Medical Device Studies（2006, Final）
- Evaluation and Reporting of Age-, Race-, and Ethnicity-Specific Data in Medical Device Clinical Studies（2017, Final）
- Electronic Source Data in Clinical Investigations（2013, Final）
- Use of Electronic Informed Consent（2016, Final）
- Electronic Systems / Electronic Records / Electronic Signatures in Clinical Investigations：Q&A（2023, Draft）
- Oversight of Clinical Investigations — A Risk-Based Approach to Monitoring（2013, Final）
- Processes and Practices Applicable to Bioresearch Monitoring (BIMO) Inspections（2025, Final）
- Financial Disclosure by Clinical Investigators（2013, Final）
- Investigator Responsibilities – Safety Reporting for Investigational Drugs and Devices（2025, Final）

1-2. 主な規制当局

米国の医療機器の規制体系は、連邦レベルの複数の政府機関によって構成されています。その中心となるのが、米国保健福祉省（HHS）の下部組織である FDA であり、医療機器の安全性・有効性・品質を監督する法的権限を持ちます。医療機器の審査・監視業務は主に FDA の 医療機器・放射線衛生センター（Center for Devices and Radiological Health, CDRH） が担います。医療機器の規制目的には、市販前審査、製造・品質管理、市販後監視、有害事象の報告などが含まれます。

また、連邦政府資金が関与する研究の場合、被験者保護に関する規制「Common Rule（45 CFR Part 46）」が適用され、その運用監督は HHS の Office for Human Research Protections（OHRP） が行います。これは医療機器に限らず、ヒトを対象とする臨床試験の倫理審査と被験者保護の統一基準です。

■ 主な機関一覧:

- FDA
  - ・ CDRH：医療機器の評価・承認、市販後監視を担当
  - ・ CBER（Center for Biologics Evaluation and Research）：一部の組み合わせ製品などを担当
- OHRP：Common Rule の運用監督
- OCR（Office for Civil Rights）：医療保険の携行性と責任に関する法律（Health Insurance Portability and Accountability Act of 1996, HIPAA）のプライバシー・セキュリティ規則の執行

2. 対象となる規制を検討するための分類

米国で介入を伴う医療機器の臨床試験を実施する際、その対象となる規制・ガイダンスを検討するには、様々な分類が考えられます。NIH の「Clinical Trial Definition」にて介入（Intervention）が定義されていますが、臨床試験に適用される規制は Intervention の有無ではなく、IND／IDE の有無、承認申請を目的とするか否か、連邦政府の資金の関与等の点を踏まえて決定されます。

2-1. 製造販売承認申請を目的とした臨床試験に適用される規制

製造販売承認（特にクラス III 機器の Premarket Approval, PMA）の取得を主目的とする臨床試験では、提出先である FDA（CDRH）による科学的・規制的審査に耐える臨床エビデンスの質と申請様式の適合が焦点となります。臨床試験を実施する上で 21 CFR Part 812（IDE）／Part 50（IC）／Part 56（IRB）／Part 11（電子記録）等に準拠する必要があります。一方、PMA 申請書における臨床・非臨床データの構成や要約（適応・機器説明・代替療法・市場履歴 等）の必須要素は 21 CFR Part 814（とくに part 814.20）に規定されており、実施規則（Part 812/Part 50/Part 56/Part 11）と申請規則（Part 814）の関係を整理して設計・運用することが重要です。PMA に至る前段として、多くの場合ピボタル試験が企画・実施されますが、試験設計は FDA のガイダンス（Design Considerations for Pivotal Clinical Investigations）を参照し主要評価項目・統計計画・対照設定・バイアス管理を明確化します。また、モニタリングと不適合・逸脱対応の枠組みは Risk-Based Monitoring（2013, Final）および Q&A（2023）に基づき、重要データ／プロセスへの重点化と中央化モニタリング等を計画し

ます。さらに、プロトコル逸脱の定義・重要度・報告手順は、近年のガイダンスで整理が進んでおり、承認に耐えるデータ完全性を確保するうえで重要です。

2-2. 製造販売承認申請を目的としない臨床試験に適用される規制

2-2-1. 臨床試験実施のための IDE

承認目的でない臨床試験であっても、医療機器の安全性・有効性評価を目的とする場合には、IDE の適用が必要となります。IDE は未承認機器をヒトに使用するための FDA の免除制度であり、IDE 承認により市販に求められる要件（510(k)、登録・リスティング、Good Manufacturing Practice, GMP の大部分など）が免除され、合理的に臨床試験を実施できるようになります（例：診断機器の条件 812.2(c) の IDE 免除）。ただし、IDE の詳細な要件は承認目的の有無にかかわらず共通するため、のちの章にて詳述します。

2-2-2. リスク分類に基づく規制

- Significant Risk（SR）：IDE 提出必須
- Non-Significant Risk（NSR）：略式 IDE（Abbreviated IDE）に従い IRB 承認で実施
- Exempt：非侵襲的診断など条件を満たす場合 IDE 免除

承認目的でない医療機器の臨床試験を実施する場合においても、医療機器が SR に該当する場合、スポンサーは試験開始前に FDA へ IDE 申請を行う必要があり、IRB（Institutional Review Board）はスポンサーが提示したリスク判定について最終判断を行います。
なお SR とは、IDE 規則上、①インプラント、②生命維持・支持を標榜、③診断・治療等で重要な用途、④その他の理由により、被験者の健康・安全・福祉に対する深刻なリスクの可能性を有する治験機器を指します。SR かどうかの判断は機器固有の性質だけでなく、当該プロトコルでの使用方法（結果の使い方、追加手技、臨床判断への影響）に依存します。

一方、リスクが限定的で NSR に該当する場合は、FDA への IDE 提出は不要ですが、略式 IDE（Abbreviated IDE）に従って IRB 承認の下で試験を実施することになります。

また、21 CFR Part 812 に示される Exempt に該当する研究、すなわち市販中の機器をラベリングどおりに使用する場合や、非侵襲的でエネルギー導入を伴わない特定条件の診断機器使用などに該当する場合には、IDE 自体が免除されます。

2-3. 臨床試験が必要となる医療機器の分類

2-3-1. クラス分類

クラス分類	概要	対象機器の例	臨床試験成績（治験成績）の提出の要否
クラス I	・最もリスクが低い医療機器 ・一般的管理（General Controls）のみで安全性・有効性を担保 ・多くが 510(k) 免除	包帯、ガーゼ、弾性包帯、診察用手袋など	ほとんどが 臨床試験不要（510(k) 免除が多く、一般的管理のみ）
クラス II	・中程度リスク ・一般管理＋特別管理（Special Controls） ・多くが 510(k) 必須	血圧計、注射器、カテーテル輸液ポンプ、CT スキャナー、妊娠検査薬、コンタクトレンズ（ソフト・日中装用）など	・臨床データの要否・規模は品目の特性、主張する性能、などに応じて個別判断される。（多くは同等性証明。） ・predicate が存在しない新規の低〜中リスク機器は De Novo の対象
クラス III	・最もリスクが高い機器 ・生命維持・生命支持に関わる、または重篤なリスクを持つ機器 ・PMA 必須	ペースメーカー、人工心臓弁、整形外科インプラント（人工関節等） など	臨床試験成績（臨床試験データ）の提出が通常は必要。

- 510(k)（21 CFR Part 807）：実質的同等性の証明を求める制度
- De Novo（21 CFR Part 860）：新規低〜中リスク機器向け
- PMA（21 CFR Part 814）：高リスク機器向けの厳格な承認制度

FDA は、多くのクラス I と一部のクラス II 機器を 510(k) 免除としています。これは、当該機器の安全性・有効性が十分に理解され、一般的管理（General Controls）で合理的に担保できると判断されるためです。ただし、免除には一般的制限（limitations）があり、Reserved devices に指定されるクラス I 機器や、適応や技術などの重大な変更がある場合には免除が適用されないことがあります。免除の可否や制限の有無は、品目（製品コード）ごとに FDA の Product Classification Database で確認するのが原則です。

また、De Novo は、低～中リスク（クラス I・II 相当）で predicate（適切な既存機器）が存在しない場合の申請ルートです。臨床試験データが常に必須というわけではありませんが、機器の新規性・リスク特性や、非臨床のみでは安全性・有効性の合理的保証を示しにくい場合には、FDA が臨床データの提出を求めることがあります。必要データの範囲はリスクに応じて柔軟に決定されます。De Novo により新たなクラス I/II の機器分類・製品コードが創設され、将来の 510(k) の predicate にもなります。

米国には EU の NB（Notified Body）に相当する制度はありませんが、低～中リスク機器の一部について第三者のレビュー・試験・監査を活用して審査効率化を図る仕組みがあります。いずれも市場許可に関する最終判断は FDA が保持します。

- **3P510k（3P510k／Accredited Persons）：**

  対象となる クラス I/II の一部で、FDA 認定の第三者が 510(k) の実質的同等性（SE/NSE）レビューを実施し、FDA が最終決定を下します。De Novo や PMA には適用されません。制度根拠は FD&C Act §523（21 U.S.C. §360m）で、対象品目は FDA が指定・公開しています。

- **ASCA（Accreditation Scheme for Conformity Assessment）：**

  電気的安全・EMC（Electromagnetic Compatibility）、生体適合など FDA 認定の規格試験を ASCA 認定ラボで実施することで、審査時の再検証の簡素化が図られます。製品の適合性評価を第三者が最終決定する制度ではなく、最終判断は FDA です。

- **MDSAP（Medical Device Single Audit Program）：**

  第三者の Auditing Organization による QMS （Quality Management System）監査報告を、FDA は定期（routine）査察の代替として受け入れます（for cause や PMA 前などは除外）。

3. 体外診断用医薬品

3-1. 米国における体外診断用医薬品の取り扱い

米国 FDA は 21 CFR Part 809 で 体外診断用医薬品（In Vitro Diagnostic：IVD） を「疾病その他の状態の診断、健康状態の判定等を目的として、ヒト由来検体（採取・調製・検査）に使用される試薬・機器・システム」と定義しており、FD&C Act 上の「医療機器」に該当すると規定しており、クラス分類も医療機器に準じています。

クラス分類	概要	対象機器の例
クラス I	・低リスク ・一般的管理（General Controls）のみで安全性・有効性が確保可能と考えられる IVD ・多くは 510(k) 免除	・一般的な臨床検査用試薬（General clinical laboratory reagents） ・汎用試薬（緩衝液、希釈液など） ・一部の尿妊娠検査試薬
クラス II	・中リスク ・一般的管理＋特別管理（Special Controls）が必要 ・多くは 510(k) による市販前届出が必要	・血糖測定システム（Blood glucose test systems） ・免疫測定系（Immunological test systems） ・感染症迅速診断キット（インフルエンザ等）
クラス III	・高リスク ・誤判定が患者の生命・重大な健康被害に直結する可能性がある IVD ・原則として PMA が必要	・HIV/HBV/HCV など重篤感染症の確定診断用 IVD ・コンパニオン診断（Companion Diagnostics） ・NGS による腫瘍遺伝子プロファイル検査

申請における技術資料編集の観点から、IVD は 分析学的妥当性（analytical validity） が中心となることが多く、非臨床データ（感度／特異度／再現性、交差反応、干渉・交差反応等）で十分に当該品の性能特性（当該検査が測定上どれだけ正しく機能するか）に見合う場合、新規性やリスク、臨床環境に応じて臨床性能データ（clinical performance）が不要または限定的で済むことがあります。一方、新規反応原理、臨床リスクが高い用途、患者の治療方針に直結する判定などでは、臨床性能試験が求められます。

臨床的性能データを得るために人を対象とする 臨床試験を行う際、原則として IDE が適用されますが、対象の IVD が以下の 4 条件を満たす場合は IDE 免除となります：

- 非侵襲であること（採血など一般的な低リスク手技は該当しない場合がある）
- 重大なリスクを伴う侵襲的検体採取（Invasive sampling/collection）を要しないこと（脳脊髄液採取など）
- 被験者にエネルギーを加えないこと（放射線、超音波、電気刺激など）
- 実施する検査結果を単独の診断に用いず、既存の確立された方法で確認すること

この免除に該当しない場合、IRB が当該研究を SR か NSR かを判定し、SR であれば FDA 承認の IDE が、NSR であれば略式 IDE の要件下での臨床試験実施が必要になります。

3-2. IVD の臨床性能試験

3-2-1. 実施される試験

米国の IVD に求められる臨床性能試験とは、当該検査が実際の医療現場でどれだけ正確に疾病を識別できるかを示すために実施されるものであり、その主な試験には、臨床の場で前向きに患者検体を収集してゴールデンスタンダード法と比較し陽性一致率（PPA）や陰性一致率（NPA） を評価する前向き臨床性能試験、既存の残余検体や検体バンクを用いて実臨床の症例スペクトラムを再現しながら正確性を確認する後ろ向き試験、追加のサブグループ情報や使用条件の違いを補うために行われるブリッジング試験、そして OTC や在宅・POC 検査を想定して操作性や誤使用リスクを臨床性能とあわせて確認するユーザビリティ併合試験などが含まれます。これらはすべて、FDA が示す臨床性能評価の考え方（PPA/NPA の提示、比較法の妥当性、使用環境の再現）に基づいて設計され、前向き・後ろ向き・操作性評価といった多様な臨床検証を組み合わせることで、市販前審査（IDE）に必要な臨床的エビデンスを整えるものです。

3-2-2. 副作用報告

米国では IVD は医療機器であり、医薬品の副作用報告制度ではなく、医療機器の不具合・有害事象報告制度（Medical Device Reporting, MDR）に包含されます。IVD の臨床性能試験が IDE 適用下で実施される場合、副作用に相当する事象は「予期しない有害デバイス効果（unanticipated adverse device effect, UADE）」として扱われ、21 CFR Part 812 においてスポンサーから FDA および IRB への迅速報告が義務付けられています。

第 2 章：臨床試験の規制に関する細目

1. 国や規制当局による臨床試験の実施の承認に関する法規制

米国においては、未承認医療機器または新たな用途を有する医療機器の臨床試験を実施する際には、FDA が定める 21 CFR Part 812 に基づき、臨床試験開始前に IDE の承認を得ることが求められています。

臨床試験に用いられる医療機器が「SR 機器」に該当する場合、スポンサーは FDA へ IDE 申請（IDE application）を提出し、812.30 に定める条件（FDA 受領後 30 日経過等）を満たすまで当該試験を開始できません。一方で、「NSR 機器」に該当する研究では、FDA への IDE 申請は必須ではないものの、略式 IDE を遵守しつつ、実施施設の IRB の承認を得ることで臨床試験を開始することができます。IDE が適用される臨床試験では、プロトコル、被験者保護、モニタリング、報告義務、ラベリング等について 21 CFR Part 812 の要件（例：ラベリング 812.5、モニタリング 812.46、記録 812.140、報告 812.150 等）を遵守する必要があります。

なお SR に該当する医療機器の臨床試験をするにあたり FDA が IDE 承認を必要としている点は、日本の治験計画届制度と類似しています。日本においては PMDA への届出後、一定期間をもって PMDA の調査が終了するため承認などの規定はありませんが、21 CFR 812 に基づき FDA による IDE 承認が行われると、法的効力を持つ行政決定（order）として FDA はスポンサーに対し書面で通知します（812.30(a)）。

2. ISO 14155 への適合

米国の医療機器臨床試験は主として 21 CFR（例：Part 812 等）に基づき実施されます。少なくとも GCP を定義する主要規定（21 CFR 812.28）では、IEC（Institutional Ethics Committee）による審査・継続審査と同意取得等を含む枠組みとして規定されており、ISO 14155 を直接参照する形ではありません。

一方で、FDA は ISO 14155:2020 を Recognized Consensus Standard（認識規格）として公表しています。認識規格は、医療機器の提出資料において適合宣言等の形で活用され得る枠組みであるが、米国での臨床試験要件を代替する法的根拠ではなく、臨床試験の実施・データ受入れは 21 CFR に定める要求（米国内試験では Part 50/Part 56/Part 812 への適合の表明、米国外試験では 812.28 で定義される GCP への適合の表明）に基づきます。

したがって、ISO 14155:2020 は米国の CFR 要求を置き換えるものではありませんが、被験者保護、データ信頼性確保、モニタリング、倫理審査の必要性などにおいて、21 CFR 812.28 で定義される GCP の枠組みと多くの点で整合するため、運用・文書化の補助的枠組みとして整合しています。

3. 倫理審査委員会や IRB での実施承認のプロセス、法規制

米国における医療機器の臨床試験は、IRB による倫理審査（21 CFR Part 56）と、FDA の IDE 規制（21 CFR Part 812）など、それぞれの法的要件に基づく枠組みの下で実施されます。原則として、FDA 規制下の臨床試験では、IRB の承認と被験者からの適切なインフォームドコンセントの確保が求められ、SR 機器の場合には FDA 側の IDE 手続上、FDA の要件も満たす必要があります（ただし、IRB 審査や同意には規則上の例外規定があります）。これは、被験者の安全・権利の保護と、得られる臨床データの質と信頼性の確保を目的とする、中心的な仕組みとなっています。

IRB は、FDA が規制する臨床試験において被験者保護を担う独立した倫理審査委員会であり、21 CFR Part 56 が IRB の構成、責務、審査手続、継続審査などを定めています。とくに 21 CFR 56.103 は、（56.104/56.105 等の例外を除き）FDA への事前提出要件がある臨床試験（例：Part 812 の対象）について、IRB の初回審査および継続審査がなければ開始できないことを規定しています。また、インフォームドコンセントについては 21 CFR 50.20 が原則（50.22/50.23/50.24 等の例外を除き、被験者の同意を要する）を定めています。

さらに、研究への連邦政府資金が関与する場合には、実施・支援・規制対象となる場合には、Common Rule（45 CFR Part 46）も適用されます。45 CFR 46.101 は、このポリシーが（46.104 の免除研究を除き）連邦省庁が実施・支援・規制対象とする人を対象とする研究に適用されることを定めています。また 45 CFR 46.103 は、当該ポリシーの対象研究に関する遵守保証（Assurance）を OHRP に提出すること等を規定しています。したがって、医療機器の臨床試験が FDA 規制（21 CFR Part 50/56/812 等）と Common Rule（45 CFR Part 46）の双方に該当する場合には、いわゆる二重のコンプライアンス（dual compliance）が必要となります。IRB は、FDA 規制下の要件に加え、Common Rule の要件も満たしているかを確認し、研究全体の倫理的妥当性を評価します。

医療機器の臨床試験では、デバイスが SR か NSR かにより手続が分岐します。IRB が SR に該当すると判断した場合、21 CFR 812.66 に基づき、IRB は治験責任医師および必要に応じてスポンサーへ通知し、スポンサーは 21 CFR 812.30(a)の枠組みに従わない限り当該試験を開始できません。一方、NSR と判断される場合は、21 CFR 812.2(b)の略式 IDE の要件に従い、原則として FDA への IDE 申請

は不要です（ただし FDA が 812.20(a)に基づき申請を要求する場合を除く）。この場合も、IRB は継続審査等を通じて試験を継続的に監視します。

4. 利益相反に関する法規制（透明性関連）

米国において、医療機器の臨床試験に関与する臨床研究実施者の利益相反（Conflict of Interest, COI）は、研究データの信頼性および被験者保護に直接影響を及ぼす重要な論点であり、連邦規則 21 CFR Part 54 に基づき厳格に管理されています。この規制は、臨床試験の結果に研究者の経済的利益が影響を与える可能性を排除し、提出される臨床データの透明性と信頼性を確保することを目的としています。

21 CFR Part 54 は、FDA に提出される医療機器のマーケティング申請（PMA、510(k)、再分類申請など）が依拠する臨床試験に関与した臨床研究実施者について、スポンサー（申請者）がその財務的利害関係を FDA に報告することを義務づけています。ここで規定される利益相反には、研究結果に応じて増減する可能性のある成果連動型報酬、スポンサー企業に対する多額の支払い（臨床試験実施に係る費用を除き、試験期間＋終了後 1 年の合計として 25,000 ドル以上の支払い、コンサル料、設備提供など）、スポンサー企業の株式などの有意な株式保有、および試験対象デバイスに関連する特許・ライセンス等の知的財産権が含まれます。これらの経済的利益は研究者の判断に影響を与え得るため、FDA は提出された臨床データの信頼性評価に際して、開示された財務情報は、FDA が臨床データの信頼性を評価する際、試験設計・目的等の情報や現地調査で得られる情報と併せて考慮されます。

5. 同意説明、同意取得、多言語化に関する法規制

米国において、医療機器の臨床試験を実施する際の同意説明・同意取得（Informed Consent）の要求事項は、連邦規則 21 CFR Part 50 により法的に義務づけられています。Part 50 は、人を対象とする FDA 規制下の臨床試験に適用され、医療機器、医薬品、生物製剤を問わず、被験者の権利・安全・福祉を保護するための基本的な原則として機能しています。

本規則は、被験者が研究への参加に関して十分な情報を得たうえで自主的に意思決定できるようにすることを目的としており、米国で行われる医療機器の臨床試験において中心的な役割を果たします。

被験者が研究に参加する際に十分に理解できる情報を提供することを義務づけており、同意説明文書や関連資料は、被験者が理解できる言語で提供されなければならないと規定しています。具体的には、21 CFR 50.20 において、インフォームドコンセントは「被験者または法的代理人が理解可能な言語で提供されること」が必須であると明記されています。非英語話者等に対する同意取得の考え方はガイダンスである FDA Informed Consent Guidance（Aug 2023）を参照することが推奨されます。

21 CFR 50.20 ならびに 50.25 は、研究者が臨床試験の被験者を研究に参加させる前に、「法的に有効なインフォームドコンセントを取得しなければならない」ことが整理されています。また、この同意取得は、被験者に十分な検討の機会を提供し、強制・不当な影響が及ばない状況で実施されなければならないとされています。文書には研究目的、予測されるリスク・不利益、潜在的利益、代替手段、プライバシー保護、補償・治療の可否、連絡先情報などの核心的内容が含まれる必要があります。

さらに米国では、21 CFR Part 56 に基づき、IRB が同意文書および同意取得手続の妥当性を審査します。IRB は、研究デザインの倫理性だけでなく、説明文書が被験者にとって理解しやすく、不必要に専門的でないか、被験者保護要件を満たしているかを確認する義務があります。IRB は同意説明文書を承認しなければ研究は開始できず、研究期間中も継続的に監視を行います。

米国では医療機器の臨床試験が IDE 下で実施される場合でも、Part 50 の同意取得要件は適用されます。IDE 規制は研究者・スポンサーに対して安全性監視やラベリング・記録管理の要求を課しますが、同意取得は被験者保護の根幹であるため、IDE 提出が必要か否かに関わらず遵守が求められます。また、UADE が発生した場合には、IRB への迅速な報告と必要に応じて同意文書の内容修正が必要となるなど、同意内容は試験期間中も改訂される可能性があります。

6. 被験者の補償に関する法規制

米国において、医療機器の臨床試験で研究関連傷害（research‑related injury）が発生した場合の補償に関する取り扱いは、補償制度の内容そのものを連邦法が定めているわけではありませんが、連邦規則 21 CFR Part 50 に基づくインフォームドコンセントの要件の中で規定されています。FDA は、臨床試験中に想定される傷害や不利益に対して、被験者がどのような治療や補償を受けられるかを明確に説明することを義務づけており、これが米国の補償制度の連邦規則上の要件となっています。

21 CFR Part 50 に基づく FDA のインフォームドコンセント規制では、同意文書に含めるべき基本要素として、傷害が生じた場合に、補償の有無および医療的治療の有無、ならびに（提供される場合）その内容または追加情報の入手先を説明することが求められます。

米国では、補償内容はスポンサー・実施施設・保険契約などによって異なります。しかし FDA は、補償に関する透明性と、被験者が不利益を被らないための説明責任を強く重視しています。そのため、同意説明の段階で、補償が提供されるかどうか、補償の範囲、補償の手続き、 医療費の負担者、などを明確に記述することが不可欠です。これを怠った場合、IRB は同意文書を承認せず臨床試験の承認されないケースがあります。

7. 規制当局への安全性情報報告に関する法規制

米国の医療機器における安全性情報の規制当局への報告は、臨床試験実施中の UADE 等の迅速報告・継続審査と、市販後の死亡・重篤傷害・重大不具合の期限内報告という二層の枠組みで構成されています。報告主体・期限・様式が明確に定義されており、IRB・FDA・スポンサーの三者連携で迅速かつ網羅的な安全性管理が図られています。

7-1. 臨床試験実施中（IDE 下）の安全性報告

IDE 規制は、未承認機器または新たな用途の機器をヒトで評価する際の安全性管理・記録・報告を義務づけます。スポンサーは IRB と FDA の双方に対して、一定の安全性イベントを所定の期限内に報告しなければなりません。UADE は、重大かつ予測不能なデバイス関連有害事象として取り扱われ、速やかな通知・是正が要求されます。IDE の審査・承認後も、重大な逸脱や重要な変更は事前報告の対象となり、年次報告や進捗報告も義務づけられています。IRB は安全性情報を通じて研究の継続可否や同意文書の改訂要否を審査します

（参考）7-2. 市販後の有害事象・不具合報告（MDR：Medical Device Reporting）

上市後の医療機器に関する死亡・重篤な傷害・重大な不具合（再発時に重篤化の恐れがある故障・誤作動を含む）は、MDR（21 CFR Part 803） に基づき FDA に報告する義務があります。製造業者・輸入業者・医療機関ごとに報告対象と期限が定められ、製造業者は eMDR（電子提出）での届出が求められます。

8. 被験者の情報保護（個人情報保護、個人ヘルスケア情報保護）に関する法規制

- インフォームドコンセント（21 CFR Part 50）

- IRB 要件（21 CFR Part 56）
- HIPAA Privacy Rule（45 CFR Part 164 Subpart E）

臨床試験を進めるにあたり、被験者保護に関する規制の遵守は不可欠です。インフォームドコンセントの取得要件を定めた 21 CFR Part 50 は FDA 規制下の臨床試験に適用され、IRB の構成や審査基準などを定めた 21 CFR Part 56 は、FDA が規制する臨床試験を審査する IRB の基準を定め、特に所定の試験では IRB の初回審査・承認および継続審査が求められます。これらの基準により、IRB により臨床試験中の個人情報保護に係る説明や取扱い規定が精査されます。

さらに、研究で 個人識別可能な健康情報（Protected Health Information, PHI）を扱う場合には HIPAA Privacy Rule（45 CFR Part 164 Subpart E）に従い、原則として患者の同意が必要であり、同意が不要な場合でも IRB／Privacy Board の承認をうけた特例措置（Waiver）に基づくデータ保護措置が必要となります。

9. 臨床試験実施データの開示に関する法規制

米国では、ClinicalTrials.gov による登録・結果公表が FDAAA 801 および 42 CFR Part 11 で義務化されており、適用臨床試験（Applicable Clinical Trial, ACT）に該当する医療機器試験は、最初の被験者登録から 21 日以内の登録と、主要評価項目に関するデータ収集完了から 12 か月以内の結果提出が求められます。米国国立衛生研究所（National Institutes of Health, NIH ）資金や ICMJE （International Committee of Medical Journal Editors）方針により、法令対象外の試験でも実務上の登録義務が生じることが多く、FDA は Form FDA 3674 による適合証明、BIMO（Bioresearch Monitoring Program）等の監視活動や、CMP（Compliance Management Program）等の執行枠組み通じて透明性確保を図っています。日本の jRCT に相当する主要な公的レジストリは米国では ClinicalTrials.gov であり、国際共同試験や承認申請・学術発表を見据えた早期・正確な登録運用が必須です。

10. データ等の電子化に関する法規制

米国において、医療機器の臨床試験におけるデータの電子化（electronization）は、電子記録（Electronic Records）および 電子署名（Electronic Signatures）の取り扱いを定めた 21 CFR Part 11 を中心に規制されています。Part 11 は、電子化されたデータが紙媒体と同等の信頼性・完全性を持ち、規制当局が審査可能な形で保存されることを目的としており、臨床試験で使用される電子データ収集（Electronic Data Capture, EDC）、電子症例報告書（eCRF）、電子署名、監査証跡（audit trail）など、電子的に生成・保存される記録のうち規制要件に基づき作成・維持・提出される電子記録が対象となります。

Appendix：本要約中に引用された法規制・ガイダンス一覧（記載順）

1. Federal Food, Drug, and Cosmetic Act
   略称：FD&C Act
   和訳：食品医薬品化粧品法
   https://www.govinfo.gov/content/pkg/COMPS-973/pdf/COMPS-973.pdf

2. 21 CFR Part 11 — Electronic Records; Electronic Signatures
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-11

3. 21 CFR Part 50 — Protection of Human Subjects (Informed Consent)
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-50

4. 21 CFR Part 56 — Institutional Review Boards
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-56

5. 21 CFR Part 803 — Medical Device Reporting
   略称：MDR
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-803

6. 21 CFR Part 54 — Financial Disclosure by Clinical Investigators
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-54

7. 21 CFR Part 892 — Radiology Devices
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-892

8. 21 CFR Part 807（510(k)） — Establishment Registration and Device Listing for Manufacturers and Initial Importers of Devices
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-807

9. 21 CFR Part 809 — In Vitro Diagnostic Products for Human Use
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-809

10. 21 CFR Part 812 — Investigational Device Exemptions
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-812

11. 21 CFR Part 814 — Premarket Approval of Medical Devices
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-814

12. 42 CFR Part 11 — Clinical Trials Registration and Results Information Submission
    https://www.ecfr.gov/current/title-42/chapter-I/subchapter-A/part-11

13. 45 CFR Part 46 — Protection of Human Subjects
    https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-A/part-46

14. Design Considerations for Pivotal Clinical Investigations for Medical Devices (2013, Final) https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/design-considerations-pivotal-clinical-investigations-medical-devices

15. Oversight of Clinical Investigations — A Risk‑Based Approach to Monitoring (2013, Final) https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/oversight-clinical-investigations-risk-based-approach-monitoring

16. A Risk-Based Approach to Monitoring of Clinical Investigations Questions and Answers (2023, Final) https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/risk-based-approach-monitoring-clinical-investigations-questions-and-answers

17. 21 CFR Part 860 ― Medical Device Classification Procedures
https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-860

18. ISO 14155:2020 Clinical investigation of medical devices for human subjects — Good clinical practice

19. FDA Informed Consent Guidance (Aug 2023)
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/informed-consent

20. 45 CFR Part 164 Subpart E — HIPAA Privacy Rule
https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-C/part-164/subpart-E

21. Food and Drug Administration Amendments Act of 2007
略称：FDAAA
https://www.govinfo.gov/content/pkg/PLAW-110publ85/pdf/PLAW-110publ85.pdf#page=82
    - Section 801

EU における医薬品の臨床試験の法規制

作成日：2026 年 2 月 20 日

第 1 章：EU における医薬品の臨床試験を取り巻く規制

1. 法規制の階層構造

1-1. 法体系

EU における医薬品の臨床試験の法規制は、Regulation（規則）、Directive（指令）、ガイダンス等の複数のレイヤーからなる階層構造（ピラミッド構造）で成り立っています。

EU 条約（一次法）に基づき制定された規制（二次法）として、加盟国に直接適用される Regulation（規則）が臨床試験規制の中核をなしており、その基本的枠組みとして Clinical Trials Regulation（Regulation (EU) No 536/2014, CTR）が位置づけられます。CTR は、臨床試験の申請・審査・実施に関する要件を EU 域内で統一し、国際共同試験の効率化と被験者保護の両立を図る制度です。また、臨床試験情報の透明性確保を目的として、CTIS（Clinical Trials Information System）を通じた申請および情報公開を求めています。

これに対し、Directive（指令）は加盟国が国内法へ転換することにより実施される法形式であり、医薬品全般の規制枠組み（例：Directive 2001/83/EC）などが該当します。臨床試験に直接適用される規制は CTR ですが、臨床試験データが最終的に医薬品の承認審査（Marketing Authorisation）に用いられることを踏まえると、Directive（指令）に基づく要件や概念が参照される場面もあります。

さらに、CTR 等の解釈や実務運用を補うものとして、欧州委員会（European Commission）や European Medicines Agency（EMA）等が示す EU ガイダンス（Q&A、通知、手順書）が存在します。これらは法的拘束力を持ちませんが、加盟国当局を含む EU 全体で一貫した運用を行うための重要な参照資料となります。

加えて、臨床試験の国際的な科学的・倫理的標準として ICH ガイドライン（例：ICH E6（GCP）、ICH E8（臨床試験設計））が活用されます。ICH も原則として直接の法令ではないものの、GCP 遵守は EU において実質的に必須の基準となっています。

最後に、ヘルシンキ宣言等の宣言・倫理規範が位置づけられます。これらも法的拘束力を持ちませんが、臨床試験の倫理性や被験者保護の原則を支える根本的規範として、規制・審査・実務の判断に影響を与えます。

1-2. 規制当局

EU においては、欧州委員会（European Commission）が CTR の法令作成や改正に関与し、EU レベルで規制枠組みの策定・調整（条文及び実施手順の制定）を担っています。EMA は規則全体の調整役であり、CTIS を維持・運用しています。EU では、加盟各国の規制当局（National Competent Authority, NCA）が各国に一つ以上設置され、医薬品の臨床試験の承認・監督を行い、CTIS を通じて申請内容を審査します。必要に応じて各国内の NCA から独立した倫理審査委員会（Ethics Committees, EC）が関与し、その評価が臨床試験の実施可否の判断に反映されます。

2. 医薬品の臨床試験に適用される規制

CTR において、clinical study が CTR Article 2(2)(1)に、clinical trial が CTR Article 2(2)(2)にそれぞれ定義されています。EU における医薬品の臨床試験は、以下に示す CTR 適用対象の臨床試験（clinical trial）の定義に該当するか否かで、まず分類されます。

(a) 被験者を特定の治療戦略に割り付けることが、あらかじめ決定されており、かつ、当該加盟国における通常の臨床診療（normal clinical practice）の範囲に含まれない場合
(b) 臨床試験用医薬品（investigational medicinal products, IMP）を処方する決定が、被験者を当該臨床研究に組み入れる（登録する）決定と同時に行われる場合
(c) 通常の臨床診療に加えて、追加の診断手順またはモニタリング手順が被験者に適用される場合

ヒトに対する医薬品の介入的な臨床試験は、CTR の適用対象となります。CTR 適用対象の臨床試験には、未承認薬を評価する試験、既承認薬の新用量、新適応、新規投与方法等を検証する試験が含まれ、これらは追加的リスクや負担を伴う可能性がある試験として整理されます。CTR は、医薬品の販売区分（処方箋医薬品か OTC か等）により適用範囲を区別するものではないため、Directive 2001/83/EC（Community code relating to medicinal products for human use）Article 1(2)にて規定される「医薬品（medicinal product）」に該当する製品に対する臨床試験を行う場合、CTR の適用対象となります。

CTR の適用対象外となる試験は、非介入試験（non-interventional study）または観察研究（observational study）等として整理されます。これらは、治療方針や医薬品の投与が臨床試験実施計画書によって決定されるのではなく、通常診療の範囲の結果として得られるデータを観察・収集・解析する研究を指します。

CTR 適用対象の臨床試験は、一定の条件を満たす場合に low-intervention clinical trial として分類されます。low-intervention clinical trial に該当する場合、試験の特性に応じて、モニタリングや IMP 管理等の要件について合理化・簡素化措置が認められます。low-intervention clinical trial は、既承認医薬品を用いる試験であり、承認された用法・用量に従う場合、または十分な科学的根拠に基づく使用である場合などが該当します。これらは、介入に伴う追加的リスク・負担が最小限である試験として整理されます。

先端医療医薬品（Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP）を対象とする試験や、公衆衛生上の緊急時に実施される試験（Public Health Emergency）においては、CTR の枠組みに加え、製造・品質管理や迅速化手続等に関する追加の規制要件やガイダンスが適用されます。

CTR の下では、臨床試験の申請・審査手続が EU 全域で統一されています。申請は CTIS を通じたオンライン手続が義務化されています。試験目的は申請情報として記載されますが、これは CTR 上の適用可否を分ける要件ではありません。介入的な臨床試験であれば、原則として同一の法的枠組みで取り扱われます。CTIS は、CTR に基づく EU および欧州経済領域（European Economic Area, EEA）の臨床試験制度を運用するための共通基盤であり、制度の統一を実務上成立させるための中核インフラとして位置づけられています。単一申請窓口としての機能と、EU 加盟各国の規制当局の共同評価・監督、および臨床試験情報の公開（透明性確保）を同時に担います。

3. 対象となる規制を検討するための分類

EU で介入を伴う医薬品の臨床試験・臨床研究を実施する際、その対象となる規制・ガイダンスを検討するには、様々な分類が考えられます。

3-1. CTR の適用対象となる臨床試験に適用される規制

CTR の適用対象となる臨床試験では、申請・審査・実施・安全性報告・透明性（情報公開）等の基本要件が CTR により規定され、これらの手続は CTIS を通じて行われます。また、試験の品質確保および被験者保護の観点から GCP 遵守が求められることに加えて、IMP の製造・品質管理や供給に関する要求（GMP 等）や、被験者情報を取り扱う際の個人情報保護規制（General Data Protection Regulation, GDPR）も横断的に適用されます。

3-2. CTR の適用対象外となる臨床試験に適用される規制

CTR 適用対象外の臨床試験は、一般に Non-interventional study（非介入試験）または observational study（観察研究）として整理され、CTIS を通じた臨床試験申請や CTR に基づく審査手続は原則として適用されません。ただし、CTR の適用対象外であっても、被験者保護や研究倫理、データ管理の観点から、一定の規制対応は引き続き必要となります。

特に、個人データを取り扱う場合には GDPR の適用を受けるため、同意取得、データ処理の適法性、二次利用、域外移転等の観点から適切な管理が求められます。また、倫理審査や研究実施体制に関する要求は各国制度の影響を受けるものの、EU 共通の倫理原則に基づき適切な審査・管理が前提となります。さらに、当該研究が承認後安全性評価等と関連する場合には、医薬品規制の枠組み（例：承認後安全性監視に関する考え方）と整合する形で設計・実施されることが実務上重要となります。

3-3. low-intervention clinical trial に適用される規制

低介入臨床試験（low-intervention clinical trial）は、CTR Article 2(3)(k)にて定義されています。低介入臨床試験に該当する場合、被験者保護を損なわない範囲で、試験運用上の要求事項（例：モニタリング、品質管理、IMP 管理、文書化等）を、試験の特性に応じて合理化（proportionate）することが可能であると整理されます。

CTR Article 2(3)(k)では、低介入臨床試験の要件として、（1）プラセボを除く IMP が承認されていること、（2）試験プロトコルにおける IMP の使用が、販売承認の条件（terms of the marketing authorisation）に従った使用である、またはエビデンスに基づく使用であり、関係する加盟国のいずれかにおいて当該 IMP の安全性および有効性に関する公表された科学的根拠により支持されていることを求めています。加えて、通常の診療行為（normal clinical practice）と比較して、追加の診断またはモニタリング手技が、被験者の安全性に対して最小限を超える追加リスクまたは負担を生じさせないことが要件とされています。

一方で、低介入臨床試験における運用上の合理化について、CTR は具体的な実施内容（例：モニタリング頻度等）を一律に規定しているわけではありません。そのため、合理化の適用は、試験の特性および被験者リスクに応じた risk-proportionate approach（比例原則）に基づき、スポンサーが科学的根拠をもって設計・運用することが前提となります。低介入臨床試験として申請・実施する際には、当該試験が Article 2(3)(k)の要件を満たすことを明確に示した上で、合理化する運用事項（例：モニタリング方法、IMP 管理、文書化範囲等）について、被験者保護およびデータ品質を確保できる根拠とともに説明することが重要です。

3-4. 先端医療医薬品（ATMP）を対象とする試験

EU における ATMP は医薬品の特別類型であり、その法的基盤は Regulation (EC) No 1394/2007（ATMP Regulation）と、Directive 2001/83/EC の Annex I 第 IV 部に置かれています。前者が ATMP の全体枠組みと組織工学製品・複合 ATMP の定義を与え、後者が遺伝子治療医薬品（GTMP）および体細胞治療医薬品（sCTMP）の定義を与えるという役割分担になっています。ATMP に含まれる具体的な製品類型は 4 つで、遺伝子治療医薬品（GTMP）、体細胞治療医薬品（sCTMP）、組織工学等製品（TEP）、そして医療機器が不可分に組み込まれた複合 ATMP です。また、ATMP Regulation は、EMA の専門委員会（Committee for Advanced Therapies, CAT）等の関与を含む体制を規定しています。どの製品が ATMP に該当するかは、EMA 内に設置された CAT が担当し、開発企業からの依頼に基づいて「分類に関する科学的勧告」（classification recommendation）を発出します。

ATMP を用いる臨床試験は、CTR 適用対象に該当する限り CTR に基づき申請・審査・実施されます。加えて、ATMP は製造・品質および生物学的リスクの管理が特に重要となることから、CTR に加えて、ATMP に関する個別の規制・ガイドライン等を踏まえた追加的な対応が求められます。

ATMP を用いる臨床試験では、対象となる ATMP の特性に応じたリスク評価および試験設計上の合理性を十分に説明できることが重要です。

- 遺伝子治療薬の場合には、EMA が公表する「遺伝子治療医薬品の品質・非臨床・臨床に関するガイドライン」（Guideline on the quality, non-clinical and clinical aspects of gene therapy medicinal products）において、開発および評価の基本原則が示されており、ATMP 臨床試験の計画・申請における重要な参照文書となります。
- 遺伝子組換え細胞を含む ATMP（例：遺伝子改変細胞を用いる細胞治療等）の場合には、遺伝子組換え細胞に関する EMA ガイドライン（Guideline on quality, non-clinical and clinical aspects of medicinal products containing genetically modified cells（EMA/CAT/GTWP/671639/2008 Rev.1））等を参照し、品質・非臨床・臨床の観点から当該製品特性に応じた追加的評価を行う必要があります。
- 承認申請段階ではなく開発段階の ATMP（investigational ATMP）を用いる場合には、EMA が公表する「Guideline on quality, non-clinical and clinical requirements for investigational advanced therapy medicinal products in clinical trials」を参照し、ATMP の臨床試験における品質・非臨床・臨床要件を踏まえた上で、臨床試験実施に必要なデータパッケージの妥当性を説明することが求められます。
- ヒト由来細胞・組織を原材料（ドナー材料）として使用する場合は、ドナー適格性評価、採取・取扱い、感染症リスク管理、トレーサビリティ等に関し、Directive 2004/23/EC（European Tissues and Cells Directive）およびその実施指令である Commission Directives 2006/17/EC、2006/86/EC に基づく管理が求められます。
- 遺伝子組換え生物等（Genetically Modified Organism, GMO、遺伝子組換え技術により遺伝物質が改変されたもの）に該当する場合、臨床試験は CTR に基づき実施される一方で、Directive 2001/18/EC（deliberate release）および／または Directive 2009/41/EC（contained use）の枠組みに基づき、ERA を含む追加の当局手続が求められる可能性があります。このため、GMO 該当性の評価および関連手続き（提出資料、審査手順、必要期間等）について、欧州委員会が公開する国別要件情報（country fiches）を含め、各加盟国の要求を踏まえて計画する必要があります。

ATMP は製造・品質管理の比重が大きいことから、IMP の製造管理および品質管理（GMP）の観点でも追加的な整理が必要となります。特に ATMP は製造工程の複雑性や製品ばらつきの管理が重要であり、EU GMP（EudraLex Volume 4）等の要件を踏まえた製造管理（無菌性確保、原材料管理、工程管理、保管・輸送、変更管理等）を適切に確立し、その妥当性を説明できることが重要です。

以上より、ATMP を用いる臨床試験においては、CTR に基づく一般的要件（被験者保護、同意、安全性報告、透明性等）を満たすことに加え、ATMP Regulation および EMA の関連ガイドライン

等に基づく品質・非臨床・臨床の追加検討、GMP および原材料管理（ヒト由来材料を含む）の適切な統制、ならびに GMO 該当性がある場合の ERA 等、製品特性に応じた追加要件を踏まえた申請・運用設計が必要となります。

3-5. 複合製品の臨床試験に関する規制

医薬品と医療機器の複合製品（Combination Product）に関連する臨床試験は、CTR 適用対象に該当する限り CTR に基づき申請・審査・実施されます。当該臨床試験において、医薬品の投与・使用に不可欠な医療機器（例：投与デバイス、吸入器等）を併用する場合には、医療機器規制である Medical Device Regulation（MDR：Regulation (EU) 2017/745）の要求事項も踏まえた整理が必要となります。MDR Article 1(8)および Article 1(9)において、医薬品と医療機器が組み合わされる製品等の取扱いが整理されています。

Combination Product を用いる臨床試験では、IMP の投与方法や使用手順が医療機器の仕様や使用条件と密接に関連する場合があります。このため、試験における当該医療機器の位置づけ（試験の主対象か、投与・使用の補助か等）や想定する使用方法を明確にし、医薬品の有効性・安全性評価が、医療機器の使用条件や操作の差によって不当に影響を受けないよう、投与・使用条件を試験計画上明確化することが重要です。実務上は、欧州委員会（European Commission）の医療機器調整グループである MDCG（Medical Device Coordination Group）が公表する MDCG 2019-2（Guidance on the borderline between medical devices and medicinal products under Regulation (EU) 2017/745）や、EMA が公表する Q&A（Questions & Answers… regarding medicines used in combination with medical devices…（EMA/37991/2019））等が、規制上の論点整理や当局相談時の観点把握に有用です。

なお、Combination Product を用いる臨床試験では、医薬品と医療機器のいずれが主たる作用（principal mode of action）を担うかにより、規制の軸（医薬品規制／医療機器規制）および求められる評価の重点が異なります。CTR 適用試験として実施する場合であっても、Combination Product に該当し得ることを前提に、必要に応じて MDR に基づく要求事項を追加的に考慮し、CTR 申請（試験計画・運用）と MDR 上の要求事項が矛盾しないよう整理した上で、申請・運用設計を行うことが重要です。

3-6. 第 I 相試験（First-In-Human / early phase）に関する規制

第 I 相試験（Phase 1 試験）に該当する医薬品の臨床試験は、CTR 適用対象に該当する限り CTR に基づき申請・審査・実施されます。Phase 1 試験は安全性、忍容性、薬物動態（PK）等の評価を主眼とすることが多く、試験の特性に応じたリスク評価およびリスク低減策を十分に設計・説明することが重要となります。特に Phase 1 試験の中でも First-In-Human（FIH）では、一般的な Phase 1 試験以上に初回投与量設定、用量漸増、安全性モニタリング、停止基準等の観点からリスクを特定し、リスク低減策を明確に示す必要があります。これらの実務上の根拠として、EMA は

「Guideline on strategies to identify and mitigate risks for first-in-human and early clinical trials with investigational medicinal products（EMEA/CHMP/SWP/28367/07 Rev.1）」を公表しており、FIH を含む Phase 1 試験におけるリスク管理の重要な参照文書となります。
また、Phase 1 試験では試験開始に必要な非臨床安全性データパッケージの妥当性が主要論点となることから、非臨床安全性試験の実施時期・要件を整理した国際ガイドラインである ICH M3(R2)（Non-clinical safety studies for the conduct of human clinical trials and marketing authorisation for pharmaceuticals）を踏まえて準備することが求められます。

3-7. 希少疾患薬（Orphan Drug）を対象とする試験

希少疾病用医薬品を対象とする臨床試験は、CTR 適用対象に該当する限り CTR に基づき申請・審査・実施されます。加えて、CTR とは別に希少疾病用医薬品の指定制度およびインセンティブを定める規制として Regulation (EC) No 141/2000（Orphan Regulation）が適用されます。この Orphan Regulation は、希少疾病用医薬品の指定（orphan designation）のための共同体手続を定め、希少疾病領域における研究開発を促進するためのインセンティブを付与する枠組みであり、EMA の COMP（Committee for Orphan Medicinal Products）が希少疾病用医薬品としての指定を行います。
希少疾病用医薬品の指定要件は Orphan Regulation Article 3(1)に定められており、同条では、当該医薬品が生命を脅かすまたは慢性的に重篤な疾患（life-threatening or chronically debilitating condition）の診断・予防・治療を目的とすることを前提に、当該疾患が申請時点で EU 域内において「10,000 人当たり 5 人以下」であること、またはインセンティブがなければ当該医薬品の販売によって必要投資を正当化する十分な収益が見込めないことを要件としています。さらに、当該疾患について満足すべき診断・予防・治療法が EU で承認されていないこと、または既存の方法が存在する場合には当該医薬品が当該疾患に罹患する者に対し有意な便益（significant benefit）をもたらすことを示す必要があります。
希少疾病用医薬品の指定を取得した場合、開発・承認プロセスにおいて、protocol assistance（希少疾病用医薬品向けの科学的助言）や規制手数料の減免等の支援を受けます。また、当該製品が EU で販売承認を取得した後には、一定の場合を除き、原則として 10 年間の市場独占（orphan market exclusivity）が付与され、同一適応で類似の医薬品の上市が制限されます。

3-8. 小児を対象とする臨床試験に適用される規制

小児（CTR では未成年者を “minors” として整理）を対象とする臨床試験については、被験者保護およびインフォームド・コンセントに関する一般原則（CTR Article 28）に加え、小児に特有の追加要件が CTR Article 32 に規定されています。CTR Article 32 では、当該試験が小児において実施される科学的・倫理的妥当性を満たすことを前提に、負担と利益のバランスが適切であることが求められます。具体的には、小児本人に対する直接的利益が見込まれる場合には、当該利益がリスクおよび負担を上回ることが必要となるほか、直接的利益が見込まれない場合には、小児集

団における医学的知見の獲得に資することを前提として、被験者に生じるリスクおよび負担が最小限に抑えられていることが求められます。このため、試験計画の設計においては、試験負担の最小化（例：採血回数の抑制、侵襲性の低減等）を含めた倫理的配慮を行い、その妥当性を説明できるよう整理することが重要です。

また、同意手続きに関して、CTR Article 32 では法定代理人（保護者等）の同意取得を必須としつつ、小児本人についても年齢および成熟度に応じて適切な情報提供を行い、本人の意思を確認し（アセント）、不同意の意思が示された場合にはこれを尊重することを求めています。さらに、臨床試験期間中に被験者が加盟国法上の同意能力年齢に到達した場合には、改めて本人の同意を取得する必要があります。

加えて、EU における小児医薬品開発については、臨床試験の実施要件としては CTR が適用される一方、医薬品開発の制度面では、Paediatric Regulation（Regulation (EC) No 1901/2006）により小児開発を促進する枠組みが別途設けられています。同規則に基づき、原則として小児試験計画（Paediatric Investigation Plan, PIP）の提出および承認が求められ、EMA の小児委員会（Paediatric Committee, PDCO）が PIP の審査を行います。PIP には、小児の年齢層別の試験計画、適切な製剤設計（服用しやすい剤形等）、開発タイムライン等が含まれます。小児を対象とする臨床試験は、CTR に基づく倫理・同意要件を満たすだけでなく、PIP の要請と整合する必要があります。

3-9. 公衆衛生上の緊急時（Public Health Emergency）に実施される試験

「公衆衛生上の緊急事態（Public Health Emergency）」とは、EMA の緊急時対応体制（Emergency Task Force, ETF）に関連する概念であり、Regulation (EU) 2022/123 において定義されています。同規則では、公衆衛生上の緊急事態を、Decision No 1082/2013/EU（Serious cross-border threats to health）に基づき、欧州委員会（European Commission）が正式に認定した状況として定義しています。したがって、Public Health Emergency は広義の「社会的に緊急性が高い状況」を指す一般用語ではなく、EU 法令上の手続により認定された緊急事態（パンデミック等）を指す概念です。Public Health Emergency に関連する医薬品の臨床試験では、CTR 適用対象に該当する限り CTR に基づき申請・審査・実施されます。加えて、公衆衛生上の緊急事態下では試験の迅速な実施および被験者保護の両立が特に重要となることから、EMA による ETF を活用した対応が検討され得ます。

EU では EMA の強化規則である Regulation (EU) 2022/123 に基づき、EMA 内に ETF が設置されています。ETF は、公衆衛生上の緊急事態において、治療薬・ワクチン等の開発に関する科学的論点や、臨床試験プロトコルに関する助言を提供し、EU 域内における臨床試験実施を促進する役割を担います。また、ETF による支援は、EU 加盟国規制当局間で CTR の運用調整を担う枠組みである Clinical Trials Coordination Group（CTCG）等とも連携し、EU 域内での臨床試験の迅速かつ円滑な実施を支援します。

3-10. 規制麻薬の臨床試験に関する規制

麻薬・向精神薬等の規制対象物質を含む医薬品を用いる臨床試験は、CTR 適用対象に該当する限り CTR に基づき申請・審査・実施されます。加えて、麻薬・向精神薬として規制対象となる物質は乱用・逸脱（diversion）リスクが高いことから、当該物質の保管・管理・流通（輸入、輸送、保管、交付、廃棄等）については、各 EU 加盟国の国内法令に基づく追加要件（許可・届出、管理責任者の設定、帳簿管理、保管設備要件等）を踏まえて試験体制を構築する必要があります。当該追加要件は、要求事項の内容自体は加盟国間で概ね共通する一方、許認可手続や運用詳細は加盟国ごとに差が残るため、各国要件を踏まえた個別確認が必要となります。

第 2 章：EU における医薬品の臨床試験の規制に関する細目

臨床試験を構成する下記の要素について、求められる要件を整理します。EU で実施する医薬品の臨床試験において、介入を伴う試験はすべて CTR の適用対象となります。CTR 適用対象の臨床試験の中でも、low-intervention clinical trial に該当する場合で対応が異なる場合は、併せて概説します。

1. 国や規制当局による臨床試験の実施の承認

EU で医薬品の臨床試験が CTR の適用対象となる場合、試験開始前に求められる規制当局の審査は、CTIS を通じて実施されます。EMA は CTIS の運用主体を担っており、各 EU 加盟国の規制当局（NCA）が審査を行います。申請資料（Clinical Trial Application, CTA）は各 EU 加盟国で共通枠組みの評価（Part I：臨床試験の科学的妥当性や製品の品質・安全性・有効性に関する情報）と、各 EU 加盟国固有の評価（Part II：被験者募集、同意取得を含む事項）で構成され、加盟国ごとに評価・意思決定が行われます。同一プロトコルに基づき EU 内の複数加盟国で臨床試験を実施する場合、申請資料は共通評価対象である Part I を統一的に準備し、加盟国固有要件に対応する Part II を国別に補完する形で構成されるため、国別に申請内容を全面的に作り分ける負担を抑えつつ、CTR に整合した形で多国間試験の承認取得を計画することが可能となります。

なお、低介入臨床試験（low-intervention clinical trial）として申請する場合であっても、承認手続自体は CTIS を通じた Part I／Part II 評価の枠組みに従います。一方で、CTA において当該試験が CTR Article 2(3)(k)の要件を満たすこと、運用事項（例：モニタリング等）を合理化する場合はその妥当性を、被験者保護とデータ品質の観点から説明することが重要となります。

一方、CTR の適用対象外となる研究については、CTR に基づく EU として統一された臨床試験承認手続（CTIS 申請）の対象とはならず、各 EU 加盟国の国内法令（倫理審査手続等）および GDPR 等の横断的規制に基づき管理されます。

2. 倫理審査委員会（EC）による臨床試験実施の承認

前述の通り、CTR 適用試験では CTIS を通じた審査が Part I（EU 共通）と Part II（国別）に区分される枠組みの下で、各 EU 加盟国の国内制度に従い倫理審査委員会（EC）による倫理審査が組み込まれて運用されます。実務上、同意文書や被験者向け資料、被験者募集、補償、プライバシー保護、脆弱集団の取扱い等、被験者保護に直結する事項は主として Part II に含まれるため、倫理審査委員会（EC）の関与は Part II における倫理・被験者保護に関する評価の中核を担います。なお、Part II は当局のみが審査する領域を意味するものではなく、EU 加盟国ごとの制度に基づき倫理審査委員会（EC）が評価に関与し、その結果が当該国の意思決定に反映される点に留意が必要です。したがって、CTIS 提出資料は規制当局向けの資料であると同時に倫理審査の根拠資料にも

なり得ることを踏まえ、科学的妥当性と被験者保護を一体として説明できる構成とすることが重要です。

EU における倫理審査委員会（EC）の審査体制は EU 加盟国ごとに統一されておらず、各国の制度に基づき複数の形態が存在します（central EC、regional EC、institutional/hospital EC 等）。このため、多国間試験では国別に倫理審査委員会（EC）審査要件を満たすよう、Part II 資料を適切にローカライズする必要があります。倫理審査委員会（EC）が審査する内容は、被験者への説明と同意取得の適切性（理解可能性、多言語化、撤回の自由等）を中心に、被験者募集方法の妥当性、リスク・負担の最小化、脆弱集団への配慮、補償の整理、ならびに個人情報保護（GDPR を踏まえた通知内容やデータ管理）を含みます。

3. 臨床試験における利益相反（Conflict of Interest, COI）

EU の医薬品臨床試験における COI は、CTR、ICH-GCP、EU 加盟各国の倫理審査・研究ガバナンス上の運用、ならびに EFPIA Disclosure Code 等の業界コードの組合せにより、実務上の管理要件が形成されています。EU 加盟各国で共通した対応として、スポンサーおよび医療機関は、研究者および試験関係者に関する COI の有無を把握し、臨床試験の科学的妥当性、被験者の権利・安全の確保、データの信頼性に影響し得るリスクを評価したうえで、必要に応じて適切な管理措置を講じることが求められています。具体的には、研究者や試験関係者の報酬、講演・コンサルティング、研究費、株式等の金銭的関係や役職・兼業の状況を把握し、適切に記録・更新することが求められます。これらは倫理審査委員会（EC）審査や試験実施中の品質管理の枠組みで確認され、試験運営の透明性確保に資します。

4. 被験者への説明と同意取得、多言語化

CTR 適用試験において、被験者への説明と同意取得は被験者保護の中核となる要件です。CTR では、同意取得の一般要件に加え、被験者属性（判断能力を欠く被験者、未成年者、妊娠・授乳中の女性等）に応じた追加要件についても規定しています（Article 30 - 35）。また、ICH-GCP において、同意取得の実務要件（同意説明・同意文書に含めるべき事項、同意取得の時点・方法、文書化および記録保持等）が規定されています。さらに CTR Annex I では、CTIS 申請において提出が求められる情報として、被験者募集および同意取得手順に関する説明が含まれます。

同意文書および被験者向け説明資料は、加盟国の審査プロセスにおいて倫理審査委員会（EC）が関与し、その妥当性が評価されます。多国間試験では、同意文書の多言語化は単なる翻訳作業ではなく、各国の文化・医療提供体制・保険制度・苦情窓口等の違いを踏まえたローカライゼーションが必要となります。特に、臨床試験参加による便益と不利益、代替治療選択肢、試験中止時の取り扱い、プライバシー、補償、データ公開といった事項は国別に求められる記載水準が異なるため、共通コア文書（Master ICF）を基盤としつつ、国別付属文書（Country Addendum）により差分を管理する設計が実務的です。

5. 被験者の補償

CTR 適用試験における被験者の補償は、CTR Article 76 により EU 加盟国が補償制度（保険、保証、または同等の取り決め）を備えることが義務づけられています。EU として単一の対応を求めるのではなく、補償の具体的内容は各加盟国の国内法および当局／倫理審査の運用に委ねられています。実務上は、CTIS 申請（Part II）において保険・補償の証明を提出することが必須要件となります。

low-intervention clinical trial に該当する試験では、リスクが低いことを前提に保険・補償要件が緩和・簡素化される場合がありますが、これは一律ではなく、EU 加盟国ごとの運用および倫理審査の判断に依存します。

6. 安全性情報の規制当局への報告

CTR 適用試験における安全性情報の各国規制当局（NCA）への報告は、CTR を中核として制度上の必須要件として規定されています。加えて、EU 医薬品安全性規制（Pharmacovigilance legislation：Regulation (EC) No 726/2004 および Directive 2001/83/EC（改正を含む））、これらと整合した ICH ガイドライン（ICH E2A / E2B / E2D / E2F / E6 等）、ならびに EMA/European Commission の関連ガイダンス（EMA guidance on safety reporting under CTR 等）を踏まえて運用されます。SUSAR（suspected unexpected serious adverse reaction）の迅速報告および年次安全性報告（Annual Safety Report, ASR、DSUR に相当）の提出は、EudraVigilance と呼ばれる EU 共通の医薬品安全性情報データベースを通じて電子的に行われ、各国規制当局は同データベースを介して安全性情報を把握します。

さらに CTR では、試験ごとのリスクに応じた安全性管理（risk-proportionate）の考え方に基づき、一定条件下で AE/SAE の収集・評価方法を合理化し得ます。low-intervention clinical trial では、試験の低リスク性を前提として、この合理化を適用し得る余地が相対的に大きくなります。この合理化を適用する場合には、あらかじめプロトコル上で収集対象および手順を明確に規定し、その妥当性を規制当局（NCA）および倫理委員会（EC）に対して説明可能であることが重要となります。

先端医療医薬品（ATMP）を対象とする試験では、治療効果や影響が長期に及ぶ可能性や、免疫学的反応、製造・品質に起因する特有のリスクを考慮する必要があります。このため、試験設計段階から長期フォローアップや専門的評価を含む安全性評価体制を厚く構築する必要があります（ATMP Regulation）。

公衆衛生上の緊急事態（Public Health Emergency）に関連する試験では、公衆衛生全体への影響が大きいことから、安全性情報の迅速な評価と共有が特に重視されます。通常時の各国規制当局による監督（CTR に基づく安全性報告枠組み）を前提としつつ、Regulation (EU) 2022/123 に基づき EMA 内に設置された ETF 等の枠組みを通じて、EU 域内における評価の整合や情報共有がより迅速かつ円滑に行われることが期待されます。

7. 被験者の情報保護（個人情報保護、個人ヘルスケア情報保護）

EU において被験者の情報保護に関する要件は、個人データ処理の一般法である GDPR により規律されます。このため、CTR 適用対象か否かにかかわらず、個人データ（特に健康データ、遺伝データ等の特別カテゴリデータ）を取り扱う臨床研究（臨床試験を含む）では、GDPR に基づき、①どの法的根拠に基づきデータを処理するのか、②何の目的でどの範囲のデータを利用するのかを明確化したうえで、必要最小限のデータに限定して取り扱うことが求められます。さらに、被験者に対してデータ利用の内容（利用目的、共有先、保存期間、問い合わせ窓口等）を適切に通知し、情報セキュリティ管理、委託先（CRO・ベンダー等）の管理、EU 域外へのデータ移転に関する管理を含めたガバナンス体制を整備する必要があります。加えて、被験者は GDPR に基づく一定の権利（例：アクセス権等）を有するため、これらに対応できる手順をあらかじめ準備しておくことが重要となります。

CTR 適用試験では、CTR に基づき CTIS での CTA 申請における提出資料（Part II：国別要件）の中で、被験者向け説明文書等を通じたデータ取扱いの説明が求められます。したがって、CTR 適用試験では申請・審査のプロセスに組み込まれる形で、被験者向け説明文書におけるデータ取扱いの記載内容や、GDPR 対応体制の整理状況について、より明確な説明が求められます。

8. 臨床試験実施データの開示（登録・結果公開）

CTR 適用試験では、臨床試験実施データの開示（登録・結果公開）は、被験者保護および臨床研究の透明性確保の観点から CTR により必須要件として位置づけられています。多国間臨床試験であっても、CTIS を介して試験に関する基本情報を一元的に管理し、公衆がアクセス可能な形で公開します。試験終了後には結果情報として、科学的な結果概要（summary results）と一般向け要約（layperson summary）を作成し、CTIS へ提出することで公開されます。一般向け要約は、単なる翻訳ではなく、専門家ではない一般の方にも理解可能な形で、試験の目的、方法、主要結果、安全性に関する情報等を整理して提示します。結果公開にあたっては、透明性を確保する一方で、被験者のプライバシー（GDPR により規律）および企業の機密情報を適切に保護する必要があります。スポンサーは試験計画段階から、公開を前提とした文書設計・データ管理（結果公表に耐える記載の整合性、非識別化の考え方、公開対象情報の整理等）を準備する必要があります。

一方、CTR 適用対象外の非介入研究については、CTR に基づく CTIS 登録・結果公開義務は原則として適用されません。EU 域内で実施される研究の登録・結果公開要件を判断する際には、介入性の有無だけでなく、CTR 適用の有無、旧制度下での試験であるか、ならびに当該研究が別の制度（例：市販後安全性関連の枠組み等）で透明性要件を持つか、といった観点を区別して整理することが重要です。

9. データ等の電子化に関する法規制

医薬品の臨床試験における電子化（電子データ収集、eSource、eTMF、電子署名等）は、CTR に基づく臨床試験制度の下で実施され、実務上の運用は ICH-GCP（ICH E6）に沿って設計・管理されます。電子データの信頼性を確保するため、ICH E6 等で求められる記録管理の原則に従い、使用する電子システムが適切に稼働することをバリデーションにより確認するとともに、アクセス権限管理や監査証跡を整備することが重要です。また、原資料を明確に特定した上で、必要に応じて電子カルテ等からのデータ移送・転記のルールを定め、ALCOA+の考え方に基づくデータ完全性を SOP 等により担保する必要があります。電子署名については eIDAS 規則が EU における電子署名の法的枠組みを規定しており、適格電子署名（Qualified Electronic Signature, QES）は原則として手書き署名と同等の法的効力を有します。

Appendix: 本要約中に引用された法規制・ガイダンス一覧（記載順）

1. Regulation (EU) No 536/2014 on clinical trials on medicinal products for human use
   略称：CTR
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32014R0536
   (Article 2(2)(1), 2(2)(2), 2(3)(k), 28, 30-35, 76 等)

2. Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:02001L0083-20190726

3. ICH E6 (R3) Guideline for good clinical practice (GCP)
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/ich-e6-r3-guideline-good-clinical-practice-gcp-step-5_en.pdf

4. ICH E8 (R1) General considerations for clinical studies
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/ich-guideline-e8-r1-general-considerations-clinical-studies_en.pdf

5. Regulation (EC) No 1394/2007 on advanced therapy medicinal products
   略称：ATMP Regulation
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32007R1394

6. Guideline on the quality, non-clinical and clinical aspects of gene therapy medicinal products
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-quality-non-clinical-and-clinical-aspects-gene-therapy-medicinal-products_en.pdf

7. Guideline on quality, non-clinical and clinical aspects of medicinal products containing genetically modified cells
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-quality-non-clinical-and-clinical-aspects-medicinal-products-containing-genetically-modified-cells-revision-1_en.pdf

8. Guideline on quality, non-clinical and clinical requirements for investigational advanced therapy medicinal products in clinical trials
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-quality-non-clinical-clinical-requirements-investigational-advanced-therapy-medicinal-products-clinical-trials_en.pdf

9. Directive 2004/23/EC on setting standards of quality and safety for the donation, procurement, testing, processing, preservation, storage and distribution of human tissues and cells
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32004L0023

10. Commission Directive 2006/17/EC implementing Directive 2004/23/EC as regards technical requirements
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32006L0017

11. Commission Directive 2006/86/EC implementing Directive 2004/23/EC as regards traceability and notification of serious adverse reactions and events
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32006L0086

12. Directive 2001/18/EC on the deliberate release into the environment of genetically modified organisms
https://eur-lex.europa.eu/eli/dir/2001/18/oj/eng

13. Directive 2009/41/EC on the contained use of genetically modified micro-organisms
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32009L0041

14. Regulation (EU) 2017/745 on medical devices
略称：MDR
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A02017R0745-20250110

15. MDCG 2019-2 Guidance on the borderline between medical devices and medicinal products under Regulation (EU) 2017/745
略称：MDCG 2019-2
https://health.ec.europa.eu/system/files/2020-09/md_mdcg_2019_2_gui_udi_dev_en_0.pdf

16. EMA – Questions & Answers for applicants, marketing authorisation holders of medicinal products and notified bodies regarding medicines used in combination with medical devices
要約内用語：EMA が公表する Q&A (EMA/37991/2019)
https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/questions-answers-implementation-medical-devices-vitro-diagnostic-medical-devices-regulations-eu-2017-745-eu-2017-746_en.pdf

17. Strategies to identify and mitigate risks for first-in-human and early clinical trials with investigational

medicinal products
https://www.ema.europa.eu/en/strategies-identify-mitigate-risks-first-human-early-clinical-trials-investigational-medicinal-products-scientific-guideline

18. ICH M3(R2) Non-clinical safety studies for the conduct of human clinical trials and marketing authorisation for pharmaceuticals
https://www.ema.europa.eu/en/ich-m3-r2-non-clinical-safety-studies-conduct-human-clinical-trials-pharmaceuticals-scientific-guideline

19. Regulation (EC) No 141/2000 on orphan medicinal products
略称：Orphan Regulation
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:02000R0141-20190726

20. Regulation (EC) No 1901/2006 on medicinal products for paediatric use
略称：Paediatric Regulation
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2006/1901/oj/eng

21. Regulation (EU) 2022/123 on a reinforced role for the European Medicines Agency in crisis preparedness and management
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2022/123/oj/eng

22. Regulation (EC) No 726/2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:02004R0726-20220128

23. Reporting safety information on clinical trials
要約内用語：EMA guidance on safety reporting under CTR
https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/clinical-trials-human-medicines/reporting-safety-information-clinical-trials

24. Regulation (EU) 2016/679 on the protection of natural persons with regard to the processing of personal data and on the free movement of such data
略称：GDPR
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2016/679/oj/eng

25. Regulation (EU) No 910/2014 on electronic identification and trust services for electronic

transactions in the internal market (eIDAS)

https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2014/910/oj

EU における医療機器の臨床試験の法規制

作成日：2026 年 2 月 20 日

第 1 章：EU における医療機器の臨床試験を取り巻く規制

1. 法規制の階層構造

1-1. 法体系

EU における医療機器の臨床試験（clinical investigation）の法規制は、Regulation（規則）、加盟国法（国内法）、ガイダンス等の複数のレイヤーからなる階層構造（ピラミッド構造）で成り立っています。

最上位には EU 法として直接適用される Regulation（規則）が位置し、臨床試験を含む医療機器の基本的枠組みとして Medical Device Regulation（MDR：Regulation (EU) 2017/745）が中核となります。MDR は、医療機器の安全性・性能に関する要件を EU 域内で統一しつつ、臨床試験の実施に関しても一定の要件（被験者保護、倫理性・科学性、申請・届出、報告等）を定める制度です。また、臨床試験情報の透明性確保と当局間連携を目的として、EUDAMED（European Database on Medical Devices）を通じた情報提出・共有（段階的導入を含む）を前提とした制度設計が組み込まれています。

これに対し、加盟国法（国内法）は、EU 規則を補完する形で各加盟国が整備する法体系であり、とりわけ MDR が加盟国に追加要件の設定を委ねる領域（例：MDR 第 82 条に基づく「その他の臨床試験」など）において重要な位置を占めます。このため、EU 共通の中核規範は MDR である一方、実務上は加盟国ごとの差異（申請窓口、倫理審査運用、追加の手続・文書要求等）を踏まえた適合が必要となります。

さらに、MDR 等の解釈や実務運用を補うものとして、欧州委員会（European Commission）や MDCG（Medical Device Coordination Group）等が示す EU ガイダンス（Q&A、通知、手順書）が存在します。これらは法的拘束力を持ちませんが、加盟国当局を含む EU 全体で一貫した運用を行うための重要なガイダンス資料となります。

加えて、臨床試験の国際的な科学的・倫理的標準として、ISO 規格（例：ISO 14155）等が活用されます。ISO 規格も原則として直接の法令ではないものの、医療機器の臨床試験においては、試験の設計・実施・記録・報告を適切に行うための実務上の共通基盤として位置づけられ、規制当局の期待値（regulatory expectation）を形作る要素となります。また、臨床試験の実施に際しては MDR 以外の関連法令（例：個人データ保護に関する General Data Protection Regulation, GDPR）も考慮対象となり、被験者情報の取扱い等について横断的な遵守が求められます。

1-2. 規制当局

欧州委員会（European Commission）は、MDR をはじめとする関連法令の枠組みに関与し、EU 全体で規制枠組みの整備と調整を行います。とくに医療機器の臨床試験については、MDR Article 73 に基づき、加盟国と協力して申請・情報交換等のための電子システムを整備・維持する役割が規定されています。なお、Medical Device Coordination Group（MDCG）は MDR Article 103 により設置され、加盟国の主管当局（Competent Authorities, CA）の代表で構成され、欧州委員会が議長を務めます。MDCG が承認するガイダンス文書は法的拘束力を持ちませんが、MDR の実務運用に関する共通理解を示すものとして位置づけられています。

臨床試験の認可（authorisation）手続は、臨床試験を実施する加盟国が関与して運用されます。スポンサーは、臨床試験を実施する加盟国に申請を行い（MDR Article 70）、申請文書には Annex XV に定める文書（臨床試験計画等を含む）が求められます。ここで、実務上「スポンサー」は多くの場合製造者（メーカー）ですが、MDR では申請主体を「スポンサー」として規定しており、企業に限られない概念です。

さらに、臨床試験は科学的・倫理的レビューの対象であり、倫理レビューは国法に従って倫理審査委員会（Ethics Committee, EC）が実施します（MDR Article 62）。加盟国は、倫理審査の手続が MDR の臨床試験認可手続と整合的に運用されるよう確保することが求められます（MDR Article 62）。

医薬品の臨床試験規則（Clinical Trials Regulation, CTR）および臨床試験情報システム（Clinical Trials Information System , CTIS）のような「共通ポータル型」の運用と比較すると、医療機器では、認可の意思決定は加盟国単位で行われる点が特徴です。一方で、MDR は臨床試験に関する EU レベルの電子システム（Article73）を予定していますが、Article 73 に基づく電子システムのうち EUDAMED（臨床試験・性能試験モジュール）の整備遅延により、移行期には MDCG 2021-1 Rev.1 が示すとおり、申請や情報提出は各国の国内手続（national procedures）で代替運用されてきました。近年の改正（Regulation (EU) 2024/1860）では EUDAMED の段階的導入が進められており、今後、電子システムの本格運用に向けた移行が想定されます。

- 医薬品：国別主管当局（National Competent Authority, NCA）＋（CTR/CTIS 等の共通基盤）
- 医療機器：Member State concerned（国別の認可運用）＋欧州委員会（Article 73：電子システム）＋MDCG（Article 103）

2. 対象となる規制を検討するための分類

EU で医療機器の臨床試験を実施する際、その対象となる規制・ガイダンスを検討するには、様々な分類が考えられます。

2-1. 製造販売承認申請（CE marking）を目的とした臨床試験に適用される規制

EU における医療機器の臨床試験（clinical investigations）の規制枠組みは、MDR 等の EU 規則（Regulations）を中核とし、必要に応じて横断的に適用される EU 法令（例：個人データ保護に関する規則等）や、MDCG 等の非拘束のガイダンスによって実務運用が補強されています。MDCG のガイダンスは法的拘束力を持たない推奨要件ですが、MDR 等の実務運用に関する共通理解（期待される文書内容・手順の考え方）を示すものとして参照されます。

EU 基本法規は、医療機器の安全性・性能・市場流通を統一的に規制するための最上位の法的枠組みで、Regulation (EU) 2017/745 (MDR) と Regulation (EU) 2017/746 (In Vitro Diagnostic Medical Device Regulation, IVDR)の二つの法規制が存在します。これらは、EU 規則として共通の枠組みを定めつつ、手続運用（申請審査・倫理審査等）は加盟国の枠組みの下で実施されます。

製造販売承認申請の位置づけである CE marking（適合性評価）を目的として臨床データを収集する場面では、MDR の枠組みの下で、臨床試験計画（Clinical Investigation Plan, CIP）、Investigator's Brochure（IB）、安全性報告、試験終了後の報告・公開等が重要な遵守要件（要求事項）となります。加えて、これらの遵守要件は MDCG の最終ガイダンスにより推奨要件として具体的な事項が示されています。CE marking 目的の臨床試験は、MDR Article 62 および Annex XV に基づき、Competent Authority（各国当局）と倫理委員会の承認を前提として運用され、試験終了後の報告義務も定められています。

なお、IVDR が適用となる体外診断用医療機器については、性能試験（performance studies）等に関するガイダンスが整備されており、「臨床試験」ではなく性能評価に関する要否判断の対象となり、その要件に沿った性能試験等の実施が求められます。

- Regulation (EU) 2017/745 (MDR)

医療機器に関する包括的な規則であり、医療機器全般を対象とします。

- Regulation (EU) 2017/746 (IVDR)

体外診断用医療機器に関する規則であり、体外診断用医療機器（検査キット、診断ソフトウェアなど）を対象とします。IVDR では「臨床試験」ではなく「臨床性能評価」が必要かどうかを判断します。

2-2. 製造販売承認申請（CE marking）を目的としない臨床試験に適用される規制

CE marking を目的としない臨床研究であっても、医療機器を用いた体系的な臨床試験が MDR 上の clinical investigation に該当する場合には、MDR Article 82 が適用されます。MDR Article 82 の対象となる臨床試験は、MDR Article 62 の一部（被験者の権利・安全・尊厳の保護、倫理的レビュー等）を遵守することが求められます。加えて、各加盟国は、当該試験に対して追加の要求事項（手続を含む）を定めることとされており、加盟国によっては通知・届出等が求められる場合があります。

一方で、医療機器を用いる臨床研究であっても、すべてが MDR における clinical investigation に該当するわけではありません。MDR 上の clinical investigation とは、安全性または性能を評価する目的で人を対象に体系的に実施される調査であり、臨床研究で医療機器が使用されていても、その医療機器の安全性・性能を評価することが目的でない場合は、MDR の臨床試験手続（MDR Chapter VI および MDR Annex XV）の適用対象とならない場合があります。
具体的には、CE mark 取得後の PMCF（Post-Market Clinical Follow-up）等、CE marking を目的としない評価であっても、試験の類型（CE mark の有無、意図する使用目的の範囲内外、追加侵襲・負担の有無等）により、通知手続が適用される場合があります（例えば MDR Article 74 の枠組み）。このような考え方は、日本の臨床研究法や医学系倫理指針と同じような規制体系となっています。

以上より、CE marking を目的としない臨床研究であっても、被験者保護と倫理要件は共通して重視されます。一方で、適用される手続（加盟国での追加要件を含む）は、試験目的（MDR Article 62(1)該当性）および試験類型（MDR Article 74／MDR Article 82 等）に応じて異なります。

2-3. 臨床試験が必要となる医療機器の分類と臨床試験要否の考え方

MDR が適応となる医療機器については、MDR Annex VIII によって、分類ルールが定義され、侵襲性・使用期間・体内接触部位などで次の 4 つの基本クラスにリスク分類されています。

2-3-1. MDR におけるクラス分類と臨床試験要否

クラス	概要	臨床試験の要否
クラス Ⅰ	低リスク機器（例：包帯、非侵襲性測定器）	原則不要（文献・同等性で代替可能）
クラス IIa	中リスク機器（例：輸液ポンプ、超音波診断装置）	原則不要だが、同等性証明が困難な場合は必要
クラス IIb	高リスク機器（例：長期侵襲性機器：	臨床試験が必要になるケースが多い

	人工呼吸器、長期留置カテーテル）	
クラス III	最高リスク機器（例：心臓弁、埋込型機器）	臨床試験ほぼ必須（免除は例外的）

これらのクラスのうち、クラス III または埋込型機器については臨床試験原則必須、クラス IIb（特定用途）は製品によって臨床試験が必要、クラス I, IIa, IIb（一般用途）は基本的に臨床評価で対応、臨床試験は原則不要だが、臨床評価でエビデンス不足なら実施が必要となります。
ただし、クラス III 埋込型でも製造者が自社製品の改良機種で、技術的・生体的・臨床的に equivalent（同等）と認められる場合や十分な臨床データ、歴史的に確立した技術でエビデンスがある場合は臨床試験が例外的に免除されるケースもあるが、根拠・条件は個別に設定されます。

補足：認証機関（Notified Body）の位置づけと関わり方

MDR における認証機関（Notified Body, NB）は、加盟国により指定された第三者適合性評価機関として、医療機器が MDR の要求事項に適合しているかを評価し、必要に応じて証明書（certificate）を発行する役割を担います。NB は規制当局（Competent Authority）による「承認」を代替するものではなく、製造者が実施する適合性評価（conformity assessment）に対して、第三者として関与する位置づけです。
NB が取り扱う対象は、MDR が定める適合性評価手続（Annex IX～XI 等）において第三者評価が必要とされる機器です。他方で、第三者評価が要求されない場合には、製造者が自己適合宣言により適合性を担保し、その責任の下で CE marking を行います。NB が適合性評価に関与した場合、CE marking には当該 NB の識別番号が付されます。

クラス分類（classification）は製造者が MDR Annex VIII に基づき実施しますが、分類ルールの適用をめぐり製造者と NB の間で見解が一致しない場合には、所管当局（Competent Authority）が最終判断を行う枠組みが設けられています。

臨床エビデンスとの関係では、NB は適合性評価の一環として、技術文書や臨床評価を審査し、必要な臨床エビデンスが確保されているかを確認します。とくにクラス III／埋込型機器（例：植込み型ペースメーカ／植込み型除細動器、機械式心臓弁、脳・脊髄神経刺激装置など）では、臨床試験の実施が原則として求められる一方、MDR Article 61(4)–(6)に規定される限定的な条件下で免除が受けられるケースがあります。免除の典型例として、同一製造者の既上市品の改良機種で同等性を主張する場合には、同等性の実証が NB により確認（endorse）されることが要件として明示されており、加えて PMCF（Post‑Market Clinical Follow‑up）計画の妥当性確認等も NB が担う枠組みが示されています。したがって、クラス III／埋込型における臨床試験要否や免除、ならびに同等性主張は、関連ガイダンスに照らして NB の評価を前提として検討される場面があると言えます。

以上より、NB は適合性評価手続を通じて、技術文書・臨床評価・市販後監視等の観点から適合性を第三者として確認し、CE marking に向けた実務上の審査機関として位置づけられます。

3. 体外診断用医療機器

3-1. EU における体外診断用医療機器の取り扱い

EU では、体外診断用医療機器は医療機器の一部として扱われ、In Vitro Diagnostic（IVD）とされます。IVD は IVDR により規制されます。IVDR では、ヒト由来検体を in vitro で検査し、生理・病態、遺伝的素因、治療反応性等に関する情報を提供することを目的とする試薬・機器・装置・システム・ソフトウェア等を IVD と定義し、検体容器も IVD に含めます。アクセサリ、自己検査（self-testing）、Point‐of‐Care Testing（POCT）、コンパニオン診断（Companion Diagnostic, CDx）、特殊分類として臨床検査室で独自開発される検査（Laboratory-development Tests, LDTs）等の定義・位置づけも規定されます。

IVD はクラス A～D の 4 区分で分類され、意図する目的（intended purpose）と公共リスク（公衆衛生リスク）に基づいて決定されます。性能評価は、科学的妥当性（scientific validity）、分析性能（analytical performance）、臨床性能（clinical performance）の 3 要素から構成されます。適合性評価においては、クラス B/C/D では所定の適合性評価手続が適用され、クラス A は自己宣言が基本ですが、滅菌状態で上市する場合は滅菌に関する側面に限定して認証機関が関与します。

クラス	概要	例
クラス A	最低リスク・公共への影響なし	一般的なラボ用品（バッファなどの汎用試薬、試験管、検体容器等）
クラス B	低～中リスク・低公共リスク	多くの IVD（生化学検査、免疫学検査、妊娠検査等）
クラス C	高リスク・中程度公共リスク	多くの感染症検査（COVID-19 セルフテスト等）、遺伝子検査、コンパニオン診断等
クラス D	最高リスク・高程度公共リスク	輸血、移植、公衆衛生に大きく関わる病原体検査（HIV、HBV、HCV 等）

科学的妥当性、分析性能、臨床性能の性能評価の 3 要素をもって、クラス B 以上は NB による審査が必要です。

IVDR における「科学的妥当性（scientific validity）」とは、当該 IVD が測定対象とするアナライト／マーカーが、表示された意図する使用目的に関連する疾患・病態・生理状態・臨床状態と科学的に関連していることを示す要素です。

3-2. IVD の臨床性能試験

3-2-1. 実施される試験

臨床性能試験（performance study）は、IVDR Chapter VI の枠組みで実施されます。とくに、侵襲的検体採取が性能試験の目的のために実施される試験、介入的臨床性能試験、または試験の実施により被験者に追加の侵襲的手技やその他のリスクを伴う試験では、IVDR Article 57 および Annex XIII（性能評価全体の要求を規定）の要求に加えて、Article 58 および Articles 59–77（性能試験全般の実施要件を具体的に規定）ならびに Annex XIV（詳細手順や文章要求を規定）に従って、試験の設計・実施・記録・報告等を行います。これらの試験では、所管当局および倫理審査を含む所定の手続（申請・承認等）が求められます。なお、性能試験のタイプによって、例えば CDx で残余検体のみを用いる性能試験を実施する場合には、所管当局への通知（notification）が求められる場合もあります。

3-2-2. 副作用報告

臨床性能試験の実施中は、IVDR Article 76 に基づき、serious adverse event（SAE）や device deficiency（DD）等を含む安全性報告が求められます。MDCG 2024-4 は、IVDR Article 69 に基づく電子システム（EUDAMED およびそのモジュール）が未稼働又は十分に機能していない場合を含めた報告手順を整理し、報告対象・期限・様式を示すとともに、付録としてサマリー報告フォーム（Performance Study Summary Safety Reporting Form）を提示しています。

第 2 章：臨床試験の規制に関する細目

1. 国や規制当局による臨床試験の実施の承認に関する法規制

EU において医療機器の臨床試験を実施する場合、MDR Chapter VI（Articles 62–82）および Annex XV の規定が適用されます。これらの規定は、臨床試験が被験者の権利・安全を守りつつ、医療機器の性能・臨床的有用性・臨床的安全性を証明するためのデータ生成を適切に管理することを目的としています。

MDR に基づく臨床試験の多くは、試験開始前に加盟国の CA への申請と承認が必要です。この承認手続は、未承認の医療機器だけでなく、新たな使用目的の検証を行う CE mark 取得済み機器についても適用されます。承認の目的は、試験が実施される段階で被験者に不必要な危険が及ばないようにすることであり、試験によって生じ得るリスクが科学的価値と比較して正当化されているかどうかが重要な判断基準となります。規制当局は、試験の方法、対象集団、安全管理、デバイスの既知のリスク情報などを総合的に評価し、適切な保護措置が講じられていると判断した場合にのみ承認します。

さらに、EU の規制体系では、臨床試験を実施するためには当局の承認だけではなく、倫理委員会の承認も並行して必要となります。これは被験者保護の観点から不可欠な要素ですが、当局承認の審査過程においても、倫理審査の結果が重要な判断材料となります。

1-1. MDR と加盟国がもつ法令との接続例（ドイツ／オランダ）

MDR は、規則（Regulation）として加盟国に直接適用されるため、臨床試験に関する基本的な要求事項（権利保護、倫理原則、科学的妥当性、試験計画、情報提供・同意、安全性報告、試験終了時の情報提供など）は EU 共通の枠組みとして定義されます。しかし、臨床試験の実施は、各加盟国の医療提供体制・研究倫理審査の制度設計・行政組織の分掌・言語要件・申請窓口・審査フローといった「制度運用の具体」が不可欠であり、これらは MDR 単体では完結しません。結果として、MDR が定める共通要件は、各国の国内実施法や国内の研究法制、さらには当局が提示する手続的ガイダンスにより具体化され、EU 共通の規範と加盟国固有の運用が「二層構造」を形成します。本節では、その接続構造を理解するための代表例として、ドイツおよびオランダの制度を取り上げ、MDR の規範がどのように国内法へ接続され、実務へ落とし込まれているかを概説します。

1-1-1. ドイツ：MDR の共通枠を MPDG が国内実装し、当局運用として手続が明確化される構造

ドイツでは、MDR の臨床試験制度を国内で運用可能な形に「実装」する枠組みとして、医療機器法制の国内実施法（Medizinprodukterecht-Durchführungsgesetz, MPDG）が位置づけられます。MDR

は臨床試験に関する共通原則と手続枠を提示する一方で、申請の受理主体、倫理審査と科学的審査の配置、書類の提出方法、変更管理の要件、実施中の各主体（スポンサー、主要研究者等）の国内法上の義務、さらには違反時の対応などは、加盟国が国内制度として設計する必要があります。MPDG は、この「国内で規律すべき領域」を補完し、MDR の要請をドイツ法体系へ埋め込むことで、臨床試験が行政手続として遂行可能となります。

この接続の実務的な効果は、「臨床試験の類型に応じた手続の分岐が、国内制度として明確に整理される」点にあります。すなわち、未 CE 機器や CE 機器の適用外使用を含むような、適合性評価（conformity assessment）に資する臨床試験は、原則として試験開始前に所管当局による承認が必要となる一方、CE 機器を対象とする特定の臨床試験（例：条件を満たす PMCF に相当する調査）では、承認ではなく通知で足りる場合があります。さらに「その他の臨床試験」に該当するケースでは、MDR が示す共通要件を前提にしつつ、MPDG の枠内で手続や要件が定まります。

このように、MDR が定める EU 共通枠を起点に、MPDG が国内手続の骨格（誰に、どの類型で、承認か通知か、どのタイミングで、どの要件で）を与えることで、スポンサーは自らの試験がどの制度レーンに乗るかを判断できます。

加えて、試験開始後の運用面でも、MDR が要求する安全性報告（SAE、機器不具合等）や、重大な変更（substantial modifications）の管理は、国内法と当局運用を通じて具体化されます。MDR は変更や安全性報告の原則・義務を示しますが、実務では、何を「重大」と扱うか、どの審査主体へ、どのフォーマットで、どの期限で届け出るかといった手続要素が不可欠です。ドイツの制度は、MDR の規定を MPDG が受け止め、そのうえで当局が提示する手続運用によって、申請・通知・変更・安全性報告の実行可能性を担保しています。したがってドイツは、「MDR（共通要件）→MPDG（国内実装）→当局運用（実務手順の明確化）」という三段構造で、EU 規範と国内制度が連結していると整理できます。

1-1-2. オランダ：MDR の 3 枠（Art 62/74/82）を基軸に、WMO 等が審査体制・手続を補完する二層構造

オランダでは、MDR により提示される臨床試験の基本枠組みを出発点としつつ、国内で規律すべき制度領域を、人を対象とする医学研究法（Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen, WMO）等が補完する構造をとる点が特徴です。MDR は臨床試験の制度枠を、少なくとも（i）適合性評価目的の臨床試験（概ね Article 62 枠）、（ii）CE 機器に関する臨床試験（Article 74 枠）、（iii）その他の臨床試験（Article 82 枠）という複数レーンとして整理できますが、オランダではこの「MDR 上の類型」を基軸にしながら、審査体制の組織化や国内手続の具体化（申請の受理、審査主体の位置付け、研究対象者保護に関する国内要件、特定集団を含む研究の扱い等）を WMO 等が担います。

この二層構造の要点は、「MDR が“何を満たすべきか”という共通要件を示し、WMO 等が“誰がどう審査し、どう手続を回すか”という制度運用を定義する」点にあります。言い換えれば、MDR は EU 共通の倫理・科学・安全性の要求を提示しますが、審査制度の設計（中央審査機関の役割、

倫理委員会の配置、審査の分担、国内で追加的に要求される手続や書類の範囲など）は国により異なり得るということです。オランダは、これらを WMO 等の国内法で整備することで、MDR の規定をオランダの研究制度の中で運用可能な形に落とし込んでいます。特に Article 82 に該当する「その他の臨床試験」は、MDR 自身が加盟国に追加要件設定の余地を残す性格を持つため、国内法による補完の重要性が相対的に高くなります。オランダの枠組みは、まさにこの領域で、WMO 等が制度的な受け皿として機能し、MDR の抽象度を実務的な手続へ接続します。

2. ISO 14155 への適合

EU における医療機器の臨床試験は、MDR が法的枠組みとして適用されますが、その実際の試験運用において実務上重要な参照規格として位置づけられるのが国際規格 ISO 14155 です。ISO 14155 は法的拘束力を持つ規則ではありませんが、MDR の要求を満たすための「実務上の標準」として広く認識されており、MDR に沿った臨床試験を実施するうえで不可欠な参照基準となっています。

まず、ISO 14155 は医療機器の臨床試験における被験者の安全、データの信頼性、倫理的実施を確保するための国際的な GCP として位置づけられています。この規格は、臨床試験の設計、実施、監視、記録、報告に関わる具体的指針を提供し、スポンサーや主要研究者、倫理委員会、規制当局などの関係者間で共通理解と一貫性を持たせる役割を担っています。ISO 14155 が対象とする範囲には、上市前の臨床試験だけでなく上市後の臨床調査も含まれており、その性質に応じて関連する原則を適用することで、医療機器ライフサイクル全体での臨床データ品質を担保する仕組みを提供しています。

ISO 14155:2020 は、MDR の調和規格としての位置づけを論じる際に注意が必要です。より厳密には、調和規格としての位置づけ（適合推定の付与）は EU 官報（Official Journal of the European Union, OJEU）に規格の引用が掲載されるかどうかに依存します。また、OJEU における引用状況は更新され得るため、最新の官報リストでの確認が必要です。これは、法的拘束力を持つ MDR と国際規格である ISO 14155:2020 が完全に一致しているわけではなく、一部で要求事項が異なる可能性があるためです。MDR の法的要求と ISO 14155 の運用基準の両方が関係する場面では、法的拘束力を持つ MDR の規定が常に優先されるという原則が明確です。

【Amendment A11:2024（MDR 対応）の位置づけ】

Amendment A11:2024 は、規格 EN ISO 14155:2020（医療機器の臨床試験に関する GCP）に対して付加された改訂であり、EU 域内での MDR 下の臨床試験要求との接続を明確化することを目的として整備されています。A11:2024 は規格本文の考え方を全面的に置き換えるものではなく、EN ISO 14155:2020 を前提としながら、EU の規制枠組みに適合させるための補正・追補を加える位置づけです。

A11:2024 の実務上の意義は、ISO 14155 を参照して臨床試験を運用する際に、「MDR が求める要求事項（特に MDR Annex XV：臨床試験）」との関係をより説明しやすくし、両者を整合的に運用できるようにする点にあります。具体的には、規格と法令の対応関係を示す附属書（Annex ZA）の整備・更新等を通じて、EN ISO 14155 のどの要求が MDR のどの要求に関係するのかを整理し、臨床試験計画書、モニタリング手順、記録・報告手順、被験者保護の仕組みなどを MDR の要求と結び付けて説明しやすくします。
一方で、A11:2024 が付加されたことにより、当該規格が自動的に「MDR の調和規格」として扱われるわけではありません。一般に、EU における調和規格としての位置づけ（規格の任意使用による適合推定の付与）は、欧州委員会による OJEU での規格引用の掲載に依存します。したがって、A11:2024 は、MDR への対応関係を明確化し、将来的に調和規格としての運用が行われ得る状況に備えるための制度的整備として理解するのが適切です。

以上を踏まえると、臨床試験の運用においては、EN ISO 14155:2020+A11:2024 を臨床試験実施の実務基盤として参照しつつ、MDR 条文・附属書が要求する事項を最上位の拘束要件として満たす設計（ギャップ評価と補完措置の設定）を行うことが重要です。これにより、被験者保護とデータ信頼性を確保しながら、MDR が求める臨床試験要件への説明可能性を高めることができます。

3. 倫理審査委員会（EC）や IRB での実施承認のプロセス、法規制

EU における医療機器の臨床試験を開始する前に、加盟国の規制当局による承認と、倫理審査委員会（EC）による倫理審査が必須であると MDR は規定しています。なお、MDR 上の手続は臨床試験の類型（Article 62/74/82）や加盟国手続により、承認・通知等に分かれます。

まず、MDR Article 62 は、臨床試験が科学的および倫理的評価を受けなければならないことを明確に定めています。臨床試験は「被験者の権利、安全、尊厳が他のいかなる利益にも優先する」という基本原則の下に設計され、試験の開始前に必ず倫理審査委員会（EC）の審査を受け、その承認が得られている必要があります。
EU における倫理審査委員会（EC）は、米国の IRB と同様の役割を持ちますが、EU では国家ごとに法制度が異なるため、倫理審査は各加盟国の国内法に基づいて運営される独立機関によって行われます。
倫理審査委員会（EC）の審査は、臨床試験の実施可能性を判断するうえで重要な入口です。臨床試験計画書、被験者向け説明文書、インフォームド・コンセント文書、試験のリスク・ベネフィット評価、調査機器の情報、試験者の適格性など、試験倫理に関わるすべての文書が EC によって評価されます。倫理審査委員会（EC）の承認が得られない場合、たとえ規制当局の承認を得ていたとしても臨床試験を開始することはできません。
規制当局による承認と、倫理審査委員会（EC）により倫理審査について、MDR は審査順序を規

定してはいませんが、一部の加盟国では法的に倫理審査委員会（EC）審査を先に完了させることが義務付けられています。

【参考：ドイツおよびオランダにおける倫理審査委員会（EC）と CA の承認制度の概説（臨床試験開始前）】

EU における医療機器の臨床試験では、臨床試験開始前に、倫理審査委員会（EC）による倫理的観点からの承認と、CA による規制上の承認（または類型に応じた所定手続の完了）が求められるのが一般的です。ただし、その具体的な制度設計（審査主体の分担、審査順序、中央機関の関与の有無など）は、各国の国内法・国内制度の中で具体的な整理がなされています。

（1） ドイツ：倫理審査委員会（EC）の承認を前提として CA の承認に接続する規制構造

ドイツでは、臨床試験開始前に「倫理審査委員会（EC）の承認」を得ることが制度上の重要要素として位置づけられており、その後に「CA の承認（または類型に応じた所定の開始要件の充足）」へ接続する逐次的な制度構造です。ここでいう倫理審査委員会の正式名称は、ドイツ語で「Ethik-Kommission（倫理委員会）」であり、国内法（MDR の国内実施法である MPDG 等）および国内制度に基づく倫理審査主体として位置づけられます。また、CA は加盟国が指定する主管当局であり、ドイツでは連邦レベルの「連邦上級当局（federal higher authority）」が CA として審査・監督を担う枠組みが採用されています。したがってドイツでは、①試験類型（MDR 上の枠組みと国内要件）を確定し、②倫理審査委員会（EC）に提出する文書体系を整備して倫理審査委員会（EC）の承認を取得し、③CA に対して承認申請または所定手続を行い、④倫理審査委員会（EC）の承認および CA 側の開始条件を満たした後に試験を開始する、という制度理解が有効です。なお、開始前手続の細部は国内実施法（MPDG 等）により補完されます。

（2） オランダ：MDR の枠（Art 62/74/82）＋国内法（WMO 等）により承認体制を組織化し、CE marking 目的では中央的枠組みが入口として関与する構造

オランダでは、臨床試験を MDR 上の枠（Article 62／74／82）に基づき試験の属性を整理したうえで、倫理審査（EC の承認）や国内手続（CA の承認・所定手続）の体制が、国内法（WMO 等）に規定されています。国別要件として重要なのは、CE marking の取得または拡張（適合性評価）を目的とする枠（概ね Article 62 および Article 74(2)に関係）において、中央的組織である CCMO（Central Committee on Research Involving Human Subjects）が制度上の入口として関与し、提出すべき情報の形式的確認（バリデーション等）や評価主体の割当を担う点です。なお、CCMO の正式名称はオランダ語で「Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek」です。また、CCMO は国内法に基づく審査体制の中核機関として位置づけられ、研究区分に応じて指定された審査主体として関与するほか、MREC/METC 等の認定・制度運用の枠組みに関与する立場にあります。その後、認定された倫理審査委員会（MREC/METC 等）または CCMO が倫理審査委員会（EC）の承認

（倫理審査上の承認）を行い、あわせて CA 側の承認または所定手続の充足を経て、試験開始に至る構造です。したがってオランダは、「中央の単一倫理審査委員会（EC）で全件を承認する」というより、「CE marking 目的の枠では中央的制度（CCMO）が入口手続に関与しつつ、倫理審査委員会（EC）の承認と CA の承認（または所定手続）を満たして開始する」という制度的特徴を持ちます。

（3） 共通の制度上の要点

両国に共通して、開始前制度の要点は、（a）試験類型の確定（MDR 枠＋国内法への当てはめ）、（b）倫理審査委員会（EC）の承認および CA の承認（または所定手続）に用いる文書体系の整備、（c）同意取得と被験者保護策（補償、個人データ保護等）の設計、（d）提出文書の同一版管理、（e）開始条件（倫理審査委員会（EC）の承認、CA の承認／不反対／通知受理等）の充足確認です。

4. 利益相反に関する法規制（透明性関連）

EU における医療機器の臨床試験および審査・評価・助言の領域では、利益相反（Conflict of Interest, COI）管理は、透明性の確保と審査の中立性を保証するための重要な要素と位置づけられています。とくに審査側（評価・助言・審査に関与する主体）の COI について、MDR は独立性・透明性の観点から明文化されています。すなわち、加盟国は臨床試験申請の検証・評価・決定に関与する者について、利益相反がなく、スポンサーや研究者等から独立し、不当な影響を受けないことを確保すべきとされています。また、EU レベルの審査・助言主体（MDCG や専門家パネル等）については、利益申告の作成・更新と公開、ならびに潜在的 COI を管理・防止する仕組みの整備が求められます。これらは、審査の中立性を制度的に担保するための COI 管理として整理できます。

一方で、実施側（臨床試験を実施する研究者・施設等）の COI 管理について、MDR は研究者個人の利益申告（Financial disclosure）を申請書類の一部として要求しているものの（Annex XV）、その具体的な評価基準や管理手法について詳細な手続きを直接定めているわけではありません。
実施側 COI は、臨床試験の倫理的・科学的妥当性を担保し、バイアスの最小化と被験者保護を図る目的の下、倫理審査委員会（EC）による審査、各加盟国の国内法、ならびに ISO 14155 等の国際規格に基づいて運用されます。すなわち、EU の COI 管理は、審査側に対しては MDR が強固な独立性と透明性要件を直接課す一方、実施側に対しては「透明性の確保（開示）』を MDR が担保しつつ、その「実効的な管理』については倫理審査と国内制度に依拠するという複合構造で成り立っていると整理できます。

5. 同意説明、同意取得、多言語化に関する法規制

MDR は、Article 63 においてインフォームド・コンセントの要件を明文化しており、また Annex XV の「一般要求／倫理原則」に基づき、認められた倫理原則の下で臨床試験を実施することを求めています。これらを前提に、十分な情報提供と自由意思に基づく同意、ならびに脆弱な被験者（未成年、意思能力が制限された成人、妊婦など）への特別配慮（Article 64 以降の規定を含む）を踏まえて、臨床試験計画・患者向け説明文書（Patient Information Sheet, PIS）・同意書（Informed Consent Form, ICF）をセットで整備し、倫理審査委員会（EC）が審査するという構図をとります（実務上、PIS/ICF 等の被験者向け文書は審査対象として提出されます）。
MDR は、ISO 14155 を医療機器の臨床試験における GCP を具体化する国際規格であり、倫理・科学性・被験者保護・同意取得などの運用要件を整理します。MDR は前文（Recital 64）において、臨床試験の規則が ISO 14155 のような国際的に確立したガイダンス／標準と整合することの重要性に言及しており、実務上も ISO 14155 は臨床試験の計画・実施・記録・報告に関する参照枠として広く用いられます。

EU では、医療機器の臨床試験に用いる文書・情報の言語は EU 共通の単一言語ではなく、試験を行う各国・各機関が定める要件に従うのが実務上の原則です。MDR は、臨床試験を「被験者の権利・安全・尊厳が最優先」の枠組みで実施することを求め、その倫理審査は加盟国法に基づく倫理審査委員会（EC）が担うと定めています。そのため、PIS/ICF や審査・提出に用いる資料は、当該国で理解できる言語で提示されることが実務上不可欠になります。MDR 本文は言語の細目を逐条で列挙していませんが、倫理審査が加盟国法・運用に委ねられること、ならびに前文（Recital 64）で国際的倫理原則（ヘルシンキ宣言等）との整合が示されることから、被験者が理解できる言語での説明と同意が前提となります。

補足：加盟国別の言語要件の具体化ードイツ／オランダの例

前述のとおり、MDR 本文は言語要件を逐条で細目化していませんが、実務上の言語運用は加盟国の制度設計と、倫理審査・申請手続の公開要件（テンプレート、チェックリスト、申請ポータルの運用要件等）によって具体化されます。ここでは、ドイツおよびオランダを例に、PIS/ICF 等の言語設定がどのように制度・運用へされているかを概説します。

（1） ドイツ

ドイツでは MDR および MPDG に基づき、BfArM の申請情報システム（DMIDS）を介して行う枠組みが整備されています。DMIDS は運用上、申請実務がドイツ語環境を基礎として設計されていることが明示されており、審査手続の入口としてドイツ語が事実上の基盤言語になっています。

同意説明文書（説明文書情報・同意書）については、倫理委員会の全国的な枠組み（AKEK）が医

療機器臨床試験向けの「情報・同意」の雛形（Mustertexte）や関連資料を提供しており、申請者はそれらを参照して文書を作成する運用が示されています。患者情報は MDR の趣旨に沿って「包括的でありつつ簡潔・明確で、被験者（または法定代理人）にとって理解可能」であることが重視されます。翻訳を伴う場合も、単なる直訳ではなく、意味が通るドイツ語として国内要件に適合する品質で整備すべき点が注意喚起されています。したがってドイツは、制度・申請基盤としてドイツ語を基本に置きつつ、被験者の理解可能性を満たすための文書設計（必要に応じた適切な翻訳を含む）を実務で担保する構造として整理できます。

（2） オランダ

オランダでは、WMO に基づく研究は、認定倫理審査委員会（MREC）または中央委員会（CCMO）の審査・承認が前提であり、同意説明は口頭・書面での説明と書面同意を基本要件として整理されています。

言語運用については、CCMO が公開する同意説明文書（Subject Information Sheet／Informed Consent Form）関連の要件において、審査委員会は原則として「オランダ語版の情報文書・同意書のみを審査する」一方で、参加者が十分に説明を理解し判断できるよう、オランダ語が十分でない参加者には「参加者が理解できる言語の情報文書を用意する」ことが明示されています。

また、翻訳は原則としてスポンサーが責任を負い、翻訳文書そのものの提出は必須ではないものの、想定して外国語版を用意する場合には翻訳証明の提出が求められるなど、要件が具体的に設計されています。加えて、書面に限らず、口頭説明も参加者が十分に理解できる言語で提供することが求められます。したがってオランダは、審査言語（オランダ語）と参加者提示言語（理解可能言語）を分け、翻訳責任と証明の取り扱いまで含めて制度的に明確化している点に特徴があります。

6. 被験者の補償に関する法規制

EU の医療機器の臨床試験における被験者の補償について、MDR の Article 69 は、各加盟国に対して、臨床試験への参加によって被験者が被った損害を補償するための制度が、保険・保証または目的に照らして同等の取決めとして整備されていることを確保するよう求めています。さらに同条は、その制度が当該試験のリスクの性質と程度に見合った内容であること、ならびに Sponsor と Investigator は、試験実施国に適合する形で当該制度を利用することを定めています。したがって、EU 域内で多国間の臨床試験を行う場合、補償制度の具体要件は各国の国内法・運用で具体化されるため、試験実施国ごとの要件に照らして保険等を手配し、必要な証憑を備えることが実務上重要になります。

7. 規制当局への安全性情報報告に関する法規制

EU の臨床試験における安全性情報の報告は、MDR Chapter VI によって法的義務として位置づけ

られ、MDCG 2020-10/1 によって定義・対象・経路・暫定運用が具体化されるという二層構造で運用されています。

MDR は臨床試験を「被験者の権利・安全・尊厳を最優先」とする原則のもとで設計・実施・記録・報告することを要求し、加盟国の規制当局による審査・監督と倫理審査委員会のレビューを前提に、試験中の安全性監視と当局報告が不可欠であることを位置づけています。

具体的な報告項目や提出経路・報告書式は、MDCG 2020-10/1 が標準的な実務として詳述しており、スポンサーがどの情報を誰に、いつ、どう報告するかを具体化しています。また、MDCG2020-10/1 は安全性情報の対象・用語・範囲を規定し、試験中に生じ得る出来事を、一般的な有害事象（Adverse Event, AE）、機器に起因する有害事象（Adverse Device Effect, ADE）、重篤な有害事象（Serious Adverse Event, SAE）、重篤な機器関連有害事象（Serious Adverse Device Effect, SADE）、および予期せぬ重篤な機器関連有害事象（Unanticipated Serious Adverse Device Effect, USADE）といったカテゴリーに整理し、スポンサーが把握・評価し、所定の期限・経路で加盟国の規制当局へ報告することを求めます。

安全性情報の報告タイミングは、迅速報告の対象（たとえば USADE や、被験者の死亡・生命の危機・入院や重度の機能障害に該当する重篤事象で、機器関連性が疑われる／確認された場合）と、定期的な集計・評価（安全性の年次的評価や最終報告に向けた取りまとめ）に大別して運用されます。MDCG 2020-10/1 は、迅速報告対象の“直ちに報告すべき事象”を中心に、当局に到達させるまでのフローと最低限の情報項目（被験者保護に関する直近の対応、機器の是正処置や試験の継続可否評価を含む）を例示します。

8. 被験者の情報保護（個人情報保護、個人ヘルスケア情報保護）に関する法規制

EU の医療機器の臨床試験における被験者の情報保護（個人情報保護・ヘルスケア情報保護）は、まず GDPR が横断的な土台を与え、その上に MDR の臨床試験枠組みと ISO 14155 が運用面の要件を重ねる、という重層構造で成り立っています。GDPR は、EU 内の個人（データ主体）の個人データ保護と自由なデータ流通の両立を目的とする横断規則です。

GDPR は、処理の法的根拠（Article 6）と、特別カテゴリデータ処理の条件（Article 9）を二段構えで要求し、健康情報の処理を原則禁止（Article 9(1)）としたうえで、明示的同意（Article 9(2)(a)）や研究目的に関する例外（Article 9(2)(j)）などを満たす場合に限って許容します。

MDR の位置づけは、臨床試験を「被験者の権利・安全・尊厳の最優先」で実施する法的枠組みを示すことにあります。MDR Article 62 は倫理審査委員会（EC）による審査を必須とし、Annex XV はヘルシンキ宣言に沿った倫理原則を一般要求として掲げ、機微情報の取扱いも含めた被験者保護の枠組みを広く規定しています。

ISO 14155 は、運用レベルでの機密性・プライバシー保護を詳細に規定しています。倫理章は、不当な誘因の禁止や脆弱な集団の追加保護と並んで、被験者の機密保持・データの秘匿・適切な文書管理を求め、臨床試験計画書にデータ保護の手順や責任分担を明記させます。

9. 臨床試験実施データの開示に関する法規制

EU では、医療機器の臨床試験情報は EUDAMED へ登録・公開されます。EUDAMED は欧州委員会が運用する公式データベースで、透明性を高めるために臨床試験／性能試験（Clinical Investigation / Performance Study, CI/PS）情報を含めて公開する仕組みが組み込まれています。現在はモジュールごとの段階導入が進んでおり、CI/PS モジュールは監査・官報後に義務化される予定です。（すでに「事業者登録」「UDI/機器登録」「NB/証明書」「市場監視」は機能確認済みで、2026 年 5 月 28 日から使用が義務化されます。）

10. データ等の電子化に関する法規制

電子記録の信頼性は ISO 14155 によって具体化され、システムのバリデーション（適格性確認）、アクセス権管理、監査証跡、原資料の所在と転記ルール、ALCOA++に基づくデータ完全性を CIP／SOP に手順化することが要求されます。電子署名は eIDAS 規則が枠組みを与え、適格電子署名（Qualified Electronic Signature, QES）は手書き署名と同等の法的効力を持ちます。

Appendix：本要約中に引用された法規制・ガイダンス一覧

（記載順）

1. Regulation (EU) 2017/745 on medical devices
   略称：MDR
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A02017R0745-20250110
   - Article 73 (Electronic system on clinical investigations)
   - Article 103 (Medical Device Coordination Group)
   - Article 70 (Application for clinical investigations)
   - Annex XV (Clinical investigations)
   - Article 62 (General requirements regarding clinical investigations conducted to demonstrate conformity of devices)
   - Article 82 (Requirements regarding other clinical investigations)
   - Chapter VI (CLINICAL EVALUATION AND CLINICAL INVESTIGATIONS)
   - Article 74 (Clinical investigations regarding devices bearing the CE marking)
   - Annex VIII (Classification rules)
   - Annex IX (Conformity assessment based on a quality management system and assessment of the technical documentation)
   - Annex X (Conformity assessment based on type examination)
   - Annex XI (Conformity assessment based on product conformity verification)
   - Article 61 (Clinical evaluation)
   - Article 63 (Informed consent)
   - Article 69 (Damage compensation)

2. ISO 14155:2020 Clinical investigation of medical devices for human subjects — Good clinical practice
   略称：ISO 14155

3. Regulation (EU) 2016/679 on the protection of natural persons with regard to the processing of personal data and on the free movement of such data
   略称：GDPR
   https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2016/679/oj/eng
   - Article 6 (Lawfulness of processing)
   - Article 9 (Processing of special categories of personal data)

4. MDCG 2021-1 Rev.1 Guidance on harmonised administrative practices and alternative technical

solutions until EUDAMED is fully functional

略称：MDCG 2021-1 Rev.1

https://health.ec.europa.eu/document/download/ea0369a7-d86c-465e-9a54-0c0dfb01bc84_en

- Article 103

5. Regulation of the European Parliament and of the Council of 13 June 2024 amending Regulations (EU) 2017/745 and (EU) 2017/746 as regards a gradual roll-out of Eudamed, the obligation to inform in case of interruption or discontinuation of supply, and transitional provisions for certain in vitro diagnostic medical devices

   略称：Regulation (EU) 2024/1860

   https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2024/1860/oj

6. Regulation (EU) 2017/746 on in vitro diagnostic medical devices

   略称：IVDR

   https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2017/746/oj/eng

   - Chapter VI (CLINICAL EVIDENCE, PERFORMANCE EVALUATION AND PERFORMANCE STUDIES)
   - Article 57 (General requirements regarding performance studies)
   - Annex XIII (Performance evaluation, performance studies and post-market performance follow-up)
   - Article 58 (Additional requirements for certain performance studies)
   - Articles 59–77
   - Annex XIV (Interventional clinical performance studies and certain other performance studies)
   - Article 76 (Recording and reporting of adverse events that occur during performance studies)
   - Article 69 (Electronic system on performance studies)

7. Guidance on content of the Clinical Investigation Plan for clinical investigations of medical devices

   略称：MDCG 2024-3

   要約内用語：MDCG の最終ガイダンス

   https://health.ec.europa.eu/document/download/690de85a-ac17-45ea-bb32-7839540c25c4_en?filename=mdcg_2024-3_en_0.pdf

8. Guidance on content of the Investigator's Brochure for clinical investigations of medical devices

   略称：MDCG 2024-5

   要約内用語：MDCG の最終ガイダンス

   https://health.ec.europa.eu/document/download/ee7ee8eb-841a-4085-a8dc-af6d55ebf1bd_en?filename=mdcg_2024-5_en.pdf

9. Safety reporting in clinical investigations of medical devices under the Regulation (EU) 2017/745
略称：MDCG 2020-10/1
要約内用語：MDCG の最終ガイダンス
https://health.ec.europa.eu/document/download/0537d335-7eed-4087-b65d-3c2bd8c72c1a_en?filename=md_mdcg_2020-10-1_guidance_safety_reporting_en.pdf

10. Guidance on the publication of the clinical investigation reports and their summaries in the absence of EUDAMED
略称：MDCG 2024-15
要約内用語：MDCG の最終ガイダンス
https://health.ec.europa.eu/document/download/0e076d19-62dc-4ff9-83f2-be6072a45993_en?filename=mdcg_2024-15_en.pdf

11. Questions & Answers regarding performance studies of in vitro diagnostic medical devices under regulation (EU) 2017/746
略称：MDCG 2025-5
要約内用語：性能試験（performance studies）等に関するガイダンス
https://health.ec.europa.eu/document/download/f22f559b-dee5-43b4-9595-3ccdcca9f7ad_en?filename=mdcg_2025-5_en.pdf

12. Safety reporting in performance studies of in vitro diagnostic medical devices under Regulation (EU) 2017/746
略称：MDCG 2024-4
https://health.ec.europa.eu/document/download/5cc894e0-331d-4fa2-8ab3-cdd4437c48fc_en?filename=mdcg_2024-4_en.pdf

13. Regulation (EU) No 910/2014 on electronic identification and trust services for electronic transactions in the internal market (eIDAS)
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2014/910/oj

英国における医薬品の臨床試験の法規制

作成日：2026 年 2 月 20 日

第 1 章：英国における医薬品の臨床試験を取り巻く規制

1. 法規制の階層構造

1-1. 法体系

英国の医薬品臨床試験に関する法規制は、日本と同様に階層的な構造を持っていますが、成文憲法が存在しない点が異なります。最も上位に位置するのは議会制定法（Acts of Parliament）であり、臨床試験の法的基盤を形成しているのが「Medicines and Medical Devices Act 2021」です。
次に位置するのは、法令委任に基づく詳細規定である法定文書（Statutory Instruments）です。ヒト用医薬品全体に関する包括的なルールが規定されているのが「Human Medicines Regulations 2012」であり、臨床試験の規制に関しては主に「The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004」に規定されています。近年、この規則は改正（2024/2025 年）により大幅なアップデートが行われ、2026 年 4 月 28 日に全面施行される予定です。改正では、手続の効率化と透明性向上が図られています。
その下には、規制当局が発出するガイダンスがあります。これらは法的拘束力を持たない場合が多いものの、実務上は必ず参照されるべき重要な指針です。ガイダンスには、臨床試験の計画、実施、モニタリング、変更手続き、GCP 遵守に関する具体的な解釈や運用方法が含まれています。さらに、倫理審査委員会（Research Ethics Committee, REC）や IRAS（Integrated Research Application System）に関するガイダンスがあり、申請手続きやスポンサー契約のモデル、統合審査プロセスの詳細を示しています。これらは、法令やガイダンスを補完し、実際の試験運営に必要な実務的な枠組みを提供しています。加えて、国民保健サービス（National Health Service, NHS）（※）Trust ごとのローカルポリシーも存在し、国の法令に反しない範囲で現場の運用を支えています。
このように、英国の法体系は「Acts of Parliament → Statutory Instruments → 規制当局ガイダンス → IRAS・倫理審査関連指針 → NHS ローカルポリシー」という階層構造を形成しています。また、臨床試験における GCP 遵守は、2004 年規則および関連ガイダンスによって法的に義務付けられており、国際的な ICH-GCP との整合性も重視されています。

（※）NHS：
すべての英国居住者に対して、原則無料で医療サービスを提供することを目的とした公的医療制度です。病院、診療所、救急サービス、地域医療などを包括的に提供し、医療従事者の雇用や医療政策の実施も担っています。臨床研究の多くは NHS 施設で行われ、NHS Trust の R&D 承認や

施設契約が必要です。

1-2. 主な規制当局

英国における主要な規制当局の概要は以下の通りです。

- **MHRA（Medicines and Healthcare products Regulatory Agency）：医薬品庁**
  保健省（Department of Health and Social Care）の配下に位置し、CTIMP（Clinical Trial of an Investigational Medicinal Product）の臨床試験許可（Clinical Trial Authorisation, CTA）の審査、GCP 監査、ガイダンス発行を担っています。
- **HRA（Health Research Authority）：医療研究機構**
  非省庁公共機関（non-departmental public body）として設置され、医療研究の倫理およびガバナンスを担当します。
- **REC：倫理審査委員会**
  HRA の下に設置され、臨床試験を含む研究の倫理審査を実施しています。

2. 医薬品の臨床試験に適用される規制

英国での医薬品の臨床試験の実施に際し、主に適用される規制は以下の通りです。

- **Medicines and Medical Devices Act 2021**
  英国における医薬品、医療機器および関連製品の規制体制を柔軟かつ迅速に更新できるようにするための包括的な枠組みを提供する法律です。同法は、EU 離脱後の英国独自の規制環境の確立を目的としています。また、患者安全性向上のために「Patient Safety Commissioner」の設置も定め、迅速な規制改定や革新的治療へのアクセス向上を可能とする法的基盤となっています。
- **Human Medicines Regulations 2012**
  英国における医薬品の製造、販売、流通、広告、臨床試験、薬事監視（ファーマコビジランス）など、医薬品ライフサイクル全般を統括する主要な基本規則です。本規制は EU 法を反映しながら、医薬品の品質、安全性、有効性を確保するための包括的枠組みを提供するもので、医薬品ライセンス制度、臨床試験実施規定、製造管理および流通管理基準（GMP/GDP）、緊急時の一時的承認措置（Regulation 174 など）を定めています。
- **Human Medicines (Amendment etc.) (EU Exit) Regulations 2019**
  英国の EU 離脱に伴い、EU 法に基づく Human Medicines Regulations 2012 等が英国単独でも運用可能となるよう整備するために 2019 年に制定された法令です。EU の中央承認制度は英国では適用されなくなるため、EMA に依拠していた承認・変更審査、GMP/GDP 監督、ファーマコビジランス（安全性監視）等の機能を、英国当局である MHRA の制度へ置き換えています。あわせて、EU で中央承認された医薬品を退出時点で同条件の英国マ

ーケティングオーソリゼーション（UK MA）へ引き継ぐ枠組みを設け、製造販売業許可・輸入管理、EEA からの製品の取扱い、GMP/GDP 証明の取扱い、EEA 発行の処方箋の認識に関する規定などを、英国が EU 域外の第三国として運用する前提に合わせて調整しています。さらに、英国独自のファーマコビジランス要件（UK QPPV や英国連絡先の設置等）や、データ／市場性保護、オーファン・小児インセンティブの継続に関する取扱いも規定しています。

- **Human Medicines (Amendment) (Modular Manufacture and Point of Care) Regulations 2025**
  Human Medicines Regulations 2012 を改正し、超短寿命・高度個別化医薬品など、患者の受療場所（Point of Care, POC）で製造される新たなタイプの医薬品に対応するための規制枠組みを導入するものです。従来の固定型製造モデルを補完する形で、病院など多数の現場で分散的に行われる製造を適切に管理するため、中央の「Control Site（品質システムと主要責任を担う中核拠点）」を中心としたハブ＆スポーク型の品質管理体制を規定し、適切な安全性・品質・有効性を確保しつつ先進的治療へのアクセス拡大を実現することを目的としています。
- **The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004**
  英国における臨床試験（CTIMP）を規制する基本的な法令であり、EU Clinical Trials Directive（2001/20/EC）を国内法化したものです。本規則は、臨床試験の実施に必要な CTA 承認および REC による意見取得を義務付け、臨床試験の設計、実施、被験者保護、GCP 遵守、薬事監視の要件を規定します。また、臨床試験の開始から終了、重大な逸脱報告、依頼者・実施医師の責務などを包括的に定めています。
- **The Medicines for Human Use (Clinical Trials) (Amendment) Regulations 2025**
  上記 The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 を大幅に改正し、英国の臨床試験制度を現代化しつつ国際的な整合性と競争力を高めることを目的とする法令改正です。この改正では、用語の整理、変更手続きのリスクベース化、透明性の強化、REC と MHRA の審査プロセスの連携（Combined Review の法制化）などが導入され、英国を国際競争力の高い臨床試験実施国とするための規制刷新が行われています。
- **UK Policy Framework for Health and Social Care Research**
  英国全域で実施される健康・社会ケア領域の研究に適用される共通の原則と良好実務基準を定める政策枠組みです。本フレームワークは、従来の地域別 Research Governance Framework を統合し、研究参加者の安全性、透明性、倫理性、リスクに応じた適切な研究管理など、高品質な研究を支える全 19 原則を示しています。対象は研究資金提供者、スポンサー、研究者、研究機関、ケア提供者等であり、英国における研究ガバナンスの基礎として機能します。

参考までに、基本的な用語が各法規制でどのように定義されているかを以下に示します。

医薬品（Medicinal Product）

- Human Medicines Regulations 2012 にて定義
- 病気の予防または治療効果があると示される物質または物質の組み合わせ
- 薬理学的・免疫学的・代謝的作用によって生理機能を回復・修正・変化させる、または診断を目的とした物質またはその組み合わせ

臨床試験（Clinical Trial）

- The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 にて定義
- 試験の主な目的が以下のいずれかであり、当該医薬品の安全性または有効性を判断することを目的とする：
  1. 医薬品の臨床的・薬理学的または薬力学的効果の発見または検証
  2. 医薬品の有害反応の特定
  3. 医薬品の吸収・分布・代謝・排泄に関する研究
- Clinical Trial は医薬品の有効性・安全性等の評価を目的とする試験を指し、実務上は CTIMP（Clinical Trial of an Investigational Medicinal Product）と呼ばれる
- 人を対象にした試験（調査）であり、非介入試験（non-interventional trial）は除外

非介入試験（Non-interventional trial）

- The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 にて定義
- 承認済み医薬品を日常の処方方法で使用
- 患者への治療法の割り当てはプロトコルに基づかず、通常の診療判断に任される
- 医薬品処方の判断が、研究への参加判断と明確に区別される
- 診断やモニタリングの追加検査は行わず、通常の診療上の処置内に限定される
- 集めたデータは、疫学的手法により解析される

3. 対象となる規制を検討するための分類

英国で介入を伴う医薬品の臨床試験・臨床研究を実施する際、その対象となる規制・ガイダンスを検討するには、様々な分類が考えられます。

3-1. CTIMP に該当する臨床試験に適用される規制

英国では、製造販売承認を目的とする臨床試験か否かでは区別せず、まず主に「介入の有無」によってその研究が CTIMP に該当するか、Non-CTIMP に該当するかで適用される法規制が区分されます。

CTIMP に該当する場合は、The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 およびその改正規則が適用され、研究の承認・倫理審査・実施・安全性報告・GCP 遵守まで一貫した要件が課されます。

CTIMP では、MHRA による CTA 承認と、REC による審査が義務付けられています。なお、MHRA と REC の審査プロセスは整合化・迅速化されており、IRAS を通じた Combined Review が義務化さ

れ、承認、重要変更（modifications）、終了報告まで一体的な手続が明確化されています。試験の実施にあたっては、GCP の遵守が法的に要求され、試験計画、モニタリング、監査、試験薬の供給・管理、重大な逸脱の通知（serious breach）、有害事象・予期せぬ重篤な副作用疑い（Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction, SUSAR）の報告、Trial Master File の整備・アーカイブなどの要件が規定されています。違反時には、試験の一時停止・終了命令、行政上の是正措置、場合によっては刑事罰を含む厳格な対応が可能です。

3-1-1. CTIMP のリスク分類

MHRA は臨床試験の安全性確保および試験運用の効率化の観点から、リスクに応じて試験の要件や運用を調整する「リスク適応型（risk-adapted）アプローチ」を推奨しています。CTIMP に関しては、MHRA のガイダンス（Risk-adapted approach to clinical trials and risk assessments）において、試験を Type A（標準診療と同等のリスク）／Type B（標準診療よりやや高いリスク）／Type C（標準診療より明確に高いリスク）といった区分で整理し、当該区分に応じたリスク管理の考え方を示しています。

なお、これらの Type 分類は法令本文に直接規定された一律の分類基準というよりも、試験ごとに標準診療（standard medical care）と比較した追加リスクを評価した上で適用する枠組みとして位置づけられます。したがって、分類は固定的なチェックリストにより機械的に決定されるものではなく、臨床試験用医薬品（Investigational Medicinal Product, IMP）の承認状況、用法・用量、対象集団、既知の安全性情報、試験デザインおよび追加手技等を踏まえ、総合的なリスク評価に基づいて判断されます。

一般に、Type A に該当する試験では追加リスクが相対的に低いことから、監視や手続の簡素化が許容される場合があります。一方で、Type C に該当する試験では追加リスクが相対的に高いことから、被験者保護および安全性確保のため、より慎重な安全対策、監視計画および文書化が求められます。

試験開始前には、当該試験に固有のリスクおよびその低減策（mitigation）を明確化し、適切なリスク管理計画として整理することが重要です。また、申請手続（例：IRAS を用いた申請）においては、リスク評価およびリスク低減策に関する情報の提示が求められる場合があります。

また、Adaptive trials（中間解析で得られるデータに基づき、あらかじめ事前定義された意思決定ルールに従って、サンプルサイズ、割付比、用量、群の追加・停止などを計画的に変更できる設計）や Platform trials（単一のマスタープロトコルの下、共通対照群を用いて複数介入群を同時・継続的に評価し、介入群を追加・削除できる設計）、Basket trials（同一治療を、臓器別ではなく共通バイオマーカー等で定義された異なる疾患・集団の「バスケット」にまたがって評価する設計）といった複雑・革新的デザイン試験では、一般的な CTIMP 要件に加え、プロトコルの設計段階から事前計画された適応ルール、変更管理、統計的手法の透明性、段階的な安全性評価といった要素が不可欠です。これらは MHRA の“Applications that need expert advice”に該当し、専門家レビューによる事前相談（MHRA の Scientific Advice Service への事前相談）が推奨されています。

3-2. CTIMP に該当しない臨床試験（Non-CTIMP）に適用される規制

介入を伴わない研究は Non-CTIMP として扱われます。例えば、既承認薬を承認された用法・用量の範囲で使用し、研究目的で追加の負担を伴う検査を行わない観察研究などが該当します。この場合、HRA の「UK Policy Framework for Health and Social Care Research」に基づく運用が求められ、REC による事前審査、IRAS を通じた倫理審査申請、参加者へのインフォームド・コンセント、利益相反の管理、研究情報の公開などの倫理要求が中心となります。また個人情報の取扱いについては、個人情報保護法制（UK GDPR／Data Protection Act 2018／Data (Use and Access) Act 2025）の遵守も必須です。Non-CTIMP では CTA 承認や SUSAR 報告義務は適用されませんが、倫理的・科学的な妥当性を確保するため、HRA や UKRI（UK Research and Innovation）が示すガイダンスに従うことが求められます。

3-3. ATMP（Advanced Therapy Medicinal Product：先端治療用医薬品）試験

Human Medicines Regulations 2012 にて定義されている ATMP の概要と、ATMP に該当する Product の概要は以下の通りです。

Advanced Therapy Medicinal Product（ATMP）：先端治療用医薬品

遺伝子治療用医薬品（Gene Therapy Medicinal Product）、体細胞治療用医薬品（Somatic Cell Therapy Medicinal Product）、組織工学的製品（Tissue Engineered Product）のいずれかに該当する医薬品の総称であり、医療機器等と一体化した「コンビネーション ATMP（combined ATMP）」を含む概念です。

Gene Therapy Medicinal Product：遺伝子治療製品

組換え核酸をヒトに投与またはヒト細胞に導入（in vivo／ex vivo）して、遺伝子配列の調節・修復・置換・追加・削除などを行い、治療・予防・診断の効果が当該組換え核酸に関連して発現するよう設計された製品を指します。ウイルス性・非ウイルス性のベクター等による遺伝子導入が含まれますが、感染症に対する通常のワクチンはこの定義から除外されます。

Somatic Cell Therapy Medicinal Product：体細胞治療製品

自家・同種・異種由来の細胞または組織を用い、（意図された臨床用途に関連する）生物学的特性・生理機能・構造的性質が変化するような「実質的加工（substantial manipulation）」が施されている、あるいは提供者と受領者で同じ本質的機能に用いられない「非同質使用（non-homologous use）」に該当する製品で、薬理学的・免疫学的・代謝的作用を通じて疾患の治療・予防・診断を目的とするものをいいます。

Tissue Engineered Product：組織工学的製品

実質的加工または非同質使用に該当する「エンジニアリングされた」細胞または組織を含む、あるいはそれから構成され、ヒトの組織の再生・修復・置換を目的として用いられる製品を指します。細胞・組織は通常生存性を有し、必要に応じて足場材料（スキャフォールド）やバイオマテリアル、マトリックス等を組み合わせることができ、医療機器と一体化した場合はコンビネーション ATMP として扱われます。

ATMP 試験の実施に際し、MHRA は ATMP ガイダンス（Advanced therapy medicinal products (ATMPs): regulation and licensing）を発出しています。ATMP 試験は CTIMP の制度内ですが、ガイダンスに従い必要に応じて分類意見や科学的助言を活用したうえで申請されます。ATMP の特性に応じて、製造施設の GMP 認可、長期フォローアップ計画、安全性評価、製造記録の整備などが重要な管理事項となります。

また、ATMP 試験においてヒト由来の細胞または組織を取り扱う場合には、当該材料が Human Tissue Act 2004 における relevant material に該当するかを確認する必要があります。relevant material は、Human Tissue Act 2004 の Section 53 において、「ヒトの細胞を含む、または細胞から成る材料（配偶子（精子・卵子）を除く）」と定義されています。定義に合致する場合には、当該材料の採取、保管および取り扱いの方法や目的に応じて、Human Tissue Act 2004 に基づく要件が適用される可能性があります。同法の下では、relevant material を特定の目的のために保管する場合に Human Tissue Authority（HTA）によるライセンスが必要となることがありますが、通常の CTIMP のように適切な倫理審査を受けた臨床研究においては、HTA ライセンスが免除されるのが一般的です。

3-4. 複合製品の臨床試験に関する規制

英国では、医薬品と医療機器を組み合わせた「複合製品（Drug–Device Combination Products）」を臨床試験で使用する場合、医薬品として扱うか、医療機器として扱うかで適用される規制が異なりますが、実務上は MHRA と HRA の双方による審査を同時に受ける Combined Review が中核となります。複合製品が医薬品主体として扱われる場合には、試験開始前に MHRA による CTA 承認が必要であり、同時に REC の倫理審査を受ける必要があります。この場合、申請は IRAS を用いた HRA の Combined Review により単一の申請・単一決定の形で行われ、医薬品と医療機器の関連要件が並行して審査されます。

3-5. Phase I Accreditation Scheme 試験

Phase I および First-in-Human（FIH）試験を実施する医療機関は、MHRA の Phase I Accreditation Scheme に参加することが推奨されています（任意）。参加申請には、救急・蘇生体制、緊急時搬

送連携、専門要員の常時配置と定期訓練、詳細なリスク評価・管理計画、哨兵投与や段階的用量漸増・停止規則、過度のボランティア参加防止（The Over-volunteering Prevention System, TOPS 等）を含む厳格な内部手続の整備が求められています。

なお、Phase I および FIH 試験に固有の申請手続が別途あるわけではなく、CTA 承認および REC 審査という基本枠組みは他の CTIMP と共通です。そのうえで、MHRA は EMA の FIH リスク指針（2017）や自庁ガイダンス（applications that need expert advice）に沿った計画を審査上の期待事項としており、初回用量設定、哨兵投与、スタッガー、停止規則などのリスク低減策を明確化するとともに、必要に応じて CHM（Commission on Human Medicines）の専門家助言や申請前の MHRA Scientific Advice を活用することが推奨されています。倫理面では HRA／REC のガイダンスに基づく報酬・同意の妥当性が審査され、放射性医薬品等を伴う場合は IRMER（Ionising Radiation Medical Exposure Regulations）および ARSAC（Administration of Radioactive Substances Advisory Committee）の要件が適用されます。これらのガイダンスは独立の法令ではありませんが、Phase I および FIH 試験に特有の安全性重視の運用として実務上強く参照されています。

3-6. 希少疾病用医薬品（Orphan Drug）を対象とする試験

希少疾患（rare diseases）を対象とした医薬品の臨床試験は、基本的に一般の医薬品臨床試験と同じく Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 を基盤とする CTIMP 規制が適用され、MHRA による承認と HRA/REC による倫理審査を受けて実施されます。

3-7. 小児対象 CTIMP（Pediatric CTIMPs）

英国で小児を対象とした CTIMP を実施する場合、MHRA および HRA/REC の各種ガイダンスにおける小児特有の要件が適用されます。これには英国独自の Paediatric Investigation Plan（PIP）の提出や、小児向けの同意／承認手続き、代理同意者合法性（例：16 歳未満は法定代理人が同意）、薬物動態・用量探索、安全性モニタリング面での特別措置などが含まれます。ICH E11/E6 に整合した文書化と報告が求められ、MHRA が提供する小児 CTIMP 向けのチェックリストやガイダンスがあり、より慎重な審査が行われます。

3-8. 緊急時に実施される臨床試験の規制

緊急時研究（Emergency Research）とは、心停止・重度の脳卒中・意識障害など、治療を急ぐ必要がある状況で行われ、被験者が同意能力を欠き、事前にインフォームド・コンセントを取得することが実質的に不可能な状況で実施される研究を指します。英国では、このような研究に関する公式な規定は、HRA の「Research in emergency settings」ガイダンスに明確に整理されています。ガイダンスによれば、臨床試験（特に CTIMP）において、治療の実施を急ぐ必要があり、試験薬の投与も緊急であるため通常のインフォームド・コンセントを取得していては患者に必要な医

療介入が遅れ、かつ被験者本人が意識障害などで意思表示能力を欠いており、さらに適切な法的代理人から同意を得ることも現実的に不可能であると判断される状況では、NHS Research Ethics Committee により事前に承認された手続きに基づき、例外的に事前同意を得ることなく被験者を試験に組み入れることが認められます。そして、このような例外措置の下で研究が進められた場合には、被験者本人が回復するか、または法的代理人と連絡がつくようになった時点で、できる限り速やかに改めて正式な同意を取得することが求められています。

3-9. 規制麻薬の臨床試験に関する規制

麻薬・向精神薬などの Controlled Drugs（規制薬物）は Misuse of Drugs Act / Misuse of Drugs Regulations に基づき厳格に管理されており、臨床研究で使用する場合にも特別な法的要件が適用されます。特に Schedule 1（研究目的のみで使用可能な薬物：幻覚剤、MDMA、シロシビン等）を扱う研究では、通常の CTIMP 手続きに加え、試験で薬物を保管・供給・投与する各施設が Home Office（内務省）による Schedule 1 研究ライセンスを事前に取得し、当該薬物の占有・保管・供給・投与をライセンス条件に従って実施することが義務となります。海外から調達する場合は輸入許可（import licence）が別途必要となり、製造・調製（production/compounding）を行う場合は該当する Home Office の生産ライセンスが求められます。

第２章：英国における医薬品の臨床試験の規制に関する細目

臨床試験を構成する下記の要素について、求められる規制を整理しました。

1. 国や規制当局による臨床試験の実施の承認

CTIMP を実施する場合、前述の通り、CTA 承認が必要です。CTA 制度は The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 に基づき規定されており、申請は MHRA が定める手順・要件に従って行います。なお、第 1 相試験（健康成人対象等）であっても CTIMP に該当する限り CTA 承認が必要です。加えて、近年は低介入試験や通知型枠組み等、制度見直しに伴う簡素化が進行しているため、最新の MHRA 情報に基づき要否や手続きを確認します。
Non-CTIMP については、原則として MHRA の CTA 承認は不要です。

2. Ethics Committee による臨床試験の実施の承認

CTIMP を実施する場合、REC による倫理審査を受け、原則として肯定的意見（favourable opinion）を取得する必要があります。REC 申請は、HRA の枠組みに基づき、通常 IRAS を通じて行います。また、NHS 環境で実施する CTIMP では、倫理審査に加えて HRA Approval が関連する場合があるため、実施環境に応じて必要手続きを確認します。
Non-CTIMP（観察研究、医療データ研究等）についても、研究内容や被験者保護の観点から REC 審査が必要となる場合が多く、特に NHS 環境で実施する場合は、REC 審査に加えて HRA Approval が必要となる可能性が高いです。一方、非 NHS 環境で実施する研究では HRA Approval が不要となる場合がありますが、REC 審査による意見の取得が求められることがあります。

3. 臨床試験における利益相反（Conflict of Interest, COI）

CTIMP の場合、COI 管理は The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 に基づくスポンサー責任および GCP 準拠の枠組みの中で実施されます。スポンサーは COI を含む適切な管理体制を整備し、研究資金源や研究者と企業等の関係性（雇用・株式・謝金等）を把握した上で、必要に応じて被験者説明文書等により情報開示することが求められます。また REC 審査では、これらの利害関係が倫理的観点から適切に管理されているか（不当な誘導や被験者保護上の懸念がないか）が評価されます。
Non-CTIMP の場合、COI 管理は UK Policy Framework for Health and Social Care Research 等の研究ガバナンスの枠組みに基づき、研究主体が適切に実施する必要があります。特に NHS 環境で実施される研究では、REC 審査を通じて研究資金源や研究者の利害関係の整理・開示が求められることが多いです。商用研究では金銭的関係の透明性確保が重要となり、非商用研究では兼業や共同研究、寄付講座等の多様な利害関係が論点となる傾向にあります。

4. 被験者への説明と同意取得、多言語化

被験者への説明およびインフォームド・コンセント（Informed Consent）は、研究種別を問わず REC 審査における中核要件であり、参加者が内容を理解した上で自由意思に基づき参加判断できることが求められます。この点は、CTIMP に該当する試験であっても、Non-CTIMP 研究であっても共通です。

一方で、CTIMP か否かにより適用される規制枠組みおよび運用上の要求水準には差が生じます。Non-CTIMP 研究では主として被験者保護の観点が中心となるのに対し、CTIMP では臨床試験規則および GCP の枠組みの下で、IMP の管理、安全性管理、文書化、品質管理等を含むより包括的な規制要求に基づく運用が求められます。このため、同意取得に関しても、CTIMP では試験介入や医薬品の使用に伴うリスク・便益、代替治療、想定される有害事象および対応等について、より詳細かつ体系的な説明が求められる傾向があります。

また、説明文書・同意文書の多言語対応については、英国の法令が「特定の言語での提供」を一律に定めているというより、参加者が理解可能な形で情報提供され、同意が成立していることが重視されます。したがって、対象集団において言語的障壁が想定される場合には、翻訳文書の作成や通訳手配等の支援策を含め、参加者の理解可能性を担保する運用が求められます。特に CTIMP では、説明内容の重要性や安全性上の連絡体制がより重視されることから、翻訳の品質確保や運用体制の妥当性が審査上の論点になりやすいと言えます。

以上より、説明・同意取得および多言語対応に関する要求の本質は CTIMP・Non-CTIMP で共通するものの、CTIMP では臨床試験としての規制要求の範囲が広く、結果として説明内容および体制整備に関する期待水準が高くなる点に留意する必要があります。

5. 被験者の補償

CTIMP の場合、試験に起因して被験者に損害が生じた場合に備え、スポンサーが補償・賠償責任の枠組みを整備することが重要です。英国では、スポンサー主導の臨床試験を中心に ABPI（Association of the British Pharmaceutical Industry）の補償ガイドライン（ノーフォルト補償の考え方を含む）に沿った運用が一般的であり、試験実施前に補償内容が適切であること、および被験者説明文書等で補償の取扱いが明確に示されていることが求められます。

Non-CTIMP の場合、研究参加に伴うリスクがある場合には、補償・賠償責任の整理が必要となります。特に NHS 環境で実施する研究では、実施主体（NHS、大学等）の責任分界や既存の補償スキームに基づいて取り扱われることが多いですが、研究内容に応じて追加の保険手当が必要となる場合もあるため、研究ガバナンスの観点から適切な整理と明確化が求められます。

6. 安全性情報の規制当局への報告

CTIMP の場合、被験者の安全確保のため、重篤な有害事象等に関する安全性情報を適切に評価

し、MHRA へ所定の手続きに従って報告することが求められます。具体的には、SUSAR 等の迅速報告や、DSUR（Development Safety Update Report）等の定期報告を含む安全性報告体制をスポンサーが構築し、試験期間を通じて継続的に安全性を監視することが基本となります。
Non-CTIMP の場合、原則として MHRA の安全性報告（SUSAR/DSUR 等）の枠組みの適用対象外ですが、研究内容によっては安全性管理が必要となります。介入を伴う研究では、有害事象の把握・対応手順を定め、必要に応じて REC 審査や実施施設のルールに基づく報告・情報共有を行うなど、研究対象者の安全性確保のための運用が求められます。

7. 被験者の情報保護（個人情報保護、個人ヘルスケア情報保護）

CTIMP の場合、被験者の個人情報および健康情報（特別カテゴリデータ）を取り扱うため、UK GDPR、Data Protection Act 2018 および Data (Use and Access) Act 2025 等に基づく適切なデータ保護措置が必要となります。スポンサーおよび実施医療機関は、データ処理の適法性根拠、目的の限定、最小化、アクセス管理、保管期間、国外移転時の管理等を含むデータガバナンスを整備し、被験者への透明性確保（説明文書での情報提供等）を行うことが求められます。
Non-CTIMP の場合、医療データ研究や観察研究では個人情報・医療情報の取扱いが主要論点となり、UK GDPR 等に基づくデータ保護義務が適用されます。特に NHS の診療情報を利用する場合には、データの機密性確保や利用目的の妥当性の説明が重要となり、研究計画・倫理審査を通じて適切な管理措置が講じられていることを示す必要があります。

8. 臨床試験実施データの開示（登録・結果公開）

CTIMP の場合、臨床試験の透明性確保の観点から、公式データベース（ISRCTN 等）への試験登録および結果公開の要件を満たすことが求められます。英国では、HRA が臨床試験登録を倫理的要件として重視しており、倫理意見の付与にあたって登録を条件とする運用が行われることがあります。また、MHRA の関連ガイダンス等に基づき、試験開始前の登録および試験終了後の結果公開を計画的に実施することが重要です。
Non-CTIMP の場合も同様に、研究の透明性向上の観点から、研究登録および結果公開は重要な要素です。特に臨床試験に該当する研究では、HRA がレジストリ登録を求める場合があり、倫理審査・研究ガバナンスの観点からも登録・公開方針を事前に明確にしておくことが望ましいです。研究の性質に応じて、公的レジストリ登録や結果の公表手段を適切に選択する必要があります。

9. データ等の電子化に関する法規制

電子化に直接関係する英国の代表的な公式文書として、MHRA の Electronic Health Records（EHR）ガイダンスがあります。EHR ガイダンスおよび ICH E6（GCP）等に基づき、電子化された医療記

録は、臨床試験の過程を後から忠実に再構築できるだけの完全性と整合性を備えている必要があります。これは、試験結果の真実性を保証するうえで不可欠であり、記録が不十分で再構築ができない場合には、試験そのものが GCP に適合しないと判断される可能性があります。MHRA は、臨床試験の再構築不能が規制違反につながり、臨床試験データの信頼性を損なう重大なリスクと位置づけています。また、電子記録システム自体が適切に設計・バリデートされ、 GCP に適合していることが求められます。さらに、電子記録にアクセスする第三者、たとえばモニターや監査担当者などが記録を閲覧する際の安全性とアクセス制御も必須の要件とされています。
臨床試験における電子署名は原則として使用可能であり、適切に設計された電子署名は「署名として有効」と認められています。しかし、どのような署名でも良いわけではなく、MHRA と HRA の共同ガイダンスによって、信頼性（identity, integrity, timestamp）を担保する要件が具体的に示されています。

Appendix: 本要約中に引用された法規制・ガイダンス一覧（記載順）

1. Medicines and Medical Devices Act 2021
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2021/3/contents

2. The Human Medicines Regulations 2012
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2012/1916/contents

3. The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2004/1031/contents

4. The Human Medicines (Amendment etc.) (EU Exit) Regulations 2019
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2019/775/contents

5. The Human Medicines (Amendment) (Modular Manufacture and Point of Care) Regulations 2025
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2025/87/contents/made

6. The Medicines for Human Use (Clinical Trials) (Amendment) Regulations 2025
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2025/538/contents

7. HRA Guidance: UK Policy Framework for Health and Social Care Research
   https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/policies-standards-legislation/uk-policy-framework-health-social-care-research/

8. Guidance: Risk-Adapted Approach to clinical trials and Risk Assessments
   https://www.gov.uk/government/publications/risk-adapted-approach-to-clinical-trials-and-risk-assessments/risk-adapted-approach-to-clinical-trials-and-risk-assessments

9. Data Protection Act 2018
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2018/12/contents/enacted

10. UK General Data Protection Regulation
    略称：UK GDPR
    https://ico.org.uk/about-the-ico/what-we-do/legislation-we-cover/general-data-protection-regulation/

11. Data (Use and Access) Act 2025
https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2025/18/contents

12. Guidance: Advanced therapy medicinal products: regulation and licensing in UK
https://www.gov.uk/guidance/advanced-therapy-medicinal-products-regulation-and-licensing

13. Human Tissue Act 2004
https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2004/30/contents

14. Guideline on strategies to identify and mitigate risks for first-in-human and early clinical trials with investigational medicinal products（2017）
要約内用語：EMA の FIH リスク指針
https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-strategies-identify-and-mitigate-risks-first-human-and-early-clinical-trials-investigational-medicinal-products-revision-1_en.pdf

15. Ionising Radiation (Medical Exposure) Regulations 2017（IR(ME)R）
https://www.legislation.gov.uk/uksi/2017/1322/contents/made

16. Administration of Radioactive Substances Advisory Committee（ARSAC）
https://www.gov.uk/government/organisations/administration-of-radioactive-substances-advisory-committee

17. Guidance: Clinical trials for medicines: expert advice
要約内用語：自庁ガイダンス
https://www.gov.uk/guidance/clinical-trials-for-medicines-expert-advice

18. HRA Guidance: Research involving children
https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/policies-standards-legislation/research-involving-children/

19. Guidance: Completed paediatric studies: submission, processing, and assessment
https://www.gov.uk/guidance/completed-paediatric-studies-submission-processing-and-assessment

20. HRA Guidance: Research in emergency settings
https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/policies-standards-legislation/research-

emergency-settings/

21. Misuse of Drugs Act 1971
https://www.legislation.gov.uk/ukpga/1971/38/contents

22. The Misuse of Drugs Regulations 2001
https://www.legislation.gov.uk/uksi/2001/3998/contents

23. ABPI — Clinical trial compensation guidelines
要約内用語：ABPI の補償ガイドライン
https://www.abpi.org.uk/media/wz1k4sww/compensation_guidelines_2014.pdf

24. Guidance: Access to Electronic Health Records by Sponsor representatives in clinical trials
要約内用語：EHR ガイダンス
https://www.gov.uk/guidance/on-site-access-to-electronic-health-records-by-sponsor-representatives-in-clinical-trials

英国における医療機器の臨床試験の法規制

作成日：2026 年 2 月 20 日

第 1 章：英国における医療機器の臨床試験を取り巻く規制

1. 法規制の階層構造

1-1. 法体系

英国における医療機器の臨床試験に関する法規制は、医薬品と同様に最も上位に位置するのは議会制定法（Acts of Parliament）であり、医療機器の安全性や市場流通に関する基本的な枠組みを定めています。代表的なものに「Medicines and Medical Devices Act 2021」があり、この法律が医療機器規制の根幹を形成しています。

次に位置するのは、法令委任に基づく詳細規定である法定文書（Statutory Instruments）であり、医療機器に関しては「UK Medical Devices Regulations 2002（UK MDR 2002）」が中心となります。この法令は、機器の安全性と性能を科学的に検証し、患者保護を確保するための枠組みを提供しています。規制の階層は、議会制定法を頂点に、UK MDR 2002 は Secondary legislation（SI）に位置付けられ、MHRA（Medicines and Healthcare products Regulatory Agency）が発出するガイダンスや通知、さらに倫理審査委員会（Research Ethics Committee, REC）による審査要件で構成されます。

なお、北アイルランド（Northern Ireland, NI）では EU 医療機器規則（Regulation (EU) 2017/745 on medical devices, EU MDR）が適用されるため、地域によって要件が異なる点にも留意が必要です。

本要約において「英国」は連合王国（United Kingdom, UK）を、GB はグレートブリテン（イングランド、スコットランド、ウェールズ）、NI は北アイルランドを指し、主に UK MDR 2002 による規制について論じます。

1-2. 主な関連法規

- Medicines and Medical Devices Act 2021 (2021 c.3)
- The Medical Devices Regulations 2002 (SI 2002/618)
- The Medical Devices (Amendment etc.) (EU Exit) Regulations 2019 (SI 2019/791)
- The Medical Devices (Amendment) (Great Britain) Regulations 2023 (SI 2023/627)
- The Medical Devices (In Vitro Diagnostic Devices) (Amendment) Regulations 2024 (SI 2024/221)
- Data Protection Act 2018 (2018 c.12)

1-3. 主な規制当局

英国における医療機器の臨床試験（臨床調査）に関与する主要な規制当局・審査主体の概要は以下の通りです。

・MHRA：医薬品・医療製品規制庁

保健省（Department of Health and Social Care）の所管の下で、医療機器規制の主管当局として、医療機器の臨床調査に関する当局手続（通知／申請）の受付・審査、判断（GB では「異議なし／異議あり」、NI では「許可／不許可」等）、安全性報告や変更手続の要件提示、関連ガイダンスの整備を担います。

・HRA（Health Research Authority）：保健・医療研究庁

非省庁公共機関（Non-departmental public body）として設置され、主に国民保健サービス（National Health Service, NHS）で実施される研究に関する倫理レビューの枠組み（Research Ethics Service, RES）を運用し、研究ガバナンス／法令遵守レビュー（英国の研究承認プロセスの一部）や研究透明性（research transparency）に関する方針・ガイダンスの整備を担います。

・REC：研究倫理委員会（倫理審査委員会）

研究計画の倫理性（被験者保護、同意手続、リスクと負担の妥当性等）を審査します。英国では複数の REC が運用され、研究内容に応じた割当（予約）や、特定領域に対応する「フラグ付け REC」による審査が行われる場合があります（NI では HSC REC A/B が該当します）。

1-4. 地域別で規制が異なる点について

英国では、医療機器の規制は地域によって異なる制度が適用されています。これは、EU 離脱後に導入された「北アイルランド議定書（Northern Ireland Protocol）」と、その後の「Windsor Framework」による取り決めに基づくものです。

GB では、UK MDR 2002 が適用され、医療機器の承認や臨床試験はこの国内法に従って行われます。GB 市場では UKCA（United Kingdom Conformity Assessed） marking を前提に適合性評価を行う枠組みが中心となります。EU 離脱を伴う移行措置として一定期間は CE marking での上市が認められる場合があるため、適用期間・条件を制度ガイダンスに基づいて整理する必要があります。臨床試験の通知や承認も、UK MDR 2002 に基づき MHRA が監督します。

一方、NI では、EU との取り決めにより、EU MDR および体外診断用医療機器規則（Regulation (EU) 2017/746 In Vitro Diagnostic Medical Device Regulation, EU IVDR）が引き続き適用されます。そのため、NI 市場に流通する機器は CE mark を取得しなければならず、臨床試験も EU MDR の要件に従って実施されます。さらに、NI 向けの製品には場合によって UKNI mark を併記する必要があります。

この違いは臨床試験の要件にも影響します。GB では UK MDR 2002 に基づき、試験開始前の MHRA 通知や倫理審査が求められますが、NI では EU MDR の規定に従い、EU 基準での安全性・性能評価や報告義務が適用されます。したがって、GB と NI の両地域で試験を行う場合は、それぞれの法的枠組みに沿った手続きと文書管理が必要であり、申請先や承認プロセスが異なるため、計画段階での調整が不可欠です。

2. 対象となる規制を検討するための分類

英国で医療機器の臨床試験を実施する際、その対象となる規制・ガイダンスを検討するには、様々な分類が考えられます。

2-1. 製造販売承認申請を目的とした、または目的としない臨床試験に適用される規制

GB における医療機器を用いた臨床研究は、UK MDR 2002 を法的基盤として整理され、実務運用は MHRA および HRA が公表するガイダンスにより補強されています。なお、承認申請を目的とするか否かにかかわらず、医療機器を用いる研究が UK MDR 2002 上の Clinical Investigation（CI）に該当する場合があるため、計画中の研究が MHRA への手続き（通知または申請）を要する CI に該当するかを判定することが実務上の出発点となります。CI 該当性の判断は、MHRA が公表する GB 向けフローチャートおよび付随ガイダンスに基づき、研究の特性や目的（人を対象とするか、機器の規制上の状態、表示された marketed indication 内の使用であるか、安全性・性能評価を目的とするか等）に沿って分岐を確認し、結論（申請の要否）を検討し、計画している臨床試験について規制上の分類を整理する必要があります。
特に GB では、一定条件下の post-market study が CI 申請不要となり得ること、また後ろ向き研究や非介入的研究であっても試験設計次第で CI 該当性が変わり得ることに留意が必要です。
CI を実施する場合、開始前の主要な手続きとしては、(i) MHRA への事前手続き（通知または申請）と、(ii) REC による倫理審査が必要になります。臨床試験の実施にあたっては、UK MDR 2002 の枠組みに加え、BS EN ISO 14155:2020 は規制としてではなく best practice として遵守が期待される旨が示されているため、被験者保護とデータ信頼性の観点から、その考え方を計画・実施・記録・報告の運用に反映させます。

注意事項：NI は GB と適用枠組みが異なり、EU MDR/IVDR が適用されるため、臨床試験の手続・要否判断は NI 向けガイダンス（フローチャート等）に基づいて整理する必要があります。

【UK MDR】

1) フローチャート本体（PDF）

Studies under UK MDR 2002（CI 判定フローチャート）

https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/1072413/flowchart_CIs_-_Studies_under_UKMDR2002_v1_A4.pdf

2) フローチャートの解説（付随ガイダンス）

GB Flow Chart Accompanying Guidance（付随ガイダンス）

https://assets.publishing.service.gov.uk/media/69247ba05f7777c304ba7ee4/GB_Flow_Chart_Accompanying_Guidance_v3.pdf

【EU MDR】（NI）

1) フローチャート本体

Flow Chart – Clinical Investigations in Northern Ireland

https://assets.publishing.service.gov.uk/media/67619df526a2d1ff182534a1/Flow_Chart_-_Clinical_Investigations_in_Northern_Ireland.png

2) フローチャートの解説（付随ガイダンス）

NI Flow Chart – Accompanying Guidance（付随ガイダンス）

https://assets.publishing.service.gov.uk/media/67619e4126a2d1ff182534a2/NI_Flow_Chart_-_Accompanying_Guidance_v1.0.pdf

2-2. 臨床試験が必要となる医療機器の分類

2-2-1. クラス分類と承認プロセス（GB：UK MDR 2002）

クラス分類	概要	対象機器の例	臨床試験の要否
クラス I	低リスク	注射針なしシリンジ、標準的な絆創膏、検査灯 等	通常マーキング済かつ適応内使用であれば不要 特殊用途や性能変更が伴う場合は追加データの要求の可能性あり
クラス Is / Im	クラス I のうち 滅菌（Is）または 計測機能（Im） を有する	（機器ごとに判断）	滅菌（Is）または計量に関する評価（Im）が必要だが、適応内使用では臨床試験なしで対応可能
クラス IIa	中リスク	短期矯正用コンタクトレンズ、縫合針、標準補聴器 等	適合性評価が必要 臨床評価で適合要求を十分に裏づけられない場合に CI が必要となり得る。新規性（新素材・新用途等）や使用条件によりギャップが生じる場合は CI 実施を検討。

クラス分類	概要	対象機器の例	臨床試験の要否
クラス IIb	中～高リスク	無呼吸モニター、人工呼吸器、外科用レーザー、診断用 X 線源　等	リスクが高く臨床評価のギャップが生じやすいため CI が必要となる頻度が上がる傾向。既存データで安全性・性能を十分に示せない場合は CI が必要となり得る
クラス III	高リスク	ペースメーカー、人工股関節置換システム、乳房インプラント、避妊 IUD　等	原則として臨床試験が必要となる可能性が高い、詳細な検証が不可欠

UK Approved Body（適合性評価機関）は、MHRA により指定され、UK MDR 2002 に基づいて製造業者および医療機器が要求事項を満たしているかを評価し、適合性評価の結果として必要な認証（証明書）を発行します。製造業者はこの認証に基づき UKCA mark を表示し、GB 市場への上市が可能となります。制度上の位置づけとしては、EU における Notified Body（CE marking の第三者適合性評価）に相当し、日本では第三者認証制度における登録認証機関に類似する役割を担います。

臨床試験の要否を判断する基準は以下の通りです。メーカーはまず Clinical Evaluation Report（CER）を作成し、既存臨床データが安全性・性能を保証しているかを評価します。適応内使用・十分な文献・前市場データがある場合、通常は臨床試験不要と判定されますが、新素材・AI 技術・適応外使用などでデータが不足する場合、臨床試験が必要となり、MHRA への 60 日前通知が求められます。

臨床試験が必要かどうかは、機器の認証状況と使用目的によって決まります。たとえば以下の場合、臨床試験が必要です。

- UKCA marking が未取得の新規医療機器
- 承認済み機器を認証された適応外の目的で使用する場合
- 既存データや文献だけでは安全性・性能を十分に立証できない場合（例：高度な技術製品、AI 搭載機器など）

一方、承認済み機器を認証された目的内で使用する場合や、ポストマーケット臨床フォローアップ（Post‑Market Clinical Follow‑up, PMCF）で既存データが十分な場合は、通常、臨床試験は不要です。判断には MHRA が提供する公式ガイダンスとチェックリストを用います。

3. 体外診断用医療機器（IVD）

3-1. GB における体外診断用医療機器の取り扱い

GB における体外診断用医療機器（in vitro diagnostic medical devices, IVD）は、UK MDR 2002 を中核とする法体系の下で規制されます。UK は EU 離脱後も GB において UK MDR 2002 を基盤に制度運用を継続しており、EU Exit 関連改正（例：SI 2019/791）やその後の改 SI（例：SI 2023/627、SI 2024/221）を通じて条文が更新される構造にあります。

さらに、UK MDR 2002 は医療機器分野の旧 EU 指令を国内法化した体系であり、IVD については Directive 98/79/EC（IVDD）を含む複数指令の実装を目的として制定されています。（EU IVDR は適用されていないことに注意）

IVD の法令上の位置づけは、「医療機器（medical device）」の一類型として定義される点に特徴があります。MHRA が公表する GB 向けガイダンスでは、UK MDR 2002 の Regulation 2 に基づき、IVD を「ヒト由来検体を in vitro で検査し、（i）生理的又は病理的状態、（ii）先天異常に関する情報、（iii）献血・組織等の提供物の安全性や適合性、（iv）治療のモニタリングに関する情報を提供することを目的として、製造業者が意図した試薬、キット、機器、装置、設備又はシステム等の医療機器」として定義しています。また、アクセサリ（accessory）については、単独では診断情報を提供しないものの、特定の IVD と併用されることを意図された場合には、UK MDR 2002 上 IVD として取り扱われ得ることが示されています。そのため、侵襲的検体採取器具のように人体に直接適用される要素は一般に Part II（一般医療機器）側で整理されています。さらに、製品の性能を評価する市販前（開発中）の IVD を性能評価用機器（devices for performance evaluation）として定義し、通常の適合性評価ルートの対象外である一方、所定の適合性表明（statement of conformity）の作成と MHRA 登録が要求されます。

3-1-1. クラス分類

GB における IVD の規制区分は、EU IVDR のクラス A〜D とは異なり、UK MDR 2002 の Part IV に基づく 4 つのカテゴリにより整理されます。MHRA の GB 向け IVD ガイダンスは、規制上の管理強度（perceived risk）の増加に沿って、（a）一般 IVD（general IVDs）、（b）自己検査 IVD（IVDs for self-testing）、（c）Part IV Annex II List B 該当 IVD、（d）Part IV Annex II List A 該当 IVD の四分類を提示し、これが GB における分類の基本骨格であることを明示しています。

区分 UK MDR 2002 Part IV	概要（規制上の位置づけ：概略）	例	適合性評価（概略）
一般 IVD（General IVDs）	4 カテゴリのうち相対的に低い規制区分（原則として自己検査、List A または List B に該当しない IVD）	生化学的検査、ホルモン検査等	自己宣言（自己適合宣言）を中心に適合性評価を実施する枠組み。詳細は MHRA IVD ガイダンスに従う
自己検査 IVD（Self-test IVDs）	一般 IVD より規制が強い区分。非専門家（lay persons）が使用することを意図した IVD	自己妊娠検査、自己血糖測定等	自己宣言のみでは足りず、設計面の審査等で第三者認証機関（UK Approved Body 等）が求められる場合がある。該当性判断は MHRA IVD ガイダンスに従う
Annex II List B 該当 IVD	相対的に高い規制区分（List A よりは下位だが、一般 IVD・自己検査より規制が強い）	風疹、トキソプラズマ、フェニルケトン尿症（PKU）等	第三者認証機関（UK Approved Body 等）を伴う適合性評価が基本となる区分。適合性評価ルートは UK MDR 2002 Part IV および MHRA IVD ガイダンスに従う
Annex II List A 該当 IVD	4 カテゴリのうち最も規制が強い区分	HIV、HBV/HCV 等、ABO/抗 Kell 等（献血・移植関連を含む）	第三者認証機関（UK Approved Body 等）を前提とした適合性評価が基本となる区分。適合性評価ルートは UK MDR 2002 Part IV および MHRA IVD ガイダンスに従う

3-1-2. 適合性評価（Conformity assessment）と上市（マーキング／登録）

上市に向けては、カテゴリに関係なく、IVD が必須要件（essential requirements）に適合することが求められます（Part IV Annex I）。その上で、カテゴリに応じた適合性評価ルートを選択します。一般 IVD（General IVDs）は、所定の範囲で製造業者の自己適合宣言（Annex III に基づく自己宣言）で進めるのが基本となります。一方、自己検査 IVD（Self-test IVDs）では、非専門家による使用を想定した設計面の確認が必要となり、設計審査（design examination）等で UK Approved Body の関与が求められる場合があります。また、Annex II（List A／List B）に該当する IVD では、UK Approved Body の関与を前提とした適合性評価が必要になる、と整理されます。

最後に、適合性評価を経て市場に出す段階では、適合性を示すマーキング（UKCA 等）と、MHRA への登録（registration）といった行政手続が実務上の要件になります。ここで注意すべき例外として、性能評価用機器（devices for performance evaluation）は、通常の適合性評価手続（normal conformity assessment procedures）の対象外とされますが、規制要求がなくなるわけではありません。性能評価用機器については、製造業者が所定の適合性表明（statement of conformity：Part IV Annex VIII）を作成し、あわせて MHRA 登録を行うことが求められるため、用途（上市目的か、性能評価目的か）に応じて要求が切り替わる点を押さえておく必要があります。

3-2. IVD の臨床試験／性能評価試験

3-2-1. 実施される試験

GB で IVD の性能評価試験を実施する場合、UK MDR 2002 Part IV における「devices for performance evaluation（性能評価用機器）」の根拠としています。MHRA の GB 向け IVD ガイダンスでは、性能評価用機器を、製造業者が一つ又は複数の性能評価研究（performance evaluation studies）の対象とすることを意図した IVD として説明しており、性能評価はこの枠組みに従う必要があります。

IVD 単体の性能評価試験では、評価段階の IVD を用いて性能を確認し、その結果を技術文書・データとして蓄積していくことになります。この場合、「性能評価用機器として必要な要件（適合性表明の作成と MHRA 登録）を満たした上で、性能評価を行う」という順序で進めることが必要です。したがって、試験計画の冒頭で、当該 IVD を性能評価用機器として取り扱う前提に立ち、必要文書と登録を先に整えることが実務上の要点となります。

IVD 単体の性能評価試験を計画する際の法的チェックポイントは、(i) 当該 IVD が性能評価用機器（devices for performance evaluation）に該当することを整理できること、(ii) Part IV Annex VIII に基づく適合性表明（statement of conformity）を作成できること、(iii) MHRA 登録を行えること、の三点にとなります。これらを満たした上で性能評価試験を設計・実施することが、GB の制度枠組みに整合する進め方になります。

3-2-2. 副作用報告

GB において IVD に関する副作用報告（安全性報告）は、EU IVDR Article 76 ではなく、UK MDR 2002 に新設された市販後監視枠組み（Part 4A）に基づく GB 医療機器ビジランス制度として整理されます。製造業者（必要に応じて UK Responsible Person 等を含む）は、当該 IVD に関連して発生した重篤インシデント（serious incidents）、有害傾向（adverse trends）およびフィールド安全是正措置（field safety corrective actions, FSCAs）を、所定の要件と期限に従って MHRA へ報告する必要

があります。報告期限は重大性に応じて区分され、重大な公衆衛生上の脅威は 2 日以内、死亡又は予期しない重篤な健康状態の悪化は 10 日以内、その他の重篤インシデントは 15 日以内を上限として、製造業者が認知した時点から速やかに報告します。報告は MHRA の指定するオンライン報告環境（Manufacturer's Online Reporting Environment, MORE）を通じて行い、必要に応じて初回は不完全情報で提出し、その後に追補・最終報告を行う運用が想定されます。なお、NI で実施される性能試験に伴う安全性報告は EU IVDR の枠組みに従って整理され、EUDAMED（European Database on Medical Devices）未稼働等の状況では MDCG（Medical Device Coordination Group）ガイダンスに沿った代替手順での報告が実務上の前提となります。

3-3. NI における体外診断用医療機器（IVD）の取り扱い（GB との差分）

NI では、Windsor Framework の下で GB とは異なる規制枠組みが適用されます。具体的には、NI における IVD は EU の IVDR に基づいて規制され、GB で中核となる UK MDR 2002（Part IV）とは準拠すべき法令が変わります。したがって、GB で用いる IVDD 系の 4 カテゴリ（General IVDs、Self-test IVDs、Annex II List B、Annex II List A）による整理ではなく、NI では EU IVDR の分類体系（リスククラス A〜D）および関連要求に従って評価・適合性を組み立てる必要があります。

この違いは、上市や試験の実務にも影響します。NI で市場に出す IVD は、原則として EU IVDR に適合した CE marking を前提に整理され、必要に応じて NI 固有の表示要件（UKNI 表示等）を含めて検討します。また、NI で IVD の性能評価試験を実施する場合は、GB で用いる UK MDR 2002 Part IV の枠組みではなく、EU IVDR の performance studies に関する規定に従って計画・実施・記録・報告等を設計することになります。

なお、EU IVDR の NI での実装・執行を担保する観点から、国内法として Medical Devices (In Vitro Diagnostic Devices etc.) (Amendment) Regulations 2024（SI 2024/221）による補強が行われています。したがって、NI で実施する案件では、(1)適用法令（EU IVDR）を基準に要求事項を整理したうえで、(2)NI での運用・執行に関わる国内法（SI 2024/221 等）との整合も併せて確認する、という順序で検討する必要があります。

第 2 章：臨床試験の規制に関する細目

1. 国や規制当局による臨床試験の実施の承認に関する法規制

GB において、臨床試験を計画する企業等は、規制当局への開始前通知が必要な試験（marking なし／適応外など）においては、試験開始の 60 日前までに MHRA への通知を行うことが義務付けられています。この申請は IRAS（Integrated Research Application System）を通じて提出し、必要な書類を整えます。提出書類には、臨床調査計画書（プロトコル）、技術仕様とリスク評価、必要に応じて Investigator's Brochure、被験者への説明文書と同意書、さらに保険や賠償体制を証明する書類等が含まれます。

申請後、MHRA は提出内容を審査し、60 日以内に異議なし（no objection）または却下（objection）をレターとして通知します。この間、REC による倫理審査を並行して実施され、もし試験が CTIMP（Clinical Trial of an Investigational Medicinal Product）と医療機器を組み合わせたものであれば、Combined Review 方式により、MHRA と REC の審査を一括で進めることが可能です。

【付記：NI における規制上の取扱い】

NI では、GB とは異なり、EU の医療機器規則（MDR/IVDR）に整合した枠組みが適用されます。そのため、NI に試験実施施設が含まれる臨床試験では、提出先は同じく MHRA であるものの、申請の要件や審査の前提は NI 側の枠組みに沿って整理する必要があります。加えて、NI では GB の「no objection／objection」型の整理ではなく、当局による「authorisation（許可）／refusal（不許可）」として最終判断が示され、試験は当局の許可なく実施できません。また、NI では事前手続き（当局レビュー）の標準期間は 45 日であり、外部評価者の関与が必要な場合には、さらに 20 日延長されることがあります。加えて、NI に存在する医療機関を含む申請は、同一試験に関する GB に存在する医療機関も含めて一括で取り扱われることがあるため、GB 単独の場合と同一の判断・手続で進められるとは限りません。特に、GB では通知不要となり得るケース（例：市販後の適応内使用に相当する研究等）でも、NI では当局手続の要否や整理が異なり得るため、NI を含む計画では、GB の説明に加えて NI 特有の要件・運用差を明示しておくことが重要です。

2. ISO 14155 への適合

GB における医療機器の臨床試験を実施する上で、ISO 14155（BS EN ISO 14155:2020）は法令上の直接義務（指定規格）として位置づけられてはいませんが、規制当局のガイダンス上、best practice として遵守が期待されます。規制当局である MHRA は、臨床試験の届出・審査に関する公式ガイダンスで、申請に必要な文書（臨床試験計画書、責任医師資料、患者向け説明文書・同意文書など）と審査の観点（倫理・安全性・手順の妥当性）を示しており、これらは ISO 14155 が定める GCP の作法（設計・実施・記録・報告）と整合的に準備されていることが暗黙の期待事項にな

っています。
MHRA ガイダンスは、これらの要件を実務レベルで補完し、試験中の安全性監視、改変手続き、早期終了時の報告、ヒューマンファクター評価などを詳細に規定しています。特に、重大な有害事象や試験逸脱は速やかに MHRA へ報告し、必要に応じて是正措置を講じることが求められます。

【付記：NI における ISO 14155（BS EN ISO 14155:2020）との関係】
NI では EU MDR/IVDR に整合した枠組みの下で臨床調査が運用されるため、ISO 14155 は EU 側の臨床試験要件を実務的に満たすための GCP 標準（best practice）として位置づけられ、計画・実施・記録・報告の運用に反映させます。したがって、NI を含む場合も、被験者保護とデータ信頼性の観点から ISO 14155 に整合した文書体系と運用を前提に準備します。

3. 倫理審査委員会（REC）や IRB での実施承認のプロセス、法規制

GB における医療機器の臨床試験（臨床調査）では、前述のとおり MHRA による規制審査と、REC による倫理審査をともに満たす二本立てのプロセスとして整理されます。申請の時系列としては、IRAS で申請書類一式を整えたうえで、MHRA 手続きと REC 審査（および該当する場合は研究実施地域・施設区分に応じたガバナンス承認）を原則として並行的に進めるのが実務上の基本です。したがって「どちらが先か」というより、開始要件としては、MHRA の判断（異議なし等）と REC の肯定的意見の双方が必要であります。
申請にあたっては、臨床調査計画書（プロトコル）、Investigator's Brochure、被験者向け説明文書（Patient Information Sheet, PIS）／同意文書（Participant Consent Form）、技術文書（リスク評価や関連データを含む）等を整備し、IRAS を用いて提出するのが一般的です。審査は原則として並行して進み、MHRA は安全性・性能および試験設計の妥当性を中心に確認し、REC は被験者保護と同意手続きの適切性、リスクと負担の妥当性等の倫理的観点から評価します。
また、REC の設置・運用については、全国的に複数の REC が研究倫理委員会のガバナンス取り決め（Governance Arrangements for Research Ethics Committees, GAfREC）に従い、標準化された標準手順に基づいて運用されています。各臨床試験はオンラインの割当（予約のような仕組み）を通じて研究内容に応じて適した REC が審査する仕組みを持っています。研究の性質によっては特定分野に対応可能な REC（フラグ付けされた REC 等）での審査が求められる場合がありますが、オランダのように「国が容認した少数の Central REC がほぼ全ての医療機器臨床試験の審査を担う」方式ではなく、複数 REC による分散型の審査運用とされています。

【付記：NI における倫理審査（REC）】
NI においては、HSC（Health and Social Care）が持つ二つの REC（HSC REC A と HSC REC B）で審査されます。HSC REC：REC A/B は、事務局（ORECNI）が運用支援を行うことで、UK 共通の枠組み

（GAfREC や標準手順）に沿った体制で審査が行われます。申請は GB と同様に IRAS を用いた提出・予約の流れを基本としています。

4. 利益相反に関する法規制（透明性関連）

GB における医療機器の臨床試験において、利益相反（Conflict of Interest, COI）管理は、研究への信頼や審査の公平性に関わる重要な要素と考えられています。少なくとも、HRA の公表する透明性関連情報や医療機器臨床試験に関する案内では、研究者個人の COI を網羅的に条文化するというよりも、倫理審査や審査関与者側の利害管理を含むプロセス面の要件が示されています。申請者（試験計画者）に関しても、利益相反に関わる情報は申請書類の一部として倫理審査で確認をうけます。

GB の特徴として、規制当局側（MHRA 等）の利益相反管理が明確に制度化されている点があります。特に MHRA は、組織内部での判断が他の利害関係によって影響されることを避けるため、専門家・審査者側の利益相反に関する管理方針を整備し、公表しています。この方針は、審査権限を持つ者の判断が中立性を欠くこと、あるいはそのように見える状況を防ぐことを目的としています。

さらに、GB の透明性に関する原則は、研究プロセスおよび評価・審査の中立性を支える基盤として重視されており、研究が公正に実施され、その結果が適切に公開されることが研究参加者や社会全体の信頼につながると HRA 透明性指針で明確に位置付けられています。

総じて、GB の利益相反管理は、「研究者個人の COI を詳細に規定する」というよりも、倫理委員会による審査、規制当局による内部 COI 管理、そして研究全体の透明性確保という複数の仕組みによって中立性を担保する構造となっています。

【付記：NI における COI 管理について】

NI における医療機器臨床試験でも、COI 管理は研究への信頼や審査の公平性に関わる重要な要素と考えられます。NI の倫理審査は HSC RECs が担い、ORECNI がこれを支援しますが、これらは UK-wide の Research Ethics Service（RES）の枠組みに属し、共通の基準・基準の下で運用されています。NI における COI 管理の枠組みは GB と概ね共通です。

5. 同意説明、同意取得、多言語化に関する法規制

GB において医療機器の臨床試験における同意説明・同意取得について、同意に関する詳細な手続きや審査基準は法令単体ではなく、複数の規制･制度が組み合わさる構造で運用されています。GB では、医療機器規則の対象となる CI を開始するためには、REC による倫理承認が求められており、この倫理審査の過程で、参加者への説明内容や同意取得の方法が適切であることが審査の対象となります。研究者は倫理審査を通じて、インフォームドコンセントに関わる文書および手順の妥当性を示す必要があります。なお、GB における医療機器臨床試験は、主として UK MDR

2002 に基づく枠組みの下で整理されます。
さらに、MHRA は、CI の申請時に提出すべき文書として「患者向け説明文書（PIS）」および「同意書（Participant Consent Form）」を明確に要求しています。これは、臨床試験の申請要件として公式ガイダンスに組み込まれており、参加者に対して試験の目的、リスク、利益、参加による影響などを分かりやすく説明し、それを理解したうえで自発的に同意するプロセスを確実に実施することを支える仕組みです。
英国では、医療機器の臨床試験における多言語対応について逐条で法令に定めた制度は存在しません。しかし、試験参加者に提供される情報が「理解可能な形」で提示されることが倫理的・法的要件とされており、この理解可能性を実現するために、研究の内容や対象集団に応じて、翻訳（多言語化）や通訳等の対応が求められる場合があります。法令が明確な「翻訳義務」を条文で規定するというより、HRA および REC の審査・運用の枠組みの中で、多言語対応の必要性が評価される構造になっています。
同意説明、同意取得に関する考え方は NI においても概ね共通する一方で、医療機器臨床試験の規制上の前提（適用法令）は GB と異なり、NI では EU MDR/IVDR が適用される点に留意が必要です

6. 被験者の補償に関する法規制

GB における医療機器の臨床試験では、被験者の補償に関する要件は、特定の単一法令が補償方法や賠償額の詳細を逐条規定しているわけではありません。
UK MDR 2002 によって臨床試験を実施するためには MHRA への届出と倫理審査（REC 承認）が必須とされ、この法令は補償の詳細を逐条で規定しているわけではありませんが、臨床試験が実施されるためには被験者の安全が確保されること、適切なリスク管理が施されていることが必須であり、この安全確保の一環として補償・保険の適切性が実務上組み込まれています。
また、MHRA は Clinical investigations for medical devices（臨床試験に関する MHRA 公式ガイダンス）において、臨床試験の申請時に“Evidence of insurance or indemnity”（保険または補償の証明）を提出必須書類とすることを明記しています。これは、試験に参加する被験者が不利益を被った場合に、スポンサーが十分な補償責任を負う能力を有していることを示すために求められるもので、補償制度の中心的な実務要件となります。
さらに REC は、臨床試験計画の妥当性のみならず、被験者保護の観点から補償・保険体制が適切に確保されているかを審査します。補償体制が十分でない場合、承認を得られません。

NI では適用法令は EU MDR/IVDR となるものの、被験者保護の観点から適切な補償（保険・補償スキーム）を確保するという基本的な考え方は GB と共通です。なお NI では、EU MDR により損害補償システム（保険・保証等）の確保が明示的に求められる点に留意が必要です。

7. 規制当局への安全性情報報告に関する法規制

GB の医療機器の臨床試験では、安全性情報（有害事象やデバイス不具合など）の報告は、参加者の保護と試験の倫理性を担保する上で不可欠な要素とされており、法令による枠組みと MHRA ガイダンスによる具体的な運用基準が組み合わさった多層構造で運用されています。

UK MDR 2002（および関連する規制枠組み）は、具体的な有害事象分類や提出様式を逐条で規定してはいませんが、臨床試験の実施者（スポンサー）が MHRA に対し、安全性に関する情報を正確に把握し、必要に応じて報告する責任を負うことを前提とする制度設計になっています。

MHRA の公式ガイダンスでは、臨床試験中に確認された Serious Adverse Events（SAEs）、Serious Adverse Device Effects（SADEs）、または Device Deficiencies に該当する事象を速やかに報告することが求められており、これらは試験の継続可否や参加者の安全性評価に直結する情報として扱われています。さらに、試験の安全性に影響する問題や重大な手順上の逸脱が発生した場合についても、例外なく MHRA への報告対象とされています。こうした詳細な報告義務は MHRA が試験全体を通じて安全性リスクを適切に把握し、必要な監督措置を講じるための基盤となっており、GB における医療機器臨床試験の安全管理の中核を成す仕組みです。

加えて、GB では安全性監視の精度を高めるため、重大有害事象等の報告は MORE を通じて行うことが求められ、これにより報告の迅速性と体系性が確保されています。MORE はすべての医療機器関連インシデント報告を一元的に受け付ける公式プラットフォームであり、提出された情報は MHRA によって分析され、必要に応じて規制措置やリスク低減策が検討されます。

【付記：NI における差分】

NI においても、医療機器の臨床試験における安全性情報の報告が参加者保護と試験の倫理性を担保する上で重要である点は GB と共通です。一方で、NI は Windsor Framework の下で EU MDR/IVDR が適用されるため、法的な前提（準拠法令）および用語・手続きの参照体系が GB とは異なる点に留意が必要です。

MHRA の公式ガイダンスでは、GB のみの試験と、NI を含む試験、NI のみの試験で適用関係や説明が区分されており、NI の試験では EU MDR/IVDR の要件に沿って安全性情報の記録・報告を行うことが前提となります。したがって、NI に試験サイトを含む場合は、報告対象となる事象の範囲や定義、報告様式・タイムラインの根拠が GB と異なり得ることを踏まえ、試験計画（Clinical Investigation Plan, CIP）や手順書の整合を確保した上で運用することが重要です。

なお、医療機器の有害インシデント報告に関しては、GB/NI いずれで発生した事象であっても、製造業者（または製造業者に代わって報告する者）は、原則として MORE を通じて MHRA へ提出する運用が示されており、NI においても報告の提出経路として MORE が位置づけられます。

8. 被験者の情報保護（個人情報保護、個人ヘルスケア情報保護）に関する法規制

英国では、医療機器の臨床試験で扱われる個人情報やヘルスケア情報の保護は、単一法令が詳細まで規定しているわけではありません。

英国では EU 離脱後も個人データ保護に関する法令（General Data Protection Regulation, GDPR）の原則が UK GDPR として国内法化されており、その運用詳細は Data Protection Act 2018（DPA2018）および Data (Use and Access) Act 2025（DUAA）によって補完されています。

これらは、個人データおよび特に機微性の高い「健康に関するデータ」を取り扱う際の根本的な法的枠組みです。公的機関である HRA は、研究に関するデータの取り扱いにおいて DPA 2018 と UK GDPR の適用が前提であることを示し、研究機関に対し「どの条件で個人データの処理が許されるか」「どのような安全措置が必要か」を適切に判断するよう求めています。

UK GDPR、DPA 2018 および DUAA に基づく個人情報保護の法的枠組みは、GB と NI で共通です。

9. 臨床試験実施データの開示に関する法規制

英国における医療機器の臨床試験では、試験内容および結果の透明性を確保することが、参加者保護と社会的信頼の維持に不可欠な要素として位置づけられています。しかし、EU における EUDAMED のような医療機器特化の中央データベースや、日本の jRCT に相当する英国専用レジストリが整備されているわけではありません。

HRA が公開している透明性ガイダンスでは、試験が一般のデータベースに登録され、終了後に結果が公開されることの重要性が示されています。ただし、この透明性義務のうち、法令上の新たな義務として明確に位置づけられるのは CTIMP（2026 年 4 月 28 日施行の改正規則）であり、医療機器の臨床試験に同様の新たな法的枠組みが一律に拡張されているわけではありません。一方で、HRA は医療機器の臨床試験を含む「臨床試験」について、公開可能なレジストリへの登録を REC の承認条件として位置づけ、ClinicalTrials.gov や ISRCTN Registry 等の公的レジストリへの登録および結果公開を強く推奨しています。

NI では EU MDR/IVDR が適用されるため、医療機器規制上は EUDAMED 等の EU 側の枠組みが関係します。しかし、HRA による研究透明性（公的レジストリ登録・結果公開）に基づき、NI の倫理審査（HSC REC A と HSC REC B）要件として GB と同様に ClinicalTrials.gov や ISRCTN Registry 等の公的レジストリへの登録および結果公開が求められています。

10. データ等の電子化に係る規制

電子化に直接関係する英国の代表的な公式文書として、MHRA の Electronic Health Records（EHR）ガイダンスがあります。

まず、電子化された医療記録は、臨床試験の過程を後から忠実に再構築できるだけの完全性と整

合性を備えている必要があります。これは、試験結果の真実性を保証するうえで不可欠であり、記録が不十分で再構築ができない場合には、試験そのものが ISO 14155 等の基本原則に適合しないと判断される可能性があります。MHRA は、臨床試験の再構築不能が規制違反につながり、臨床試験データの信頼性を損なう重大なリスクと位置づけています。または CTIMP 等に適用される GCP の要件に適合していることが求められます。さらに、電子記録にアクセスする第三者、たとえばモニターや監査担当者などが記録を閲覧する際の安全性とアクセス制御も必須の要件とされています。

英国では、臨床試験における電子署名は原則として使用可能であり、適切に設計された電子署名は「署名として有効」と認められています。しかし、どのような署名でも良いわけではなく、MHRA と HRA の共同ガイダンスによって、信頼性（identity, integrity, timestamp）を担保する要件が具体的に示されています。

Appendix: 本要約中に引用された法規制・ガイダンス一覧（記載順）

1. Medicines and Medical Devices Act 2021
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2021/3/contents

2. UK Medical Devices Regulations 2002
   略称：UK MDR 2002
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2002/618/contents
   - Part IV (In Vitro Diagnostic Medical Devices)
   - Part 4A (Post-market surveillance requirements)

3. Medical Devices (Amendment etc.) (EU Exit) Regulations 2019
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2019/791/contents

4. Medical Devices (Amendment) (Great Britain) Regulations 2023
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2023/627/contents/made

5. Medical Devices (In Vitro Diagnostic Devices etc.) (Amendment) Regulations 2024
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2024/221/contents/made

6. UK General Data Protection Regulation
   略称：UK GDPR
   https://ico.org.uk/about-the-ico/what-we-do/legislation-we-cover/general-data-protection-regulation/

7. Data Protection Act 2018
   略称：DPA 2018
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2018/12/contents

8. Data (Use and Access) Act 2025
   略称：DUAA
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2025/18/contents

9. Regulation (EU) 2017/745 on medical devices
   略称：MDR
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A02017R0745-20250110

10. Regulation (EU) 2017/746 on in vitro diagnostic medical devices
略称：IVDR
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2017/746/oj/eng

11. Directive 98/79/EC on in vitro diagnostic medical devices（有効期限終了）
略称：IVDD
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:31998L0079

12. In vitro diagnostic medical devices: guidance on legislation
要約内用語：MHRA が公表する GB 向けガイダンス
https://www.gov.uk/government/publications/in-vitro-diagnostic-medical-devices-guidance-on-legislation

13. ISO 14155:2020 Clinical investigation of medical devices for human subjects — Good clinical practice
略称：ISO 14155

14. Governance Arrangements for Research Ethics Committees
略称：GAfREC
https://s3.eu-west-2.amazonaws.com/www.hra.nhs.uk/media/documents/GAfREC_Final_v2.1_July_2021_Final.pdf

15. Research transparency
要約内用語：HRA 透明性指針
https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/policies-standards-legislation/research-transparency/#:~:text=If%20you%20work%20in%20research,research%20transparency%20in%20the%20UK.

16. Guidance on legislation: Clinical investigations of medical devices – compiling a submission to MHRA
https://assets.publishing.service.gov.uk/media/62f52991d3bf7f4c6a8677f8/Guidance_for_mfrs_-_compiling_a_submission_to_MHRA_-_May_2021.pdf

17. Guidance on legislation: Clinical investigations of medical devices – guidance for manufacturers
https://assets.publishing.service.gov.uk/media/68e3b0abef1c2f72bc1e4e17/Guidance_for_mfrs_on_clinical_investigations-October_2025.pdf

18. MHRA position statement and guidance: Electronic Health Records
https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/470228/Electronic_Health_Records_MHRA_Position_Statement.pdf

19. Joint statement on seeking consent by electronic methods
要約内用語：MHRA と HRA の共同ガイダンス
https://s3.eu-west-2.amazonaws.com/www.hra.nhs.uk/media/documents/hra-mhra-econsent-statement-sept-18.pdf

臨床研究中核病院 実態調査結果

（集計・分析サマリー）

【はじめに】箱ひげ図の見方・読み取り方

■ 箱ひげ図（Box Plot）とは
- データのばらつきを「箱」と「ひげ」で表現したグラフ
- 平均値だけでは見えない、データの偏りや極端な値を把握

【基本構造】5つの指標で分布を把握



← 最大値・最小値：全体範囲

← 第3四分位数 ： 上位25%点

← 中央値：データの真ん中

← 第1四分位数：下位25%点

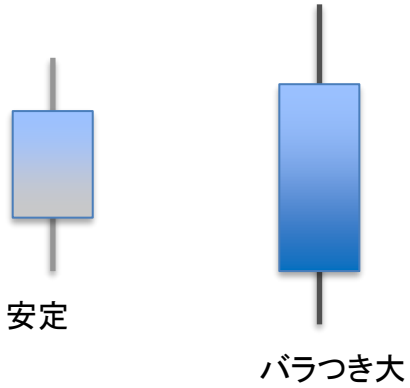
【読み取り方】

● 箱の長さ ＝「データの密度」
箱が短いほど、中央付近に値が密集（安定）。

● 中央値の位置 ＝「データの偏り」
線が上下に寄っていると、分布に偏りあり。

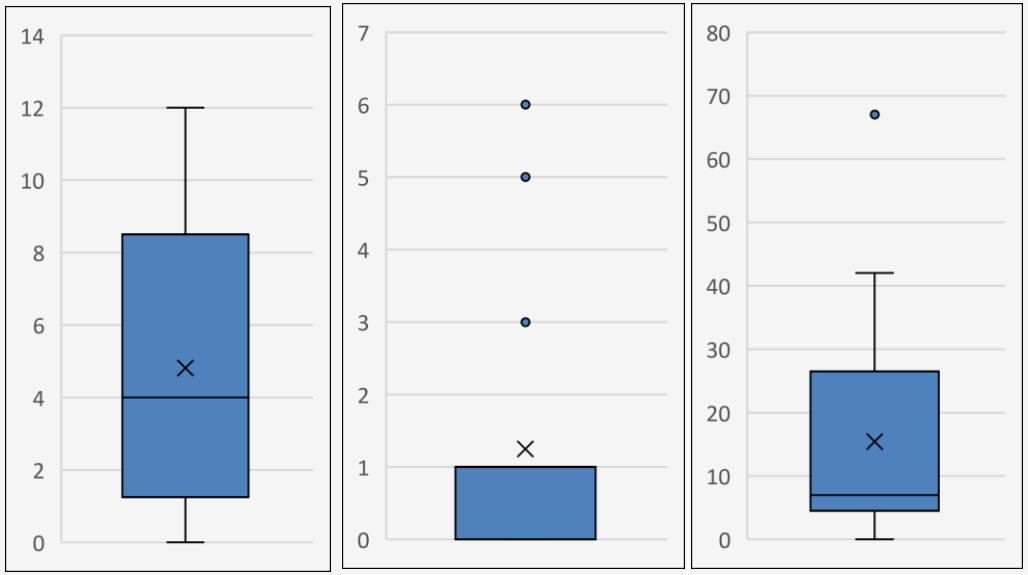
● 比較のポイント
複数の箱を並べ、位置や長さのズレを見る。

● 外れ値
外れ値(他の値から一定以上離れたデータ)が存在する場合、箱やひげの範囲外に「点」として表示。



1.イノベーションにつながる研究の実施
1-1)臨床試験の届出件数

	①基本特許(物質・用途)あり	②周辺特許あり(①を除く)	③特許なし
最大値	12.0	6.0	67.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	4.0	1.0	7.0
平均値	4.8	1.2	15.4



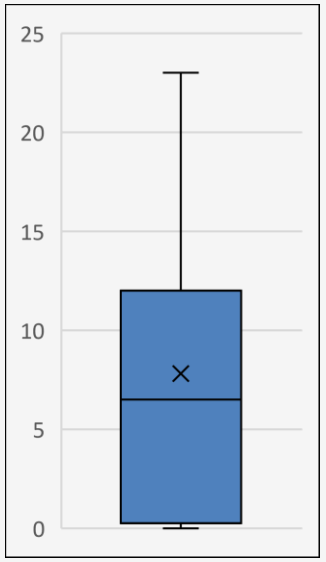
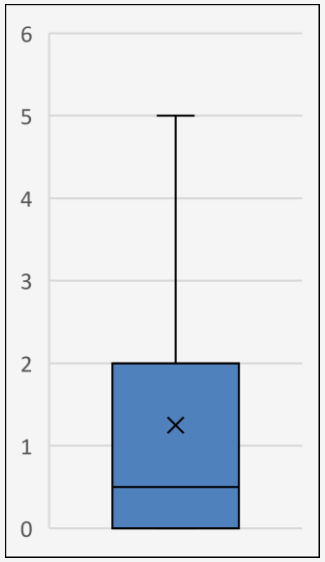
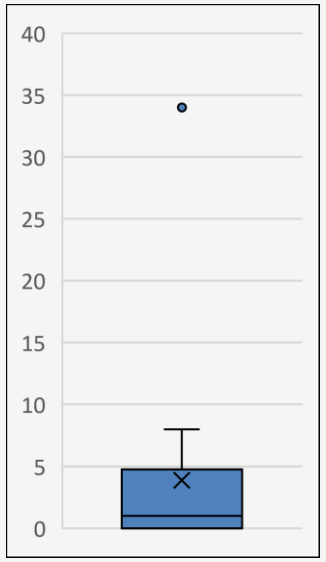
[集計範囲]
令和2年度以降(または認定以降)から直近6年度分までの累積件数

[計上基準]
企業等から資金提供を受けた臨床研究は除外し、アカデミア主導の研究を抽出

[重複対応]
「先進医療」かつ「特定臨床研究」に該当する場合などは、1件としてカウント

[分布の概況]
・基本特許(物質・用途)ありの区分では、多くの施設で安定した実施実績が確認された
・特許なしの区分では、最小0件から最大67件まで施設間での分布幅が広く、各病院の臨床研究の重点領域や戦略によって差が出ている

1.イノベーションにつながる研究の実施
1-2)企業等への導出件数

	①基本特許(物質・用途)あり	②周辺特許あり(①を除く)	③特許なし
最大値	23.0	5.0	34.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	6.5	0.5	1.0
平均値	7.8	1.2	3.9
			

[集計範囲]
令和2年度以降（または認定以降）から直近6年度分までの累積件数

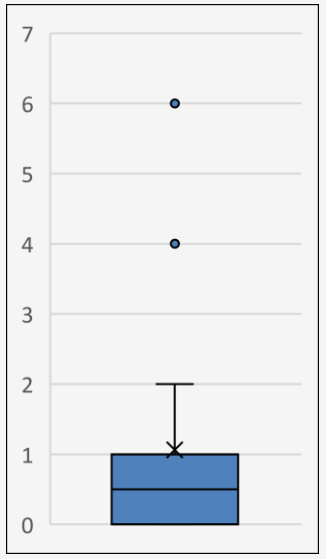
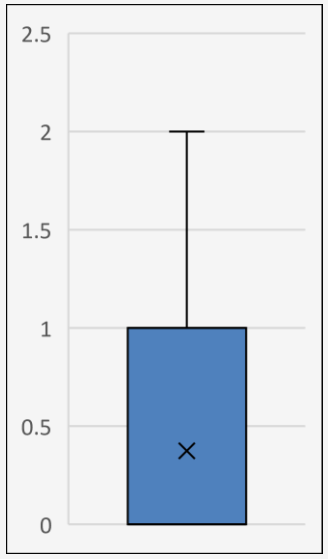
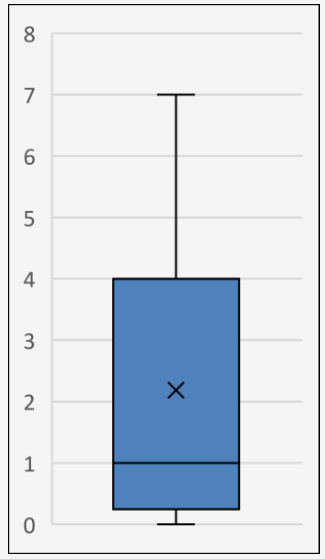
[計上基準]
橋渡し研究支援機関の支援等により、特許（出願中含む）やノウハウの実施を企業に許諾したシーズ件数

[重複対応]
「先進医療」かつ「特定臨床研究」に該当する場合などは、1件としてカウント

[分布の概況]
・「基本特許あり」の区分では中央値6.5件と、他区分に比して実績が集中している
・基本特許がない場合でも、特定の病院ではノウハウ等の譲渡により二桁以上の導出実績をあげている事例も確認された

1.イノベーションにつながる研究の実施

1-3) 製造販売承認・認証の申請件数

	①基本特許(物質・用途)あり	②周辺特許あり(①を除く)	③特許なし
最大値	6.0	2.0	7.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	0.5	0.0	1.0
平均値	1.1	0.4	2.2
			

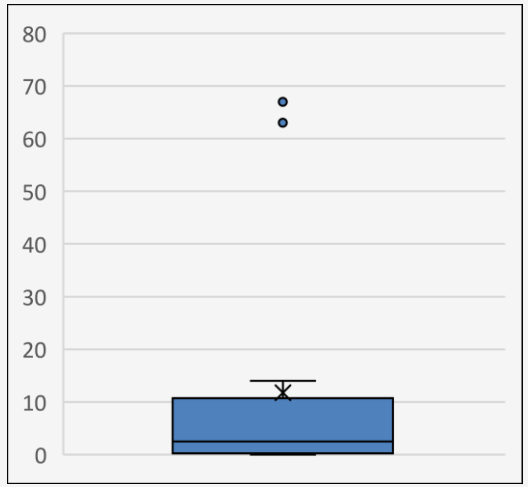
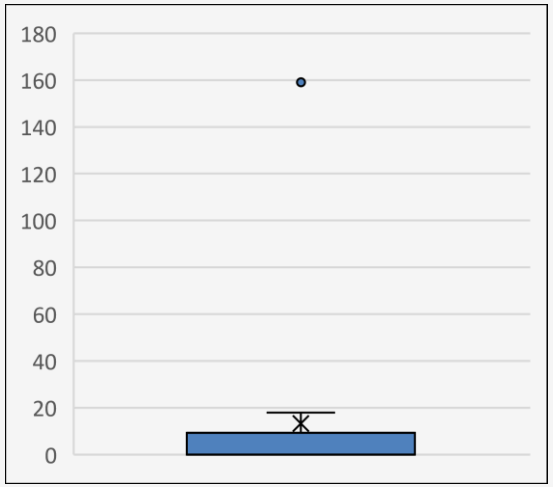
[集計範囲]
令和2年度以降（または認定以降）から直近6年度分までの累積件数

[計上基準]
医薬品・医療機器・再生医療等製品の製造販売承認（または認証）を、規制当局へ申請した件数

[重複対応]
「先進医療」かつ「特定臨床研究」に該当する場合などは、1件としてカウント

[分布の概況]
・多くの施設で「0件」または「1件」の回答が中央値となっており、申請フェーズまで到達するプロジェクトは全体として希少である
・最大値は「特許なし」区分で7件となっており、知財の有無に関わらず実用化に至る道筋が存在することが示唆されている

1.イノベーションにつながる研究の実施
2) 学会等の診療ガイドライン作成・改定に至った臨床研究・論文

	学会等の診療ガイドライン作成・改定に至った臨床試験（件数）	学会等の診療ガイドライン作成・改定に至った論文（件数）
最大値	67.0	159.0
最小値	0.0	0.0
中央値	2.5	0.0
平均値	11.8	13.2
		

[集計範囲]
令和2年度以降（または認定以降）から直近6年度分までの累積件数

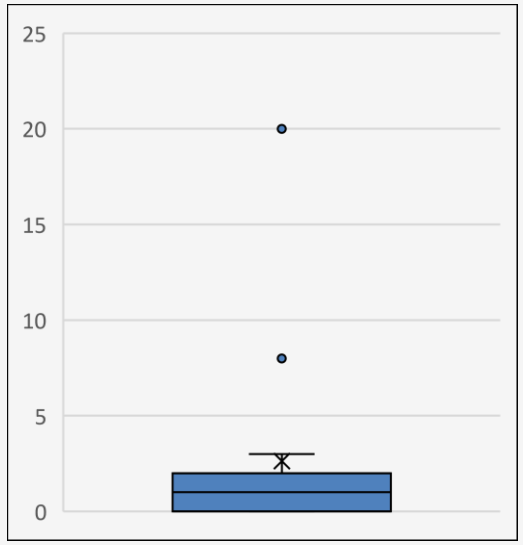
[計上基準]
自院で実施された臨床試験（医師主導治験含む）や論文が、学会等の診療ガイドラインの作成・改定の根拠として採用された件数

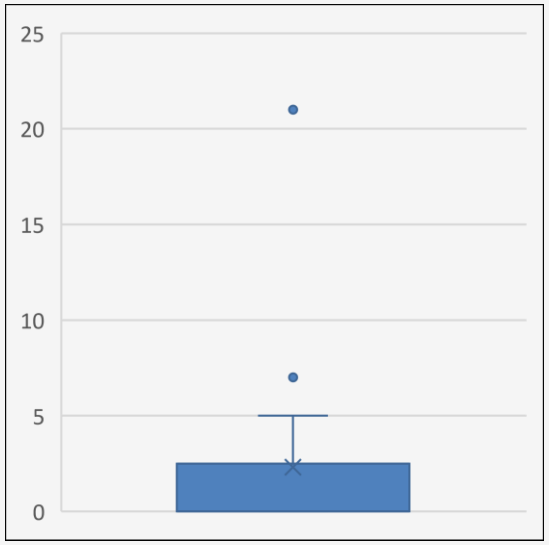
[重複対応]
「先進医療」かつ「特定臨床研究」に該当する場合などは、1件としてカウント

[分布の概況]
・臨床試験件数に比べ、論文（最大159件）を通じた寄与が圧倒的に多く、学術的な発信がガイドライン改定の主たるルートとなっている
・一部の施設に突出した数値（最大67件・159件）が見られ、特定領域での強力なエビデンス創出が全体を牽引している

1.イノベーションにつながる研究の実施
3) 薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究又はその論文

	①薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究	②薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究の論文
最大値	20.0	21.0
最小値	0.0	0.0
中央値	1.0	0.0
平均値	2.6	2.3





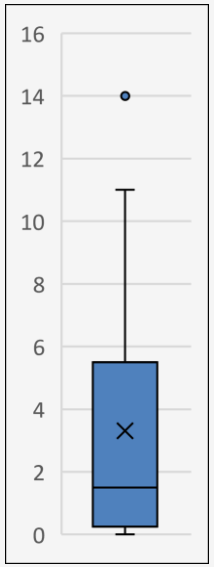
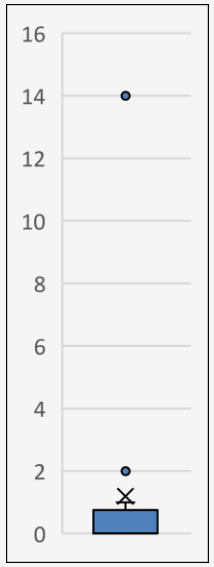
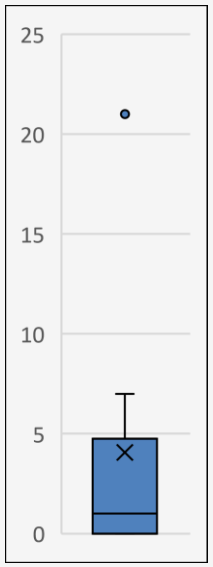
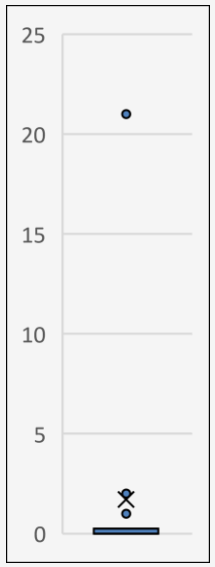
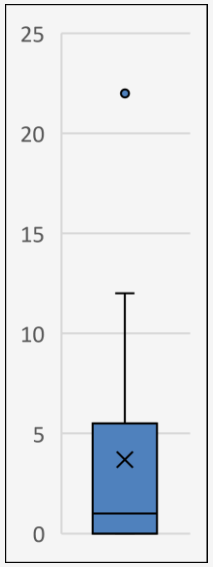
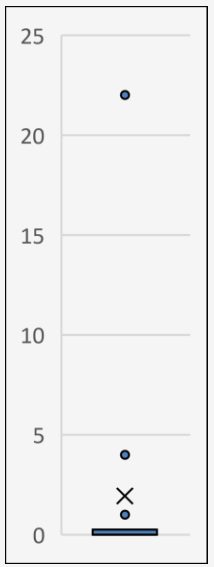
[集計範囲]
令和2年度以降（または認定以降）から直近6年度分までの累積件数

[計上基準]
臨床研究法下の「特定臨床研究」またはその論文のうち、実際に薬事申請・承認の根拠資料として活用されたもの。製薬企業から直接資金提供を受けた研究は除外し、アカデミア主導の研究に限定

[分布の概況]
・中央値は1件前後であり、特定臨床研究の枠組みから薬事承認へ繋げた実績は、現時点では一部の先行施設に限られている

2.革新的モダリティに対応したヒト初回投与試験（FIH 試験）

1) FIH試験の実績

	R4		R5		R6	
	実施件数	試験に繋がった数	実施件数	試験に繋がった数	実施件数	試験に繋がった数
最大値	14.0	14.0	21.0	21.0	22.0	22.0
最小値	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
中央値	1.5	0.0	1.0	0.0	1.0	0.0
平均値	3.3	1.3	4.1	1.6	3.7	1.8
						

[集計範囲]
令和4年度～令和6年度（現時点）までの各年度の新規実施件数。

[計上基準]
アカデミア主導の研究に加え、企業治験の実績も含めて集計。

[分布の概況]
年度によって最大値20件超の施設がある一方、多くの中央値は1件前後。特定のがん拠点や大規模大学病院に実績が集中する傾向が見られる。

2.革新的モダリティに対応したヒト初回投与試験（FIH 試験）
2) スタートアップ・創薬ベンチャー等が行うFIH 試験を支援する体制

カテゴリ	内容（主な施設）
開発・薬事支援	・PMDA相談、治験届作成、プロトコル立案の伴走支援 （東北大・国がん中央・阪大・岡山大・長崎大）
インフラ・運用	・専用Phase1ユニットの提供や、資金繰りに配慮した柔軟なデータ提供・費用算定 （北海道大・東大・慶應大・京大・九大）

[集計項目]
スタートアップ・創薬ベンチャー等が主導するFIH試験を支援する体制の有無と内容。

[支援内容]
PMDA相談等の薬事戦略支援や、Phase1専用ユニットの提供、あるいはベンチャーの資金繰りに配慮した柔軟な費用算定などが挙げられた。

[回答比率]
約8割の施設で支援体制が構築されており、中核病院によるベンチャー支援機能の普及が確認された。

[支援体制の有無]
あり 13施設(81.3%)
なし 3施設(18.7%)

3.医工連携または新たな治験・臨床試験のデザイン・手法の実施

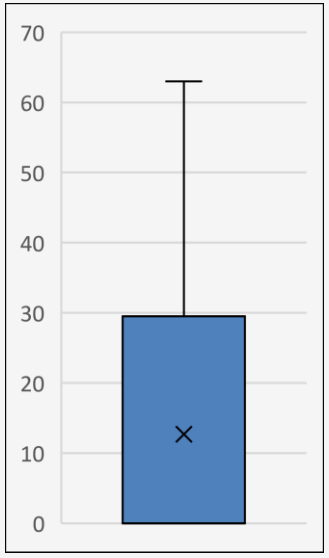
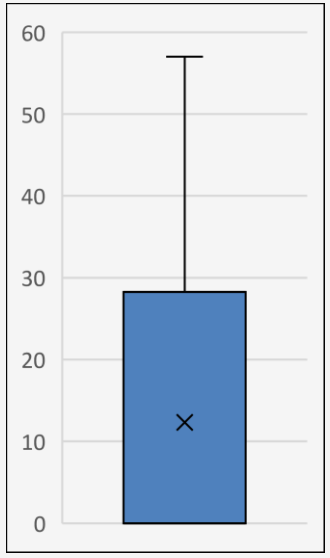
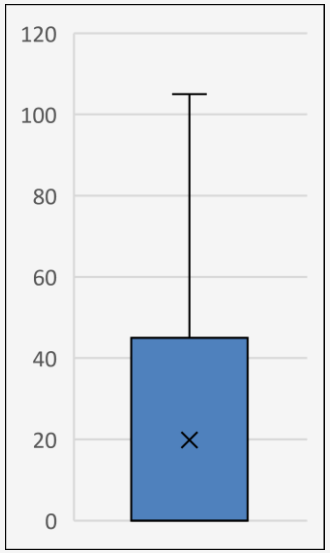
カテゴリ	内容（主な施設）
医療用ロボット・デバイス	・穿刺ロボット(Zerobot)・リハビリ補助(HAL)の医師主導治験 （岡山大学・九州大学） ・独自デザインのDESステントシステム開発 （慶應義塾大学）
AI・ソフトウェア(SaMD)	・内視鏡画像AI診断ソフトの薬事承認取得 （国立がん研究センター中央病院・東北大学） ・心臓運動負荷モニタリング用プログラムの承認 （大阪大学）
革新的試験デザイン・統計手法	・ベイズ統計(BOINデザイン)の適用による用量探索の効率化 （国立がん研究センター東病院） ・マスタープロトコルを用いた癌種横断的評価(バスケット試験) （国立がん研究センター東病院）

[分野]
医療用ロボット（穿刺、リハビリ）、AI診断支援ソフト、SaMD（プログラム医療機器）の報告が多数

[手法]
ベイズ統計（BOINデザイン）や、複数の癌種を横断的に評価するマスタープロトコル（バスケット試験）等の導入が確認された

[体制]
工学系学部とのマッチング窓口（メドテック・リンク等）や、院内の知財相談部門が開発を支援している。

4.国際共同治験・臨床試験の実施
1) 国際共同治験・臨床試験の実績　国際共同治験

	R4	R5	R6
最大値	63.0	57.0	105.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	0.0	0.0	0.0
平均値	12.7	12.3	19.8
			

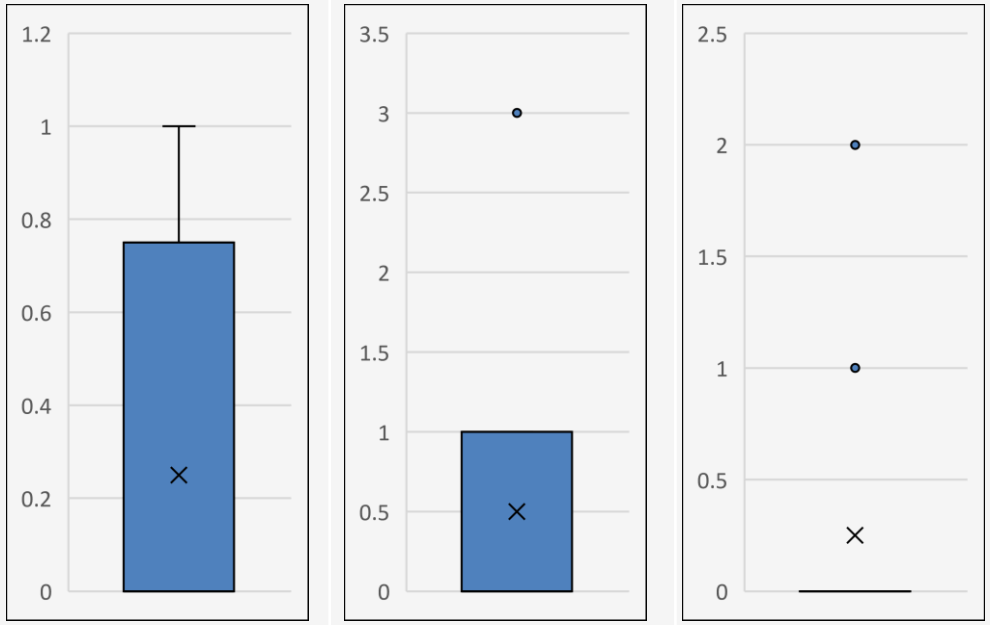
[計上基準]
企業治験（受託）は除外。自院が主導または分担として参加した、アカデミア主導の国際共同治験を抽出。

[実施状況]
中央値が0件であることから、アカデミア主導での国際共同治験の実施・継続には依然として高い障壁があることが推察される。

[分布]
一部の先行施設（最大100件超の報告がある年度も含む）が全体の実績を牽引している。

4.国際共同治験・臨床試験の実施
1) 国際共同治験・臨床試験の実績　国際共同臨床試験

	R4	R5	R6
最大値	1.0	3.0	2.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	0.0	0.0	0.0
平均値	0.2	0.5	0.2



[定義]
海外の医療機関と共同で実施される、薬機法対象外の臨床試験。

[実施状況]
国際共同治験（スライド10）と同様に、中央値は0件。実績は一部の施設による数件の実施に留まっている。

[傾向]
多施設共同の国際ネットワーク構築や、海外AROとの連携を通じた試験実施が試行されている段階である。

4.国際共同治験・臨床試験の実施
2) 国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成

カテゴリ	内容（主な施設）
外部・海外連携型	・PhRMA主催プログラム等の外部研修活用（北海道大学） ・海外AROへの統計家派遣 （長崎大学） ・アジアAROとの共同試験を通じた実務教育 （千葉大学・九州大学）
内部OJT・高度化型	・PIによる段階的直接指導や外国人スタッフとの協働 （慶応義塾大学・国立がんセンター中央病院・京都大学） ・外部コンサル導入によるGPM養成 （神戸大学） ・治験薬輸入等の直接交渉実務 （国立がんセンター東病院）

[対象]
医師だけでなく、試験マネジメント（PM）、事務手続きを行う実務職員、生物統計家等も含む。

[育成実態]
「あり」回答の9施設では、外部プログラム（PhRMA等）への派遣や海外AROへの長期派遣に加え、自院の国際共同治験における直接交渉実務を通じたOJTが中心。

[傾向]
組織内に外国人スタッフを配置したり、中長期的なキャリアパス（京都大等）を整備することで、国内にいながらグローバル主導力を高める環境整備が進んでいる。

[主導的人材育成]
あり 9施設(56.3%)
なし 7施設(43.7%)

4.国際共同治験・臨床試験の実施
3) 研究計画の立案等に英語で対応可能な人材の育成

カテゴリ	内容（主な施設）
実務・OJT主導型	・海外企業への英語シノプシス提出の実務指導 （岡山大学・東北大学・東京大学） ・外国人スタッフによる海外施設マネジメント・直接交渉 （国立がん研究センター中央病院・九州大学）
教育プログラム・派遣型	・PhRMA主催プログラム等の外部教育活用 （北海道大学） ・アジアAROとの実地共同試験による現場教育 （千葉大学・九州大学）
組織・環境整備型	・留学経験者の積極登用と中長期キャリアパスの提供 （京都大学） ・外部コンサル導入によるGPM養成（神戸大学）・PIによる直接指導 （慶應義塾大学）

［対象］
医師だけでなく、試験マネジメント（PM）や事務手続きを担う実務職員も含む

［育成実態］
外部プログラム（PhRMA等）への派遣に加え、外国人スタッフとの協働や、英語でのプロトコル作成実務を通じたOJTが中心

［回答比率］
全施設の50%（8施設）が何らかの育成策を講じていると回答した

[英語対応可能な人材育成]
あり 8施設(50.0%)
なし 8施設(50.0%)

4.国際共同治験・臨床試験の実施
4) 国際共同治験に対応可能な ARO や相談・支援窓口の設置

カテゴリ	内容（主な施設）
専用窓口・HP設置	・Webサイトへの専用ページ及び英語相談フォーム設置 （北海道大学・東京大学・国立がん研究センター中央病院・大阪大学・広島大学）
専門推進組織	・国際研究推進室/国際連携ユニットの設置 （東北大学・九州大学・神戸大学・国立がん研究センター東病院）
地域・広域連携	・東北(TTN)や中四国等の広域ネットワークを通じた窓口機能 （東北大学・岡山大学・長崎大学）

[設置状況]
Webサイトへの英語専用窓口設置や、国際研究推進室といった専門組織による対応が一般的

[広域連携]
自院単独ではなく、地域ネットワーク（TTN等）の事務局として広域の相談窓口を兼ねている事例も確認された

[回答比率]
約7割（11施設）が専用の窓口または支援体制を整備済み

[国際対応ARO・窓口の設置]
あり 11施設(68.8%)
なし 5施設(31.3%)

5.DCT

1) 企業治験を含めたDCTの実績

カテゴリ	内容（主な施設）
訪問看護・検査	・自宅での治験薬投与、採血等の訪問看護利用 （北海道大学・国立がん研究センター中央病院・京都大学・神戸大学・岡山大学・九州大学）
オンライン・配送	・オンライン診療、eConsent、治験薬配送 （東北大学・千葉大学・国立がん研究センター中央病院・東京大学・名古屋大学・大阪大学・広島大学・長崎大学）
リモートSDV	・企業/医師主導治験におけるリモートSDV・EHR-EDC連携 （国立がん研究センター東病院・東京大学・順天堂大学・大阪大学）

[定義]
被験者の来院によらない手法（オンライン診療、訪問看護、治験薬配送等）を1つでも用いた実績

[除外事項]
単なる電子同意（eConsent）や電子日誌（ePRO）のみの利用は、本項目の実績には含めない

[実態]
約8割の施設で実績があり、特に希少疾患や移動困難な被験者を対象とした試験において、訪問看護による自宅での投薬・採血等の事例が報告された

[企業治験を含むDCT実績]
あり 13施設(81.3%)
なし 3施設(18.7%)

5.DCT
2) DCTシステム

カテゴリ	内容（主な施設）
専門プラットフォーム	・MiROHA （北海道大学・慶應義塾大学・大阪大学・九州大学） ・Viedoc （北海道大学・東京大学・国立がん研究センター中央病院） ・cubeCDMS（東京大学）
オンライン/汎用ツール	・FINDEX On/On-診 （京都大学・岡山大学） ・Zoom/Teams/Webex （国立がん研究センター東病院・東京大学・神戸大学・広島大学）
独自開発・連携	・eWS/eSource （岡山大学・東京大学） ・地域NW/あじさいネット （長崎大学） ・独自患者案内アプリ （京都大学・広島大学）

[採用状況]
専門パッケージ（MiROHA, Viedoc等）の導入が目立つ一方、ZoomやTeams等の汎用会議ツールを心理評価等に転用している事例も多い

[独自開発]
電子カルテと連携した独自の電子ワークシート（eWS）や、患者案内用スマートフォンアプリを自前で整備している施設も複数確認された。

[連携]
離島等の遠隔地をカバーするため、地域の医療連携ネットワーク（あじさいネット等）を基盤として活用している事例がある。

[DCTシステム保有]
あり 12施設(75.0%)
なし 4施設(25.0%)

6. 症例集積力強化のための取り組み
1) NC、JIHS、国立病院機構（NHO）等との連携

カテゴリ	内容（主な施設）
JIHS・感染症NW (iCROWN)	・感染症臨床研究ネットワークへの参画、モニタリング支援及び研究推進 （東北大学・国立がん研究センター東病院・大阪大学・岡山大学・九州大学・長崎大学）
NC・特定疾患NW	・JCOG等を通じたがん領域の多施設共同試験 （国立がん研究センター中央病院・広島大学） ・脳神経領域（NC精神神経）交流や小児治験NW（NC成育）への協力 （北海道大学・神戸大学）
NHO・公的機関	・NHO（岡山・岩国等）からのIRB審査受託、共同試験実施 （岡山大学・九州大学） ・AMED事業を通じた国がん・NC等とのAI/ゲノム共同研究 （東京大学・慶應義塾大学）

［主な連携先］
国立がん研究センター（JCOG等）、JIHS（iCROWN）、国立病院機構（NHO）など

［具体的役割］
特定疾患のレジストリ構築への参画、感染症ネットワークへの協力、あるいはNHO傘下病院からのIRB審査受託などが挙げられた

［傾向］
多くの施設が公的な研究班やネットワークの主要拠点として、症例集積や品質管理の役割を担っている

[NC、JIHS、NHO等との連携]
あり 12施設(75.0%)
なし 4施設(25.0%)

6. 症例集積力強化のための取り組み
2) 非臨床研究中核病院や関連病院との連携

カテゴリ	内容（主な施設）
地域・広域NW	・TTN(東北)、MARC(関東)、瀬戸内、中国、九州等、全国各地の広域NWを通じた多施設共同試験 （全病院が各NWに所属し参画）
試験主導・支援	・自院主導試験への分担施設としての組み入れ・ARO支援 （国立がん研究センター・慶應義塾大学・大阪大学・九州大学・長崎大学等）
デジタル連携	・eConsentやあじさいネット等を活用した遠隔同意・データ共有体制 （北海道大学・順天堂大学・長崎大学）

[実態]
全施設（100%）が関連病院とのネットワークを有している

[支援内容]
自院主導試験への分担施設としての組み入れだけでなく、中央IRBの提供や、リモートSDV環境の共有など、中核病院によるインフラ支援が主となっている

[地域差]
東北、関東、瀬戸内、九州など、各地域の基幹病院を中心に広域なネットワーク（TTN, MARC等）が構築されている

[非中核病院等との連携]
あり 16施設(100%)
なし 0施設(0%)

6. 症例集積力強化のための取り組み
3) 連携におけるDCTの実施体制の整備

カテゴリ	内容（主な施設）
共通インフラ	・連携施設用eConsent・オンライン診療SOPの提供 （北海道大学・大阪大学・神戸大学・九州大学） ・地域医療連携NW「あじさいネット」を用いた遠隔データの共有 （長崎大学）
分担施設支援	・パートナー医療機関（画像/検査担当）の立ち上げ準備・教育支援 （神戸大学・岡山大学・広島大学） ・多施設共同試験での一括リモートSDV環境の整備 （国立がん研究センター東病院・東京大学）

[整備状況]
自院だけでなく、連携先（分担施設）でもDCTが実施できるよう、手順書（SOP）の共有や、共通のeConsentシステムの提供を行っている

[教育支援]
DCT特有の運用（訪問看護の管理や薬の配送管理）について、サテライト医療機関への実務教育を実施している事例が報告された

[回答比率]
連携実績のある施設のうち、約半数（8施設）が連携先でのDCT体制まで着手している。

[連携先でのDCT整備]
あり 8施設(50.0%)
なし 8施設(50.0%)

6. 症例集積力強化のための取り組み
4) 臨床試験等についての臨中病院間でのネットワークの構築

カテゴリ	内容（主な施設）
臨中ネット等	・リアルワールドデータ(RWD)の相互拠出による論文化や、副作用データベース構築 （北海道大学・東京大学・名古屋大学）
アライアンス連携	・大学病院臨床試験アライアンスを通じた、共通SOP作成やマッチングサイト運営 （東北大学・千葉大学・国立がんセンター中央病院・九州大学・長崎大学）

[目的]
臨床研究中核病院同士が連携し、症例集積の最大化やITインフラの相互利用を図る取り組み。

[主な取組]
リアルワールドデータ（RWD）の相互拠点による「臨中ネット」や、大学病院臨床試験アライアンス等による共通SOPの策定などが報告された。

[回答比率]
約6割の施設が臨中病院間での独自のネットワークを構築・維持している。

[臨中間NWの構築]
あり 10施設(62.5%)
なし 6施設(37.5%)

6. 症例集積力強化のための取り組み
5) 製薬企業・医療機器メーカー等の業界団体や患者団体との連携

カテゴリ	内容（主な施設）
製薬・機器・業界団体	・外資系企業との治験パートナーシップ契約 （北海道大学・大阪大学） ・製薬協とのSingle IRB等の協議 （千葉大学） ・独自の医療技術共創事業 （九州大学・長崎大学）
患者団体・市民参画	・PPI委員会の設置や、患者団体との包括連携協定 （国立がんセンター東病院・国立がんセンター中央病院・慶応義塾大学・東京大学・順天堂大学・広島大学）

[主な連携先]
日本製薬工業協会等の業界団体、あるいは希少疾患等の患者団体ネットワーク。

[具体的活動]
製薬企業との包括的なパートナーシップ契約による治験手順の効率化や、PPI（患者・市民参画）委員会の設置による患者視点のプロトコルレビュー等。

[回答比率]
約7割の施設が業界団体や患者団体との組織的な連携窓口または協議体を有しており、多角的な協力体制が構築されている。

[業界・患者団体連携]
あり 11施設(68.8%)
なし 5施設(31.3%)

7.研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ
1) 研究従事者や研究支援人材のキャリアパス構築

カテゴリ	内容（主な施設）
人事・評価制度	・医療職俸給表の適用による処遇改善、昇任・昇格基準の明確化 （国立がん研究センター中央病院・千葉大・順天堂大学） ・無期雇用への転換制度や、特任教員（助教・講師等）への登用 （慶應義塾大学・大阪大学・広島大学）
教育・ジョブ回転	・若手医師のARO雇用と診療科復帰を通じた循環型育成 （北海道大学） ・CRCからStM、CRAへの内部キャリアチェンジ機会の提供 （神戸大学・岡山大学）
外部機関派遣	・PMDAや厚労省等への出向を通じた高度マネジメント人材の育成 （東北大学・東京大学・大阪大学）

[対象]
医師・歯科医師のほか、薬剤師、看護師、CRC、データマネージャー、生物統計家などの専門職種。

[具体策]
医療職俸給表の適用による給与体系の整備、特任教員ポストへの登用、あるいは無期雇用転換制度の導入などが挙げられた。

[傾向]
高度な専門性を有する支援人材（PM, 統計家等）を、組織として長期的に雇用・評価するための制度設計が進んでいる。

[キャリアパス構築]
あり 12施設(75.0%)
なし 4施設(25.0%)

7.研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ
2) 研究従事者や研究支援人材へのインセンティブの付与

カテゴリ	内容（主な施設）
経済的報奨・手当	・英文論文掲載時の報奨金支給 （北海道大学） ・臨床研究等に関連する資格（認定CRC等）への資格手当 （国立がん研究センター東病院・国立がん研究センター中央病院）
研究費・活動支援	・医師主導治験立上げ時の研究費支援 （千葉大・広島大学） ・学会参加費や旅費の公費負担 （東京大学・順天堂大学）
表彰・評価	・臨床研究活動に対する院長表彰制度 （慶應義塾大学・大阪大学） ・治験同意取得件数上位者への年度表彰 （神戸大学・岡山大学）

[内容]
英文論文掲載時の報奨金、認定資格（CRC等）に対する手当、学会参加費の公費負担など。

[評価基準]
単なる「実施」だけでなく、「同意取得件数」など実務への貢献度を評価して表彰する仕組みを有する施設もある。

[傾向]
金銭的報奨だけでなく、次なる研究活動費への還元や、キャリアアップに繋がる資格取得支援をインセンティブとしている事例が多い。

[インセンティブ付与]
あり 10施設(62.5%)
なし 6施設(37.5%)

7.研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ
3) 生物統計家育成推進事業による修了生の採用

カテゴリ	内容（主な施設）
複数名採用施設	・累計9名採用（慶應義塾大学）、5名採用（東京大学）、4名採用（岡山大学）、3名採用（北海道大学）など、大規模拠点での継続的採用が顕著。
専門職としての登用	・特定専門職員、特任教員、あるいは「試験統計家」としての認定取得を条件とした高度専門職登用 （国立がん研究センター中央病院・大阪大学・神戸大学等）

[集計範囲]
令和2年度以降（または直近2～3年）の採用実績を集計。

[実態]
約8割の施設で採用実績があり、特に旧帝国大学系や国立がん研究センター等の大規模拠点では、1施設で複数名（最大9名）を継続的に採用している。

[職位]
特任助教や特定専門職員など、統計学の専門性を活かしたポジションでの登用が中心となっている。

[生物統計家修了生の採用]
あり 13施設(81.3%)
なし 3施設(18.7%)

8.研修
1) 厚生労働省事業で行っているものを除く、臨中病院以外の医療機関の臨床研究従事者や研究支援人材等への研修

カテゴリ	内容（主な施設）
広域・Web研修	・「臨床研究推進レクチャーシリーズ」等のWeb配信（年間20～30回）による全国規模の公開（東京大学・慶應義塾大学・大阪大学）
職種別専門教育	・CRC研修会や、大学病院医療技術職向けCRC・StM養成研修の主導（東北大学・国立がん研究センター中央病院・東京大学・順天堂大学）
地域・実地指導	・地区大学共同研修や、県医師会と連携した研修会の運営（岡山大学・広島大学・長崎大学）

[実施状況]
全施設（100%）が自院以外の医療機関に従事する研究者・支援人材向けの研修を実施している。

[形態]
オンライン配信（Webセミナー）の活用により、1回あたりの参加者が数百～数千名規模に達する事例も報告された。

[内容]
法規制のアップデート（臨床研究法等）やCRC養成といった専門教育から、地域の治験ネットワーク維持のための実務研修まで多岐にわたる。

[院外医療機関等への研修実施]
あり 16施設(100%)
なし 0施設(0%)

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進
1) 治験・臨床試験の実施に関する情報公開

カテゴリ	内容（主な施設）
自院HP・検索システム	・実施中の治験一覧、対象疾患、診療科の掲載（全病院共通） ・独自の情報検索システム（順天堂大学・京都大学等）やプレスリリースによる成果公開
公的DB連携	・jRCT（臨床研究実施計画番号）へのリンク設置による詳細情報の提供 ・患者向け説明用ポスターやSNS、動画配信による啓発（北海道大学・岡山大学）

[実施状況]
全施設（100%）が自院Webサイト等を通じた情報公開を実施済み。

[内容]
実施中の治験一覧（疾患別・診療科別）の掲載や、jRCT（公的データベース）への直接リンク設置が一般的。

[傾向]
専門の情報検索システムの構築や、プレスリリースを用いた研究成果の社会還元にも取り組まれている。

[情報公開の有無]
あり 16施設(100%)
なし 0施設(0%)

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進
2) 治験・臨床試験に関する一般的な相談窓口の状況

カテゴリ	内容（主な施設）
専門職の配置	・CRCや公認心理師による、医学・心理両面からの寄り添った相談対応 （東京大学・九州大学・国立がんセンター東病院）
実績(件数)	・年間相談件数：最大515件（国立がんセンター中央病院）、平均150～200件程度。

[機能・体制]
全施設で電話、メール、対面等による窓口を整備。CRCや公認心理師による専門的な対応体制も報告されている。

[相談実績]
年間相談件数は施設により数十件から500件超まで幅があるが、平均して150～200件程度のニーズに対応している。

[内容]
一般的な治験の仕組みに加え、がんゲノム医療や患者申出療養に関する相談が増加している。

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進
3) 病院内外を対象にした教育セミナーや講習会の実施（各年度の開催件数等）

カテゴリ	内容（主な施設）
一般・患者向け	・市民公開講座（年1～2回）や、患者教室での治験説明 （北海道大学・国立がんセンター中央病院・慶応義塾大学・京都大学等）
医師・専門職向け	・臨床研究推進セミナーや、PI認定制度のための継続研修 （東京大学・大阪大学・岡山大学・九州大学等多数）

[対象]
病院内外の患者・市民向け（市民公開講座等）および、医師・臨床研究従事者向けの専門教育。

[内容]
治験の啓発活動から、臨床研究法やGCP等の規制要件に関する専門講習まで幅広く実施されている。

[実績]
オンライン配信の普及により、学内外を問わず広域から受講者を受け入れている施設が多い。

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進
4) PPIの好事例

カテゴリ	内容（主な施設）
プロトコル立案	・小児疾患のアウトカム指標の妥当性を患者家族がレビューし修正 （北海道大学） ・希少疾患試験のデザイン（プラセボ設定等）に患者アンケートを反映 （東京大学・九州大学）
説明資材・同意	・患者コミュニティによる説明文書の難解表現レビューと改善 （順天堂大学・神戸大学） ・生成AIを活用した平易な要約（レイサマリー）の作成と共同検証 （国立がん研究センター東病院）
教育・啓発	・「治験すごろく」等の独自ツールの開発やエバンジェリスト認定 （京都大学） ・患者団体（RCJ等）との包括連携による共同イベント開催 （国立がん研究センター中央病院）

［立案段階］
患者家族によるプロトコルレビューの結果、臨床現場での測定が困難なアウトカム（評価指標）を事前に修正した事例がある。

［資材作成］
説明文書の難解な表現を患者コミュニティが改善したり、生成AIを活用した平易な「レイサマリー（結果要約）」の作成を試行している。

［啓発活動］
治験への理解を深めるための体験型ツール（すごろく等）の開発や、患者団体との包括的な連携協定の締結が報告された。

10. 治験・臨床試験手続きの効率化
1) AI 関連技術の利活用

カテゴリ	内容（主な施設）
生成AI（LLM）活用	・治験総括報告書案の作成、統計解析コード生成、翻訳 （国立がんセンター中央病院・北海道大学・大阪大学・九州大学）
業務補助・探索	・治験候補患者の探索、IRB申請書類の形式チェック、議事録作成 （東北大学・国立がんセンター東病院・慶応義塾大学・順天堂大学）

[利活用分野]
生成AI（LLM）による総括報告書の作成補助、統計解析コードの自動生成、あるいは事務書類の形式チェック等。

[実態]
約6割の施設で利活用が始まっている。業務の効率化を主目的とした、試行的な導入が中心となっている。

[今後の方向性]
電子カルテ情報からの候補患者自動抽出など、より高度な活用に向けた検証が進んでいる。

[AI利活用の有無]
あり 10施設(62.5%)
なし 6施設(37.5%)

10. 治験・臨床試験手続きの効率化
2) 治験の一括審査のためのSingle IRB

	体制あり	審査実績あり	院外対応あり	外部受託数(MAX)
施設数	11	7	9	20件
割合	68.8%	43.8%	56.3%	(大阪大学)

[体制と実績]
約7割の施設が一括審査の体制を整備しているが、実際に院外（他施設）からの審査依頼に対応している施設は約半数に留まる。

[分布]
外部からの受託実績は、最大20件（阪大）など一部の拠点病院に集中する傾向がある。

[傾向]
審査の質担保と迅速化の両立に向け、標準化された説明同意文書（ICF）等の利用とセットでの運用が進められている。

10.治験・臨床試験手続きの効率化
3) 標準化された説明文書・同意文書（ICF ）・契約書等の利用

カテゴリ	内容（主な施設）
業界共通テンプレート	・製薬協の「説明文書・同意文書（ICF）共通テンプレート」の導入・活用 （国立がんセンター東病院・東京大学・慶応義塾大学・順天堂大学・大阪大学・神戸大学・岡山大学・広島大学・九州大学・長崎大学）
公的・院内テンプレート	・AMEDの医師主導治験テンプレートや、自院版ICFひな形のHP公開 （北海道大学・東北大学・千葉大学・国立がんセンター中央病院）

[採用状況]
企業治験においては製薬協の「ICF共通テンプレート」の利用が主流。医師主導治験等ではAMEDのテンプレートや自院独自のひな形をHP等で公開。

[目的]
文書フォーマットの共通化により、審査の質担保と治験立ち上げ期間の短縮を図る。

[回答比率]
約9割の施設（14施設）で標準化された資材を利用しており、中核病院間での手続きの標準化が進んでいることが確認された。

[標準化資材利用]
あり 14施設(87.5%)
なし 2施設(12.5%)

11.治験コストの透明化の向上
Fair Market Value（FMV）に基づく費用算定

カテゴリ	内容（主な施設）
ベンチマーク型	・IQVIA社GrantPlan等の外部ベンチマークを活用した算定 （北海道大学・国立がんセンター東病院）
タスクベース型	・基盤経費＋Visit毎のタスク単価（PSCシート等）による独自算定 （国立がんセンター中央病院・神戸大学・岡山大学・京大学）

[定義]
治験の業務実態（タスク）に基づき、標準的な市場価格（Fair Market Value）で費用を算出する手法。

[採用状況]
外部ベンチマークツールの活用や、独自のタスク単価表（PSCシート等）による算定が、約4割の施設で試行・導入されている。

[課題]
費用の透明化には寄与する一方、算定基準の標準化や事務負担の調整が今後の検討課題となっている。

[FMV算定の導入]
あり 6施設(37.5%)
なし 10施設(62.5%)

12.治験・臨床試験 DX
1-1) 治験・臨床試験におけるDXの取り組み

カテゴリ	内容（主な施設）
文書管理・リモート化	・Agatha, DDWorks等のクラウド管理による必須文書の電磁化（全15病院共通） ・VPNや地域NWを活用したリモートSDV・リモートモニタリングの標準化 （北海道大学・東北大学・千葉大学・神戸大学・長崎大学等）
自動化・データ連携	・RPA(Power Automate等)による形式チェックや解析コード生成の自動化（北海道大学・大阪大学） ・電子カルテ情報のAI構造化による被験者候補の自動抽出 （慶応義塾大学・名古屋大学・広島大学）
患者体験(PX)のデジタル化	・同意書管理システムと患者案内アプリを連携させたeConsentの実装 （京都大学・岡山大学・広島大学） ・スマホを用いたバイタルサイン測定の自動化と情報共有チャットの活用 （国立がんセンター中央病院）

[集計範囲]
臨床研究中核病院における、デジタル技術（IT、AI、クラウド等）を用いた治験・臨床試験の業務改善・高度化の取り組み。

[取組実態]
約94%（15施設）がDXに着手。必須文書の電磁的管理（Agatha等）やリモートSDVの環境整備はほぼ標準化されている。

[高度化事例]
生成AIを活用した治験関連文書の自動作成（国がん中央等）や、RPAによるチェック自動化（北海道大等）、電子カルテとEDCの直接データ連携（阪大・東大・岡山大等）など、専門性の高い領域での効率化が先行している。

[DXの取組]
あり 15施設(93.8%)
なし 1施設(6.2%)

12.治験・臨床試験 DX
1-2) デジタル技術で治験・臨床研究の効率化につながる取り組み

カテゴリ	内容（主な施設）
電磁的文書・SDV	・AgathaやDDWorks等のクラウド活用による治験手続きの電磁化・リモートSDV運用 （全14病院共通）
自動化・先端技術	・RPAによるエディットチェック自動化やスマホを用いたバイタル自動測定、AIによるEDC構築検討 （北海道大学・東北大学・国立がんセンター東病院・国立がんセンター中央病院・東京大学・順天堂大学・大阪大学・神戸大学・岡山大学・広島大学・九大学・長崎大学）

[主な手法]
クラウド型文書管理（eTMF）や、リモートSDVの運用がほぼ全施設で標準化。

[高度化]
RPAによるチェック業務の自動化、スマートフォンを用いたバイタルデータの自動収集、生成AIによる文書案作成の試行など、実装フェーズが高度化している。

[実態]
約9割の施設において、単なる文書の電子化を超えたデジタル技術の利活用による業務プロセスの効率化が進展している。

[デジタル効率化]
あり 14施設(87.5%)
なし 2施設(12.5%)

12.治験・臨床試験 DX
2) リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績

カテゴリ	内容（主な施設）
実施件数（過去1年）	・年間実績：最大500件、平均約45件。 ・電子カルテデータベース（DWH）を活用した観察研究が主流。
高度活用事例	・ナチュラルヒストリーを用いた単群試験の実施 （東北大学・国立がん研究センター中央病院・大阪大学） ・外部データベース連携による製造販売後調査への活用 （東北大学）

［定義］
介入・観察、前向き・後ろ向きを問わず、リアルワールドデータを用いた全実績を集計。

［傾向］
年間実績は数件から最大500件まで施設間で大きな開きがある。

［事例］
電子カルテを用いた観察研究に加え、特定の疾患における「ナチュラルヒストリー（自然経過）」を対照群として活用する高度な研究も一部で実施されている。

12.治験・臨床試験 DX
3) 医療情報システムにおけるData Ware House

[DWHの保有]
あり 14施設(87.5%)
なし 2施設(12.5%)

[実態]
約9割の施設で、電子カルテ情報を研究に二次利用するためのDWH（データウェアハウス）が構築済みである。

[今後の課題]
Q&Aの議論にもある通り、施設間でのデータ形式の標準化（SS-MIX2規格等）が進むことで、多施設共同のデータ解析がより円滑化することが期待される。

12.治験・臨床試験 DX
4) CRF含めた臨床研究運用システム

カテゴリ	内容（主な施設）
主要採用システム	・Viedoc, REDCap, cubeCDMS等の汎用EDCの導入。 ・Agatha等を用いた必須文書の電磁化・一元管理。
電カル・外部連携	・PhambieLINQ等を用いた電子カルテ・EDCの直接データ連携 （京都大学・岡山大学・長崎大学） ・独自開発eWorksheetによる入力ミス防止体制の構築 （東京大学・大阪大学）

[採用状況]
ViedocやREDCapなどの汎用的なEDC（電子症例報告書作成システム）の導入が中心。

[連携状況]
電子カルテとEDCの「二重入力」を解消するため、API連携や独自中間サーバーを用いた「自動転記（eSource連携）」の実装に取り組む施設が増加している。

[回答比率]
約7割の施設が自院の運用システムを保有している。

[運用システム保有]
あり 11施設(68.8%)
なし 5施設(31.3%)

[電子カルテシステム等との連携]
あり 3施設(27.3%)
なし 8施設(72.7%)
※システム保有11施設を母数とする

12.治験・臨床試験 DX
5) DCTシステム

カテゴリ	内容（主な施設）
システム導入・運用	・MiROHAやViedoc等の専門ツールのほか、ZoomやWebEX等の汎用ツールを遠隔診察・相談に活用。 （北海道大学、東北大学、慶應義塾大学、京都大学、神戸大学、九州大学） ・院内オンライン診療システムを研究に転用するなど、既存インフラを活かした柔軟な運用を構築。 （国立がん研究センター中央病院、東京大学、京都大学）
電子同意（eConsent）・遠隔対応	・Viedocや3H、Uchiken等によるeConsentの実装、オンラインでの説明・同意取得体制を整備。 （北海道大学、国立がん研究センター東病院、神戸大学、岡山大学） ・遠隔地患者の参加促進や被験者の来院負担軽減を目的に、DCT手法の導入・試行が進行。 （岡山大学、広島大学）
データ連携・基盤整備	・電子カルテとCRF・EDCの直接連携、サーバー自動同期により、入力ミス防止と事務効率化を実現。 （国立がん研究センター中央病院、大阪大学） ・AMED事業等の公的支援を活用し、診療側インフラとの統合を見据えた高度な基盤整備を推進。（大阪大学）

[プラットフォームの二極化]
MICIN社の「MiROHA」等の治験特化型システムを導入する施設がある一方で、院内のオンライン診療システムや汎用ツールを研究に転用し、既存インフラの活用を図る傾向が見られる。

[電子カルテとの高度なデータ連携]
単なる文書の電子化に留まらず、電子カルテとCRF・EDCを直接連携させ、データの自動同期や標準化を行うなど、より高度なDX実装に取り組む施設が先行している。

[診療基盤との融合]
医療DXの進展に伴い、治験独自のシステム整備から、診療用オンラインシステムとの統合や地域医療連携ネットワークの活用へと関心が移りつつある。

13.企業治験

指標 (日数)	最大値	最小値	中央値	平均値
最初のコンタクト～契約	180	60	80	94.9
契約～同意取得可能	56	0	25	29.5
契約～First Patient In	190	30	86	103.6

[定義]
最初のコンタクト日は「施設選定日」「ヒアリング日」「IRB資料提出日」のうち最も早い日を起算点として算出

[実態]
契約から第一症例登録（FPI）までの中央値は86日

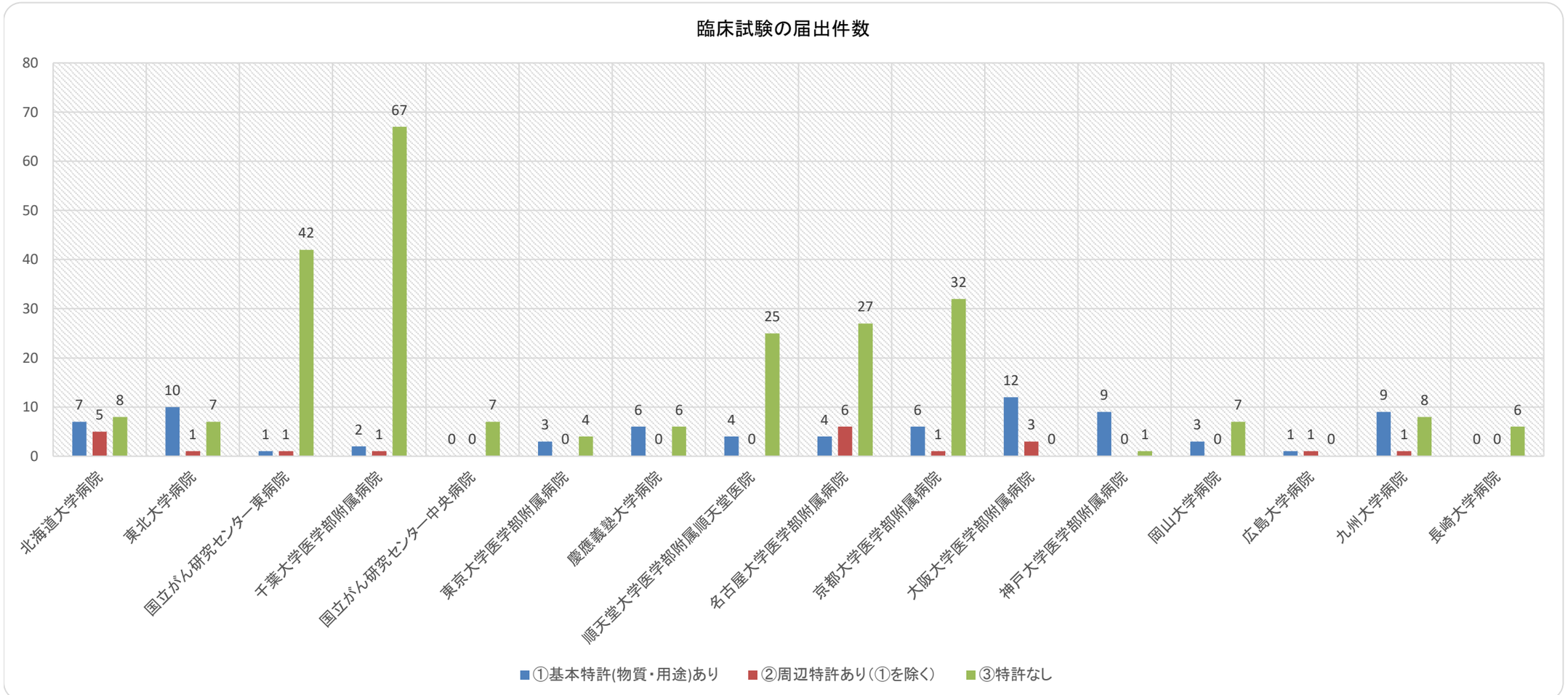
[施設間の差の大きさ]
施設間での差（0日～190日）については、対象疾患の希少性や、リクルートメント支援システムの有無、eConsent等のDX導入状況が影響している可能性が考えられる

臨床研究中核病院 実態調査結果

（回答・グラフ）

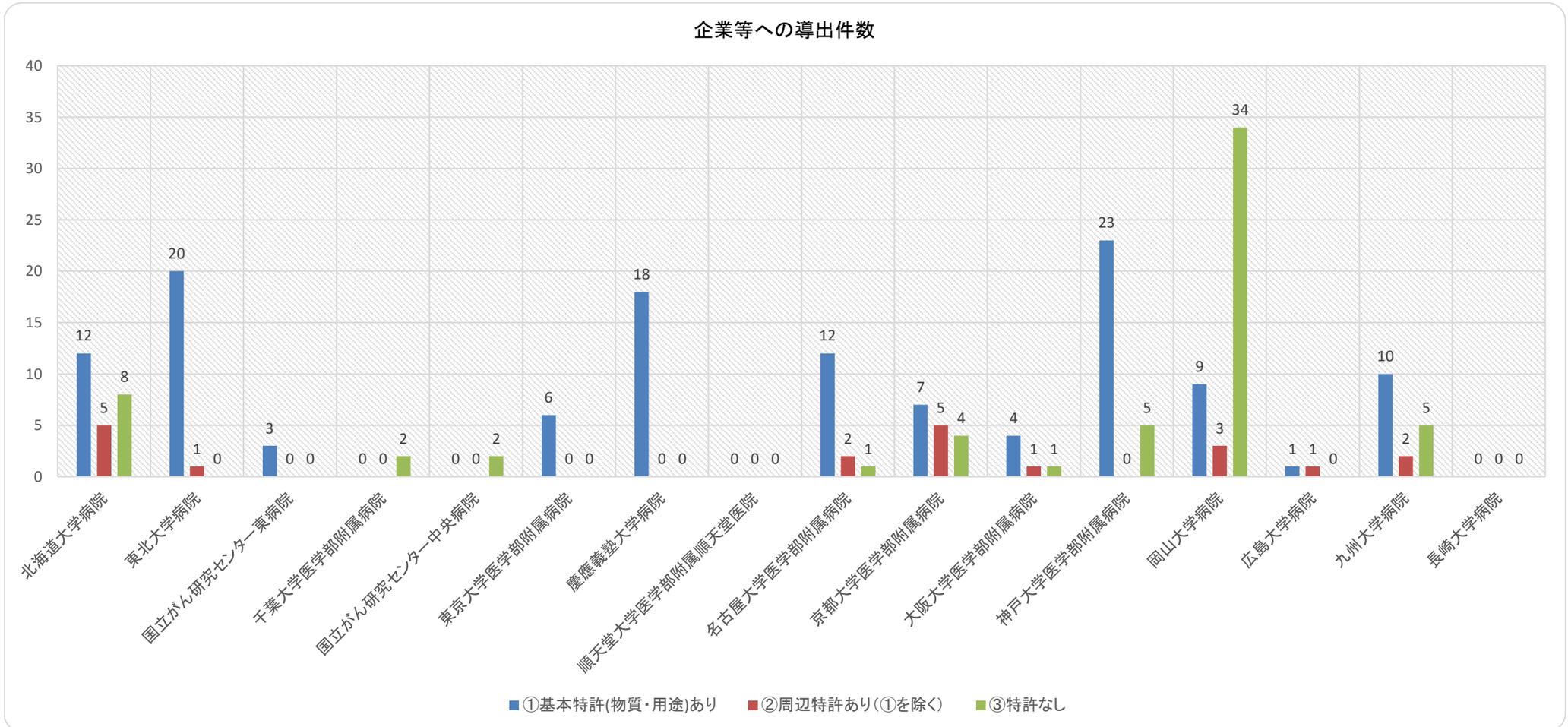
1.イノベーションにつながる研究の実施 / 1) 臨床試験の届出数 / 臨床試験の届出件数

	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
①基本特許(物質・用途)あり	7	10	1	2	0	3	6	4	4	6	12	9	3	1	9	0
②周辺特許あり(①を除く)	5	1	1	1	0	0	0	0	6	1	3	0	0	1	1	0
③特許なし	8	7	42	67	7	4	6	25	27	32	0	1	7	0	8	6



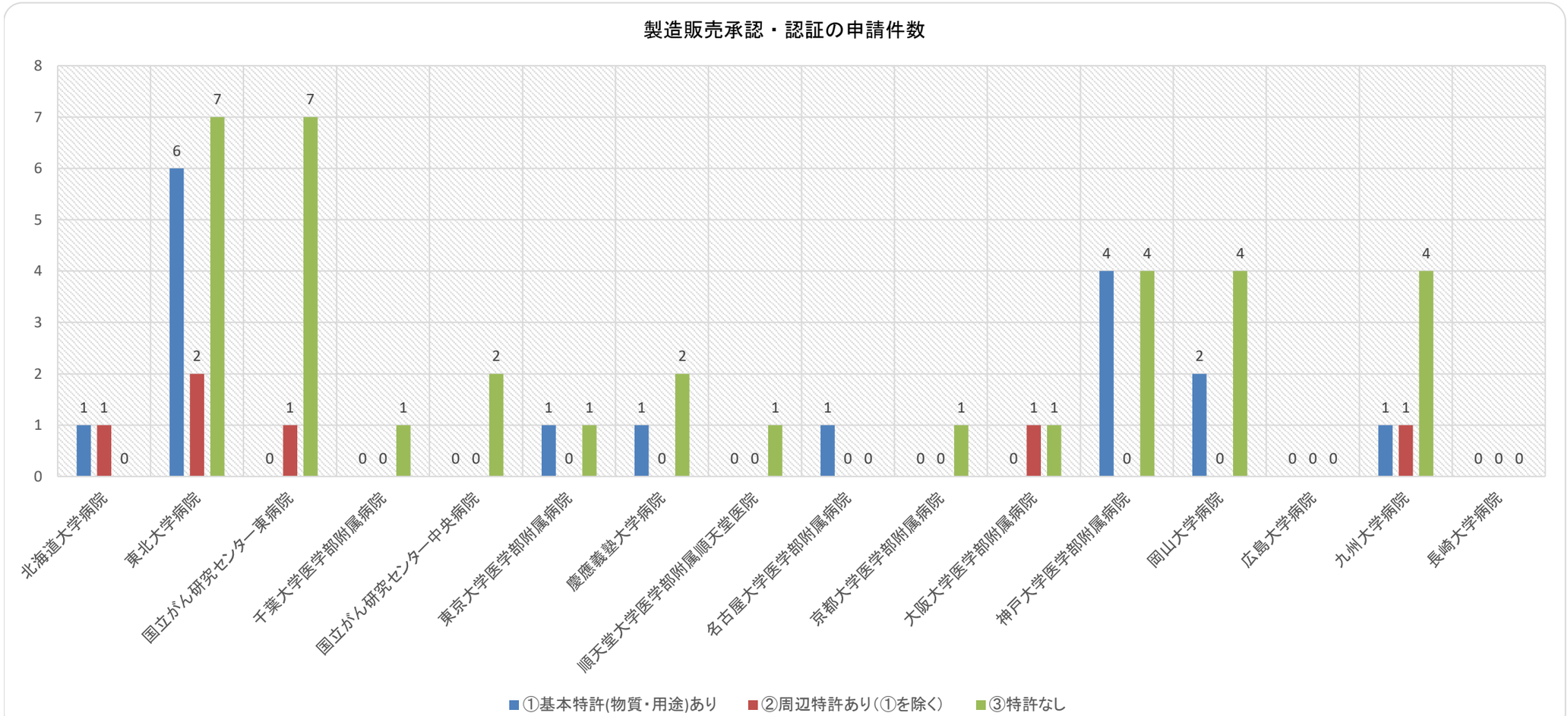
1.イノベーションにつながる研究の実施 / 1) 臨床試験の届出数 / 企業等への導出件数

	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
①基本特許(物質・用途)あり	12	20	3	0	0	6	18	0	12	7	4	23	9	1	10	0
②周辺特許あり(①を除く)	5	1	0	0	0	0	0	0	2	5	1	0	3	1	2	0
③特許なし	8	0	0	2	2	0	0	0	1	4	1	5	34	0	5	0



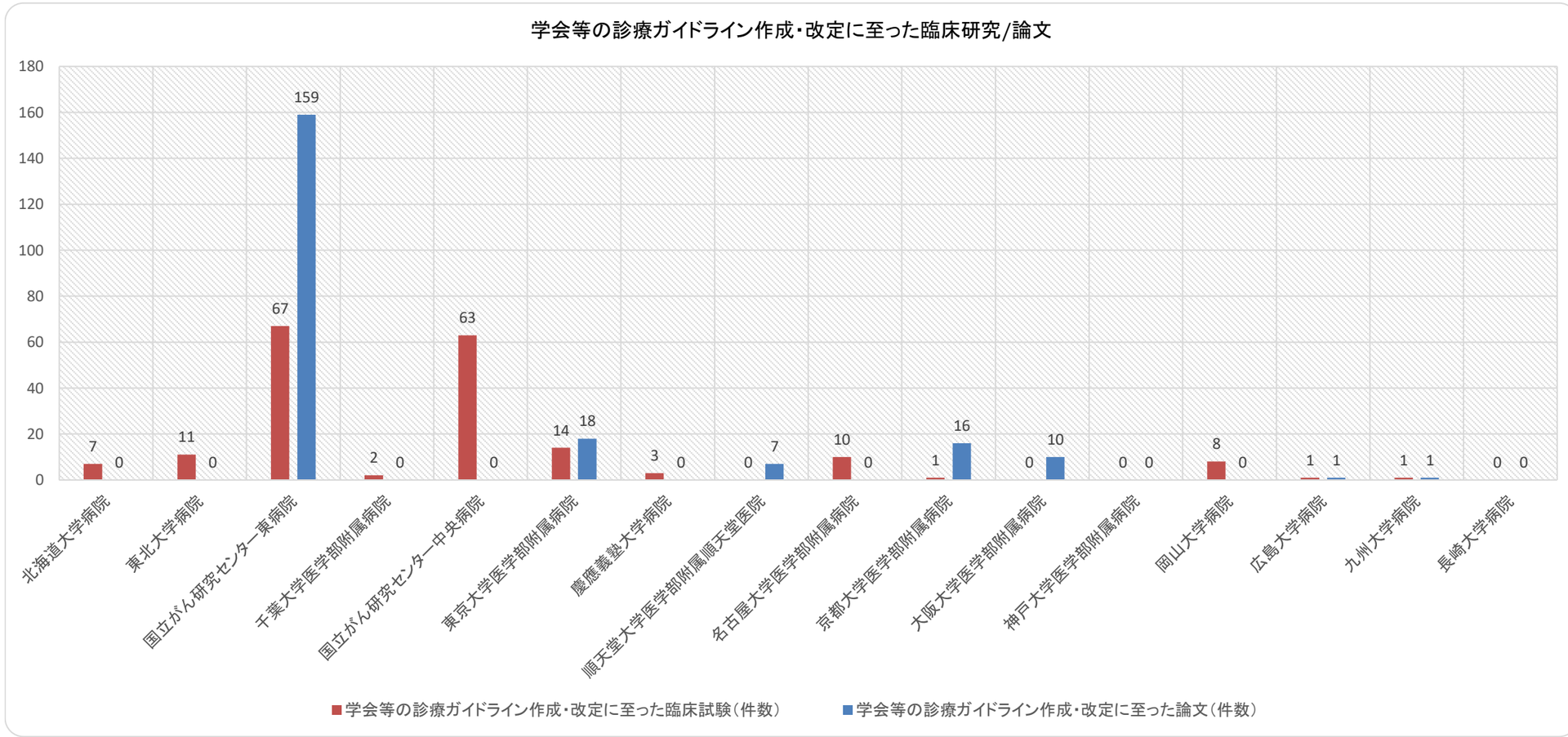
1.イノベーションにつながる研究の実施 / 1) 臨床試験の届出数 / 製造販売承認・認証の申請件数

	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
①基本特許(物質・用途)あり	1	6	0	0	0	1	1	0	1	0	0	4	2	0	1	0
②周辺特許あり(①を除く)	1	2	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	1	0
③特許なし	0	7	7	1	2	1	2	1	0	1	1	4	4	0	4	0



1.イノベーションにつながる研究の実施 / 2) 診療の最適化につながる臨床試験の実施

	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
学会等の診療ガイドライン作成・改定に至った臨床試験（件数）	7	11	67	2	63	14	3	0	10	1	0	0	8	1	1	0
学会等の診療ガイドライン作成・改定に至った論文（件数）	0	0	159	0	0	18	0	7	0	16	10	0	0	1	1	0



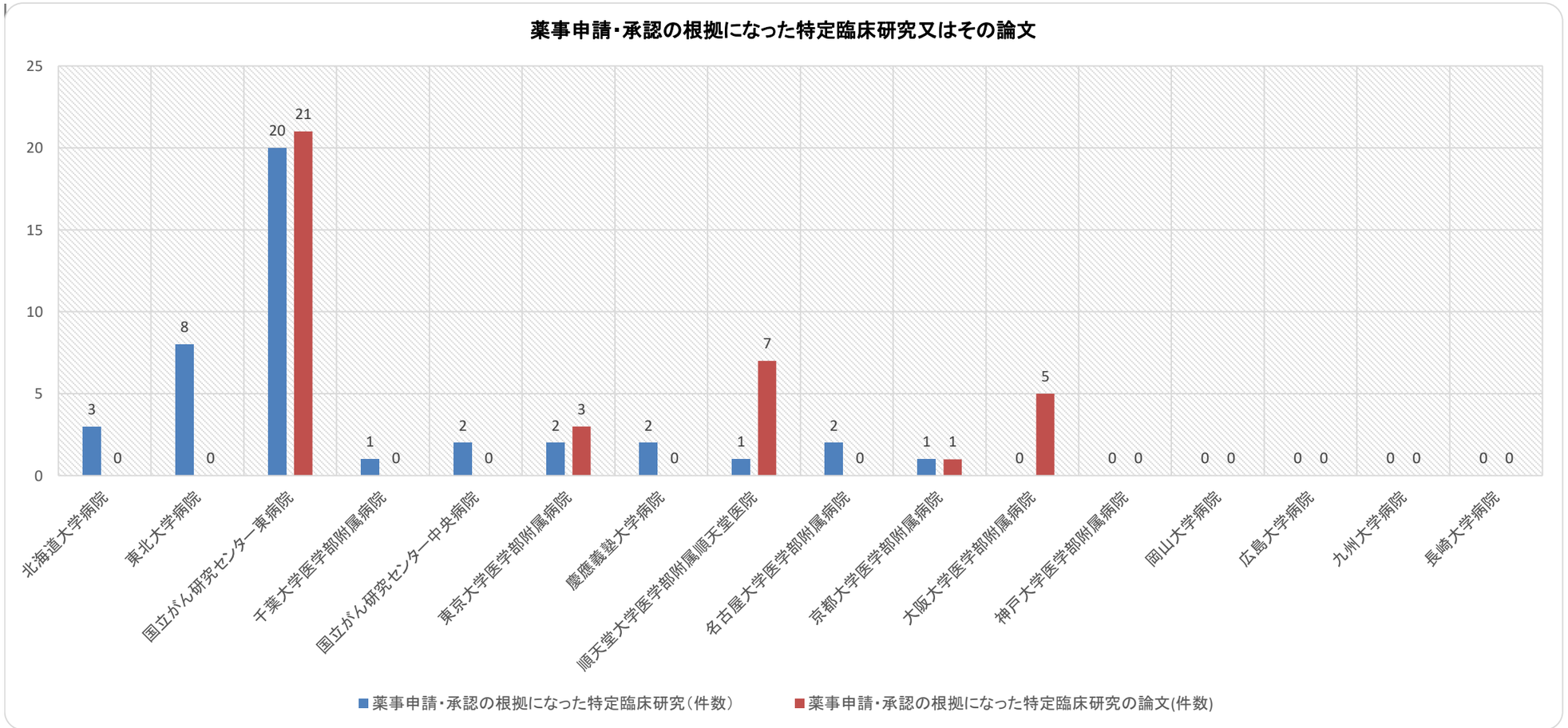
4

1.イノベーションにつながる研究の実施 / 2) 診療の最適化につながる臨床試験の実施
（任意）臨床試験・論文に関わるガイドラインについて

北海道大学病院	–
東北大学病院	–
国立がん研究センター東病院	多数のため記載不可能
千葉大学医学部附属病院	・日本婦人科腫瘍学会、子宮体がん治療ガイドライン2023年版 ・日本神経学会、ギラン・バレー症候群，フィッシャー症候群診療ガイドライン2024 他
国立がん研究センター中央病院	–
東京大学医学部附属病院	・2024年改訂版 多様性に配慮した循環器診療ガイドライン（2024年3月8日） ・KDIGO 2025 Clinical Practice Guideline for the Evaluation, Management, and Treatment of Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease (ADPKD)（2025年1月） ・炎症性腸疾患関連消化管腫瘍診療ガイドライン2024年版（2024年7月20日） ・頭頸部癌診療ガイドライン 2025年版（2025年5月30日） ・障害者歯科診療における行動調整ガイドライン 2024年11月1日（第1版修正版） ・嚥下障害診療ガイドライン2024年版（2024年9月25日） ・肝細胞癌診療ガイドライン第5版（2021年10月25日）2件 ・Alzheimer's Association Clinical Practice Guideline on the use of blood-based biomarkers in the diagnostic workup of suspected Alzheimer's disease within specialized care settings, 2025（2025年7月29日） ・Treatment of Systemic Sclerosis-associated Interstitial Lung Disease: Evidence-based Recommendations. An Official American Thoracic Society Clinical Practice Guideline（2024年1月） ・緑内障診療ガイドライン（第 5 版）（2022年2月10日)(日本緑内障学会緑内障診療ガイドライン改訂委員会)4件 ・小児急性脳症診療ガイドライン2023（2023年1月1日）（小児急性脳症診療ガイドライン改訂ワーキンググループ） ・KDIGO 2022 Clinical Practice Guideline for Diabetes Management in Chronic Kidney Disease（2022年11月） ・乳癌患者の妊娠・出産と生殖医療に関する診療ガイドライン 2021年版（2021年10月21日） ・科学的根拠に基づいた血小板製剤の使用ガイドライン：2019年改訂版(2019年6月25日）
慶應義塾大学病院	–
順天堂大学医学部附属順天堂医院	・日本うつ病学会診療ガイドライン　双極性障害（双極症）2023 ・特発性正常圧水頭症診療ガイドライン 第3版 ・肺癌診療ガイドライン 2022年版 便通異常症診療ガイドライン2023 ・変形性膝関節症　診療ガイドライン2023 ・胆道癌診療ガイドライン第4版
名古屋大学医学部附属病院	–
京都大学医学部附属病院	・日本内分泌学会　原発性アルドステロン症診療ガイドライン ・日本泌尿器科学会　前立腺癌診療ガイドライン ・日本移植学会　生体部分肺移植ガイドライン ・日本循環器学会/日本肺高血圧・肺循環学会　肺血栓塞栓症・深部静脈血栓症および肺高血圧症に関するガイドライン ・日本循環器学会/日本心不全学会　心不全診療ガイドライン ・日本皮膚科学会　アトピー性皮膚炎診療ガイドライン
大阪大学医学部附属病院	・食道癌診療ガイドライン2022 ・膵癌診療ガイドライン 2022年版 ・NCCN guideline
神戸大学医学部附属病院	–
岡山大学病院	–
広島大学病院	・「PEEK冠に関する基本的な考え方（第1報）」令和5年12月　公益社団法人日本補綴歯科学会 ・「保険診療におけるCAD/CAM冠の診療指針2024」令和6年3月　公益社団法人日本補綴歯科学会（令和6年4月10日一部改訂）
九州大学病院	・特発性肺線維症の治療ガイドライン2023(2023年4月出版）
長崎大学病院	・新型コロナウイルス感染症病原体検査の指針第6版 ・インフルエンザ核酸検出検査の有効活用に向けた提言 ・MRSA感染症の診療ガイドライン2024 ・Global guideline for the diagnosis and management of cryptococcosis: an initiative of the ECMM and ISHAM in cooperation with the ASM ・成人肺炎診療ガイドライン2024 ・Restless legs 症候群診療ガイドライン（2024）

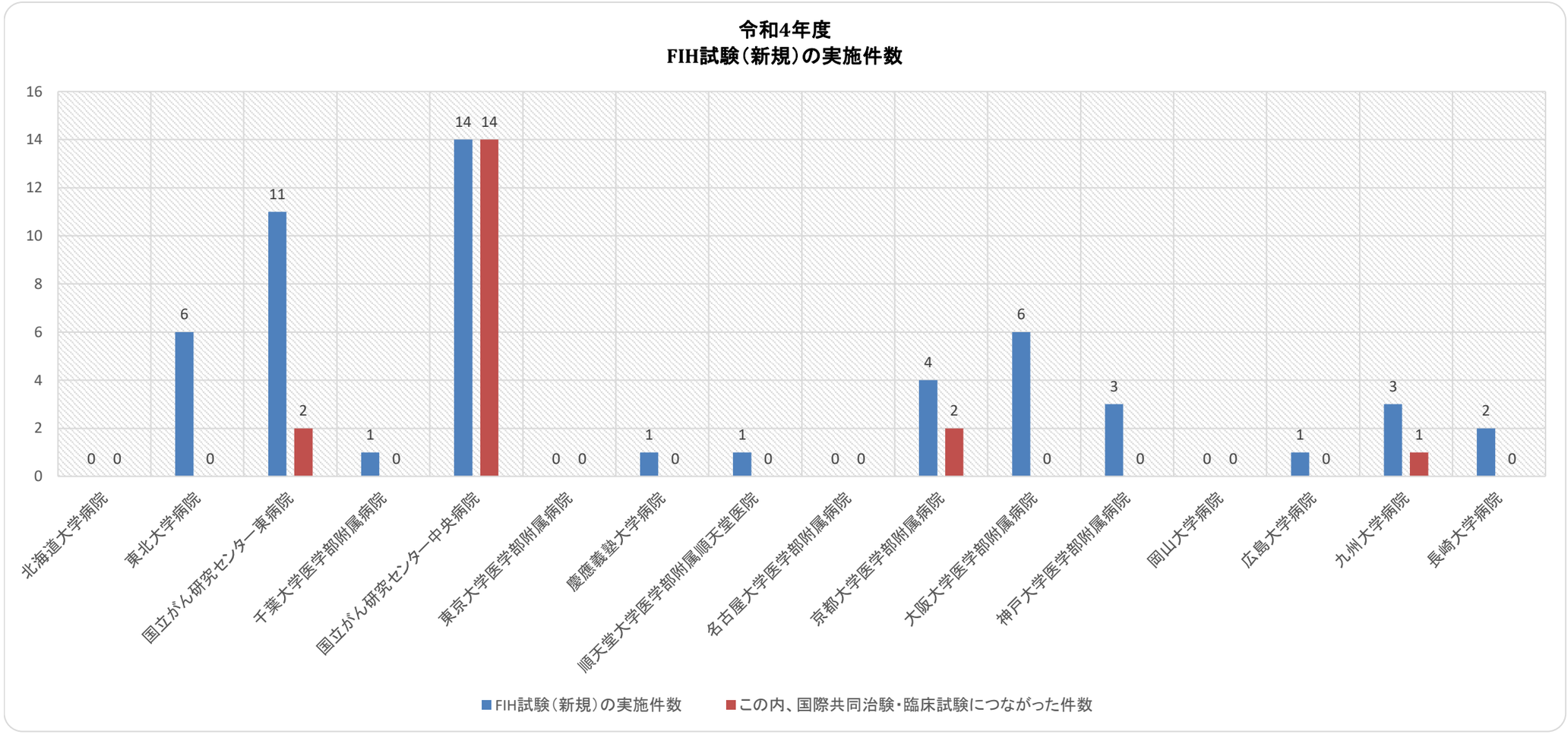
1.イノベーションにつながる研究の実施 / 3) 薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究又はその論文

	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究（件数）	3	8	20	1	2	2	2	1	2	1	0	0	0	0	0	0
薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究の論文(件数)	0	0	21	0	0	3	0	7	0	1	5	0	0	0	0	0



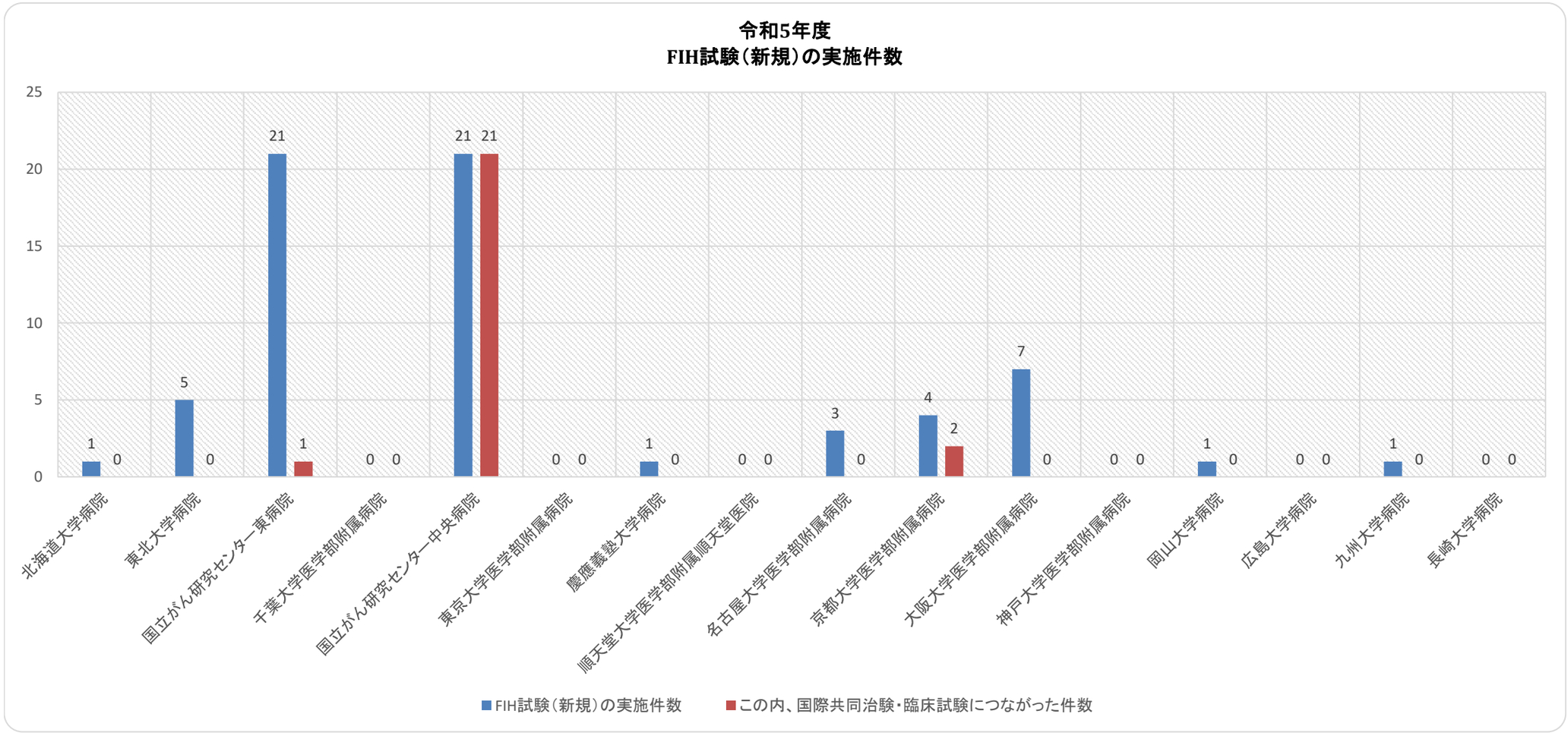
2.革新的モダリティに対応したヒト初回投与試験（FIH 試験） / 1) FIH試験の実績 / 令和4年度

令和4年度	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
FIH試験（新規）の実施件数	0	6	11	1	14	0	1	1	0	4	6	3	0	1	3	2
この内、国際共同治験・臨床試験につながった件数	0	–	2	0	14	0	0	0	0	2	0	0	0	0	1	0



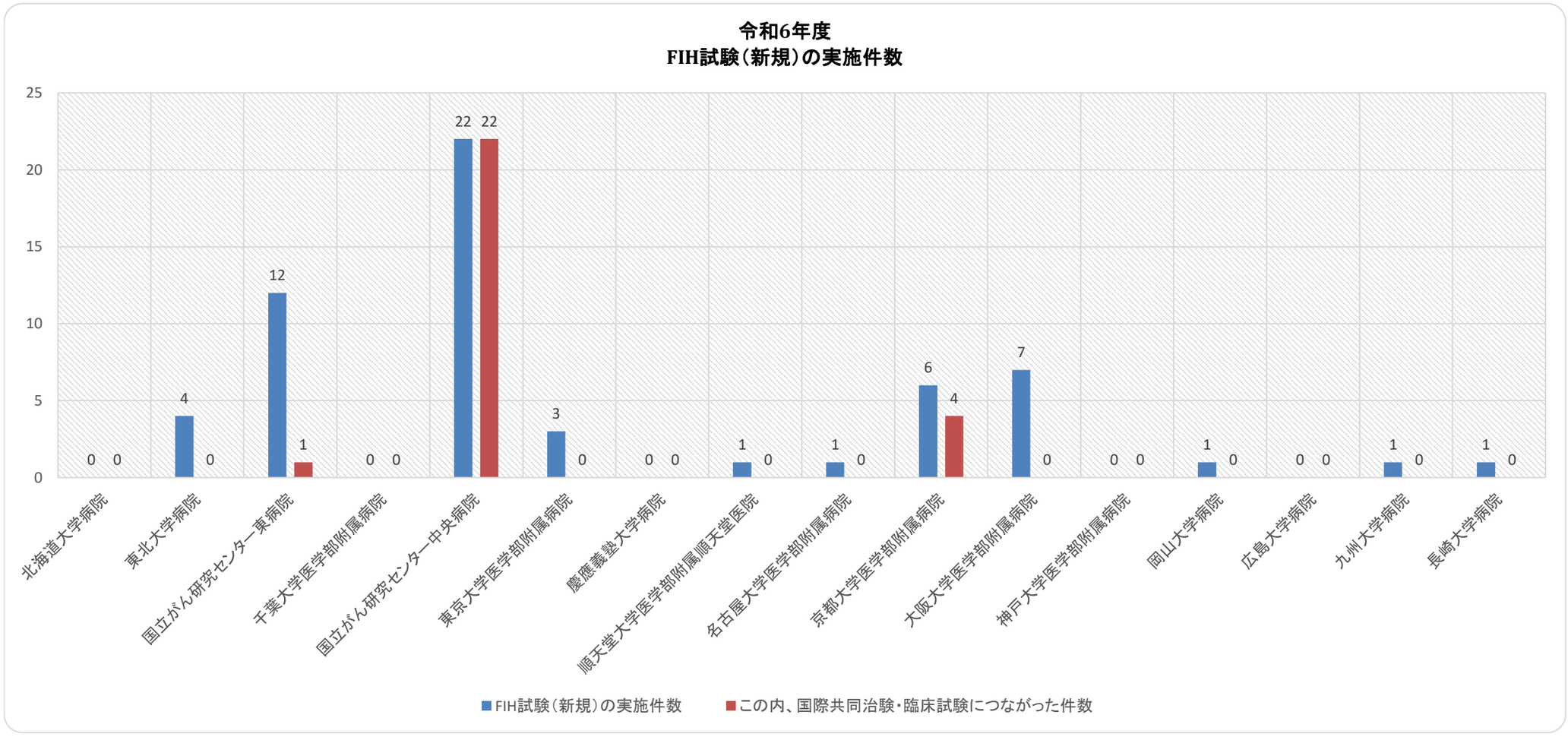
2.革新的モダリティに対応したヒト初回投与試験（FIH 試験） / 1）FIH試験の実績 / 令和5年度

令和5年度	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
FIH試験（新規）の実施件数	1	5	21	0	21	0	1	0	3	4	7	0	1	0	1	0
この内、国際共同治験・臨床試験につながった件数	0	–	1	0	21	0	0	0	0	2	0	0	0	0	0	0



2.革新的モダリティに対応したヒト初回投与試験（FIH 試験） / 1）FIH試験の実績 / 令和6年度

令和6年度	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
FIH試験（新規）の実施件数	0	4	12	0	22	3	0	1	1	6	7	0	1	0	1	1
この内、国際共同治験・臨床試験につながった件数	0	–	1	0	22	0	0	0	0	4	0	0	0	0	0	0



2.革新的モダリティに対応したヒト初回投与試験（FIH 試験）
2) スタートアップ・創薬ベンチャー等が行う FIH 試験を支援する体制

選択肢	施設数	割合
あり	13	81.3%
なし	3	18.8%

北海道大学病院	スタートアップ・創薬ベンチャーが行う開発について、企業治験とする場合、施設の算定費用が高くなるため、開発に関与する医師を代表者とする医師主導治験の形で実施しているが、特に問題は発生していない。 FIH試験について、企業治験・医師主導治験関係なく、患者対象となる場合は大学病院の病床を利用し、健康成人対象となる場合は学内のPhase1 ユニットを利用しており、支障なく治験実施ができている。
東北大学病院	試験の企画立案、PMDA交渉などの治験開始までの準備については開発推進部門、調整事務局支援は臨床研究パートナー部門で対応している。
国立がん研究センター東病院	同じ国立がん研究センター内の橋渡し研究推進センターが実施する大学発医療系SU支援拠点事業に参画するとともに、スタートアップ・創薬ベンチャーが実施するFIH試験についてもこれまで複数当院がAROとして医師主導治験を実施している。
千葉大学医学部附属病院	ベンチャー企業のFIHから、医師主導治験へ進んだシーズでの支援実績があり、現在も医師主導治験を実施中である。 また、学内ベンチャーの起業前から研究グループと連携し、今後の医師主導治験実施に関して支援を行っている。
国立がん研究センター中央病院	中央病院医薬品ベンチャー等相談を受け支援対象となった、またはセンター橋渡し研究推進センターとの連携により支援対象となったシーズについてFIH試験のPMDA相談や治験のARO支援を行うことが可能。
東京大学医学部附属病院	スタートアップ・創薬ベンチャー等のシーズについてFIH試験を行う体制が整っており、実績もある。
慶應義塾大学病院	大学発医療系スタートアップ支援プログラムの採択課題も含めてアカデミア発のシーズに関し、スタートアップ・創薬ベンチャー等が行うFIHを支援する体制（調整事務局、モニタリング、データマネジメント、薬事、統計解析、監査など）について、臨床研究中核病院として具備すべき範囲では整備されていると考えている。 また、当院には臨床試験病棟を備えており、CRC、病棟看護師、薬剤師、臨床検査技師、医用工学士等による臨床研究・治験の実施の支援が可能である。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	_
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	令和6年以降に新しく開始した医師主導治験に限っても、スタートアップ・創薬ベンチャーが深く関与するFIH治験は2試験（医薬品1件、再生医療等製品1件）を当院で実施している。 スタートアップ・創薬ベンチャーが企業治験として実施するFIH治験の実績は無い。 医師主導FIH治験に対する支援は、他の医師主導FIH治験と同様に支援している。 また、資金調達計画や開発マイルストーンを踏まえ、統計解析・中間解析を含むデータ提供時期の希望に可能な範囲で柔軟に対応するなど、スタートアップ・創薬ベンチャーに配慮した対応も実施して来ている。
大阪大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院では、以前から、10床のphase Ⅰ ユニットを整備し、アカデミア発スタートアップのシーズによる医薬品、再生医療等製品、遺伝子治療等製品等の新規モダリティのヒト初回投与試験を実施してきている。院内のCPCでは再生医療等等製品、細胞治療製品のみならず、ウイルスベクターの製造基盤の整備に着手しており、迅速なFIH試験の開始を可能としている。 FIH試験の迅速な実施には、フレキシブルな規制当局対応・試験計画立案支援が重要である。当院ではPMDA/厚生労働省で医薬品・再生医療・医療機器の審査に従事し、再生医療等の提供計画、薬事規制当局における品質評価、臨床評価、非臨床安全性評価、生物統計の審査経験を有するスタッフや、厚労省医政局研究開発政策課（旧研究開発振興課）出向経験者など5名が迅速な試験開始を支援している。 ベイズ法の活用については、アカデミア発スタートアップが創成した抗体医薬品において、当院を主幹として多施設共同医師主導治験を実施中であり、その試験計画・実施を未来医療開発部が支援している。さらに、現在、ベイズ法を活用した新規ワクチンFIH試験について、未来医療開発部未来医療センター、データセンターが共同して試験計画の立案を支援しているところである。 橋渡しシーズ等の新規モダリティについては、非臨床開発から臨床開発までのスムーズなプロジェクトマネジメントが重要であり、当院では非臨床を含めた開発プログラム全体を統括するプロジェクトマネージャーときめ細やかな臨床開発支援を行うスタディマネージャーが共同して支援する体制で、迅速なFIH試験の実施を実現している。これらの調整事務局業務（スポンサー業務）を行うスタッフとともに、ヒト初回投与試験の経験が豊富なCTU部門所属のCRCや、モニタリング部門スタッフと一体となって試験の計画立案から試験の推進を行うことで、効率的なFIH試験支援体制を確立している。
神戸大学医学部附属病院	-
岡山大学病院	岡山大学・岡山大学病院は臨床研究中核病院に加え橋渡し研究支援機関の認定も受けており、アカデミアの研究者だけでなくスタートアップ・創薬ベンチャーも含めて基礎研究・非臨床研究段階からFIH試験実施までをシームレスに支援可能な体制が構築されている。
広島大学病院	非臨床研究の段階から研究支援する体制がありスタートアップ・創薬ベンチャーを早期から支援している
九州大学病院	スタートアップの支援については主に橋渡し部門が担当し、非臨床試験、充足性などをFIHにいたるまでの過程について臨床研究部門と協調して支援を行なっている。専用のP1病床は廃止し、現在は有していない。FIH試験については疾患領域により院内の病床を用いたり外部のp1専門施設を利用したりすることにより、リソースの最適化を行なっている。
長崎大学病院	臨床薬理学や非臨床開発、臨床開発に精通したプロジェクトマネージャーを擁し、試験を円滑かつ高品質に実施するCRC、スタディマネージャー、データマネージャー、モニター、生物統計家とともに、臨床試験の安全性と信頼性を確保するための多職種連携体制が整備されている。また、被験者の安全管理、試験薬の調製・投与、データ収集・解析を実施可能である。更に、被験者安全性を最大限確保するための管理体制や緊急事態に対応できる救急医療体制も整備している。倫理審査委員会による審査やリスクマネジメント体制を整え、GCP省令に準拠した運営が可能である。

3.医工連携または新たな治験・臨床試験のデザイン・手法の実施 / 医工連携

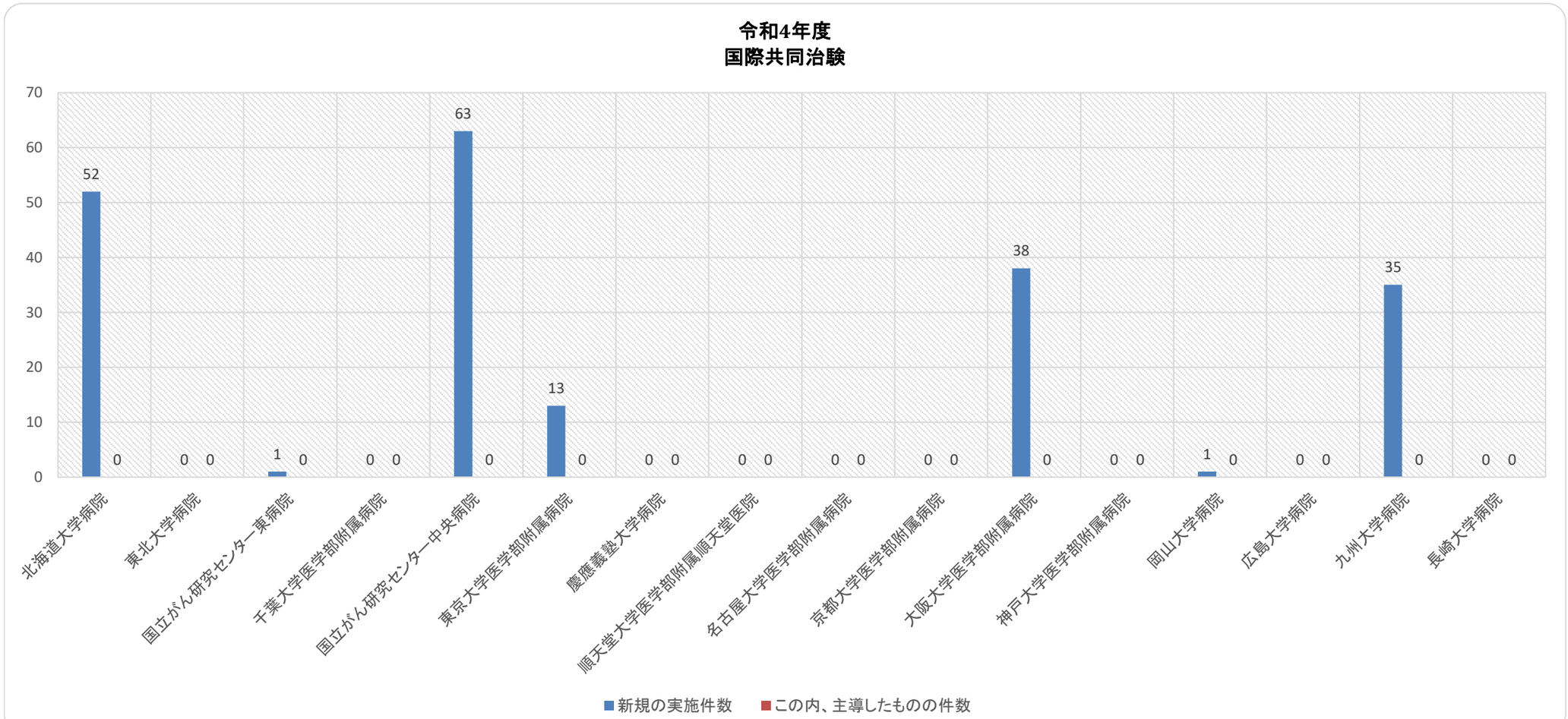
北海道大学病院	医工連携に関しては、医理工学院は臨床研究開発センターの支援のもと、工学研究院との連携により陽子線治療装置や新たながん治療法の開発に取り組むと共に、医療機器開発に関連する人材育成を行っている。特に、がん領域では新たな治療法として、低侵襲で安全な放射線治療用マーカーの留置を可能とする技術の開発、循環器領域では疾患に対する治療方針を提案するソフトウェアの開発にも取り組んでいる。
東北大学病院	医工連携シーズが多い拠点として、数多くのFIH試験を経験している。特に、埋植医療機器や治療機器などの場合、FIH試験は極めて重要であることから、丁寧な事前準備を行い、安全性の確保に努めている。 SaMD開発においては、臨床情報の利活用に始まり、検証段階でも治験によらない開発も含めて多様化した臨床開発様式に対応した臨床開発戦略の企画立案を実施している。
国立がん研究センター東病院	NEXT医療機器開発センターでは、産学官・医工連携で臨床ニーズに基づいた次世代に望まれる革新的医療機器の開発を進めている。がんの診断、治療、緩和/在宅ケアに関わる医療機器開発を推進・支援するとともに、臨床現場観察、ニーズの探索・発信、プロトタイプの試用・評価によるPoC取得、薬事・事業化に向けた出口戦略などの支援を実施している。これまで医工連携で生み出された開発物の臨床試験として、がん心理療法アプリ、手術支援AIなどが挙げられる。
千葉大学医学部附属病院	千葉大学フロンティア医工学センターでは、臨床試験部長が副センター長を兼任するなど、連携した活動をおこなっている。またフロンティア医工学センターと病院との連携の窓口として、メドテック・リンクセンターを病院に設置し、千葉県や千葉市の産業振興部門と協力しながら、ニーズ、シーズの発掘を行っている。メドテック・リンクセンターの活動には臨床試験部も参加し、臨床研究実施のための支援を行っている。
国立がん研究センター 中央病院	内視鏡画像のAI 診断Softwareを企業と国立がん研究センター研究所と共同で開発し、令和2年度に薬事承認。 腫瘍非腫瘍の鑑別、がんの深達度診断、転移診断のAI 診断ソフトウェアの開発を行い、令和3年度に腫瘍非腫瘍の鑑別AIは欧州でのCEマークを取得。令和7年度内に国内での薬事承認の予定。 先進医療制度下で実施した医師主導特定臨床研究早期乳癌へのラジオ波熱焼灼療法の有効性の検証と標準化に向けた多施設共同研究（RAFAELO試験）」の成果を活用し、令和5年度にラジオ波焼灼療法(Radiofrequency ablation：RFA)の早期乳がんへ適応追加の薬事承認。 その他、センター内の企業ラボに入居している企業との連携による内視鏡関連の医療機器開発、がん専門病院（3病院合同）ニーズマッチングイベントの開催によるニーズシーズマッチングを実施を行っている。
東京大学医学部附属病院	特になし
慶應義塾大学病院	・MARC（首都圏ARコンソーシアム）の連携を通じた、医工連携シーズの発掘に向けて、橋渡し事業、異分野シーズの公募などを定期的に案内している。2025年度は特に異分野連携に焦点を当てたMARC加盟機関向けのセミナーと個別相談会の開催の準備を進めている。これらの早期シーズの探索を継続して実施している状況だが、MARCの連携を通じた治験・臨床試験の実施までにはまだ繋がっていない。 ・東海大学医学部付属八王子病院の医師を調整医師とする、国内初の膝下血管病変向けDESステントシステムに関する医師主導治験を支援中（初回登録は2025年12月予定）。東海大学と慶應義塾大学の医工連携から生まれたスタートアップ（Global Vascular株式会社）が持つ独自ステントデザインとナノコーティング技術により、重症PAD患者の下肢温存とQOL向上を目指す。 ・慶應義塾大学医学部スポーツ医学総合センターの医師らと、慶應医学部発スタートアップ（株式会社グレースイメージング）との医工連携により、皮膚に貼るだけで汗中乳酸値を連続測定する汗乳酸モニタリングシステム「スウェットウォッチ」の医師主導治験で有効性と安全性を確認し、その成果を基に2025年12月にクラスII・医療機器として承認された。
順天堂大学医学部附属 順天堂医院	自動車部品メーカーと連携し、順天堂大学GAUDIと共同で支援を行い、特定臨床研究を実施している。（jRCTs032250062）
名古屋大学医学部附属病院	なし
京都大学医学部附属病院	・大学（工学）と臨床の医工連携：医師主導治験3件 ・企業（工学）と臨床の医工連携：医師主導治験1件
大阪大学医学部附属病院	大阪大学国際医工情報センターに所属する心臓血管外科・循環器内科の医師らが開発した「解析機能付き心臓運動負荷モニタリングシステム用プログラム（クラスIII）」および「RST算出プログラム（クラスII）」について、大阪大学を実施医療機関として治験が実施された。本開発機器は、医師主導の臨床ニーズと工学的技術開発が緊密に連携して生まれた医療機器である。治験で得られたデータを基に薬事申請が行われ、両機器とも承認を取得した。本取り組みは、医工連携による大学発医療機器開発が実用化に結びついた好例である。
神戸大学医学部附属病院	冠動脈領域で使用されている画像診断機器であるOFDI（Optical Frequency Domain Imaging,血管内光断層撮影法）の下肢動脈への適応拡大を目的とした医師主導多施設共同治験を、本院が代表施設として2019年５月より実施。治験の計画段階から、企業交渉、PMDAの対面助言、各種必須文書の作成、IRB申請サポートに加え、治験の実施・終了の手続き等を支援。薬事承認申請や適合性書面調査の支援に加え、PMDAからの照会事項の対応等の支援を実施し、2021年６月には薬事承認を取得、同年11月には保険収載が認めれた。
岡山大学病院	・ロボット(Zerobot®)を用いたCT透視ガイド下生検：単施設単群非盲検前向き実行性確認試験　jRCTs061180006 ・針穿刺ロボット(OUR-IVR)を用いた経皮的CT透視ガイド下針生検及びアブレーションの有効性及び安全性を検証する無作為化比較医師主導治験 jRCT2062200013
広島大学病院	「三叉神経痛に対するカルバマゼピン併用の五苓散の有効性・安全性を評価するプラセボ対照ランダム化比較第Ⅱ相医師主導治験 」において、日々の疼痛時Visual Analogue Scale（eVAS）の記録や服薬コンプライアンス等の確認及び顔表情等を工学系の研究者と共同で開発したVCT支援アプリを用いて実施している。
九州大学病院	・脳卒中回復期の上肢片麻痺患者に対する手指リハビリテーションロボット（SMOVE）を用いた、手指運動機能訓練の、回復期リハビリテーションにおける有効性及び安全性を検討する、PROBE法を用いた従来治療対照多施設共同研究者主導臨床研究 ・上肢に対する単関節型Hybrid Assistive Limb(HAL)の臨床試験
長崎大学病院	治験・臨床試験の実施にまでは至っていないものの、水産学部と連携したクルマエビ抗体様蛋白を用いたジフテリア毒素検出法の開発や情報データ科学部と連携した低コストな抗酸菌鑑別法確立といった異分野連携研究を実施しており、臨床応用を見据えた開発支援を行っている。

3.医工連携または新たな治験・臨床試験のデザイン・手法の実施 / 新たな治験・臨床試験のデザイン・手法の開発や実践

北海道大学病院	※現在確認中のため、後日改めて回答予定
東北大学病院	・RWDを利用した効率的な臨床試験デザイン ・新医療機器の製造販売後調査実施にあたり、学会からの要望に基づき製造販売後データベース調査における製造販売後データベース事業者としてデータベース構築に携わった
国立がん研究センター東病院	複数の臨床仮説を1つの試験の中で評価することを目的として作成されるマスタープロトコールの枠組みとして、1つの治療レジメンに対して癌種横断的評価を行うバスケット試験を計2試験（EPOC1805(TiFFANY試験; jRCT2080224555)、EPOC1806(HERALD試験; jRCT2080224635)）実施した。特にHERALD試験の結果は著名な論文誌であるJournal of Clinical Oncologyにてpublishされている(PMID: 39088783)。
千葉大学医学部附属病院	なし
国立がん研究センター 中央病院	医師主導治験、企業治験、特定臨床研究においてDCTの導入を進めている（DCTの項参照）。また、オンラインコミュニケーションツールを利用し画像や検査結果を共有することにより臨床試験（治験）参加の可否に関する事前相談システムの実証化研究（CONNECT試験）を現在行っている。また、ゲノム医療や希少がんの課題解決のため、患者申出療養制度を用いた多数の医薬品コホートを有する特定臨床研究（受け皿試験、小児受け皿試験）やレジストリと医師主導治験を組み合わせた開発プラットフォーム試験であるMASTERKEYプロジェクトなどを実施した。
東京大学医学部附属病院	特になし
慶應義塾大学病院	・DCTの手法を用いた臨床試験・治験の相談に応じ、これまでに3つの試験でDCTの手法を用いたデザインの策定を行ってきた。1つの試験は被験者リクルートが進まなかった場合のリクルート方法としてDCTを活用する予定としていたが、既存の施設で十分な人数のリクルートが可能であったため、実施には至らなかった。残る2試験は資金獲得ができず実らず、実施できていない状態である。 ・「臨床研究のための生成AI × プログラミング実践入門ワークショップ」と題した半日コースのワークショップを開催した。本ワークショップでは、プログラミング初学者を対象に、生成AIを活用しながらRやPythonなどのプログラミング言語の基礎的スキルを習得できるよう支援を行った。 ・毎年開催している臨床研究プロトコールワークショップ(Standard Protocol Items: Recommendations for Interventional Trials (SPIRIT) に基づき、プロトコール骨子をグループで完成させることを目的としたワークショップ)において、生成AIを活用したPICO/PECOの作成デモンストレーションを実施し、臨床研究における生成AI活用の一端を紹介した。 ・統計手法の開発や実践の観点から、以下を実施した。 ・欠測により測定回数が不揃いな条件下でのrepeated measures correlation ・再ランダム化検定に基づく信頼区間 ・最小化法を用いた場合に比例ハザード性が成立しない状況下での再ランダム化検定の性能評価 ・生存時間データと順序カテゴリーデータの場合の代替エンドポイントの妥当性評価指標 ・レアイベントな二値データおよび生存時間データに対する妥当な推測手法 ・生存時間アウトカムの単群試験のサンプルサイズ設計手法 ・メタアナリシスにおける分布誤特定に頑健で高精度な信頼区間と予測区間
順天堂大学医学部附属 順天堂医院	新規臨床研究の計画立案に際し、患者負担を減らす参加方法の検討や、よりわかりやすい同意説明文書の作成について、順天堂PPIコミュニティに登録されている方との意見交換を実施した。
名古屋大学医学部附属病院	なし
京都大学医学部附属病院	急性赤白血病および類似疾患に対するアザシチジン/ルキソリチニブ併用療法の安全性と有効性多施設共同非盲検無対照試験において、至適用量探索のために新規開発されたBayesian optimal interval（BOIN）デザイン[参考文献: Liu S and Yuan Y (2015) Appl. Statist]を適用している。これまで用いられてきた3＋3コホートデザインやcontinual reassessment method (CRM)に比べ、柔軟性と利用可能性において優れることが公表論文で証明されているが、実際にBOINを利用しその通りであることを確認することができた。われわれもBOINを有効性も考慮した用量設定を可能にするなどより有用なものに改善するため新規試験デザイン開発を行っている（以下参照）。 K.Takeda, S.Morita, M.Taguri, TITE-BOIN-ET: Time-to-event Bayesian optimal interval design to accelerate dose-finding based on both efficacy and toxicity outcomes, Pharmaceutical Statistics, 2020,19,335-349 K.Takeda, M.Taguri, S.Morita, BOIN-ET: Bayesian optimal interval design for dose finding based on both efficacy and toxicity outcomes, Pharmaceutical Statistics, 2018,7,383-395 ・マスタープロトコルによる企業治験：12件 ・CAR-T療法（免疫領域）に関する企業治験：5件 ・放射線リガンド療法に関する企業治験：3件
大阪大学医学部附属病院	センシング技術等を活用し、患者家庭等におけるリモートでの生理学的情報の収集を用いて、医療機器の医師主導治験を実施し、薬事承認に至っている。また、ベイズ法を活用した用量探索を行う試験デザインの試験を行っている。
神戸大学医学部附属病院	なし
岡山大学病院	なし
広島大学病院	AMED令和5年度「臨床研究・治験推進研究事業（1次公募）」、患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進を目指し、DCT等の新しい手法を活用した臨床研究・医師主導治験の推進 特定臨床研究・医師主導治験の実施【実施（ステップ2）】の研究開発課題として採択されており、遠隔診療システムを用いた治験として実施している。
九州大学病院	・ Delayed Start計画：認知症と心血管病の改善を図る迷走神経刺激効果を有する簡易トレーニングプログラムの開発とメカニズムの解明 高齢者の認知症と心血管病の改善を図るため、簡易的な迷走神経刺激として口腔筋訓練を試みた。この際、老健施設内で単純に訓練群と非訓練群にランダム分割すると、訓練器具(パタカラエアーフィット)をもらえない群が不満を持つ可能性があった。そこで、前期実施群と後期とに分割し、前期終了時はランダム2群比較としての性格をもち、全体として訓練前後比較も可能なDelayed Start計画を採用した。 ※DCTについては別記
長崎大学病院	分散型臨床試験の手法を活用する試験として、長崎という地域の特色を生かし、あじさいネットを活用した肺炎を対象とする特定臨床研究を実施している。これは、離島である五島と長崎大学病院をあじさいネットでつなぎ、五島にサテライト医療機関を設置し、効率的な臨床試験実施を実践するものである。 また、アダプティブデザインやマスタープロトコールを用いた企業治験を受託している。

4.国際共同治験・臨床試験の実施 / 1) 国際共同治験・臨床試験の実績 / 令和4年度 / 国際共同治験

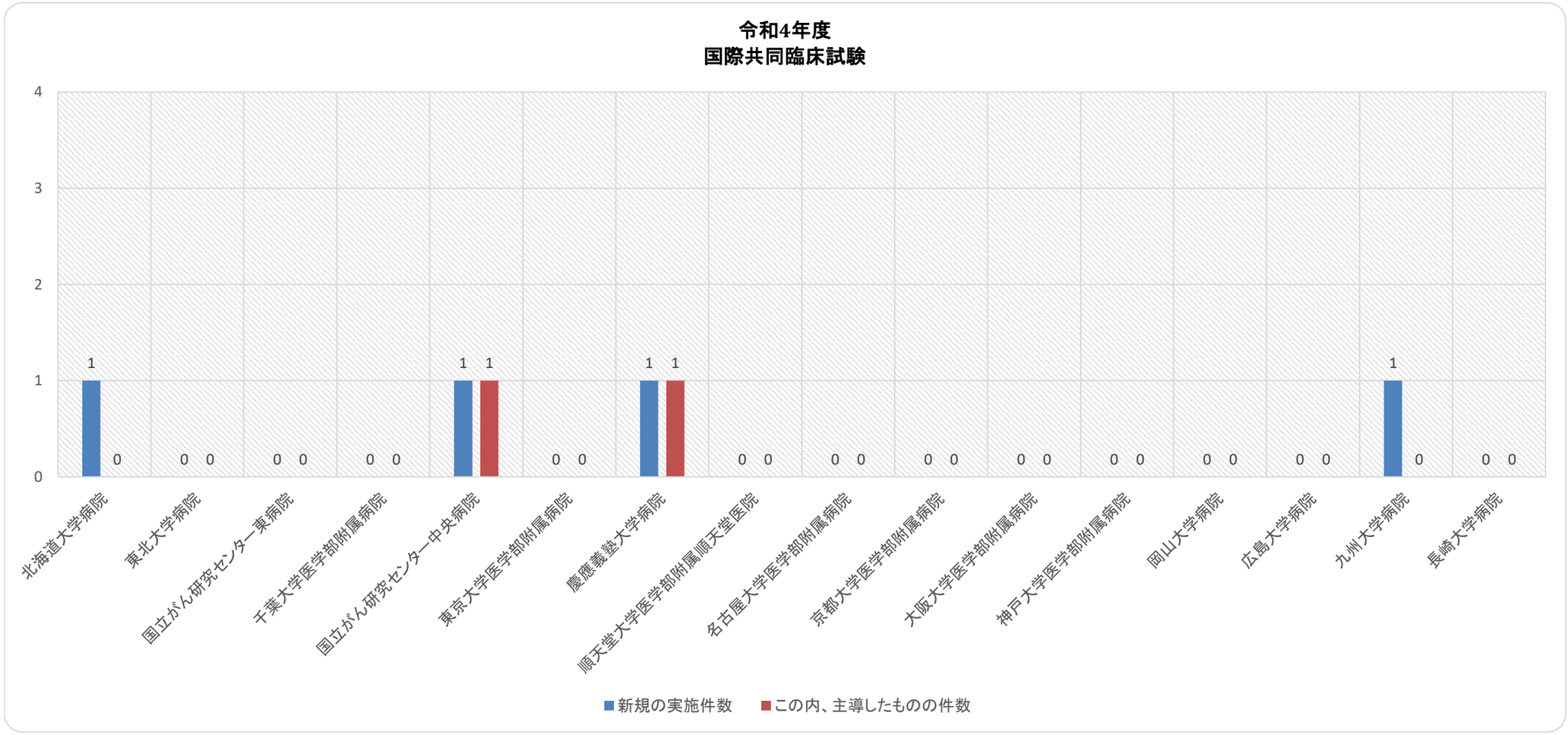
令和4年度 国際共同治験	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
新規の実施件数	52	0	1	0	63	13	0	0	0	0	38	0	1	0	35	0
この内、主導したものの件数	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0



13

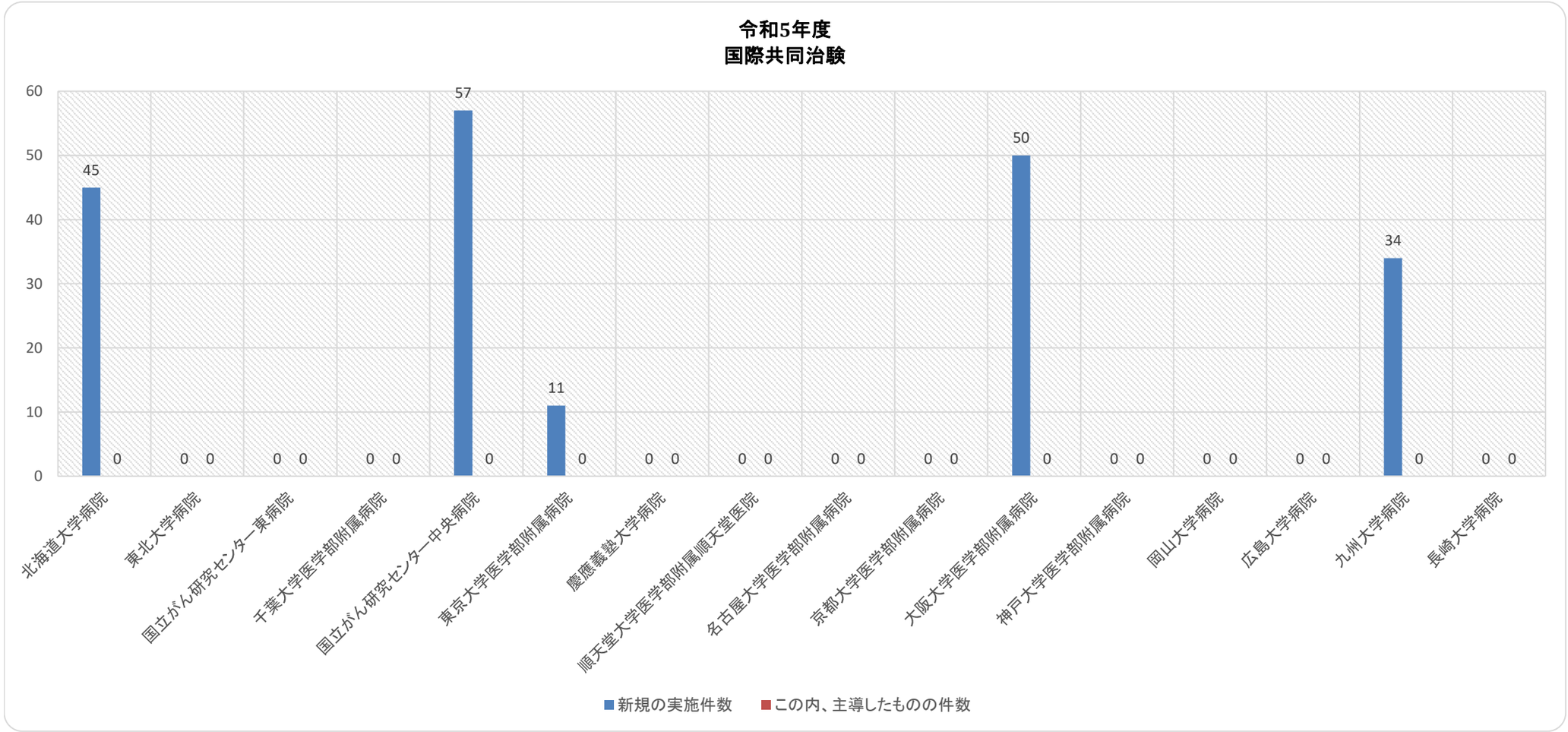
4.国際共同治験・臨床試験の実施 / 1) 国際共同治験・臨床試験の実績 / 令和4年度 / 国際共同臨床試験

令和4年度 国際共同臨床試験	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
新規の実施件数	1	0	0	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0
この内、主導したものの件数	0	0	0	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0

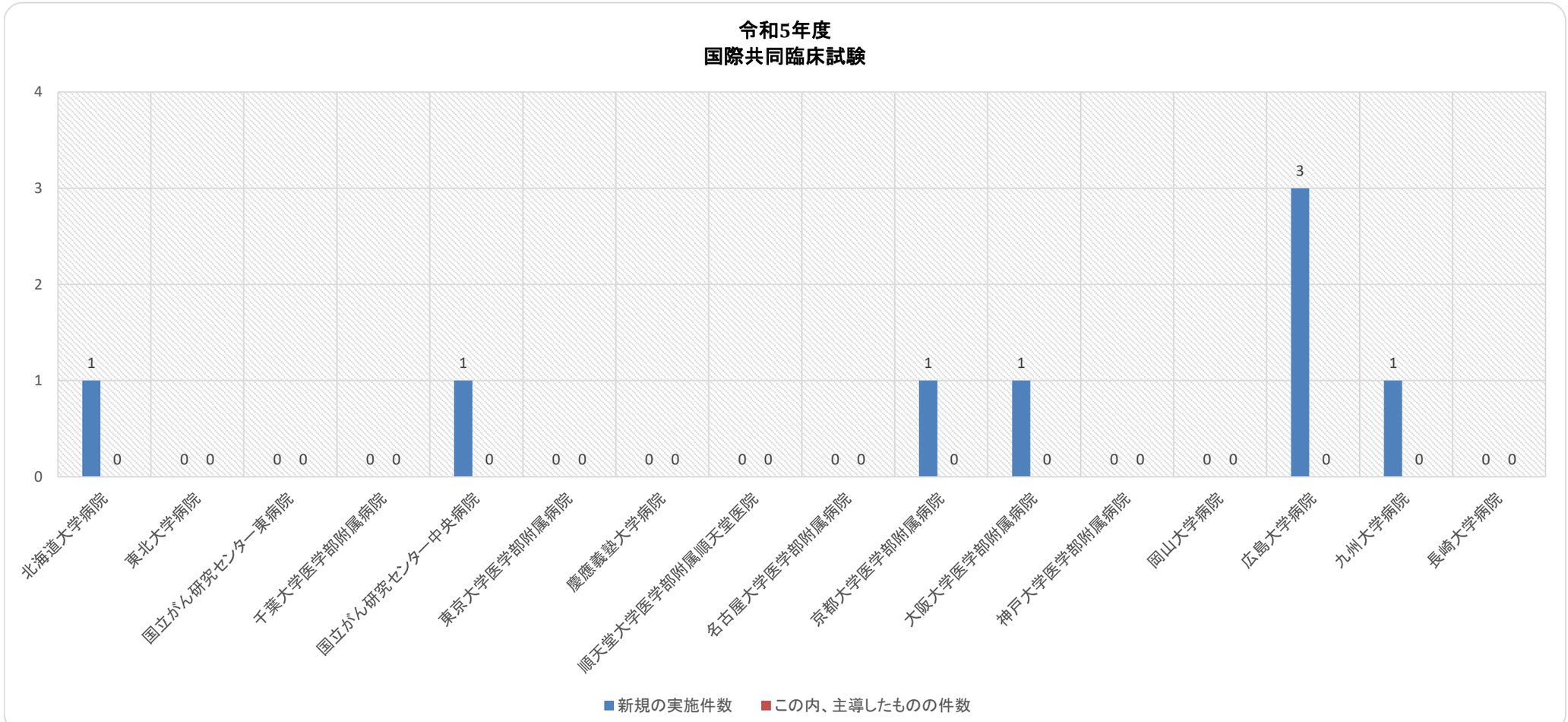


14

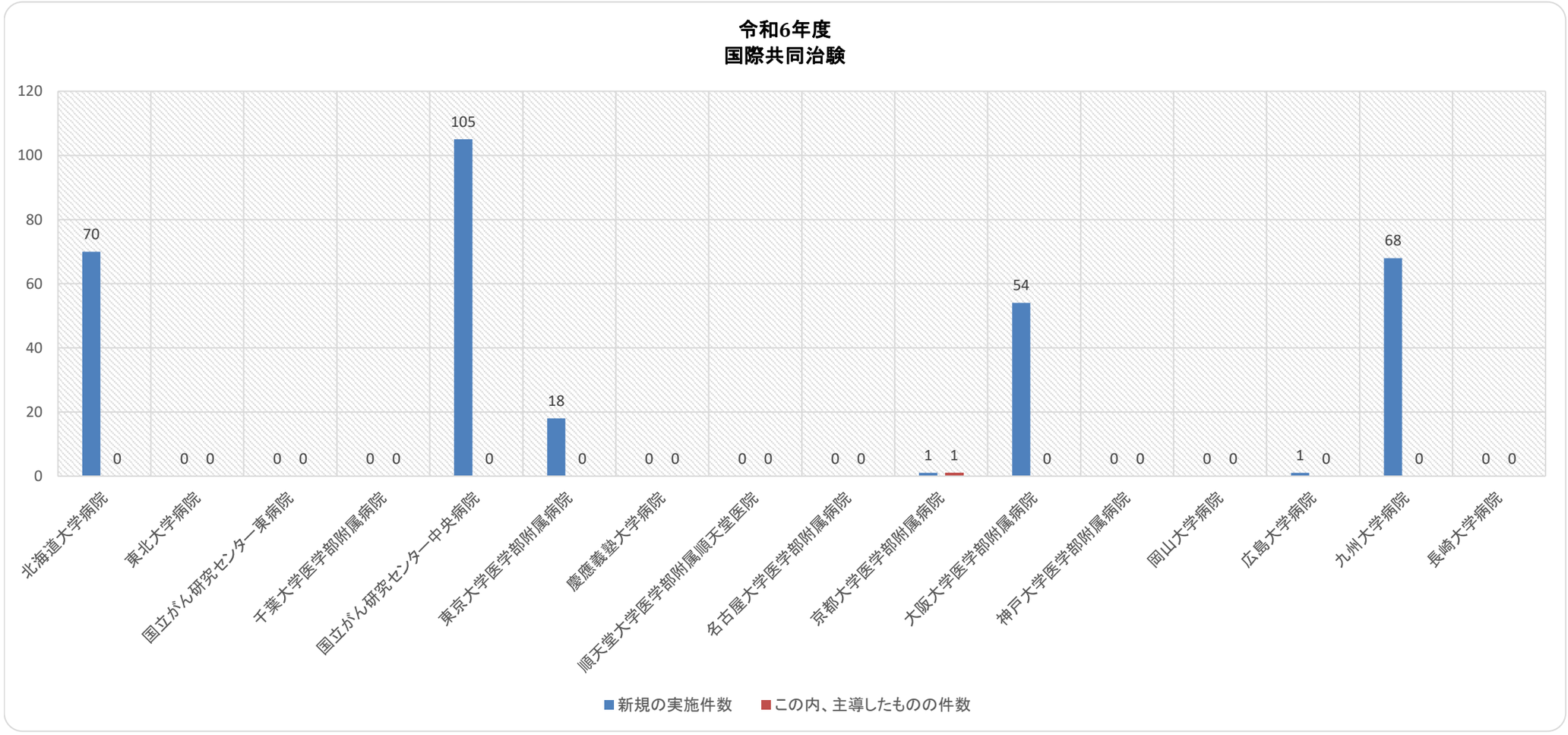
令和5年度 国際共同治験	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
新規の実施件数	45	0	0	0	57	11	0	0	0	0	50	0	0	0	34	0
この内、主導したものの件数	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0



令和5年度 国際共同臨床試験	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
新規の実施件数	1	0	0	0	1	0	0	0	0	1	1	0	0	3	1	0
この内、主導したものの件数	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

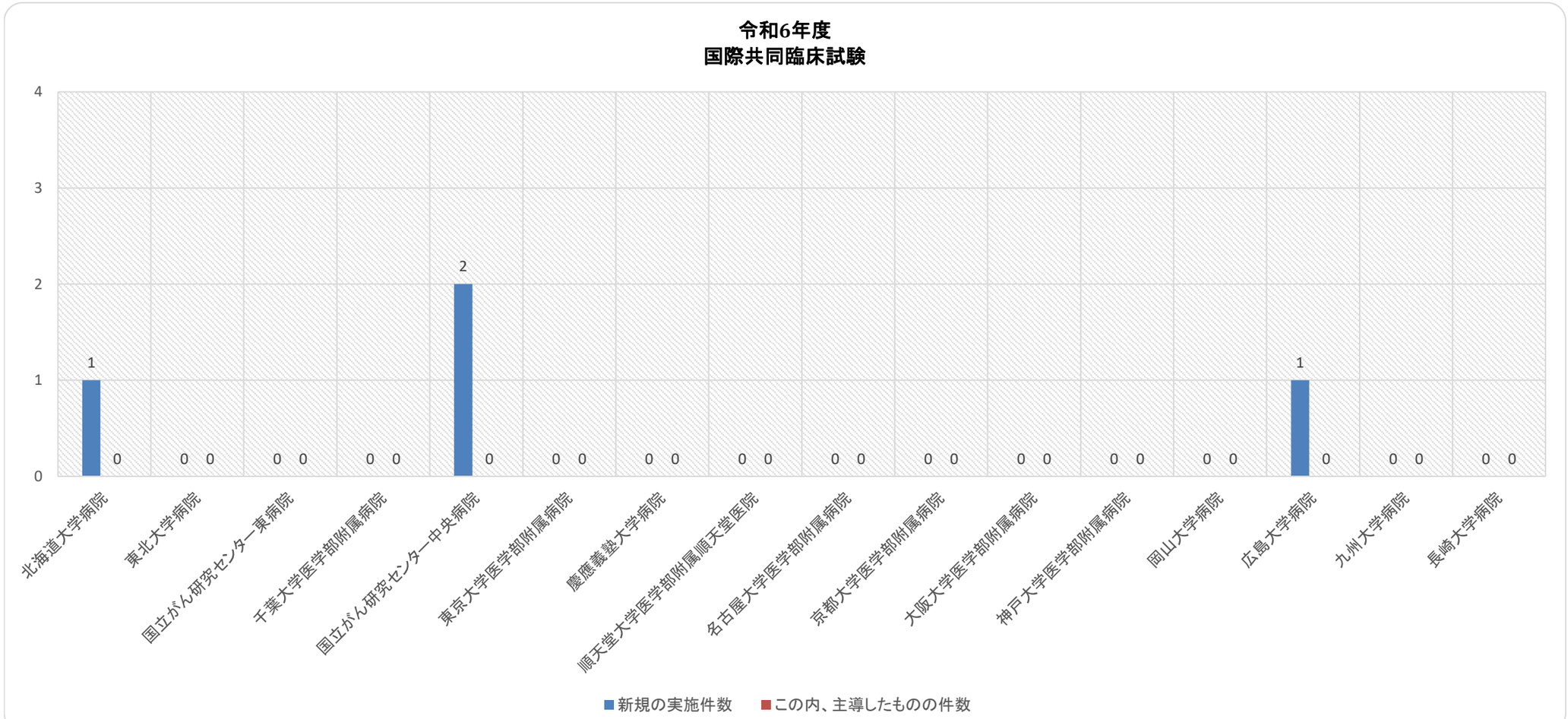


令和6年度 国際共同治験	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
新規の実施件数	70	0	0	0	105	18	0	0	0	1	54	0	0	1	68	0
この内、主導したものの件数	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0



4.国際共同治験・臨床試験の実施 / 1) 国際共同治験・臨床試験の実績 / 令和6年度 / 国際共同臨床試験

令和6年度 国際共同臨床試験	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
新規の実施件数	1	0	0	0	2	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0
この内、主導したものの件数	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0



4.国際共同治験・臨床試験の実施 / 2) 国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成

選択肢	施設数	割合
あり	9	56.3%
なし	7	43.8%

北海道大学病院	AROからの働きかけにより本院医学研究者が2025年マンスフィールドPhRMA研究者プログラムを受講した。受講後、報告会を開催し内容ををARO全体に共有した。
東北大学病院	-
国立がん研究センター東病院	海外製薬企業等から治験薬を輸入する医師主導治験や海外企業からの資金獲得なども行っており、そのような試験を通じてOn the Jobで育成を行っている。
千葉大学医学部附属病院	アジアのAROと共同臨床試験を複数実施する中で、企業経験者が指導しながらOJTを実施。
国立がん研究センター中央病院	2020年に国際開発部門を設置し、実際の国際共同試験の支援を通じて国際共同試験を支援できるスタディマネージャーの育成に取り組んでいる。国際開発部門には外国人スタッフが9人存在し、そのうち6人が主に国際共同試験のスタディマネジメントに従事している。具体的には国内の手続きについては日本人スタッフが担当し、海外施設とのコミュニケーションは外国人スタッフが担当する形で役割分担するパターンが多い。
東京大学医学部附属病院	-
慶應義塾大学病院	・経験のあるPIのもと、OJTでの段階的な育成を実施している。 ・国際臨床医学会の国際臨床研究者認定を受けた医師を要しており、今後も同制度の活用を含めた人材育成を検討する。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	-
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	国際共同研究の経験のあるスタッフを雇用し、英語対応などをOJTで行っている
大阪大学医学部附属病院	-
神戸大学医学部附属病院	国際臨床試験にかかる応需体制構築の一環として、本院にて外部からのコンサルティングを導入し、本院ARO内部のプロジェクトマネージャーに対するGPM化へ向けた、面談及びOJTを含めた養成指導・教育を展開し、順次支援業務に当たらせる体制を取っている。
岡山大学病院	-
広島大学病院	-
九州大学病院	特定の育成プログラムを立ててはいない。九州大学 アジア・オセアニア研究教育機構の「満たされない医療ニーズモジュール」の構成員5名（AROまたは橋渡部門所属）を中心にPMが国際共同試験を計画、実施できるよう英語対応も含めて育成している。 また「医師主導治験を目指す若手医師の会」を設置し高度人材育成事業資金などを用いて海外AROの視察なども行なっている。
長崎大学病院	AMED臨床研究開発推進事業（医療技術実用化総合促進事業）における国際共同臨床研究実施推進プログラム（海外派遣）において、生物統計家をロンドン大学に派遣し、国際的ネットワークを活用した国際共同試験の実施や統計解析等について学ぶ者を派遣し、人材育成に努めている。

4.国際共同治験・臨床試験の実施 / 4) 国際共同治験に対応可能な ARO や相談・支援窓口の設置

選択肢	施設数	割合
あり	11	68.8%
なし	5	31.3%

北海道大学病院	北海道大学病院 医療・ヘルスサイエンス研究開発機構のウェブサイトに「国際共同研究（研究者対象）」というページがあり、臨床研究開発センター・研究企画推進部門を窓口として対応する体制をとっている。 https://helios.huhp.hokudai.ac.jp/crmic/researcher/clinical-reseach/国際共同臨床研究について/国際共同臨床研究（研究者対象）/
東北大学病院	-
国立がん研究センター東病院	国際共同研究・治験の窓口を院内に設置して、医薬品開発推進部門医薬品開発推進部　国際研究推進室が窓口となっている。
千葉大学医学部附属病院	研究者からの相談、海外のAROからの相談に対応し、国際共同治験を実施につなげる体制がある。
国立がん研究センター中央病院	国際開発部門スタッフが中心となって「国際臨床研究コンサルテーション」を受け付けており、多数の相談実績を有している。 https://www.ncc.go.jp/jp/ncch/division/clinical_research_support/research_management/ncch_itm/index.html
東京大学医学部附属病院	ワンストップ相談窓口を通じて研究者・ベンチャー企業等からの国際共同開発・臨床研究に関する相談体制を有している。
慶應義塾大学病院	-
順天堂大学医学部附属順天堂医院	_
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	国際連携ユニットなどを設置し、実際に対応し、またCROと共同して支援している。
大阪大学医学部附属病院	https://www.gcrso.med.osaka-u.ac.jp/contact/ 上記に研究者が必要事項を記載し、その後対面またはオンラインでの面談を実施している。
神戸大学医学部附属病院	本院にて取り扱う本邦発シーズに係る国際臨床試験に選定されうる該当シーズを募集するため、院内各診療科向けに知財担当者を含めて個別シーズインタビューを行いシーズ発掘を行っている。また、ワンストップ臨床研究相談窓口においても国際共同研究に展開を目指す研究シーズの相談・支援応需体制を取っている。
岡山大学病院	プロジェクト管理室で受け付けることにしている。
広島大学病院	AROが担当する（ワンストップ相談）窓口から国内外を問わず受け付けている。また英語で対応可能な人材も在籍しており、国際共同試験に関しても相談を受け付けている。
九州大学病院	特に「国際」に特化した窓口はないが、HPに「研究開発に関する総合的なご相談および各支援のご依頼はこちら」としてARO研究相談窓口の相談フォームを設けており、外部からも含めてあらゆる研究相談を受け付けている。全件をセンター長が確認し3営業日以内に担当者から回答している。2024年度の国際試験に関する相談は2件程度であった。
長崎大学病院	-

4.国際共同治験・臨床試験の実施 / 3) 研究計画の立案等に英語で対応可能な人材の育成

選択肢	施設数	割合
あり	8	50.0%
なし	8	50.0%

北海道大学病院	北海道大学病院 医療・ヘルスサイエンス研究開発機構に所属する医師が、国際学会への参加や専門とする領域の国内学会における国際活動に関わり、英語で対応可能な人材として機能できるよう取り組んでいる。また、臨床試験のマネジメントに精通した人材が国際共同開発推進室長となり、国際関係のトピックに関わる経験を積んでいる。
東北大学病院	-
国立がん研究センター東病院	海外企業へのシノプシス提出は英語で行っている。
千葉大学医学部附属病院	アジアのAROと共同臨床試験を複数実施する中で、企業経験者が指導しながらOJTを実施。
国立がん研究センター中央病院	前述のように6人の外国人スタッフが国際共同試験のスタディマネジメントに従事している。ただし、日本主導の国際共同試験の場合には日本人スタッフが主導して取りまとめを行い、外国人スタッフは英語になった時点でレビューに入る形である。日本人スタッフに英語対応のすべてを担わせるのは効率的ではなく、英語で一定のコミュニケーションが出来て臨床試験のオペレーションを分かっている日本人スタッフを育成し、海外施設とのコミュニケーションや海外オペレーションには外国人スタッフが入る形で上手くいっていると感じている。
東京大学医学部附属病院	現時点で英語に堪能な職員もおり、必要に応じて英語で対応することは可能。
慶應義塾大学病院	医師については、海外留学や海外人材との交流を積極的に勧めている。 研究計画の立案等に英語で対応可能な医師や試験のマネジメントを行う者については、留学後の者を登用したり、もしくは留学前の者でもセンターで育成後に留学する等の形で、中長期的な人材育成が可能となるよう配慮している。 職員については、研究の事務手続きを専門とする契約担当および知財担当の職員を配置しており、OJTを通して英語対応が可能な人材育成を実施している。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	-
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	研究者と共同しながら、英訳およびグローバル会議に出席してOJTで育成している。
大阪大学医学部附属病院	-
神戸大学医学部附属病院	Q4-4の回答にあるワンストップ臨床研究相談窓口に、英語に堪能な1名のGPM担当を配して現場での経験を積ませている。
岡山大学病院	-
広島大学病院	-
九州大学病院	※前述(国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成)の回答に加えて下記。 ARO事務所掌である研究支援課に少なくとも2名は英語に堪能な者が居り、必要に応じて支援をしている。また橋渡しスタートアップ支援の関連でPMを初めとしたスタッフに米国領事館/民間組織と共同で英語プレゼンの講義を実施し、また計画している。
長崎大学病院	-

5.DCT / 1) 企業治験を含めたDCTの実績

選択肢	施設数	割合
あり	13	81.3%
なし	3	18.8%

主導

選択肢	施設数	割合
該当	9	56.3%
非該当	6	37.5%

内容

北海道大学病院	医師主導治験の付随研究として、遠隔でリハビリテーション指導を実施する研究。一部の企業治験では訪問看護ステーションを利用して被験者の自宅での治験薬投与を行っている。
東北大学病院	パートナー医療機関に来院した患者に、プレスクリーニング同意を遠隔で行う。
国立がん研究センター東病院	企業治験において、EHR-EDC連携を行った。企業治験、医師主導治験において、リモートSDVを行った。
千葉大学医学部附属病院	病院を訪問できない参加者に対して、訪問看護を利用して注射薬を投与する体制を構築、医薬品の配送、インターネットを用いた試験参加者の募集
国立がん研究センター中央病院	医師主導治験2試験、企業治験1試験、特定臨床研究1試験でDCT実装の実績がある。医師主導治験は当院主導のフルリモートDCT、企業治験はハイブリッド型DCTの第I相試験、特定臨床研究はJCOG試験で宮崎県でのハイブリッド型DCTのセットアップを当院が支援した。現在も当院主導の2つの医師主導治験と1つの特定臨床研究にDCT導入準備中である。
東京大学医学部附属病院	治験薬配送、オンライン診療、訪問看護
慶應義塾大学病院	-
順天堂大学医学部附属順天堂医院	-
名古屋大学医学部附属病院	薬剤の配送を業者に委託。検査を遠隔で実施。
京都大学医学部附属病院	・希少疾患を対象とする企業治験において、遠方の被験者に対して、オンライン診療と訪問看護を利用し、再生医療等製品の長期フォローアップを令和4年より実施している。 ・希少疾患を対象とする当院主導の医師主導治験において、遠方の被験者に対して、パートナー医療機関における臨床検査（血液検査）の実施と、被験者の自宅への治験薬の配送を令和2年度に行った。
大阪大学医学部附属病院	特定臨床研究で、COVID-19患者を対象にした治療薬を用いたフルDCT。オンライン診療、eConsent、ePRO、試験薬配送を実施。
神戸大学医学部附属病院	-
岡山大学病院	企業治験で被験者宅での採血等の訪問看護の対応経験がある。
広島大学病院	AMED令和5年度「臨床研究・治験推進研究事業（1次公募）」、患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進を目指し、DCT等の新しい手法を活用した臨床研究・医師主導治験の推進 特定臨床研究・医師主導治験の実施【実施（ステップ2）】の研究開発課題として採択されており、遠隔診療システムを用いた治験として実施している。
九州大学病院	医師主導：倫理指針介入研究　2021年1件、2023年1件、2024年4件、2025年1件
長崎大学病院	COVID-19に対する特定臨床研究におけるDCT（電磁的同意、遠隔診療、ePRO）を1件実施した。また、令和7年度にDCTを活用した肺炎に対する特定臨床研究を実施中である。さらに、パートナー医療機関として、令和6年度1件、令和7年度1件（1例登録）実施中である。

5.DCT / 2) DCTシステム

選択肢	施設数	割合
あり	12	75.0%
なし	4	25.0%

北海道大学病院	先進的臨床研究環境基盤整備プログラムにおける模擬治験で、遠隔診療システムMiROHAによる医療面接の実施、及びViedocによるeConsentを実施した。手順書の他、契約書の雛形を整備した。
東北大学病院	-
国立がん研究センター東病院	リモートSDVシステム。EHR-EDC連携システム。
千葉大学医学部附属病院	-
国立がん研究センター中央病院	DCT専用のオンライン診療システム、データ共有システムを有している。
東京大学医学部附属病院	・院内オンライン診療システム（On診）を使用し、オンライン診療を実施 ・治験依頼者が用意したZoomを使用し、オンラインで心理評価を実施
慶應義塾大学病院	当院主導の医師主導治験において、DCTで遠隔診療を行う際にMICIN社のMiRoHaをアカデミック価格で使用する契約を有している。（2025年度現在）
順天堂大学医学部附属順天堂医院	_
名古屋大学医学部附属病院	IIJ電子＠連絡帳サービス
京都大学医学部附属病院	CISCO WebEXおよびFINDEX On診（患者案内アプリ連携）を利用した、オンライン診療の実施体制を整備済みである。
大阪大学医学部附属病院	MiROHA
神戸大学医学部附属病院	・eConcentシステム：3H、Uchiken System（個別に契約した当院主導の特定臨床研究でのみ利用） ・オンライン診療システム：MICIN、MiROHA（他施設が代表機関である当院分担の医師主導治験において導入予定）
岡山大学病院	富士通社電子カルテシステムにおいて、他病院で作成したeWorksheet(eWS)の取り込み機能、当院で実施する治験に関するeWS作成機能を実装している。
広島大学病院	「三叉神経痛に対するカルバマゼピン併用の五苓散の有効性・安全性を評価するプラセボ対照ランダム化比較第Ⅱ相医師主導治験 」において、日々の疼痛時Visual Analogue Scale（eVAS）の記録や服薬コンプライアンス等の確認及び顔表情等を工学系の研究者と共同で開発したVCT支援アプリを用いて実施している。
九州大学病院	MICIN社　MiROHA（オンライン診療+eConsent+他職種情報共有）
長崎大学病院	-

6. 症例集積力強化のための取り組み / 1) NC、JIHS、国立病院機構（NHO）等との連携

選択肢	施設数	割合
あり	12	75.0%
なし	4	25.0%

北海道大学病院	北海道大学が脳神経科学統合プログラム 研究・実用化支援（知財・実用化戦略）に採択されたことを踏まえ、国立精神・神経医療研究センターと脳神経領域の臨床開発・実用化に関する交流シンポジウムを開催した。
東北大学病院	臨床試験データセンターでは、JIHSが主導している感染症臨床研究ネットワーク（iCROWN）事業に臨床研究小委員会委員、モニタリング業務等について協力している。
国立がん研究センター東病院	JIHSの感染症臨床研究NW事業に参画している。
千葉大学医学部附属病院	-
国立がん研究センター中央病院	JIHSとは昨年度に臨床試験に関する連携協定を締結し、医師主導治験やDCTのSOPの提供、各種の相談に乗るといった連携を行っている。 https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2024/1225/index.html
東京大学医学部附属病院	・COVID-19流行時の新治療開発において、患者組み入れ促進のために国立大学病院臨床研究推進会議が運営するフィージビリティ調査システムによるアンケートを利用した結果、協力医療機関が増え、15%強の症例登録促進につながった。
慶應義塾大学病院	治験実施医療機関として依頼をした経験あり
順天堂大学医学部附属順天堂医院	感染症臨床研究ネットワーク（iCROWN）事業に研究推進機関として参画している。
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	-
大阪大学医学部附属病院	-
神戸大学医学部附属病院	・国立成育医療研究センターに事務局が設置されている小児治験ネットワークに登録し、当該ネットワークに寄せられる主に小児希少疾病対象の企業治験のFeasibility調査に協力している。
岡山大学病院	NC及びJIHS主幹の分担施設として医師主導治験を実施中。 岡山医療センター・岩国医療センターからはIRBの審査委託を受けてIRB審査を支援している。
広島大学病院	JCOG研究に積極的に参加し連携強化・維持を進めている 感染症臨床研究ネットワーク（iCROWN）事業に参加しており、JIHSが実施している臨床研究や医師主導治験(jRCT2031240586）に協力している。
九州大学病院	病院同士で包括MoUなどを結んだ国内機関はない。プロジェクトベースで循環器病センター、精神神経センター、生育医療センター、JIHS、九州医療センター、九州がんセンター、また都立駒込病院などと連携している。
長崎大学病院	本学は、AMED　臨床研究・治験推進研究事業「感染症緊急事態に対応するためのアジア諸国および本邦アカデミアとの国際AROアライアンスの機能強化、および関連機関との連携システム構築」において、JIHSと連携し、東南アジア・東アジアにおけるAROネットワークの推進に関する取組みを行っている。また、AMED研究支援プログラムである「免疫ダイナミクス解析コホート・AI を駆使して難治性疾患に挑む Physician Scientist 育成と研究力向上計画」において、国立精神・神経医療センターや国立がん研究センターと連携し、共同研究を推進している。

6. 症例集積力強化のための取り組み / 2) 非臨床研究中核病院や関連病院との連携

選択肢	施設数	割合
あり	16	100.0%
なし	0	0.0%

北海道大学病院	北海道大学病院、我汝会えにわ病院、北海道整形外科記念病院において、医師主導治験を実施した（整形外科）。 広島大学（当時非臨床研究中核病院）・浜松医科大学が代表を務める医師主導治験の立上げ・実施に際し、各大学のAROと協働して支援を行った。 奈良県立医科大学における健康成人対象のP1試験実施については、治験実施のみならず、学内での治験薬製造体制の構築を含めた支援を行った。 婦人科の企業治験（24058）において、旭川厚生病院とプレスクリーニングの同意説明を遠隔(eConsent）で実施した。また腫瘍センター企業治験（25021）においても、プレスクリーニングの遠隔同意に向け、関連病院と協議中である。
東北大学病院	東北地域の7大学を中心とした東北6県のネットワーク（東北トランスレーショナルリサーチ拠点形成ネットワーク；略称TTN）では一部の難病患者のレジストリを共同で作成して、患者登録に利用している
国立がん研究センター東病院	全国がんセンター協議会、他の大学病院等との連携契約を複数有している。
千葉大学医学部附属病院	・関東甲信越8大学9病院のネットワークである大学病院臨床試験アライアンスの連携 ・関連病院や千葉県内のクリニックと連携した臨床試験実施体制
国立がん研究センター中央病院	当院が中央支援機構を担うJCOGの臨床試験では多くの非臨床研究中核病院が参加している。2025年10月末現在のJCOG参加施設は185機関で、その多くが非臨床研究中核病医院である。
東京大学医学部附属病院	・医師主導治験等を実施する際に、患者組み入れ促進のために非臨床研究中核病院も含めて最も適切な医療機関を選択している。 ・非中核病院を含む全国立大学病院（42大学44病院）が臨床試験の品質確保のために連携する組織である国立大学病院臨床研究推進会議を事務局として運営するとともに、臨床試験の参加施設を探すために、必要に応じて同会議が運営するフィージビリティ調査システム（臨床試験の症例集積性を高めるための施設選定・患者紹介を行うための調査システム）を利用している。 ・希少疾患治療薬の開発を目指す医師主導治験においては非臨床研究中核病院も含めて構築したレジストリを活用している。
慶應義塾大学病院	・治験実施医療機関として依頼をした経験あり ・首都圏ARコンソーシアム（MARC)は16構成機関と8連携協力機関からなるコンソーシアムであり、臨床研究や治験において非臨床研究中核病院と連携することが可能になっている。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	順天堂大学医学部附属の6病院において、倫理委員会やGCPセンターの連携等を密に行っている。
名古屋大学医学部附属病院	・C-CAMネットワークによるプロジェクト情報共有 ・IIJ電子@連絡帳サービスによるHPVワクチン接種情報の収集 ・治験リポジトリシステムによる治験被験者スクリーニング
京都大学医学部附属病院	関連病院とネットワーク（みやこ治験推進ネットワーク）を構築し、治験情報プラットホームとして、患者さんへの情報提供、患者さんからの問合せ対応および施設間の情報共有を通じた参加者リクルートの促進を図っている。
大阪大学医学部附属病院	関連病院を軸にして、Dr. to Dr.の患者紹介を実施している。
神戸大学医学部附属病院	非臨床研究中核病院が研究代表を務める医師主導治験に分担施設として参加し、当該治験で実施予定のフルDCT実施のためにパートナー医療機関（診察・臨床検査・画像などのプロセスを担当）の立ち上げ準備中である。
岡山大学病院	岡山大学病院を中心とした瀬戸内地域10病院での治験ネットワークを運営している。企業治験について、ネットワークとしてFeasibility調査に協力し、ネットワーク加盟施設での受託に至った治験については、目標症例数達成のコミットメントを方針として連携している。具体的には、疾患別に各加盟施設での代表となる医師からなるワーキンググループを設置し、ワーキンググループメンバーでの治験情報の共有、治験実施施設への患者紹介により、症例集積性向上、目標症例数達成に向けて取り組んでいる。
広島大学病院	広島県を中心とした関連病院と連携しており、レジストリー研究を含めた治験・臨床研究の推進をしている
九州大学病院	疾患領域での繋がりが重要であり、各医局ベースで九州域内を中心に関連病院とのネットワークがあり、症例集積を行なっている。がんゲノム医療中核拠点病院でもあるため連携病院からの紹介も多い。
長崎大学病院	AMED研究開発推進ネットワーク事業「臨床試験の計画、実施及び管理におけるQbD、Proportionalityを考慮したRBA、及びQMSに関する教育と普及の検討」において、名古屋市立大学、筑波大学、神戸医療産業都市推進機構、国立精神・神経医療センター等と連携し、RBA及びQMSに関する教育普及に努めている。

6. 症例集積力強化のための取り組み / 3) 連携におけるDCTの実施体制の整備

選択肢	施設数	割合
あり	8	50.0%
なし	8	50.0%

北海道大学病院	DCT臨床試験の実施に向け、関連機関へ働きかけ、パートナー機関としての連携を整備中である。
東北大学病院	-
国立がん研究センター東病院	臨床研究として実施しているDCTについて非臨床研究中核病院が参加している。
千葉大学医学部附属病院	-
国立がん研究センター中央病院	当院が主導するDCTでは徐々にパートナー施設のネットワークを拡大しており、2025年11月時点でパートナー施設は10機関となった（1施設を除き、すべて非臨床研究中核病院である）。具体的なパートナー施設は以下のとおり。四国がんセンター、島根大学、熊本大学、鹿児島大学、高知大学、愛知県がんセンター、岡山大学、琉球大学、富山大学、新潟大学。
東京大学医学部附属病院	・当院が主施設となる多施設共同医師主導治験をDCT（eConsent、治験薬の配送など）として実施するための準備を分担施設（すべて非臨床研究中核病院）と連携して行っている。 ・「大学病院臨床試験アライアンス」において、DCTを含むDX化推進グループに参加している。
慶應義塾大学病院	MARCを通じて、DCTの要素を含めた臨床研究・治験の実施に向けた相談に乗っており、これまでに2試験で研究計画の立案・研究資金獲得に向けての応募支援を行った。いずれの試験も資金獲得ができず、現在まで実装に至っていない。個別の研究の内容に応じて、必要な要素を洗い出し、整備を行うという形で随時支援を行えるような体制としている。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	-
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	-
大阪大学医学部附属病院	乳腺外科において、活用できるように整備中。企業治験1～2試験で実施予定あり。
神戸大学医学部附属病院	非臨床研究中核病院が研究代表を務める医師主導治験に分担施設として参加し、当該治験で実施予定のフルDCT実施のためにパートナー医療機関（診察・臨床検査・画像などのプロセスを担当）の立ち上げ準備中である。 ※前述(非臨床研究中核病院や関連病院との連携)と同じ
岡山大学病院	遠隔施設間で治験の同意説明・同意取得を行うシステムを使い、当院以外の施設と連携し、当院治験に参加されるか否かを確認し、遠隔地の患者さんへの治験参加機会の提供、同意段階で遠隔地から当院に来院せずとも詳しいお話を聞いていただける環境を作っている。
広島大学病院	-
九州大学病院	-
長崎大学病院	5. DCTでも述べているが、長崎県内に、長崎地域医療連携ネットワークシステム協議会が設置する複数の医療機関で診療情報、検査等を複数医療機関で共有できるネットワーク（通称あじさいネット）を活用し、五島中央病院と連携し、DCTの実施体制整備及びDCTを活用した特定臨床研究を実施している。

6. 症例集積力強化のための取り組み / 4) 臨床試験等についての臨中病院間でのネットワークの構築

選択肢	施設数	割合
あり	10	62.5%
なし	6	37.5%

北海道大学病院	医療技術実用化総合促進事業 安全性確保に立脚した新規医療技術開発推進に関する研究（臨中ネット）において、各拠点とデータを相互に拠出し、リアルワールドデータを使った論文化に寄与した。また、個別の研究として、レジストリーを用いた研究について、統計解析を担当した。
東北大学病院	他の臨床研究中核病院と連携した臨床試験を立案中
国立がん研究センター東病院	ARO協議会などを通じて、各専門家連絡会にて情報交換やガイドライン等の作成を行っている。
千葉大学医学部附属病院	医師主導治験の実施支援や人材育成支援
国立がん研究センター中央病院	当院主導の医師主導治験では参加施設の多くが臨床研究中核病院になることが多い（北海道大学、東北大学、京都大学、九州大学など）。希少がんプラットフォーム試験であるMASTER KEYプロジェクトでも5つの臨床研究中核病院がネットワークに入っている。
東京大学医学部附属病院	・関東甲信越の9国立大学病院による臨床研究ネットワークである「大学病院臨床試験アライアンス」のメンバーとして、同じくメンバーであり臨床研究中核病院である千葉大学医学部附属病院と必要に応じて連携してきた。 ・研究者が各施設の得意分野を検索できる「臨床研究マッチングサイト」を東北大学病院と連携して運営している。
慶應義塾大学病院	–
順天堂大学医学部附属順天堂医院	–
名古屋大学医学部附属病院	リアルワールドエビデンス創出のための取組み（通称：臨中ネット）のとりまとめ機関として、 臨床研究中核病院の病院情報システムの研究への二次利用を推進する基盤づくり、仕組みづくりに 現在も精力的に取り組んでおり、人を対象とした生命科学医学系研究に関する倫理指針に則って実施する 観察研究を多機関共同で実施する枠組みがある。
京都大学医学部附属病院	–
大阪大学医学部附属病院	–
神戸大学医学部附属病院	FIH医師主導第I相治験において、橋渡し研究シーズCで大阪大学と協同した。治験薬製造施設として大阪大学医学部附属病院薬剤部を紹介いただき、委託した。
岡山大学病院	–
広島大学病院	–
九州大学病院	観察研究ではあるが、名古屋大学のデータセンターの業務の1つを支援した。（データのロジカルチェックの簡単なプログラムを作成。）（2024年度）
長崎大学病院	AMED橋渡し研究プログラム（大学発医療系スタートアップ支援プログラム）「総合知を新医療へ、九州・沖縄・西日本を挙げてアジアへ繋がる医療系スタートアップエコシステムの構築」において九州大学と連携し、SU支援を行っている。

6. 症例集積力強化のための取り組み / 5) 製薬企業・医療機器メーカー等の業界団体や患者団体との連携

選択肢	施設数	割合
あり	11	68.8%
なし	5	31.3%

北海道大学病院	外資系製薬企業2社と治験パートナーシップ契約を結び、治験・臨床研究の連携強化を図っている。定例会議を半年ごとに行い、治験手順の効率化やベンチマークコストの導入について、CRC―CRAの連携などの協議を行っている
東北大学病院	–
国立がん研究センター東病院	SCRUM-JAPAN MONSTAR-SCREENにおいては、PPI委員会を設置し、全国がん患者団体連合会の理事長・理事等を4名、日本製薬工業協会から2名を委員とし、2020年から毎月SCRUM関連研究や研究への患者・市民参画について議論・意見交換を実施している。 また、2024年7月には全国がん患者団体連合会天野慎介理事長、東病院吉野孝之を共同代表として、がん患者・市民参画プラットフォームFairy’sを立ち上げ、「コミュニケーションの場」「学びの場」「研究参画の場」を3本柱に、随時セミナーや意見交換会を実施し、研究者と患者・市民、および製薬企業等の共感を深めている。 11月27日現在のプラットフォーム参加者数は440名（がん患者・家族等318名、研究者・医療者68名、製薬企業・CRO等54名）。
千葉大学医学部附属病院	・関東甲信越8大学9病院のネットワークである大学病院臨床試験アライアンスを通して、製薬協とシングルIRBなどについて協議を行っている。
国立がん研究センター中央病院	患者団体の連携という点では、前述のMASTER KEYプロジェクトで全国希少がん患者会ネットワーク（RCJ）と包括連携協定を締結し、プロジェクトの定期的な意見交換、共同でのイベント開催、厚生労働省への意見書の共同提出といった多面的な連携活動を行っている。また、JCOGでのPPI活動やレイサマリー作成についても全国がん患者会ネットワークのメンバーに協力してもらっている。
東京大学医学部附属病院	・患者団体との連携や関連医療機関とのネットワークが症例集積に貢献した例がある。院内に特定の疾患に特化したセンターがいくつかあるので、それらを通じた症例集積が可能である。特に希少疾患の場合は、症例集積にレジストリを活用している。
慶應義塾大学病院	各プロジェクト毎に、該当疾患領域における患者団体とのネットワークを確認し、必要に応じて連携して臨床研究・治験を進めるようにしている。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	診療科において、患者団体との連携を行い、市民公開講座や講演会などで実施中の研究情報の案内を行っている。
名古屋大学医学部附属病院	–
京都大学医学部附属病院	–
大阪大学医学部附属病院	製薬企業とパートナーシップ契約締結済み1件。秘密保持契約1件。契約等はなく、不定期の意見交換を2,3社実施中。
神戸大学医学部附属病院	–
岡山大学病院	–
広島大学病院	・SMO治験紹介事業 ・企業治験：依頼者作成の広告、募集用HP、コールセンターがある場合には協力している ・複数の治験において患者会にも当院で実施している治験情報を提供している
九州大学病院	医療系スタートアップ拠点の協力機関として製薬・医療機器メーカー、VCとのネットワークを強化、新たに構築している。また弊学独自の医療技術共創グラント事業に多くの製薬・医療機器メーカーから参画を得ている。 患者団体との連携はプロジェクトベースである。
長崎大学病院	長崎大学は、塩野義製薬と連携協定を結び、マラリア撲滅を目指して、国立感染症研究所、大阪公立大学、愛媛大学、北里研究所等と連携し、マラリア治療および予防薬、ワクチンのよう同開発を行っている。

7.研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ / 1) 研究従事者や研究支援人材のキャリアパス構築

選択肢	施設数	割合
あり	12	75.0%
なし	4	25.0%

北海道大学病院	本院の研究支援組織である医療・ヘルスサイエンス研究開発機構において、院内公募により各診療科の若手医師・歯科医師を雇用し、当該研究者が1～2年間、臨床研究の仕組み等をOJTで学んだ上で診療科に戻ることによって、研究志向の医師を増やし臨床研究のさらなる推進を図る取り組みを行っている。また、当該取り組みの中で、研究支援者としてのキャリアを志望する者があった場合には、継続してポストを確保するとともに、PMDAへ出向させるなど、研究支援人材の育成と確保についても取り組んでいる。
東北大学病院	・研究支援人材には、厚労省やPMDAへの出向を通して、視座を高めるとともにキャリア形成機会を提供している。 ・ARO協議会が定めるPMやStM認定制度の取得をキャリアアップの要件の一つに含め、認定取得のインセンティブとしている。 ・臨床試験データセンターにおいて、大学院医学系研究科公衆衛生学専攻高度臨床研究支援・管理者育成コースと連携し、臨床研究を高度なレベルにおいて支援する指導的人材を養成している。
国立がん研究センター東病院	研究支援部門と臨床の各部門との間でジョブローテーションを行っている。
千葉大学医学部附属病院	医療資格のない研究支援人材に対するキャリアパス：　常勤である臨床研究専門職員として、千葉大学の医療職俸給表（一）を用いた薬剤師と同様のキャリアパスが設定されている。
国立がん研究センター中央病院	医療職を有しない支援人材のうち、一定の経験と資格を有する者を対象に医療職の俸給表に変更することが可能な制度を構築している。また、臨床研究支援部において各業務のリーダーや室長などの要件を設定し、一定の経験や業績等を積むことで昇進が可能な体制としている。
東京大学医学部附属病院	・病院の人事・給与体系とは切り離して、部署内での組織体系（役職）を設定し、運用している部署がある。
慶應義塾大学病院	・専門人材のキャリアパスについては、部門ごとに以下のような方針を掲げ構築している。 ・全員を教員として採用し、各人の経験と能力に応じてユニット長に指名するとともに、特任助教から講師、准教授への昇格を適正に行っている。有期雇用の課題に真摯に向き合いながら、キャリアアップの一環として企業や他のアカデミアへの転出入も検討し、待遇についても柔軟に対応している。 ・入職時までの経験、知識の習熟度に応じ、各ユニット内でおおまかにジュニア・シニアの区分を設け、区分に応じた導入教育、継続教育を実施してきた。現在、キャリアパスを部門内で統一的に運用する仕組みづくりを整備中 ・AMED生物統計家育成事業の修了生を積極的に雇用し、着任後はOJTにより実務経験を蓄積できる環境を整備している。さらに、大学院健康マネジメント研究科および医学研究科生物統計学教室において博士研究を実施する機会を提供し、日本計量生物学会が認定する「試験統計家」資格の取得、博士学位の取得、ならびに学位取得後のキャリアパスの形成を一貫して支援している。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	臨床研究の円滑な実施を支える専門職として、クリニカルリサーチスペシャリストを設けている。入職後は、当初の配属にとらわれず多様な業務に携わることができ、幅広い知見と実務経験を積むことが可能である。また、医師に限らず、意欲と能力に応じてマネジメント職を目指すことも可能としている。
名古屋大学医学部附属病院	－
京都大学医学部附属病院	支援組織内での人事・評価制度を設定し、有期雇用の延長や無期雇用などの体制を整備している。
大阪大学医学部附属病院	未来医療センターでは、医師・PhDホルダーの研究支援者を中心に、厚生労働省（研究開発政策課、厚生科学科、医薬局等）、地方厚生局、医薬品医療機器総合機構、文部科学省への出向等を経て、大所高所から臨床研究支援をおこなう支援者として、再度、未来医療センターでより高い職位で支援業務に従事している者が複数（2024年12月1日現在、5名）存在する。中央官庁において、アカデミアの臨床研究の実際をしる担当者として本邦の臨床開発支援体制の整備に資すると共に、帰学後は国の規制・支援制度の深い理解をもち、円滑な臨床研究の支援を指揮する人材として従事している。 有期雇用職員の無期化への転換制度あり キャリアチェンジの機会提供あり（CRC⇒CRA、CRC⇒StMの事例あり） 有期雇用職員の無期化への転換制度あり キャリアチェンジの機会提供あり（CRC⇒CRA、CRC⇒StMの事例あり） 技術専門職員の特例化に関する規定を作成（2025年4月）、特任研究員の博士課程進学（博士号取得）の支援。
神戸大学医学部附属病院	有期雇用職員に対して、任期満了時に特に勤務成績が優秀と認められた者に対しては、所定の審査を経て任期のない職員への切替を行っている。職種によっては、任期のない職員となった後も経験年数や勤務成績に応じて昇任の機会を設けている。
岡山大学病院	経験を積んだ研究支援職をシニアリサーチマネージャーとして昇級させるしくみがある 複線型人事として、事務職員からURA、教員からURAへの転換を可能とする制度を有している。
広島大学病院	－
九州大学病院	－
長崎大学病院	－

7.研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ / 2) 研究従事者や研究支援人材へのインセンティブの付与

選択肢	施設数	割合
あり	10	62.5%
なし	6	37.5%

北海道大学病院	研究従事者へのインセンティブ付与として研究支援プログラムを導入している。論文インセンティブ事業では特定臨床研究の実施にともに発表した英語論文が査読のある学術雑誌に掲載された場合に筆頭著者へ報奨金を支給している。
東北大学病院	-
国立がん研究センター東病院	臨床試験関連の資格に対する手当や、より高い俸給表の適応など
千葉大学医学部附属病院	医師主導治験を実施するためのPMDA相談費用、臨床研究法での研究実施のための委員会審査費用等を支援するための経費を用意している。
国立がん研究センター中央病院	臨床試験支援に係る資格を有するものには追加手当を支給することが可能なよう給与規定を改訂している。
東京大学医学部附属病院	・一定の成果を上げた者に対し、学会参加費・旅費の補助・支給を支援している。 ・資格取得支援制度がある。
慶應義塾大学病院	研究従事者に対しては、研究必要経費や論文投稿費用の一部負担を行うほか、毎年の臨床研究活動表彰制度にて表彰を行っている。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	-
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	-
大阪大学医学部附属病院	・前述で示したように、中央官庁への出向後に未来医療開発部で支援業務に従事する場合には、職位をあげるなど処遇に留意している。一方で、ほとんどの職員は任期付きの特任職員としての雇用であり、支援業務に欠欠かせない人材であったとしても、任期なしポストは極めて限られており、支援人材の定着には苦慮している。 ・学会参加の優遇など ・研修、セミナー、学会等への旅費・参加費の支給。条件を満たせば認定取得に係る費用負担。
神戸大学医学部附属病院	医師主導治験や特定臨床研究の立ち上げ、及びそれらの論文化にあたり、それぞれ奨励金額を設けている。インセンティブの内容は随時見直しており、金額の増額や新たな類型の設定など、継続して充実を図っている。
岡山大学病院	治験の同意取得件数が多い責任医師/分担医師の上位3名を毎年集計し、表彰している。また、今後、インセンティブとして研究者だけではなく研究支援者をも評価する仕組みとして、学内での昇級の際に必要な履歴書に支援した治験/臨床試験、研修企画等も記載する枠組みを構築している。
広島大学病院	臨床研究の開始時及び論文化において研究者にインセンティブ(研究費)を付与している。また医師の働き方改革により、研究時間が削らざるを得ない状況であるため、研究者が研究時間が少なくても研究が実施できるように、研究支援人材を病院の財源から確保し研究を推進している。
九州大学病院	-
長崎大学病院	-

7.研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ / 3) 生物統計家育成推進事業による修了生の採用

選択肢	施設数	割合
あり	13	81.3%
なし	3	18.8%

北海道大学病院	本院においては、生物統計家育成推進事業の修了生について、令和2年度1名、令和4年度2名、令和7年度2名、特定専門職員として採用、現在3名が在職中で、1名は大学院において学位を取得し特任助教となっている。
東北大学病院	-
国立がん研究センター東病院	1名(2023年度)
千葉大学医学部附属病院	1名：令和6年度
国立がん研究センター中央病院	東京大学大学院生物統計家育成推進事業による修了生を今までに5名採用している。2020年度：1名(常勤 研究員：在籍中に、日本計量生物学会による実務試験統計家認定及び博士号取得)、2022年度：1名(常勤 研究員：同 認定取得)、2023年度：1名(常勤 研究員：同 認定取得)、2024年度：1名(非常勤 特任研究員)、2025年度：1名(常勤 研究員) また、東京大学大学院生物統計家育成推進事業による修了生で他のNC所属の2名について、JHの「若手生物統計家NC連携育成パイロット事業」により受け入れ計画的な実務研修を行うことで、日本計量生物学会による実務試験統計家認定取得に至った。
東京大学医学部附属病院	2021年度(新卒採用)、2024年度(新卒採用)、2025年度(中途採用)
慶應義塾大学病院	2020年から2025年まで9名採用 主な内訳は下記の通り 2025年度：0名、2024年度：1名、2023年度：2名、2022年度：3名、2021年度：1名、2020年度：2名
順天堂大学医学部附属順天堂医院	2022年：1名
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	令和2年度2名、令和5年度1名、令和7年度1名
大阪大学医学部附属病院	2021年度：1名 2022年度：1名 2023年度：1名 2024年度：1名 2025年度：0名 2026年度：1名(予定)
神戸大学医学部附属病院	3名(2020年度・2022年度、2026年度(予定))
岡山大学病院	採用実績として、以下に示す採用人数・年度のとおり、修了生4名を採用している。 令和2年度(2020年度)1名 令和3年度(2021年度)1名 令和4年度(2022年度)1名 令和6年度(2024年度)1名
広島大学病院	1名：令和3年度
九州大学病院	令和2年度、令和6年度に各1名
長崎大学病院	-

8.研修 / 1) 厚生労働省事業で行っているものを除く、臨中病院以外の医療機関の臨床研究従事者や研究支援人材等への研修 ①

選択肢	施設数	割合
あり	16	100.0%
なし	0	0.0%

北海道大学病院	臨床研究プロジェクトマネジメント研修会開催（臨床研究・医師主導治験への関心を高め、それを確実に実施するための効率的な方法を学ぶことで、質の高い臨床研究・医師主導治験が実施・支援できる人材を育成する）
東北大学病院	臨床研究講習会：主な対象として臨床研究従事者を想定した座学形式のオンライン講習会で、所属や職種に関わらず受講可能。臨床研究・治験に必要な基礎的知識や最新知識の習得を目的とし、毎回異なるテーマで1時間の講義を年8回実施。 臨床研究教育セミナー：臨床研究講習会と同様、所属や職種に関わらず幅広く受講可能。主に臨床研究・治験に関係する規制や施策を中心とした知識のアップデート、最新動向の理解を目的に、2025年度は1時間の講義を4回、いずれもハイブリッド形式で実施。 プロトコール作成セミナー：主に臨床研究を実施する医師・歯科医師等を対象として、臨床研究・治験の計画・立案に必要な基礎スキルを習得を目的に講義とプロトコールコンセプト作成実習を毎年実施。 モニタリング講習会：主に院内外のモニタリング従事者、従事予定者を対象として、モニタリングの基本知識の習得・業務の理解を目的として毎年実施。厚生労働省事業のモニター研修の初級レベルに相当する講義と模擬モニタリング演習をよりコンパクトに実施。 臨床研究監査講習会：経験の浅い監査担当者や監査の基本を学びたい者等を幅広く対象として、臨床研究の監査の基本知識の習得・業務の理解を目的として、監査の基礎講義とミニ演習をオンライン形式で実施。 みちのくCRC研修会：CRCに必要な最新知識、基本知識の習得、情報共有と課題解決を目的に、講義、パネルディスカッション、グループワークなどを毎年実施。
国立がん研究センター東病院	・令和2年度 特定臨床研究を行う者に対する研修会：9回（内、当院主催6回）、研修参加人数　内部412人・外部105人（重複除く） 特定臨床研究に携わる者に対する研修会：12回（内、当院主催6回）、研修参加人数　内部465人・外部102人（重複除く） ・令和3年度 特定臨床研究を行う者に対する研修会：20回（内、当院主催16回）、研修参加人数　内部417人・外部4,904人（重複除く） 特定臨床研究に携わる者に対する研修会：13回（内、当院主催7回）、研修参加人数　内部221人・外部370人（重複除く） ・令和4年度 特定臨床研究を行う者に対する研修会：14回（内、当院主催10回）、研修参加人数　内部282人・外部458人（重複除く） 特定臨床研究に携わる者に対する研修会：12回（内、当院主催6回）、研修参加人数　内部132人・外部302人（重複除く） ・令和5年度 特定臨床研究を行う者に対する研修会：12回（内、当院主催8回）、研修参加人数　内部304人・外部272人（重複除く） 特定臨床研究に携わる者に対する研修会：12回（内、当院主催6回）、研修参加人数　内部126人・外部235人（重複除く） ・令和6年度 特定臨床研究を行う者に対する研修会：9回（内、当院主催6回）、研修参加人数　内部207人・外部163人（重複除く） 特定臨床研究に携わる者に対する研修会：12回（内、当院主催6回）、研修参加人数　内部137人・外部234人（重複除く）
千葉大学医学部附属病院	各界のエキスパートの講師による臨床研究の最先端の情報に関するセミナー、生物統計やデータマネジメントに関するセミナーを開催。
国立がん研究センター 中央病院	臨床研究セミナー基礎編 臨床研究セミナートピックス編 生物統計セミナー

8.研修 / 1) 厚生労働省事業で行っているものを除く、臨中病院以外の医療機関の臨床研究従事者や研究支援人材等への研修 ②

東京大学医学部附属病院	・国公私立大学病院医療技術関係職員研修（臨床研究コーディネーター養成）（2010年度～2025年度） 主催：東京大学医学部附属病院　後援：文部科学省 ※2026年度以降も継続して実施予定 ※2021.2022年度未実施　毎年6月に1週間（月～金）実施　参加は全国の施設より70～90名 ※2020年度まで対面実施、2023年度オンライン実施、2024年度よりオンライン（月～木：3.5日）・対面（金午後0.5日）で実施 【研修目的】研修を通じて、国公私立大学病院の職員として必要な知識を習得し、資質の向上を図るとともに、教育研究･診療の社会的使命を担う自覚と向上心を培い、職種を超えた全病院的な研修テーマの討議により、チーム医療･組織課題について意識向上を図る。 【対象者】国公私立大学（大学校を含む）附属病院の職員である臨床研究（治験）コーディネーターであり、かつその経験が3年未満、全日程をWEB 受講できる者を対象とする。 【研修の具体的な内容】 初心者向けの臨床研究（治験）コーディネーター養成のための知るべき規制やCRC業務の解説および演習実習で最新の知見を踏まえ、期待されるスキル、今後のCRC業務について基礎的な知識を習得する 研修修了者には、上記修了証書をもって「日本臨床薬理学会」の認定CRCの申請に必要なポイント20点が付与される ・臨床研究者養成講習会（2016年度～2025年度） ※2026年度以降も継続して実施予定 【研修目的】 臨床研究を行うにあたってどのように始めればよいか、研究計画書（プロトコール）作成に係る留意点を学ぶ。 【対象者】 CREDITS利用の臨床研究に携わる研究者（医師・歯科医師）、各科研究支援部員、主に研究者でプロトコール作成に今後携わる者、携わる可能性のあるもの 【内容】 第1回：臨床試験の開始 第2回：生物統計 第3回：モニタリング・データー管理 第4回：出口戦略 第5回：研究終了後の活動（論文執筆・投稿等） 第6回：医師主導治験の体験 ・臨床研究保険セミナー（2023年度～2024年度、2025年度開催予定有） 【研修目的】 薬機法に基づく「医師主導治験」および臨床研究法に基づく臨床研究、再生医療等安全性確保法に基づく再生医療等研究、人を対象とする倫理指針に基づき臨床を伴う医学系研究を対象として、「治験・臨床を伴う医学研究に関する補償と保険の基礎知識を学ぶ 【対象者】 CREDITS利用の臨床研究法下の臨床研究に興味のある研究者（医師・歯科医師）他、支援に関わる職種の方の参加可 【研修内容】 医学系研究における補償と保険の関係について、法令・指針の規定・補償の枠組・保険の構成・内容等について補償・保険の基礎用語等の説明 講師：株式会社カイト―医学研究経営部 ・臨床研究推進レクチャーシリーズ（2015年度～2024年度、2025年度開催予定有） 【研修目的】 臨床研究に携わる業務にかかる臨床試験全般について特に知っておくべきトピックスについての講演を聴講し、適切な判断の基となる情報収集を行う。 【対象者】 CREDITS利用の医師・薬剤師・看護師職員ほか臨床研究に携わる者、臨床研究を始めようと考えている者 【研修の具体的な内容】 2021年度 「プログラム医療機器に対する承認審査の考え方」 「医療機関で行う臨床試験のプロセス管理と、医療機関と治験依頼者の果たす役割」 「医療機関への来院に依存しない臨床試験手法（Decentralized Clinical Trial）」 2022年度「医療機関への来院に依存しない臨床試験手法（Decentralized Clinical Trial）の導入及び活用に向けて」 「製薬企業から見た個人情報保護法の改正に伴う生命・医学系指針の改正における期待と課題」 2023年度 「ICH E19ガイドライン（Selective Safety Data Collection）の理解と臨床試験への導入に向けて」 2024年度「ICH M11ガイドラインの概要と製薬企業での期待および取り組み状況」 ・臨床研究法レクチャー（2022年度、2024年度） 【研修目的】臨床研究法下での臨床研究に興味のある研究者を対象に、臨床研究法で定められている手順や書類等の手続き全般について、研究開始から研究終了までの流れとその過程における各手順や書類の作成上での注意点を解説する。研究開始前までの手続きと、研究開始後から終了までの手続きに分けて開催。学習管理システムCREDITS内「ビデオライブラリ―」に録画データを掲載し、オンデマンド視聴で繰り返し学習、確認できるように設定 【対象者】CREDITS利用の臨床研究法下の臨床研究に興味のある研究者（医師・歯科医師）他、支援に関わる職種の方の参加可 【内容】臨床研究法で定められている手続き全般についてのレクチャー 用語の確認、研究資料、申請資料作成、CRB申請、管理者許可、実施計画の届出 変更申請、疾病等報告、不適合報告、定期報告、中止、終了 ・東大病院　臨床研究ミニレクチャー（2024年度） 【研修目的】臨床研究に携わる研究者・担当者を対象に、今年度のミニレクチャーシリーズは、昨年度の『初めての臨床研究ミニレクチャー』の実践版として、よくある失敗例とその時に必要な対応、またその失敗を繰り返さないための予防策について解説する。 学習管理システムCREDITS内「ビデオライブラリ―」に録画データを掲載し、オンデマンド視聴で繰り返し学習、確認できるように設定し、より正確で質の高い研究実施を実施、支援ができる人材を育成する。 【対象者】関東甲信越アライアンス加盟校CREDITS登録者：臨床研究に携わる研究者、臨床研究に従事する者（モニタリング担当者、研究実施者（責任医師、分担医師） 【研修の具体的な内容】 ①研究の計画段階でよくある失敗と対策 ②同意取得・症例登録時によくある失敗と対策 ③症例報告書・原資料作成時によくある失敗と対策 ④研究実施中によくある失敗と対策① ⑤研究実施中によくある失敗と対策② ⑥研究に関する手続きでよくある失敗と対策 ・東大病院　はじめての臨床研究ミニレクチャー(2023年度) 【研修目的】臨床研究に携わる研究者・担当者を対象に、R4年度に実施したモニタリングミニレクチャー内容（症例モニタリング・手続きモニタリングの実施方法・注意点）の他、データ管理・事務手続きも含めた”研究の品質管理”について具体例を挙げて解説する。 学習管理システムCREDITS内「ビデオライブラリ―」に録画データを掲載し、オンデマンド視聴で繰り返し学習、確認できるように設定し、より正確で質の高い研究実施を実施、支援ができる人材を育成する。 【対象者】関東甲信越アライアンス加盟校CREDITS登録者：臨床研究に携わる研究者、臨床研究に従事する者（モニタリング担当者、研究実施者（責任医師、分担医師） 臨床研究で使われる用語について（用語説明） 研究の立ち上げ（初回CRBからjRCT公表） 研究開始前の準備（モニタリング計画書、症例報告書、各種資料準備） 症例登録開始~研究実施中（症例モニタリングの内容、データ収集）Part1 症例登録開始~研究実施中（症例モニタリングの内容、データ収集）Part2 研究終了に向けて（データ固定、解析、総括報告書、終了報告） ・東大病院　モニタリングミニレクチャー（2022年度） 【研修目的】臨床研究のモニタリング担当者や研究者を対象に、モニタリングの考え方や方法、注意点について、また、モニタリングで確認する内容は研究者が予め注意しておかなければいけない内容でもあるため、モニタリング担当者と研究者それぞれの支援から、具体例を挙げて解説する。CREDITS内ビデオライブラリ―に録画データを掲載 【対象者】関東甲信越アライアンス加盟校CREDITS登録者：臨床研究に携わる研究者、臨床研究に従事する者、倫理委員会委員等 【研修の具体的な内容】 ①モニタリングとは　モニター（モニタリング担当者）の業務・責務 ②モニタリング計画の作成（症例・手続き） ③症例モニタリング：同意（同意文書・説明文書） ④症例モニタリング：同意・登録の手順 ⑤症例モニタリング：適格性の確認 ⑥症例モニタリング：症例報告書および原資料の記録の残し方について ⑦症例モニタリング：逸脱（不適合）について ⑧症例モニタリング：有害事象（疾病等）について ⑨症例モニタリング：重篤な有害事象（疾病等）について ⑩症例モニタリング：中止時の確認 ⑪症例モニタリング：併用薬・併用療法等について ⑫手続きモニタリング：試験開始から終了までの手続き、文書の保存について ・東大臨床研究入門　データ管理　はじめの一歩（2020年度～2021年度） 【研修目的】 実際に臨床研究を始めた時に起こる問題やリスクを回避し、適正かつ効率よい研究実施が可能となるよう、ミニレクチャーの形式で必須事項、回避すべき事項について理解する。録画ビデオコンテンツを“CREDITS”ビデオライブラリ―に掲載、CREDITS利用者全員に公開する。 【対象者】 CREDITS利用の臨床研究に携わる研究者、臨床研究に従事する者、倫理委員会委員等 【研修の具体的な内容】 ①最初に知っておいてほしいこと、やってはいけないことなどをデータ-マネージャーの視点から説明し、実際に研究を開始した際に連携して効率の良い実施が可能となるよう具体例を示して必要な知識を習得する。 ②研究開始までのスケジュール　～余裕をもって進もう～開始までに行うべきこと、相談できることの確認、いつまでに行うか等、適正な研究開始を行うために必要なポイントを学ぶ。 ③主要評価項目の決定　～結論の示しかた～主要項目の決定について、事例説明により理解する。 ④データマネジメント手順書の内容について～手順書の内容について、抑えるべき点を学ぶ。 ⑤症例報告書作成のポイント～症例報告書作成について、注意すべきことを学ぶ。 ⑥作成・保管すべき資料～研究前・中・後に作成・保管する資料について学ぶ。

8.研修 / 1) 厚生労働省事業で行っているものを除く、臨中病院以外の医療機関の臨床研究従事者や研究支援人材等への研修 ③

慶應義塾大学病院	・「臨床研究推進啓発セミナー」と称し、院内向けに以下のような内容で行っている。 ＜開催時期＞ 年6回程度 ＊令和2年度6回、令和3年度6回、令和4年度6回、令和5年度6回、令和6年度7回、令和7年度6回（予定） ＜開催時間＞ 18:00-19:00 ＜開催携帯＞ Web開催 ＜対象者＞ これから研究を始める若手研究者・研究支援者や大学院生、医師・歯科医師、看護師・薬剤師等のメディカルスタッフ、事務職員などの病院職員、学生（学外の方も参加可）※初学者向け ＜概要＞ 「被験者の人権保護を第一優先とした臨床研究を通して、先進的医療を開発し、質の高い安全な医療を提供する」という慶應義塾大学病院の理念を病院職員が体現するための取り組みの一環として開講するセミナー ＜ねらい＞ ・メディカルスタッフ・事務職員や医師などを含む病院職員において、臨床研究の意義やその必要性を理解し、自らは臨床研究を行うもしくは支えるスタッフであるという共通認識を醸成し、臨床研究へのモチベーションを高める ・人格の尊重（被験者保護）、善行、公正など適正な治験・臨床研究実施に重要な基本的事項を理解する ・臨床研究に携わる者に必要な8つのコンピテンシーを学ぶ ＊コンピテンシー 1.研究立案における科学的コンセプトとデザイン 2.研究倫理と被験者の安全性確保 3.医薬品開発と関連規制 4.臨床研究法・ヒト倫理指針・GCP・先進医療・患者申出療養に基づく実施 5.研究管理とサイト管理 6.データ管理と情報処理 7.リーダーシップと専門性 8.チームワークとコミュニケーション ＜参考＞ 講習会・Workshop開催レポート https://www.ctr.hosp.keio.ac.jp/news/seminar/index.html ・MARC WG3において、臨床研究合同研修会、トピック講演会などを通じて、臨床研究従事者・臨床研究支援人材に向けた研修を定期的に行なっている。具体的に、2024年度はQMSに関する研修会を実
順天堂大学医学部附属 順天堂医院	他の順天堂大学医学部の附属病院から臨床研究従事者を受け入れ、各種業務の研修等を行っている。
名古屋大学医学部附属病院	名古屋大学には医学部附属病院に先端医療開発部（ARO）が設置されているのに加え、医学系研究科に臨床研究教育学が開設され、病院所属の研究者に対しても、主に倫理指針下研究に関する研究支援や研究教育を実施している。 ・臨床研究教育セミナー（年16回、内容は研究者の要望により毎年変更あり） ・臨床研究支援者のOJT研修（半年以上、臨床研究教育学に所属し、臨床研究教育を実践的に学ぶ）
京都大学医学部附属病院	臨床研究推進セミナーとして開催した研修について、令和6年度のテーマは「クリニカルサイエンス―原理と実践―」、「治験候補患者ご紹介のお願いに関する工夫」、「ゴールを見据えた臨床研究の枠組み」、「研究者のための知的財産入門講座」、「臨床研究計画の策定とデータ収集戦略」、「重大な不適合について」、「ストーリーで考えるリサーチ・クエスチョンの作り方」、「単変量と多変量の解析、どう使うの？」、「臨床研究におけるデータマネジメント」、「先進医療・患者申出療養等について」、「PMDAレギュラトリーサイエンス（RS）相談の活用法」、「DCTの課題と未来を考える」等である。 また、臨床研究人材育成プログラムとして、臨床研究デザイン基礎、研究デザイン応用、解析デザインに関する遠隔ワークショップを令和6年度はそれぞれ、12回、12回、7回実施した。
大阪大学医学部附属病院	医師研修： 研究者にニーズの大きい統計をテーマとしたe-learningとグループワークによる演習を開催。 アカデミア臨床開発セミナー： アカデミア発の医療技術の創出を目指し、開発に必要な基礎知識と実用に応じた知識の取得・理解を深めるための研修を開催。
神戸大学医学部附属病院	研究倫理や各種規制要件などの基礎知識、最新動向のアップデートから、研究計画・実施・解析の実践的理論まで、臨床研究・開発に必要な知識・技能の向上を目指した臨床研究推進セミナーを、年間通じ体系的・計画的に構成したプログラムで年間約30回開催し、全て無料のWEB方式により、学内外を問わず研究者・支援者を対象として全国から広く参加してもらっている。
岡山大学病院	中国地区臨床研究・治験活性化連絡協議会（毎年1月頃に中国地区の5大学病院で共催開催）
広島大学病院	教育研修を、研究者向け、研究支援者向け、審査委員会委員・技術審査員・事務局向けに実施している。 また、AROのホームページにおいて、上記の教育研究に関して年間の実施計画を公開し、他施設の医療機関の職員も受講できるようにしている。
九州大学病院	・臨床研究認定講習のE-learning提供 ・臨床研究認定更新講習の位置づけとしている各セミナーについては基本的に外部にも公開している
長崎大学病院	・ながさき治験医療ネットワーク研修会 （長崎県医師会主催、当院は委員として企画運営）

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進 / 1) 治験・臨床試験の実施に関する情報公開

北海道大学病院	医療・ヘルスサイエンス研究開発機構のWEBページ（https://helios.huhp.hokudai.ac.jp/）にて各種情報を公開している。
東北大学病院	実施部門HPに、実施中治験の診療科・対象疾患を掲示。
国立がん研究センター東病院	治験の実施に関しては、国立がん研究センター東病院内のホームページに情報公開している。 https://www.ncc.go.jp/jp/ncce/division/clinical_trial/ctas/patient/list/index.html 臨床試験の実施に関しては、各種倫理指針が適用となる、研究一覧及び包括的同意利用研究一覧を、国立がん研究センターのホームページに掲載している。
千葉大学医学部附属病院	ホームページへの公開を行っている。
国立がん研究センター中央病院	病院HPで情報公開 https://www.ncc.go.jp/jp/ncch/division/clinical_trial/info/clinical_trial/index.html
東京大学医学部附属病院	東大病院臨床研究推進センターのウェブサイト（https://www.ut-crescent.jp）にて、一般の方を対象としたページを設置している。その中で、実施中の治験・臨床試験の情報と当院で終了した治験の情報を閲覧できるようにしている。 実施中の治験・臨床試験については、実施中の一覧ページにて各試験のjRCTのページにリンクを張ることでより詳細情報が入手可能となるように誘導している。 病院ウェブサイト（https://www.h.u-tokyo.ac.jp/participants/research/rinshoukenkyu/）において、東大病院における臨床研究成果に関するプレスリリースを一覧化している。
慶應義塾大学病院	実施中の治験の一覧、がんの治験情報をホームページ上で公開している。 公開している情報と同様の資料を患者総合相談窓口前の配布資料として設置している。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	順天堂大学治験情報検索システム（ https://www.gcprec.juntendo.ac.jp/chiken/ ）、順天堂大学臨床研究情報検索システム（https://www.gcprec.juntendo.ac.jp/kenkyu/ ）にて情報を公開している。両システムは、順天堂医院ホームページの当センターおよび各診療科トップページにもリンクをしている。各診療科トップページとのリンクに際してはレイアウトを共通させ、異なる診療科トップページの治験・臨床研究情報を閲覧する際も、同じ場所から閲覧可能である。さらに、診療科トップページからの閲覧は、該当する診療科に絞り込んだ状態で表示されるようURLを設定しており、1クリックで当該診療科の結果が表示される（ 例：順天堂医院 総合診療科https://hosp.juntendo.ac.jp/clinic/department/sougou/ ）。両システムともに各課題毎の個別URLを作成、かつ、テキスト形式で掲載しており、ウェブブラウザから容易に検索されることを目指している。テキスト形式での掲載は、ウェブブラウザの翻訳機能使用時や視覚障害や神経難病等により読み上げソフトを使用中の者への適切な情報提供も実現する。また、治験は「募集中」、臨床研究はオプトアウト有の課題についてフォーム経由で24時間365日、受付中である。その返信は閲覧者の希望に応じて電話、FAX、E-mailから選択でき、閲覧者のニーズに沿った対応を行っている。情報掲載および問い合わせ方法等は、障害者差別解消法に準ずる。そして、両システムは、各附属病院の担当部署と連携し、当大学附属病院の治験・臨床研究情報も掲載している。複数の附属病院で実施中の同一課題について閲覧者の希望や特定の病院で症例満了の際等は、各附属病院の担当部署間で情報共有を行い、対象であることが明らかな場合は、各医療機関の担当医師から紹介いただく形としている。両システムは合計、月間10回以上更新を行っている。
名古屋大学医学部附属病院	ホームページ（https://www2.nu-camcr.org/patient_public/past_achievements/）にて公開（年度初めに更新）。
京都大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院で実施している治験・臨床試験について、専用のサイト「京都大学臨床試験ネットワーク ―治験と臨床研究の情報サイト―」（https://www.searchmytrial.com/smt-sites/iact/）を立ち上げて、毎月更新することで、最新の情報をわかりやすい形で提供するように努めている。また、同サイトから、個別の治験・臨床試験に関する申し込み、問い合わせも可能なフォームや、治験・臨床試験に関する全般的な問い合わせフォームを用意することで、国民・患者のアクセスの向上を図っている。
大阪大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院HPにおいて、情報公開を行っている。
神戸大学医学部附属病院	臨床研究推進センターHP（https://www.hosp.kobe-u.ac.jp/ctrc/patient/index.html）において、一般の方を対象とした治験に関する情報を掲載している。 また、神戸大学医学部附属病院のHP（https://www.hosp.kobe-u.ac.jp/soudan/research.html）において、神戸大学医学部附属病院で実施中の特定臨床研究の情報を掲載している。 ほか、jRCT公開情報、参加者募集に関する院内掲示ポスターなど。
岡山大学病院	岡山大学病院治験推進部HPに公開 https://dcr.hospital.okayama-u.ac.jp/patient/ 臨床試験（臨床研究法）：岡山大学病院HPに公開 https://www.okayama-u.ac.jp/user/hospital/index16.html
広島大学病院	広島大学病院及び広島臨床研究開発支援センターのホームページにて実施中の治験および臨床研究法に基づく臨床研究を公表している。
九州大学病院	九州大学病院 臨床研究に関する実施方針は、九州大学ARO次世代医療センターのウェブサイト(https://www.aro.med.kyushu-u.ac.jp/guide/guide_policy/https://www.med.kyushu-u.ac.jp/crc/research/link.html)において公開している。 現在実施中の治験・臨床試験については、進捗状況、研究概要をARO次世代医療センターのウェブサイト(https://www.aro.med.kyushu-u.ac.jp/public/public_clinical_trial/ https://www.aro.med.kyushu-u.ac.jp/public/public_clinical_research/) および、各診療科のウェブサイトにおいて公開している。
長崎大学病院	治験・臨床試験の実施に関する情報公開については、jRCTでの公開だけでなく、試験によっては、リクルート促進のためのホームページ開設や関連サイトへのリンク作成、会員サイト等での臨床試験情報の公開を行っている。

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進 / 2) 治験・臨床試験に関する一般的な相談窓口の状況

北海道大学病院	患者さんやその家族からの相談を受けられる相談窓口を設置しており、年間100件程度のメールや電話相談を受けている。必要に応じて治験コーディネータによる治験・臨床試験検索の伴奏支援、該当治験担当医等と仲介を行い、臨床試験組入につなげている。
東北大学病院	2024年度：53件 2023年度：69件
国立がん研究センター東病院	【一般の臨床研究・臨床試験に関しての相談窓口】 臨床試験を含む全般的な相談窓口をサポーティブケアセンター/がん相談支援センターで電話あるいは院内での直接の相談窓口を設けている。詳細はホームページに記載するとともに、初診全患者・外来受付・病棟ナースステーションにおいて配布している相談のご案内（リーフレット）に明示しているほか、相談窓口以外においても、電話、e-mail等幅広く受け付けている。（臨床研究に関する相談　2024年度　357件対応）
千葉大学医学部附属病院	相談窓口を通した一般的な相談は、令和2年度以降2件である。 その他、臨床試験部に直接問い合わせがある。
国立がん研究センター中央病院	電話及びメールで対応 https://www.ncc.go.jp/jp/ncch/division/clinical_trial/patient/contact/index.html 2025年度 相談件数：515件（10月時点）
東京大学医学部附属病院	相談には対面・電話・問い合わせフォームによる方法を用意し、全国からのさまざまな相談に対応できる体制を取っており、年間100件を超える相談に対応している。 臨床試験に特化した相談対応が出来る人員（CRC）を配置し、特に心理面など配慮が必要な相談者に対しては、臨床試験を理解した公認心理士が関与し、相談者に寄り添った対応を心掛けている。また、信頼度の高い検索サイトの情報提供や検索の仕方なども案内している。 がん相談や総合相談と連携・情報共有することで、臨床試験以外の相談が含まれている案件については、他の専門窓口に繋ぐ事を行っている。
慶應義塾大学病院	2023年 185件 2024年 166件 2025年（4月～10月） 201件
順天堂大学医学部附属順天堂医院	治験・臨床試験に関する一般的な相談は、院内の「臨床試験患者相談窓口」で対応している。 相談方法は、直接来院・窓口専用電話・窓口FAX・当院ホームページ内の窓口のメールフォーム・順天堂大学治験・臨床研究情報検索システム（9-1の記載参照）に設置されたフォーム、のいずれかである。 過去3年間の相談件数は以下のとおりである。（専用FAXでの相談はいずれの年度も0件である。） ・2022年度：総数105件（来院3件、電話35件、検索ｼｽﾃﾑ62件、ﾒｰﾙﾌｫｰﾑ5件）←COVID-19に関する治験等のｺｰﾙｾﾝﾀｰの対応31件を除く ・2023年度：総数152件（来院10件、電話43件、検索ｼｽﾃﾑ68件、ﾒｰﾙﾌｫｰﾑ31件） ・2024年度：総数198件（来院9件、電話69件、検索ｼｽﾃﾑ98件、ﾒｰﾙﾌｫｰﾑ22件） ・2025年度（4/1～10/31）：総数160件（来院5件、電話44件、検索ｼｽﾃﾑ97件、ﾒｰﾙﾌｫｰﾑ14件）
名古屋大学医学部附属病院	令和4年　電話・メールによる相談　54件、直接面談　4件　（患者申出療養窓口　3件） 令和5年　電話・メールによる相談　48件、直接面談　3件　（患者申出療養窓口　4件） 令和6年　電話・メールによる相談　51件、直接面談　5件　（患者申出療養窓口　2件）
京都大学医学部附属病院	臨床研究相談窓口を設置しており、治験・臨床試験に関する相談対応をしている。患者相談の件数としては、令和4年度：176件、令和5年度：142件、令和6年度：330件と推移している。令和6年度の相談内容としては、現在、京大病院で参加中の臨床研究についての相談：3件、京大病院で実施中の臨床研究への参加可否等についての相談：70件、治験や臨床研究等の調査希望：224件、その他：33件となっている。
大阪大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院統合診療棟1階に 治験相談室・臨床研究相談室を設置し、未来医療開発部が対応にあたっている。 また、メール・電話による相談も受け付けており、本院HP上に案内を掲載している。 令和4年度　117件　令和5年度　102件　令和6年度　202件
神戸大学医学部附属病院	2023年度：19件 2024年度：16件 2025年度：（11月まで）：22件
岡山大学病院	2023年度　26件 2024年度　15件 2025年度　20件（※11月30日時点）
広島大学病院	令和2年度：0件 令和3年度：3件 令和4年度：14件 令和5年度：5件 令和6年度：22件
九州大学病院	外来棟1階、患者がアクセスしやすい場所に患者相談窓口を設置し、開設時間内は看護師が常駐している。令和4年度の相談件数は300件であった。うち、がんゲノム医療に関する相談は153件、患者申出療養に関する相談は40件であった。令和5年度の相談件数は250件であった。うち、がんゲノム医療に関する相談は100件、患者申出療養に関する相談は13件であった。令和6年度の相談件数は165件であった。うち、がんゲノム医療に関する相談は82件、患者申出療養に関する相談は14件であった。相談は電話によるものがほとんどである。患者や家族からの相談だけでなく、医療機関からの相談もあり、内容に応じてCRCやがんゲノム外来、事務部が対応している。
長崎大学病院	令和2年度：161件 令和3年度：119件 令和4年度：134件 令和5年度：142件 令和6年度：149件

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進
3) 病院内外を対象にした教育セミナーや講習会の実施（各年度の開催件数等） / 患者向け

北海道大学病院	広報委員会および専任部署を中心に、ホームページ（https://helios.huhp.hokudai.ac.jp/news/）やSNS、動画等を活用し、治験・臨床研究に関する情報発信を積極的に行っている。令和6年度には「患者市民参画」をテーマとした市民公開講座を開催し、254名の参加を得た。 また、大学祭や大学主催による札幌市地下歩行空間での資料展示および講話を通じて、治験・臨床研究、臨床研究中核病院制度、ならびに患者市民参画に関する情報発信および対話の機会創出に取り組んでいる。さらに、道内の中学生・高校生を主な対象とした職業紹介誌を通じて研究開発支援職を紹介するとともに、近隣の中学校・高等学校での講話実施や学生の見学受け入れを行うなど、社会共創に資する活動を展開している。 情報発信においては、大規模言語モデル（LLM）を活用した「レイサマリー（Lay Summary）」の概念を取り入れ、平易でわかりやすい情報提供にも着手している。
東北大学病院	なし （一般の立場委員（一般の者）セミナーを厚生労働省事業の委員研修とりまとめ機関の取組みとして毎年開催している程度）
国立がん研究センター東病院	2020年：患者・市民参画勉強会・意見交換会 1回 2021年：患者・市民参画勉強会・意見交換会 2回 2022年：患者・市民参画勉強会・意見交換会 1回 2023年：患者・市民参画勉強会・意見交換会 1回 2024年：わからないことを「わからない！」といえるがん研究セミナー 4回 2025年：わからないことを「わからない！」といえるがん研究セミナー 7回、わからないことを「わからない！」といえる基礎研究セミナー 1回
千葉大学医学部附属病院	令和7年度は、PPIに関する市民公開講座を開催した。 また、患者ではないが、毎年、地域の中学校へ臨床試験に関する出張授業や病院見学を実施している。
国立がん研究センター中央病院	患者サポートセンターにて患者教室「治験・臨床研究教室」（2020年～月に1回） 希少がんセミナーMeet the expert（2017年～月1～2回　2021年よりオンライン開催）
東京大学医学部附属病院	なし
慶應義塾大学病院	AMED事業の一環として、再生市民講座として令和5年10月14日(土)開催　市民公開シンポジウム「再生医療の今、そして未来」を開催した。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	公開講座、講演会、相談会を開催している。 （当院ホームページ内の「EVENTS」（https://hosp.juntendo.ac.jp/times/events.html）にて公開） ・2022年度：16件 ・2023年度：21件 ・2024年度：21件 ・2025年度：24件（11/20公開分まで）
名古屋大学医学部附属病院	令和5年12月3日　名古屋造形大学「薬をつくるための新しい仕組み」「JCOG乳がんグループでの患者市民参画のあゆみ」 令和元年までは毎年市民公開講座を開催していたが、令和2年以降はCOVID-19流行のため、集合を伴うセミナー・講習会の開催を見送った。 R5年度 ▼先端医療開発部出前セミナー ・2023年7月11日「名大病院先端医療開発部のPPI活動」in 名古屋造形大学 ・2023年7月13日「名大病院先端医療開発部のPPI活動」 in 名古屋音楽大学 ▼先端医療開発部 市民公開セミナー ・2023年12月3日「みなさんと一緒に”くすり”をつくりたい」in 名古屋造形大学 R7年度 ▼先端医療開発部 市民公開セミナー ・2025年10月12日 「新しい医薬品を世の中に出すために」in 中日健康フェア ・2025年10月12日 「治験ってなんだろう？PPIってなんだろう？」in 中日健康フェア ・2025年10月12日 「スタートアップとの協働から生まれる新しい医療・介護」in 中日健康フェア
京都大学医学部附属病院	令和4年度（令和5年2月5日）、令和5年度（令和6年2月18日）、令和6年度（令和7年1月19日）、令和7年度（令和8年2月23日予定）と治験・臨床試験について実例を通した市民公開講座を開催している。令和4年度は239名、令和5年度は154名、令和6年度は359名が参加された。また、市民公開講座の方な一方通行ではなく、双方向で意見交換を行う場として令和6年度は院内会議室にて、我々が作成した治験すごろくを用いた患者向けワークショップを行い、治験エバンジェリストを3名認定した。また令和7年度（令和7年10月1日2日）は京都イオンで開催された超Eco祭りに出展し、対面で73名の方に対して治験・臨床試験について説明し、重要性を理解いただいた。また、治験すごろくを体験していただき、新たに治験エバンジェリストを18名認定した。
大阪大学医学部附属病院	市民フォーラム開催（各年度1回）
神戸大学医学部附属病院	なし
岡山大学病院	・毎年1回2月に一般市民の方向けに市民公開講座を実施 ・2022年度から病院外来に治験啓発活動としてオリジナルポスターを作成し掲示している
広島大学病院	令和7年度1件 患者及び研究者等を交えたPPIワークショップを実施した
九州大学病院	市民公開講座を年に1度実施している。
長崎大学病院	なし

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進
3) 病院内外を対象にした教育セミナーや講習会の実施（各年度の開催件数等） / 医師向け

北海道大学病院	北海道大学病院では、臨床研究を実施する研究者等に臨床研究に関する研修の受講を義務付けている。 研修は「初回研修」と「継続研修」に分けられる。初回研修は、臨床研究に関する規制と当院における倫理審査手続き等について解説した動画を視聴する。動画視聴後に理解度確認テストを行い、全問正答をもって合格とする。合格した場合は、受講票が発行される。受講票には認定番号と有効期限が記載されている。継続研修は、当院が指定した臨床研究研修会を受講するか、継続研修用の動画を視聴する。 動画の場合は視聴後に試験を行い、全問正答をもって合格とする。受講者は受講票を提出し、後日、更新された有効期限が提示される。 研究者等の認定番号と有効期限は、臨床研究監理センター教育研修室が管理している。 研究者等は、臨床研究の申請時に認定番号とその有効期限が切れていないか確認し申請書に記載する。臨床研究監理センター生命・医学系研究倫理審査委員会事務局は有効期限が切れている場合は研究者等に継続研修の受講を依頼する。継続研修を受けるまで当該研究者等は研究が実施できない。 なおオンラインで本院以外の医師向けにも実施している。
東北大学病院	なし （「８．研修」で挙げた講習会等の中でPPIをテーマに取り上げることもある程度）
国立がん研究センター東病院	令和2年度：21回（内、当院主催12回） 令和3年度：33回（内、当院主催23回） 令和4年度：26回（内、当院主催16回） 令和5年度：24回（内、当院主催14回） 令和6年度：21回（内、当院主催12回）
千葉大学医学部附属病院	令和２年度から６年度まで、毎年度、利益相反、研究倫理、研究の品質に関連することなど、臨床試験に関する基本的な事項、最新の情報などに関する研修会を１７回開催した。その他、統計に関するセミナーを開催している。 令和５年度にはRBAに関する研修会を開催した。
国立がん研究センター中央病院	臨床研究セミナートピックス編（2012年～年6回） 生物統計セミナー入門編（2013年～年13回） 早期新薬開発試験トランスレーショナルワークショップ（2020年～年1回）
東京大学医学部附属病院	なし
慶應義塾大学病院	＜開催件数＞ 令和2年度（2020）：11件 令和3年度（2021）：13件 令和4年度（2022）：11件 令和5年度（2023）：12件 令和6年度（2024）：12件 令和7年度（2025）：11件（予定）
順天堂大学医学部附属順天堂医院	患者・市民参画（PPI）セミナーを開催 （開催日に参加できなくても収録・編集したものを後日視聴することが可能。） 2023年度：1回 2024年度：1回
名古屋大学医学部附属病院	なし
京都大学医学部附属病院	臨床研究推進セミナーを令和4年度：18回、令和5年度：24回、令和6年度：28回開催した。 また、臨床研究なんでも相談会を令和5年度：3回、令和6年度：3回開催した。
大阪大学医学部附属病院	医師研修（各年度1回）、アカデミア臨床開発セミナー（各年度5回）、 データマネージャー養成研修・モニタリング更新講習・上級者臨床研究コーディネーター（CRC）養成研修等（各年度10回程度）
神戸大学医学部附属病院	2026年3月に開催予定の臨床研究セミナーにおいて、米国で活躍中の日本人腫瘍内科医師を講師に招聘し、PPIの総論（目的、意義等）及び臨床研究立案におけるご自身のPPI経験談をご講演していただく予定（学内外の研究者・研究支援者を対象）。各年度の開催件数：2024年度以前は未実施、2025年度は上記1件
岡山大学病院	・臨床研究者研修（年12回、特別研修　年2回） ・特定臨床研究PI認定制度（導入研修9回、継続研修9回） ・医師主導治験PI認定制度（導入研修2回・継続研修6回） https://www.okayama-u.ac.jp/user/hospital/index331.html
広島大学病院	令和7年度1件 患者及び研究者等を交えたPPIワークショップを実施した
九州大学病院	【令和4年度】18回 【令和5年度】33回 【令和6年度】43回
長崎大学病院	なし

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進 / 4) PPIの好事例 / プロトコルのblush up

北海道大学病院	小児鎖肛疾患における便失禁アウトカム指標について：患者（もと患児）・保護者から、小児ならではの失禁アウトカムの把握の難しさについて意見をいただき、アウトカム指標の判断方法について検討を進めた。
東北大学病院	なし
国立がん研究センター東病院	「PPIプロトコール・説明同意文書レビュー手順書」を作成し、計画中または実施中の臨床試験・臨床研究（治験を含む）実施計画書の患者・市民レビューを実施し、プロトコルの質向上、観察スケジュール等含めた実現可能性、患者安全・権利の観点から実施計画書のブラッシュアップを行っている。 実績：観察研究10件、医師主導治験2本
千葉大学医学部附属病院	なし
国立がん研究センター中央病院	なし
東京大学医学部附属病院	難治性・進行性の希少疾患を対象とする薬物の医師主導の第Ⅲ相試験を計画した段階で、プラセボ対照の試験でも参加してもらえるか患者に対してアンケートを取ったところ前向きの回答が得られたので、治験を実施することにした。
慶應義塾大学病院	なし
順天堂大学医学部附属順天堂医院	当院に通院中の患者及び患者家族を対象とした「順天堂PPIコミュニティ」を発足。 研究者（医師）5名、PPIコミュニティメンバー3名、PPIユニット員4名が参加し、臨床研究について研究者との意見交換会を開催。 研究の内容について研究者から説明、PPIコミュニティメンバーから意見を伺ったが、プロトコルのBrush upまでには至っていない。
名古屋大学医学部附属病院	0
京都大学医学部附属病院	院内の「医師主導治験を考える会」で支援している研究において、患者会代表の意見を聞いた。
大阪大学医学部附属病院	なし
神戸大学医学部附属病院	当院が研究代表及び研究事務局を務めた医師主導治験（小児希少疾患）において、当該治験の対象疾患に罹患している患者さんに研究計画書・同意説明文書をレビューしていただき、研究班会議にも参加いただき、意見交換をした。
岡山大学病院	Long Covid対象の特定臨床研究において、統括管理者はプラセボ対照の本研究について研究計画段階で複数の対象なりうる患者と意見交換を行い、介入後の通常診療移行の際に一定の期間で介入中止を検討する機会を設けることとした。
広島大学病院	医師主導治験のプロトコール作成において患者さんに意見を反映した AMED事業におけるPPIの取組事例で紹介あり
九州大学病院	・さくらんぼの会（認定NPO法人レット症候群支援機構）にプロトコル概要を示してのアンケート調査を行い主に参加実現性、実際の患者状態などを調査した（2020年度） ・がんの子供を守る会、神経芽腫の会に、主に参加実現性などを調査した（2021年度） ・リンチ症候群患者会から、開発コンセプト、来院頻度や患者負担等についてご意見をいただいた（2024年度） ・骨髄増殖性腫瘍患者・家族会（MPN-JAPAN)に、実際のプロトコルと同意説明文書を読んでいただき主に参加実現性、分かり難い点、希望などを調査した（2025年度）
長崎大学病院	なし

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進
4) PPIの好事例 / 患者・市民との協働による手順書作成と実施

北海道大学病院	実施していない
東北大学病院	なし
国立がん研究センター東病院	特になし
千葉大学医学部附属病院	なし
国立がん研究センター中央病院	MASTER　KEYプロジェクトにおいて、患者会と共催で希少がんや臨床試験に係るイベントを開催し、運営など協力して行っている。
東京大学医学部附属病院	なし
慶應義塾大学病院	なし
順天堂大学医学部附属順天堂医院	当院に通院中の患者及び患者家族を対象とした「順天堂PPIコミュニティ」を発足。 研究者（医師）3名、PPIコミュニティメンバー4名、PPIユニット員4名が参加し意見交換会を開催した際に、研究で使用するアンケートや評価の手順について、PPIコミュニティメンバーから意見を伺った。また、使用されている専門用語や文章に関しての感想や要望を伺った。
名古屋大学医学部附属病院	なし
京都大学医学部附属病院	なし
大阪大学医学部附属病院	なし
神戸大学医学部附属病院	なし
岡山大学病院	なし
広島大学病院	なし
九州大学病院	なし
長崎大学病院	なし

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進 / 4) PPIの好事例 / レイ・プロトコール・シノプシス

北海道大学病院	大規模言語モデルを活用した取り組みを計画している
東北大学病院	なし
国立がん研究センター東病院	プロトコルおよび同意説明文書の患者・市民レビューにあたっては、レビュー前にレビュアー説明会を実施するが、その際に実施計画書の平易な要約（レイ・プロトコル・シノプシス）を研究者は必ず作成し、レビュアーに事前説明を行っている。
千葉大学医学部附属病院	なし
国立がん研究センター中央病院	なし
東京大学医学部附属病院	なし
慶應義塾大学病院	なし
順天堂大学医学部附属順天堂医院	順天堂大学の研究戦略推進センター内にJuntendo University Research Administrators（JURA)がある。 JURAでは、研究計画についてプレスリリースを通じて、わかりやすく社会に発信する支援も行っている。 プレスリリースは、当院ホームページ内の「TOPICS」（https://hosp.juntendo.ac.jp/times/topics.html）にて公開している。
名古屋大学医学部附属病院	なし
京都大学医学部附属病院	なし
大阪大学医学部附属病院	なし
神戸大学医学部附属病院	なし
岡山大学病院	なし
広島大学病院	なし
九州大学病院	なし
長崎大学病院	なし

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進
4) PPIの好事例 / 説明文書・同意文書、説明補助資料の作成

北海道大学病院	雛形作成については、一般職をふくめた多職種ARO職員でレビューを実施。また。大規模言語モデルを活用した取り組みを始めている。
東北大学病院	なし
国立がん研究センター東病院	「PPIプロトコール・説明同意文書レビュー手順書」を作成し、計画中または実施中の臨床試験・臨床研究（治験を含む）の説明・同意文書の患者・市民レビューを実施し、患者への説明のしやすさ、一般向けの平易な用語、患者安全・権利の観点からブラッシュアップを行っている。 実績：観察研究10件、医師主導治験2本
千葉大学医学部附属病院	なし
国立がん研究センター中央病院	日本がん支持療法研究グループ（J-SUPPORT）において、計画段階から患者・市民に参加いただき、計画作成、評価などにかかわっていただいている。
東京大学医学部附属病院	なし
慶應義塾大学病院	なし
順天堂大学医学部附属順天堂医院	当院に通院中の患者及び患者家族を対象とした「順天堂PPIコミュニティ」を発足。 研究者と順天堂PPIコミュニティメンバーとの意見交換会を現在までに2回実施している。 いずれも、研究者から、研究対象疾患・対象者、及び同意説明文書・説明補助資料について説明を行い、順天堂PPIコミュニティメンバーから、これらに対する感想・意見・要望をヒアリングした。
名古屋大学医学部附属病院	なし
京都大学医学部附属病院	なし
大阪大学医学部附属病院	CRB等の臨床研究の審査委員会では、非専門家の立場である一般の委員の意見が尊重され、一般の委員の発議による背名文書・同意文書の資料の改訂の指示が多く出される。
神戸大学医学部附属病院	当院が研究代表及び研究事務局を務めた医師主導治験（小児希少疾患）において、当該治験の対象疾患に罹患している患者さんに研究計画書・同意説明文書をレビューしていただき、研究班会議にも参加いただき、意見交換をした。
岡山大学病院	なし
広島大学病院	なし
九州大学病院	・NPO法人 肺がん患者の会 ワンステップにプロトコル概要を説明し、同意説明文書案を読んでいただき、わかりにくい点や修正すべき表現等についてご意見いただいた（2025年度）
長崎大学病院	なし

9.治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進 / 4) PPIの好事例 / レイ・サマリー

北海道大学病院	大規模言語モデルを活用した取り組みを一部実施している。
東北大学病院	なし
国立がん研究センター東病院	2024年Nature Medicineに投稿されたGOZILA Study（結腸・直腸癌を含む消化器・腹部悪性腫瘍患者を対象としたリキッドバイオプシーに関する研究）の結果を、平易な要約にした「一般向け」および「患者向け」の2種類のレイサマリーを作成した。作成にあたっては全国がん患者団体連合会の理事長、理事のレビューやがん患者・市民参画プラットフォーム参加者からの意見を随時取り入れながら共創した。
千葉大学医学部附属病院	なし
国立がん研究センター中央病院	JCOGにおいて、主たる解析結果が学会発表された研究結果を試験参加患者さん向けの説明書としてHPに公開（現在39試験公開）
東京大学医学部附属病院	なし
慶應義塾大学病院	なし
順天堂大学医学部附属順天堂医院	順天堂大学の研究戦略推進センター内にJuntendo University Research Administrators (JURA)がある。 JURAでは、研究計画だけでなく研究成果についてプレスリリースや市民公開講座などを通じて、わかりやすく社会に発信する支援も行っている。 プレスリリースは、当院ホームページ内の「TOPICS」（https://hosp.juntendo.ac.jp/times/topics.html）にて公開している。
名古屋大学医学部附属病院	メクリジンの医師主導治験について、レイサマリーを作成し、主治医を介して順次治験参加患者さん（9名）へLay summaryを配布している
京都大学医学部附属病院	なし
大阪大学医学部附属病院	なし
神戸大学医学部附属病院	当院が研究代表及び研究事務局を務めた医師主導治験（小児希少疾患）のレイサマリーを作成中。その過程において、当該治験の対象疾患に罹患している患者さんの家族にレビューを依頼し、いただいたコメントを基にブラッシュアップ中。年度内には院内掲示やHP上で公開作成予定。
岡山大学病院	なし
広島大学病院	なし
九州大学病院	検討中
長崎大学病院	なし

10. 治験・臨床試験手続きの効率化 / 1) AI 関連技術の利活用

選択肢	施設数	割合
あり	10	62.5%
なし	6	37.5%

北海道大学病院	臨床試験データマネジメント部門におけるPower Automateなどのrobotic process automation技術の活用及び、Microsoft Copilotを活用した文書作成、確認支援を実施した。また、統計解析用コードの部分的な自動生成や勤怠関連の文書を処理するスクリプトコードの生成支援を行った。 EDCの設計を行う際に準備するデータベース定義書の作成支援は現在検証中である。
東北大学病院	・AIを用いた治験候補患者の探索
国立がん研究センター東病院	・翻訳（Copilot） ・会議のトランスクリプト、要約作成（Copilot、Zoom） ・英語のエディットチェック(grammarly)
千葉大学医学部附属病院	-
国立がん研究センター中央病院	昨年度より治験総括報告書の生成AIによる自動作成プロジェクトを開始している。その成果をさらに拡張するために今年度よりPMDAと共同で厚生労働科研費「生成AIを活用した薬事承認申請・審査関連文書作成の推進のための研究（25AC1003）」に採択され、治験関連文書の自動作成に取り組んでいる。また、AMED医療技術の生成AI関連の取り組みにも採択され、こちらではJCOG試験のプロトコール作成への生成AI活用を進めている。
東京大学医学部附属病院	・議事録作成 ・他の利活用については検討中
慶應義塾大学病院	・慶應義塾大学病院では、法人契約に基づき生成AIツールであるGemini及びNotebookLMが使用可能となっている(詳細は「慶應義塾における生成AIの利用ガイドライン:https://www.itc.keio.ac.jp/ja/software_ai_guideline.html」を参照)。本契約下では、外部へのデータ流出やモデル学習が制限・管理された環境での使用が担保されており、各種書類作成等の業務において活用されている。なお、具体的な使用方法及び使用頻度については、各職員の判断に委ねられている。 ・2025年度医療技術実用化総合促進事業の追加交付において、倫理審査委員会の審査における生成AIの活用の可能性についての検討を開始した。現時点では当院の審査内容をもとにパイロットとして、生成AIを用いることで、倫理審査の補助が可能かどうかを検証するフェーズであり、具体的な活用までは至っていない。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	委員会前の事務局確認の際に、AIを用いて契約書、実施計画書、同意説明文書等の資料の確認を行っている。
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	令和6年10月より論文執筆支援ツールを院内に対して本格導入し、150名弱の研究者に活用いただいている。現在では院内研究者のみならず対象を学内へ広げて展開しているところである。 また、研究計画書等の作成及び倫理委員会からのクエリ対応を行うAIツールを開発しβ版として院内研究者における活用、評価を開始した。現在は対象研究を特定臨床研究に限定しているが、研究者の意見を踏まえてさらなる対象拡大についても今後検討を予定している。
大阪大学医学部附属病院	ユビー生成AIを利用しており、各種の文書作成や翻訳、各種会議の議事録作成等に使用している。
神戸大学医学部附属病院	-
岡山大学病院	-
広島大学病院	-
九州大学病院	ユビー生成AIを2025年4月1日に導入、AROの全職員にアカウントを付与。
長崎大学病院	現在は、既存のLLMモデルを用いた個人的なAI利活用にとどまっているが、研究計画書作成支援AIの開発を開始している。

10. 治験・臨床試験手続きの効率化 / 2) 治験の一括審査のためのSingle IRB / 体制・審査実績

体制

選択肢	施設数	割合
あり	11	68.8%
なし	5	31.3%

審査実績

選択肢	施設数	割合
あり	7	43.8%
なし	9	56.3%

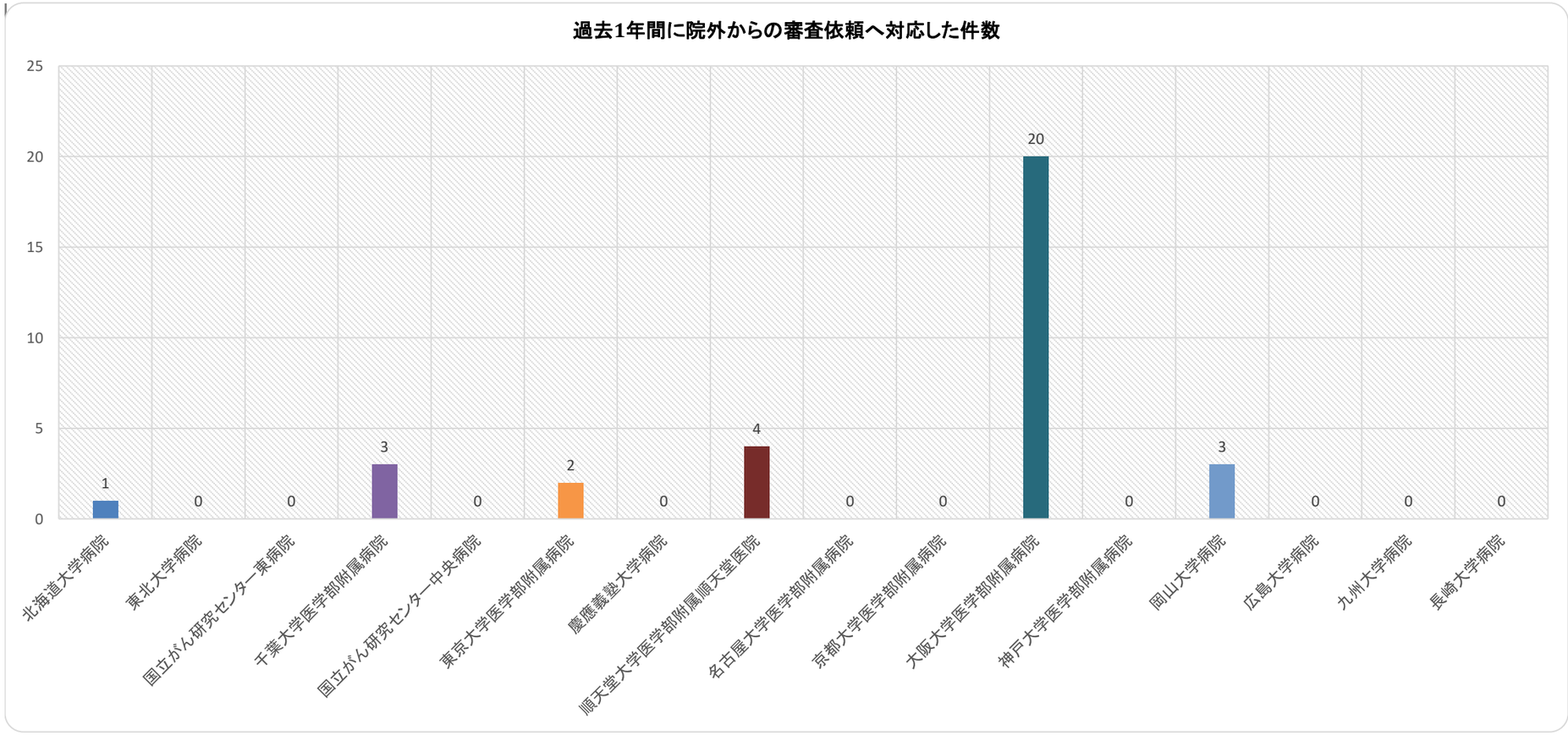
10.治験・臨床試験手続きの効率化 / 2) 治験の一括審査のためのSingle IRB / 院外からの審査依頼への対応

院外からの審査依頼への対応

選択肢	施設数	割合
あり	9	56.3%
なし	7	43.8%

過去1年間に院外からの審査依頼へ対応した件数

	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
過去1年間に院外からの審査依頼へ対応した件数	1	0	0	3	0	2	0	4	0	0	20	0	3	0	0	0



10.治験・臨床試験手続きの効率化 / 3) 標準化された説明文書・同意文書（ICF ）・契約書等の利用

選択肢	施設数	割合
あり	14	87.5%
なし	1	6.3%

※1施設未回答

北海道大学病院	治験依頼者が標準化されたICFを提供できる場合は全て受け入れ使用している。
東北大学病院	ICFは、製薬協ひな形をベースにした当院版ひな形があり。（当院として必要な文言を追記したりしている） 契約書についてもひな形がある。
国立がん研究センター東病院	説明文書・同意文書（ICF）について、製薬協が作成した共通テンプレートを利用している。
千葉大学医学部附属病院	企業治験では、製薬協の説明文書・同意文書（ICF）共通テンプレートを用いている。 医師主導治験では、AMEDのテンプレートまたは院内のテンプレートを用いている。
国立がん研究センター 中央病院	説明同意文書、契約書のひな型は、当院HPにて公開している。 説明同意文書については、製薬協提案の共通テンプレートをベースに、治験審査委員会や施設固有の情報、リモート SDV、同意文書の内容を追記したものNCC 版 ICF 共通テンプレートを作成している。
東京大学医学部附属病院	・企業治験において、製薬協　説明文書・同意文書共通テンプレートを使用している。
慶應義塾大学病院	製薬協版共通ICF（慶應版）を導入しており、実際に共通ICFでの審議を行っている。
順天堂大学医学部附属 順天堂医院	製薬協の共通テンプレートを使用している。
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	日本製薬工業協会の説明文書・同意文書（ICF）共通テンプレートを利用している。
大阪大学医学部附属病院	ICF共通テンプレートは利用している。契約書はなし
神戸大学医学部附属病院	ICFは利用しているが、契約書は利用していない
岡山大学病院	ICF共通テンプレート導入済(2025.11月時点で45試験)
広島大学病院	製薬協のICF共有テンプレートを導入している（令和6年11月～）
九州大学病院	日本製薬工業協会が作成した『説明文書・同意文書（ICF）共通テンプレート』を複数の企業治験において利用している。
長崎大学病院	医師主導治験については、日本製薬工業協会の医薬品評価委員会　説明文書・同意文書共通テンプレートを用いて文書作成を行っている。企業治験についても、同テンプレートを依頼者が利用している場合には使用している。

11.治験コストの透明化の向上 / Fair Market Value（FMV）に基づく費用算定

選択肢	施設数	割合
あり	6	37.5%
なし	10	62.5%

北海道大学病院	現在、新年度よりFMV費用算定の正式導入に向けて準備を行っているが、2024年度より試行的にFMV費用算定を4件実施中である。これらについてはIQVIA社が提供するGrantPlanをベースに作成されたベンチマーク型コスト表にて費用算定を行っている。
東北大学病院	-
国立がん研究センター東病院	7件（第Ⅰ相：5件、第Ⅲ相：2件（2020年2月～2025年10月末まで））
千葉大学医学部附属病院	-
国立がん研究センター中央病院	当院の算定方法は、基盤経費+visit経費にてFMVを実践している。基盤経費とは、高い品質を確保した治験を実施するために被験者に対する業務とは関係なく必要な基盤的費用と定義しており、治験審査委員会運営費やシステム管理費等が含まれる。一方でVisit経費とは、治験実施計画書に規定された項目に基づく評価等の業務に対する経費と定義しており、患者さんの進捗に応じて算定する費用である。当院では基盤経費とvisit経費を組み合わせることで、タスクベース費用に基づいてFMVを実践している。
東京大学医学部附属病院	-
慶應義塾大学病院	-
順天堂大学医学部附属順天堂医院	-
名古屋大学医学部附属病院	-
京都大学医学部附属病院	現在、導入に向けての検討中。（今年度末までに1件、契約予定）
大阪大学医学部附属病院	-
神戸大学医学部附属病院	試験導入中であるが、治験依頼者が提示するコストテーブルに従って協議を行い、FMVに基づく費用算定を行っている。 令和6年度：4試験（A社3試験、B社1試験） 令和7年度：5試験（A社2試験、B社1試験、C社1試験）
岡山大学病院	2023年6月に初めてFMVを導入した治験契約を締結し、その後治験依頼者3社と14件の治験でFMVを導入している。（2025年11月現在） 治験依頼者からFMV費用（PSCシート）を提案いただき、タスク単価が開示されていること、FMV費用と当院規定のポイント算出表により算出した費用とを比較しあらかじめ設定した許容範囲内に収まることを確認したうえでを受け入れている。
広島大学病院	治験等経費算定基準に記載し、ポイント表を基本とするが、FMVでも算定できるようにしている。
九州大学病院	当院では、独自の「Fair Market Value（FMV）に基づく費用算定」は作成していないが、治験依頼者が作成した費用算定を用いて、複数の企業治験を実施している。
長崎大学病院	現在FMVに基づく費用算定の実施はないが、導入に向けた検討として、マイルストーン型算定やFMVに基づく費用算定への対応強化、試験難易度に応じた柔軟なポイント算定方式の導入、実際の業務内容を反映した費用算定の仕組み構築のための検討を行っている。

12.治験・臨床試験 DX / 1-1) 治験・臨床試験におけるDXの取り組み

選択肢	施設数	割合
あり	15	93.8%
なし	1	6.3%

北海道大学病院	2015年より地域医療連携システムを活用して電子カルテの閲覧を遠隔できるリモートSDVシステムを構築して、利用している。リモートSDV端末の貸出による実施及びCRO協会(東京)に端末を設置して、企業治験及び医師主導治験にてリモートSDVが実施されている。 またMicrosoft TeamsやGoogle Meet、WebEx、Zoomによる部門内・部門間の連絡調整、オンラインミーティング、セミナー、統計相談を実施した。データマネジメント計画書や統計解析計画書、SASコードによる解析環境などの成果物は、クラウドストレージboxを用いて共有している。医師主導治験では、Agathaを導入し、必須文書の管理を実施した。 企業と共同開発したEDCであるNorthNetを自施設内の研究者に無料で提供し、臨床研究の普及・促進を図っている。また、医師主導治験EDCを開発し、バリデーションを行って、医師主導治験のDXを進めている。
東北大学病院	必須文書の電子保管等の治験・臨床試験の関連文書の電子化
国立がん研究センター東病院	治験DXチームを結成して定期的にDXに関する情報共有等を行っている。
千葉大学医学部附属病院	e-PROの利用やインターネットを用いた被験者募集
国立がん研究センター中央病院	前述のDCT、生成AI利活用が該当する。EMR-EDC連携もパイロット的に進めているが、こちらはまだ初期段階である。
東京大学医学部附属病院	・IRB資料の授受において、文書管理システムを使用している。
慶應義塾大学病院	・治験候補患者の絞り込みにおいて、富士通社と連携して、電子カルテ情報を生成AIで構造化し活用することが可能かどうか、2025年度3Qから検討を開始している。 ・IRB審議資料等の電子文書管理のため、DDWorks Trial System、Agathaを導入し運用している。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	_
名古屋大学医学部附属病院	・異なる病院の電子カルテを統合した治験リポジトリ構築による被験者リクルートの効率化 ・地域医療・地域包括ケア統合ネットワークとの連携によるDCTならびに臨床研究の推進 ・治験検査キット管理において、QRコードを用いたシステムを構築 ・有害事象のMedDRAコーディングにおいて、自然言語処理を導入した検索システムを開発 ・医薬品リスク管理計画を生成AIで解析し、中央モニタリングの重要リスク指標を設計
京都大学医学部附属病院	院内で運用中の臨床研究の同意書管理システムおよび患者案内アプリと連携したeConsentシステムを構築した。臨床研究での利用を予定している。
大阪大学医学部附属病院	電子ワークシートの開発
神戸大学医学部附属病院	・リモートSDVの運用：企業治験を対象にコロナ禍を契機に2021年に導入。外部のCRAのPCからVPN装置・中間サーバを介して電子カルテにアクセス。SDV毎に専用のID・PWを付与し、閲覧対象者のカルテのみの閲覧制限。 ・Veeva SiteVault：治験手続きの電磁化のために2023年に導入。治験依頼者がVSにアクセスすることで、交付した文書の受領可能、保管文書の閲覧も随時可能。 ・eWS：令和4年度先進的臨床研究環境基盤整備プログラムで開発したeWSで、2025年4月に本番系電子カルテへ適用。現在、当院で実施する単施設の特定臨床研究に適用中。
岡山大学病院	eCONSENTのためのSOPを作成した。 パートナー医療機関のための手順書のひな形を作成中。 訪問看護使用時の手順書について同一のベンダーの際には、試験特有の部分を除いて見解が統一されるようひな形を作成中。
広島大学病院	「三叉神経痛に対するカルバマゼピン併用の五苓散の有効性・安全性を評価するプラセボ対照ランダム化比較第Ⅱ相医師主導治験 」において、日々の疼痛時Visual Analogue Scale（eVAS）の記録や服薬コンプライアンス等の確認及び顔表情等を工学系の研究者と共同で開発したVCT支援アプリを用いて実施している。
九州大学病院	「ユビー生成AI」の導入、DCTの支援
長崎大学病院	長崎県内に、長崎地域医療連携ネットワークシステム協議会が設置する複数の医療機関で診療情報、検査等を複数医療機関で共有できるネットワーク（通称あじさいネット）を活用したDCT（特定臨床研究）を行っているが、試験効率化のため、あじさいネットを用いてリモートSDVを実施している。

12.治験・臨床試験 DX / 1-2) デジタル技術で治験・臨床研究の効率化につながる取り組み

選択肢	施設数	割合
あり	14	87.5%
なし	2	12.5%

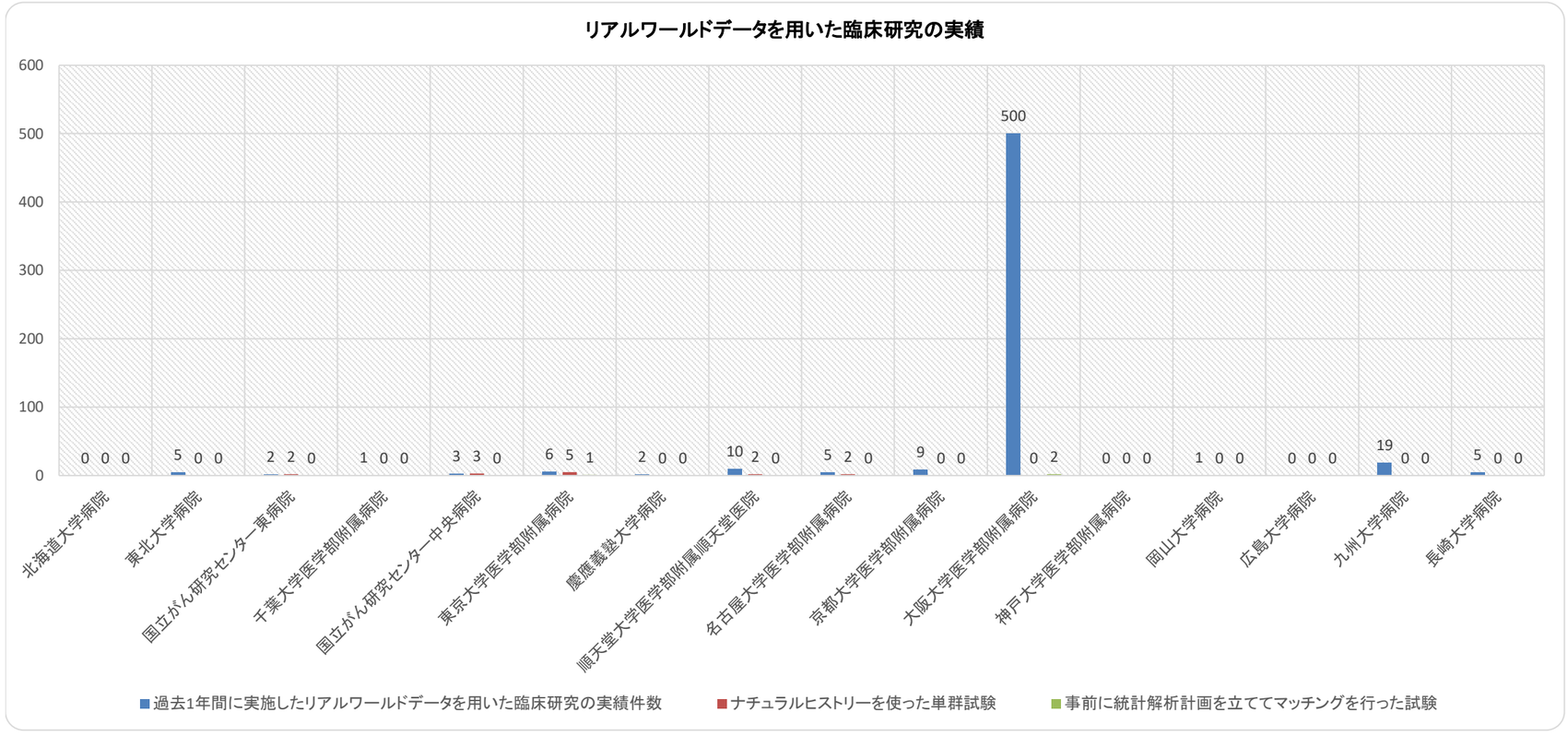
北海道大学病院	Microsoft Teamsによる部門間連携、オンラインミーティングの開催の他、データマネージャのEDCトレーニングにeLearningを活用してオンデマンドによる教育を実施している。文書管理システムAgatha、富士通DDWorksを導入し、治験の必須文書を管理している他、boxによるドラフト段階からの文書の共有やMicrosoft365を用いた共同編集を行っている。観察研究やレジストリーの構築・運用においては、robotic process automationによるエディットチェックの自動化を実施した。部署内のスケジュール管理には、Googleカレンダーを用いて共有している。
東北大学病院	リモートSDVの運用 ・弊院の電子カルテ専用端末を設置し、東京都のSDV室が利用可能 ・SDV室から電子カルテへアクセスすることにより、リモート環境にて原資料閲覧を実施できる
国立がん研究センター東病院	研究計画書の構造化・電子化に関する調査を行っている。
千葉大学医学部附属病院	治験電子文書管理クラウドサービスを利用し、治験手続きの電磁化、文書の電磁化、文書保管の電子化を行っている。
国立がん研究センター中央病院	FIH試験実施の臨床現場において、バイタルサイン測定が一日平均120回/unitや時差による夜間や早朝の週に2～3回のミーティングによる病院の泊まり込みが実施されている。これらは、限られた人数と限られた業務時間での実施は困難を極めていた。そこで、スマートフォンを用いたバイタルサイン、身長、体重測定の自動化、医師と看護師との連絡をチャットを用いた患者の情報共有、院外でのカルテ閲覧を可能にする取り組みを、2026年1月から開始予定（2025年度開始予定であったら、システムの兼ね合いで、2026年１月となった）。
東京大学医学部附属病院	・電子カルテと連携して治験・臨床研究の業務支援を行うシステムの導入を検討している。
慶應義塾大学病院	–
順天堂大学医学部附属順天堂医院	AIを用いたEDCシステムの構築に係る検討を行っている。
名古屋大学医学部附属病院	–
京都大学医学部附属病院	治験依頼者等が遠隔で治験参加者のカルテを閲覧（いわゆるリモートSDV）できる環境を整備済みである。
大阪大学医学部附属病院	電子ワークシートの開発 DDworksの使用 各種委員会申請ステムの活用 FMV対応を前提した費用積算システムの導入・活用
神戸大学医学部附属病院	・リモートSDVの運用：企業治験を対象にコロナ禍を契機に2021年に導入。外部のCRAのPCからVPN装置・中間サーバを介して電子カルテにアクセス。SDV毎に専用のID・PWを付与し、閲覧対象者のカルテのみの閲覧制限。 ・Veeva SiteVault：治験手続きの電磁化のために2023年に導入。治験依頼者がVSにアクセスすることで、交付した文書の受領可能、保管文書の閲覧も随時可能。 ・eWS：令和４年度先進的臨床研究環境基盤整備プログラムで開発したeWSで、2025年4月に本番系電子カルテへ適用。現在、当院で実施する単施設の特定臨床研究に適用中。
岡山大学病院	遠隔施設間で治験の同意説明・同意取得を行うシステムを使い、当院以外の施設と連携し、当院治験に参加されるか否かを確認し、遠隔地の患者さんへの治験参加機会の提供、同意段階で遠隔地から当院に来院せずとも詳しいお話を聞いていただける環境を作っている。
広島大学病院	「三叉神経痛に対するカルバマゼピン併用の五苓散の有効性・安全性を評価するプラセボ対照ランダム化比較第Ⅱ相医師主導治験 」において、日々の疼痛時Visual Analogue Scale（eVAS）の記録や服薬コンプライアンス等の確認及び顔表情等を工学系の研究者と共同で開発したVCT支援アプリを用いて実施している。
九州大学病院	臨床研究中核病院で連携して作成したeWSシステム、アガサ、富士通DDワークス
長崎大学病院	治験実施および治験審査の効率化のため、電磁システムの導入を進めている。

12.治験・臨床試験 DX / 2) リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績

選択肢	施設数	割合
あり	13	81.3%
なし	2	12.5%

※北海道大学は後日回答予定

	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
過去1年間に実施したリアルワールドデータを用いた臨床研究の実績件数	(後日回答予定)	5	2	1	3	6	2	10	5	9	500	-	1	-	19	5
ナチュラルヒストリーを使った単群試験	(後日回答予定)	-	2	-	3	5	0	2	2	0	0	-	0	-	0	0
事前に統計解析計画を立ててマッチングを行った試験	(後日回答予定)	-	-	-	0	1	0	0	0	0	2	-	0	-	0	0



12.治験・臨床試験 DX / 3) 医療情報システムにおけるData Ware House

選択肢	施設数	割合
あり	14	87.5%
なし	2	12.5%

52

12.治験・臨床試験 DX / 4) CRF含めた臨床研究運用システム

選択肢	施設数	割合
あり	11	68.8%
なし	5	31.3%

導入システムの概要

北海道大学病院	EDCとして、eClinicalBase、Viedoc、Fountaynの導入・運用実績がある。(株)Zenbeと共同で開発したCrioNet(医師主導治験用EDC)、NorthNet(臨床研究用EDC)を運用している。上記EDCは、登録、割付システム、CRFを含む。 2025/12現在、治験についてはFountayn、CrioNetを中心に運用している。また、NorthNetは、自施設の構築責任者であれば無料で利用できる。NorthNetに付随するePROの機能は今後バリデーションを行う予定である。電子カルテとのデータ連携については、現在仕様を策定している段階である。
東北大学病院	・ePRO/eCOA、ビデオ通話、割付、レポート等の機能を包含した、EDCシステム ・REDcap
国立がん研究センター東病院	カルテに標準で搭載されているテンプレートを使って企業治験で症例情報を入力する
千葉大学医学部附属病院	EDC
国立がん研究センター中央病院	_
東京大学医学部附属病院	・Viedoc、cubeCDMSを導入し、研究の進捗管理、データ収集、モニタリング管理、安全性情報の評価、統計解析に使用している。 ・併せて、電子カルテとの連携システムの導入を検討している。
慶應義塾大学病院	_
順天堂大学医学部附属順天堂医院	_
名古屋大学医学部附属病院	_
京都大学医学部附属病院	NTTデータ PhambieLINQを導入、eSourceデータ連携として、電子カルテをソースデータとしてたCRFデータの出力が可能である。
大阪大学医学部附属病院	DDWorks Trial site 治験の必須文書の電磁化 InMe　費用算定システムFMV対応含む BIGVAN 各種委員会申請システム
神戸大学医学部附属病院	4つのシステムについて箇条書き ・治験関連文書を電子的に管理・共有するシステム ・臨床研究・治験支援のための電子申請・文書管理システム ・EDC ・症例報告書(CRF)の入力からランダム化、モニタリング、画像評価までを一元的に扱える統合プラットフォーム
岡山大学病院	電子カルテ上でeWorksheet(eWS)の作成を行うシステムが整備済みであり、ソースデータを書き出し可能となっている。また、eWSのコンバータによって、REDCapシステム(EDCシステムの1つ)に取り込む機能を有している。
広島大学病院	当院における特定臨床研究ではZenbe社のEDCシステムを使用している。
九州大学病院	12-1-2と重複するが、臨床研究中核病院で整備したeWS。また、EDCとして、REDCapを導入済み。
長崎大学病院	現在、eワークシートを用いたDirect Data Captureの取組みを実施する計画である。

電子カルテシステム等との連携

選択肢	施設数	割合
あり	3	27.3%
なし	8	72.7%

※割合は、「CRF含めた臨床研究運用システム」がありと回答した11施設を母数とする

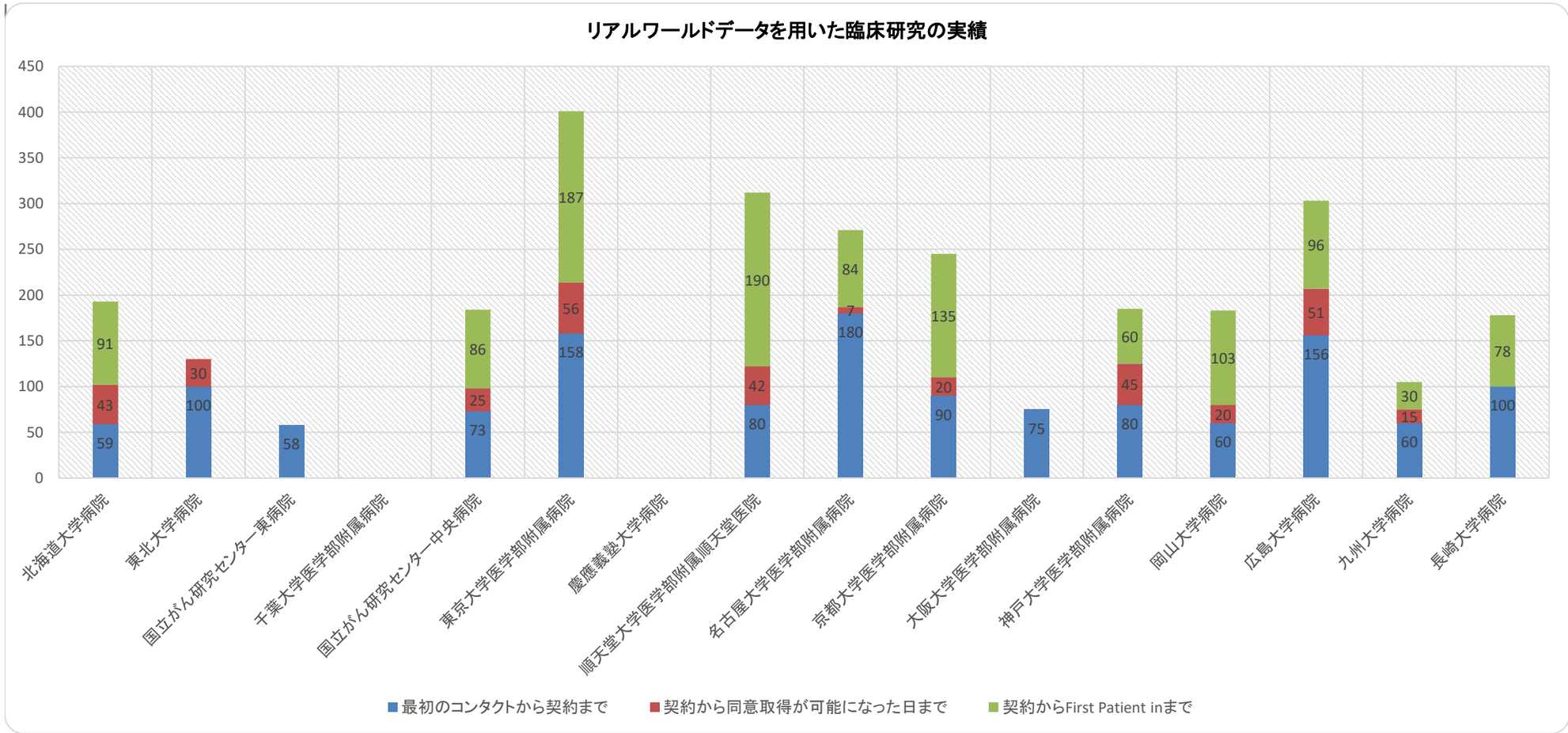
12.治験・臨床試験 DX / 5) DCTシステム

導入DCTシステムの概要

北海道大学病院	MiROHAによる遠隔の医療面接を導入していた。ViedocによるeConsentを利用した実績がある。
東北大学病院	・DCT要素のひとつとして、ePROシステム導入済み
国立がん研究センター東病院	オンラインがん相談で使っている仕組みを使って、オンラインで研究に関する説明を行っている。またeConcentを実施している。
千葉大学医学部附属病院	–
国立がん研究センター中央病院	前述のとおり、DCTに特化したオンライン診療システム、データ共有システムを導入している。データ共有システムはパートナー施設から検査結果をクラウドのアップロードするだけではなく、アップロードされたデータを5分に1回電子カルテサーバーに同期して、電子カルテから共有されたデータを閲覧できる仕組みとしている。
東京大学医学部附属病院	・院内オンライン診療システム（On診） ・Zoom（治験依頼者が用意）
慶應義塾大学病院	2025年度については、当院主導の医師主導治験において、DCTで遠隔診療を行う際にMICIN社のMiRoHaをアカデミック価格で使用する契約を有している。それ以外のシステムについては、試験ごとに必要な内容を同定し、個別に提供可能なベンダーと相談をしている。
順天堂大学医学部附属順天堂医院	_
名古屋大学医学部附属病院	–
京都大学医学部附属病院	CISCO WebEXおよびFINDEX On診（患者案内アプリ連携）を利用した、オンライン診療の実施体制を整備済みである。
大阪大学医学部附属病院	電子カルテ端末から通常の経過記録を記載する流れでCRFデータの登録が可能であり、入力したCRFデータは日常診療の経過記録として電子カルテにも保存される。CRFの検査値データに関しては、患者の直近の検査値情報を参照し、引用して登録することが可能。また、検査値のコードや検査単位については、ローカルコードを施設の返還マスタで標準化した後にデータが送信される。
神戸大学医学部附属病院	・eConcentシステム：3H、Uchiken System（個別に契約した当院主導の特定臨床研究でのみ利用） ・オンライン診療システム：MICIN、MiROHA（他施設が代表機関である当院分担の医師主導治験において導入予定）
岡山大学病院	遠隔施設間で治験の同意説明・同意取得を行うシステムを使い、当院以外の施設と連携し、当院治験に参加されるか否かを確認し、遠隔地の患者さんへの治験参加機会の提供、同意段階で遠隔地から当院に来院せずとも詳しいお話を聞いていただける環境を作っている。
広島大学病院	AMED令和5年度「臨床研究・治験推進研究事業（1次公募）」、患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進を目指し、DCT等の新しい手法を活用した臨床研究・医師主導治験の推進 特定臨床研究・医師主導治験の実施【実施（ステップ2）】の研究開発課題として採択されており、遠隔診療システムを用いた治験として実施している。
九州大学病院	治験に特化したオンライン診療システムであるMICIN社「MiROHA」を導入済みだが、最近は、電子カルテからオンライン診療が出来るように医療情報側が整備し始めたので、おそらく、診療で使っているシステムに移行すると思う。治験のためだけに整備をするのではなく、診療のシステムとして、諸々の基盤整備をすべきと思う。
長崎大学病院	未導入

13.企業治験

	北海道大学病院	東北大学病院	国立がん研究センター東病院	千葉大学医学部附属病院	国立がん研究センター中央病院	東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院	順天堂大学医学部附属順天堂医院	名古屋大学医学部附属病院	京都大学医学部附属病院	大阪大学医学部附属病院	神戸大学医学部附属病院	岡山大学病院	広島大学病院	九州大学病院	長崎大学病院
最初のコンタクトから契約まで	59	100	58	–	73	158	–	80	180	90	75	80	60	156	60	100
契約から同意取得が可能になった日まで	43	30	0	–	25	56	–	42	7	20	-	45	20	51	15	–
契約からFirst Patient inまで	91	–	–	–	86	187	–	190	84	135	-	60	103	96	30	78



1. イノベーションにつながる研究の実施

臨床試験の届出数

Q1-1：貴院における特許区分別の届出件数について、以下の表にご記入ください。

項目＼特許区分	①基本特許（物質・用途）あり	②周辺特許あり（①を除く）	③特許なし
臨床試験の届出件数			
企業等への導出件数			
製造販売承認・認証の申請件数			

（注）1 令和2年度もしくは臨床研究中核病院に認定された年度から現時点までの件数を記載すること。
※「届け出件数」としてカウントする。「先進」＋「特定」等、複数に該当する場合は、1件として記載する。

（注）2 「基本特許（物質、用途）あり」、「周辺特許あり」及び「特許なし」において、
シーズの研究開発を行う研究者が所属する機関又は発明者個人により、特許の出願がなされているものを特許があるものとみなす。

（注）3 「臨床試験」とは、医師主導治験、臨床性能試験、先進医療B、（安確法における）第一種再生医療等に関する研究、
特定臨床研究（未承認又は適応外の医薬品等の臨床研究。製薬企業等から資金提供を受けた医薬品等の臨床研究を除く。）を指す。

（注）4 「企業等への導出件数」とは、橋渡し研究支援機関の支援により、
特許（出願中を含む。）若しくはノウハウの実施又は臨床データの利用を企業に許諾する段階に移行したシーズ件数を指す。

診療の最適化につながる臨床試験の実施

Q1-2：貴院における「診療の最適化につながる臨床試験」について、以下の項目ごとにご回答ください。

項目	回答
学会等の診療ガイドライン作成・改定に至った臨床試験（件数）	
学会等の診療ガイドライン作成・改定に至った論文（件数）	
（任意）上記の臨床試験・論文に関わるガイドラインについて記載ください。 （学会名、ガイドライン・タイトル等）	

（注）
1.令和2年度もしくは臨床研究中核病院に認定された年度から現時点までの件数を記載すること。

2.「臨床試験」とは、医師主導治験、臨床性能試験、先進医療 B、第一種再生医療等研究、特定臨床研究（未承認又は適応外の医薬品等の臨床研究。製薬企業等から資金提供を受けた医薬品等の臨床研究を除く。）を指す。

薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究又はその論文

Q1-3：貴院で実施された臨床研究および論文のうち、薬事申請・承認の根拠となった件数をご記入ください。

項目	回答
薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究（件数）	
薬事申請・承認の根拠になった特定臨床研究の論文（件数）	

（注）
1.令和2年度もしくは臨床研究中核病院に認定された年度から現時点までの件数を記載すること。

2. 革新的モダリティに対応したヒト初回投与試験（FIH 試験）

FIH試験の実績

Q2-1：令和4～6年度の各年における「FIH試験（新規）」の実施件数と、そのうち国際共同治験・臨床試験につながった件数をご記入ください。

年度	FIH試験（新規）の実施件数	この内、国際共同治験・臨床試験につながった件数
令和4年度		
令和5年度		
令和6年度		

スタートアップ・創薬ベンチャー等が行う FIH 試験を支援する体制

Q2-2：貴院における「スタートアップ・創薬ベンチャー等が行う FIH 試験を支援する体制」について、有無を選択し、体制がある場合は内容をご記入くださし

スタートアップ・創薬ベンチャー等が行う FIH 試験を支援する体制	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

3. 医工連携または新たな治験・臨床試験のデザイン・手法の実施

Q3：下記の特色を活かした治験・臨床試験の実施があれば内容を記載してください。

医工連携	

新たな治験・臨床試験のデザイン・手法の開発や実践	

4. 国際共同治験・臨床試験の実施

国際共同治験・臨床試験の実績

Q4-1：令和4～6年度の各年における「国際共同治験」および「国際共同臨床試験」の新規実施件数と、そのうち貴院が主導した件数をお答えください。

年度	国際共同治験		国際共同臨床試験	
	新規の実施件数	この内、主導したものの件数	新規の実施件数	この内、主導したものの件数
令和4年度				
令和5年度				
令和6年度				

国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成

Q4-2：貴院における「国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成」について、有無を選択し、育成を実施している場合は内容をご記入ください。

国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

研究計画の立案等に英語で対応可能な人材（医師や試験のマネジメント、事務手続きを行う職員等を含む）の育成

Q4-3：貴院における「研究計画の立案等に英語で対応可能な人材の育成」について、有無を選択し、育成を実施している場合は内容をご記入ください。

研究計画の立案等に英語で対応可能な人材（医師や試験のマネジメント、事務手続きを行う職員等を含む）の育成	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

国際共同治験に対応可能な ARO や相談・支援窓口の設置

Q4-4：貴院における「国際共同治験に対応可能な ARO や相談・支援窓口の設置」について、有無を選択し、窓口を設置している場合は内容をご記入くだ

国際共同治験に対応可能な ARO や相談・支援窓口の設置	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

5. DCT

企業治験を含めたDCTの実績

Q5-1：貴院における「企業治験を含めたDCTの実績」について、有無を選択し、実績がある場合は内容ならびに主導か否かをご記入ください。

※ビジット、検査を遠隔で行った場合であり、単に eConcent,ePro等の利用は除きます。

企業治験を含めたDCTの実績	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

主導	

※ドロップボックスで「該当」「非該当」のいずれかを選択してください。

DCTシステム

Q5-2：貴院における「DCTシステム」について、有無を選択し、ある場合は内容をご記入ください。

DCTシステム	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

6. 症例集積力強化のための取り組み

NC、JIHS、国立病院機構（NHO）等と の連携

Q6-1：貴院における「NC、JIHS、国立病院機構（NHO）等と の連携」について、有無を選択し、連携がある場合は内容をご記入ください。

NC、JIHS、国立病院機構（NHO）等と の連携	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

非臨床研究中核病院や関連病院との連携

Q6-2：貴院における「非臨床研究中核病院や関連病院との連携」について、有無を選択し、連携がある場合は内容をご記入ください。

非臨床研究中核病院や関連病院との連携	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

上記の連携におけるDCTの実施体制の整備

Q6-3：上記、非臨床研究中核病院や関連病院との連携があると回答された場合にお答えください。

「非臨床研究中核病院や関連病院との連携におけるDCTの実施体制の整備」について、有無を選択し、体制がある場合は内容をご記入ください。

DCTの実施体制の整備	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

臨床試験等についての臨中病院間でのネットワークの構築

Q6-4：貴院における「臨床試験等についての臨中病院間でのネットワークの構築」について、有無を選択し、ネットワークがある場合は内容をご記入ください。

臨床試験等についての臨中病院間でのネットワークの構築	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

製薬企業・医療機器メーカー等の業界団体や患者団体との連携

Q6-5：貴院における「製薬企業・医療機器メーカー等の業界団体や患者団体との連携」について、有無を選択し、ネットワークがある場合は内容をご記入ください。

製薬企業・医療機器メーカー等の業界団体や患者団体との連携	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

7. 研究従事者や研究支援人材の育成・インセンティブ

研究従事者や研究支援人材のキャリアパス構築

Q7-1：貴院における「研究従事者や研究支援人材のキャリアパス構築」について、有無を選択し、キャリアパスを構築している場合は内容をご記入ください。

研究従事者や研究支援人材のキャリアパス構築	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

研究従事者や研究支援人材へのインセンティブの付与

Q7-2：貴院における「研究従事者や研究支援人材へのインセンティブの付与」について、有無を選択し、インセンティブの付与がある場合は

内容をご記入ください。

研究従事者や研究支援人材へのインセンティブの付与	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

生物統計家育成推進事業による修了生の採用

Q7-3：貴院における「生物統計家育成推進事業による修了生の採用」について、有無を選択し、採用がある場合は採用人数・年度等の内容をご記入ください。

生物統計家育成推進事業による修了生の採用	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容 （採用人数・年度等）	

8. 研修

厚生労働省事業で行っているものを除く、臨中病院以外の医療機関の臨床研究従事者や研究支援人材等への研修

Q8：貴院における「厚生労働省事業で行っているものを除く、臨中病院以外の医療機関の臨床研究従事者や研究支援人材等への研修」について、

有無を選択し、研修がある場合は内容をご記入ください。

厚生労働省事業で行っているものを除く、臨中病院以外の医療機関	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

9. 治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進

Q9：貴院における「治験・臨床試験に対する国民・患者の理解・参画促進」について、下記の項目に該当する内容をご記入ください。

9-1：治験・臨床試験の実施に関する情報公開	

9-2：治験・臨床試験に関する一般的な相談窓口の状況（各年度の相談件数等）	

9-3：病院内外を対象にした教育セミナーや講習会の実施（各年度の開催件数等）	①患者向け
	②医師向け

9-4：PPIの好事例（右記のような例があれば記載してください）	プロトコルのblush up
	患者・市民との協働による手順書作成と実施
	レイ・プロトコール・シノプシス
	説明文書・同意文書、説明補助資料の作成
	レイ・サマリー

10. 治験・臨床試験手続きの効率化

AI 関連技術の利活用

Q10-1：貴院における「AI 関連技術の利活用」について、有無を選択し、利活用している場合は内容をご記入ください。

AI 関連技術の利活用	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

治験の一括審査のためのSingle IRB（体制の有無、審査実績の有無、院外からの審査依頼への対応の有無・件数）

Q10-2：貴院における「治験の一括審査のためのSingle IRB」について、有無を選択し、ある場合は体制の有無、

審査実績の有無、院外からの審査依頼への対応の有無・年間の件数をご記入ください。

体制	
審査実績	
院外からの審査依頼への対応	

※各項目に対して、ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

[上記にて、院外からの審査依頼への対応がありの場合]

過去1年間に院外からの 審査依頼へ対応した件数	

※半角数字でご記入ください。

標準化された説明文書・同意文書（ICF ）・契約書等の利用（有無、あれば内容を記載）

Q10-3：貴院における「標準化された説明文書・同意文書（ICF ）・契約書等の利用」について、利用がある場合は内容をご記入ください。

標準化された説明文書・同意文書 （ICF）・契約書等の利用	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

11.治験コストの透明化の向上

Fair Market Value（FMV）に基づ く費用算定

Q11：貴院における「Fair Market Value（FMV）に基づ く費用算定」について、有無を選択し、費用算定がある場合は内容をご記入ください。

Fair Market Value（FMV）に 基づく費用算定	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

12.治験・臨床試験 DX

治験・臨床試験におけるDXの取り組み

Q12-1-1：貴院における「治験・臨床試験におけるDXの取り組み」について、有無を選択し、取り組みがある場合は内容をご記入ください。

治験・臨床試験における DXの取り組み	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

デジタル技術で治験・臨床研究の効率化につながる取り組み

Q.12-1-2：貴院における「デジタル技術で治験・臨床研究の効率化につながる取り組み」について、有無を選択し、取り組みがある場合は内容をご記入ください。

デジタル技術で治験・臨床研究の 効率化につながる取り組み	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

内容	

リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績

Q12-2：貴院における「リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績」について、有無を選択し、取り組みがある場合は件数をご記入ください。

リアルワールドデータを用いた 臨床研究の実績	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

[上記にて、実績がありの場合]

過去1年間に実施したリアルワールドデータを用いた臨床研究の実績件数	

※半角数字でご記入ください。

↓

その内、ナチュラルヒストリーを使った単群試験の件数、および、事前に統計解析計画を立ててマッチングを行った試験の件数をご記入ください。

ナチュラルヒストリーを使った単群試験	
事前に統計解析計画を立ててマッチングを行った試験	

※半角数字でご記入ください。

医療情報システムにおけるData Ware Houseの有無

Q12-3：貴院における「医療情報システムにおけるData Ware Houseの有無」について、有無を選択してください。

医療情報システムにおけるData Ware Houseの有無	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

CRF含めた臨床研究運用システムの有無（ あれば、導入システムの概要、電子カルテシステム等との連携の有無）

Q12-4：貴院における「CRF含めた臨床研究運用システムの有無」について、有無を選択し、ある場合は導入システムの概要、

電子カルテシステム等との連携の有無をご記入ください。

CRF含めた臨床研究運用システム	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

導入システムの概要	

[上記にて、CRF含めた臨床研究運用システムがありの場合]

電子カルテシステム等との連携	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

DCTシステム

Q12-5：DCTシステムはどのようなものを導入していますか。システムの概要をご記入ください。

導入DCTシステムの概要	

13. 企業治験

Q13：企業治験における、以下の各項目にかかる日数をご記入ください。

※任意：以下の中央値等が提出できる場合は提出してください。

	最初のコンタクトから契約まで	契約から同意取得が可能になった日まで	契約からFirst Patient inまで
日数			

ナショナルセンター　実態調査結果

（集計・分析サマリー）

【はじめに】箱ひげ図の見方・読み取り方

■ 箱ひげ図（Box Plot）とは
- データのばらつきを「箱」と「ひげ」で表現したグラフ
- 平均値だけでは見えない、データの偏りや極端な値を把握

【基本構造】5つの指標で分布を把握



← 最大値・最小値：全体範囲

← 第3四分位数 ： 上位25%点

← 中央値：データの真ん中

← 第1四分位数：下位25%点

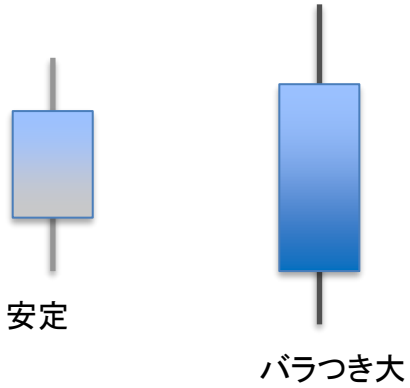
【読み取り方】

● 箱の長さ ＝「データの密度」
箱が短いほど、中央付近に値が密集（安定）。

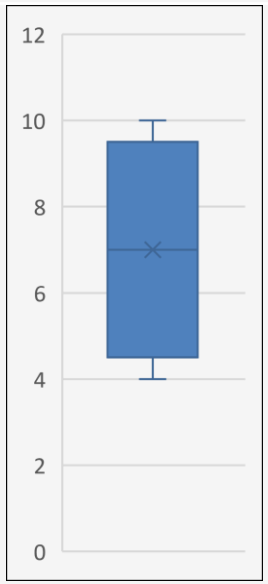
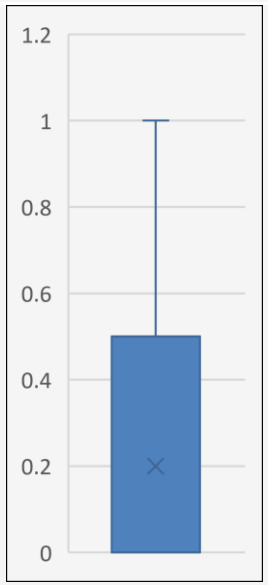
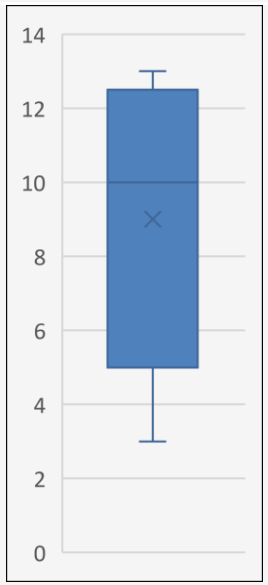
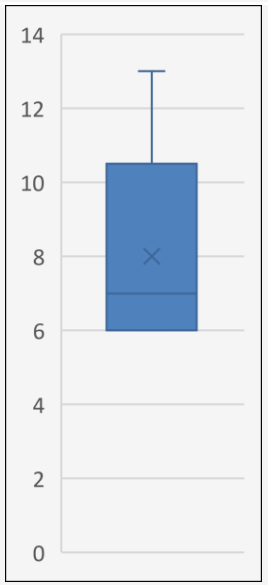
● 中央値の位置 ＝「データの偏り」
線が上下に寄っていると、分布に偏りあり。

● 比較のポイント
複数の箱を並べ、位置や長さのズレを見る。

● 外れ値
外れ値(他の値から一定以上離れたデータ)が存在する場合、箱やひげの範囲外に「点」として表示。



Part-1
Q4-1.臨床研究に携わる職員の員数

	医師	歯科医師	薬剤師	看護師
最大値	10.0	1.0	13.0	13.0
最小値	4.0	0.0	3.0	6.0
中央値	7.0	0.0	10.0	7.0
平均値	7.0	0.2	9.0	8.0
				

[集計範囲]:
調査半年以内のある月の初めの日における各NCの現員数。

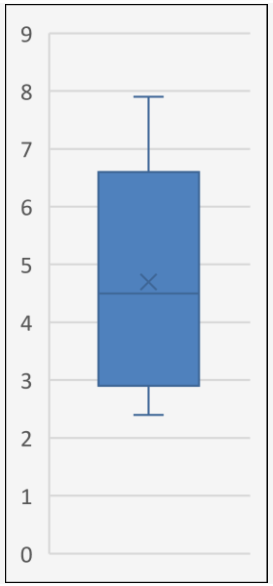
[計上基準]:
医療法施行規則第9条の25の規定に沿って、特定臨床研究を適正に実施するための体制に関わる業務を行っている者（整数）。

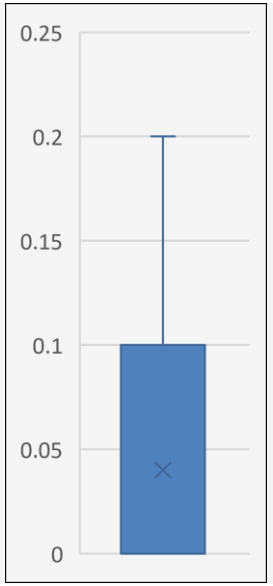
[分布の概況]:
薬剤師（中央値10.0名）、看護師（中央値7.0名）など、多職種にわたる人員確保が全施設で確認された。

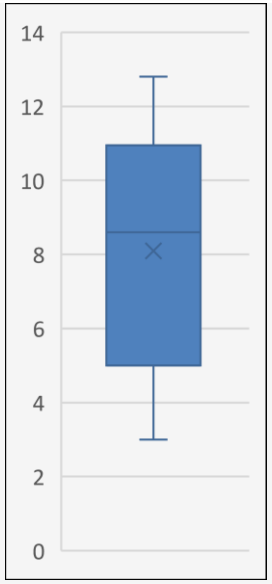
Part-1

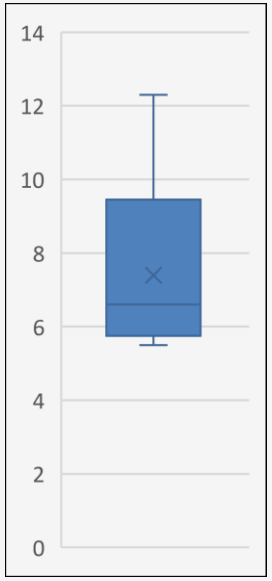
Q4-1.臨床研究に携わる職員の員数（エフォート換算）

	医師	歯科医師	薬剤師	看護師
最大値	7.9	0.2	12.8	12.3
最小値	2.4	0.0	3.0	5.5
中央値	4.5	0.0	8.6	6.6
平均値	4.7	0.0	8.1	7.4









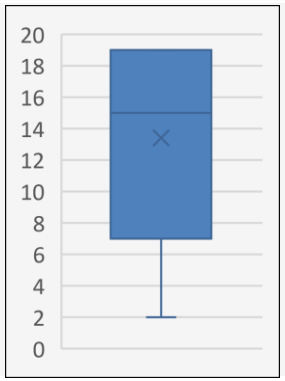
[算出方法]:
臨床研究業務に従事する時間が全勤務時間に占める割合を小数点以下1位まで算出。

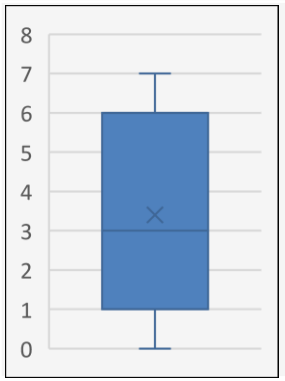
[現状]:
薬剤師のエフォート合計が平均8.1名と最も高く、薬剤管理や調剤等における臨床研究への関与度の高さが示された。

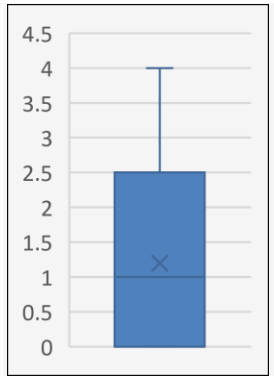
Part-1

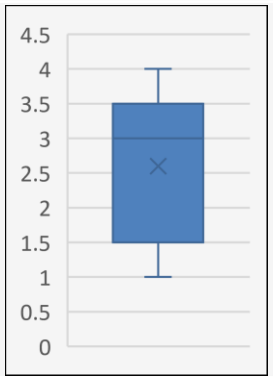
Q4-2.現在の臨床研究に携わるその他の従業者の員数

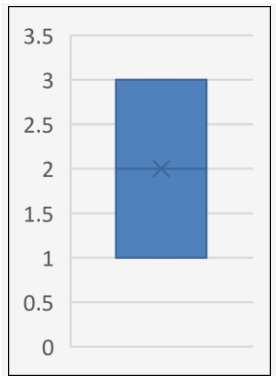
	専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者	専従の臨床研究に関するデータの管理に関する相当の経験及び識見を有する者	（任意）臨床研究実施に係るデータベース構築に必要な業務を行う者	専任の生物統計に関する相当の経験及び識見を有する者	専従の薬事に関する審査に関する相当の経験及び識見を有する者
最大値	19.0	7.0	4.0	4.0	3.0
最小値	2.0	0.0	0.0	1.0	1.0
中央値	15.0	3.0	1.0	3.0	2.0
平均値	13.4	3.4	1.5	2.6	2.0











[対象]:
データマネージャー、生物統計家、薬事審査専門員など。

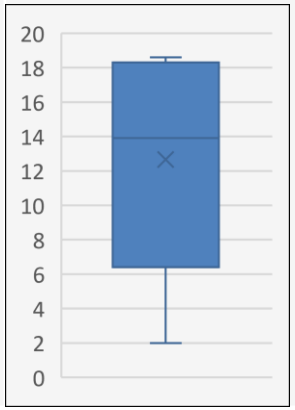
[計上基準]:
「専従」は就業時間の8割以上、「専任」は5割以上を該当業務に従事している者。

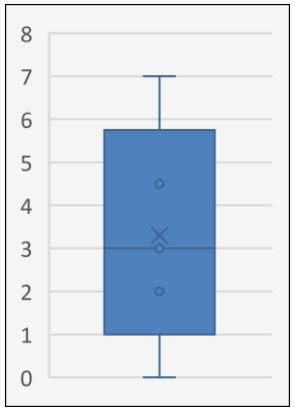
[分布の概況]:
専従の支援業務者が最大19.0名（平均13.4名）確保されており、NCにおける高度な支援体制の基盤となっている。

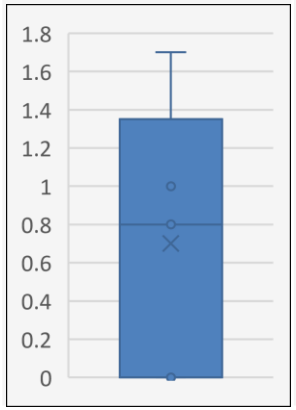
Part-1

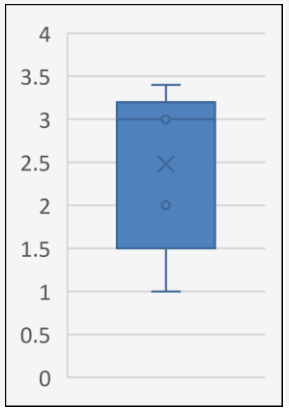
Q4-2.現在の臨床研究に携わるその他の従業者の員数(エフォート換算)

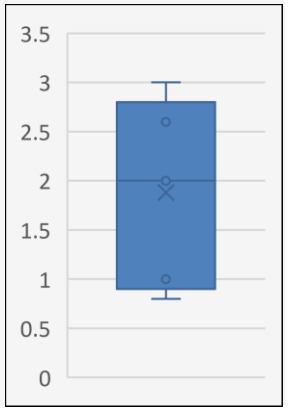
	専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者	専従の臨床研究に関するデータの管理に関する相当の経験及び識見を有する者	（任意）臨床研究実施に係るデータベース構築に必要な業務を行う者	専任の生物統計に関する相当の経験及び識見を有する者	専従の薬事に関する審査に関する相当の経験及び識見を有する者
最大値	18.6	7.0	1.7	3.4	3.0
最小値	2.0	0.0	0.0	1.0	0.8
中央値	13.9	3.0	0.9	3.0	2.0
平均値	12.7	3.3	0.9	2.5	1.9











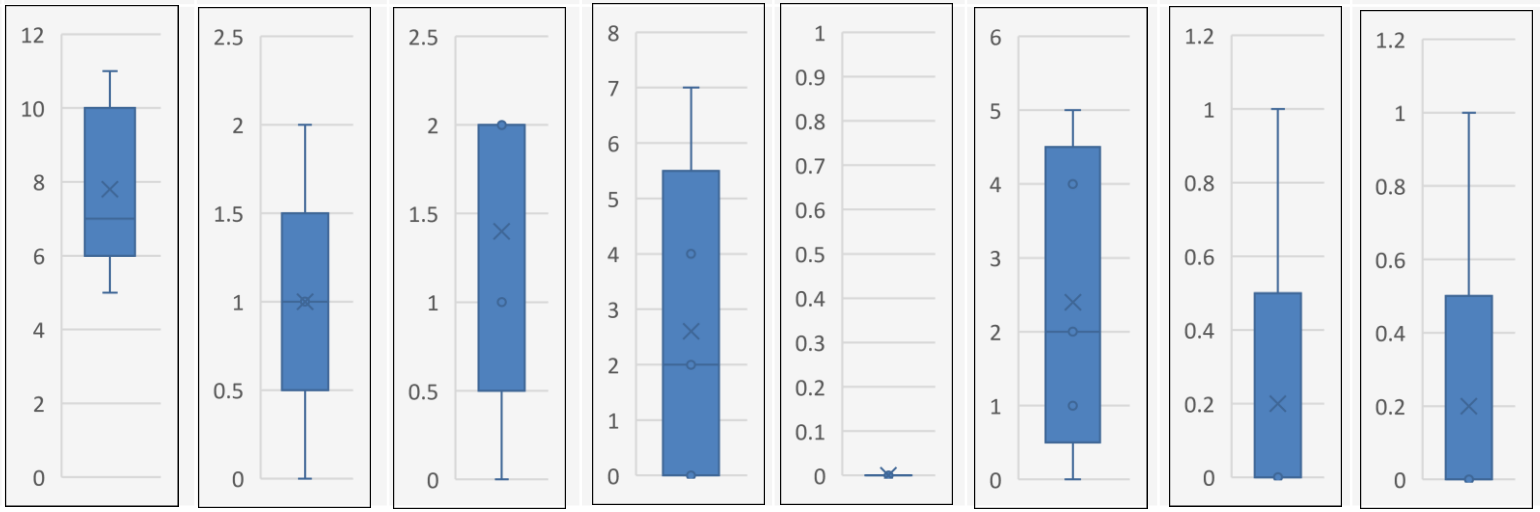
[事実]:
専従支援者のエフォート中央値は13.9名。

[傾向]:
生物統計家や薬事専門員のエフォートも中央値で2.5名～3.0名程度確保されており、高度専門人材が安定的に機能していることが伺える。

Part-1

Q5.専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者 員数

	CRC	モニター	PM	研究調整員	メディカルライター	研究倫理相談員	臨床検査専門員	研究監査員
最大値	11.0	2.0	2.0	7.0	0.0	5.0	1.0	1.0
最小値	5.0	0.0	0.0	0.0	0.0	1.0	0.0	0.0
中央値	7.0	1.0	2.0	2.0	0.0	3.0	0.0	0.0
平均値	7.8	1.0	1.4	2.6	0.0	3.0	0.3	0.3



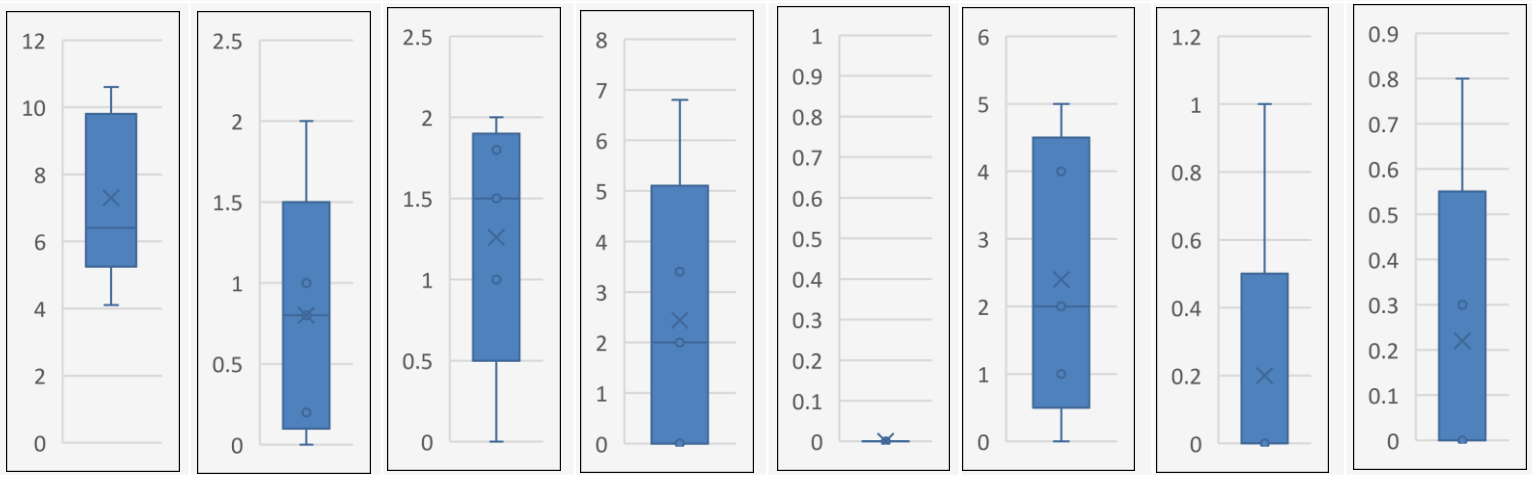
[職種構成]:
CRC、モニター、PM、研究調整員、メディカルライター、倫理相談員、臨床検査専門員、研究監査員。

[分布の概況]:
CRC（臨床研究コーディネーター）が中央値7.0名と最多。次いで研究調整員が平均2.6名と、調整業務の比重が高い。

Part-1

Q5.専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者 員数（エフォート換算）

	CRC	モニター	PM	研究調整員	メディカルライター	研究倫理相談員	臨床検査専門員	研究監査員
最大値	10.6	2	2	6.8	0.0	5.0	1.0	0.8
最小値	4.1	0	0	0	0.0	1.0	0.0	0.0
中央値	6.4	0.8	1.5	2	0.0	3.0	0.0	0.2
平均値	7.3	0.8	1.3	2.4	0.0	3.0	0.3	0.3

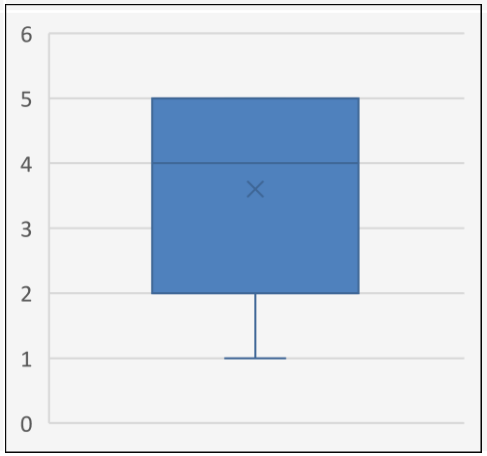


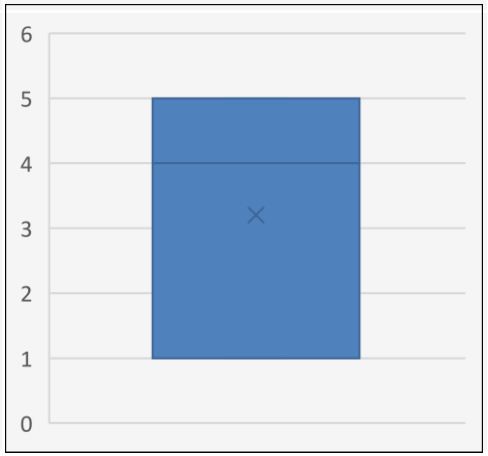
[事実]:
CRCのエフォート中央値は6.4名。

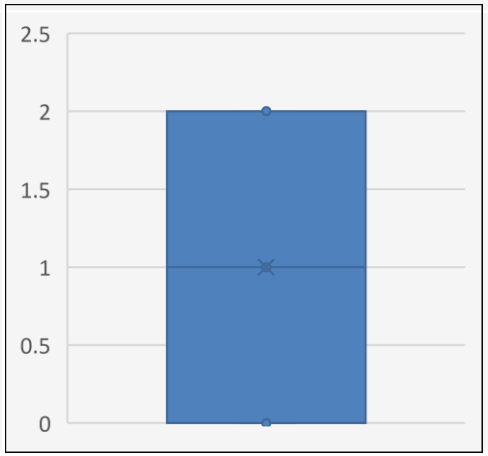
[傾向]:
研究倫理相談員や臨床検査専門員など、研究の「質」と「安全性」を担保する職種にも一定のエフォートが割かれている。

Part-2.1 / Q7-1(1).令和4～6年度の3年間に主導的に実施した医師主導治験の件数
Q7-1(2).医師主導治験の内訳　役割

	Q7-1(1).令和4～6年度の3年間に主導的に実施した医師主導治験の件数	Q7-1(2)　役割	
		当該病院において当該医師主導治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	当該病院が他の病院又は診療所に対し当該医師主導治験の実施に関する包括的な支援を行った件数
最大値	5.0	5.0	2.0
最小値	1.0	1.0	0.0
中央値	4.0	4.0	1.0
平均値	3.6	3.2	1.0





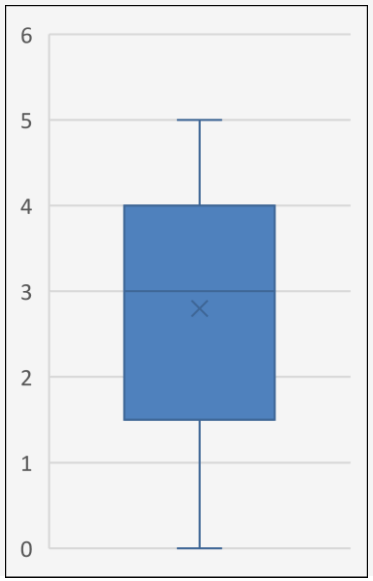
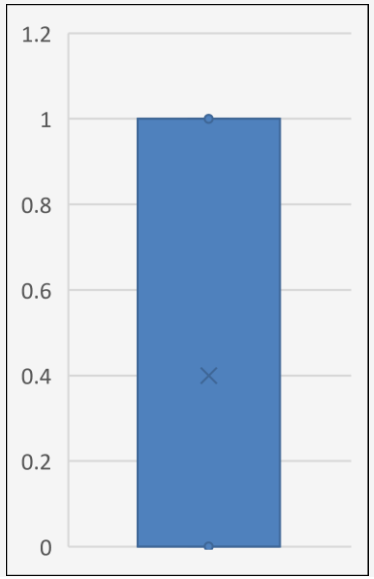
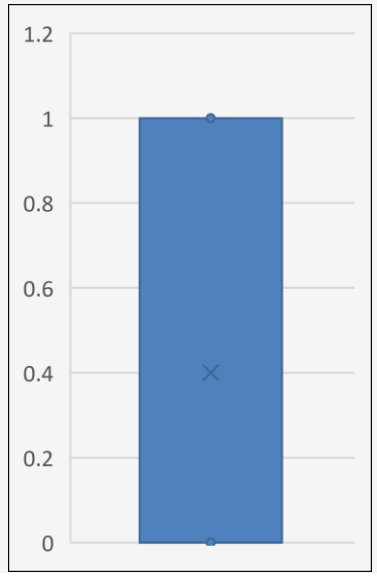


[集計範囲]:
令和4年度～令和6年度の3年間に各NCが主導的に実施した実績。

[役割区分]:
業務統括責任者を定めた件数、および他の病院に対し包括的な支援を行った件数。

[分布の概況]:
中央値4.0件。統括責任者を務めるだけでなく、他施設への包括支援（中央値1.0件）を担う役割も確認された。

Part-2.1
Q7-1(2).医師主導治験の内訳　医薬品等区分

	医薬品	医療機器	再生医療等製品
最大値	5.0	1.0	1.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	3.0	0.0	0.0
平均値	2.8	0.4	0.4
			

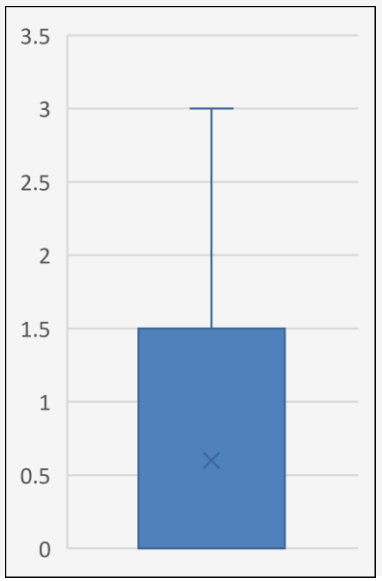
[計上基準]:
研究対象とする医薬品、医療機器、再生医療等製品の区分。

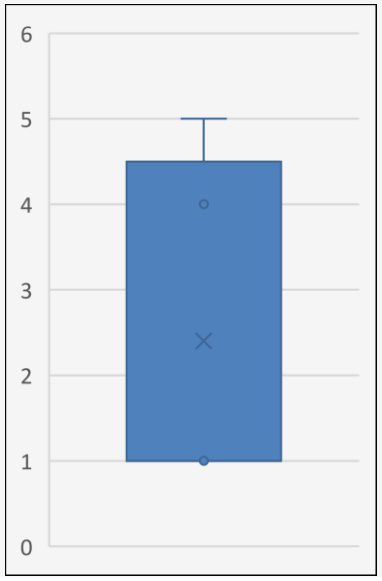
[事実]:
医薬品（中央値3.0件）が中心だが、医療機器や再生医療等製品の実績を有する施設もあり、NCの専門性の多様性が反映されている。

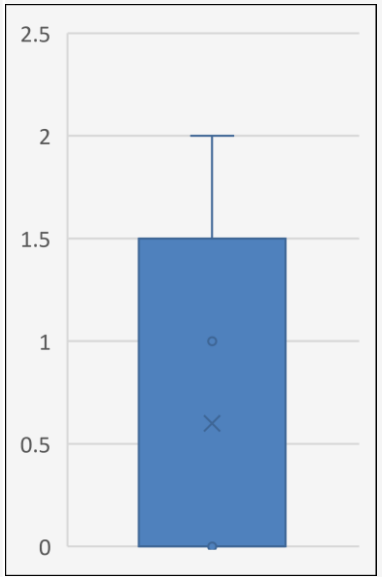
Part-2.1

Q7-1(2).医師主導治験の内訳　被験者・研究対象者

	小児	成人	小児・成人
最大値	3.0	5.0	2.0
最小値	0.0	1.0	0.0
中央値	0.0	1.0	0.0
平均値	0.6	2.4	0.6



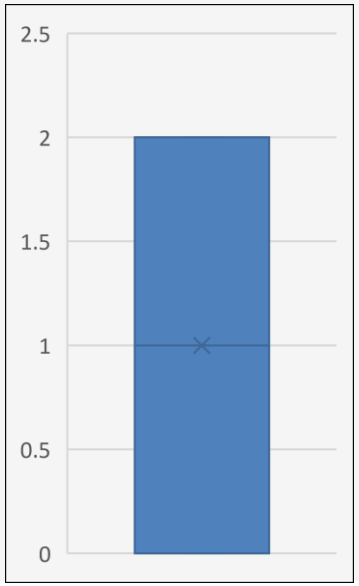
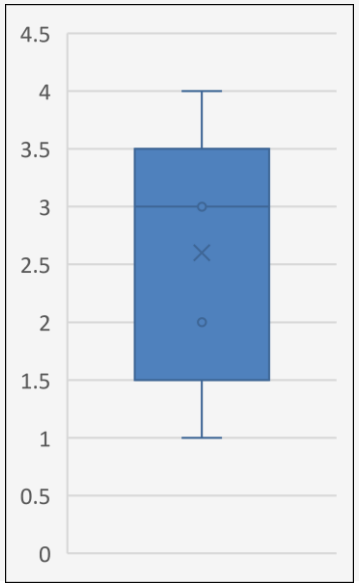




[集計基準]:
小児（満18歳まで）、成人、または両方を含む区分。

[分布の概況]:
成人を対象とした試験（中央値1.0件）が主流だが、特定のセンターでは小児（最大3.0件）の実績も顕著。

Part-2.1
Q7-1(2).医師主導治験の内訳　実施施設数

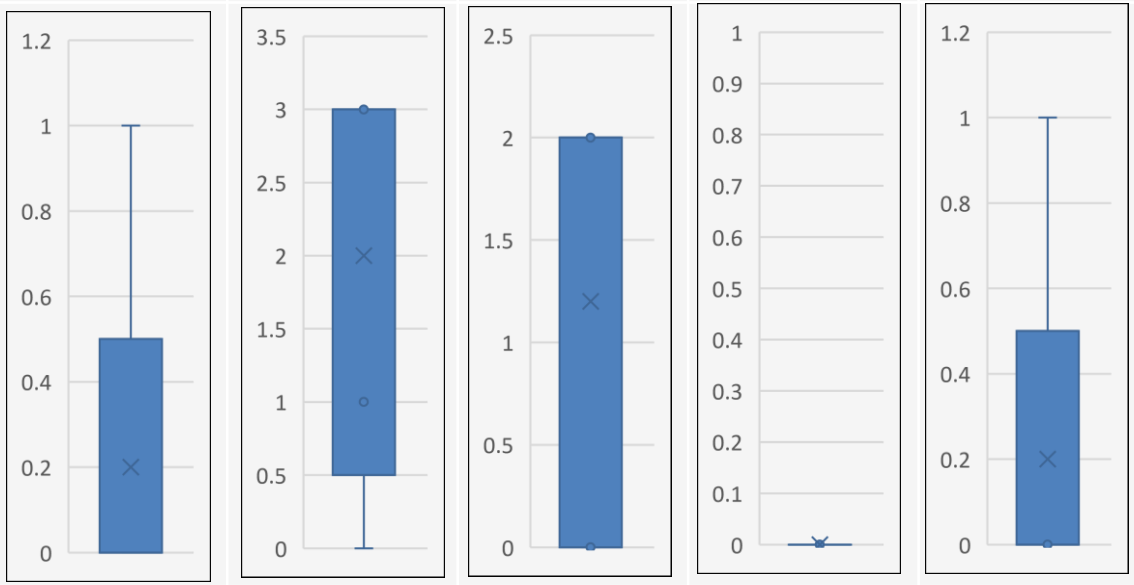
	単施設	多施設共同
最大値	2.0	4.0
最小値	0.0	1.0
中央値	1.0	3.0
平均値	1.0	2.6
		

[計上基準]:
単施設、または多施設共同での実施。

[事実]:
多施設共同試験が中央値3.0件（平均2.6件）となっており、各センターがハブとなってネットワーク型の治験を推進している。

Part-2.1
Q7-1(2).医師主導治験の内訳　フェーズ

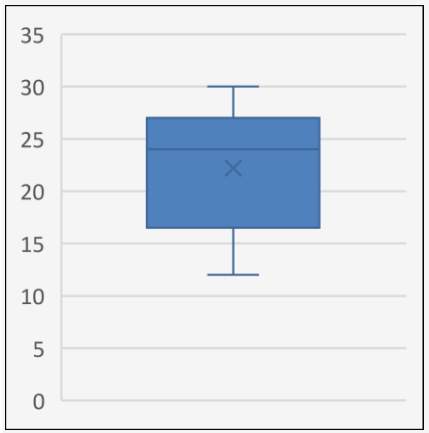
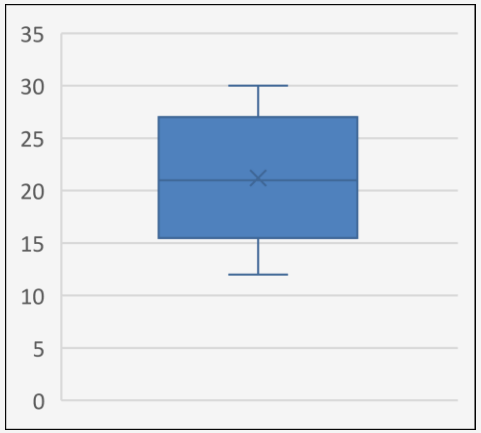
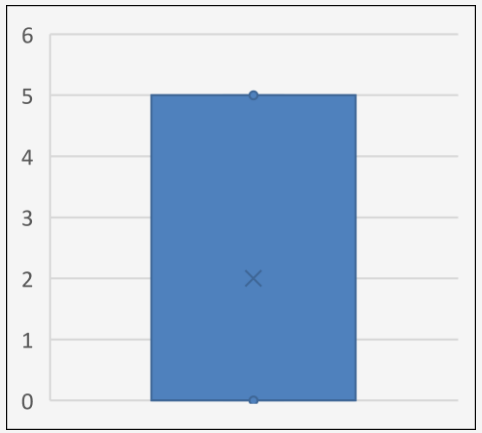
	Phase Ⅰ	Phase Ⅱ	Phase Ⅲ	Phase Ⅳ	その他
最大値	1.0	3.0	2.0	0.0	1.0
最小値	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
中央値	0.0	3.0	2.0	0.0	0.0
平均値	0.2	2.0	1.2	0.0	0.2



[開発段階]:
Phase Ⅰ ～ Ⅳ、およびその他。

[分布の概況]:
Phase Ⅱ（中央値3.0件）およびPhase Ⅲ（中央値2.0件）が多く、新規治療の実証試験が中核となっている。

Part-2.1 / Q7-2(1).令和4～6年度の3年間に主導的に実施した特定臨床研究の件数
Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　役割

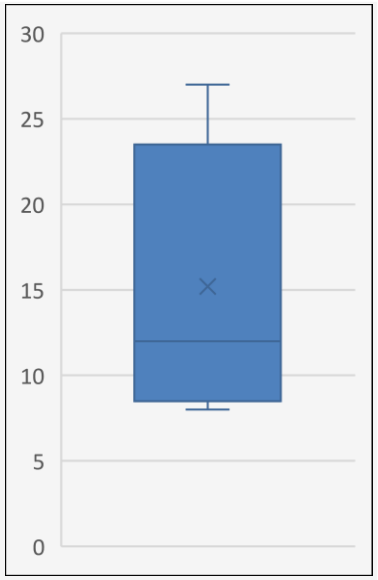
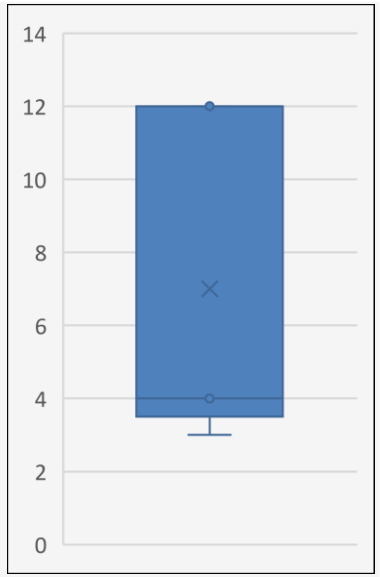
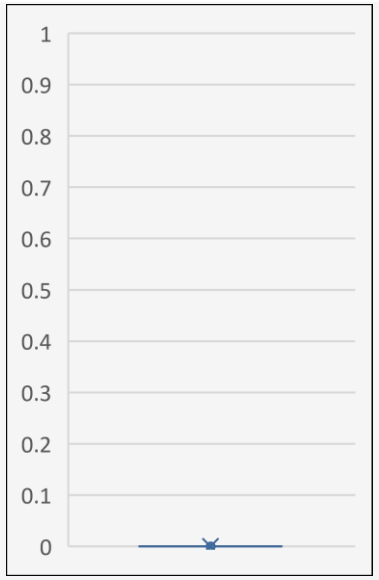
	Q7-2(1)令和4～6年度の3年間に主導的に実施した特定臨床研究の件数	Q7-2(2).役割	
		当該病院において当該特定臨床研究の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	当該病院が他の病院又は診療所に対し当該特定臨床研究の実施に関する包括的な支援を行った件数
最大値	30.0	30.0	5.0
最小値	12.0	12.0	0.0
中央値	24.0	21.0	0.0
平均値	22.2	21.2	2.0
			

[計上基準]:
臨床研究法に基づき届け出された実績。

[事実]:
医師主導治験に比べ件数が多く、中央値24.0件。

[傾向]:
ほぼすべての件数において自院が業務統括責任者を務めており、高い研究主導能力を示している。

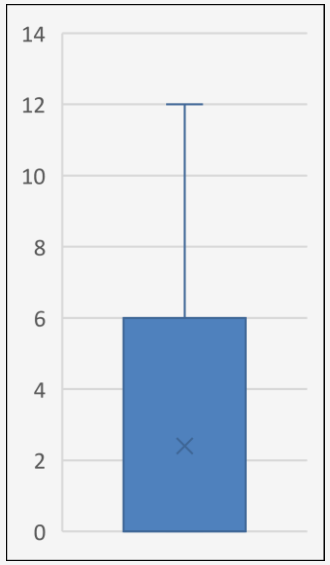
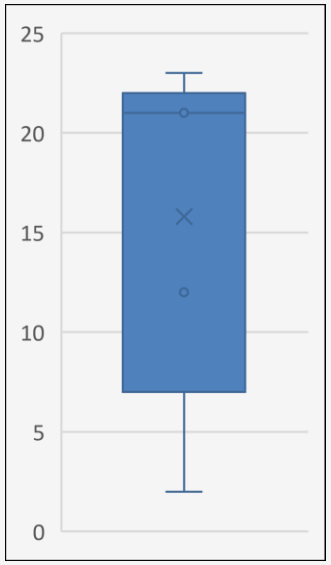
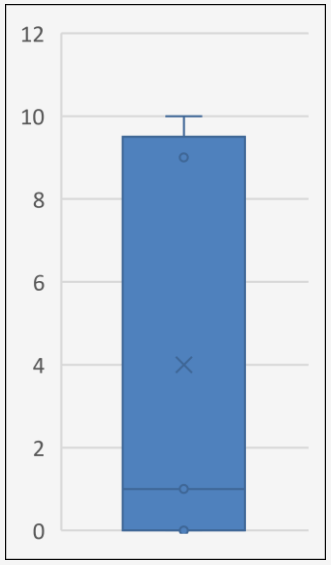
Part-2.1
Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　医薬品等区分

	医薬品	医療機器	再生医療等製品
最大値	27.0	12.0	0.0
最小値	8.0	3.0	0.0
中央値	12.0	4.0	0.0
平均値	15.2	7.0	0.0
			

[分布の概況]:
医薬品（中央値12.0件）に加え、医療機器に関する研究（中央値4.0件、最大12.0件）も活発に行われている。

Part-2.1

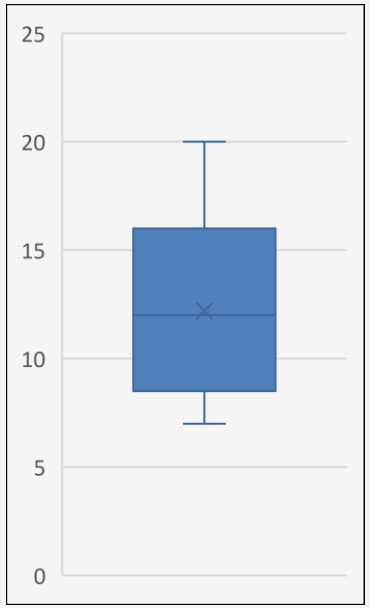
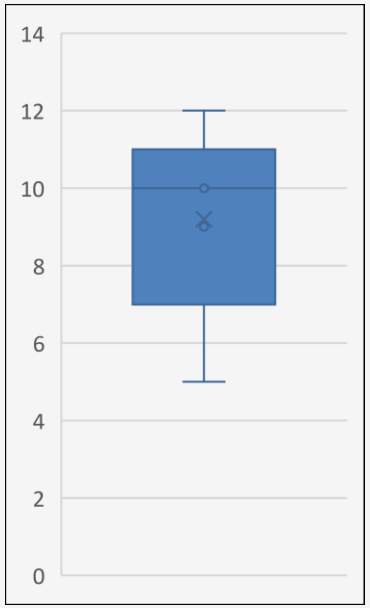
Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　被験者・研究対象者

	小児	成人	小児・成人
最大値	12.0	23.0	10.0
最小値	0.0	2.0	0.0
中央値	0.0	21.0	1.0
平均値	2.4	15.8	4.0
			

[事実]:
成人（中央値21.0件）が中心。

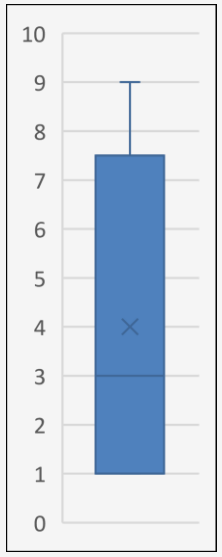
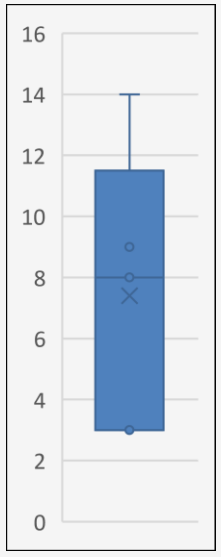
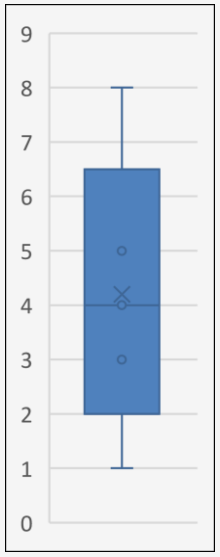
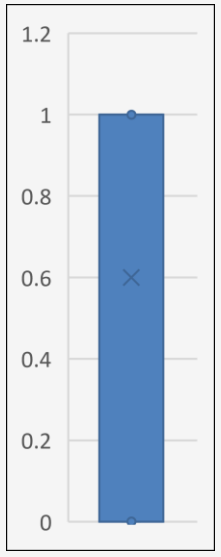
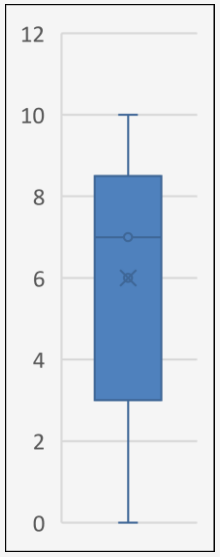
[傾向]:
小児・成人の双方を対象とした大規模な研究も最大10.0件（成育等）報告されており、幅広い層をカバーした研究実績が確認された。

Part-2.1
Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　実施施設数

	単施設	多施設共同
最大値	20.0	12.0
最小値	7.0	5.0
中央値	12.0	10.0
平均値	12.2	9.2
		

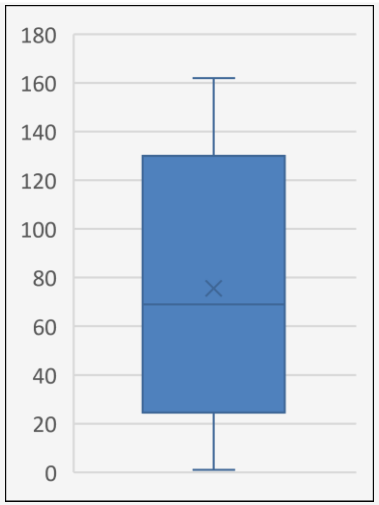
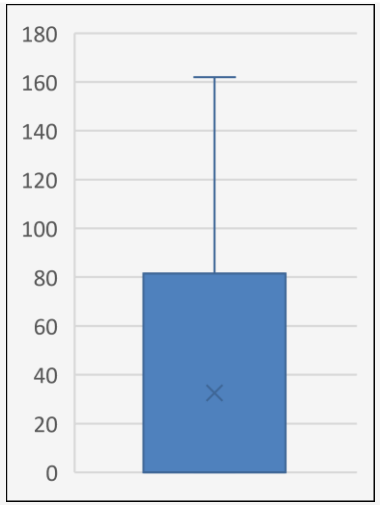
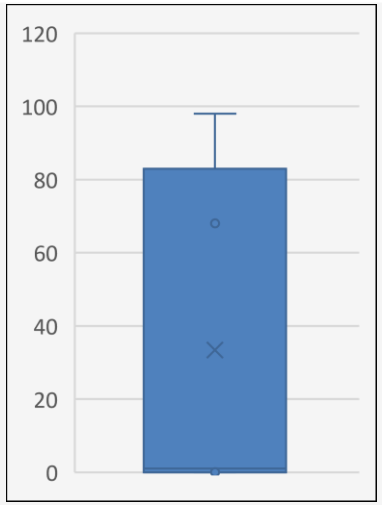
[分布の概況]:
単施設（中央値12.0件）と多施設共同（中央値10.0件）が拮抗しており、自院完結型の深化とネットワーク型の拡大の両立が見られる。

Part-2.1
Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　フェーズ

	Phase Ⅰ	Phase Ⅱ	Phase Ⅲ	Phase Ⅳ	その他
最大値	9.0	14.0	8.0	1.0	10.0
最小値	1.0	3.0	1.0	0.0	0.0
中央値	3.0	8.0	4.0	1.0	7.0
平均値	4.0	7.4	4.2	0.6	6.0
					

[分布の概況]:
Phase Ⅱ（中央値8.0件）が最多。また、「その他」として分類される観察研究等の付随研究も中央値7.0件と多い。

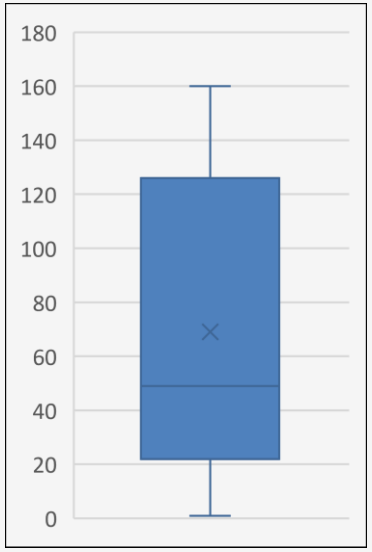
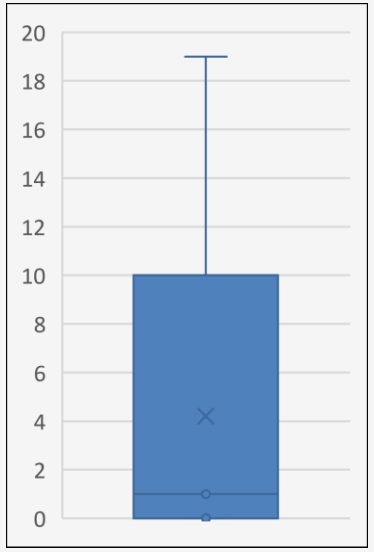
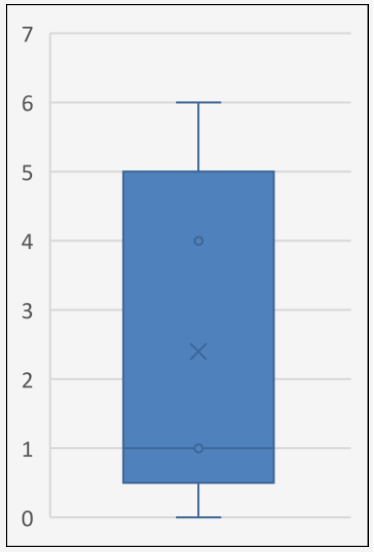
Part-2.1 / Q7-3(1). 令和4～6年度の3年間に、主導的に実施した企業治験の件数
Q7-3(2).企業治験の内訳　役割

	Q7-3(1).令和4～6年度の3年間に、主導的に実施した企業治験の件数	Q7-3(2).役割	
		当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数
最大値	162.0	162.0	98.0
最小値	1.0	0.0	0.0
中央値	69.0	0.5	34.5
平均値	75.6	40.8	41.8
			

[調査の前提]:
治験総括医師の担当や近隣機関とのDCT実施など、病院側が「主導的な役割」を果たした企業治験を抽出。

[分布の概況]:
最大162.0件（国際医療セ等）から最小1.0件まで幅があるが、平均75.6件と極めて高い受託・主導実績となっている。

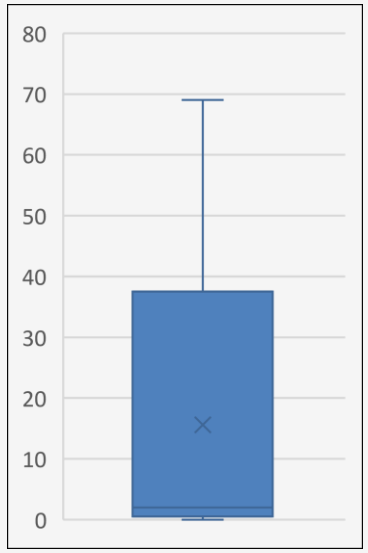
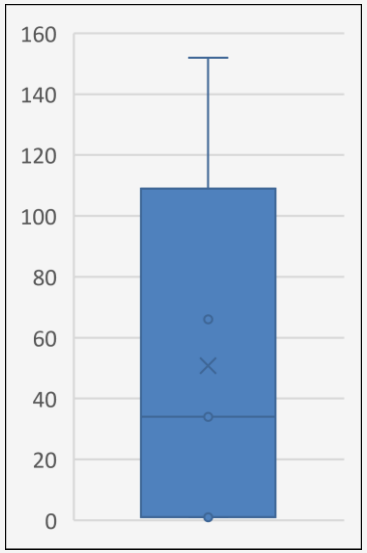
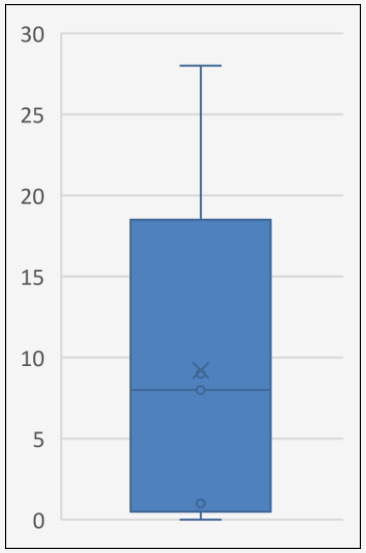
Part-2.1
Q7-3(2).企業治験の内訳　医薬品等区分

	医薬品	医療機器	再生医療等製品
最大値	160.0	19.0	6.0
最小値	1.0	0.0	0.0
中央値	49.0	1.0	1.0
平均値	69.0	4.2	2.4
			

[事実]:
医薬品が平均69.0件と圧倒的に多い。

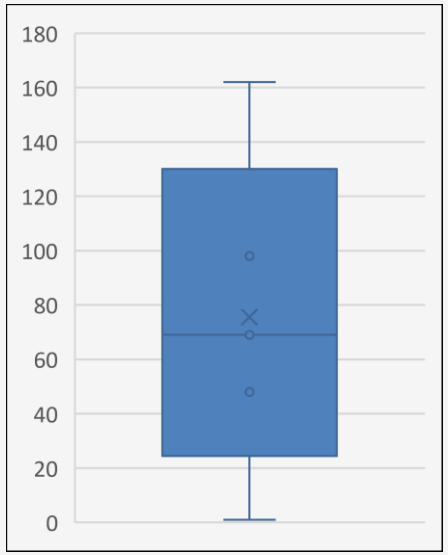
[傾向]:
再生医療等製品（最大6.0件）の実績も複数の施設で確認され、高度な製品への対応が進んでいる。

Part-2.1
Q7-3(2).企業治験の内訳　被験者・研究対象者

	小児	成人	小児・成人
最大値	69.0	152.0	28.0
最小値	0.0	1.0	0.0
中央値	2.0	34.0	8.0
平均値	15.6	50.8	9.2
			

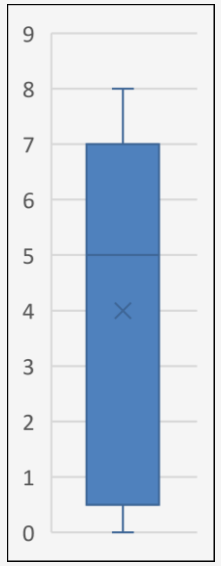
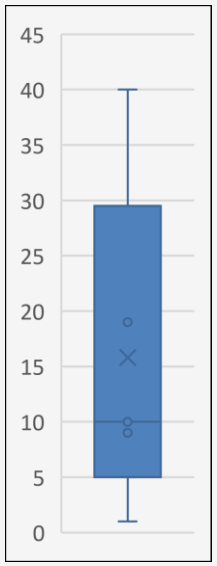
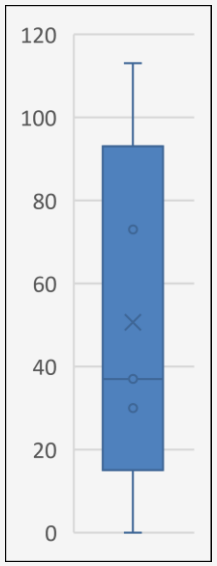
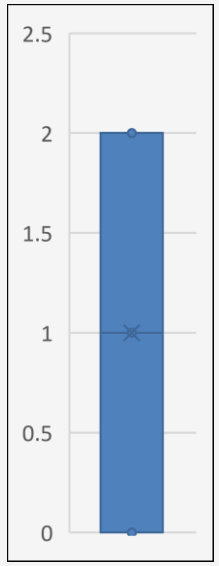
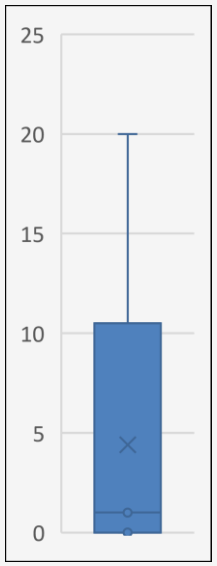
[分布の概況]:
成人（中央値34.0件）が中心だが、小児治験においても最大69.0件の実績を持つ施設があり、NCの特化領域が反映されている。

Part-2.1
Q7-3(2).企業治験の内訳　実施施設数

	単施設	多施設共同
最大値	0.0	162.0
最小値	0.0	1.0
中央値	0.0	69.0
平均値	0.0	75.6
		

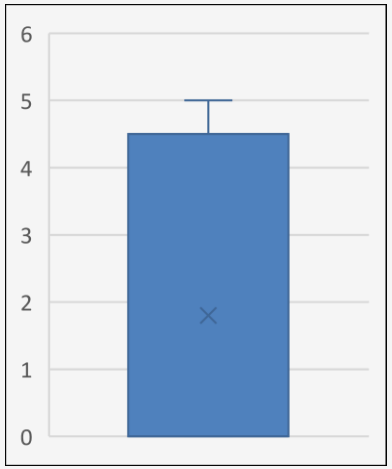
[事実]:
「主導的役割」を果たした企業治験のすべてが「多施設共同」での実績として報告された。

Part-2.1
Q7-3(2).企業治験の内訳　フェーズ

	Phase Ⅰ	Phase Ⅱ	Phase Ⅲ	Phase Ⅳ	その他
最大値	8.0	40.0	113.0	2.0	20.0
最小値	0.0	1.0	0.0	0.0	0.0
中央値	5.0	10.0	37.0	1.0	1.0
平均値	4.0	15.8	50.6	1.0	4.4
					

[分布の概況]:
Phase Ⅲ（中央値37.0件）が最も多く、次いでPhase Ⅱ（中央値10.0件）。臨床試験の最終段階における貢献度が非常に高い。

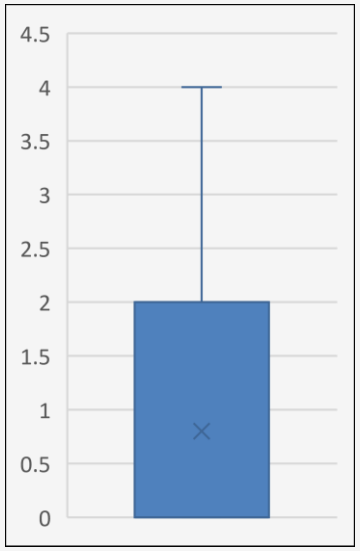
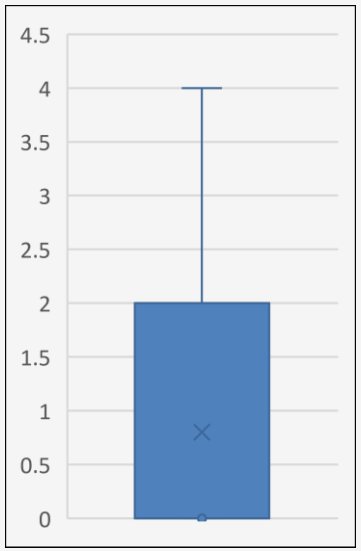
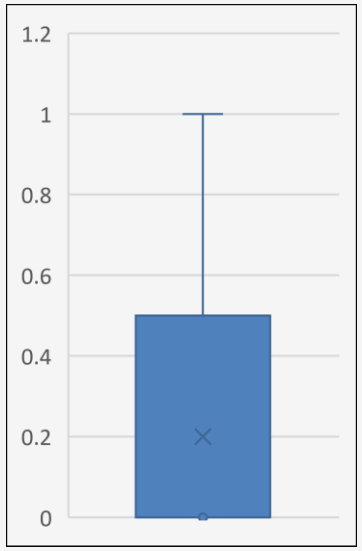
Part-2.1 / Q7-4(1). 令和4～6年度の3年間に、主導的に実施したFIH試験（治験に限る）の件数
Q7-4(2). FIH試験（治験に限る）の内訳　主導的な役割

	Q7-4(1).令和4～6年度の3年間に、主導的に実施したFIH試験（治験に限る）の件数	Q7-4(2). 主導的な役割	
		当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数
最大値	5.0	1.0	3.0
最小値	0.0	1.0	3.0
中央値	0.0	1.0	3.0
平均値	1.8	1.0	3.0
		※国立循環器病研究センターのみ回答	※国立循環器病研究センターのみ回答

[定義]:
ヒト初回投与試験（First-in-Human）。

[実績]:
特定の施設で最大5.0件の主導実績が報告された。

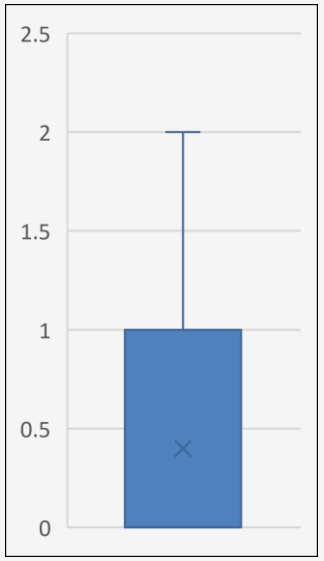
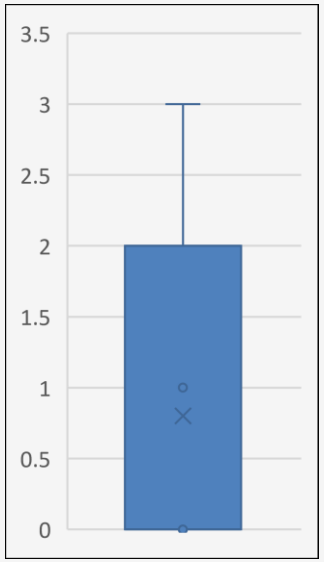
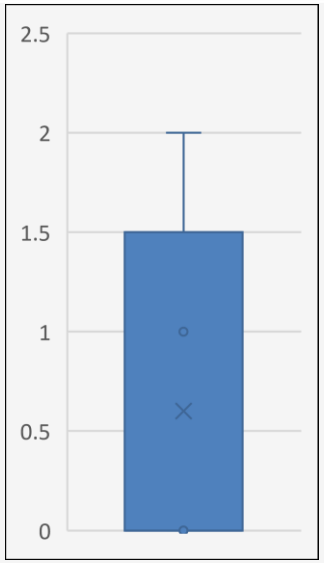
Part-2.1
Q7-4(2). FIH試験（治験に限る）の内訳　医薬品等区分

	医薬品	医療機器	再生医療等製品
最大値	4.0	4.0	1.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	0.0	0.0	0.0
平均値	1.3	1.3	0.3
			

[事実]:
医薬品および医療機器（いずれも平均1.3件）の実績。最先端のデバイス開発におけるFIH実績も確認された。

Part-2.1

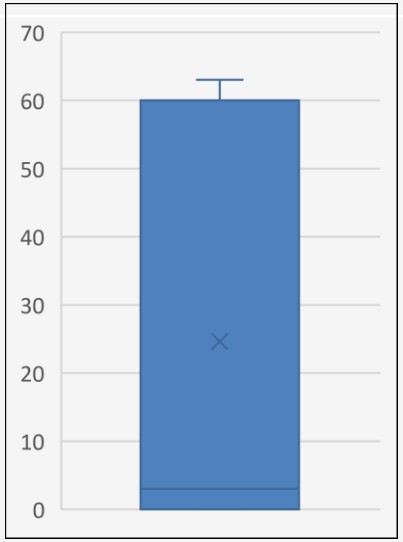
Q7-4(2). FIH試験（治験に限る）の内訳　被験者・研究対象者

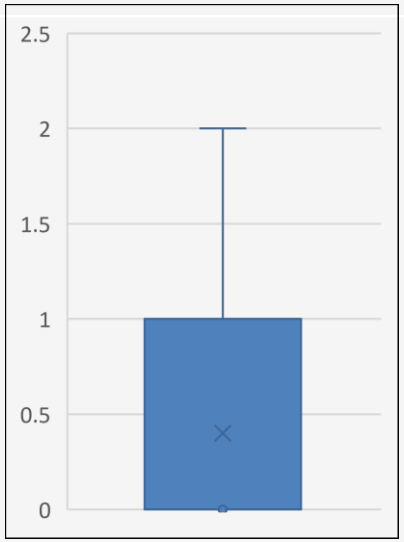
	小児	成人	小児・成人
最大値	2.0	3.0	2.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	0.0	1.0	1.0
平均値	0.7	1.3	1.0
			

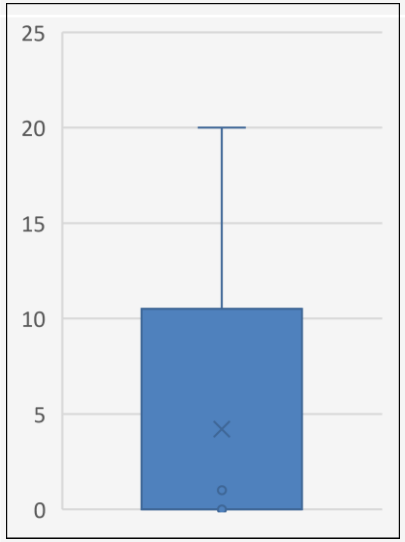
[事実]:
小児、成人、あるいは両方を含む高度なFIH試験が、一部のセンターで集中的に実施されている。

Part-2.1
Q7-5. リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績

	過去1年間に実施したリアルワールドデータを用いた臨床研究の実績件数	ナチュラルヒストリーを使った単群試験	事前に統計解析計画を立ててマッチングを行った試験
最大値	63.0	2.0	20.0
最小値	3.0	0.0	0.0
中央値	57.0	0.0	1.0
平均値	41.0	0.7	7.0





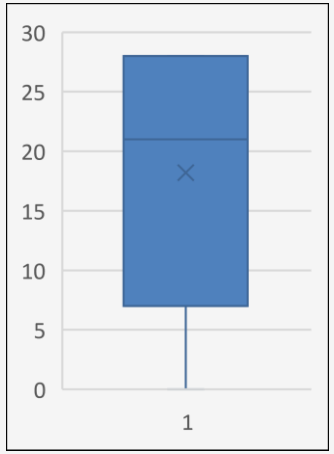
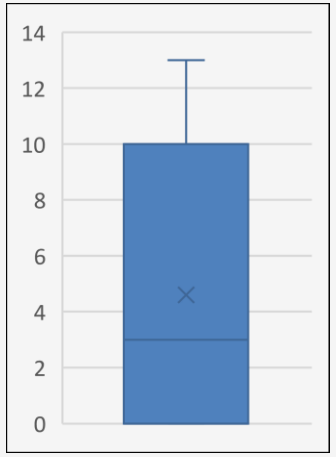
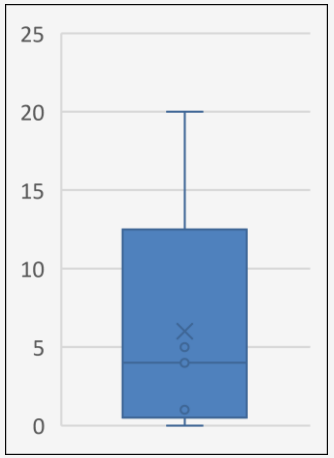
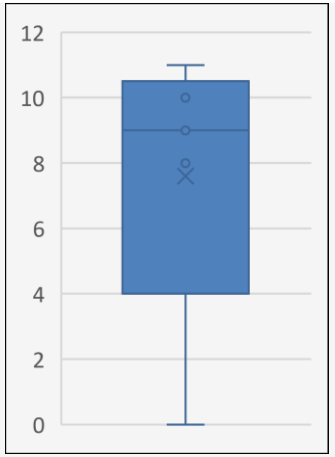


[計上基準]:
Q&Aの定義に基づき、前向き・後ろ向き、介入・観察を問わずRWDに基づく研究を広く抽出。

[分布の概況]:
直近1年間の実績は中央値57.0件（最大63.0件）。

[実態]:
事前に統計解析計画を立ててマッチングを行う高度な手法（最大20.0件）や、ナチュラルヒストリー活用事例も報告された。

Part-2.2 / Q8-1(1). 令和4～6年度の3年間に、特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の件数
Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　論文種別

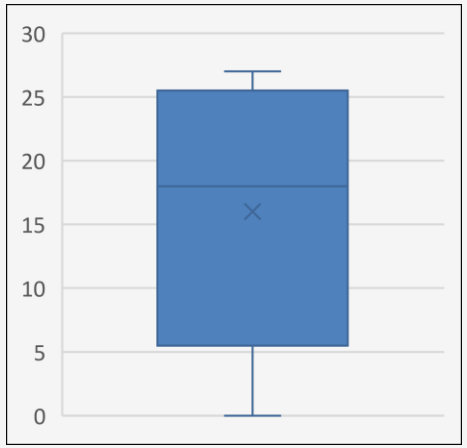
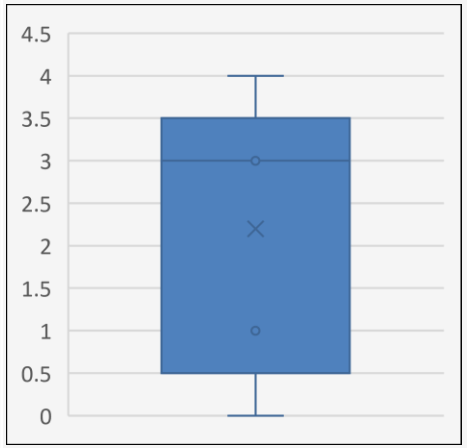
	Q8-1(1).令和4～6年度の3年間に、特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の件数	Q8-1(2).論文種別		
		主解析論文	サブ解析論文（個別の試験実施施設の結果等を含むサブグループ解析の論文）	プロトコール論文
最大値	28.0	13.0	20.0	11.0
最小値	14.0	0.0	1.0	8.0
中央値	24.5	5.0	4.5	9.5
平均値	22.8	5.8	7.5	9.5
				

[定義]:
査読あり英文雑誌掲載かつPubMed(PMID)登録済みの論文（主解析、サブ解析、プロトコール論文）。

[事実]:
平均22.8報。プロトコール論文（中央値9.5報）の割合も高く、研究の透明性確保への意識が高い。

Part-2.2

Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　主導的な役割

	当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数
最大値	27.0	4.0
最小値	11.0	1.0
中央値	21.0	3.0
平均値	20.0	18.7
		

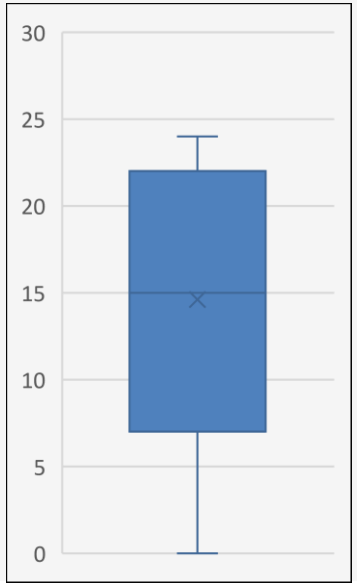
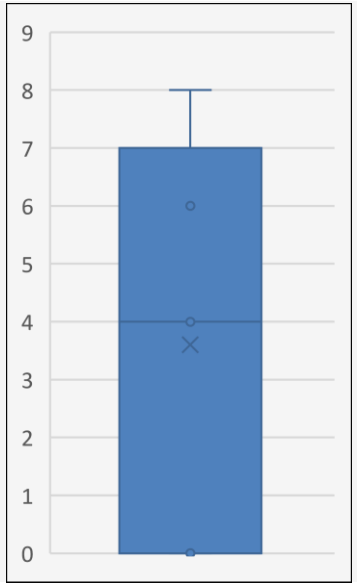
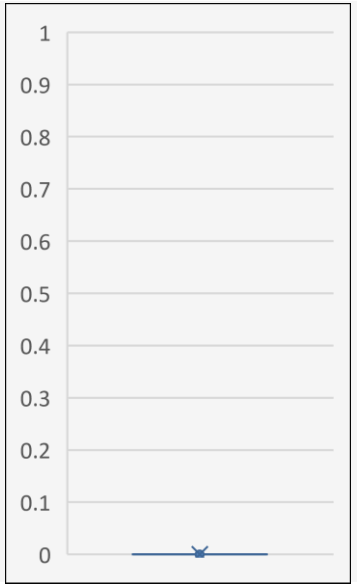
[調査の前提]:
臨床研究法に基づく「特定臨床研究」の成果として発表された質の高い論文（PubMed掲載等）の、研究対象（医薬品・医療機器・再生医療等製品）ごとの内訳。

[現況の整理]:
医薬品に関する論文が中央値17.5報（平均18.2報）と大半を占めており、医療機器に関する論文も中央値5.0報の実績が確認された。

[集計結果の概況]:
全施設において医薬品研究の成果発信が中心となっているが、再生医療等製品については、今回の集計対象期間内での該当論文の報告は確認されなかった。

Part-2.2

Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　医薬品等区分

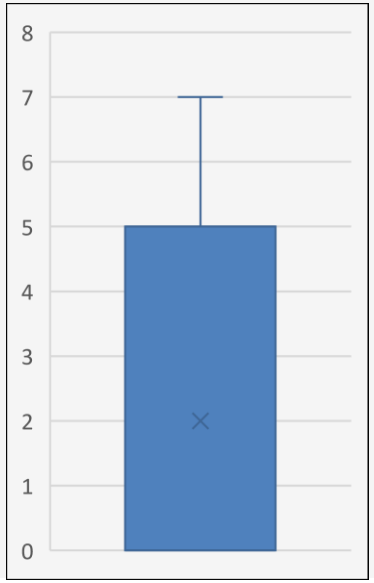
	医薬品	医療機器	再生医療等製品
最大値	24.0	8.0	0.0
最小値	14.0	0.0	0.0
中央値	17.5	5.0	0.0
平均値	18.2	4.5	0.0
			

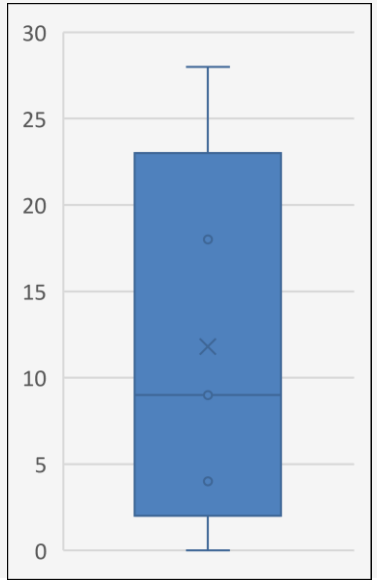
[事実]:
医薬品に関連する質の高い論文が中央値17.5報。医療機器についても平均4.5報の実績。

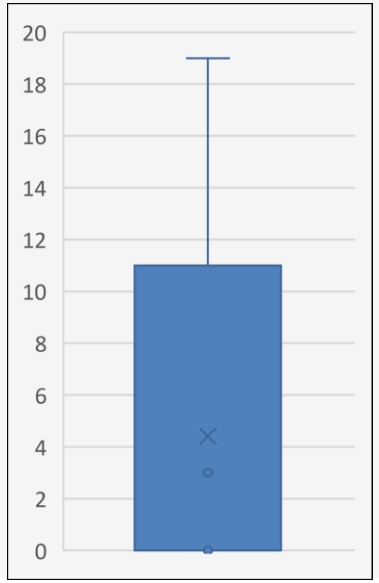
Part-2.2

Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　被験者・研究対象者

	小児	成人	小児・成人
最大値	7.0	28.0	19.0
最小値	0.0	4.0	0.0
中央値	1.5	13.5	1.5
平均値	2.5	14.8	5.5





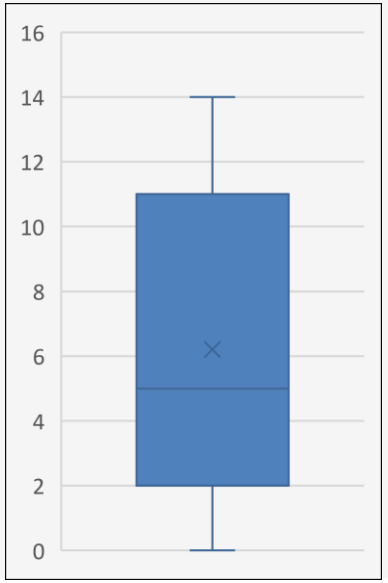


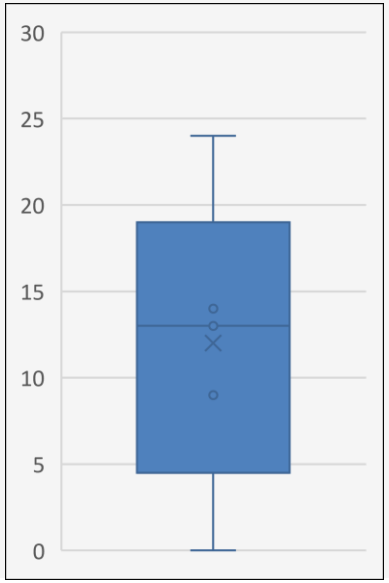
[分布の概況]:
成人（中央値13.5報）が中心。小児・成人の混合試験の結果報告も最大19.0報確認された。

Part-2.2

Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　実施施設数

	単施設	多施設共同
最大値	14.0	24.0
最小値	4.0	9.0
中央値	6.5	13.5
平均値	7.8	15.0



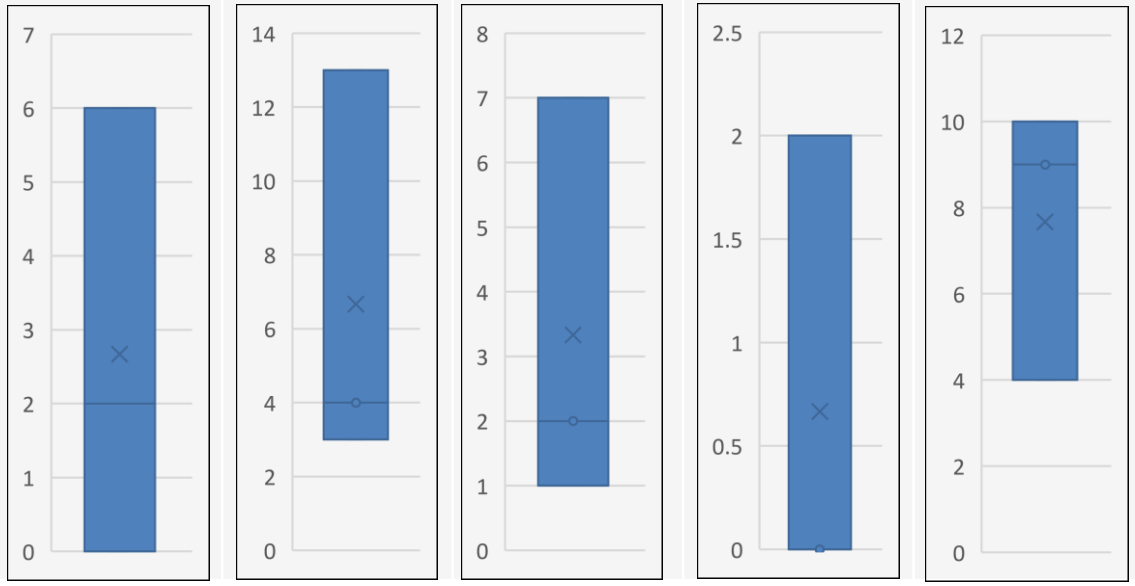


[事実]:
多施設共同研究の成果発表が平均15.0報と、単施設（平均7.8報）を大きく上回り、ネットワーク型研究の成果が顕著である。

Part-2.2

Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　フェーズ

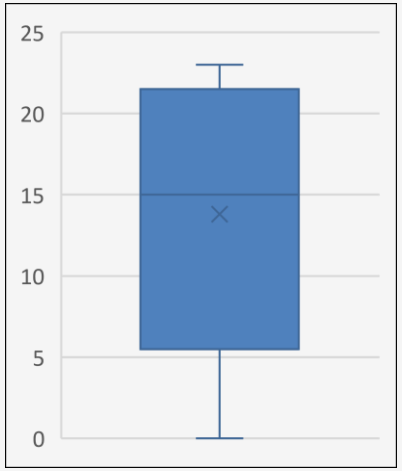
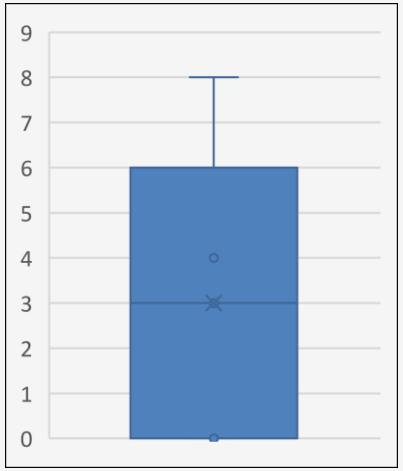
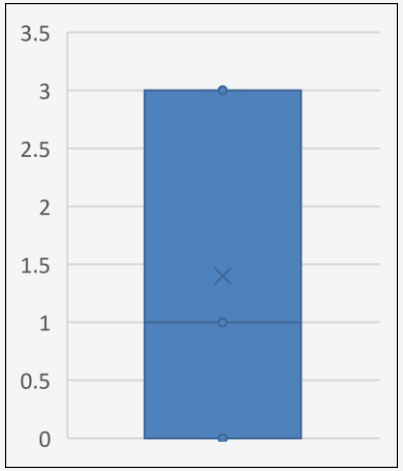
	Phase Ⅰ	Phase Ⅱ	Phase Ⅲ	Phase Ⅳ	その他
最大値	6.0	13.0	7.0	2.0	10.0
最小値	0.0	3.0	1.0	0.0	4.0
中央値	2.0	4.0	2.0	0.0	9.0
平均値	2.7	6.7	3.3	0.7	7.7



[分布の概況]:
Phase Ⅱ（中央値4.0報）を中心としつつ、レジストリ研究等を含む「その他」の成果報告が中央値9.0報と最多。

Part-2.2

Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　役割

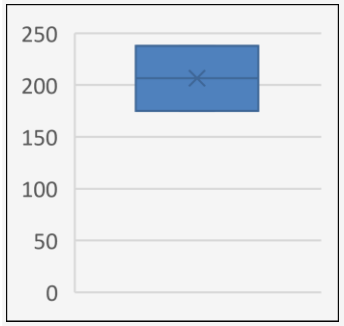
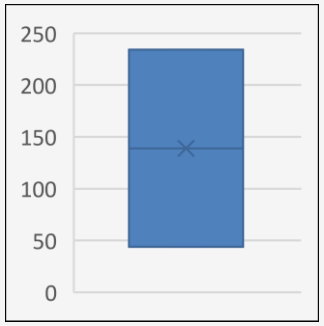
	筆頭著者が当該申請機関所属の場合	筆頭著者は当該申請機関に所属していないが研究計画書に定める研究責任者が当該申請機関所属の場合	その他の場合
最大値	23.0	8.0	3.0
最小値	11.0	0.0	0.0
中央値	17.5	3.5	2.0
平均値	17.2	3.8	1.8
			

[事実]:
自機関所属者が筆頭著者を務める論文が中央値17.5報。自ら研究をリードし、成果を発信する力が非常に高い。

Part-2.2

Q8-2(1). 令和4～6年度の3年間に、特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の件数

Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　役割

	Q8-2(1).令和4～6年度の3年間に、特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の件数	Q8-2(2). 役割		
		筆頭著者が当該申請機関所属の場合	筆頭著者は当該申請機関に所属していないが研究計画書に定める研究責任者が当該申請機関所属の場合	その他の場合
最大値	238.0	234.0	4.0	0.0
最小値	175.0	44.0	4.0	0.0
中央値	206.5	139.0	4.0	0.0
平均値	206.5	139.0	4.0	0.0
			※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答

[集計範囲]:
倫理指針下等の介入研究、疫学研究、観察研究等に基づく論文。

[事実]:
最大238報（国際医療セ等）の実績。

[傾向]:
大半の論文で自機関所属者が筆頭著者を務めており、広範な臨床研究活動が成果として可視化されている。

Part-2.2

Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　論文種別

	疫学研究	観察研究	介入研究	その他
最大値	0.0	200.0	14.0	24.0
最小値	0.0	200.0	14.0	24.0
中央値	0.0	200.0	14.0	24.0
平均値	0.0	200.0	14.0	24.0
	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答

[分布の概況]:
観察研究が最大200.0報。NCの基盤的な研究活動として観察研究が大きなウェイトを占めている。

Part-2.2

Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　医薬品区分

	医薬品	医療機器	再生医療等製品	手術・手技	その他
最大値	46.0	8.0	0.0	16.0	169.0
最小値	46.0	8.0	0.0	16.0	169.0
中央値	46.0	8.0	0.0	16.0	169.0
平均値	46.0	8.0	0.0	16.0	169.0
	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答

[事実]:
手術・手技（16.0報）や、その他（169.0報）としての診断・疫学等、既存の薬物治療に留まらない多様な研究成果が報告された。

Part-2.2

Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　被験者・研究対象者

	小児	成人	小児・成人
最大値	6.0	172.0	60.0
最小値	6.0	172.0	60.0
中央値	6.0	172.0	60.0
平均値	6.0	172.0	60.0
	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答

[分布の概況]:
成人（172.0報）が中心。NCの各領域における標準的な治療・診断の確立に寄与している。

Part-2.2

Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　実施施設数

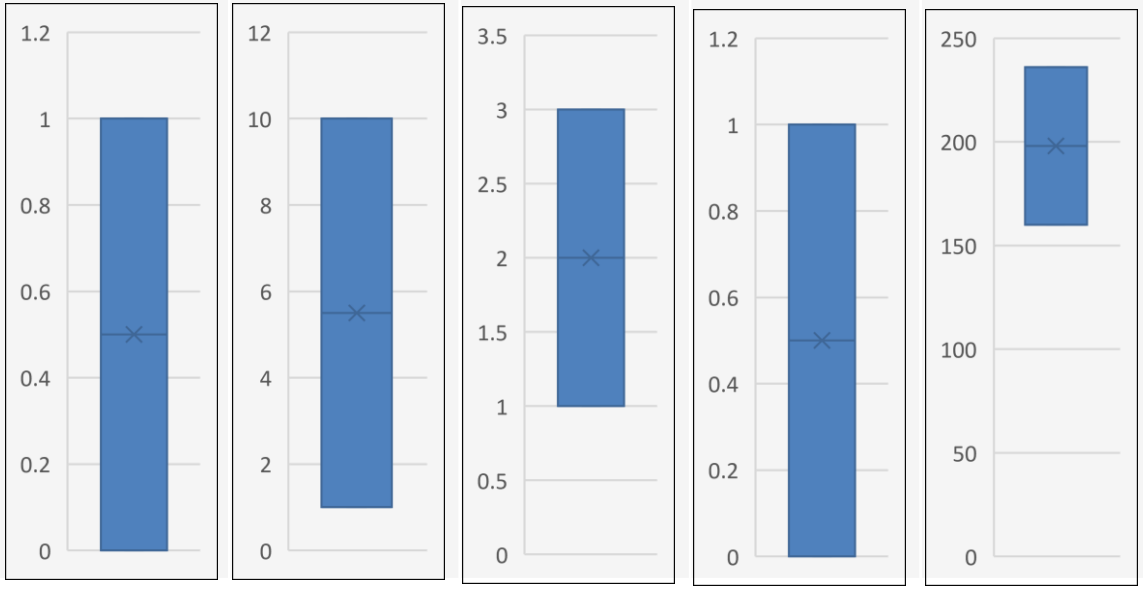
	単施設	多施設共同
最大値	124.0	114.0
最小値	124.0	114.0
中央値	124.0	114.0
平均値	124.0	114.0
	※国立国際医療センターのみ回答	※国立国際医療センターのみ回答

[事実]:
単施設（124.0報）と多施設共同（114.0報）が同程度存在し、独自の知見創出と共同研究の双方がバランスよく機能している。

Part-2.2

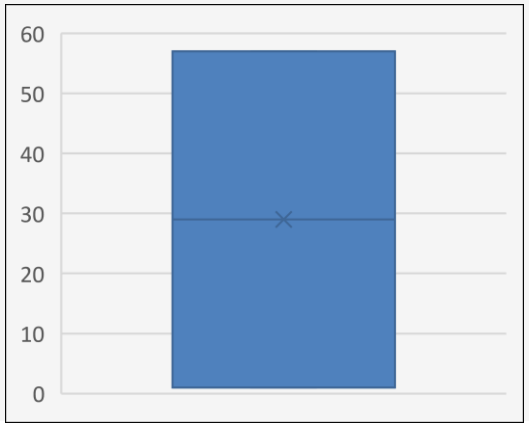
Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　フェーズ

	Phase Ⅰ	Phase Ⅱ	Phase Ⅲ	Phase Ⅳ	その他
最大値	1.0	10.0	3.0	1.0	236.0
最小値	0.0	1.0	1.0	0.0	160.0
中央値	0.5	5.5	2.0	0.5	198.0
平均値	0.5	5.5	2.0	0.5	198.0



[分布の概況]:
薬機法上のフェーズに該当しない「その他」が198.0報（平均）と大半を占めており、臨床的課題に基づいた広義の臨床研究が主である。

Part-2.2 / Q8-3. 令和4～6年度の3年間に、発表された診療ガイドラインの根拠になった論文の件数
Q8-4(1). 令和4～6年度の3年間に、貴院において発表された薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文の件数

	Q8-3.令和4～6年度の3年間に、発表された診療ガイドラインの根拠になった論文の件数	Q8-4(1).令和4～6年度の3年間に、貴院において発表された薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文の件数
最大値	57.0	0.0
最小値	1.0	0.0
中央値	29.0	0.0
平均値	29.0	0.0
		

[事実]:
最大57報がガイドラインの根拠資料として採用。

[評価]:
NCの発表論文が国内外の医療標準化において中心的なエビデンスとなっている実態が確認された。

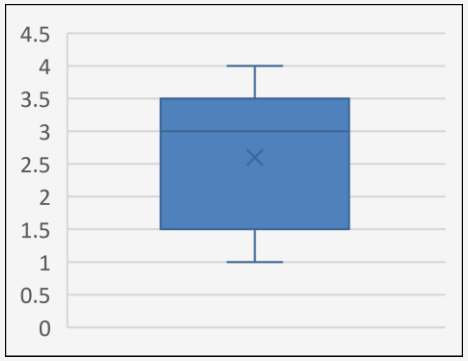
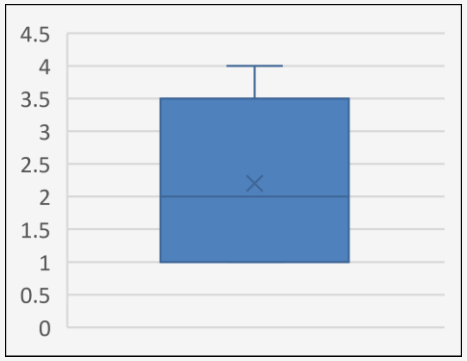
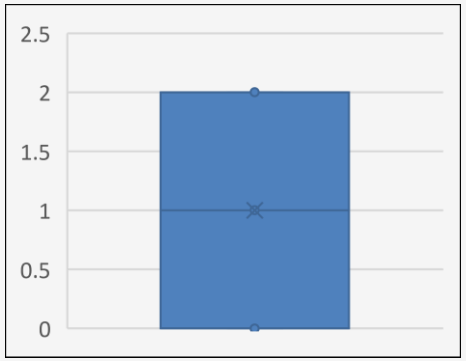
Part-2.2

Q8-4(2). 薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文の内訳　医薬品等区分

	医薬品	医療機器	再生医療等製品
最大値	-	-	-
最小値	-	-	-
中央値	-	-	-
平均値	-	-	-

[現状]:
過去3年間の実績として、今回の対象5施設からは該当実績の報告はなかった（今後の成果が期待される段階）。

Part-3 / Q9-1(1). 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して医師主導治験を実施するにあたり、実施の主導的な役割を果たした医師主導治験の件数
Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　主導的な役割

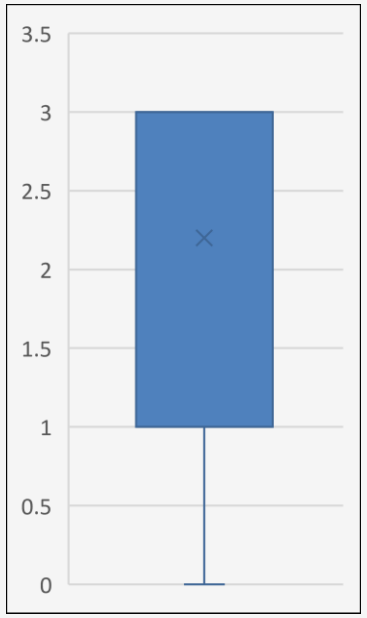
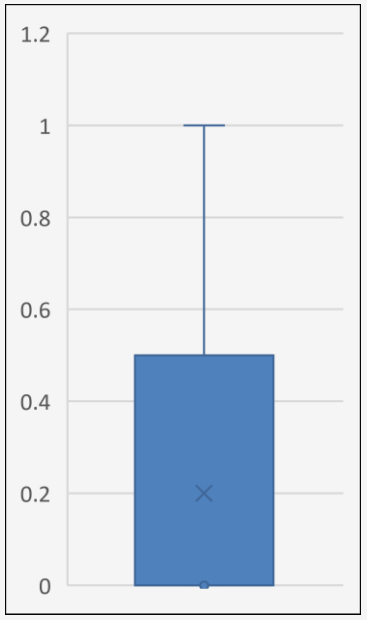
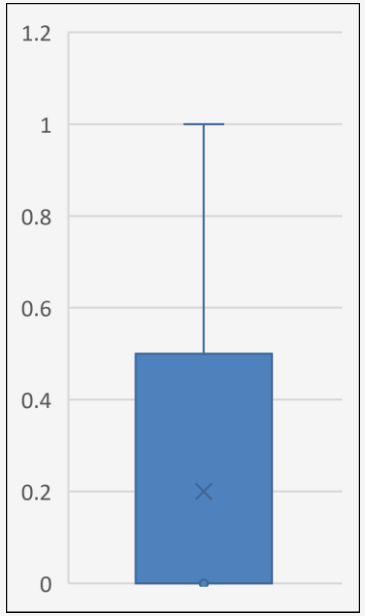
	Q9-1(1).令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して医師主導治験を実施するにあたり、実施の主導的な役割を果たした医師主導治験の件数	Q9-1(2). 主導的な役割	
		当該病院において当該医師主導治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	当該病院が他の病院又は診療所に対し当該医師主導治験の実施に関する包括的な支援を行った件数
最大値	4.0	4.0	2.0
最小値	1.0	1.0	0.0
中央値	3.0	2.0	1.0
平均値	2.6	2.2	1.0
			

[事実]:
全体的な実施の主導的な役割を果たした医師主導治験の件数は、過去3年間で中央値3.0件。

[役割]:
統括責任者を務める（平均2.2件）ほか、他施設への包括支援も平均1.0件実施している。

Part-3

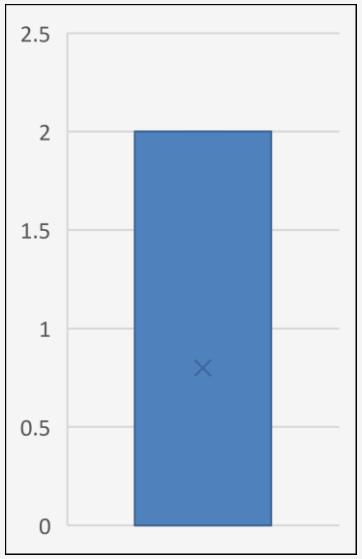
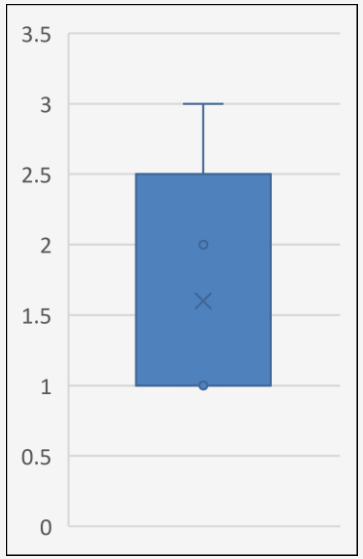
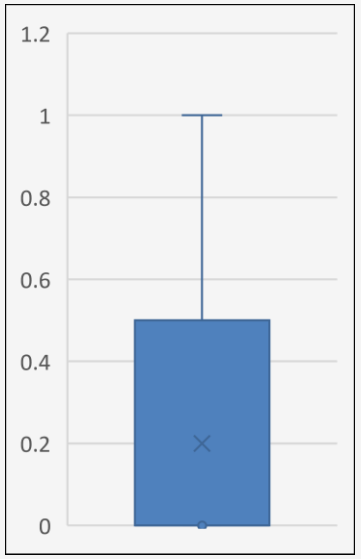
Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　医薬品等区分

	医薬品	医療機器	再生医療等製品
最大値	3.0	1.0	1.0
最小値	0.0	0.0	0.0
中央値	3.0	0.0	0.0
平均値	2.2	0.2	0.2
			

[分布の概況]:
主導実績の多くは医薬品（中央値3.0件）であり、新薬開発のハブ機能を果たしている。

Part-3

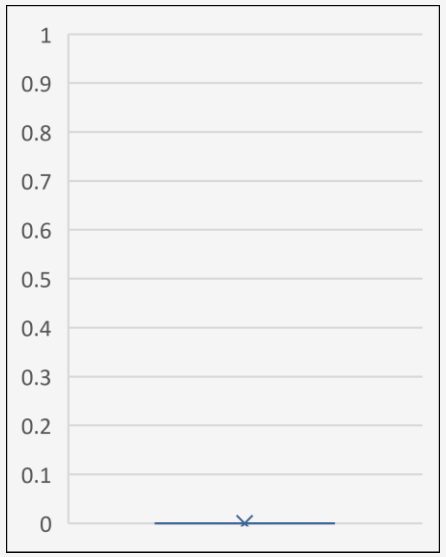
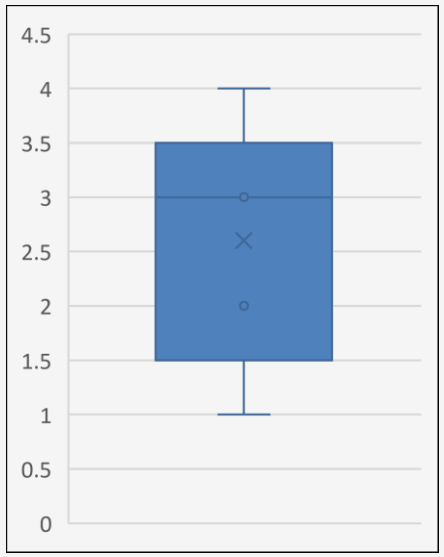
Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　被験者・研究対象者

	小児	成人	小児・成人
最大値	2.0	3.0	1.0
最小値	0.0	1.0	0.0
中央値	0.0	1.0	0.0
平均値	0.8	1.6	0.2
			

[事実]:
成人（中央値1.0件）が中心。一部のセンターで小児治験の主導実績（最大2.0件）が見られる。

Part-3

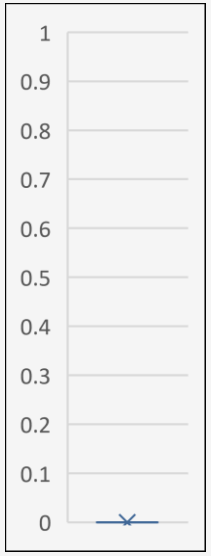
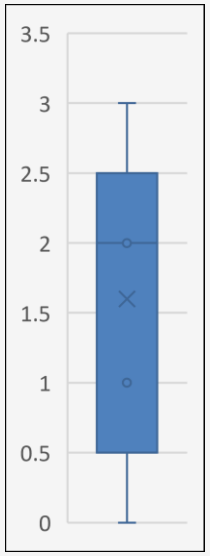
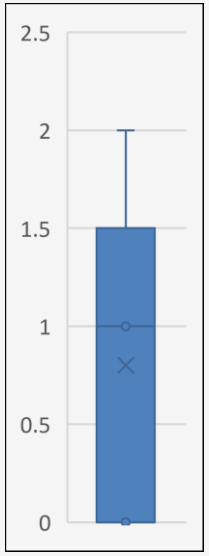
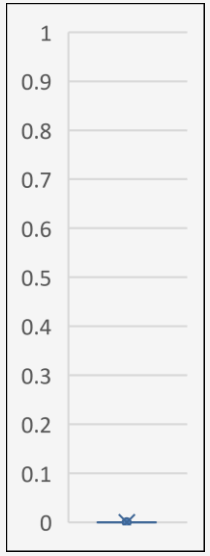
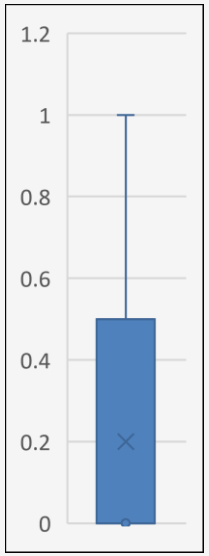
Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　実施施設数

	単施設	多施設共同
最大値	0.0	4.0
最小値	0.0	1.0
中央値	0.0	3.0
平均値	0.0	2.6
		

[事実]:
主導した治験の100%が多施設共同試験であり、中核的な調整機能を担っている。

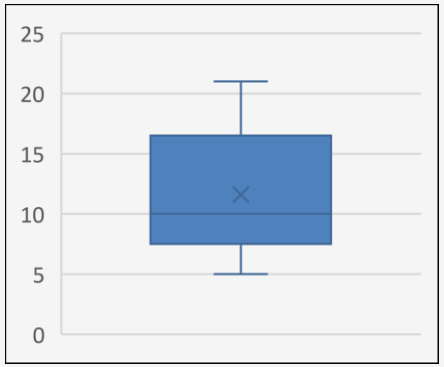
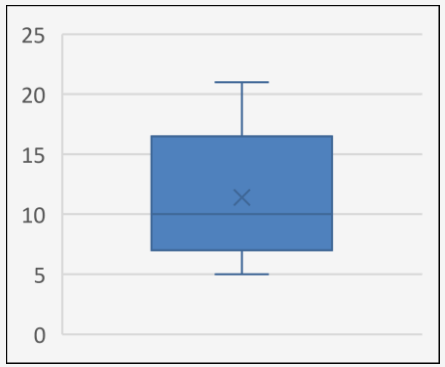
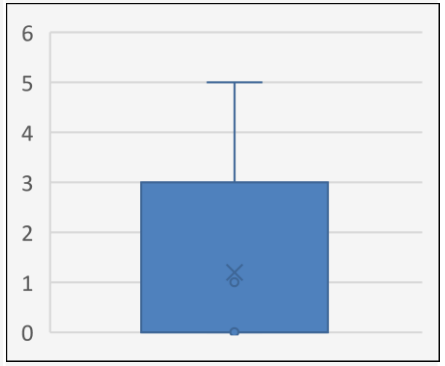
Part-3

Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　フェーズ

	Phase Ⅰ	Phase Ⅱ	Phase Ⅲ	Phase Ⅳ	その他
最大値	0.0	3.0	2.0	0.0	1.0
最小値	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
中央値	0.0	2.0	1.0	0.0	0.0
平均値	0.0	1.6	0.8	0.0	0.2
					

[分布の概況]:
Phase Ⅱ（中央値2.0件）が最多。次いでPhase Ⅲ（中央値1.0件）となっており、主要な検証試験をリードしている。

Part-3 / Q9-2(1). 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して特定臨床研究を実施するにあたって、実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の件数
Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　主導的な役割

	Q9-2(1).令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して特定臨床研究を実施するにあたって、実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の件数	Q9-2(2).主導的な役割	
		当該病院において当該特定臨床研究の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	当該病院が他の病院又は診療所に対し当該特定臨床研究の実施に関する包括的な支援を行った件数
最大値	21.0	21.0	5.0
最小値	5.0	5.0	0.0
中央値	10.0	10.0	0.0
平均値	11.6	11.4	1.2
			

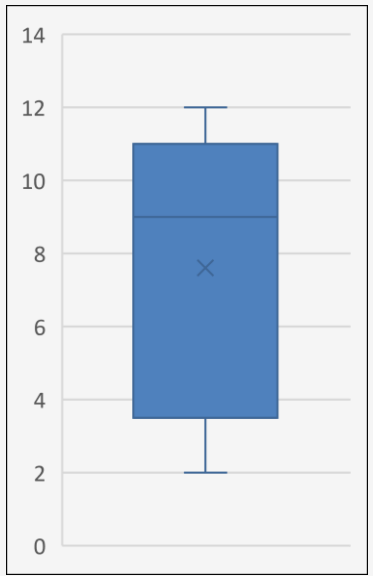
[事実]:
過去3年間で中央値10.0件（最大21.0件）。

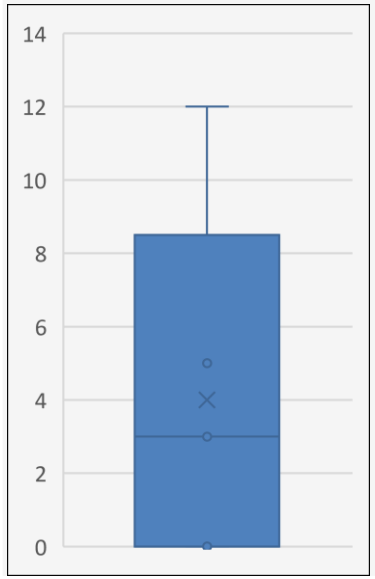
[傾向]:
特定臨床研究においても、自院が業務統括責任者を務める主導型研究がほぼ全数を占める。

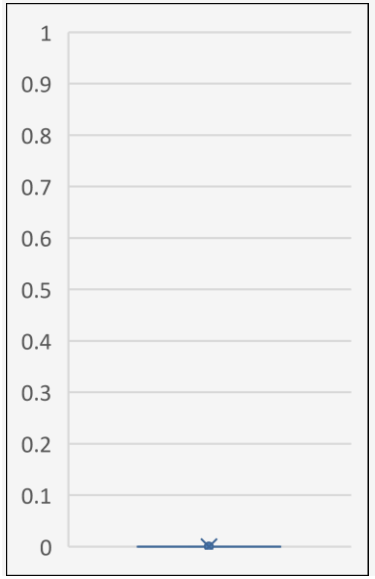
Part-3

Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　医薬品等区分

	医薬品	医療機器	再生医療等製品
最大値	12.0	12.0	0.0
最小値	2.0	0.0	0.0
中央値	9.0	3.0	0.0
平均値	7.6	4.0	0.0





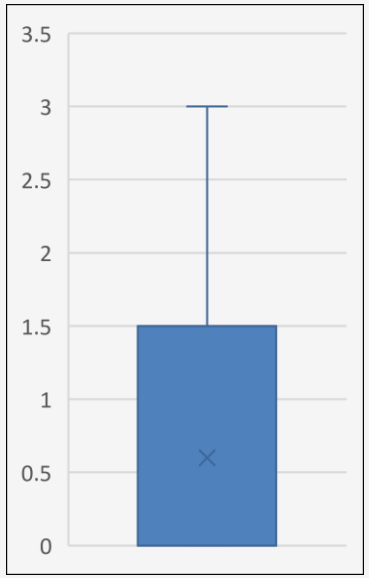


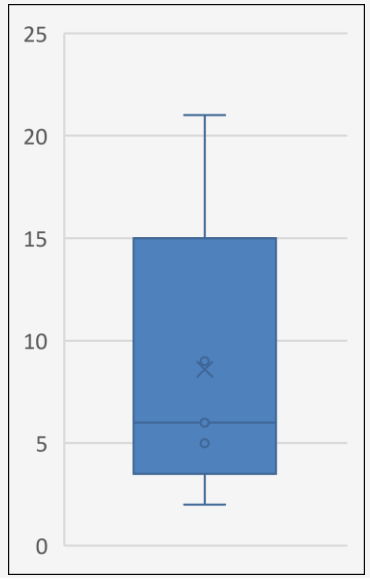
[分布の概況]:
医薬品（中央値9.0件）に加え、医療機器（中央値3.0件、最大12.0件）の主導実績が着実に積み上がっている。

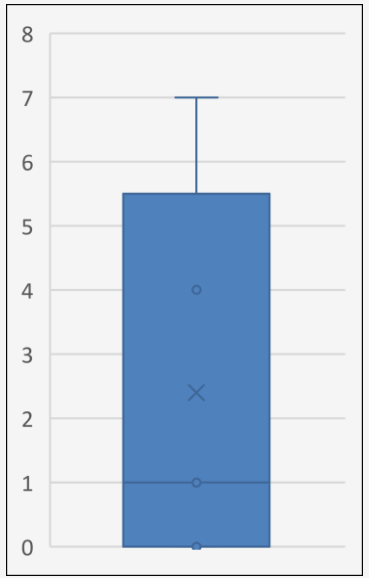
Part-3

Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　被験者・研究対象者

	小児	成人	小児・成人
最大値	3.0	21.0	7.0
最小値	0.0	2.0	0.0
中央値	0.0	6.0	1.0
平均値	0.6	8.6	2.4



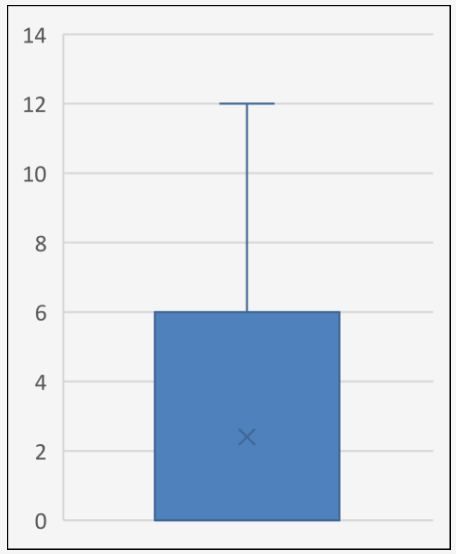
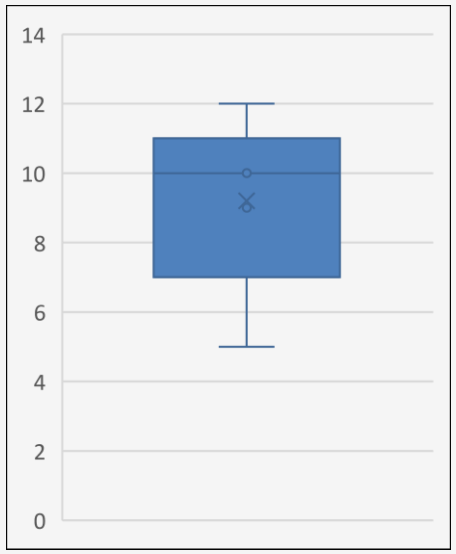




[事実]:
成人研究の主導（平均8.6件）が中心。小児・成人の混在型研究も複数の施設で主導されている。

Part-3

Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　実施施設数

	単施設	多施設共同
最大値	12.0	12.0
最小値	0.0	5.0
中央値	0.0	10.0
平均値	2.4	9.2
		

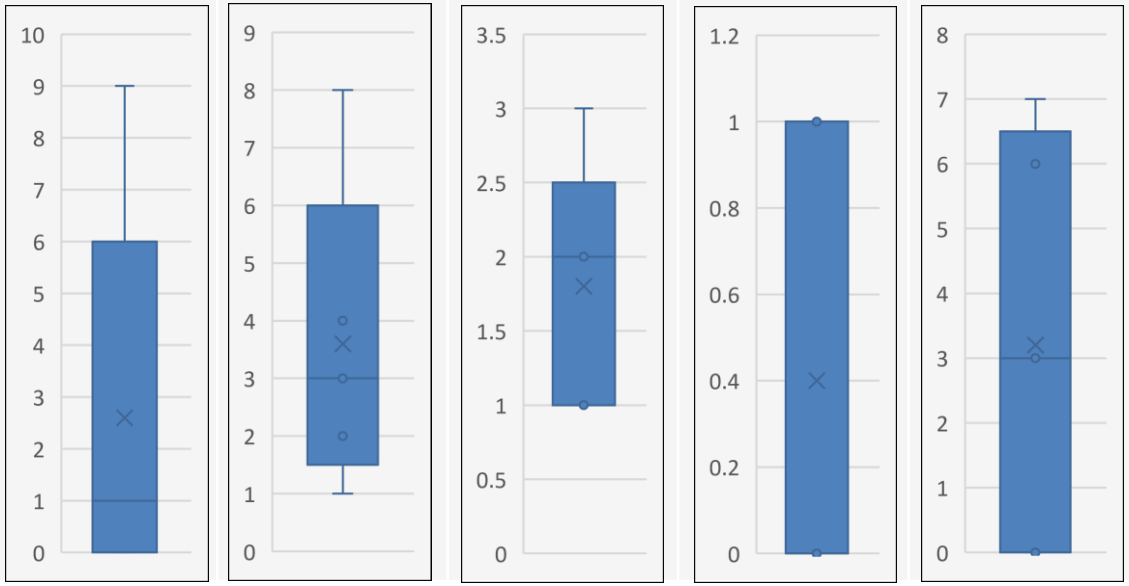
[事実]:
多施設共同試験の主導実績は中央値10.0件。

[分布の概況]:
大半の主導研究が「多施設共同」の形態をとっており、各センターが全国の医療機関をネットワーク化して高度な研究を牽引している。

Part-3

Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　フェーズ

	Phase Ⅰ	Phase Ⅱ	Phase Ⅲ	Phase Ⅳ	その他
最大値	9.0	8.0	3.0	1.0	7.0
最小値	0.0	1.0	1.0	0.0	0.0
中央値	1.0	3.0	2.0	0.0	3.0
平均値	2.6	3.6	1.8	0.4	3.2

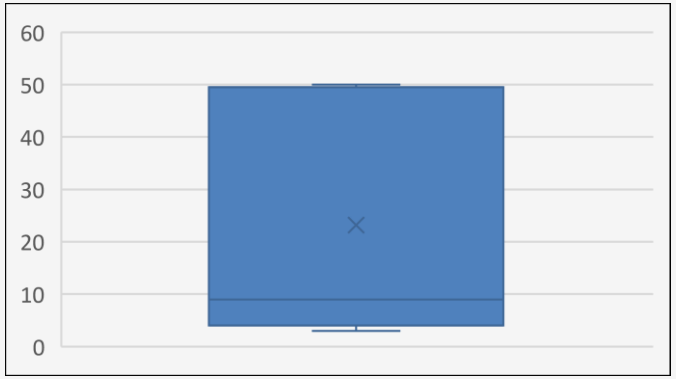


[分布の概況]:
Phase Ⅱ（中央値3.0件）およびPhase Ⅰ（中央値1.0件）の主導が中心。早期段階からの臨床開発をNCが主導している実態が示された。

Part-4

Q10-1. 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所に対して、特定臨床研究に係る支援を行った件数

	令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所に対して、特定臨床研究に係る支援を行った件数
最大値	50.0
最小値	3.0
中央値	9.0
平均値	23.2

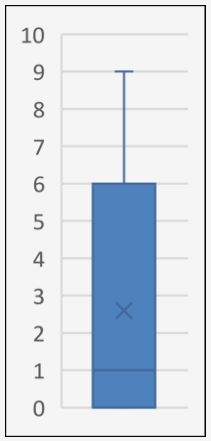
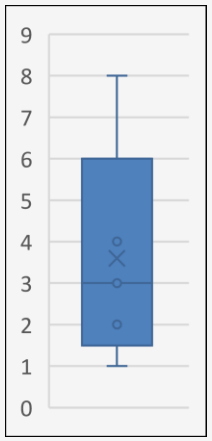
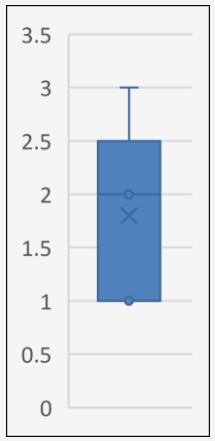
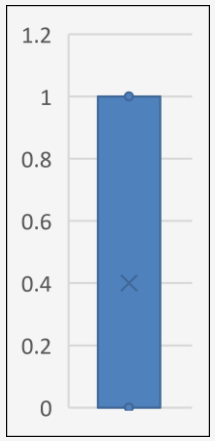
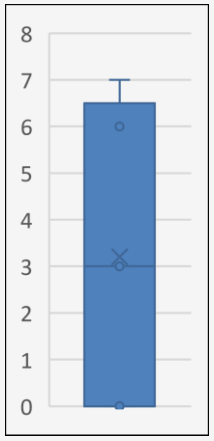
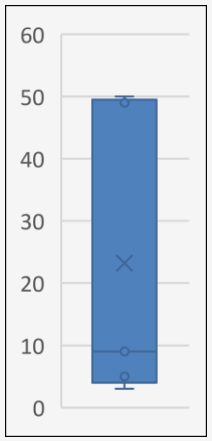
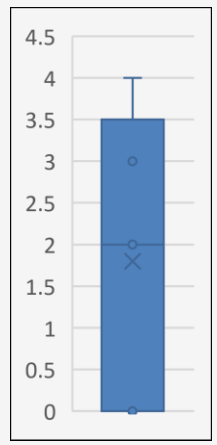


[定義]:
自院主導ではない他機関の研究に対し、プロトコール作成、DM、統計解析等の支援を行った実績。

[事実]:
最大50.0件（平均23.2件）の支援実績が確認された。一部のセンターが地域や他機関の臨床研究を強力に下支えしている。

Part-4

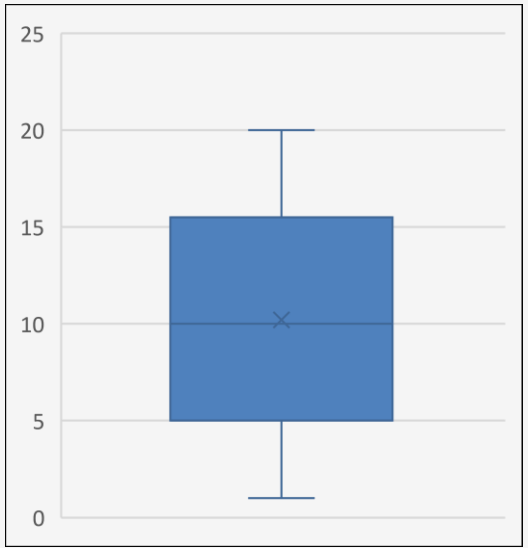
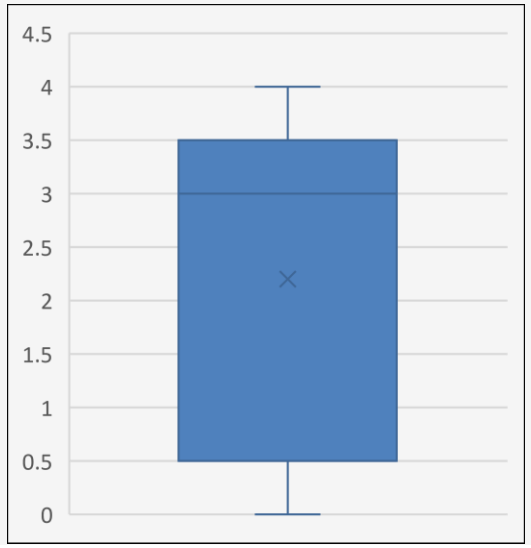
Q10-2. 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所に対して、特定臨床研究に係る支援を行った件数

	プロトコール作成支援	データマネジメント	モニタリング	監査	統計解析	研究実施調整業務	その他
最大値	9.0	8.0	3.0	1.0	7.0	50.0	4.0
最小値	0.0	1.0	1.0	0.0	0.0	3.0	0.0
中央値	1.0	3.0	2.0	0.0	3.0	9.0	2.0
平均値	2.6	3.6	1.8	0.4	3.2	23.2	1.8
							

[支援内容]:
研究実施調整業務（最大50件）のニーズが非常に高い。

[評価]:
単なる助言に留まらず、実務的な解析や管理業務をNCが代行・支援することで、日本全体の臨床研究の質担保に寄与している。

Part-5 / Q11. 令和6年度における特定臨床研究に関する研修会の開催回数
Q12. 認定臨床研究審査委員会がある場合、委員を対象とした令和6年度の研修会　開催回数

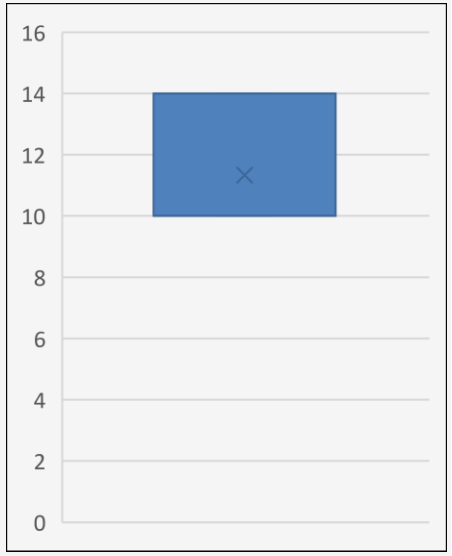
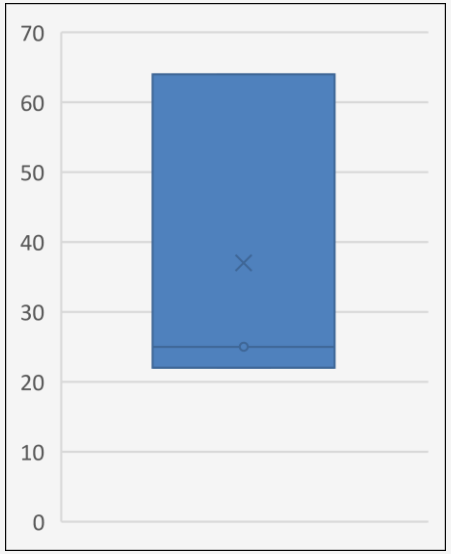
	Q11.令和6年度における特定臨床研究に関する研修会の開催回数	Q12.認定臨床研究審査委員会がある場合、委員を対象とした令和6年度の研修会　開催回数
最大値	20.0	4.0
最小値	1.0	1.0
中央値	10.0	3.0
平均値	10.2	2.8
		

[集計範囲]:
令和6年度における特定臨床研究に関する研修会の開催実績。

[分布の概況]:
中央値10.0回（最大20.0回）。
月に1回程度の頻度で、継続的な教育機会が提供されている。

Part-5

Q12. 認定臨床研究審査委員会がある場合、委員を対象とした令和6年度の研修会　研修参加人数（延べ）

	内部の者	外部の者
最大値	14.0	64.0
最小値	10.0	22.0
中央値	10.0	25.0
平均値	11.3	37.0
		

[現状]:
認定臨床研究審査委員会（CRB）の委員を対象とした専門研修を実施。

[事実]:
外部の者も最大64.0名（延べ）参加しており、自院のみならず外部委員を含めた審査の質向上に貢献している。

Part-5 / Q13. 特定臨床研究に関わる者の研修修了制度の有無
Q14. 特定臨床研究に関する研修計画の有無

	あり	なし
Q13.特定臨床研究に関わる者の研修修了制度	3	2
Q14.特定臨床研究に関する研修計画	5	0

[実態]:
回答した5施設のうち3施設（6割）が組織的な研修計画および修了制度を整備済み。

[傾向]:
臨床研究に従事するための要件として、組織的に教育受講を義務付けるガバナンス体制の構築が進んでいる。

Part-6 / Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門
特定臨床研究を適正に実施するための体制

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	臨床研究推進センター
国立成育医療研究センター	・医療安全管理部　医療安全管理室 ・臨床研究センター　事務室 ・臨床研究センター　研究推進部門 臨床研究コーディネートユニット ・財務部　医事室 ・研究開発監理部　臨床研究管理室
国立国際医療センター	・国立国際医療センター 臨床研究支援部門 事務部 ・危機管理・運営局 事務総局 総務部 ・総合開発研究支援局 研究管理部研究管理課
国立精神・神経医療研究センター	臨床研究・治験推進室、臨床研究監理室
国立長寿医療研究センター	–

[調査の前提]:
臨床研究法等の遵守状況を管理し、研究を適正に実施するための統括的な体制の有無。

[現況の整理]:
回答のあった5施設のうち4施設（80%）で体制が整備されている。

[補足事項]:
多くの施設で「臨床研究推進センター」や「臨床研究管理室」といった専門組織がその役割を担っている。

[特定臨床研究を適正に実施するための体制]
あり 4施設(80%)
なし 1施設(20%)

Part-6 / Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門
特定臨床研究を支援する体制

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	臨床研究推進センター
国立成育医療研究センター	・臨床研究センター 多施設連携部門 研究推進部門 データサイエンス部門 事務室 臨床研究監査ユニット ・小児がんセンター 小児がんデータ管理科
国立国際医療センター	・国立国際医療センター 臨床研究支援部門 ・臨床研究センター
国立精神・神経医療研究センター	臨床研究・教育研究部門（臨床研究支援部、情報管理・解析部）
国立長寿医療研究センター	先端医療開発推進センター 臨床研究支援部

[調査の前提]:
研究の計画立案から実施後のフォローまで、実務的なサポートを行う体制の有無。

[現況の整理]:
全施設（100%）において支援体制が構築されている。

[補足事項]:
臨床研究支援部やデータサイエンス部門など、複数の専門部署が連携して支援にあたっている実態が確認された。

[特定臨床研究を支援する体制]
あり 5施設(100%)
なし 0施設(0%)

Part-6 / Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門
特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う体制

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	臨床研究推進センター
国立成育医療研究センター	・臨床研究センター データサイエンス部門 ・小児がんセンター 小児がんデータ管理科
国立国際医療センター	・国立国際医療センター 臨床研究支援部門 ・臨床研究センター
国立精神・神経医療研究センター	情報管理・解析部
国立長寿医療研究センター	先端医療開発推進センター 品質管理・情報解析部

[調査の前提]:
電子データ(EDC)の構築や、統計解析に用いるデータの質を担保するための管理体制。

[現況の整理]:
全施設(100%)でデータ管理体制が整備されている。

[補足事項]:
情報解析部やデータ管理ユニットなど、統計とITの専門性を有する部門が全施設に配置されている。

[特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う体制]
あり 5施設(100%)
なし 0施設(0%)

Part-6 / Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門
安全管理のための体制

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	臨床研究推進センター
国立成育医療研究センター	医療安全管理部　医療安全管理室
国立国際医療センター	国立国際医療センター 医療安全管理部門 臨床研究支援部門
国立精神・神経医療研究センター	臨床研究・治験推進室、臨床研究監理室
国立長寿医療研究センター	医療安全推進部

[調査の前提]:
有害事象の収集・評価や、被験者の健康被害に対する迅速な対応を行う体制。

[現況の整理]:
全施設（100%）で整備済み。

[補足事項]:
「医療安全管理室」と臨床研究部門が連携し、組織的に安全管理を行う体制が標準化している。

[安全管理のための体制]
あり 5施設(100%)
なし 0施設(0%)

Part-6 / Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門
認定臨床研究審査委員会における特定臨床研究の審査体制

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	臨床研究審査室
国立成育医療研究センター	研究開発監理部　臨床研究管理室
国立国際医療センター	・総合開発研究支援局 研究管理部研究管理課
国立精神・神経医療研究センター	臨床研究監理室
国立長寿医療研究センター	–

[調査の前提]:
臨床研究法に基づき、自施設内にCRBを設置・運営している体制の有無。

[現況の整理]:
8割の施設（4施設）で審査体制を保有。

[補足事項]:
自院の研究のみならず、外部機関からの依頼審査にも対応可能な窓口（臨床研究審査室等）が稼働している。

[認定臨床研究審査委員会における特定臨床研究の審査体制]
あり 4施設(80%)
なし 1施設(20%)

Part-6 / Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門
特定臨床研究に係る金銭その他の利益の収受及びその管理の方法に関する審査体制

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	総務課
国立成育医療研究センター	・研究開発監理部　臨床研究管理室 ・企画経営部　研究医療課
国立国際医療センター	・総合開発研究支援局 研究管理部研究管理課
国立精神・神経医療研究センター	臨床研究・治験推進室、臨床研究監理室、企画医療研究課
国立長寿医療研究センター	倫理・利益相反委員会

[調査の前提]:
企業資金等の受入れ状況を審査し、研究の公平性を担保するための利益相反管理体制。

[現況の整理]:
全施設（100%）において審査体制が構築されている。

[補足事項]:
事務局（総務課等）による形式チェックと、委員会による実質的審査の二段構えでの管理が一般的である。

[特定臨床研究に係る金銭その他の利益の収受及びその管理の方法に関する審査体制]
あり 5施設(100%)
なし 0施設(0%)

Part-6 / Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門
特定臨床研究に係る知的財産の適切な管理及び技術の移転の推進のための体制

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	産学連携本部
国立成育医療研究センター	・研究開発監理部　知財・産学連携室
国立国際医療センター	・国立国際医療センター 臨床研究支援部門 ・臨床研究センター
国立精神・神経医療研究センター	ビジネスディベロップメント室
国立長寿医療研究センター	先端医療開発推進センター 開発連携推進部

[調査の前提]:
特許の取得・維持や、企業へのライセンス供与等を推進する体制。

[現況の整理]:
全施設（100%）で知財・技術移転の体制が整備されている。

[補足事項]:
「産学連携本部」や「ビジネスディベロップメント室」など、社会実装を目的とした専門部署が配置されている。

[特定臨床研究に係る知的財産の適切な管理及び技術の移転の推進のための体制]
あり 5施設(100%)
なし 0施設(0%)

Part-6 / Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門
広報及び啓発並びに特定臨床研究の対象者等からの相談に応じるための体制

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	臨床研究推進センター
国立成育医療研究センター	・企画戦略局　広報企画室 ・病院医療連携・患者支援センター
国立国際医療センター	・国立国際医療センター 臨床研究支援部門 患者サポートセンター
国立精神・神経医療研究センター	臨床研究・治験推進室、臨床研究監理室
国立長寿医療研究センター	医事課（相談窓口のみ）

[調査の前提]:
臨床研究に関する国民への情報発信や、被験者からの問い合わせに適切に応じる体制。

[現況の整理]:
全施設（100%）で整備済み。

[補足事項]:
「患者サポートセンター」や「広報企画室」などが窓口となり、理解促進と人権保護を担っている。

[広報及び啓発並びに特定臨床研究の対象者等からの相談に応じるための体制]
あり 5施設(100%)
なし 0施設(0%)

Part-6 / 特定臨床研究を支援する体制

施設名	部門名	役職名
国立循環器病研究センター	臨床研究推進センター	臨床研究推進センター長
国立成育医療研究センター	回答不可	回答不可
国立国際医療センター	国立国際医療センター臨床研究支援部門	臨床研究支援部門長
国立精神・神経医療研究センター	病院　臨床研究・教育研修部門	部門長
国立長寿医療研究センター	先端医療開発推進センター	先端医療開発推進センター長

[調査の前提]:
実務を担う支援部門の具体的な名称および、責任者の配置状況。

[現況の整理]:
全施設で専門の支援部門が設置されており、センター長等が責任者として明確に配置されている。

[補足事項]:
名称は「臨床研究支援部門」や「臨床研究・教育研修部門」など施設により異なるが、組織図上の位置付けは明確である。

[特定臨床研究の実施の支援を行う部門の設置状況]
あり 5施設(100%)
なし 0施設(0%)

Part-6 / 特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う体制
特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う部門

施設名	部門名
国立循環器病研究センター	データサイエンス部
国立成育医療研究センター	回答不可
国立国際医療センター	臨床研究支援部門　データ管理・支援室　データ管理ユニット、生物統計ユニット
国立精神・神経医療研究センター	病院　臨床研究・教育研修部門　情報管理・解析部
国立長寿医療研究センター	先端医療開発推進センター　品質管理・情報解析部　DM/生物統計室

[調査の前提]:
データの管理・解析を専門的に担う部門の具体的な名称および設置状況。

[現況の整理]:
全施設において、統計・ITの専門家を擁する専門部門（データサイエンス部等）が配置されている。

[補足事項]:
生物統計ユニットや品質管理部といった、データの信頼性確保に特化した組織構成となっている。

[特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う部門]
あり 5施設(100%)
なし 0施設(0%)

Part-6 / 特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う体制
専従の特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う者の配置状況

施設名	所属	役職名
国立循環器病研究センター	データサイエンス部	データマネージメント室長
国立成育医療研究センター	回答不可	回答不可
国立国際医療センター	国立国際医療センター臨床研究支援部門　データ管理・支援室	データマネージャー
国立精神・神経医療研究センター	病院　臨床研究・教育研修部門　情報管理・解析部 生物統計室	室長
国立長寿医療研究センター	_	_

※4施設のいずれの担当者も資格なし

[調査の前提]:
データ管理業務に専従（就業時間の8割以上）する職員の配置実態。

[現況の整理]:
8割の施設（4施設）で専従職員が配置されており、データマネージャー等の名称で活動している。

[補足事項]:
専従者の配置がある施設においても、今回の回答範囲では特定の資格（認定等）を保有しているケースは確認されなかった。

[専従の特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う者の配置状況]
あり 4施設(80%)
なし 1施設(20%)

Part-7 / 認定臨床研究審査委員会における特定臨床研究の審査体制

施設名	認定年月日	開催状況
国立循環器病研究センター	2023年9月25日	毎月１回開催
国立成育医療研究センター	2020年12月4日	毎月1回開催
国立国際医療センター	2025年4月1日	原則毎月1回開催
国立精神・神経医療研究センター	2020年12月1日	原則毎月1回開催 （2024年度10回開催）
国立長寿医療研究センター	–	–

[調査の前提]:
自施設のCRBの認定年月日および、定期的な開催頻度の実態。

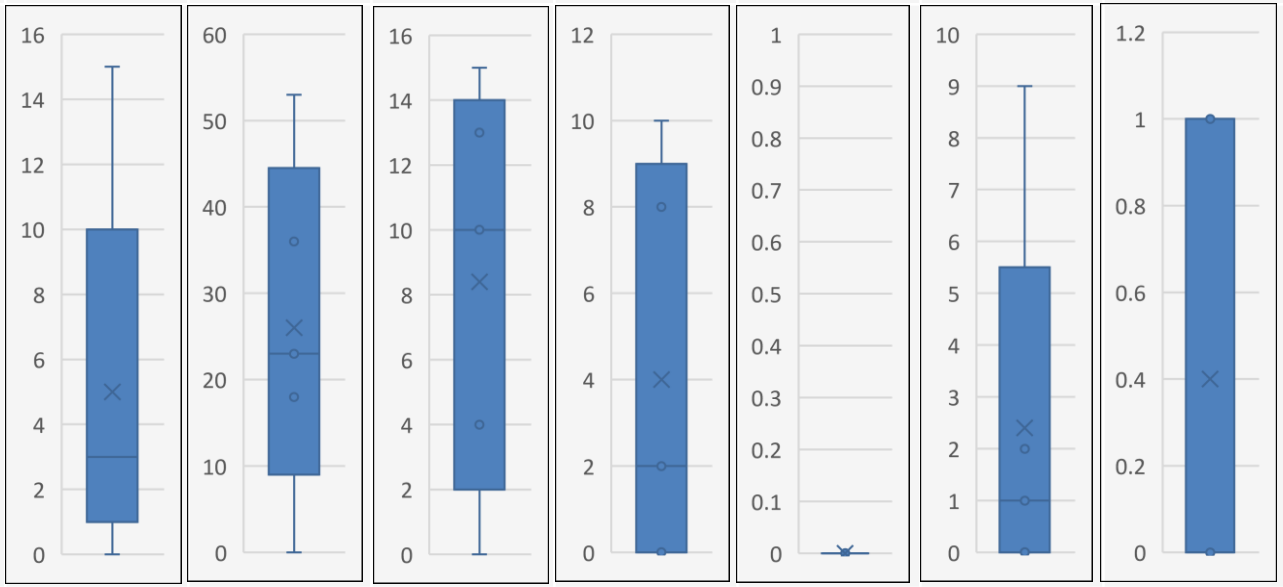
[現況の整理]:
8割の施設で委員会が稼働しており、開催頻度は全施設「毎月1回」が標準となっている。

[補足事項]:
認定時期は施設により異なるが、定期開催による迅速な審査プロセスが維持されている。

[認定臨床研究審査委員会の設置状況]
あり 4施設(80%)
なし 1施設(20%)

Part-7 / 令和6年度の審査件数 / 臨床研究法に規定する特定臨床研究
研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）が自施設に所属する研究

	新規	変更	定期報告	疾病等報告	中止	終了	その他
最大値	15.0	53.0	15.0	10.0	0.0	9.0	1.0
最小値	2.0	18.0	4.0	0.0	0.0	0.0	0.0
中央値	4.0	29.5	11.5	5.0	0.0	1.5	0.5
平均値	6.3	32.5	10.5	5.0	0.0	3.0	0.5



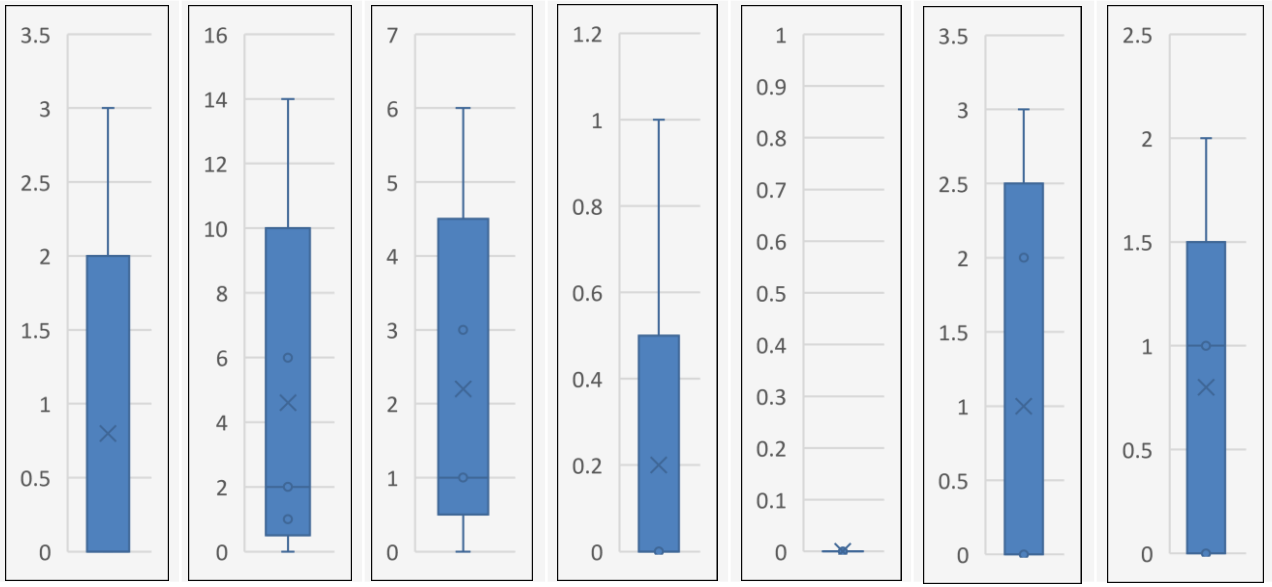
[調査の前提]:
自施設の医師が代表を務める特定臨床研究の審査実績（新規・変更・報告等）。

[現況の整理]:
変更審査（中央値29.5件）が新規審査（中央値4.0件）を大幅に上回っており、継続審査の負荷が高い。

[補足事項]:
定期報告や疾病報告（中央値5.0件）など、承認後の継続的な安全性モニタリングも活発に行われている。

Part-7 / 令和6年度の審査件数 / 臨床研究法に規定する特定臨床研究
研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）が他の医療機関に所属する研究

	新規	変更	定期報告	疾病等報告	中止	終了	その他
最大値	3.0	14.0	6.0	1.0	0.0	3.0	2.0
最小値	0.0	1.0	1.0	0.0	0.0	0.0	0.0
中央値	0.5	4.0	2.0	0.0	0.0	1.0	1.0
平均値	1.0	5.8	2.8	0.3	0.0	1.3	1.0



[調査の前提]:
臨床研究法対象外（倫理指針適用等）の研究に関する審査実績。

[現況の整理]:
研究責任医師が自施設に所属する研究に比べ件数は限定的だが、一部施設で変更審査等の対応が行われている。

[補足事項]:
多くの一般臨床研究は、各施設内の倫理審査委員会（IRB）で別途対応されているものと推察される。

Part-7 / 令和6年度の審査件数 /臨床研究法に規定する特定臨床研究以外の臨床研究
研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）が自施設に所属する研究

	新規	変更	定期報告	疾病等報告	中止	終了	その他
最大値	0.0	6.0	1.0	0.0	0.0	0.0	0.0
最小値	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
中央値	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
平均値	0.0	1.5	0.3	0.0	0.0	0.0	0.0

※1回以上は国立精神・神経医療研究センターのみ

[調査の前提]:
外部機関から依頼された、特定臨床研究以外の一般臨床研究の審査受託実績。

[現況の整理]:
一部の施設において、他施設からの新規・変更・定期報告の審査依頼に対応した事例が確認された。

[補足事項]:
受託実績は1件程度と少数に留まっており、他施設依頼については特定臨床研究の審査が主となっている。

Part-7 / 令和6年度の審査件数 /臨床研究法に規定する特定臨床研究以外の臨床研究
研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）が他の医療機関に所属する研究

	新規	変更	定期報告	疾病等報告	中止	終了	その他
最大値	1.0	1.0	1.0	0.0	0.0	0.0	0.0
最小値	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
中央値	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
平均値	0.3	0.3	0.3	0.0	0.0	0.0	0.0
	※1回以上は国立成育医療研究センターのみ	※1回以上は国立国際医療センターのみ	※1回以上は国立国際医療センターのみ				

[調査結果]:
5施設全体において、高度な審査・管理体制が組織的に整備・運用されている。

[現況の整理]:
新規承認だけでなく、変更や定期報告等の「継続的な質管理」において高い稼働率を示しており、臨床研究の適正な実施を支える基盤となっている。

[補足事項]:
多くの審査が毎月定期的に実施されており、制度上のガバナンスが機能していることが確認された。

自由記載 / Q16. 貴NCにおける医療系研究での他機関（NC や臨床研究中核病院に限らず）との連携に関して、特徴的な取り組みや重視している活動

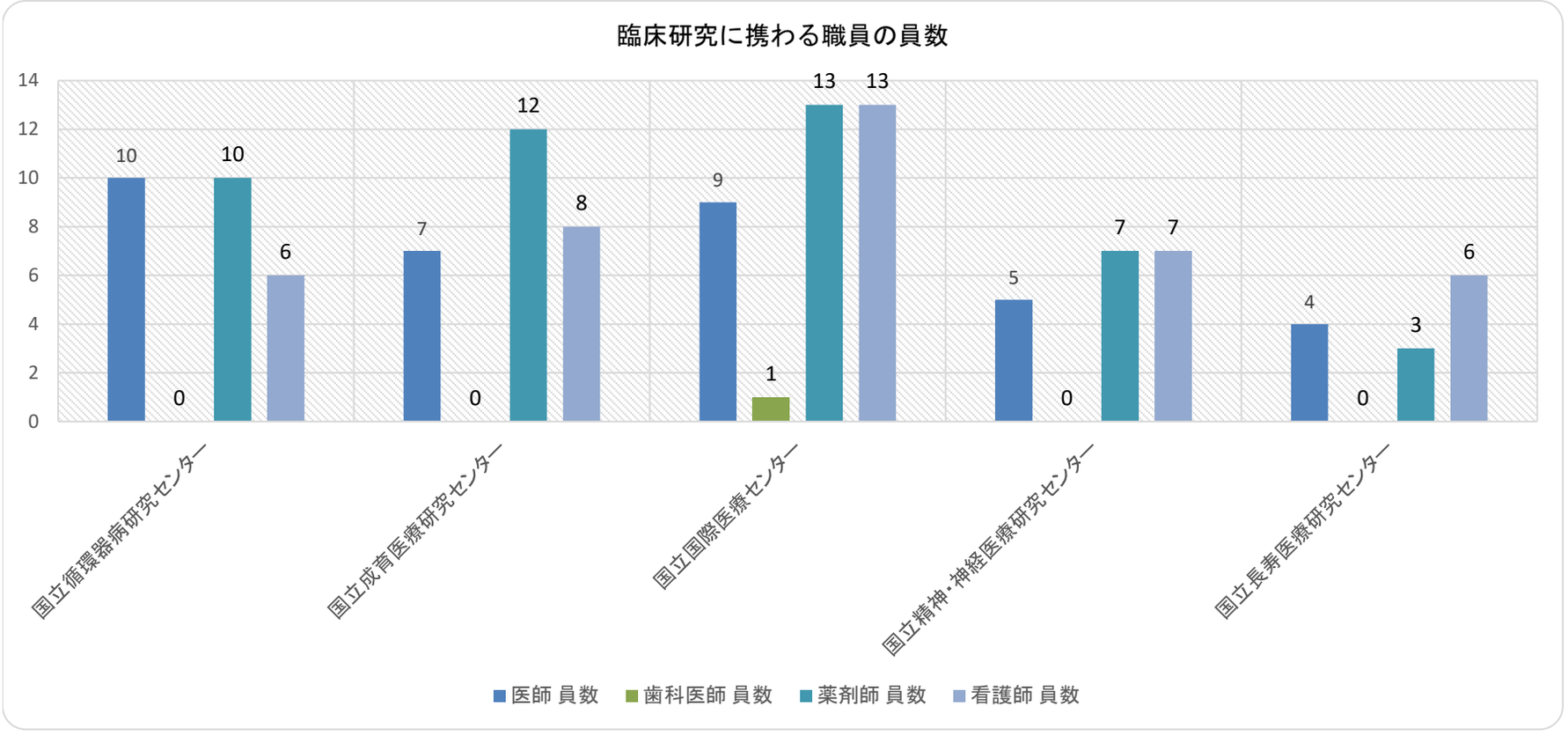
施設名	内容
国立循環器病研究センター	・全国規模の疾患別レジストリ（サルコイドーシス、HCM、DCM、失神、胎児診断心疾患等）の代表として活動している。 ・学会からレジストリ事務局の委託を受けて活動している（JROAD、J-AB、JPN-CR studyなど）。 ・国内の急性期脳卒中基幹病院（ほぼ全部が旧帝大病院でも臨床研究中核病院でもない）が数多く参加する超急性期脳卒中の臨床試験ネットワーク（NeCST)を主宰し、RCTを数多く実施している。また、国際共同試験ネットワーク（GAINS Stroke Network）の国内ハブとしても活動している。
国立国際医療センター	国立がん研究センターと臨床研究に関する包括連携協定を結んでおり、SOPなどの情報共有を行っている。感染症における国内感染症臨床研究ネットワーク（iCROWN）を主導し、国内39の感染症指定医療機関、12の大学病院や臨床研究中核病院、感染症流行初期医療確保措置の対象施設である14の医療機関と全国ネットワークを形成している。そのネットワークを用いて臨床検体の収集・提供をする研究と医師主導治験を実施している。また、感染症の国際共同臨床研究・試験のネットワークとして海外の医療機関と連携し東南アジア・東アジア国際共同臨床研究アライアンス（ARISE）を主導し、6か国16機関と研究を実施している（実施施設数：2025年12月1日現在）。 その他、革新的な新規モダリティに対応可能な早期臨床試験の実施体制整備を推進するため、治験専門医療機関を有する医療法人相生会との包括連携協定を2025年11月4日に締結した。本協定により、研究体制構築、人材育成、早期段階臨床試験（First-in-Human・Phase1など）の実施に関する協力を強化し、社会実装までの時間短縮を目指している。

ナショナルセンター　実態調査結果

（回答・グラフ）

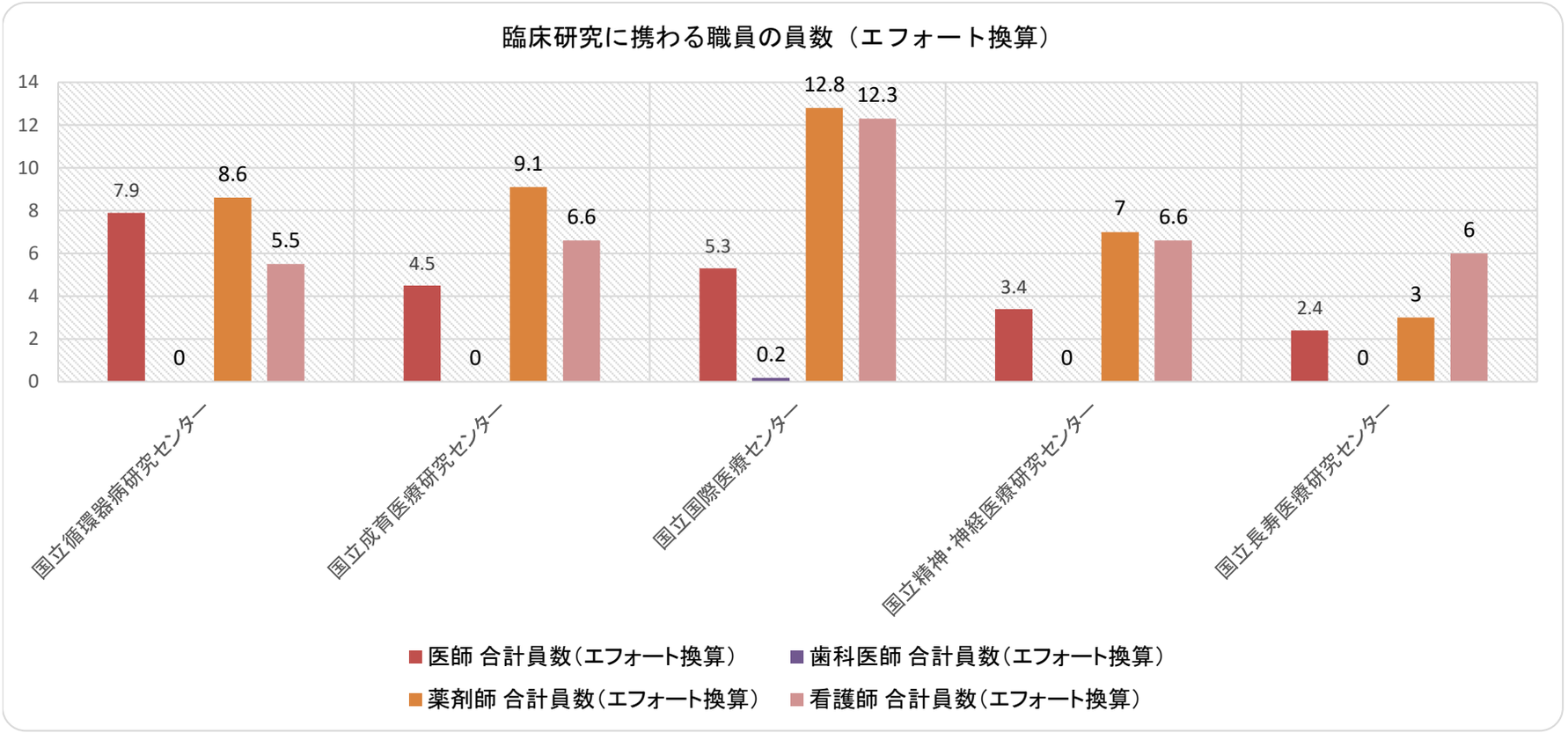
Part-1 / Q4-1.臨床研究に携わる職員の員数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医師 員数	10	7	9	5	4
歯科医師 員数	0	0	1	0	0
薬剤師 員数	10	12	13	7	3
看護師 員数	6	8	13	7	6



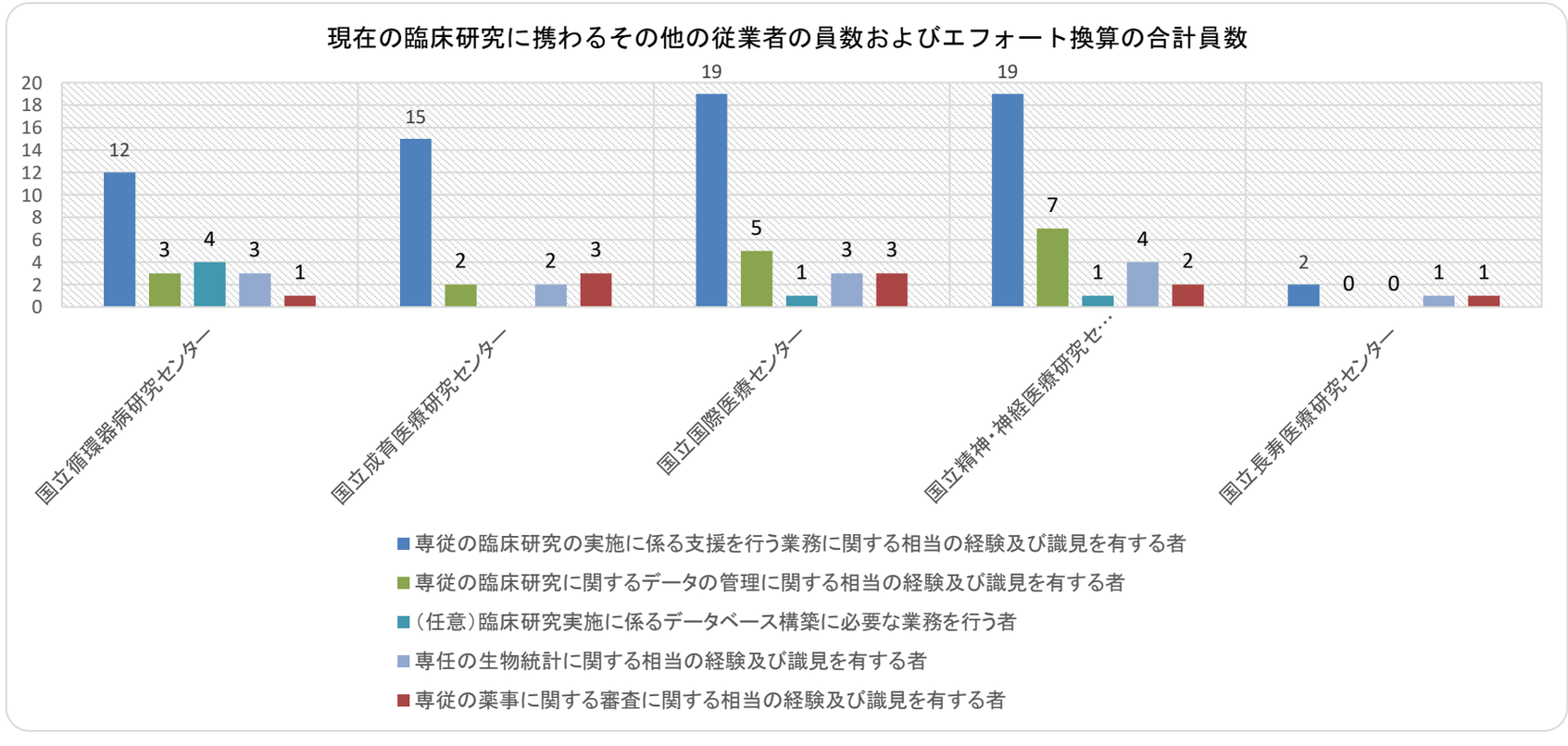
Part-1 / Q4-1.臨床研究に携わる職員の員数 エフォート換算

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医師 合計員数(エフォート換算)	7.9	4.5	5.3	3.4	2.4
歯科医師 合計員数(エフォート換算)	0	0	0.2	0	0
薬剤師 合計員数(エフォート換算)	8.6	9.1	12.8	7	3
看護師 合計員数(エフォート換算)	5.5	6.6	12.3	6.6	6



Part-1 / Q4-2.現在の臨床研究に携わるその他の従業者の員数およびエフォート換算の合計員数

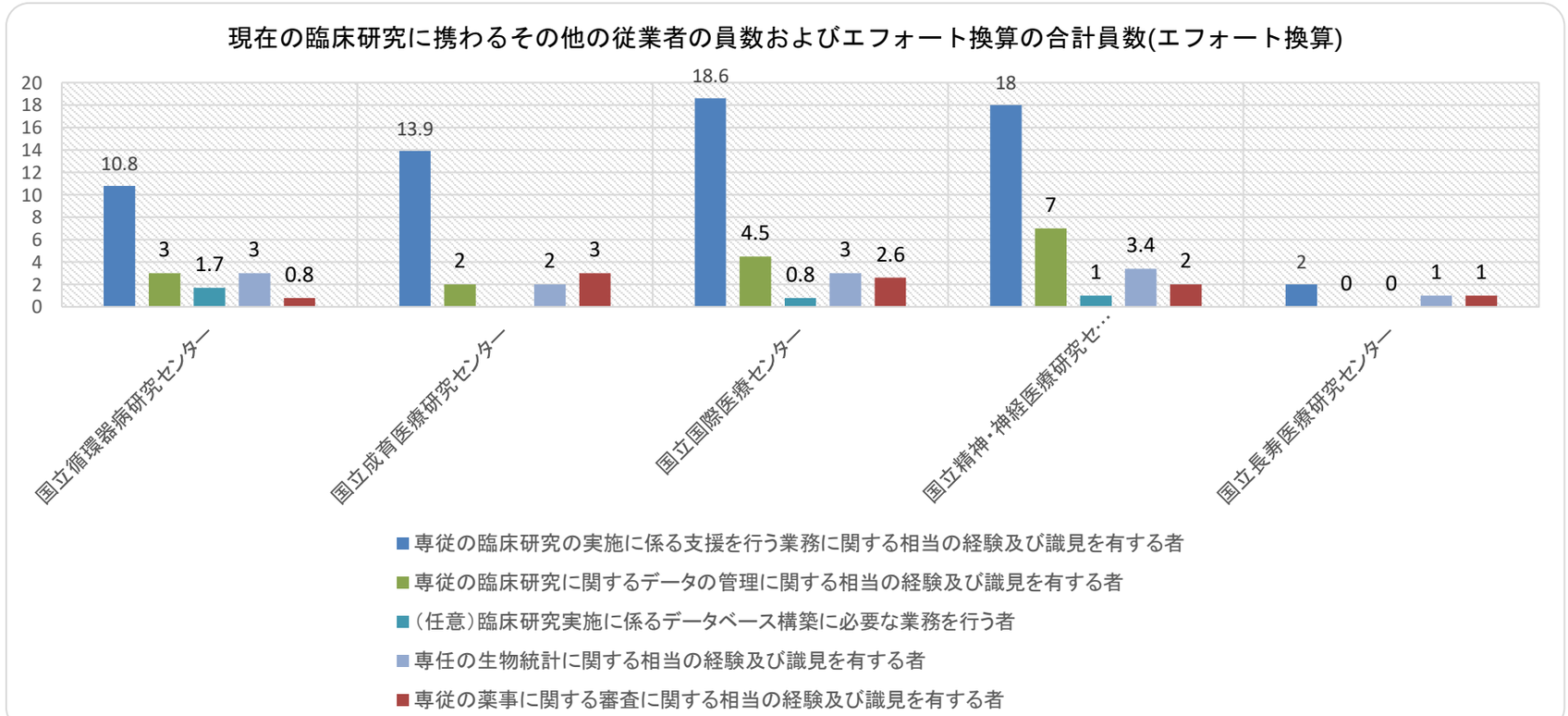
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者	12	15	19	19	2
専従の臨床研究に関するデータの管理に関する相当の経験及び識見を有する者	3	2	5	7	0
（任意）臨床研究実施に係るデータベース構築に必要な業務を行う者	4	–	1	1	0
専任の生物統計に関する相当の経験及び識見を有する者	3	2	3	4	1
専従の薬事に関する審査に関する相当の経験及び識見を有する者	1	3	3	2	1



3

Part-1 / Q4-2.現在の臨床研究に携わるその他の従業者の員数およびエフォート換算の合計員数(エフォート換算)

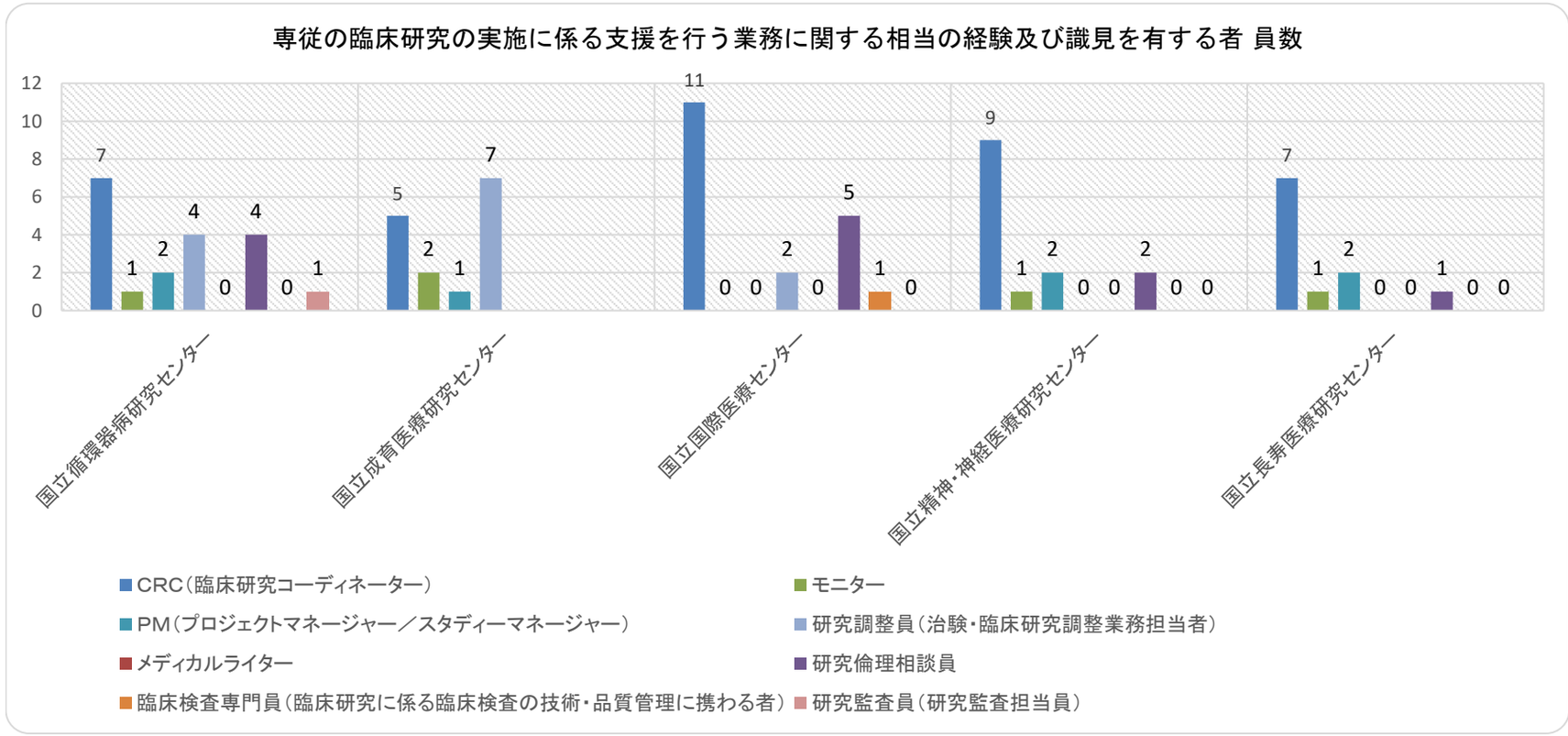
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者	10.8	13.9	18.6	18	2
専従の臨床研究に関するデータの管理に関する相当の経験及び識見を有する者	3	2	4.5	7	0
(任意)臨床研究実施に係るデータベース構築に必要な業務を行う者	1.7	−	0.8	1	0
専任の生物統計に関する相当の経験及び識見を有する者	3	2	3	3.4	1
専従の薬事に関する審査に関する相当の経験及び識見を有する者	0.8	3	2.6	2	1



4

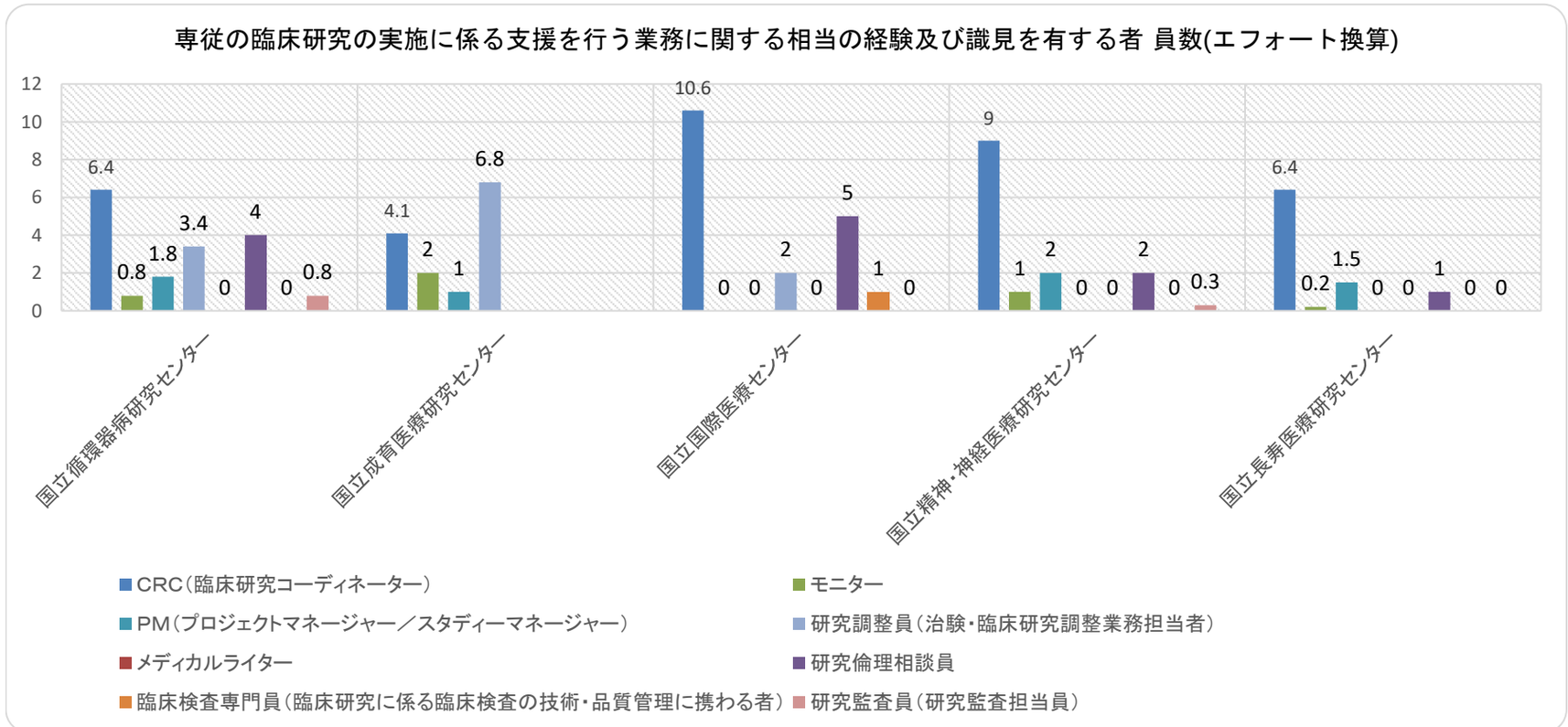
Part-1 / Q5.専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者 員数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
CRC（臨床研究コーディネーター）	7	5	11	9	7
モニター	1	2	0	1	1
PM（プロジェクトマネージャー／スタディーマネージャー）	2	1	0	2	2
研究調整員（治験・臨床研究調整業務担当者）	4	7	2	0	0
メディカルライター	0	−	0	0	0
研究倫理相談員	4	−	5	2	1
臨床検査専門員（臨床研究に係る臨床検査の技術・品質管理に携わる者）	0	−	1	0	0
研究監査員（研究監査担当員）	1	−	0	0	0



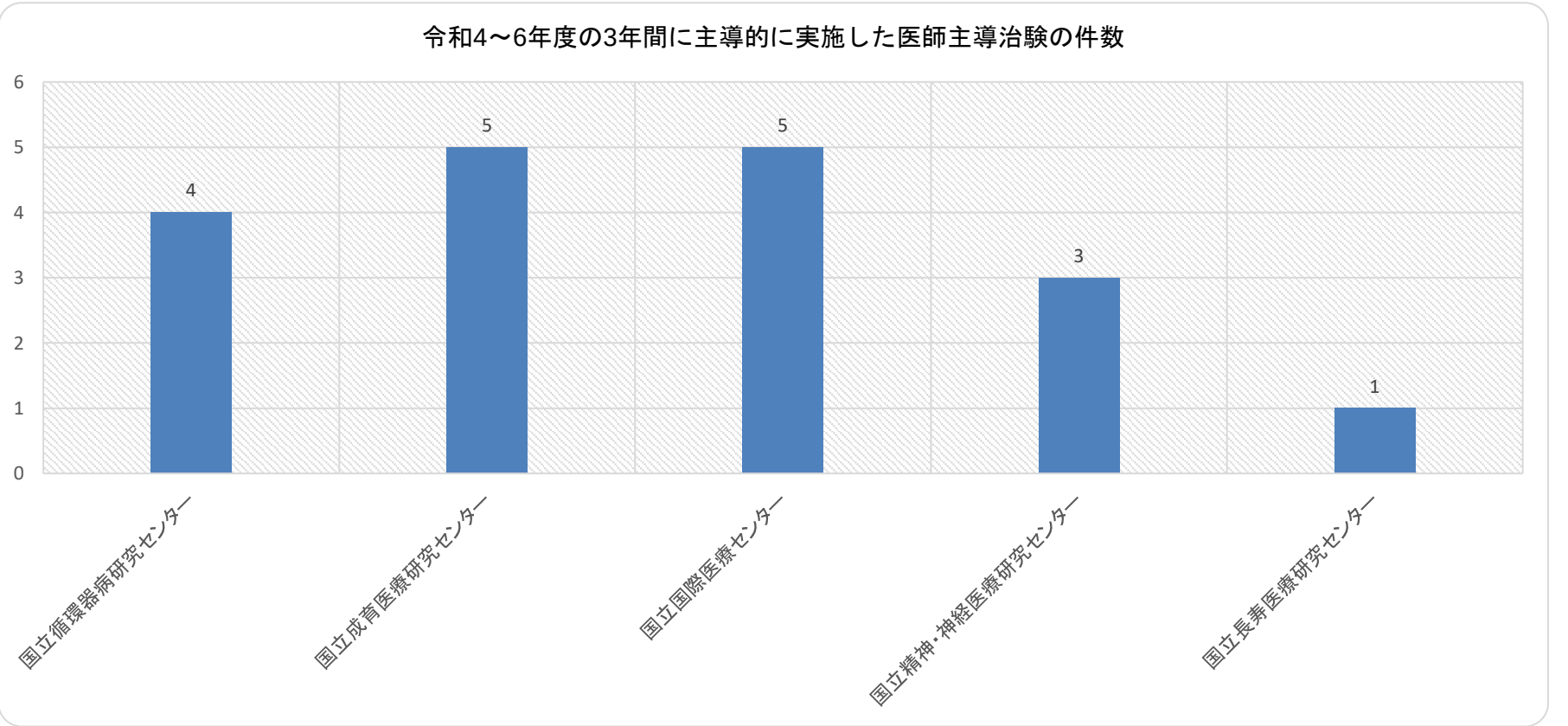
Part-1 / Q5.専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者 員数（エフォート換算）

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
CRC（臨床研究コーディネーター）	6.4	4.1	10.6	9	6.4
モニター	0.8	2	0	1	0.2
PM（プロジェクトマネージャー／スタディーマネージャー）	1.8	1	0	2	1.5
研究調整員（治験・臨床研究調整業務担当者）	3.4	6.8	2	0	0
メディカルライター	0	−	0	0	0
研究倫理相談員	4	−	5	2	1
臨床検査専門員（臨床研究に係る臨床検査の技術・品質管理に携わる者）	0	−	1	0	0
研究監査員（研究監査担当員）	0.8	−	0	0.3	0



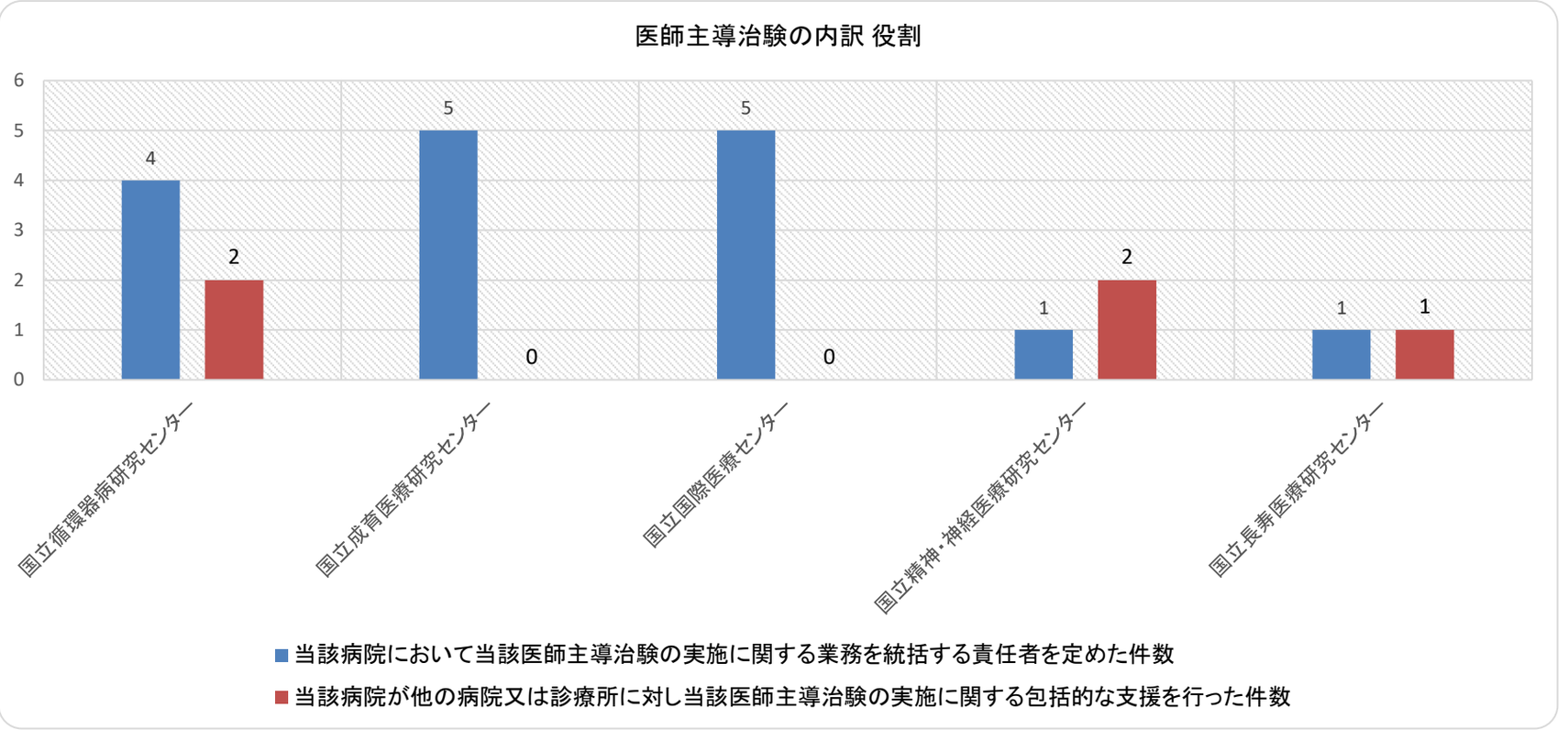
Part-2.1 / Q7-1(1).令和4～6年度の3年間に主導的に実施した医師主導治験の件数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に主導的に実施した医師主導治験の件数	4	5	5	3	1



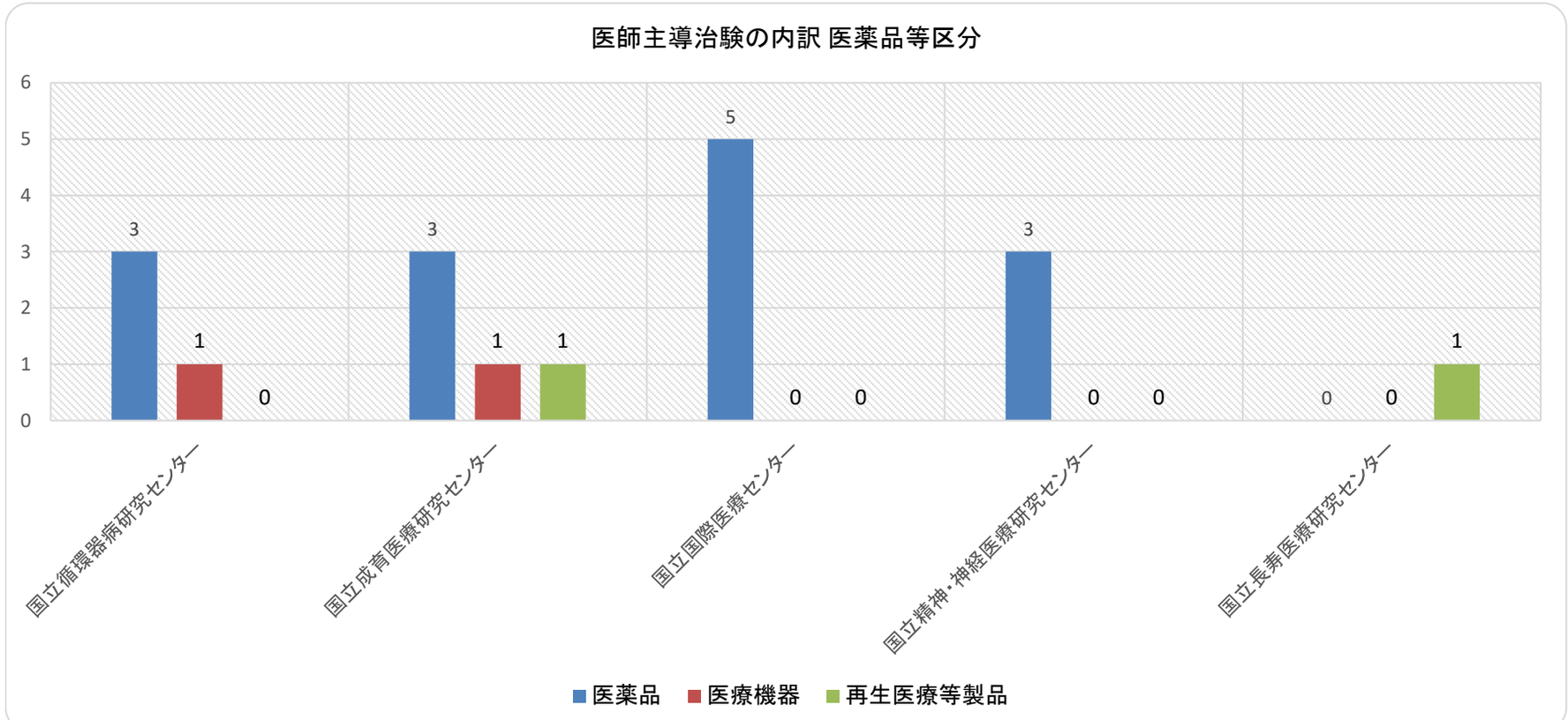
Part-2.1 / Q7-1(2).医師主導治験の内訳　役割

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
当該病院において当該医師主導治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	4	5	5	1	1
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該医師主導治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	2	0	0	2	1



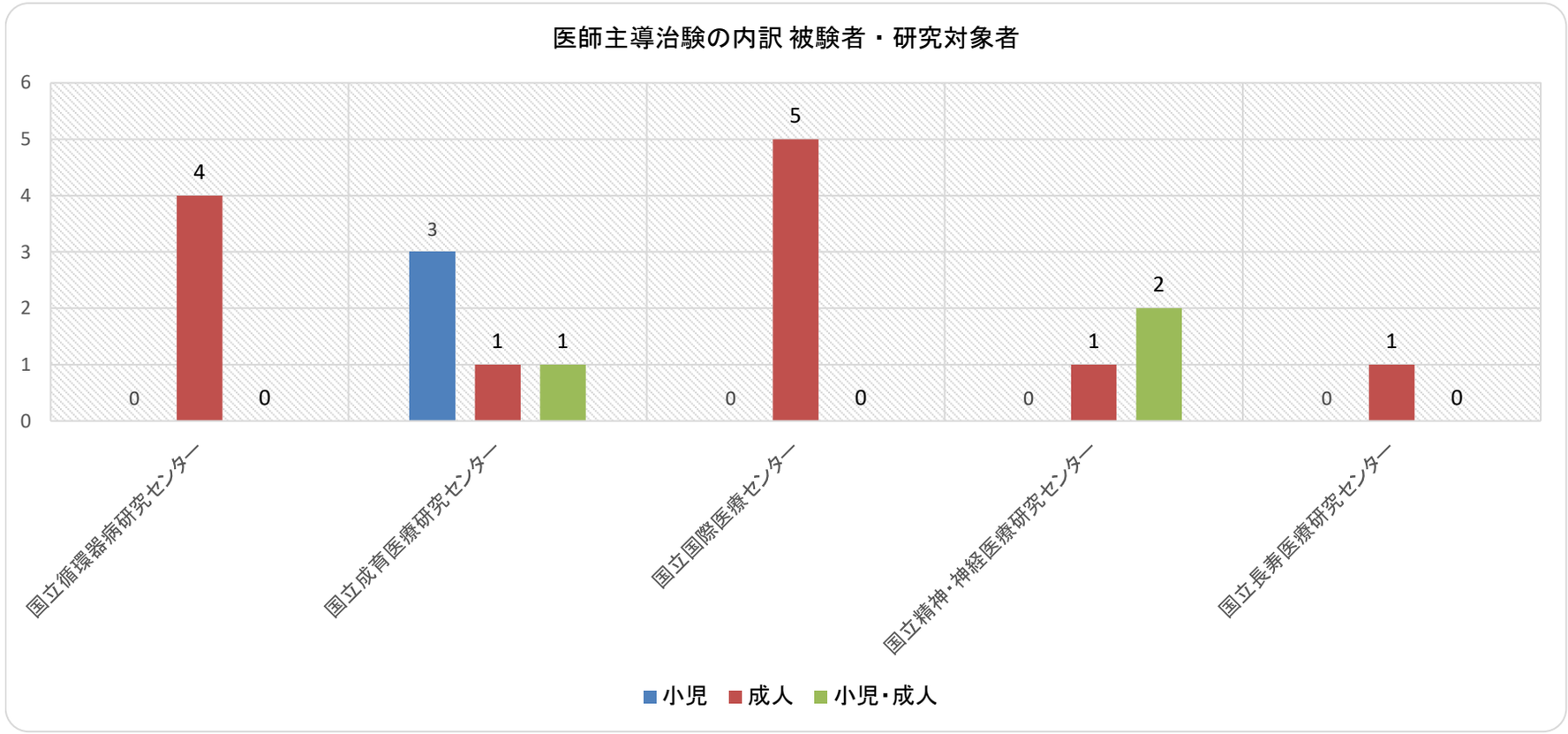
Part-2.1 / Q7-1(2).医師主導治験の内訳　医薬品等区分

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	3	3	5	3	0
医療機器	1	1	0	0	0
再生医療等製品	0	1	0	0	1



Part-2.1 / Q7-1(2).医師主導治験の内訳　被験者・研究対象者

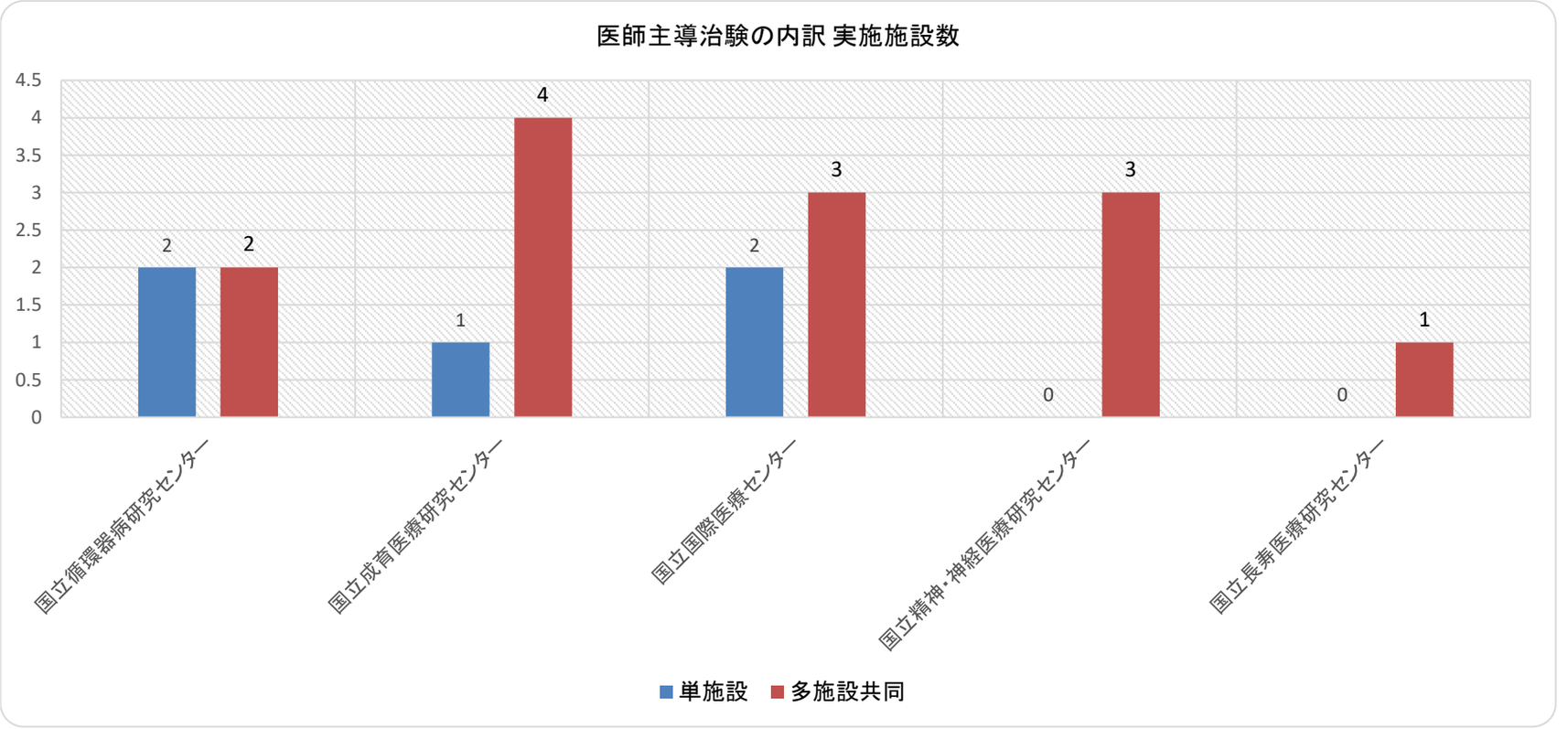
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
小児	0	3	0	0	0
成人	4	1	5	1	1
小児・成人	0	1	0	2	0



10

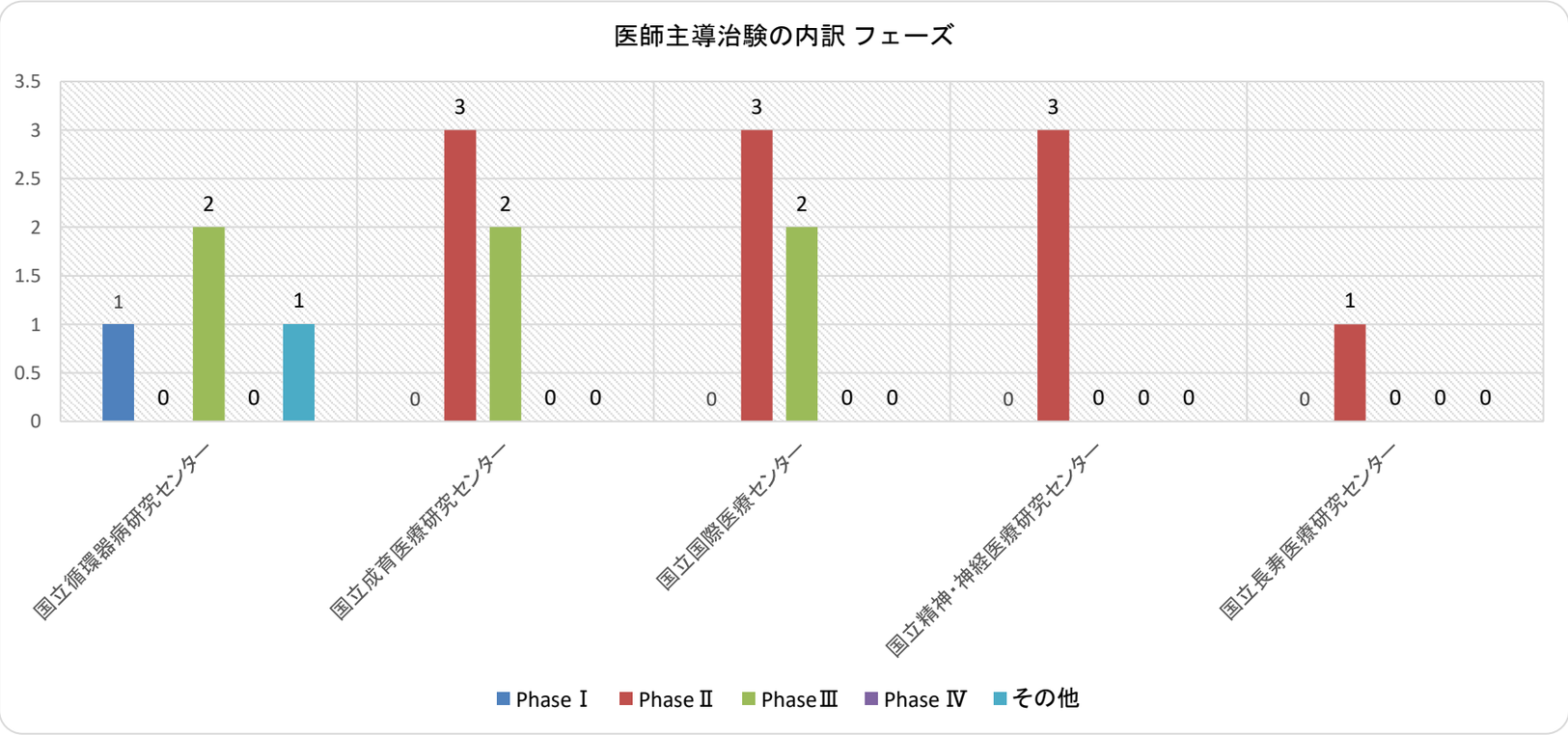
Part-2.1 / Q7-1(2).医師主導治験の内訳　実施施設数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
単施設	2	1	2	0	0
多施設共同	2	4	3	3	1



Part-2.1 / Q7-1(2).医師主導治験の内訳　フェーズ

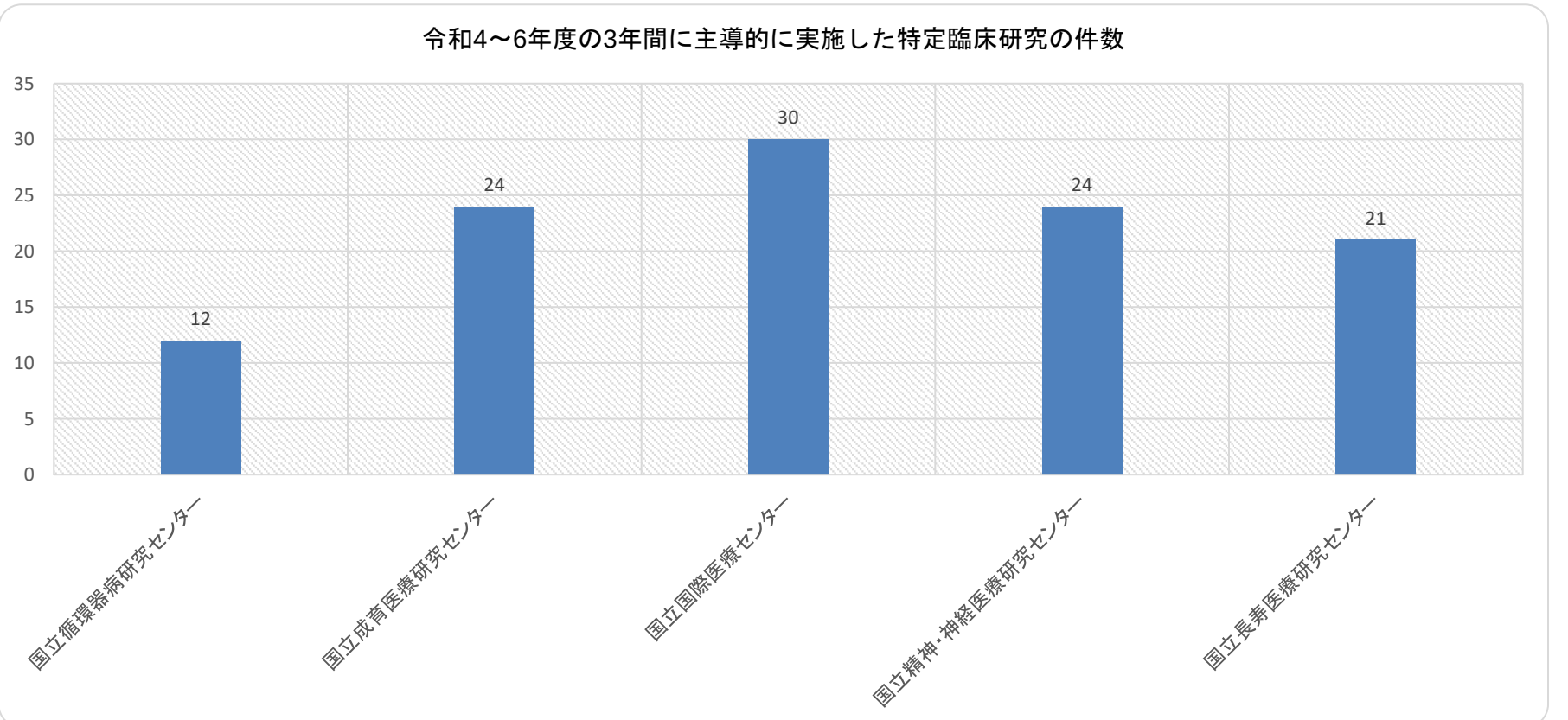
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
Phase Ⅰ	1	0	0	0	0
Phase Ⅱ	0	3	3	3	1
PhaseⅢ	2	2	2	0	0
Phase Ⅳ	0	0	0	0	0
その他	1	0	0	0	0



12

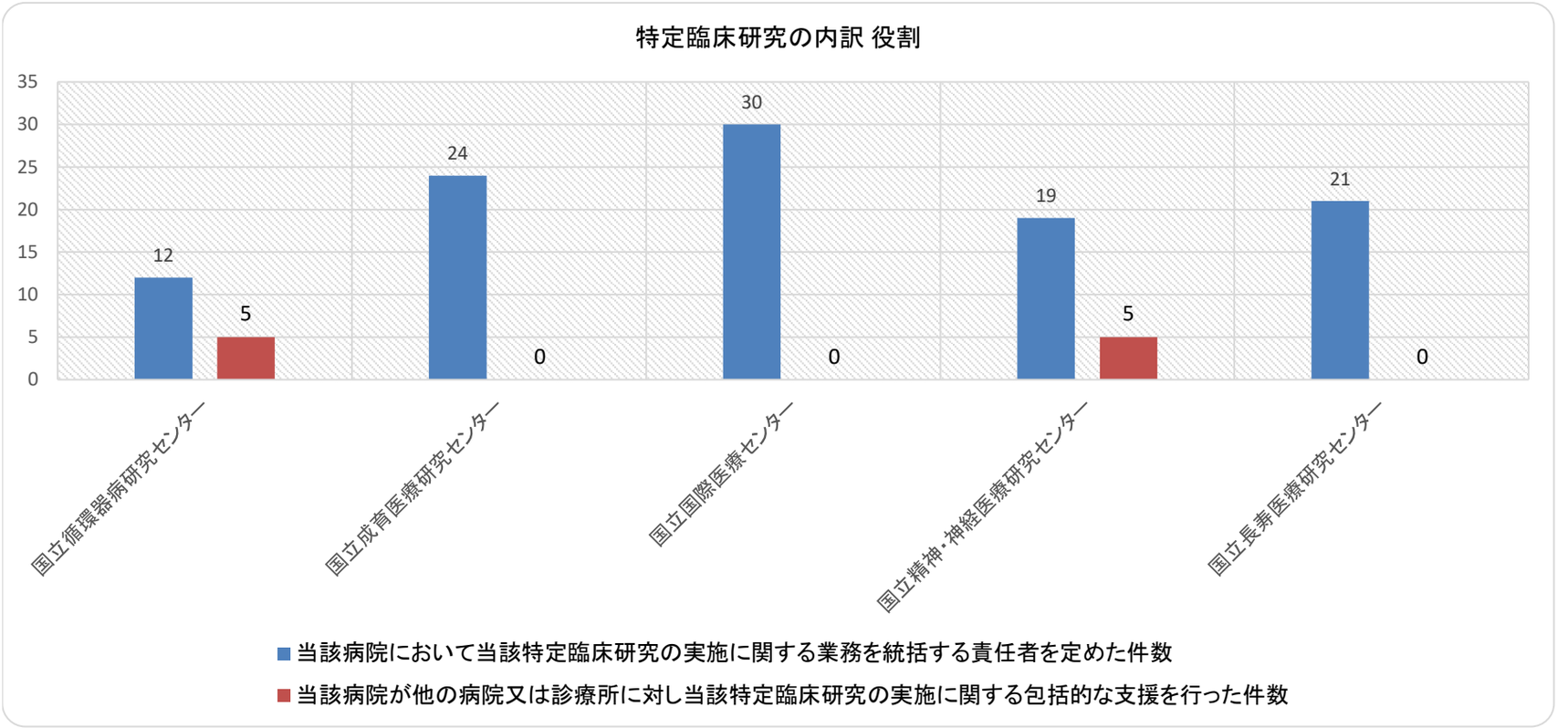
Part-2.1 / Q7-2(1).令和4～6年度の3年間に主導的に実施した特定臨床研究の件数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に主導的に実施した特定臨床研究の件数	12	24	30	24	21



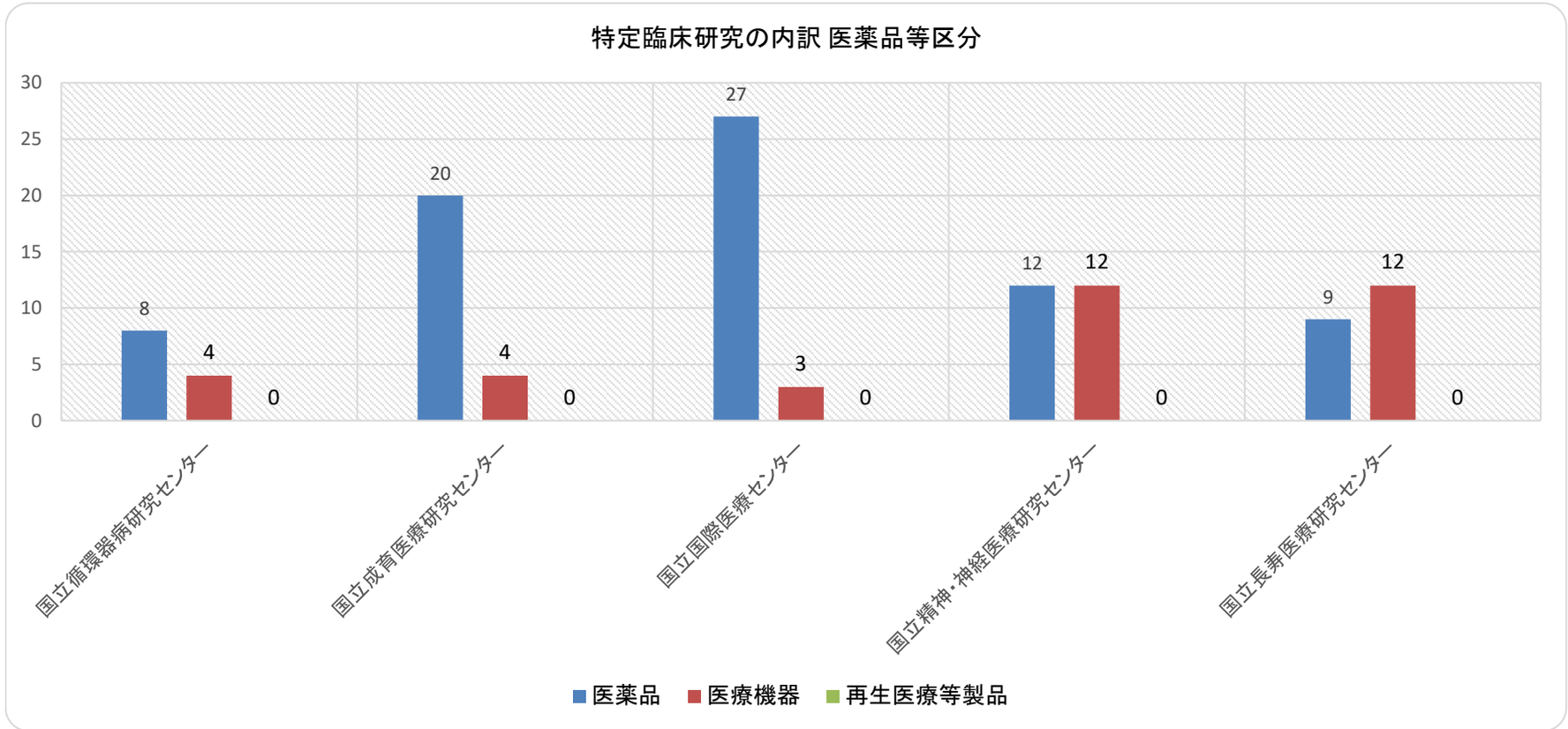
Part-2.1 / Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　役割

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
当該病院において当該特定臨床研究の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	12	24	30	19	21
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該特定臨床研究の実施に関する包括的な支援を行った件数	5	0	0	5	0



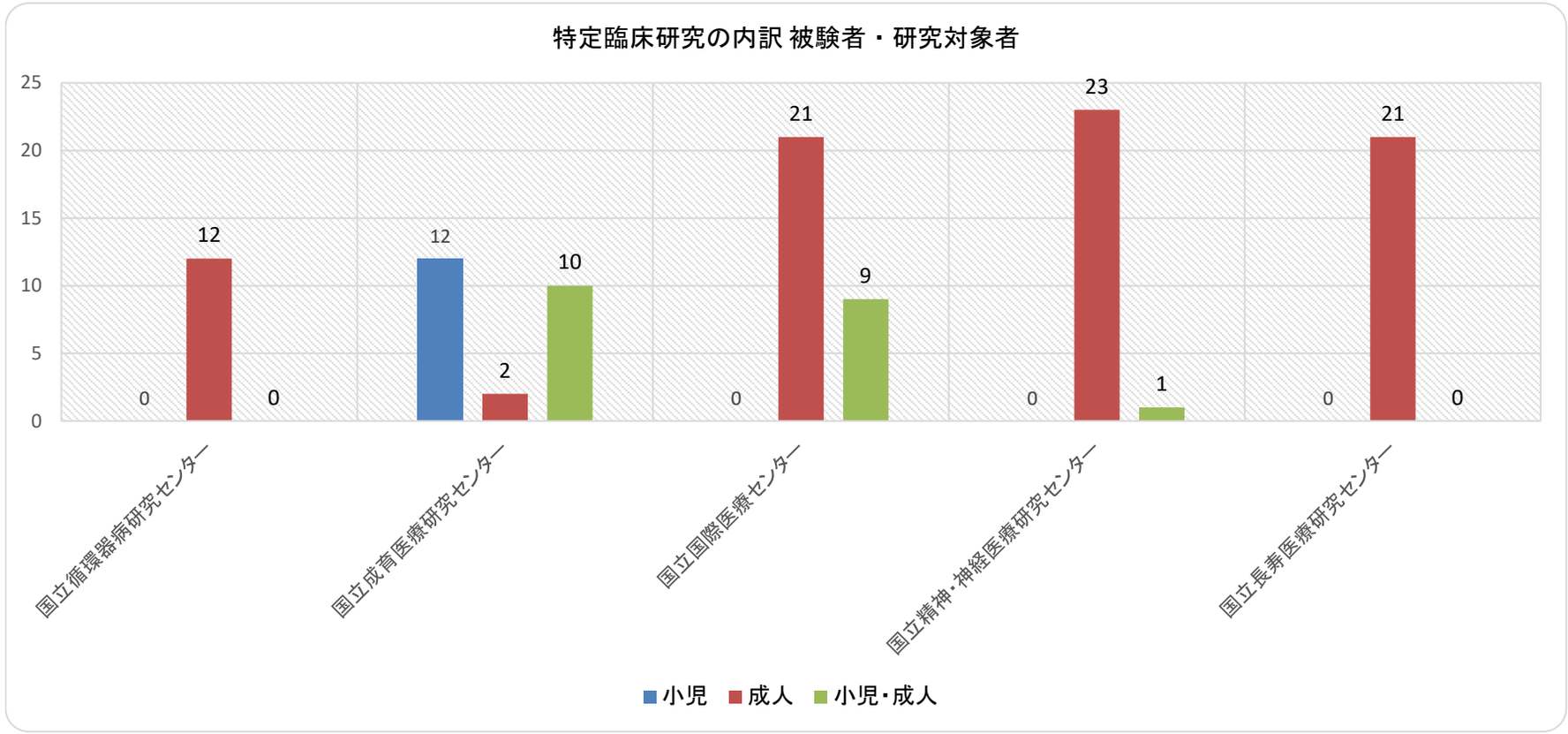
Part-2.1 / Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　医薬品等区分

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	8	20	27	12	9
医療機器	4	4	3	12	12
再生医療等製品	0	0	0	0	0



Part-2.1 / Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　被験者・研究対象者

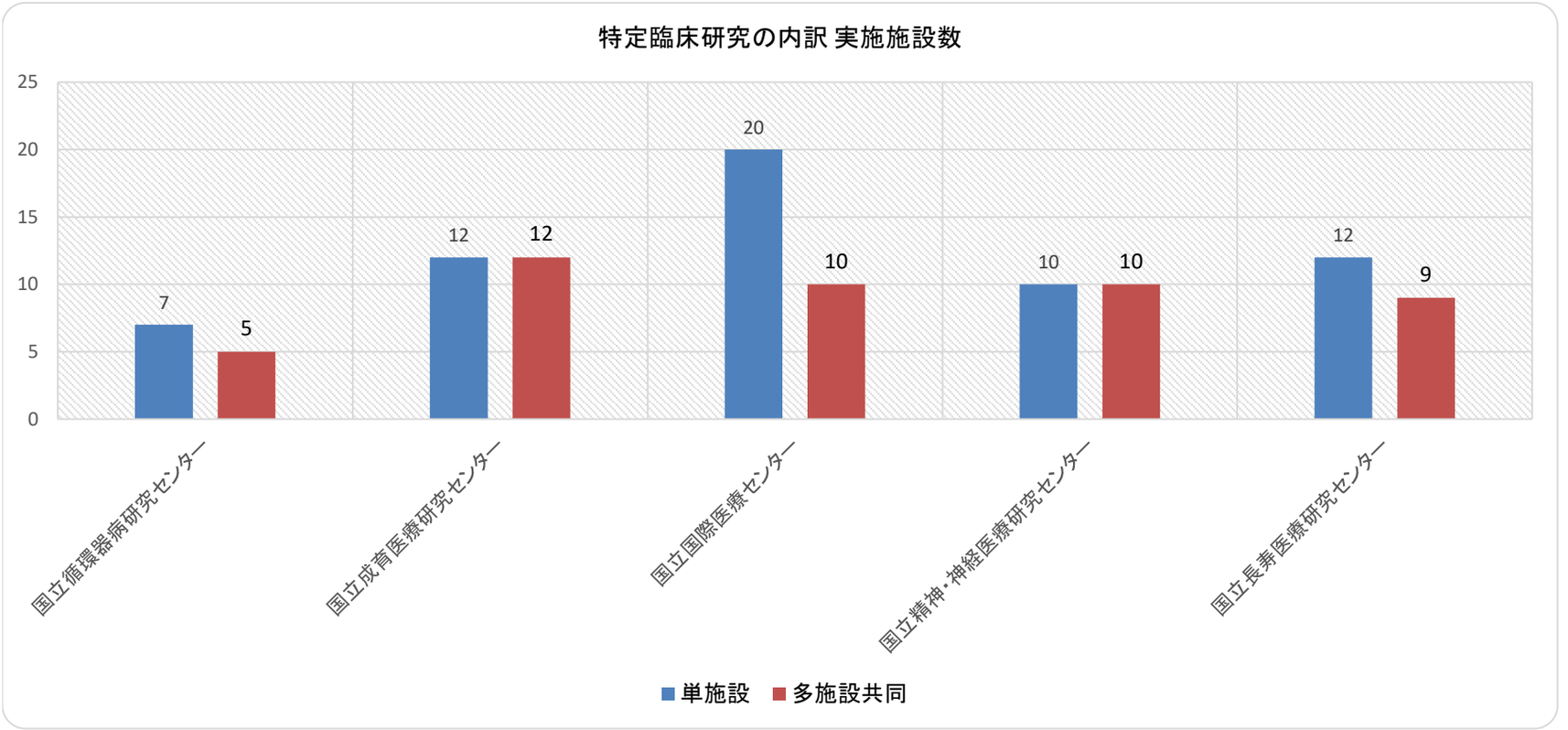
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
小児	0	12	0	0	0
成人	12	2	21	23	21
小児・成人	0	10	9	1	0



16

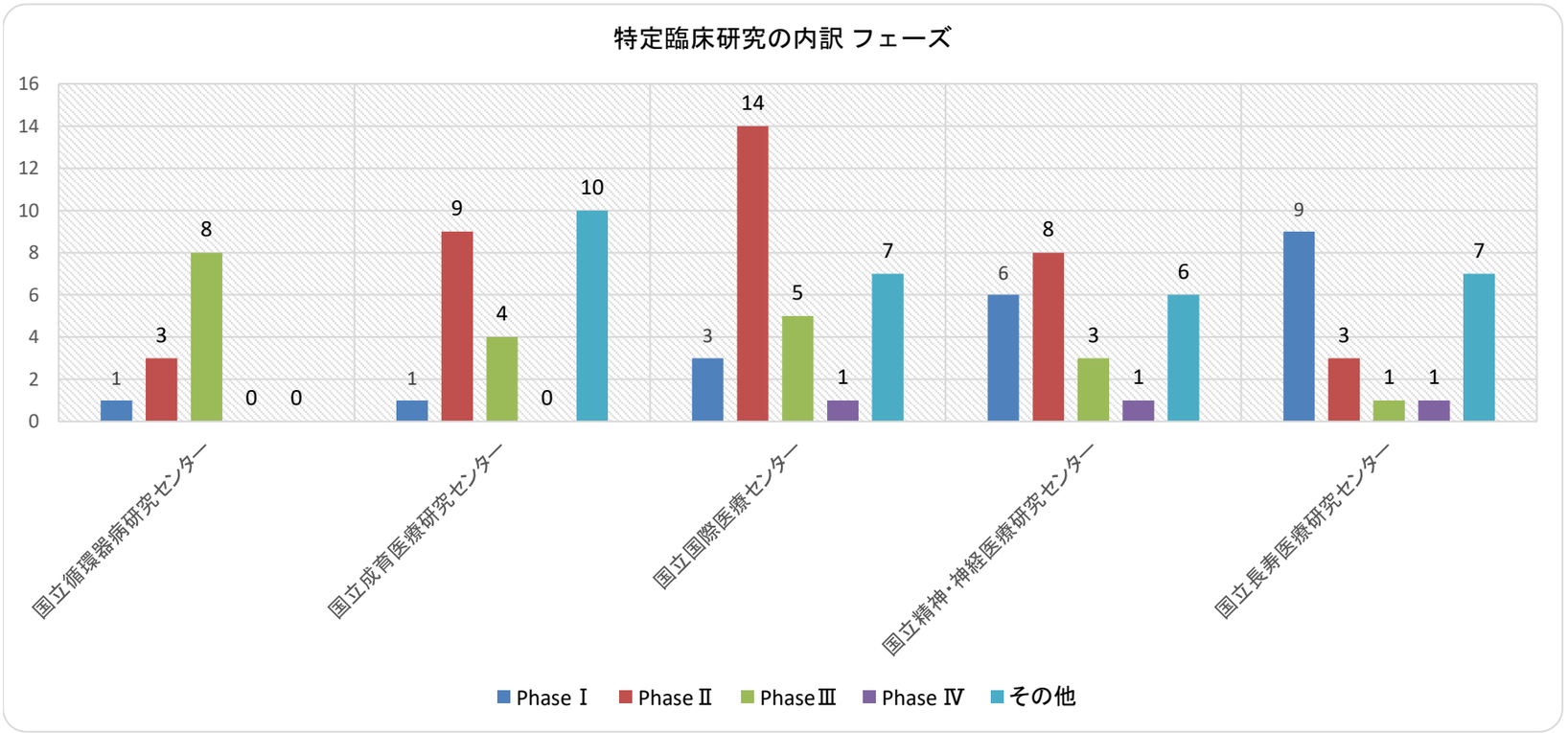
Part-2.1 / Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　実施施設数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
単施設	7	12	20	10	12
多施設共同	5	12	10	10	9



Part-2.1 / Q7-2(2).特定臨床研究の内訳　フェーズ

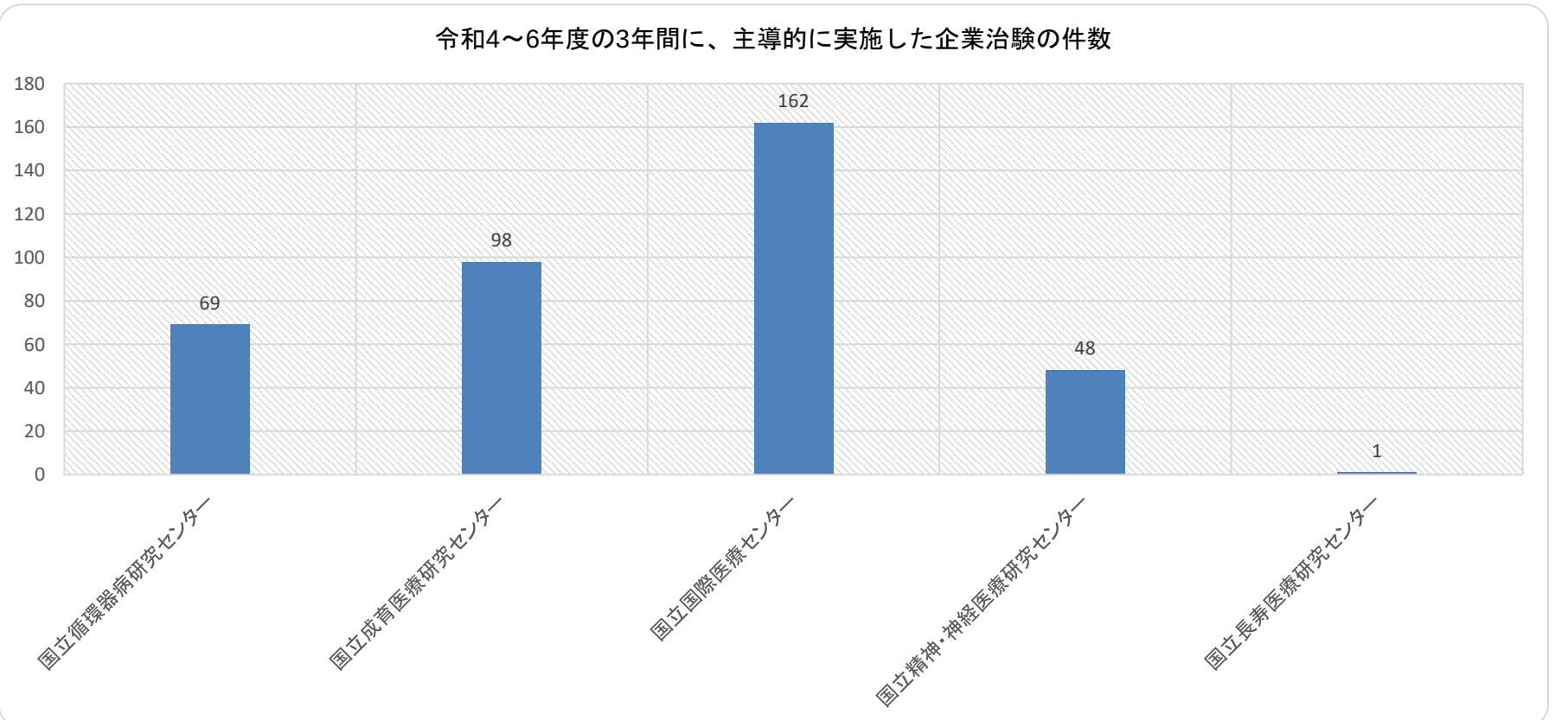
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
Phase Ⅰ	1	1	3	6	9
Phase Ⅱ	3	9	14	8	3
PhaseⅢ	8	4	5	3	1
Phase Ⅳ	0	0	1	1	1
その他	0	10	7	6	7



18

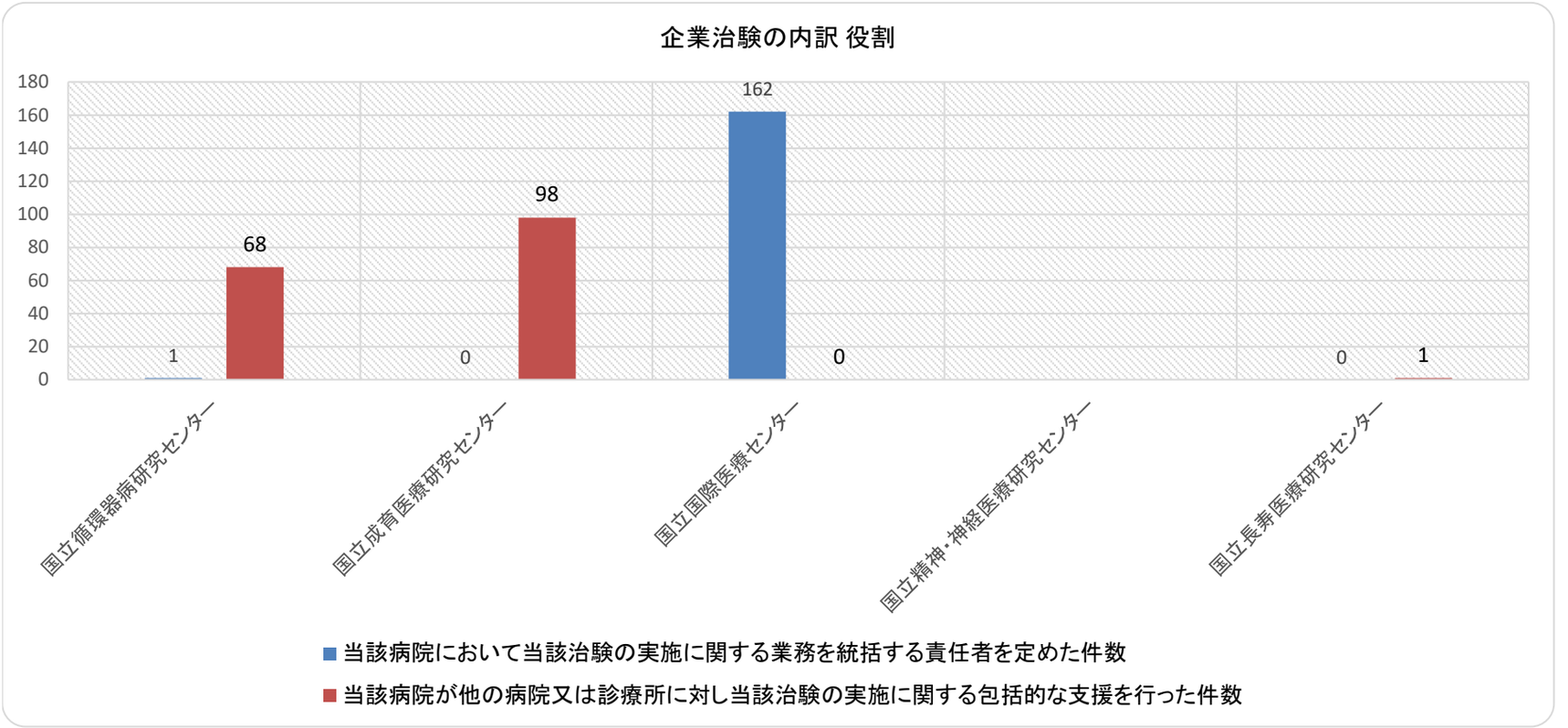
Part-2.1 / Q7-3(1). 令和4～6年度の3年間に、主導的に実施した企業治験の件数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、主導的に実施した企業治験の件数	69	98	162	48	1



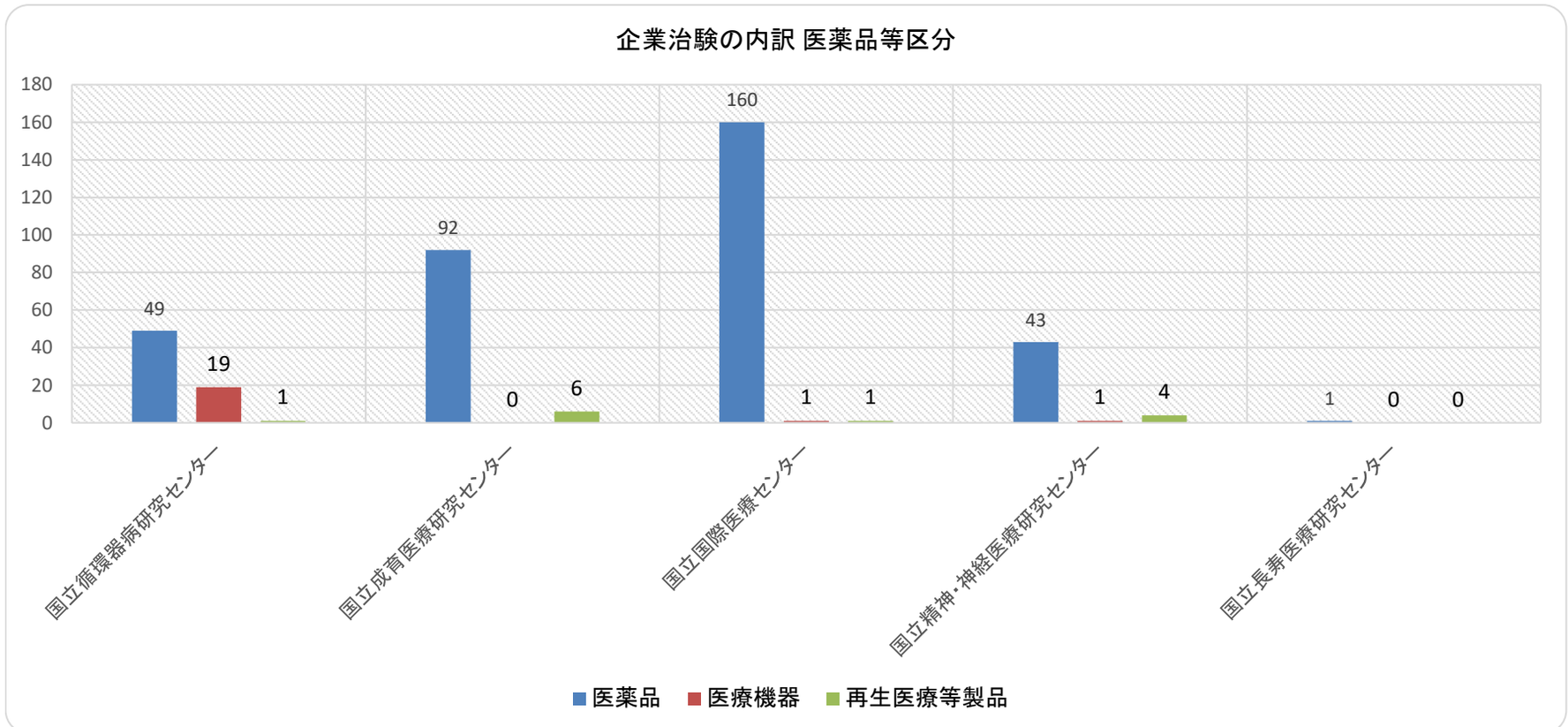
Part-2.1 / Q7-3(2).企業治験の内訳　役割

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	1	0	162	–	0
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	68	98	0	–	1



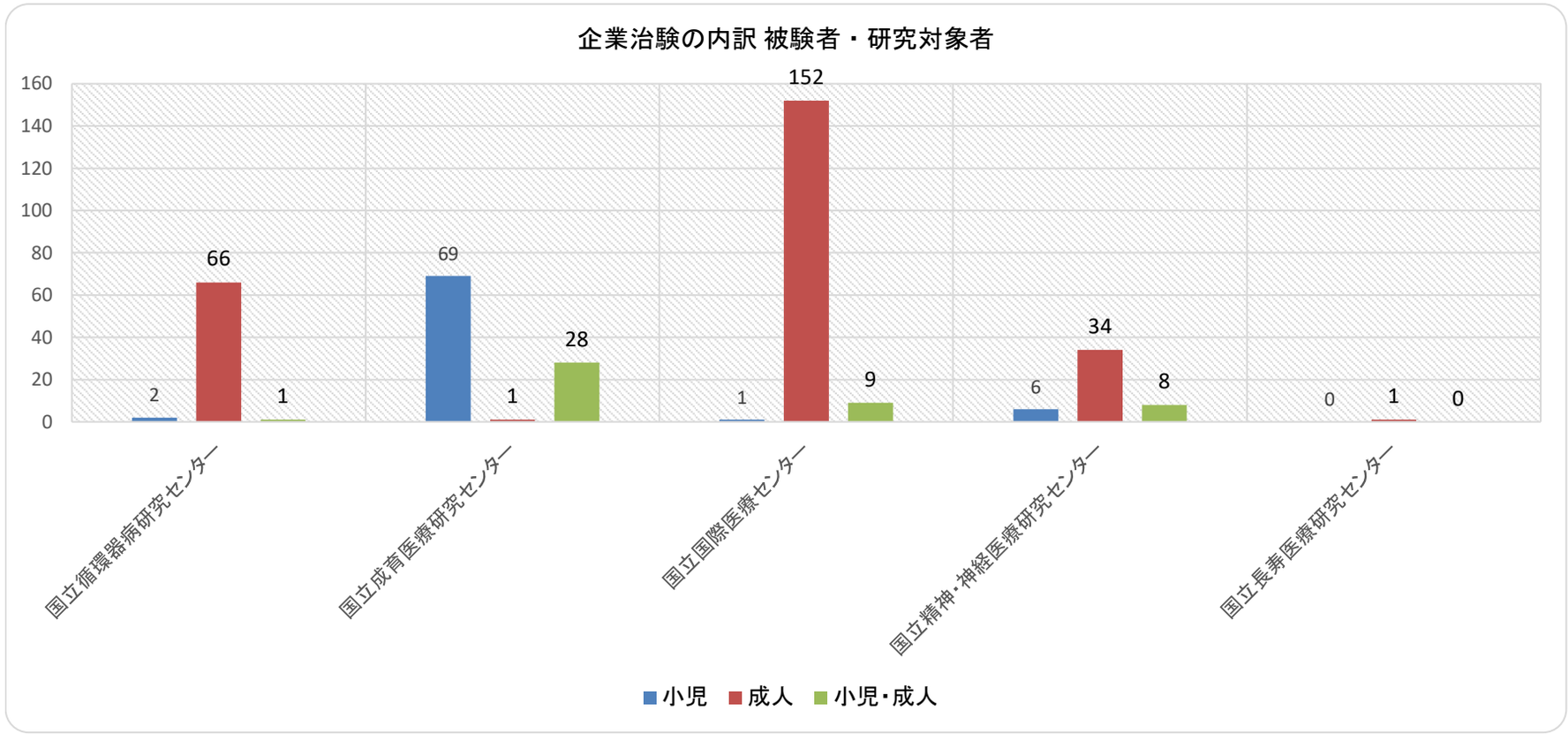
Part-2.1 / Q7-3(2).企業治験の内訳　医薬品等区分

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	49	92	160	43	1
医療機器	19	0	1	1	0
再生医療等製品	1	6	1	4	0



Part-2.1 / Q7-3(2).企業治験の内訳　被験者・研究対象者

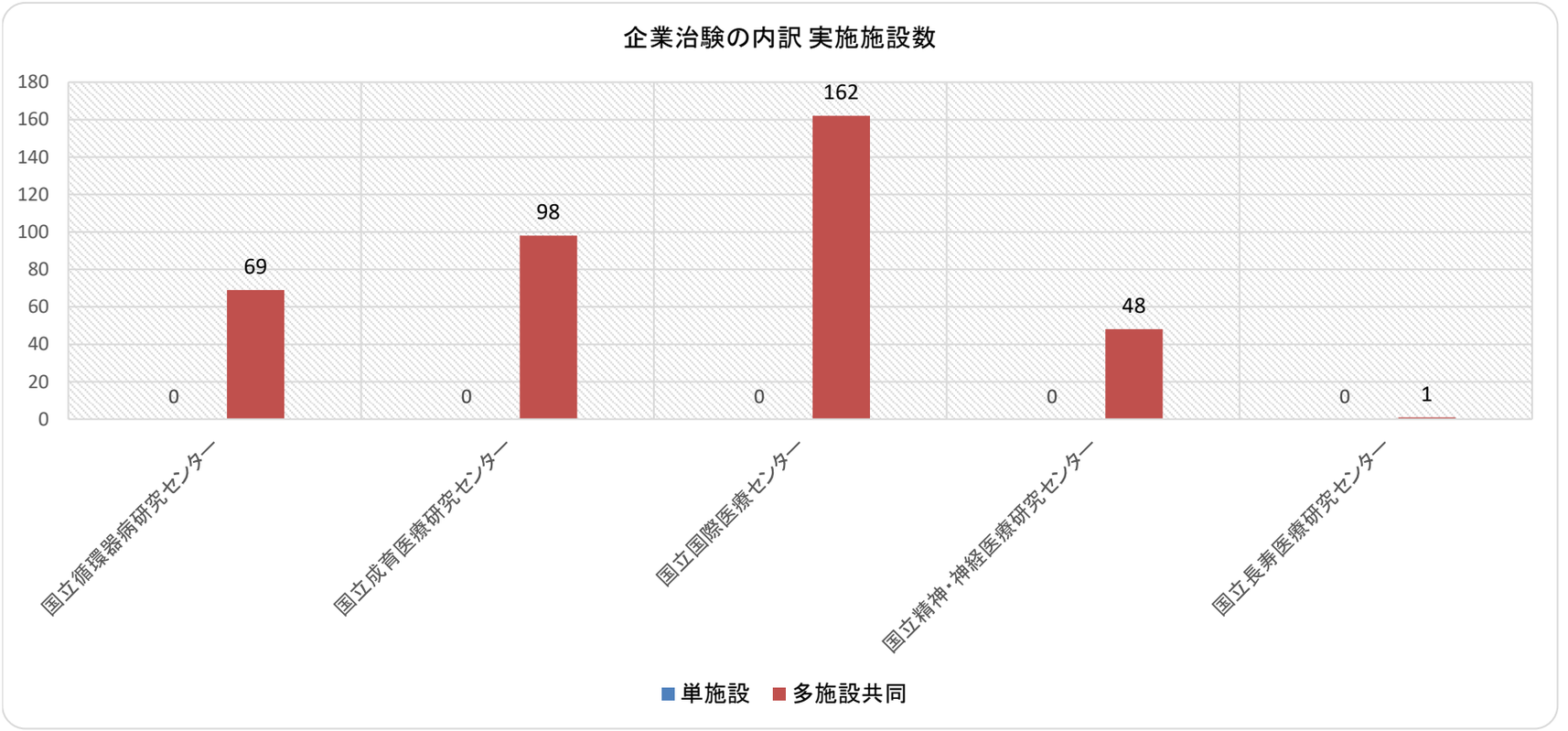
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
小児	2	69	1	6	0
成人	66	1	152	34	1
小児・成人	1	28	9	8	0



22

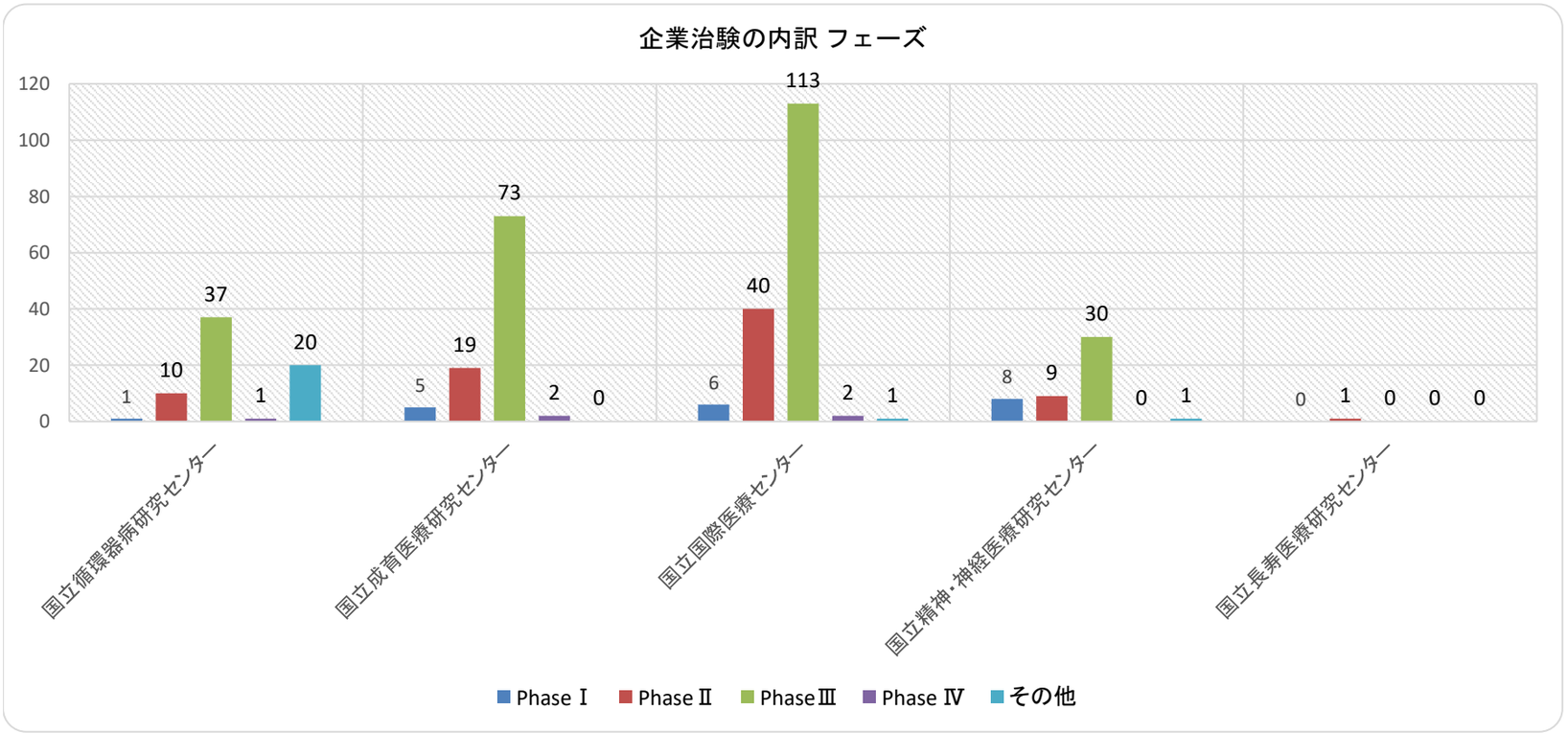
Part-2.1 / Q7-3(2).企業治験の内訳　実施施設数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
単施設	0	0	0	0	0
多施設共同	69	98	162	48	1



Part-2.1 / Q7-3(2).企業治験の内訳　フェーズ

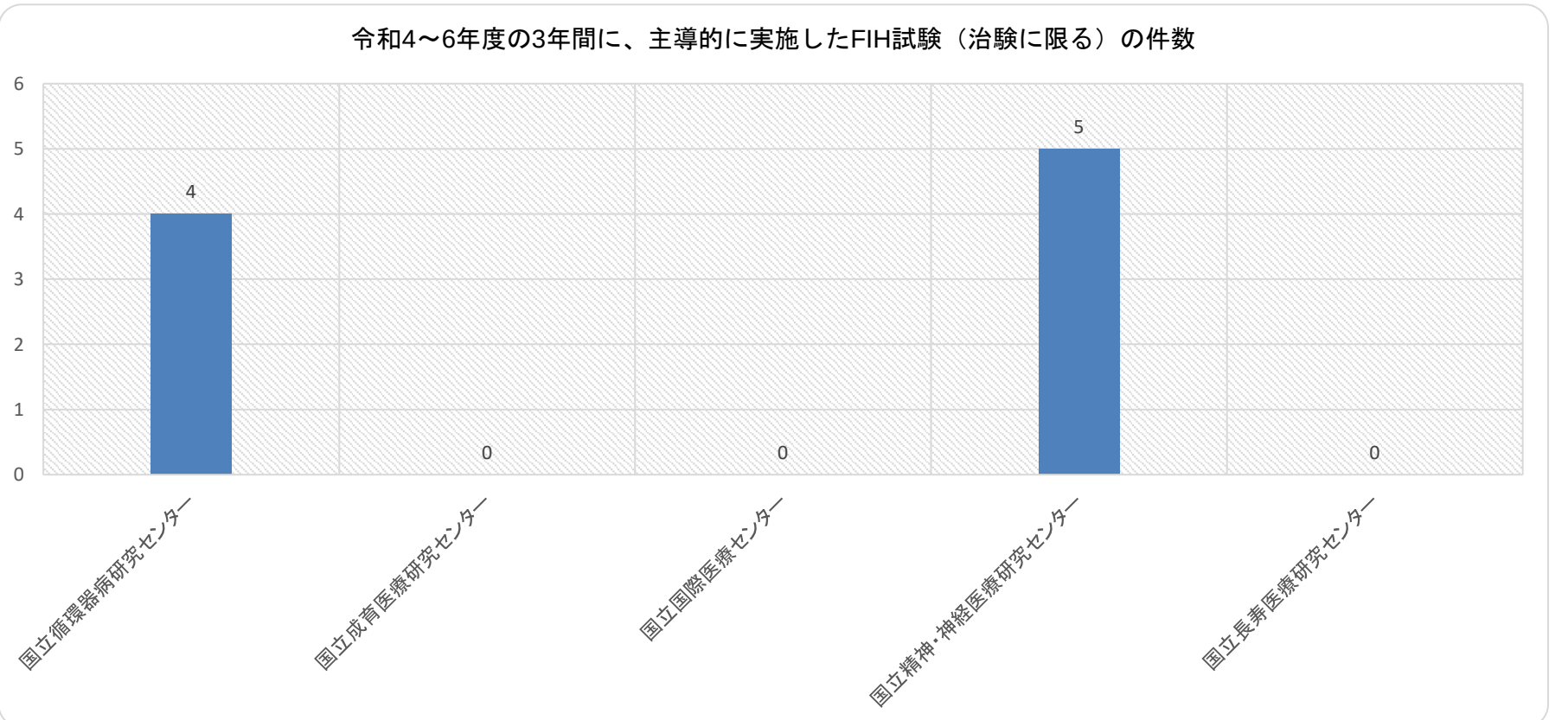
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
Phase Ⅰ	1	5	6	8	0
Phase Ⅱ	10	19	40	9	1
PhaseⅢ	37	73	113	30	0
Phase Ⅳ	1	2	2	0	0
その他	20	0	1	1	0



24

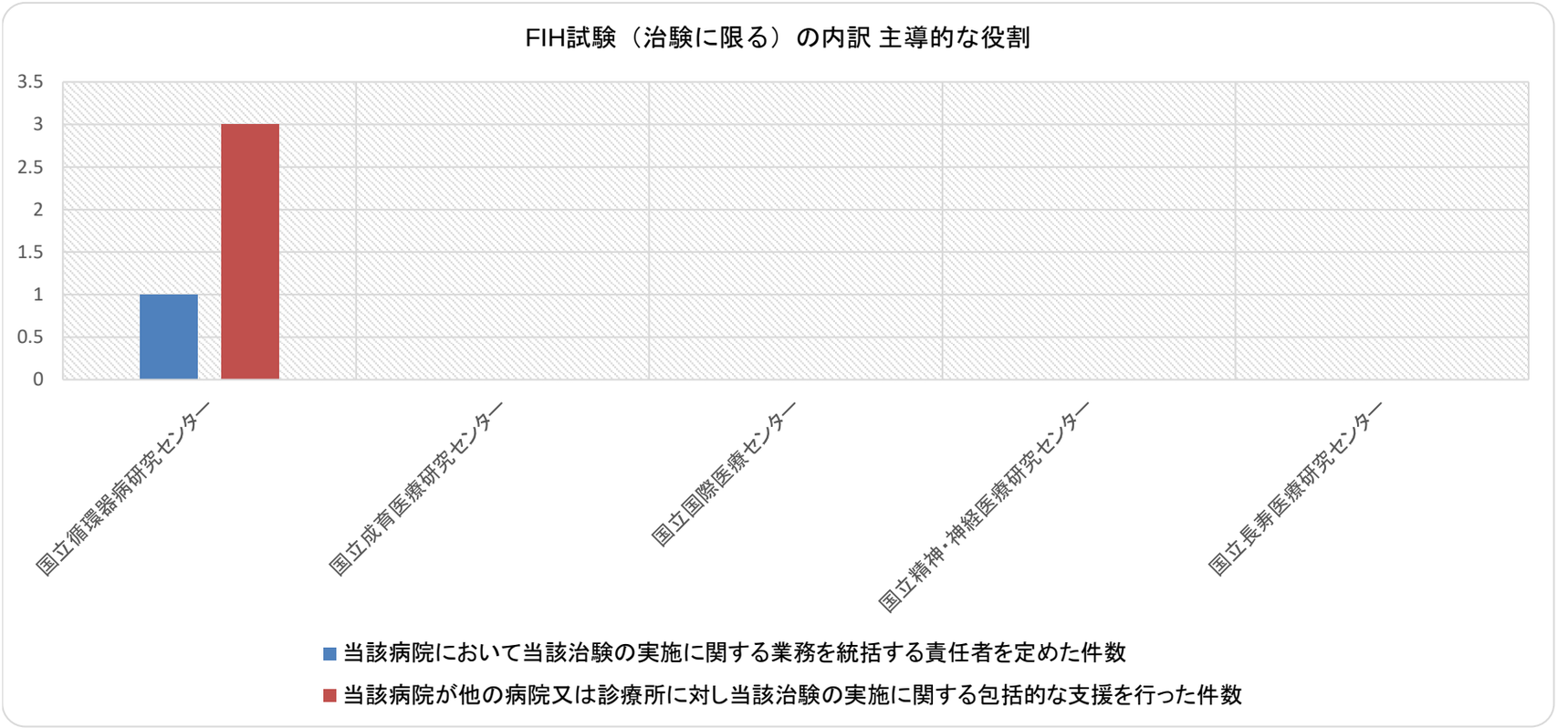
Part-2.1 / Q7-4(1). 令和4～6年度の3年間に、主導的に実施したFIH試験（治験に限る）の件数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、主導的に実施したFIH試験（治験に限る）の件数	4	0	0	5	0



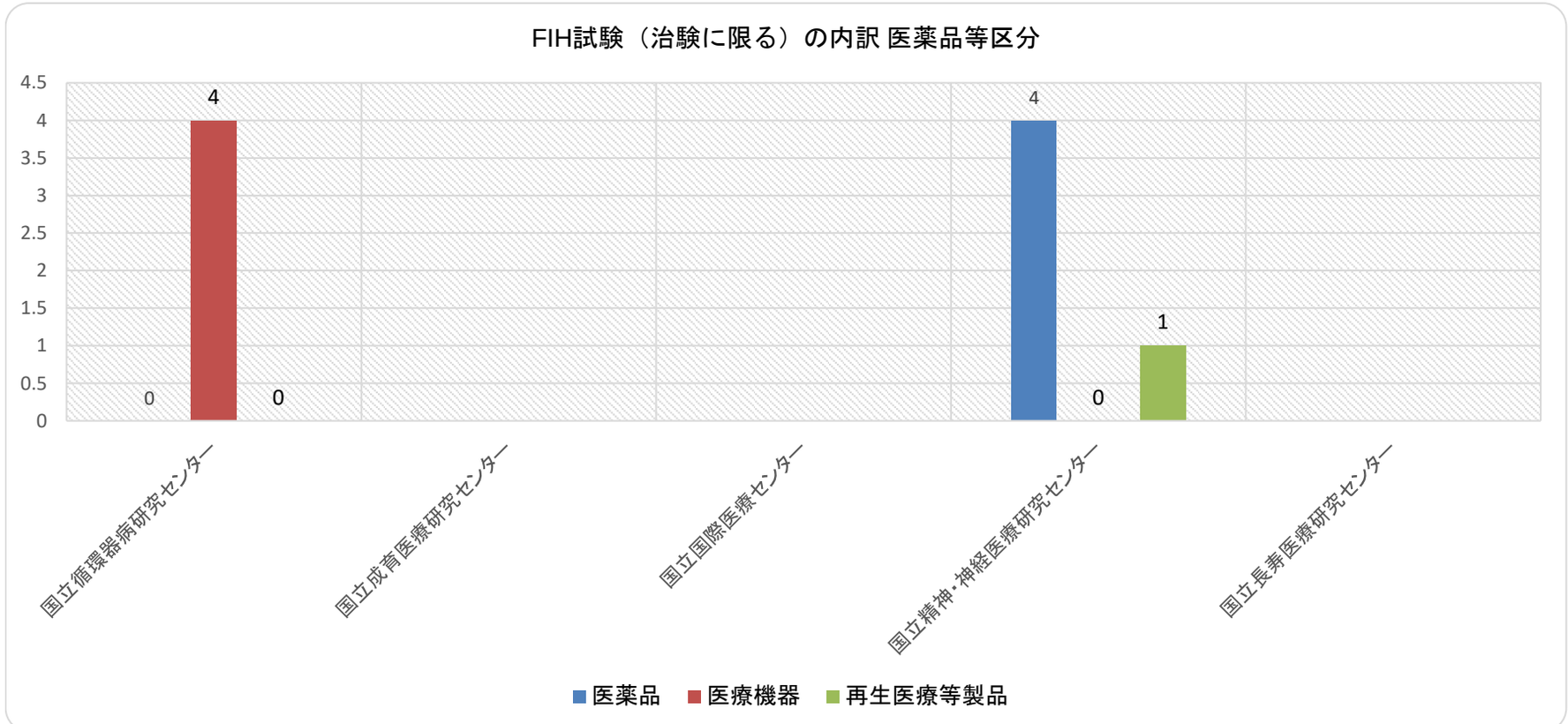
Part-2.1 / Q7-4(2). FIH試験（治験に限る）の内訳　主導的な役割

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	1	–	–	–	–
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	3	–	–	–	–



Part-2.1 / Q7-4(2). FIH試験（治験に限る）の内訳　医薬品等区分

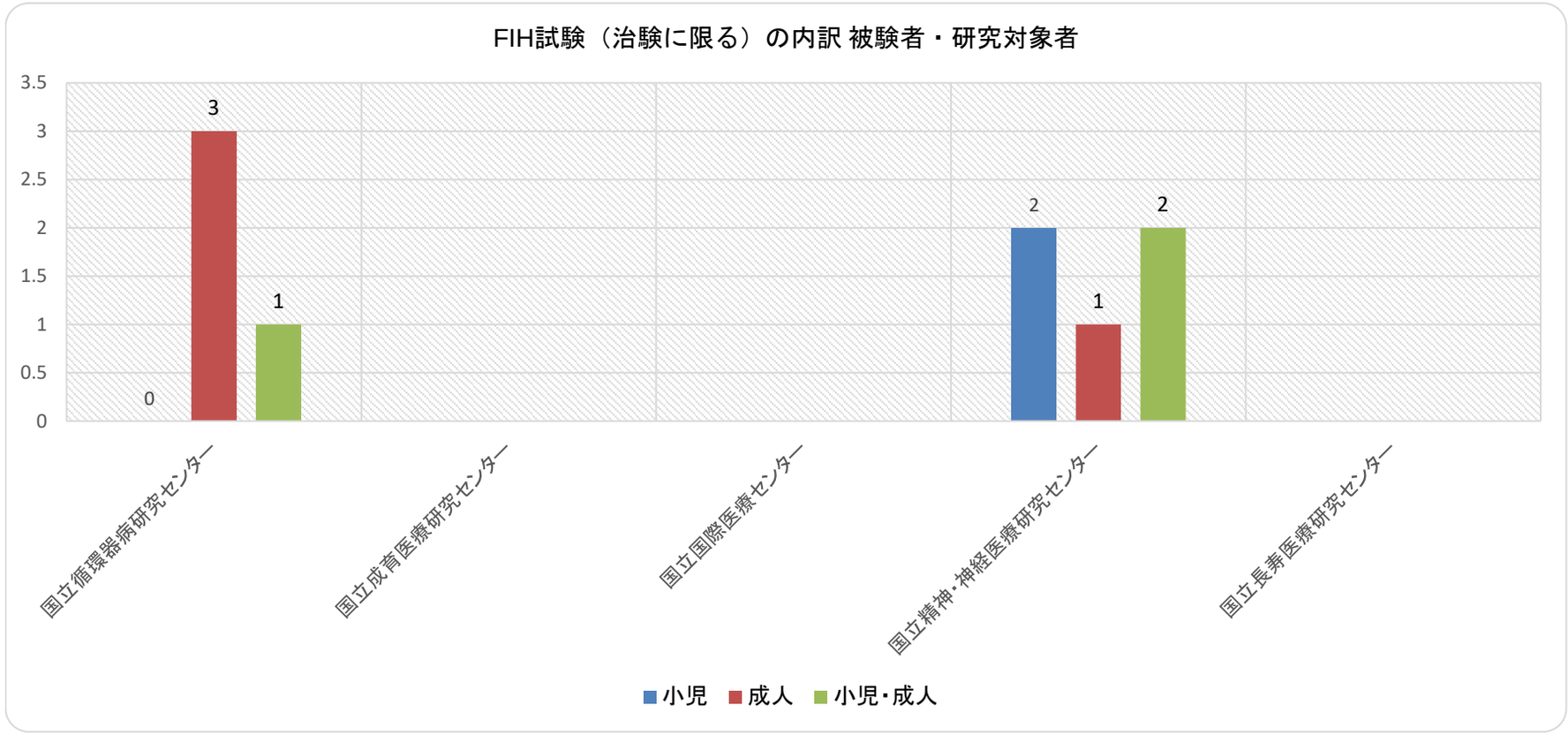
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	0	–	–	4	–
医療機器	4	–	–	0	–
再生医療等製品	0	–	–	1	–



27

Part-2.1 / Q7-4(2). FIH試験（治験に限る）の内訳　被験者・研究対象者

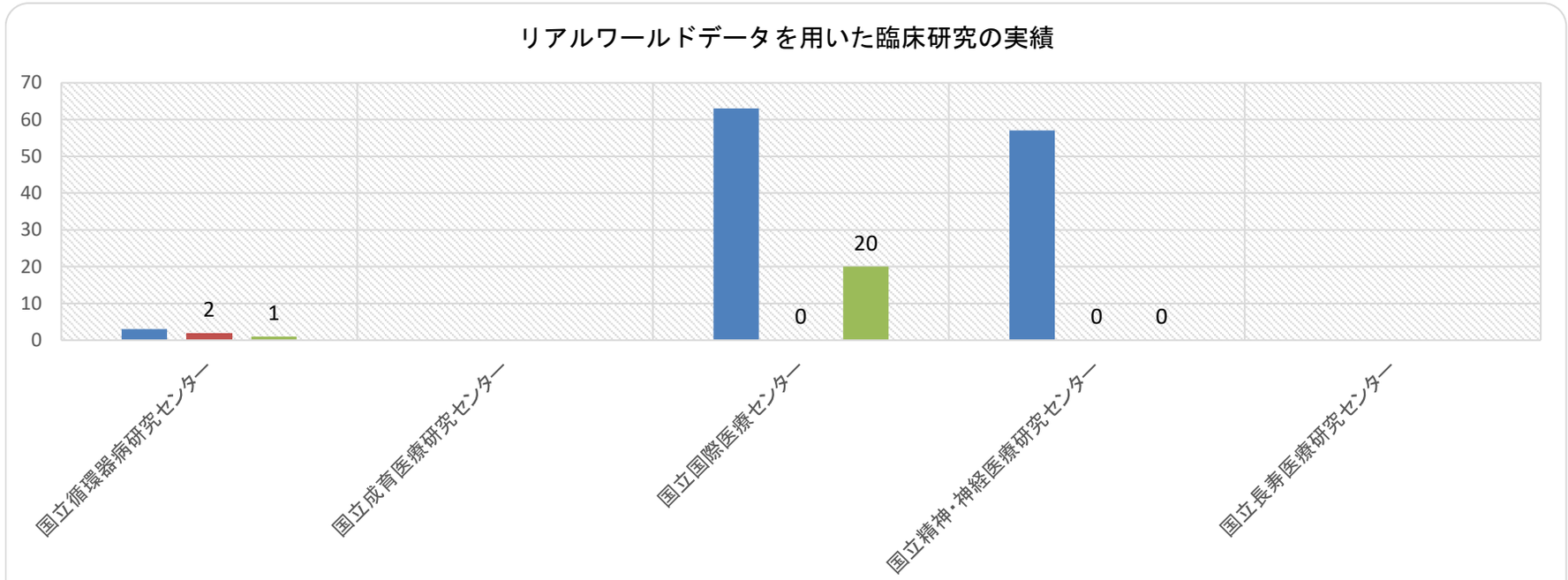
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
小児	0	–	–	2	–
成人	3	–	–	1	–
小児・成人	1	–	–	2	–



28

Part-2.1 / Q7-5. リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績

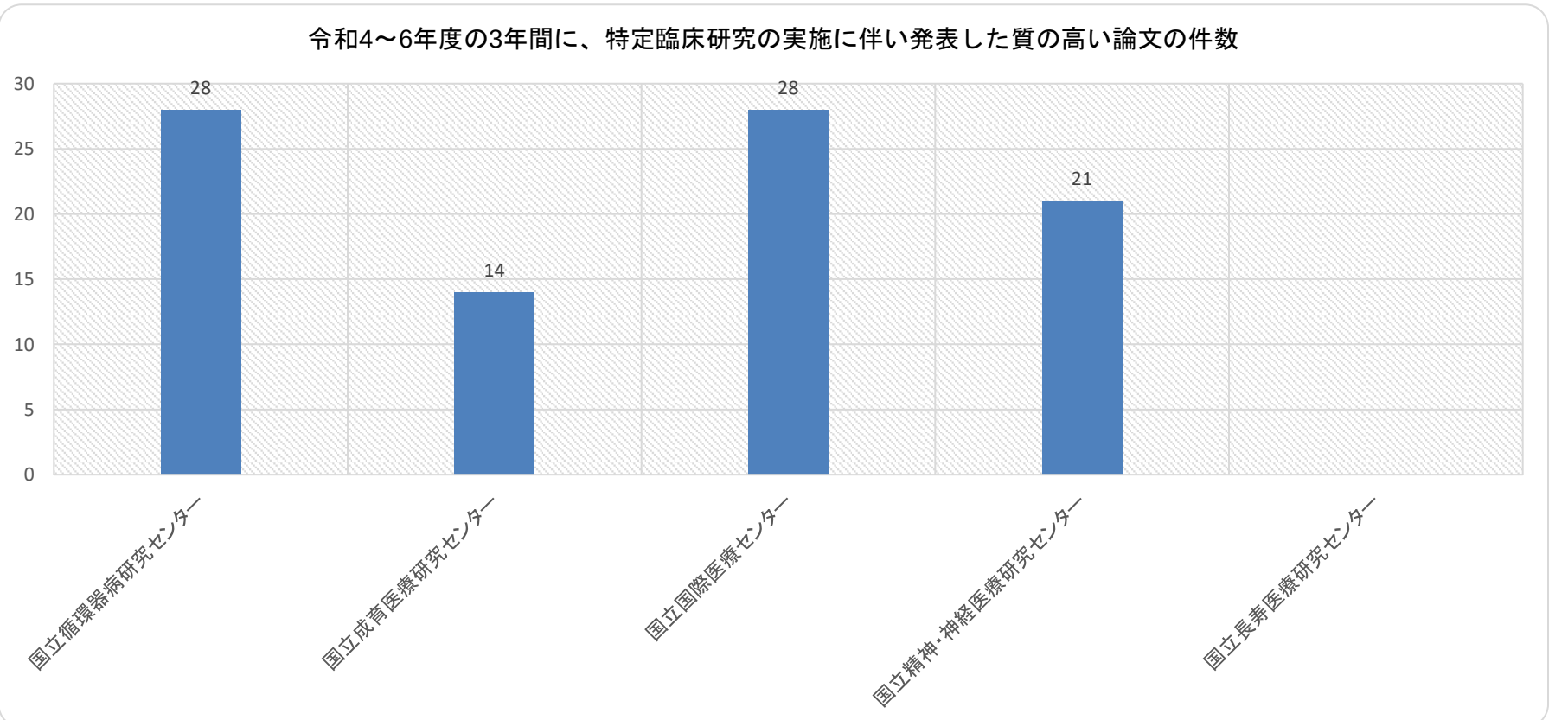
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
過去1年間に実施したリアルワールドデータを用いた臨床研究の実績件数	3	–	63	57	–
ナチュラルヒストリーを使った単群試験	2	–	0	0	–
事前に統計解析計画を立ててマッチングを行った試験	1	–	20	0	–



29

Part-2.2 / Q8-1(1). 令和4～6年度の3年間に、特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の件数

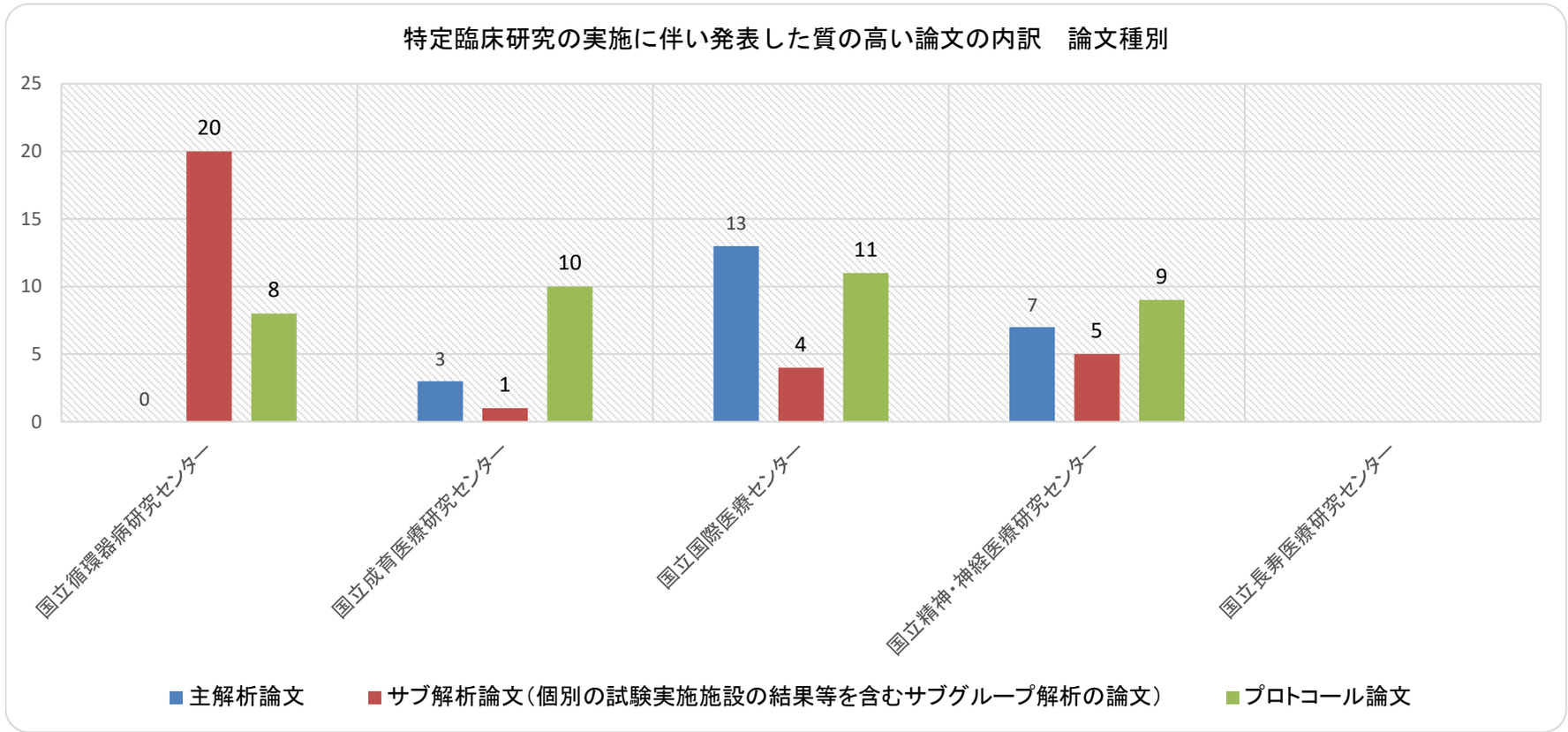
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の件数	28	14	28	21	-



30

Part-2.2 / Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　論文種別

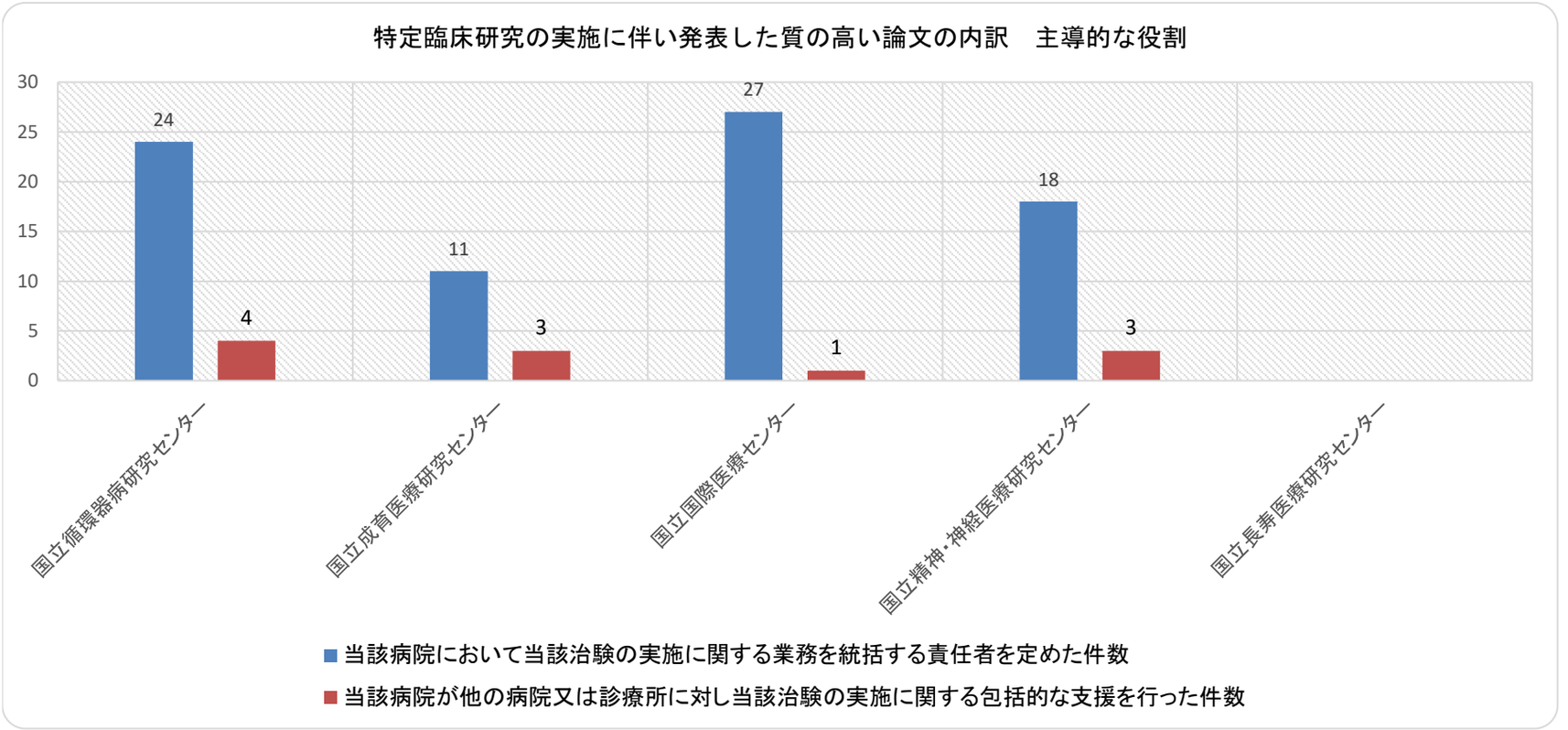
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
主解析論文	0	3	13	7	-
サブ解析論文（個別の試験実施施設の結果等を含むサブグループ解析の論文）	20	1	4	5	-
プロトコール論文	8	10	11	9	-



31

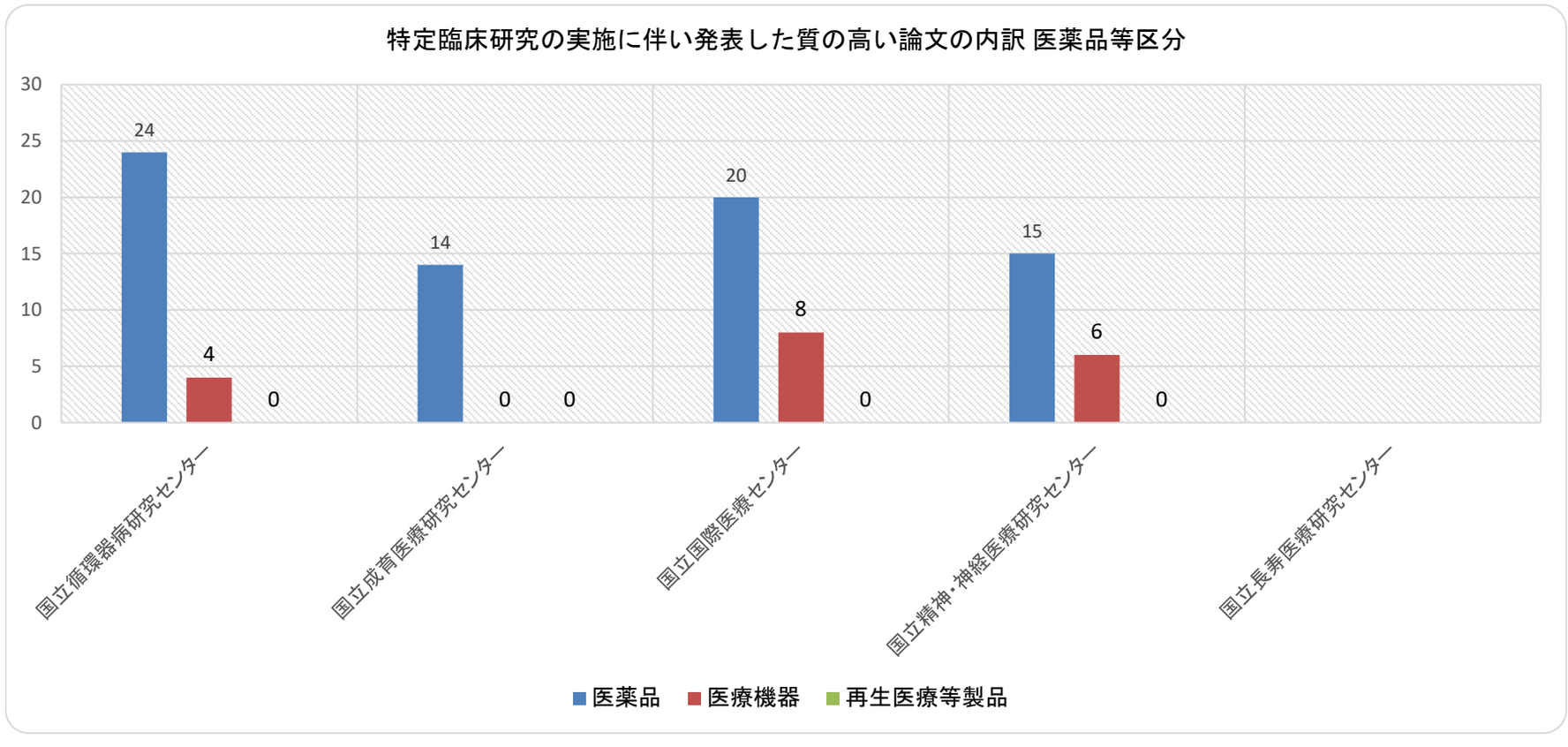
Part-2.2 / Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　主導的な役割

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	24	11	27	18	-
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	4	3	1	3	-



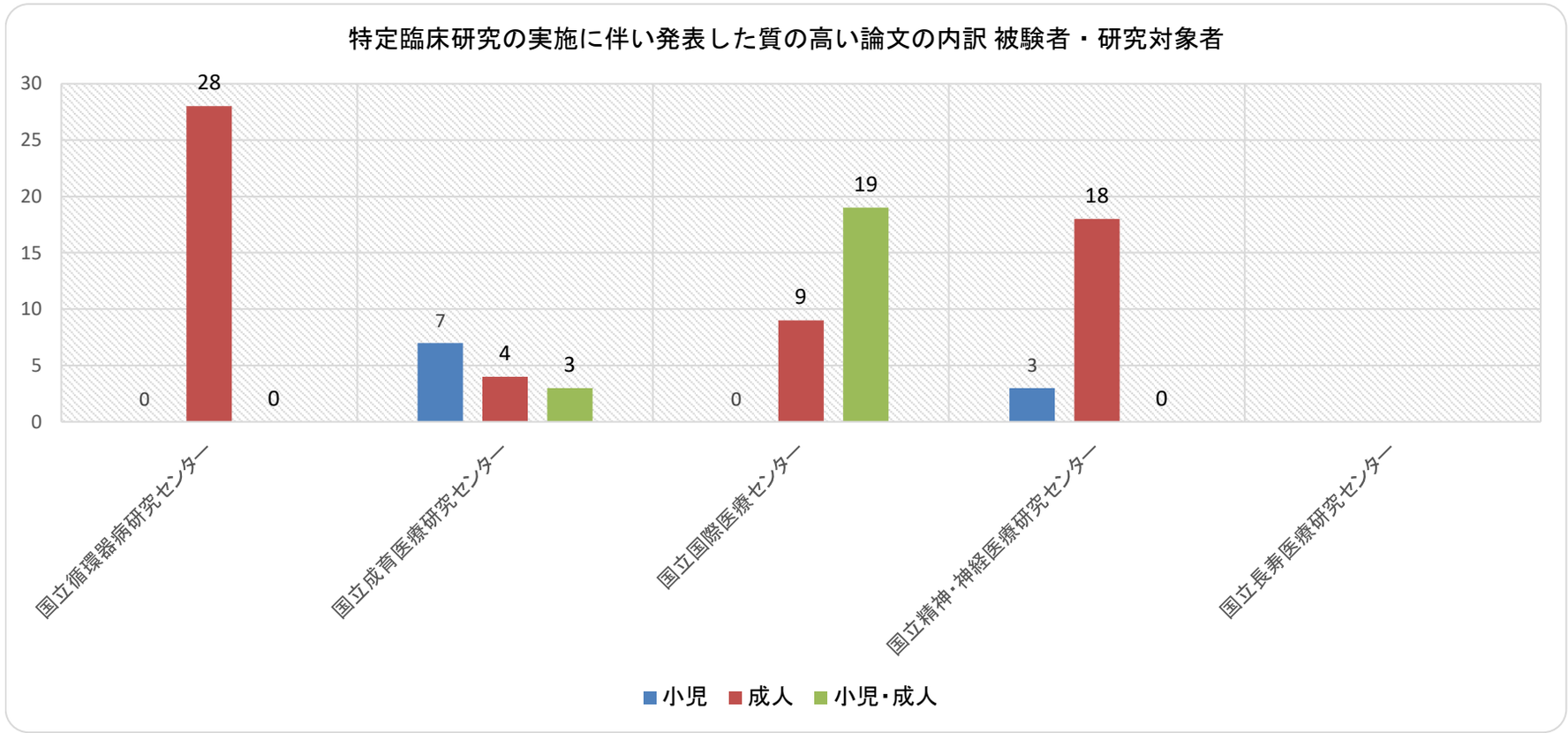
Part-2.2 / Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　医薬品等区分

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	24	14	20	15	－
医療機器	4	0	8	6	－
再生医療等製品	0	0	0	0	－



Part-2.2 / Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　被験者・研究対象者

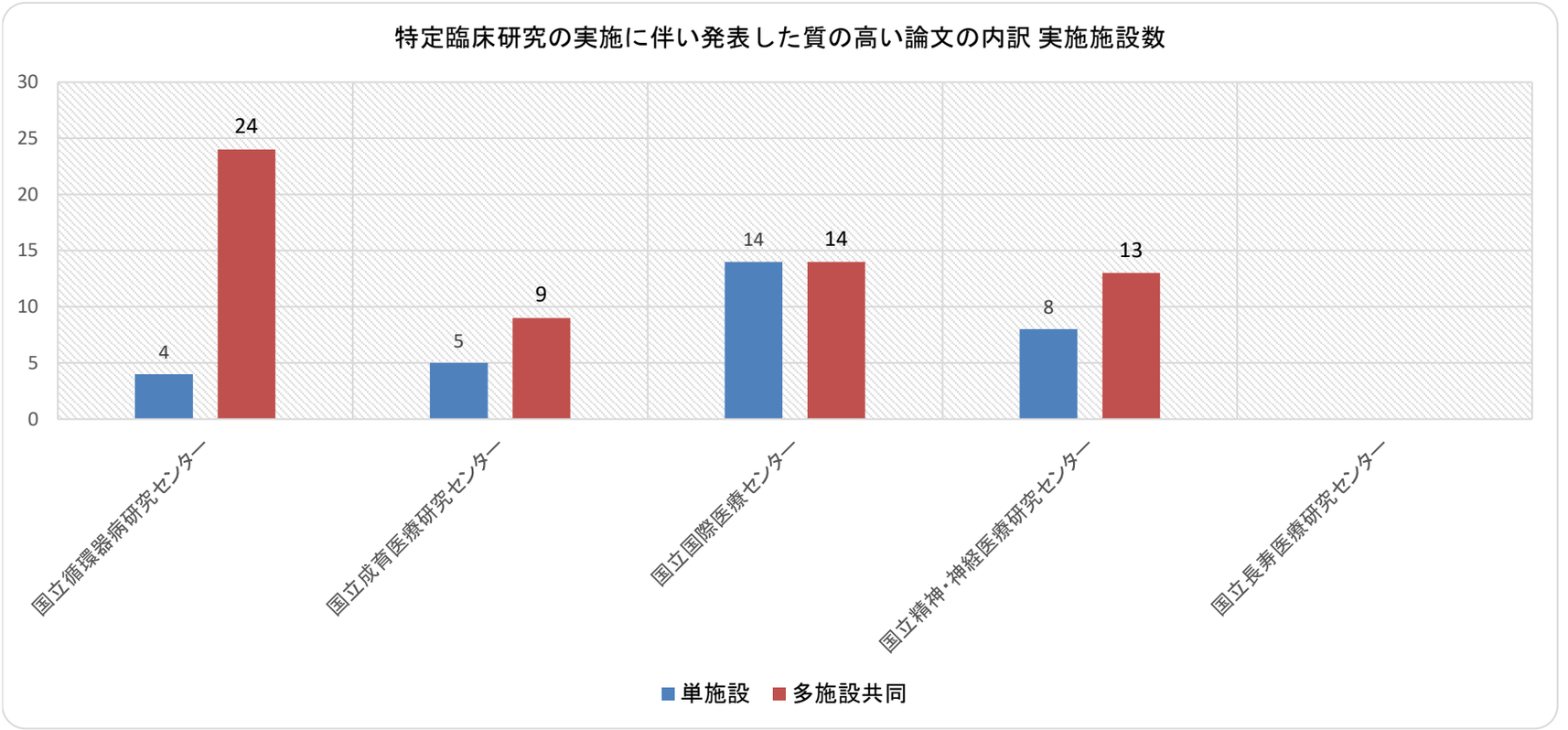
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
小児	0	7	0	3	–
成人	28	4	9	18	–
小児・成人	0	3	19	0	–



34

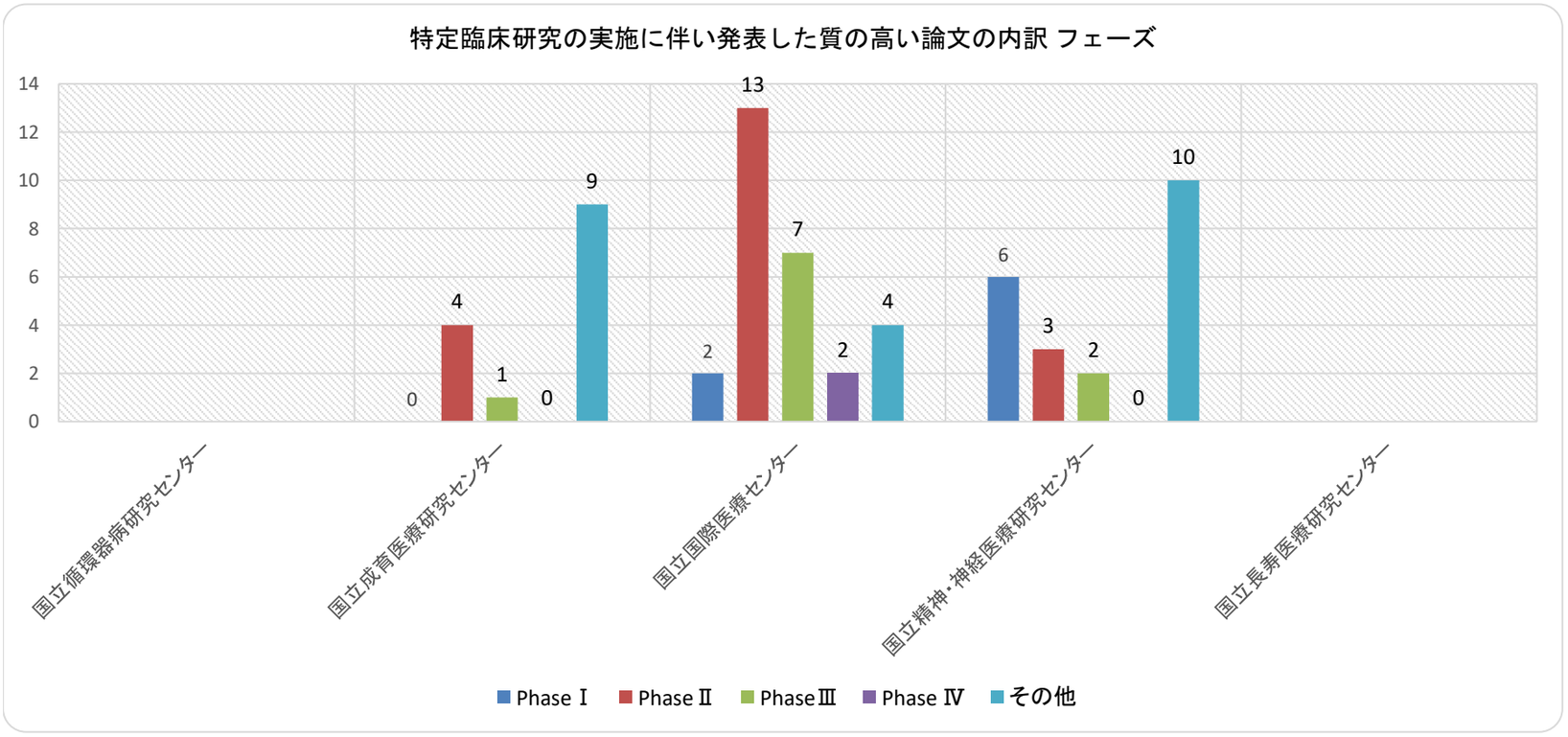
Part-2.2 / Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　実施施設数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
単施設	4	5	14	8	-
多施設共同	24	9	14	13	-



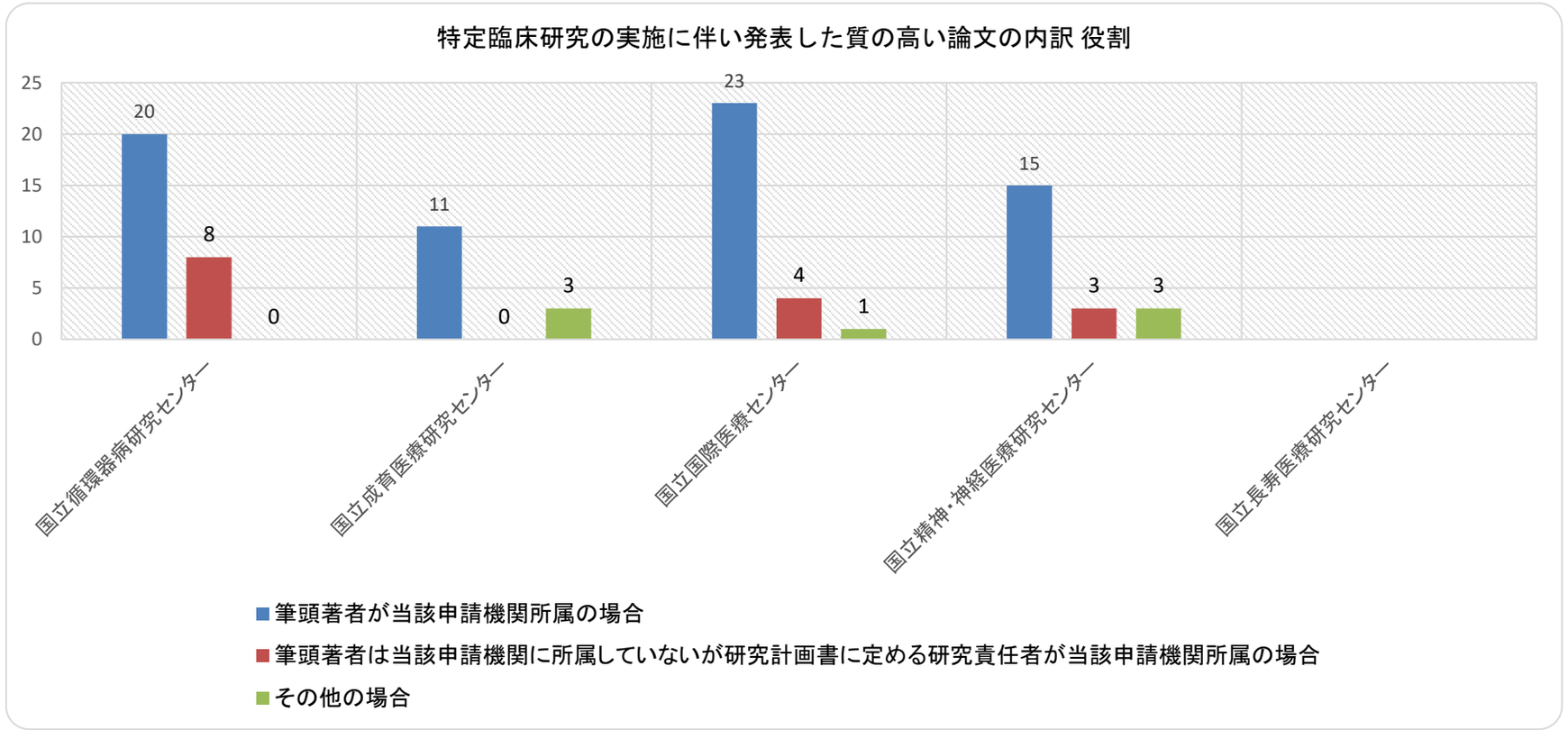
Part-2.2 / Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　フェーズ

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
Phase Ⅰ	–	0	2	6	–
Phase Ⅱ	–	4	13	3	–
PhaseⅢ	–	1	7	2	–
Phase Ⅳ	–	0	2	0	–
その他	–	9	4	10	–



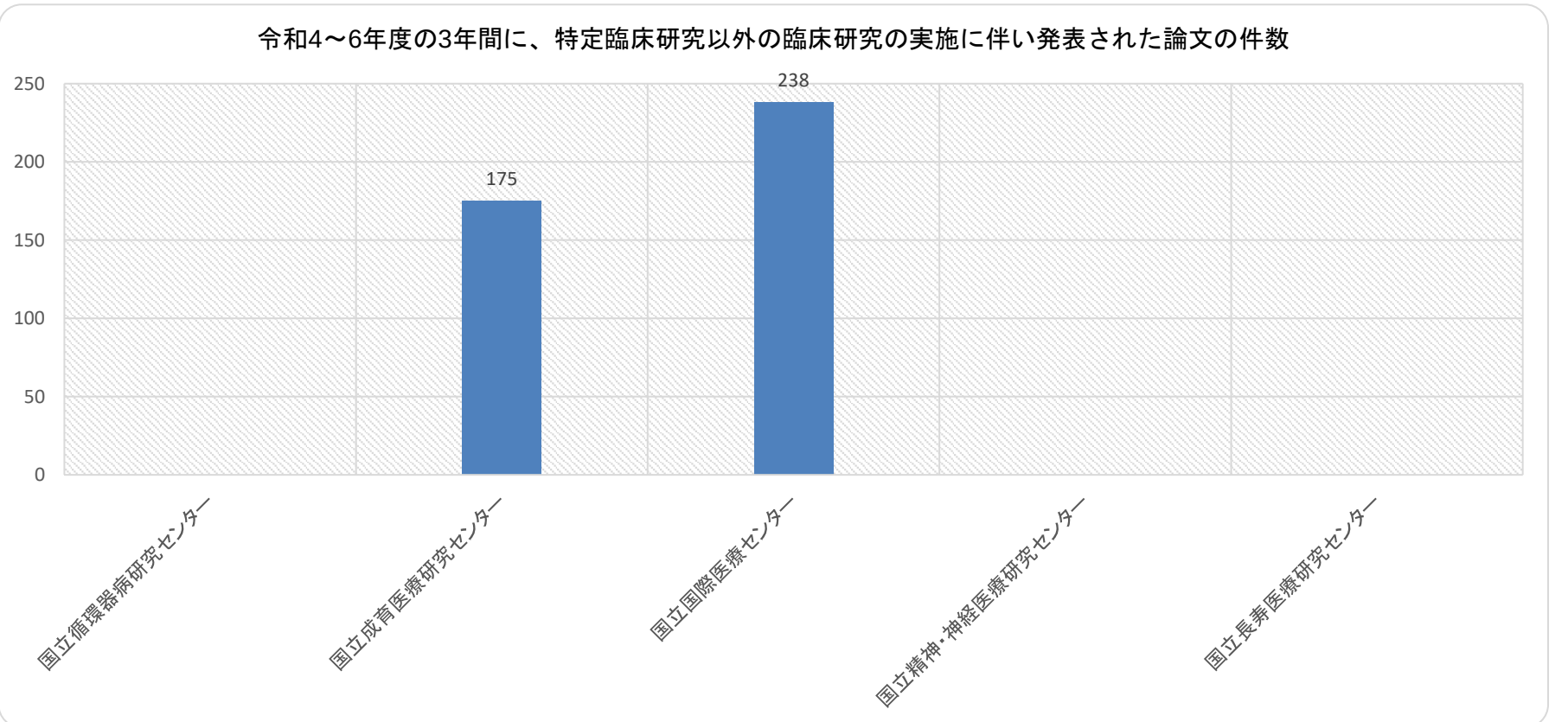
Part-2.2 / Q8-1(2). 特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の内訳　役割

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
筆頭著者が当該申請機関所属の場合	20	11	23	15	-
筆頭著者は当該申請機関に所属していないが研究計画書に定める研究責任者が当該申請機関所属の場合	8	0	4	3	-
その他の場合	0	3	1	3	-



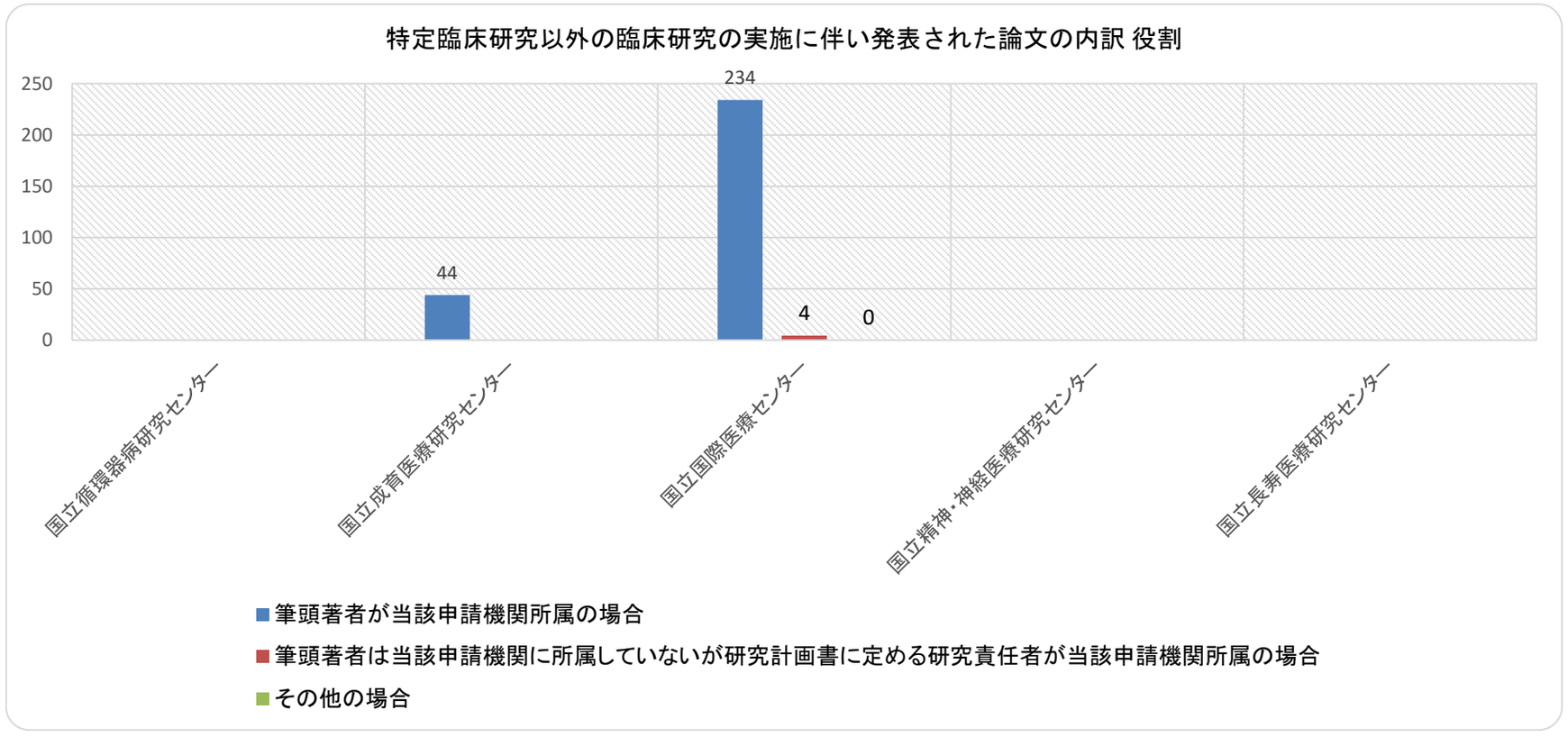
Part-2.2 / Q8-2(1). 令和4～6年度の3年間に、特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の件数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の件数	–	175	238	–	–



Part-2.2 / Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　役割

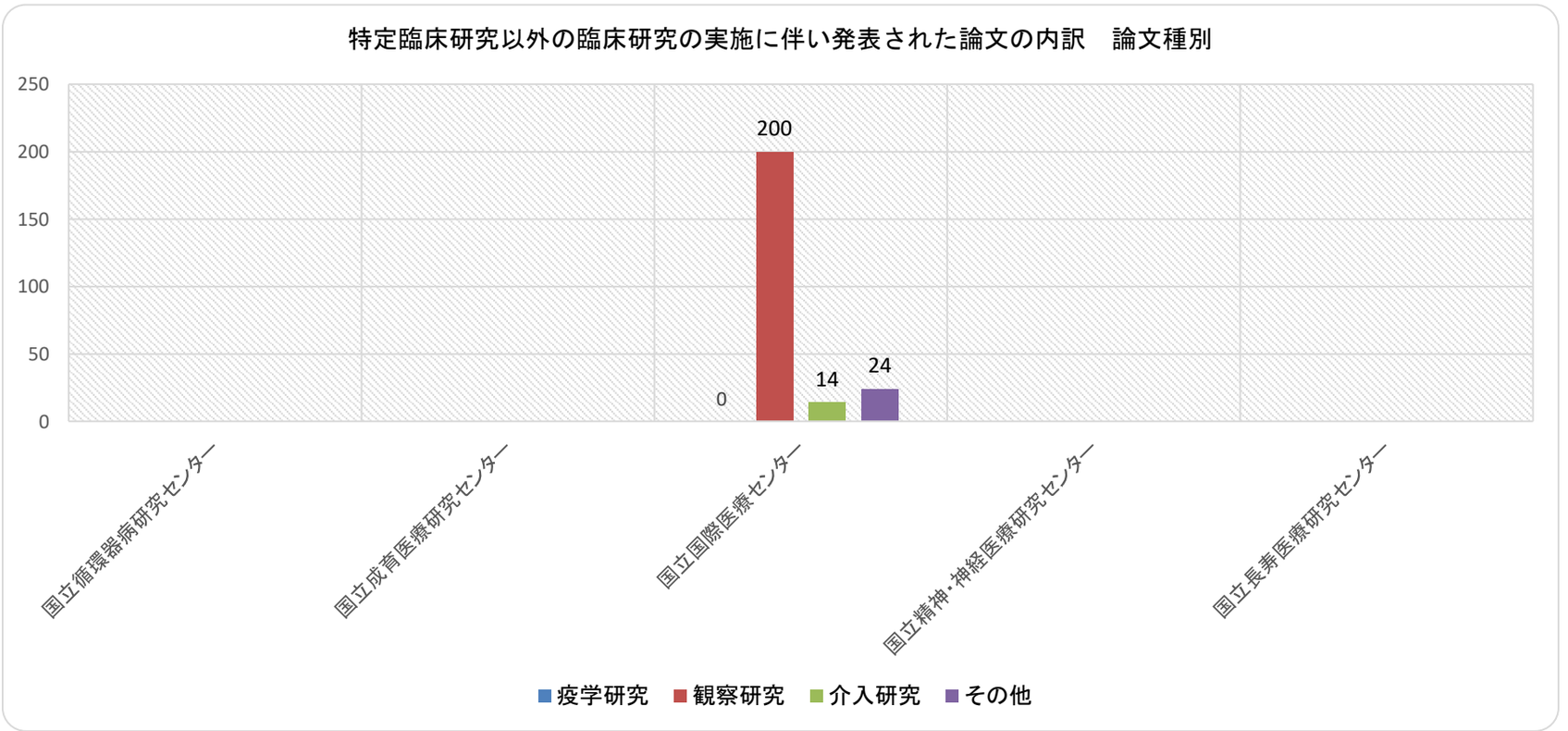
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
筆頭著者が当該申請機関所属の場合	–	44	234	–	–
筆頭著者は当該申請機関に所属していないが研究計画書に定める研究責任者が当該申請機関所属の場合	–	–	4	–	–
その他の場合	–	–	0	–	–



39

Part-2.2 / Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　論文種別

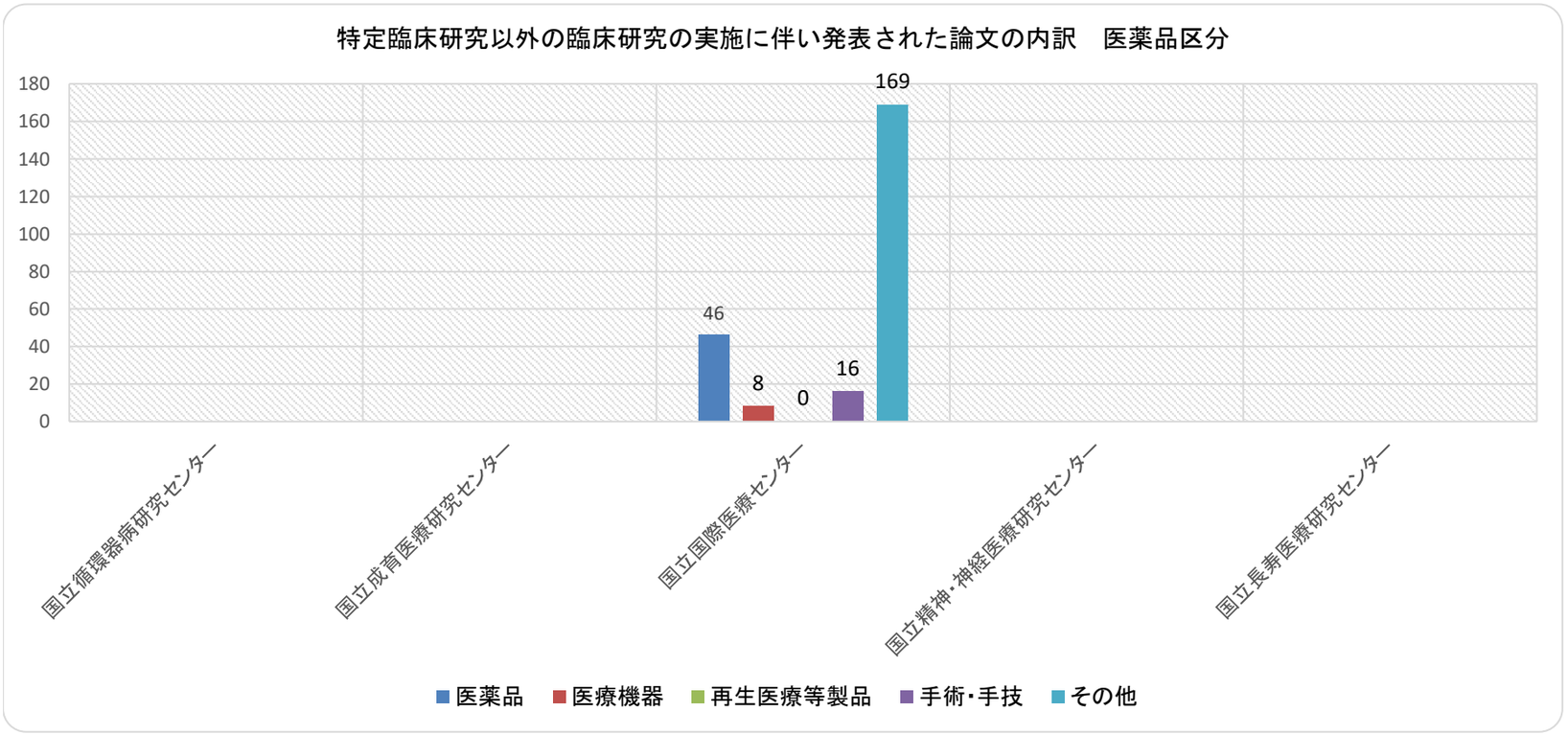
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
疫学研究	–	–	0	–	–
観察研究	–	–	200	–	–
介入研究	–	–	14	–	–
その他	–	–	24	–	–



40

Part-2.2 / Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　医薬品区分

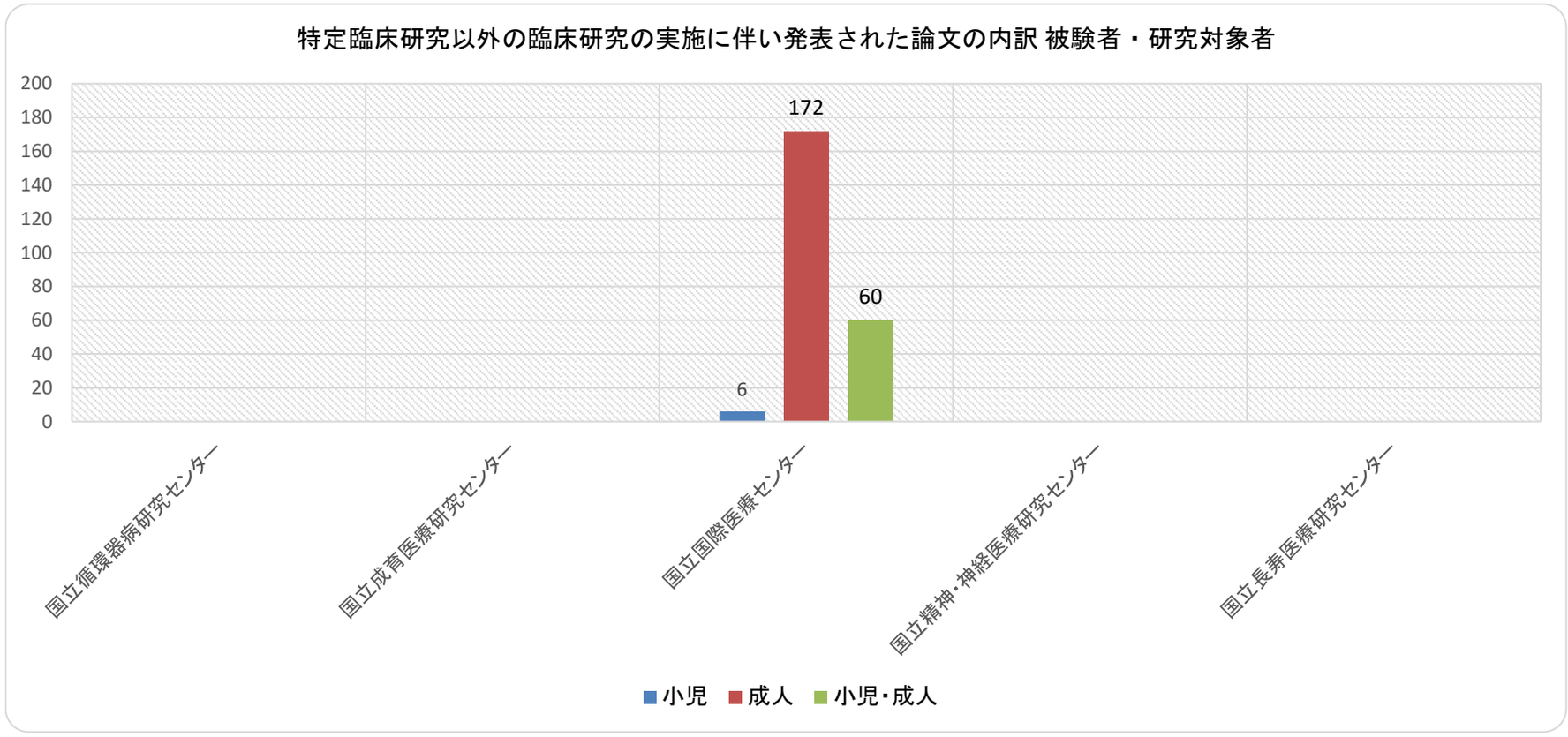
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	–	–	46	–	–
医療機器	–	–	8	–	–
再生医療等製品	–	–	0	–	–
手術・手技	–	–	16	–	–
その他	–	–	169	–	–



41

Part-2.2 / Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　被験者・研究対象者

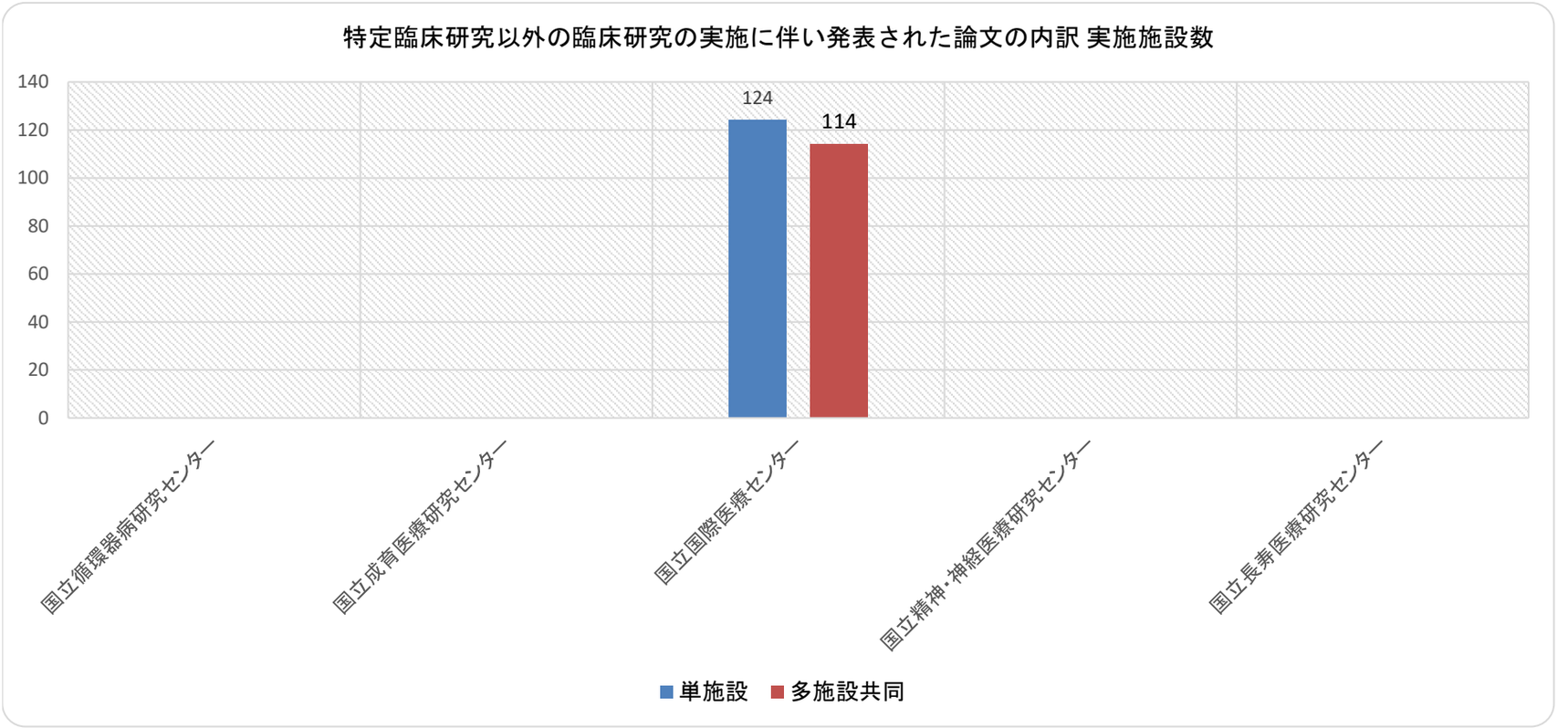
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
小児	–	–	6	–	–
成人	–	–	172	–	–
小児・成人	–	–	60	–	–



42

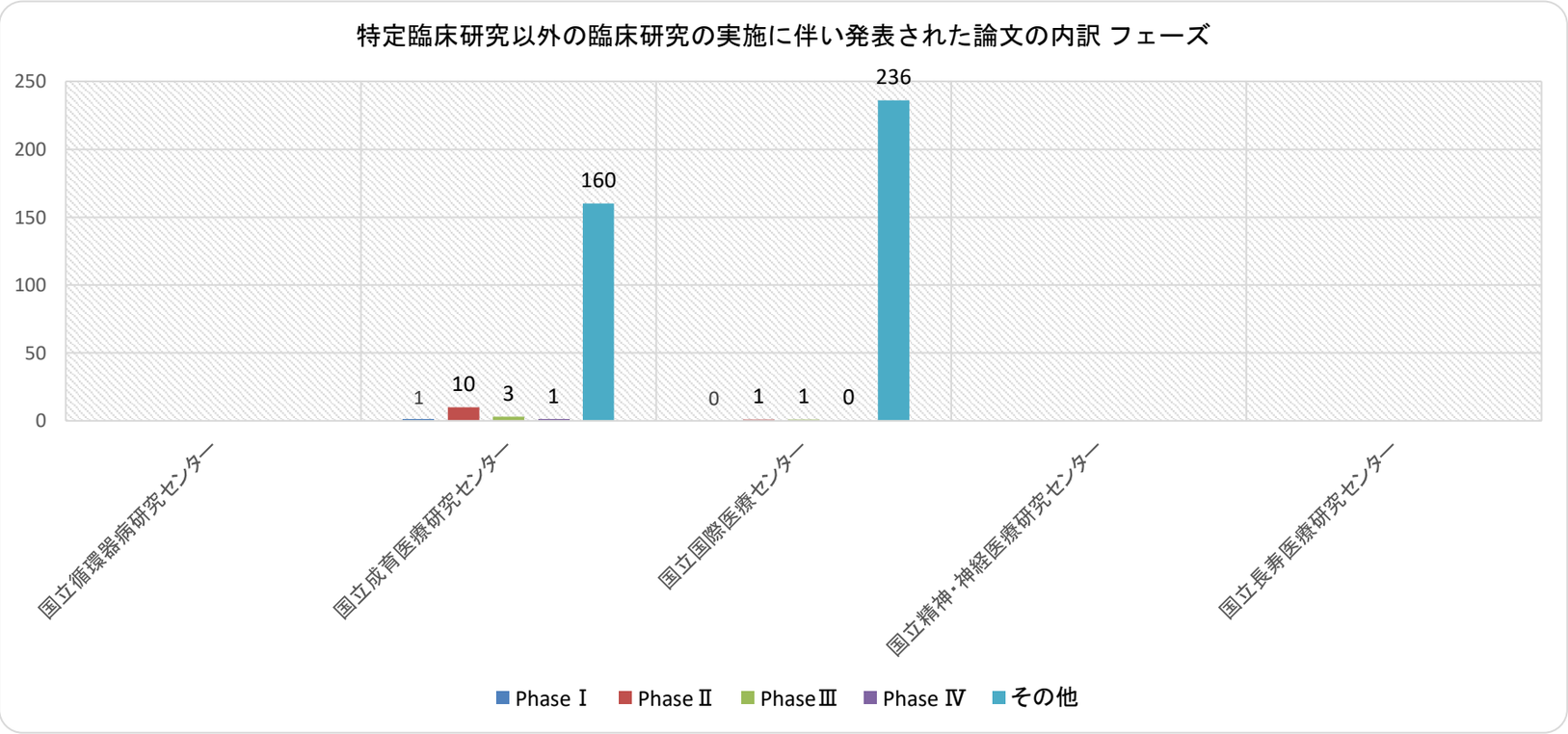
Part-2.2 / Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　実施施設数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
単施設	–	–	124	–	–
多施設共同	–	–	114	–	–



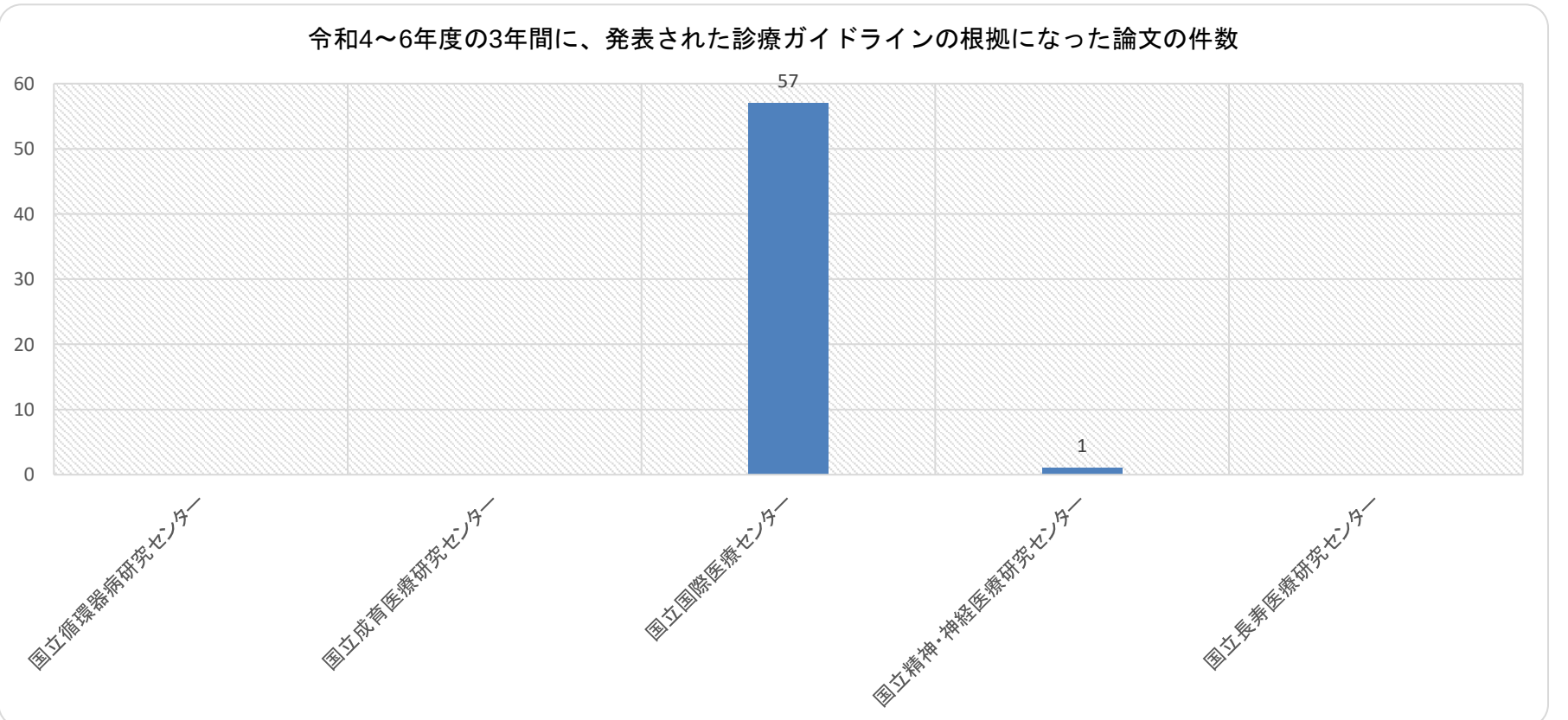
Part-2.2 / Q8-2(2). 特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文の内訳　フェーズ

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
Phase Ⅰ	–	1	0	–	–
Phase Ⅱ	–	10	1	–	–
PhaseⅢ	–	3	1	–	–
Phase Ⅳ	–	1	0	–	–
その他	–	160	236	–	–



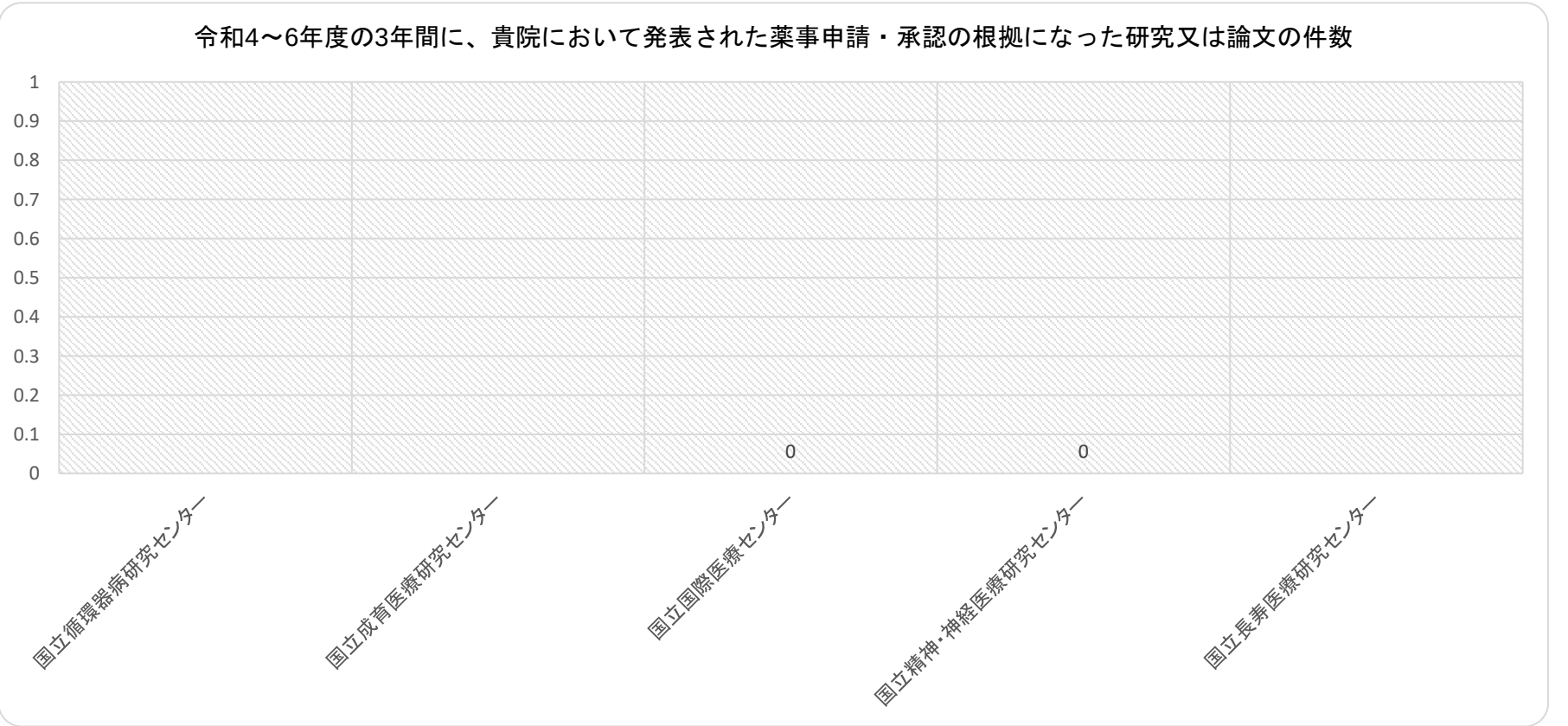
Part-2.2 / Q8-3. 令和4～6年度の3年間に、発表された診療ガイドラインの根拠になった論文の件数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、発表された診療ガイドラインの根拠になった論文の件数	–	–	57	1	–



Part-2.2 / Q8-4(1). 令和4～6年度の3年間に、貴院において発表された薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文の件数

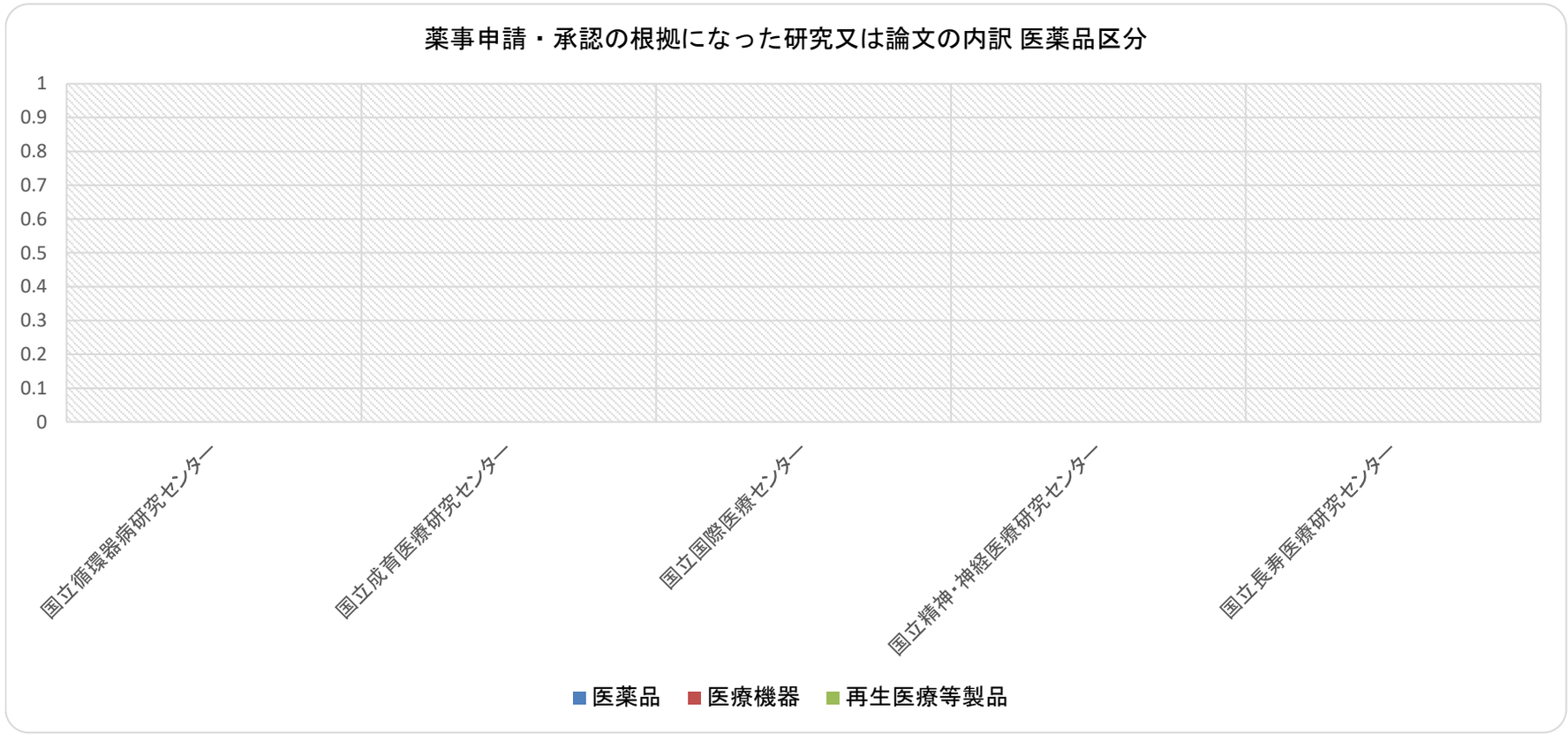
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、貴院において発表された薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文の件数	–	–	0	0	–



46

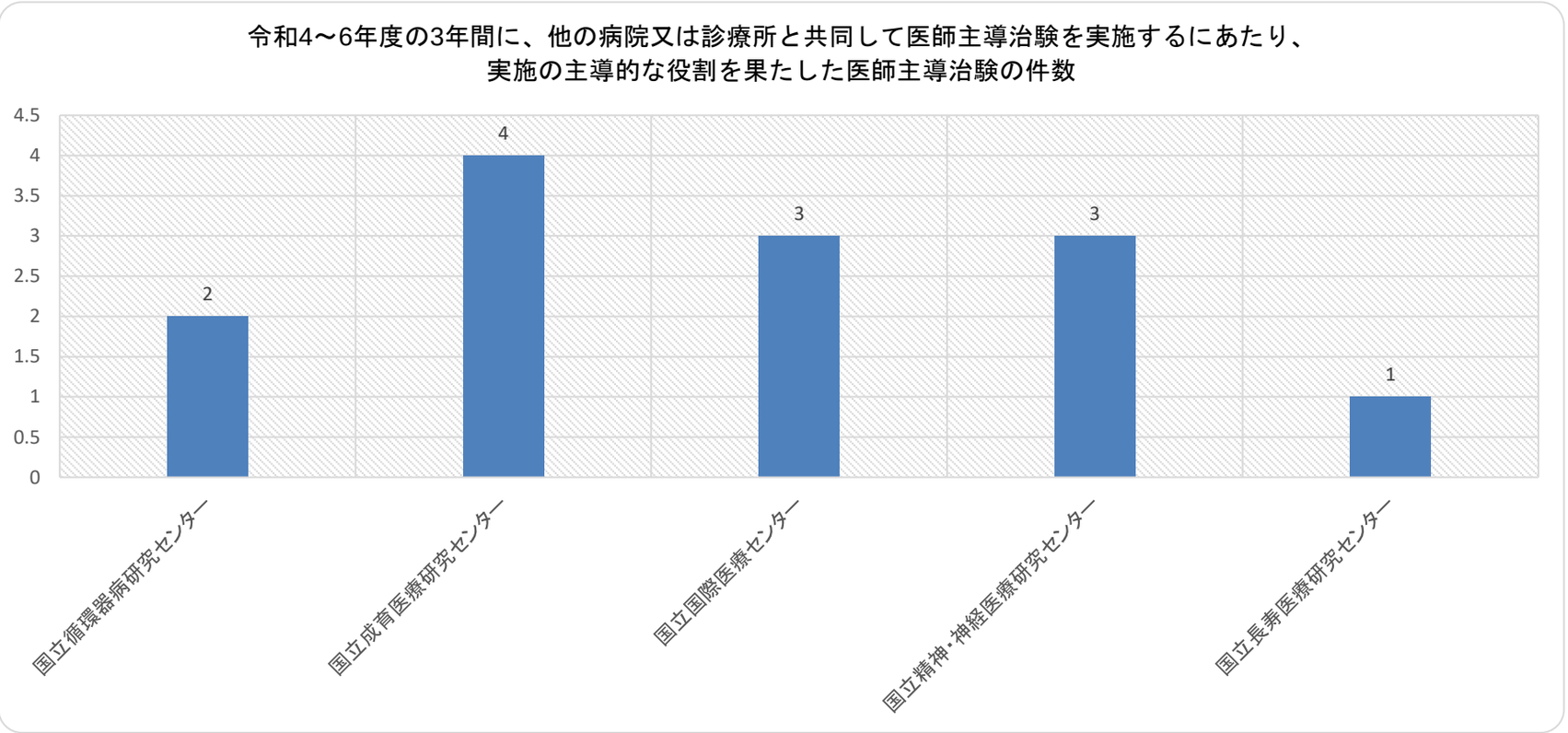
Part-2.2 / Q8-4(2). 薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文の内訳　医薬品等区分

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	–	–	–	–	–
医療機器	–	–	–	–	–
再生医療等製品	–	–	–	–	–



Part-3 / Q9-1(1). 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して医師主導治験を実施するにあたり、実施の主導的な役割を果たした医師主導治験の件数

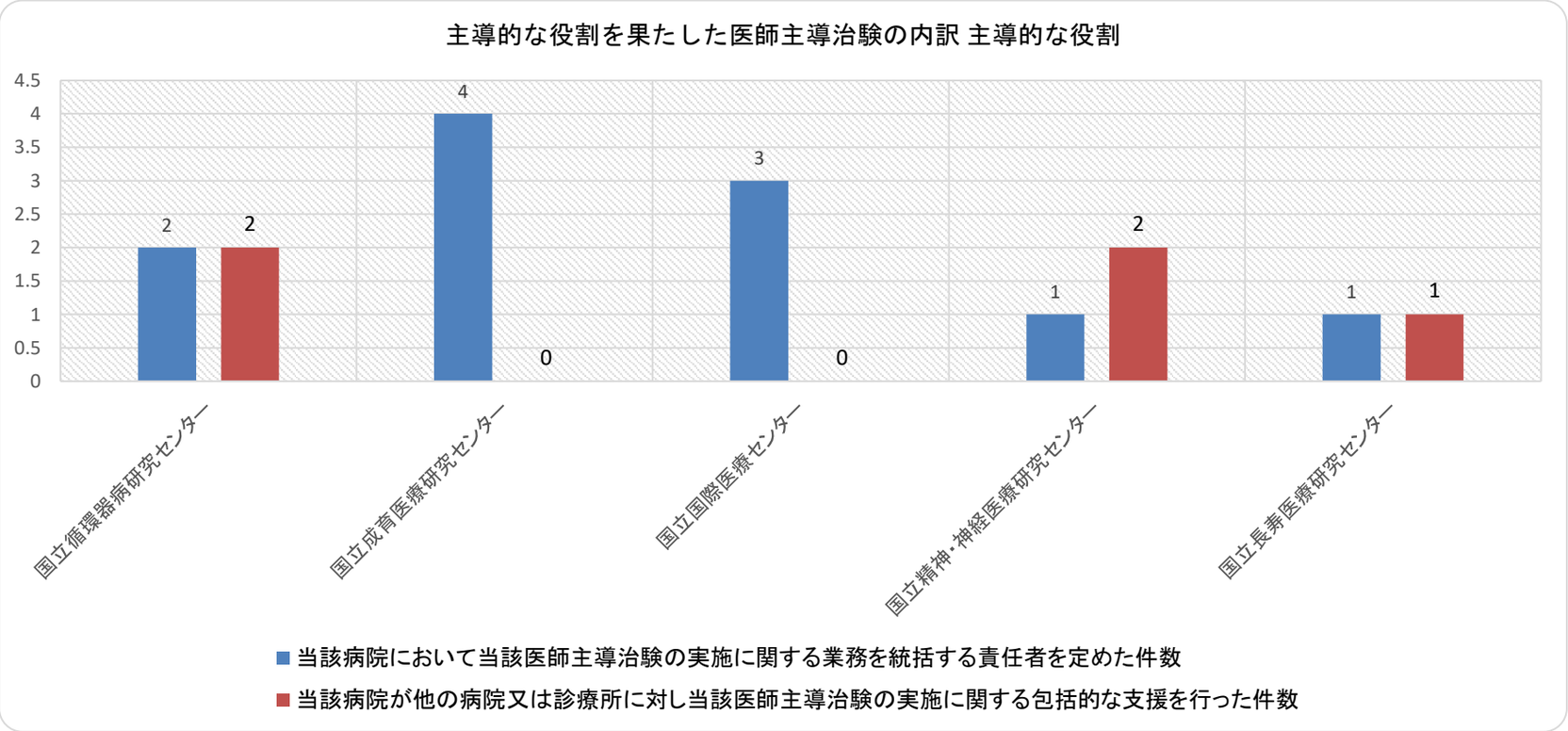
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して医師主導治験を実施するにあたり、実施の主導的な役割を果たした医師主導治験の件数	2	4	3	3	1



48

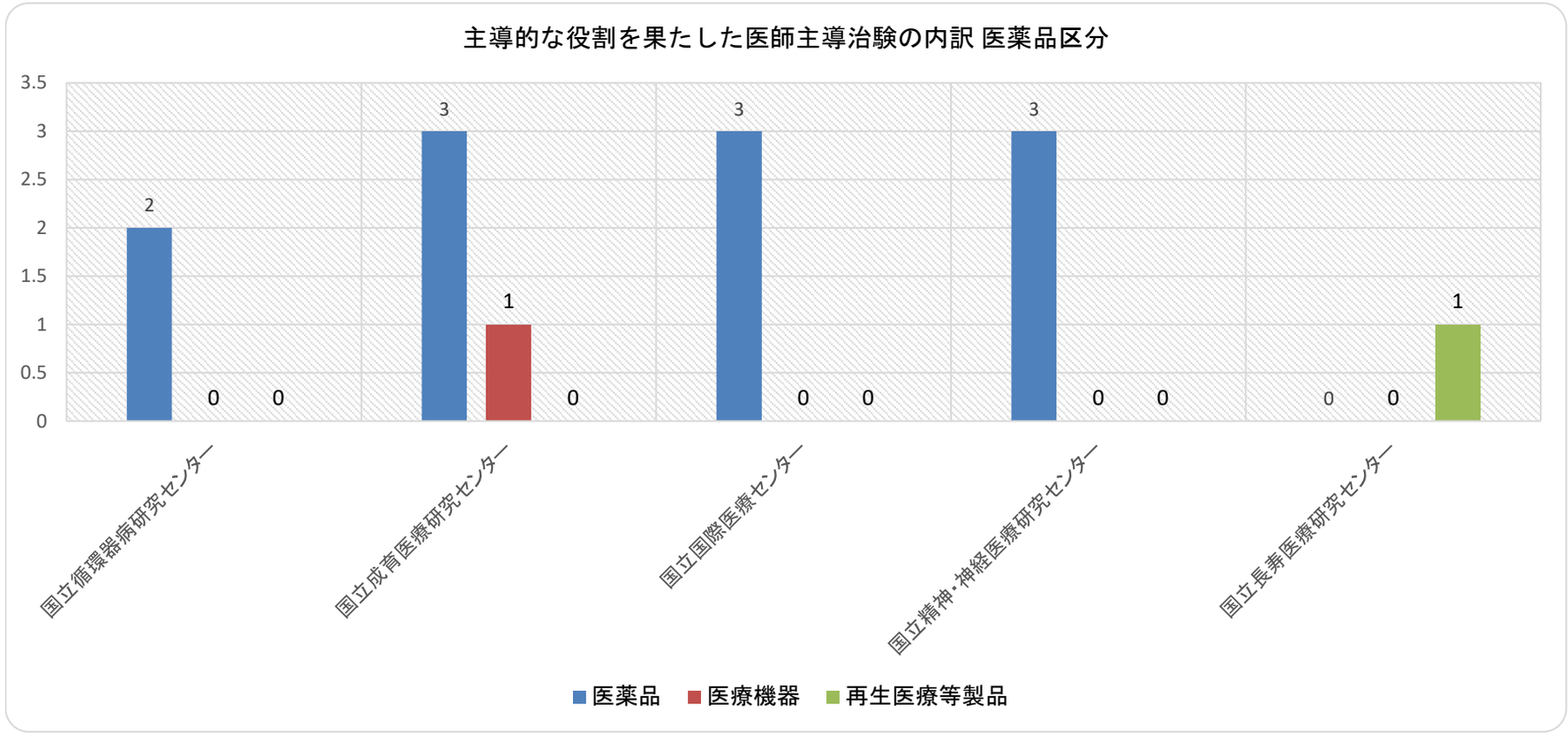
Part-3 / Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　主導的な役割

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
当該病院において当該医師主導治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	2	4	3	1	1
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該医師主導治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	2	0	0	2	1



Part-3 / Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　医薬品等区分

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	2	3	3	3	0
医療機器	0	1	0	0	0
再生医療等製品	0	0	0	0	1

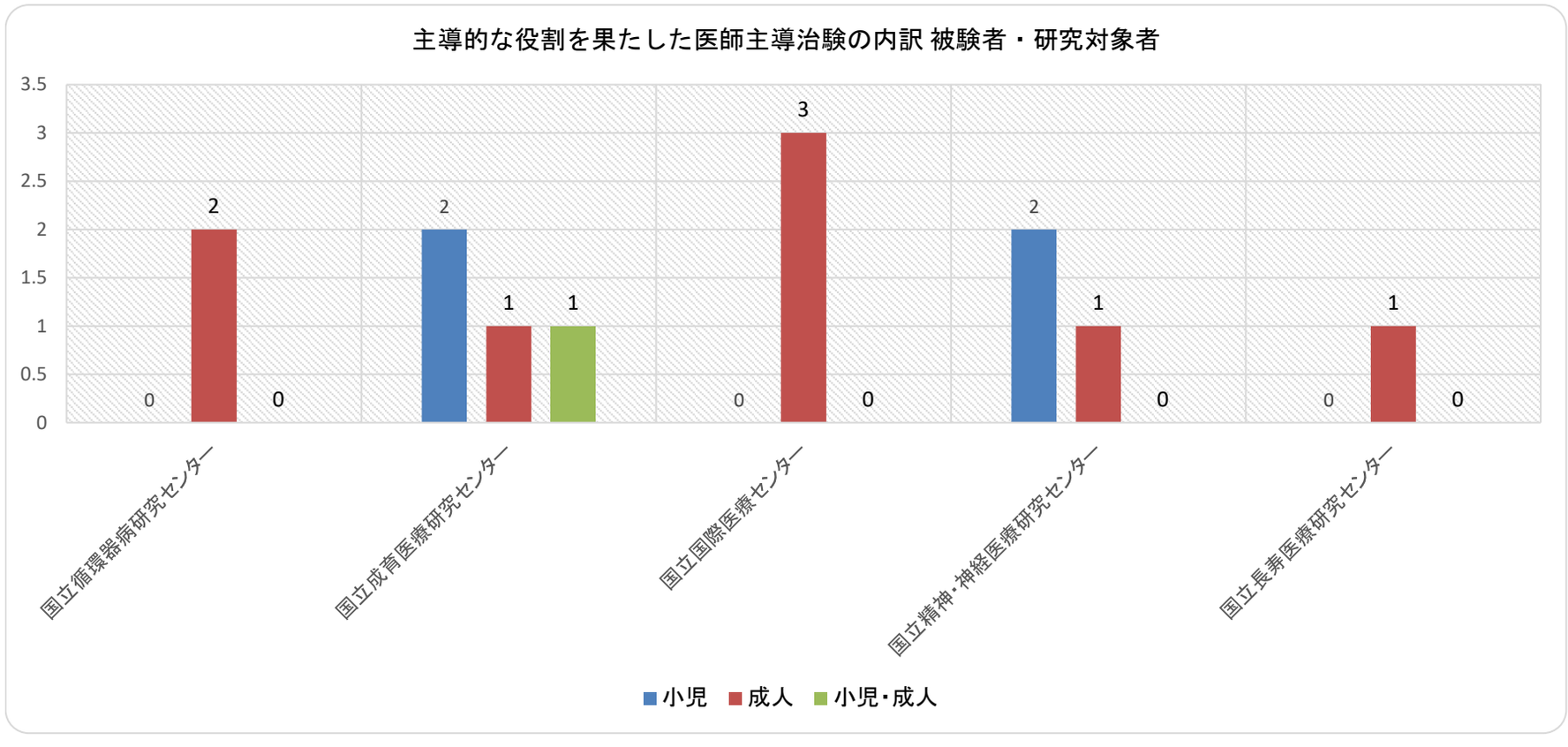


v

50

Part-3 / Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　被験者・研究対象者

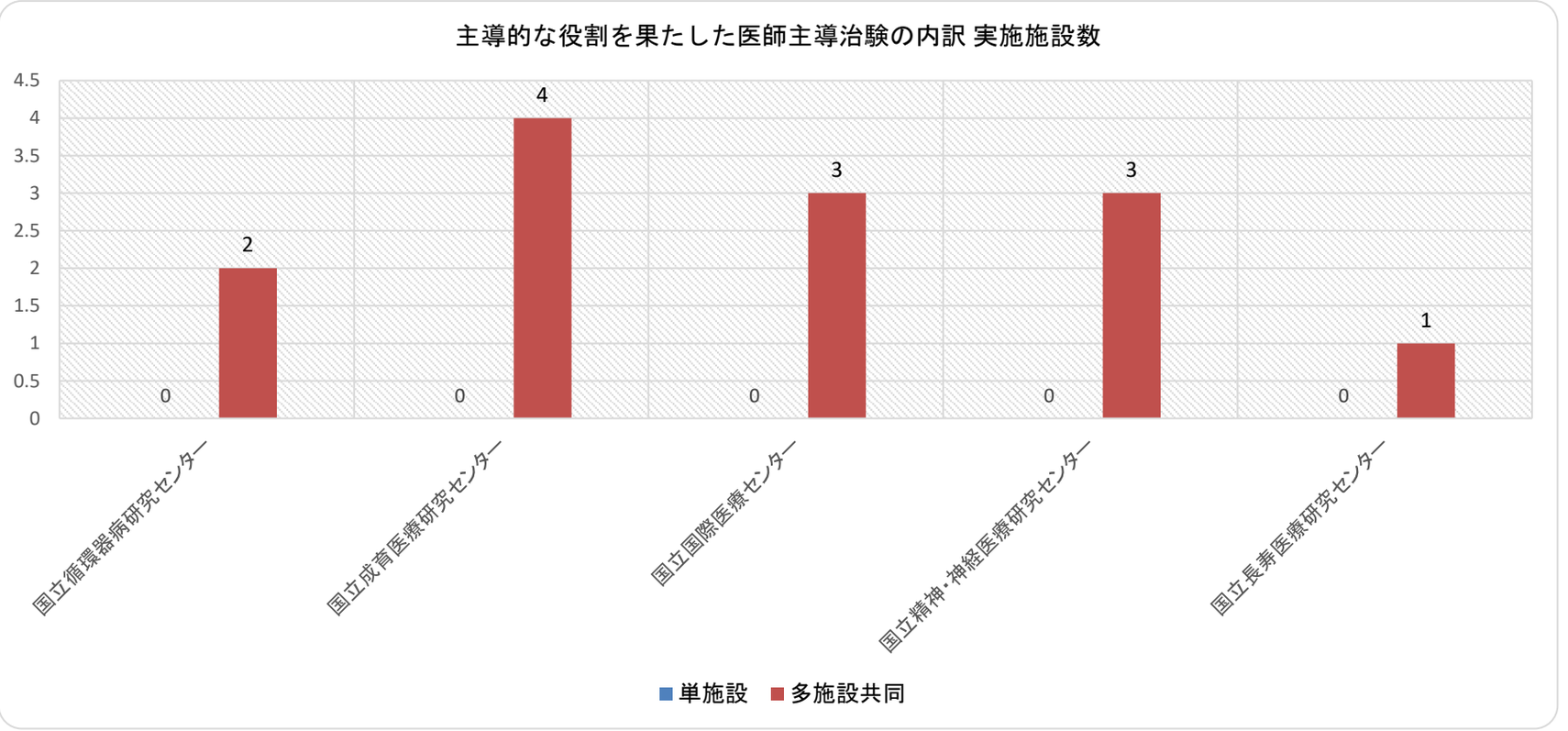
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
小児	0	2	0	2	0
成人	2	1	3	1	1
小児・成人	0	1	0	0	0



51

Part-3 / Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　実施施設数

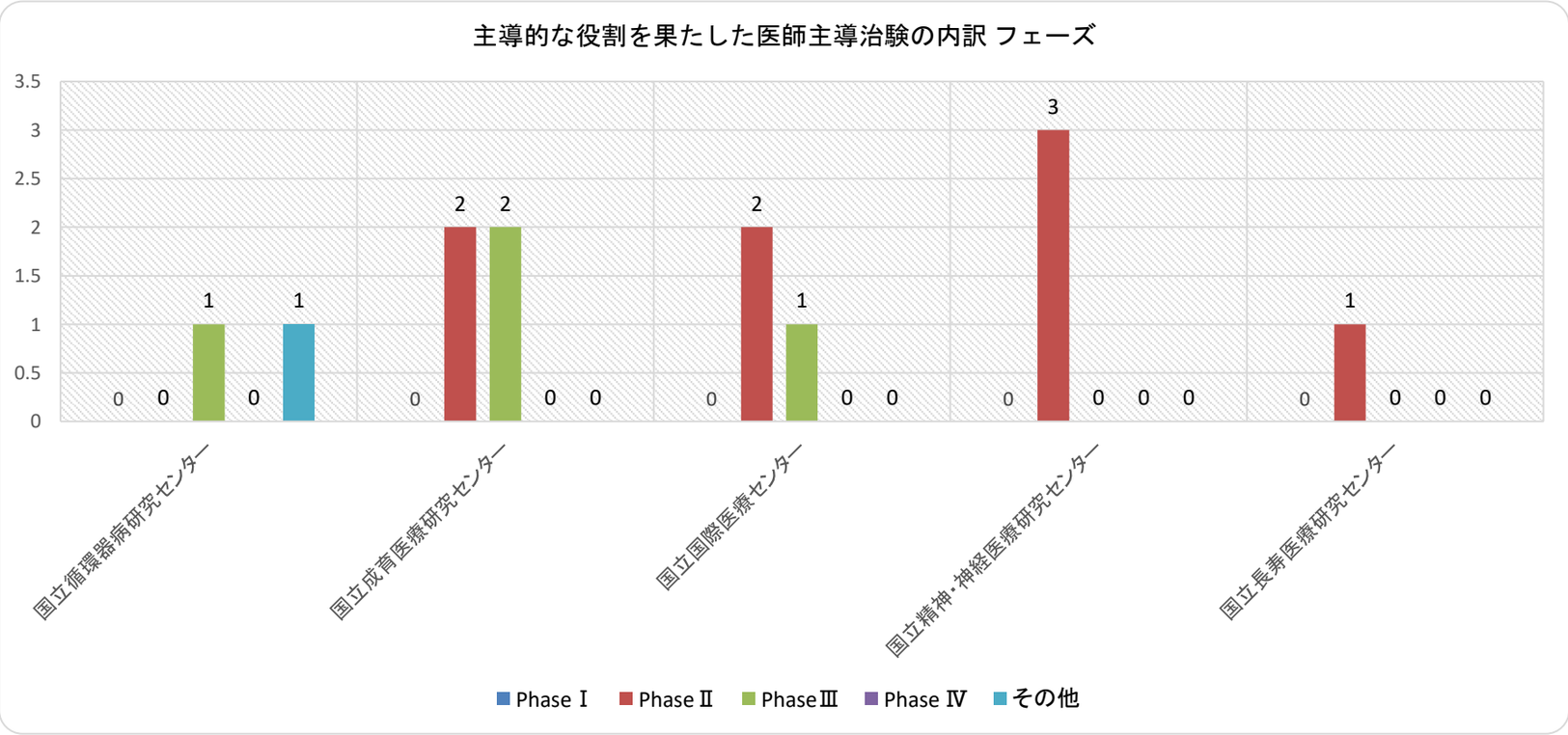
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
単施設	0	0	0	0	0
多施設共同	2	4	3	3	1



52

Part-3 / Q9-1(2). 主導的な役割を果たした医師主導治験の内訳　フェーズ

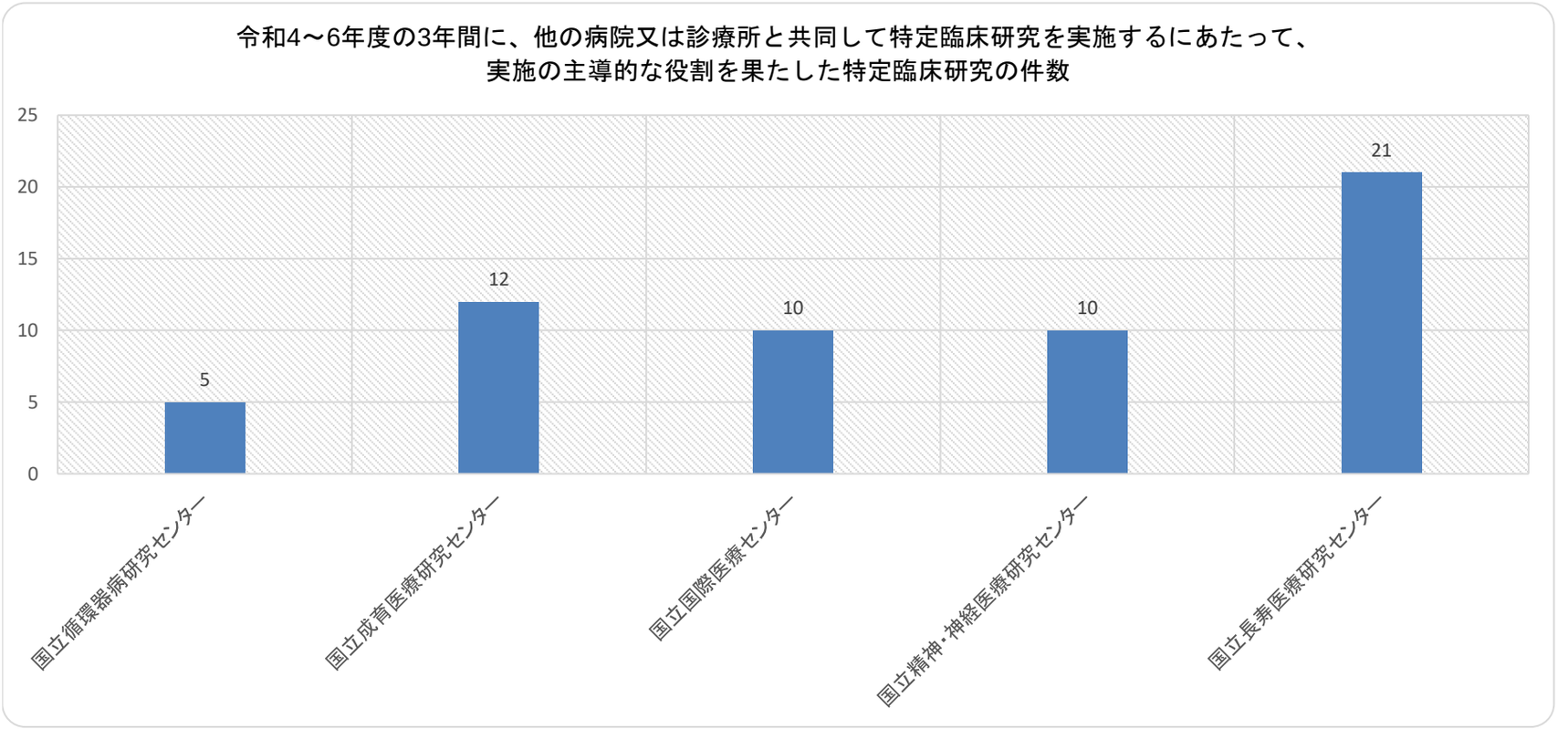
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
Phase Ⅰ	0	0	0	0	0
Phase Ⅱ	0	2	2	3	1
PhaseⅢ	1	2	1	0	0
Phase Ⅳ	0	0	0	0	0
その他	1	0	0	0	0



53

Part-3 / Q9-2(1). 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して特定臨床研究を実施するにあたって、実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の件数

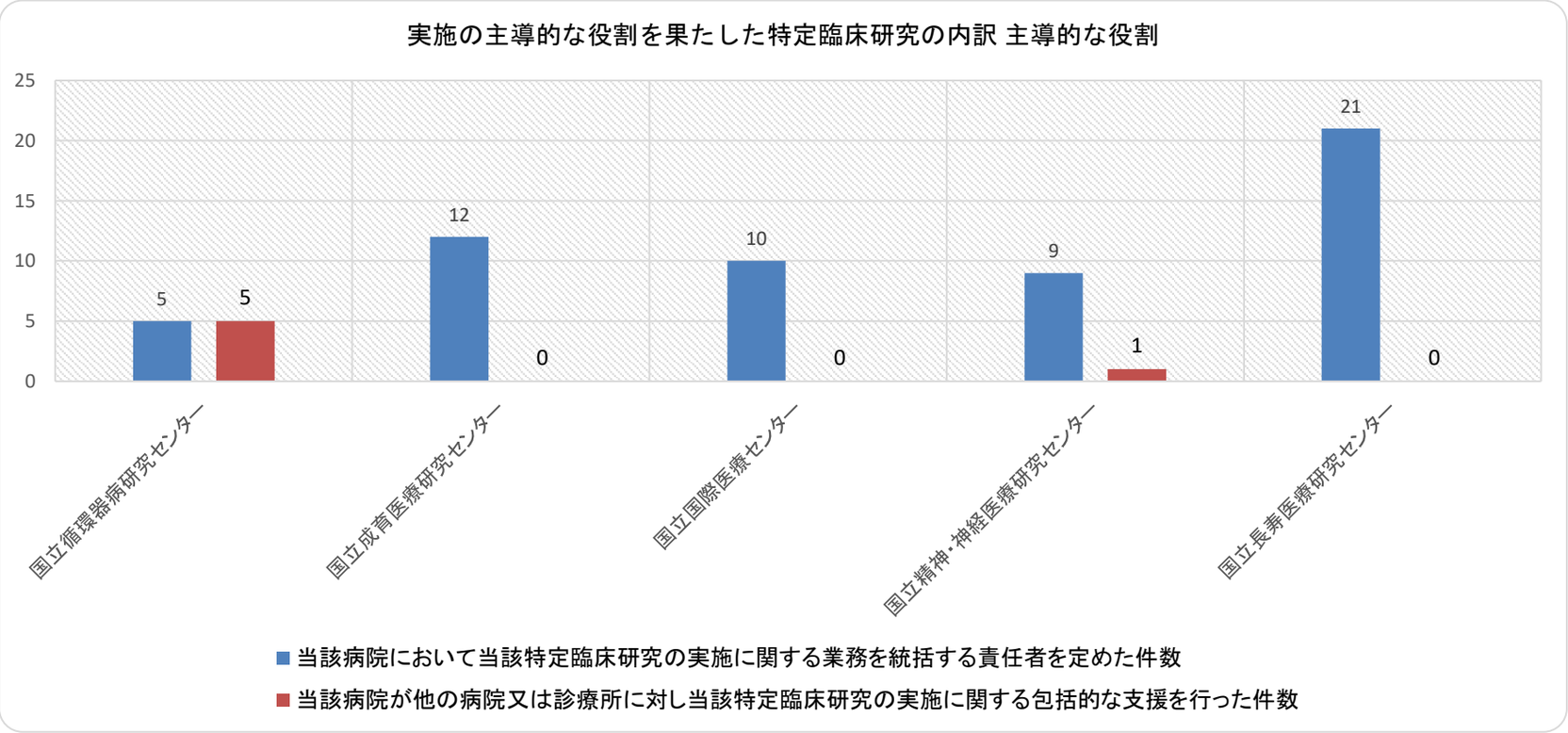
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して特定臨床研究を実施するにあたって、実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の件数	5	12	10	10	21



54

Part-3 / Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　主導的な役割

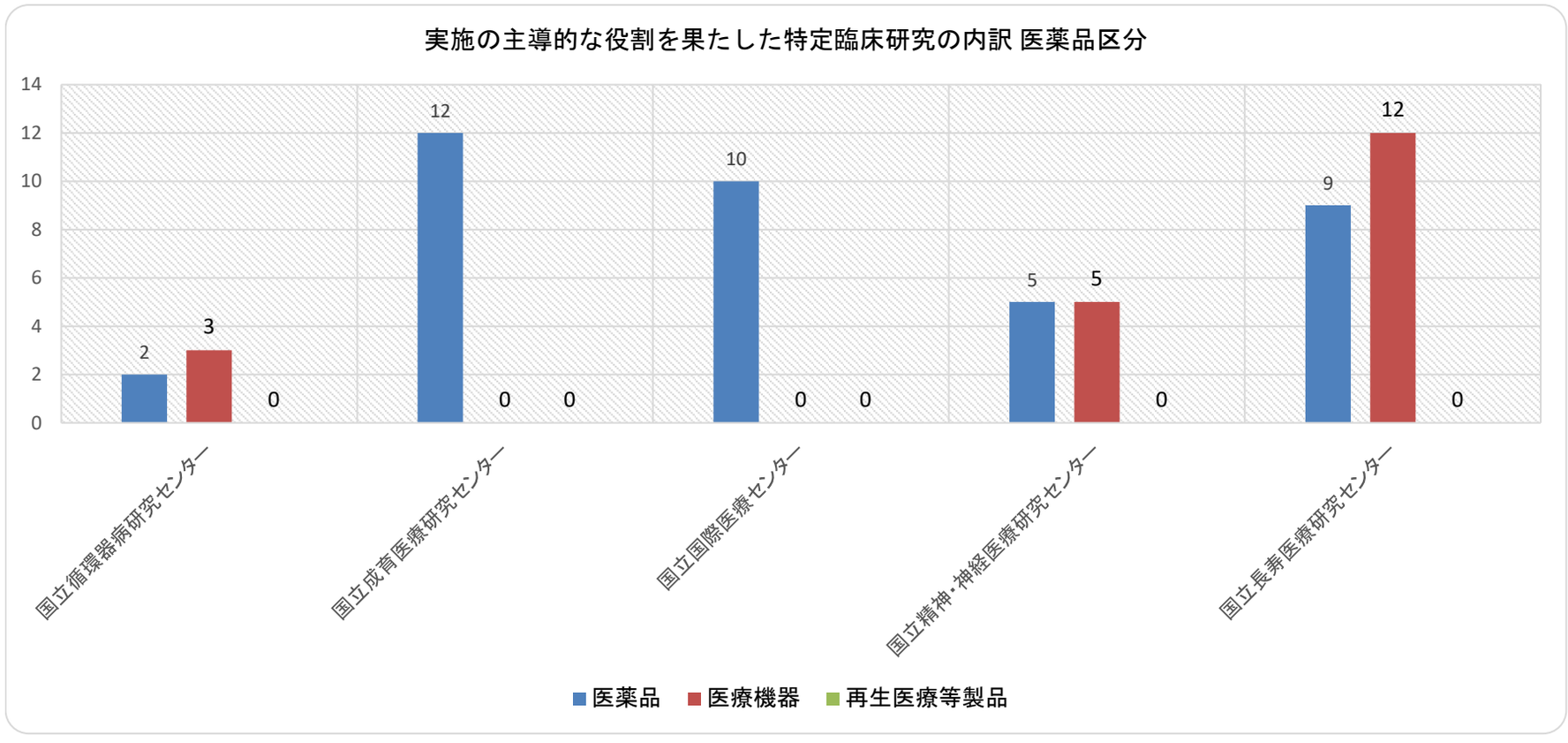
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
当該病院において当該特定臨床研究の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	5	12	10	9	21
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該特定臨床研究の実施に関する包括的な支援を行った件数	5	0	0	1	0



55

Part-3 / Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　医薬品等区分

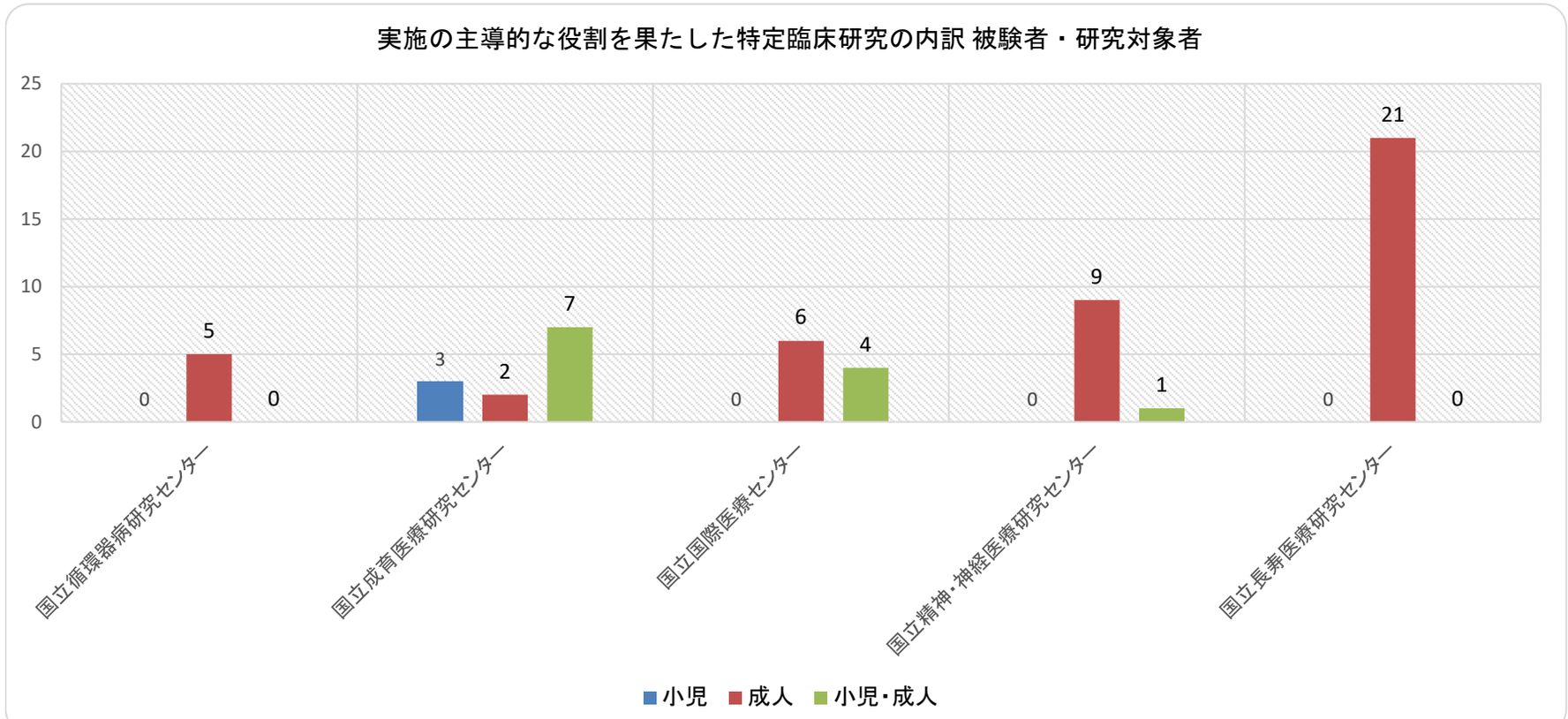
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
医薬品	2	12	10	5	9
医療機器	3	0	0	5	12
再生医療等製品	0	0	0	0	0



56

Part-3 / Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　被験者・研究対象者

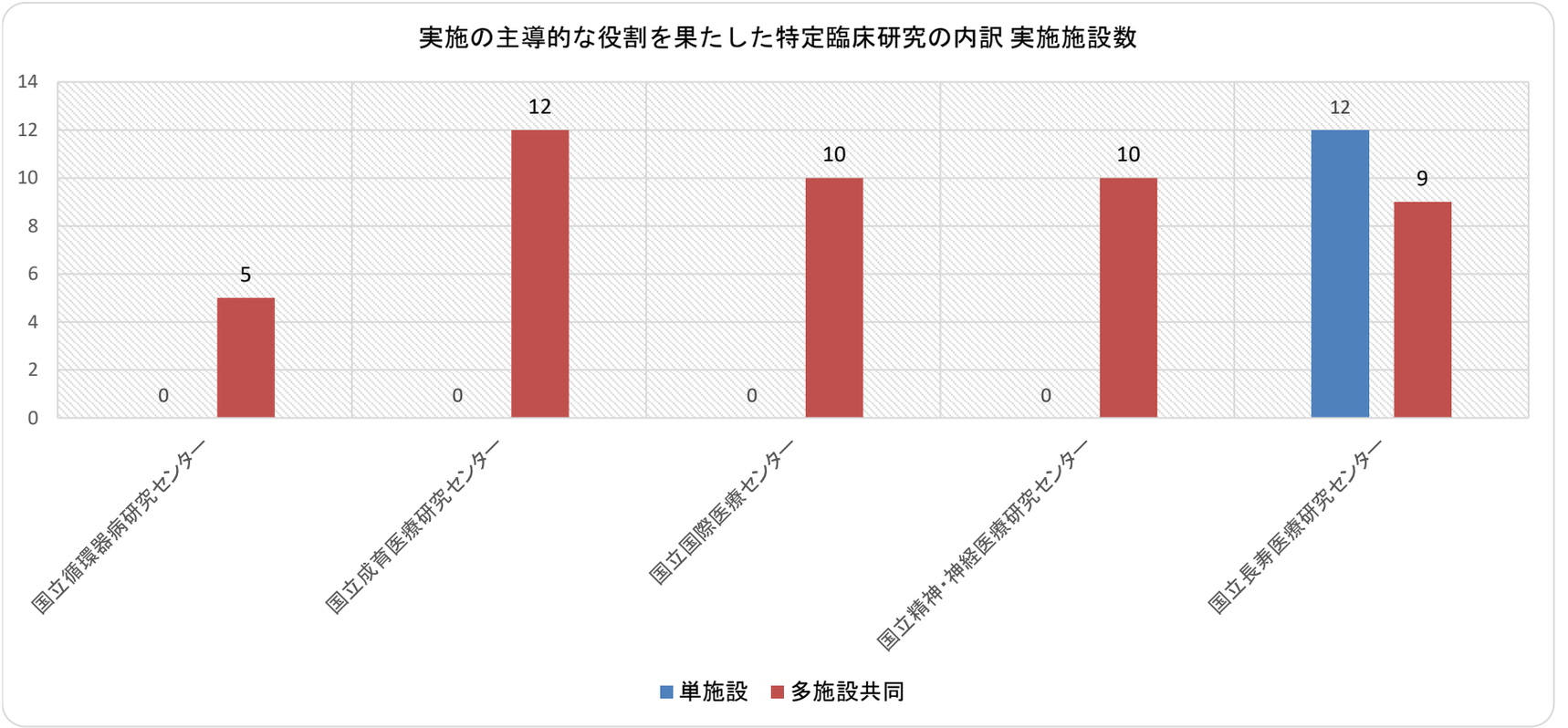
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
小児	0	3	0	0	0
成人	5	2	6	9	21
小児・成人	0	7	4	1	0



57

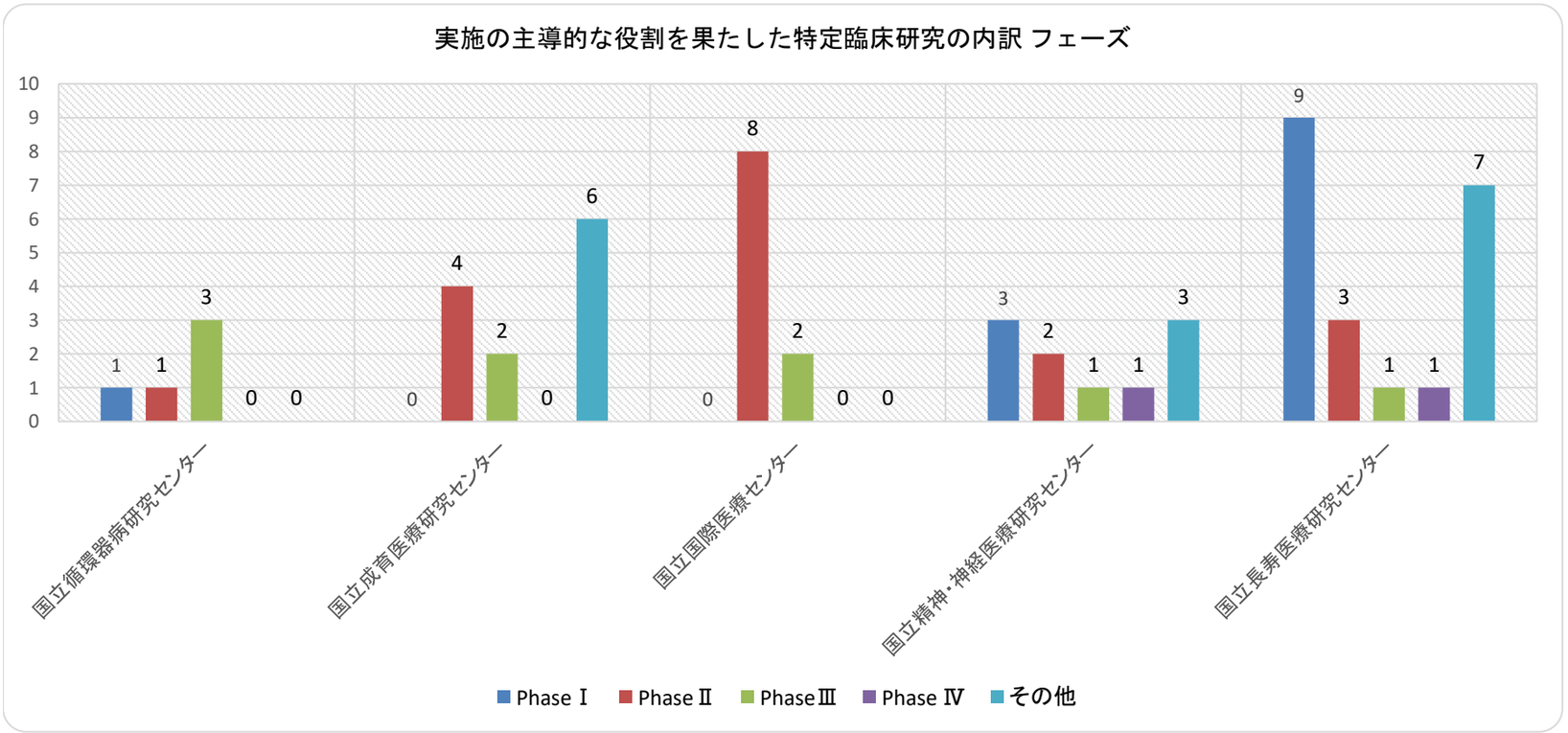
Part-3 / Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　実施施設数

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
単施設	0	0	0	0	12
多施設共同	5	12	10	10	9



Part-3 / Q9-2(2). 実施の主導的な役割を果たした特定臨床研究の内訳　フェーズ

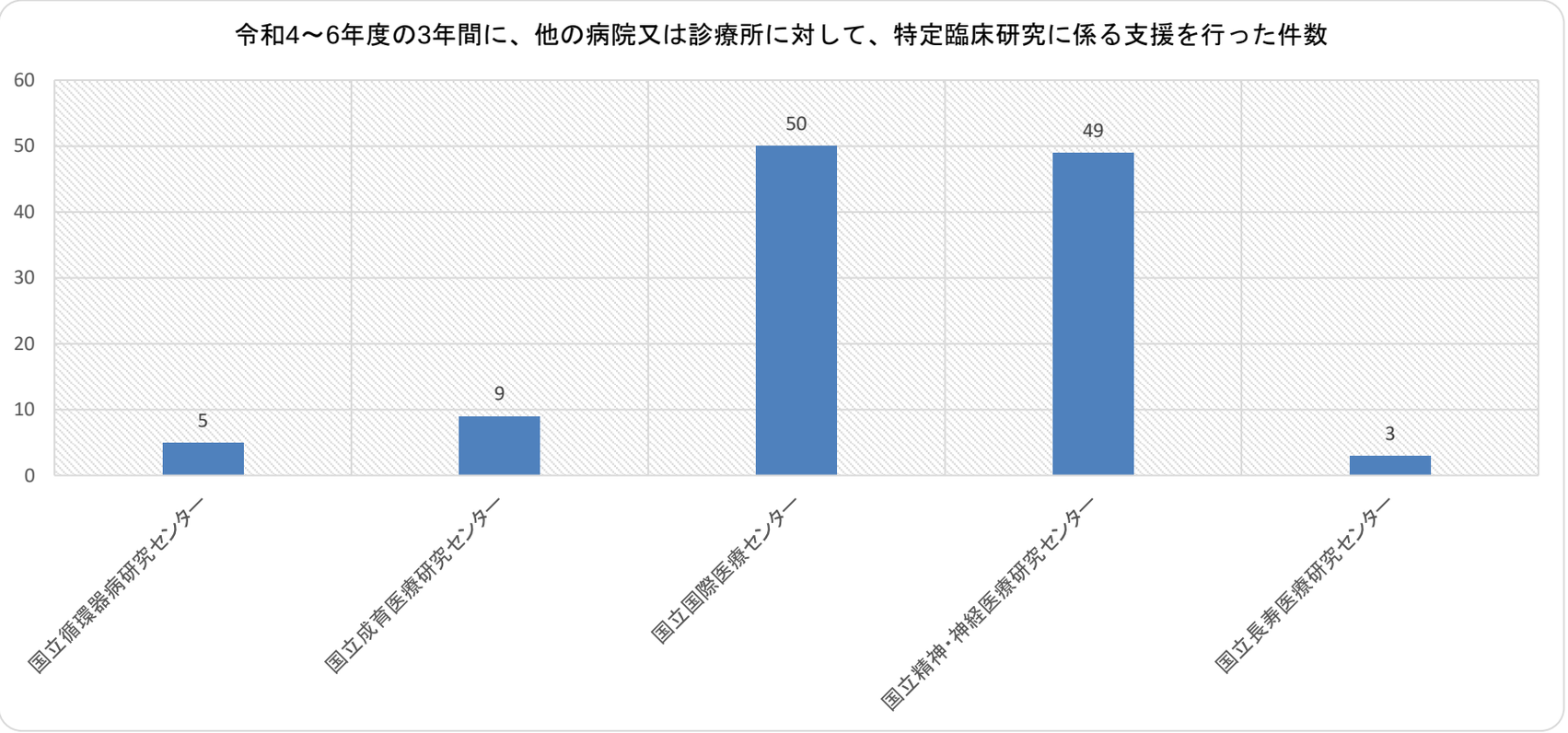
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
Phase Ⅰ	1	0	0	3	9
Phase Ⅱ	1	4	8	2	3
Phase Ⅲ	3	2	2	1	1
Phase Ⅳ	0	0	0	1	1
その他	0	6	0	3	7



59

Part-4 / Q10-1. 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所に対して、特定臨床研究に係る支援を行った件数

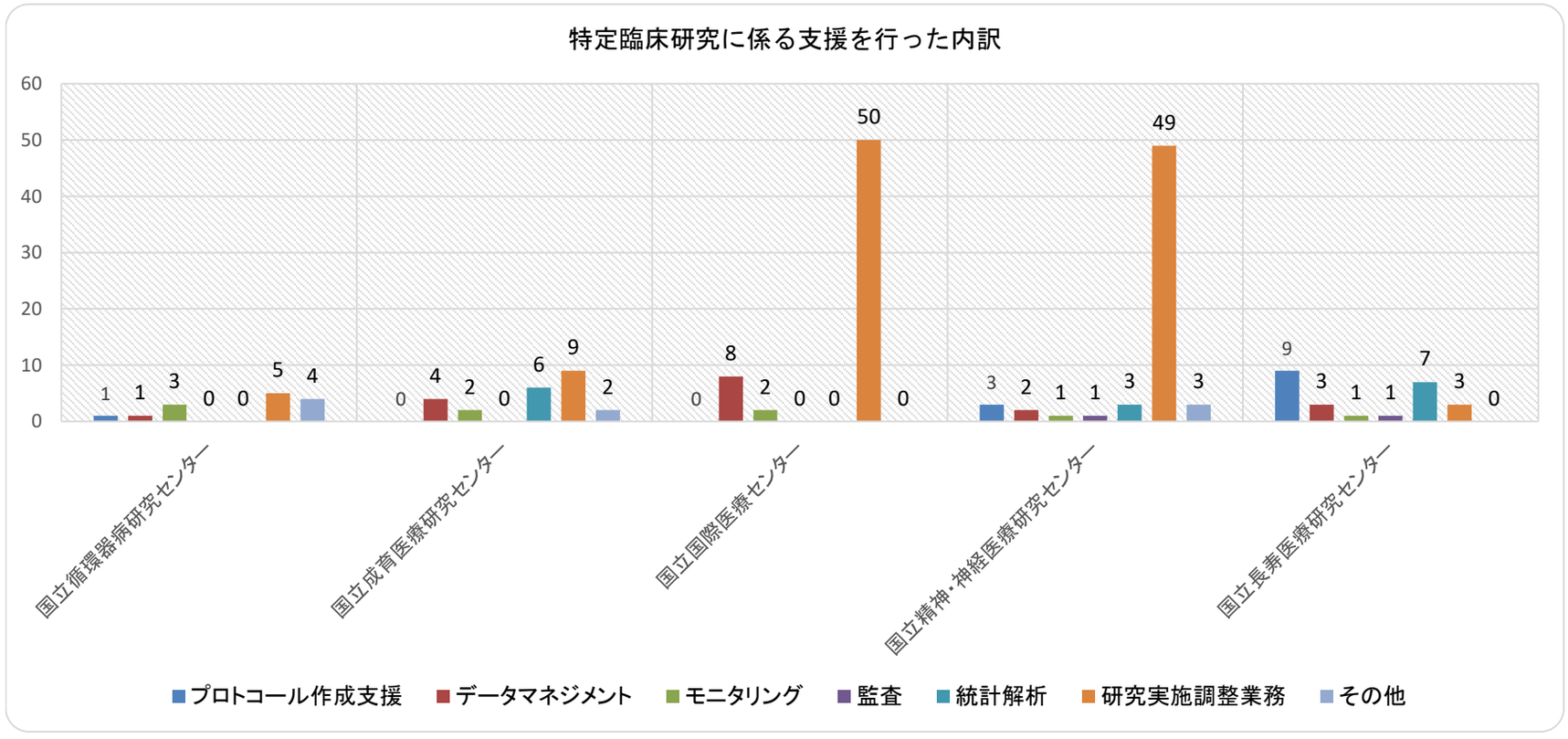
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所に対して、特定臨床研究に係る支援を行った件数	5	9	50	49	3



60

Part-4 / Q10-2. 特定臨床研究に係る支援を行った内訳

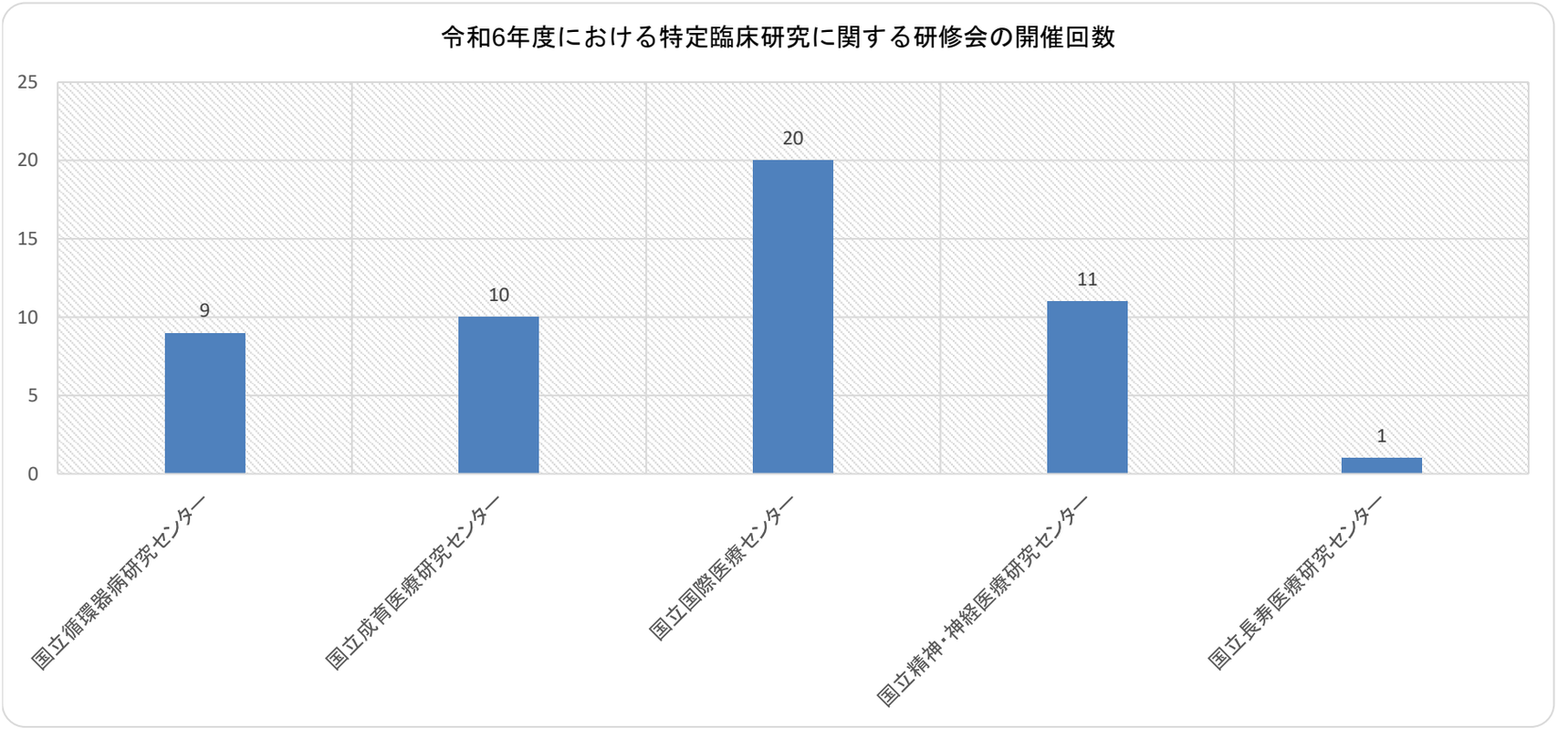
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
プロトコール作成支援	1	0	0	3	9
データマネジメント	1	4	8	2	3
モニタリング	3	2	2	1	1
監査	0	0	0	1	1
統計解析	0	6	0	3	7
研究実施調整業務	5	9	50	49	3
その他	4	2	0	3	0



61

Part-5 / Q11. 令和6年度における特定臨床研究に関する研修会の開催回数

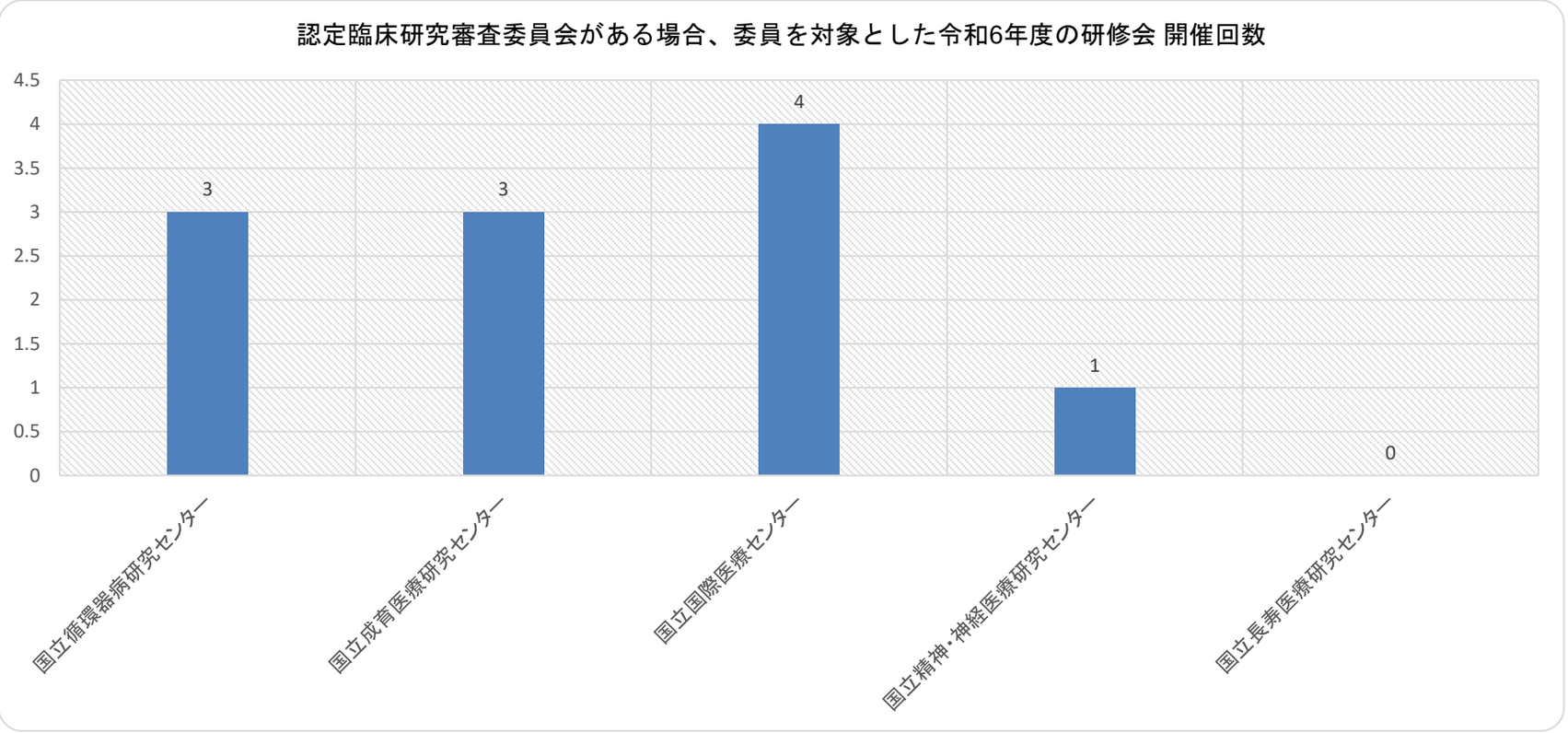
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
令和6年度における特定臨床研究に関する研修会の開催回数	9	10	20	11	1



62

Part-5 / Q12. 認定臨床研究審査委員会がある場合、委員を対象とした令和6年度の研修会　開催回数

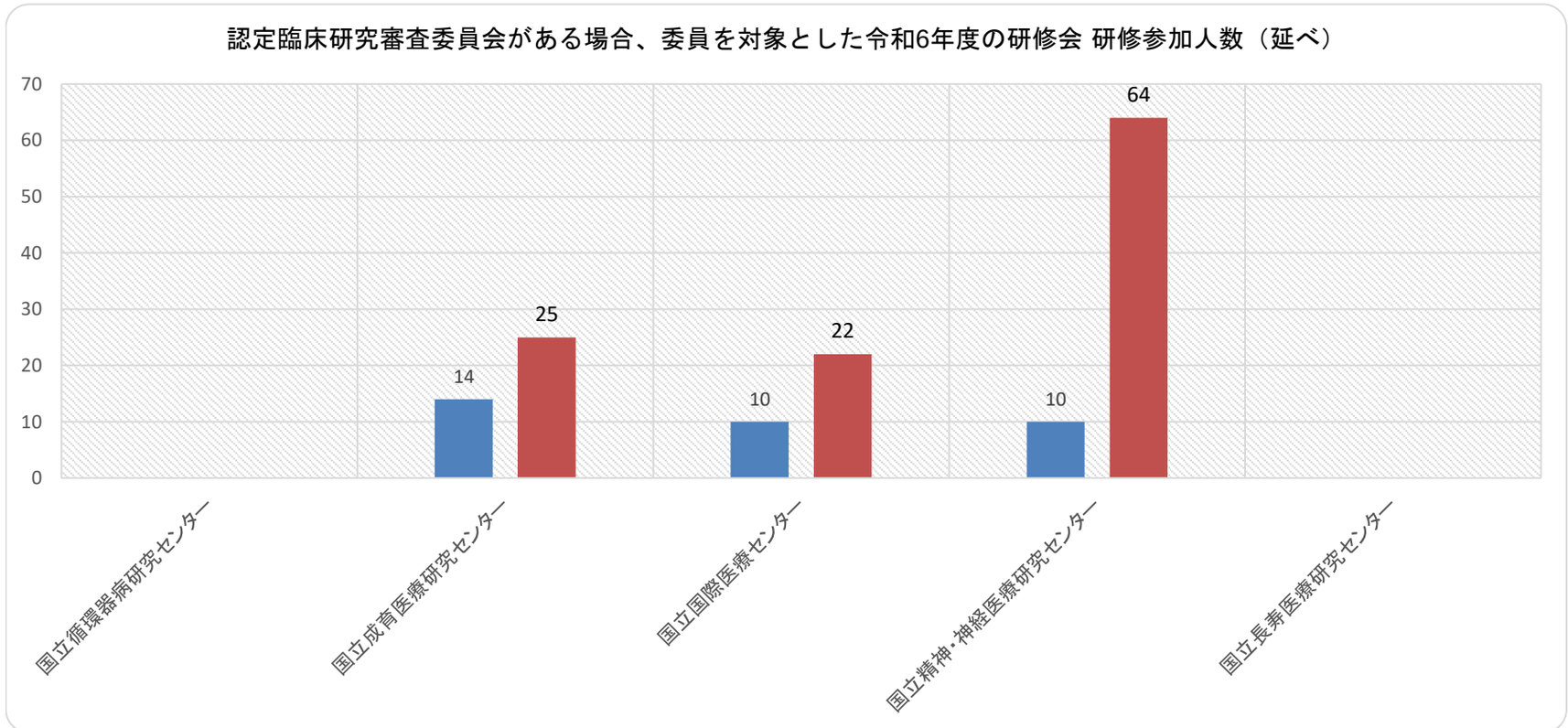
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
認定臨床研究審査委員会がある場合、委員を対象とした令和6年度の研修会　開催回数	3	3	4	1	-



63

Part-5 / Q12. 認定臨床研究審査委員会がある場合、委員を対象とした令和6年度の研修会　研修参加人数（延べ）

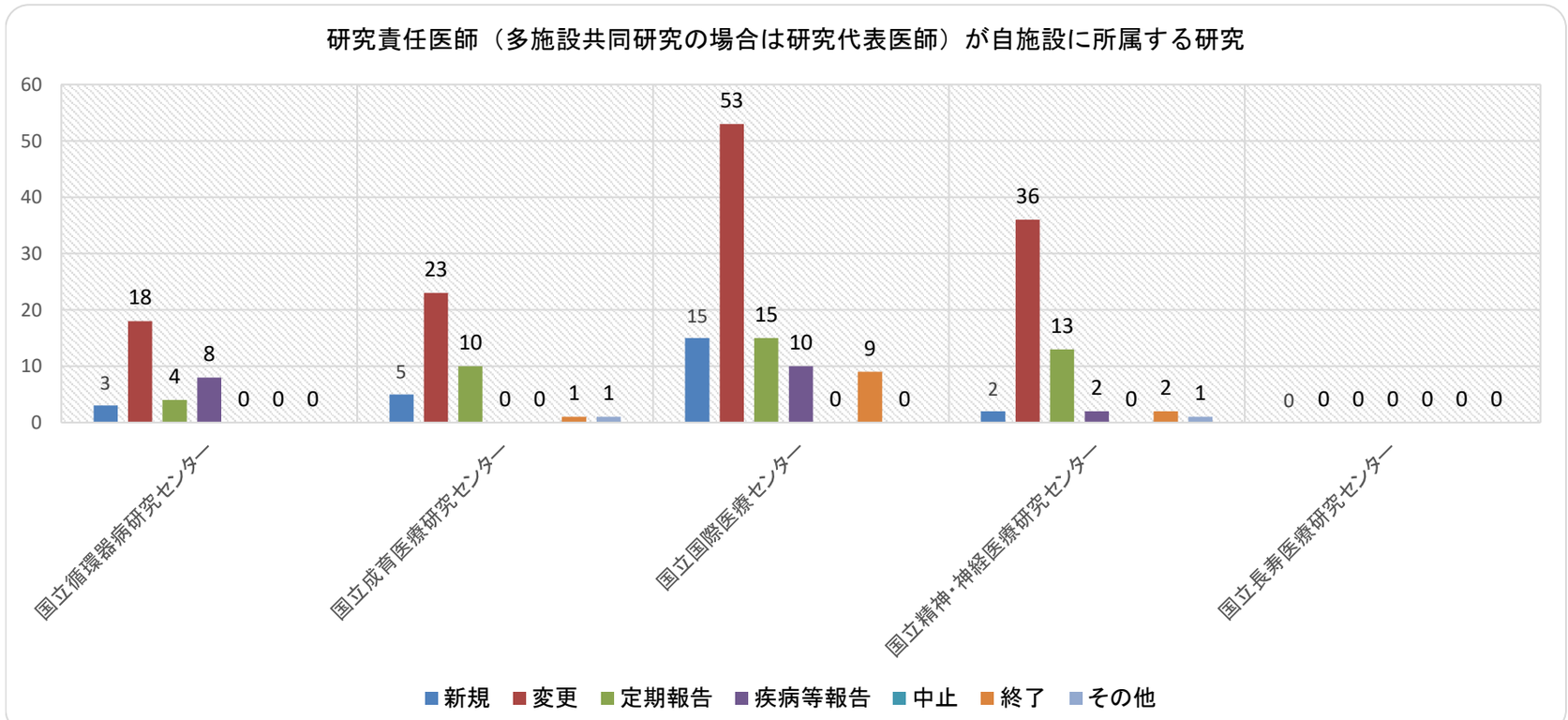
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
内部の者	-	14	10	10	-
外部の者	-	25	22	64	-



64

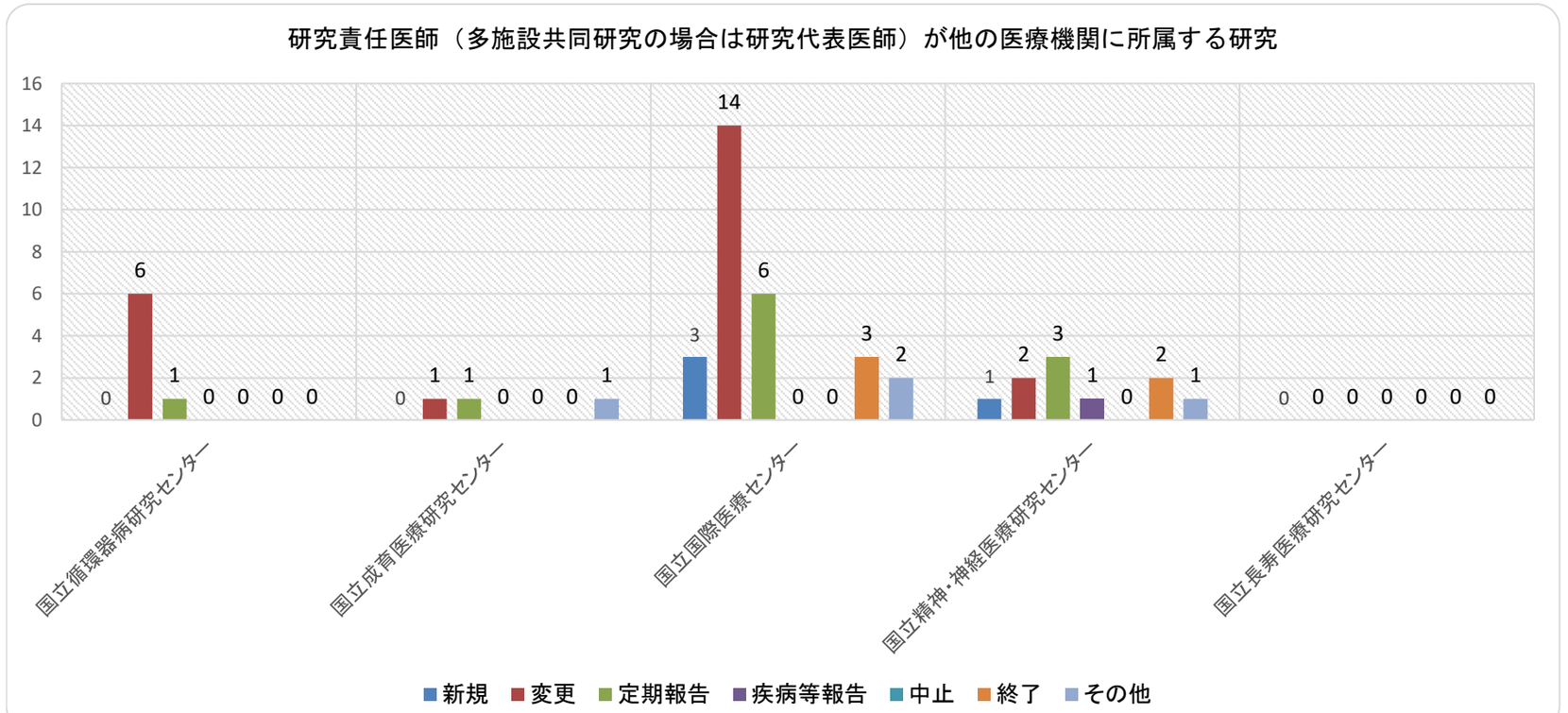
Part-7 / 令和6年度の審査件数 / 臨床研究法に規定する特定臨床研究 / 研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）が自施設に所属する研究

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
新規	3	5	15	2	-
変更	18	23	53	36	-
定期報告	4	10	15	13	-
疾病等報告	8	0	10	2	-
中止	0	0	0	0	-
終了	0	1	9	2	-
その他	0	1	0	1	-



Part-7 / 令和6年度の審査件数 / 臨床研究法に規定する特定臨床研究 / 研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）が他の医療機関に所属する研究

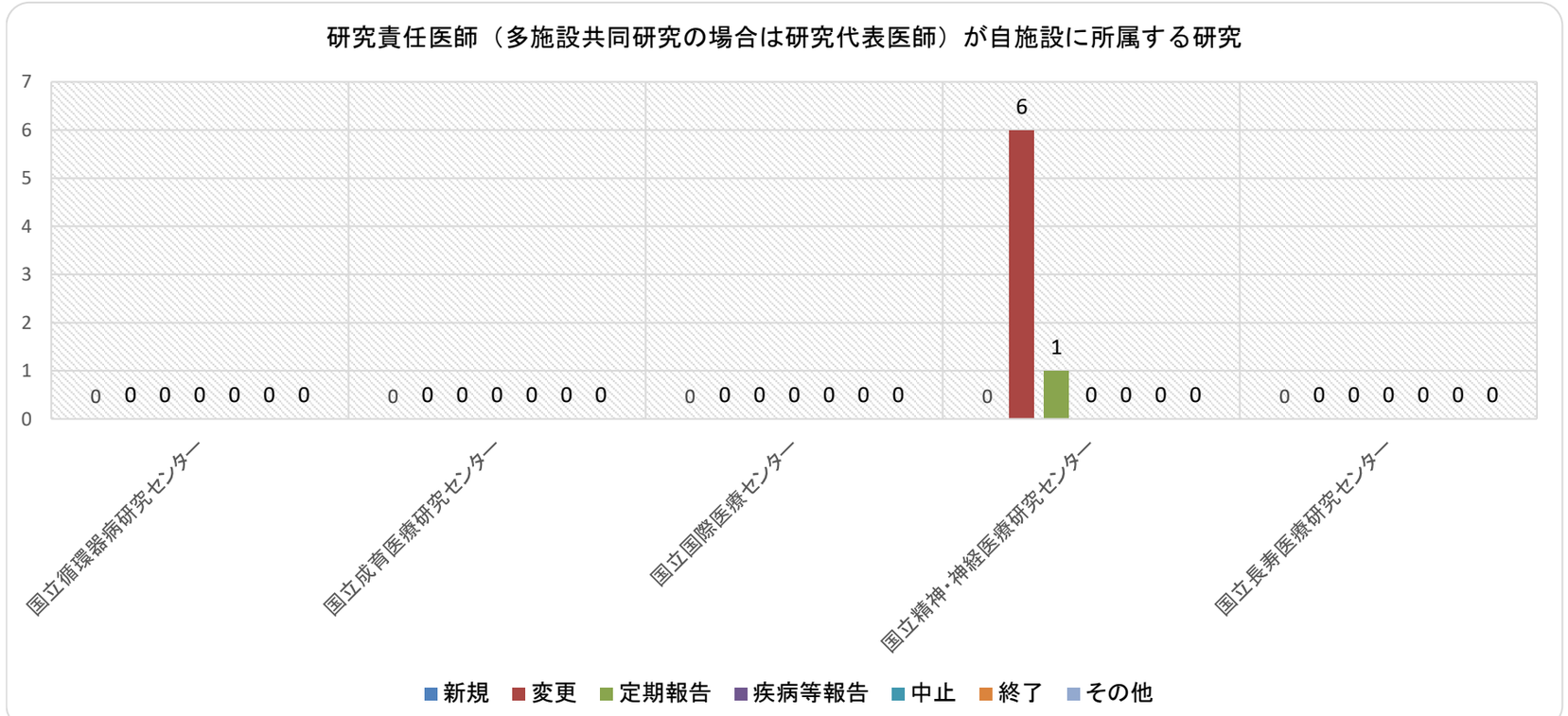
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
新規	0	0	3	1	-
変更	6	1	14	2	-
定期報告	1	1	6	3	-
疾病等報告	0	0	0	1	-
中止	0	0	0	0	-
終了	0	0	3	2	-
その他	0	1	2	1	-



66

Part-7 / 令和6年度の審査件数 / 臨床研究法に規定する特定臨床研究以外の臨床研究 / 研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）が自施設に所属する研究

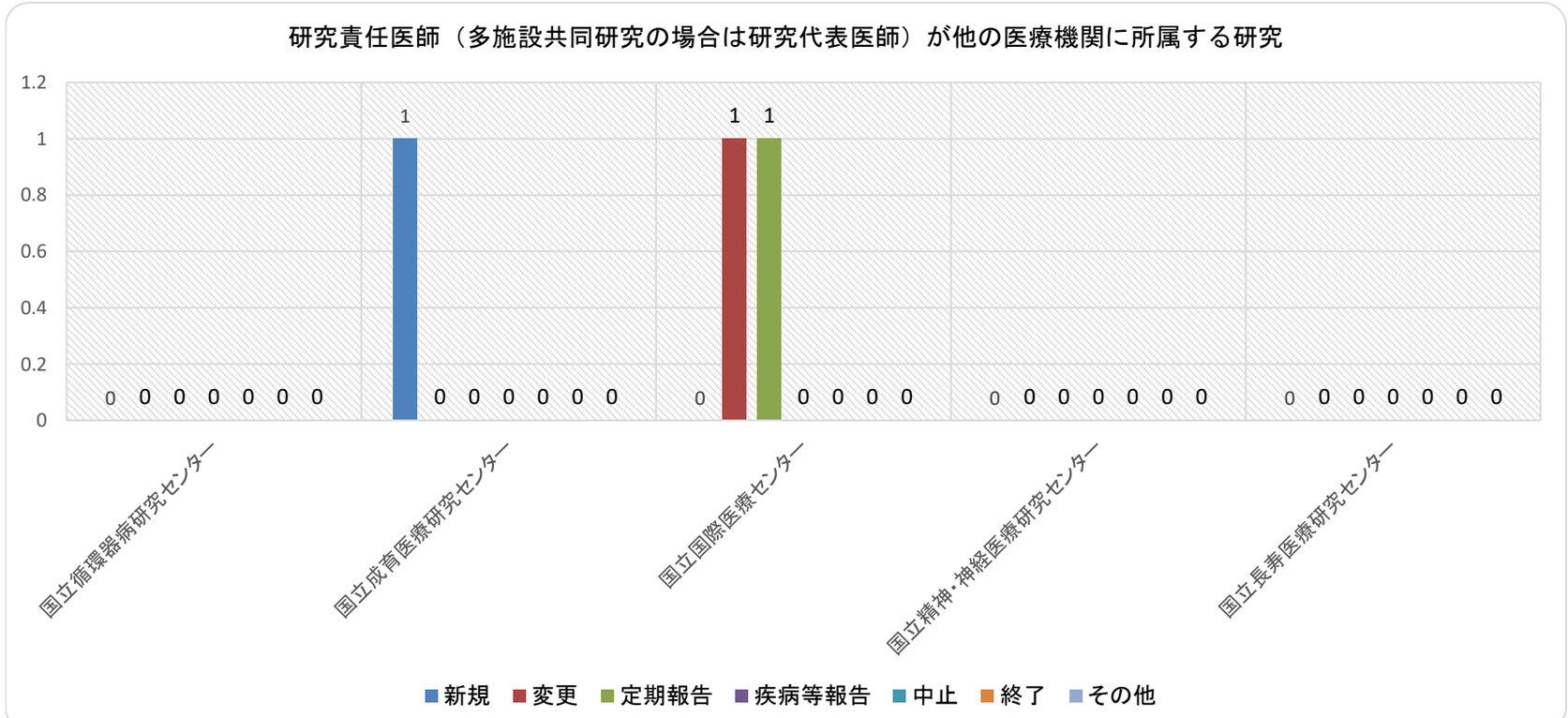
	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
新規	0	0	0	0	-
変更	0	0	0	6	-
定期報告	0	0	0	1	-
疾病等報告	0	0	0	0	-
中止	0	0	0	0	-
終了	0	0	0	0	-
その他	0	0	0	0	-



67

Part-7 / 令和6年度の審査件数 / 臨床研究法に規定する特定臨床研究以外の臨床研究 / 研究責任医師（多施設共同研究の場合は研究代表医師）が他の医療機関に所属する研究

	国立循環器病研究センター	国立成育医療研究センター	国立国際医療センター	国立精神・神経医療研究センター	国立長寿医療研究センター
新規	0	1	0	0	-
変更	0	0	1	0	-
定期報告	0	0	1	0	-
疾病等報告	0	0	0	0	-
中止	0	0	0	0	-
終了	0	0	0	0	-
その他	0	0	0	0	-



68

◆ Part-1

名称

Q1.貴院の名称をご記入ください。

（例：国立〇〇研究センター病院、〇〇大学医学部附属病院）

区分

Q2：貴院は特定機能病院に該当しますか。

（注）ドロップボックスで「はい」「いいえ」のいずれかを選択してください。

病床数

Q3. 貴院の病床数を、以下の区分ごとにご記入ください。

精　神	感染症	結　核	療　養	一　般	合　計
					0 床

臨床研究に携わる従業者の員数

Q4-1.現在の、臨床研究に携わる医師・歯科医師・薬剤師・看護師の員数およびエフォート換算の合計員数、日付をご記入ください。

※員数の算出において、Q6-1の表をご利用ください。

（　　年　月　日現在）

職　種	員数	合計員数（エフォート換算）
医師		
歯科医師		
薬剤師		
看護師		

（注）
1.調査半年以内のある月の初めの日における員数を記入すること。

2.「員数」の欄には、整数で算出して記入すること。「合計員数（エフォート換算）」の欄には、当該病院の臨床研究に携わる従事者が当該業務に必要とする時間が年間の全勤務時間に占める割合を表した数値の合計を小数点以下2位を切り捨て、小数点以下1位まで算出して記入すること。

3.「臨床研究に携わる」とは、医療法施行規則第9条の25各号の規定に沿って、病院管理者が整備する特定臨床研究を適正に実施するための各種体制に関わる業務を行っていることを指す。

Q4-2.現在の、臨床研究に携わるその他の従業者の員数およびエフォート換算の合計員数、日付をご記入ください。

※員数の算出において、Q6-2の表をご利用ください。

（　　年　月　日現在）

職　種	員数	合計員数 （エフォート換算）
専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者		
専従の臨床研究に関するデータの管理に関する相当の経験及び識見を有する者		
（任意）臨床研究実施に係るデータベース構築に必要な業務を行う者		
専任の生物統計に関する相当の経験及び識見を有する者		
専従の薬事に関する審査に関する相当の経験及び識見を有する者		

（注）
1.調査半年以内のある月の初めの日における員数を記入すること。

2.「員数」の欄には、整数で算出して記入すること。「合計員数（エフォート換算）」の欄には、当該病院の臨床研究に携わる従事者が当該業務に必要とする時間が年間の全勤務時間に占める割合を表した数値の合計を小数点以下2位を切り捨て、小数点以下1位まで算出して記入すること。

3.「専従」とは、常勤で雇用されている職員において、その就業時間の8割以上、非常勤の場合はそれに相当する時間を該当業務に従事している場合をいうものであること。

4.「専任」とは、常勤で雇用されている職員において、その就業時間の5割以上、非常勤の場合はそれに相当する時間を該当業務に従事している場合をいうものであること。

5.「臨床研究実施に係るデータベース構築に必要な業務を行う者」とは、Electric Data Capture（EDC）システムの作成やシステムのプログラムチェック等のデータベース構築等に必要な業務を行う者であること。

6.Q4-2のうち、「臨床研究実施に係るデータベース構築に必要な業務を行う者」以外の各項目については、同一の者が兼任することはできないものとする。

臨床研究に携わるその他の従業者（職種別）

Q5.専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者について、下記の職種ごとに専従者の員数およびエフォート換算の合計員数をご記入ください。

※員数の算出において、Q6-2(1)の表をご利用ください。

	員数	合計員数 （エフォート換算）
CRC（臨床研究コーディネーター）		
モニター		
PM（プロジェクトマネージャー／スタディーマネージャー）		
研究調整員（治験・臨床研究調整業務担当者）		
メディカルライター		
研究倫理相談員		
臨床検査専門員（臨床研究に係る臨床検査の技術・品質管理に携わる者）		
研究監査員（研究監査担当員）		

Q6-1.（任意記入）

以下の表はQ4-1において臨床研究に携わる医師・歯科医師・薬剤師・看護師の員数を算出するための記入表です。

人数算出のための参考用となるため、精微な記載は必要なく提出は任意となります。また、氏名は空欄でも問題ございません。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

氏　名	所属・役職名	資　格	エフォート換算値

（注）「資格」の欄には、ドロップボックスで「医師」、「歯科医師」、「薬剤師」、「看護師」のいずれかを選択してください。

Q6-2(1).（任意記入）

※以下の表はQ4-2、Q5において専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する相当の経験及び識見を有する者の員数を算出するための記入表です。

人数算出のための参考用となるため、精微な記載は必要なく提出は任意となります。また、氏名は空欄でも問題ございません。

※過去の当該業務に従事した期間の欄は、〇年〇月～〇年〇月とご記入ください。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q4-1、Q5記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

氏　名	所属・役職名	業務	区分	過去の当該業務経験（過去に当該業務に従事した期間）

（注）
1.「業務」の欄には、ドロップボックスで「CRC」（臨床研究コーディネーター）、「モニター」、「PM」（プロジェクトマネージャー/スタディーマネージャー）、「研究調整員」（治験・臨床研究調整業務担当者）、「メディカルライター」、「研究倫理相談員」、「臨床検査専門員」（臨床研究に係る臨床検査の技術・品質管理に携わる者）、「研究監査員」（研究監査担当員）のいずれかを選択すること。

2.「区分」の欄は、ドロップボックスで1又は2のいずれかを選択すること。1は当該支援業務の経験が3年以上の場合に、2は当該支援業務の経験が1年以上3年未満の場合に選択すること。

3.「過去の当該業務経験」の欄には、当該業務の経験について「1年以上3年未満」又は「3年以上」と記載し、当該業務に従事した具体的な期間についても記載すること。期間については、和暦で記載すること。

Q6-2(2). (任意記入)

※以下の表はQ4-2において専従の臨床研究に関するデータの管理に関する相当の経験及び識見を有する者の員数を算出するための記入表です。

人数算出のための参考用となるため、精微な記載は必要なく提出は任意となります。また、氏名は空欄でも問題ございません。

※過去の当該業務に従事した期間の欄は、〇年〇月～〇年〇月とご記入ください。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q4-2記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

氏　名	所属・役職名	過去の当該業務経験(過去に当該業務に従事した期間)

Q6-2(3). (任意記入)

※以下の表はQ4-2において臨床研究実施に係るデータベース構築に必要な業務を行う者の員数を算出するための記入表です。

人数算出のための参考用となるため、精微な記載は必要なく提出は任意となります。また、氏名は空欄でも問題ございません。

※過去の当該業務に従事した期間の欄は、〇年〇月～〇年〇月とご記入ください。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q4-2記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

氏　名	所属・役職名	過去に当該業務に従事した期間	エフォート換算値

Q6-2(4). (任意記入)

※以下の表はQ4-2において専任の生物統計に関する相当の経験及び識見を有する者の員数を算出するための記入表です。

人数算出のための参考用となるため、精微な記載は必要なく提出は任意となります。また、氏名は空欄でも問題ございません。

※過去の当該業務に従事した期間の欄は、〇年〇月～〇年〇月とご記入ください。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q4-2記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

氏　名	所属・役職名	過去に当該業務に従事した期間

Q6-2(5). (任意記入)

※以下の表はQ4-2において専従の薬事に関する審査に関する相当の経験及び識見を有する者の員数を算出するための記入表です。

人数算出のための参考用となるため、精微な記載は必要なく提出は任意となります。また、氏名は空欄でも問題ございません。

※過去の当該業務に従事した期間の欄は、〇年〇月～〇年〇月とご記入ください。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q4-2記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

氏　名	所属・役職名	過去に当該業務に従事した規制当局・期間

◆ Part-2

特定臨床研究に関する計画の立案及び実施の実績

【医師主導治験】

Q7-1(1). 令和4～6年度の3年間に、貴院が主導的に実施した医師主導治験の件数をご記入ください。

Q7-1(2). 令和4～6年度の3年間に貴院が主導的に実施した医師主導治験の件数について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※下記の各内訳の中で、合計値がQ7-1(1)の件数になるようご記入ください。

内訳1:役割

当該病院において当該医師主導治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該医師主導治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	

内訳2:医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	

内訳3:被験者・研究対象者

小児	
成人	
小児・成人	

内訳4:実施施設数

単施設	
多施設共同	

内訳5:フェーズ(Phase)

Phase Ⅰ	
PhaseⅡ	
PhaseⅢ	
PhaseⅣ	
その他	

※以下は上記の各件数を算出するのための記入表です。

件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q7-1記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	治験名	治験調整医師名	治験調整医師所属	届出日	登録ID等	主導的な役割	医薬品等区分			小児／成人	疾病等分類	実施施設数	フェーズ(Phase)
							医薬品	医療機器	再生医療等製品				
1													
2													
3													
4													
5													

(注)

1.「登録ID等」の欄には、治験計画届書の受理時に独立行政法人医薬品医療機器総合機構から発行された受付番号(当該治験の最初の届出時のもの)を記載すること。

2.「主導的な役割」の欄は、ドロップボックスで1又は2のいずれかを選択すること。
1は、当該病院において当該特定臨床研究の実施に関する業務を統括する責任者を定めた場合に、
2は、当該病院が他の病院又は診療所に対し当該特定臨床研究の実施に関する包括的な支援を行った場合に記載すること。
2と記載した場合には、包括的な支援の内容を証明するために必要な書類を添付すること。
なお、「包括的な支援を行った場合」とは、プロトコール作成支援、データマネジメント、モニタリング等の当該研究に係る主要な臨床研究支援業務を包括的に請け負った場合を指す。

3.「医薬品等区分」の欄は、研究の対象について、ドロップボックスで「医薬品」「医療機器」「再生医療等製品」のうち、該当するものすべてをドロップボックスで選択すること。
平成30年3月31日までに開始し、平成31年3月31日までに終了した臨床研究の場合は、記載しなくて差し支えない。

4.「小児／成人」の欄は、被験者・研究対象者が「小児」「成人」「小児・成人」のいずれかをドロップボックスで選択すること。
「小児」は、被験者・研究対象者が満18歳までの場合とすること。
18歳未満の者と18歳以上の者を被験者・研究対象者に含む場合は、「小児・成人」を選択すること。

5.「疾病等分類」の欄は、世界保健機関(WHO)によるInternational Statistical Classification of Disease and Related Health Problems-10(2003年版)(以下「ICD-10」という。)に準拠した「基本分類表(2013年度版)準拠」の3桁分類を用いて、該当するすべてを記載すること。
複数の疾病を対象とする研究であって記載が困難である場合は、「複数疾病()」と記載し、可能であれば()内に3桁分類すべてを記載すること。

6.「実施施設数」の欄は、研究が実施される施設数を記載すること。
単施設で実施される研究の場合は1と記載し、当該病院が他の病院又は診療所と共同して特定臨床研究を実施する場合には、研究が実施される施設の合計を記載すること。

7.「フェーズ(Phase)」の欄は、phase Ⅰ、Ⅱ、Ⅲ、Ⅳの研究開発段階に応じ、「1」「2」「3」「4」のいずれかで記載すること。
いずれにも該当しない場合は、「その他(　)」と記載し、()内に具体的に記載すること。

【特定臨床研究】

Q7-2(1). 令和4～6年度の3年間に、貴院が主導的に実施した特定臨床研究の件数をご記入ください。

Q7-2(2). 令和4～6年度の3年間に貴院が主導的に実施した特定臨床研究の件数について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※下記の各内訳の中で、合計値がQ7-2(1)の件数になるようご記入ください。

内訳1:役割

当該病院において当該特定臨床研究の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該特定臨床研究の実施に関する包括的な支援を行った件数	

内訳2:医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	

内訳3:被験者・研究対象者

小児	
成人	
小児・成人	

内訳4:実施施設数

単施設	
多施設共同	

内訳5:フェーズ(Phase)

Phase Ⅰ	
PhaseⅡ	
PhaseⅢ	
PhaseⅣ	
その他	

※以下は上記の各件数を算出するのための記入表です。

件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q7-2記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	臨床研究名	研究代表医師	研究代表医師所属	届出日	登録ID等	主導的な役割	医薬品等区分			小児／成人	疾病等分類	実施施設数	フェーズ(Phase)
							医薬品	医療機器	再生医療等製品				
1													
2													
3													
4													
5													

(注)

1.「開始日」の欄には、実施計画が臨床研究法施行規則第24条第1項に規定するデータベース(jRCT)に公表された日を記載すること。
ただし、平成30年3月31日までに開始した臨床研究については、臨床研究の実施を研究機関の長が許可した日を記載すること。

2.「登録ID等」の欄には、jRCTに登録した番号を記載すること。
なお、同法の施行前に「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に基づき実施した臨床研究等、jRCTに登録した番号がない臨床研究については、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」において登録が求められている国立大学附属病院長会議、一般財団法人日本医薬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において、臨床研究ごとに割り当てられた固有の識別番号を記載すること(国立大学附属病院長会議であれば「UMIN＋9桁の数字」、一般財団法人日本医薬情報センターであれば「JapicCTI-＋6桁の数字」、公益社団法人日本医師会であれば「JMA-IIA＋5桁の数字」)。

3.「主導的な役割」「医薬品等区分」「小児／成人」「疾病等分類」「実施施設数」「フェーズ(Phase)」の欄は、Q7-1(2)の(注) 2～7を参照し、記載・選択すること。

【企業治験】

Q7-3(1). 令和4～6年度の3年間に、貴院が主導的に実施した企業治験の件数をご記入ください。

Q7-3(2). 令和4～6年度の3年間に貴院が主導的に実施した企業治験の件数について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※下記の各内訳の中で、合計値がQ7-3(1)の件数になるようご記入ください。

内訳1:役割

当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	

内訳2:医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	

内訳3:被験者・研究対象者

小児	
成人	
小児・成人	

内訳4:実施施設数

単施設	
多施設共同	

内訳5:フェーズ(Phase)

Phase Ⅰ	
PhaseⅡ	
PhaseⅢ	
PhaseⅣ	
その他	

※以下は上記の各件数を算出するのための記入表です。

　件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q7-3記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	治験名	治験責任医師名	届出日	登録ID等	主導的な役割	医薬品等区分			小児／成人	疾病等分類	実施施設数	フェーズ（Phase）
						医薬品	医療機器	再生医療等製品				
1												
2												
3												
4												
5												

（注）
1.「登録ID等」「主導的な役割」「医薬品等区分」「小児・成人」「疾病等分類」「フェーズ（Phase）」の欄は、Q7-1（2）の（注）1～7を参照し、記載・選択すること。

2.「実施施設数」の欄は、研究が実施される施設数を記載すること。
　単施設で実施される研究の場合は1と記載し、当該病院が他の病院又は診療所と共同して特定臨床研究を実施する場合は「2（）」と記載し、
　可能であれば（）内に治験実施施設の合計数を記載すること。

【FIH試験（治験に限る）】

Q7-4（1）. 令和4～6年度の3年間に、貴院が主導的に実施したFIH試験（治験に限る）の件数をご記入ください。

Q7-4（2）. 令和4～6年度の3年間に貴院が主導的に実施したFIH試験（治験に限る）の件数について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※下記の各内訳の中で、合計値がQ7-4（1）の件数になるようご記入ください。

内訳1：主導的な役割

当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	

内訳2：医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	

内訳3：被験者・研究対象者

小児	
成人	
小児・成人	

※以下は上記の各件数を算出するのための記入表です。

　件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q7-4記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	治験名	治験責任医師名	届出日	登録ID等	主導的な役割	医薬品等区分			小児／　成人	疾病等分類	実施施設数	フェーズ（Phase）
						医薬品	医療機器	再生医療等製品				
1												
2												
3												
4												
5												

（注）
1.「登録ID等」「主導的な役割」「医薬品等区分」「小児・成人」「疾病等分類」「実施施設数」の欄は、Q7-1（2）の（注）1～6を参照し、記載・選択すること。

2.Q7-1の医師主導治験、Q7-3の企業治験と重複して差し支えない。

リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績

Q：貴院における「リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績」について、有無を選択し、取り組みがある場合は件数をご記入ください。

リアルワールドデータを用いた臨床研究の実績	

※ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

［上記にて、実績がありの場合］

過去1年間に実施したリアルワールドデータを用いた臨床研究の実績件数	

※半角数字でご記入ください。

　↓

その内、ナチュラルヒストリーを使った単群試験の件数、および、事前に統計解析計画を立ててマッチングを行った試験の件数をご記入ください。

ナチュラルヒストリーを使った単群試験	
事前に統計解析計画を立ててマッチングを行った試験	

※半角数字でご記入ください。

◆論文発表の実績

特定臨床研究の実施に伴い発表された論文の実績

Q8-1(1). 令和4～6年度の3年間に、貴院において特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の件数をご記入ください。

Q8-1(2). 令和4～6年度の3年間に特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文の件数について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※下記の各内訳の中で、合計値がQ8-1(1)の件数になるようご記入ください。

内訳1：論文種別

主解析論文	
サブ解析論文（個別の試験実施施設の結果等を含むサブグループ解析の論文）	
プロトコール論文 ※すでに症例登録がなされているものを対象とする	

内訳2：主導的な役割

当該病院において当該治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	

内訳3：医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	

内訳4：被験者・研究対象

小児	
成人	
小児・成人	

内訳5：実施施設数

単施設	
多施設共同	

内訳6：フェーズ（Phase）

Phase Ⅰ	
PhaseⅡ	
PhaseⅢ	
PhaseⅣ	
その他	

内訳7：役割

筆頭著者が当該申請機関所属の場合	
筆頭著者は当該申請機関に所属していないが研究計画書に定める研究責任者が当該申請機関所属の場合	
その他の場合 ※筆頭著者及び研究責任者の氏名と所属をあわせて記載	

※以下は上記の各件数を算出するのための記入表です。
件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q8-1記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	題名	発表者氏名	発表者の所属	主導的な役割（内訳2）	役割（内訳7）	雑誌名・出版年月等	論文種別		医薬品等区分			小児／成人	疾病等分類	実施施設数	フェーズ（Phase）
							種別	その他の場合の説	医薬品	医療機器	再生医療等製品				
1															
2															
3															
4															
5															
6															
7															
8															
9															
10															

（注）
1.「特定臨床研究の実施に伴い発表した質の高い論文」とは、特定臨床研究が実施されたことによって発表された学術論文のうち、査読のある学術雑誌（自機関発行雑誌は除く。）に英文で掲載されており、
かつ、米国国立医学図書館が提供する医学・生物学分野の学術文献データベースに掲載されている学術論文であって、原則として、主解析論文、
サブ解析論文（個別の試験実施施設の結果等を含むサブグループ解析の論文）、プロトコール論文をいうこと。
このうち、プロトコール論文については、すでに症例登録がなされているものを対象とする。

2.原則として、筆頭著者（ダブル筆頭著者の場合を含む）の所属先が当該申請機関である論文を対象とするが、
・ｉ）大学病院において、実体上、大学の講座と病院の診療科が同一の組織として研究活動を行っている場合
ii）高度専門医療に関する研究等を行う独立行政法人等において、研究所が病院に隣接しており、同一の組織として研究活動を行っている場合については、筆頭著者の所属先が当該大学・研究所で
あっても対象に含めて差し支えないこと。
・研究計画書に定める研究責任者が当該申請機関に所属し、当該申請機関が研究支援（研究実施調整業務、プロトコール作成、統計解析、データマネジメント、モニタリング等）を行い実施した研究に基づく
論文については、筆頭著者が当該申請機関以外の所属であっても対象に含めて差し支えないこと。
・研究計画書に定める研究責任者の所属機関が当該申請機関以外の所属であっても、当該申請機関が研究支援（「研究実施調整業務」及び「プロトコール作成、データマネジメント、モニタリング、
統計解析等の支援」を行った場合に限る。）を行い実施した研究に基づく論文も対象に含めて差し支えないこと。

3.「発表者の所属」については、論文に記載されている所属先をすべて記載すること。発表者の所属が複数ある場合は、すべてを記載とすること。

4.「役割」については、1、2又は3と選択すること
「1」は筆頭著者が当該申請機関所属の場合に、「2」は筆頭著者は当該申請機関に所属していないが研究計画書に定める研究責任者が当該申請機関所属の場合に、
「3」はその他の場合に選択すること。
「3」の場合には、筆頭著者及び研究責任者の氏名と所属を記載すること。

5.「雑誌名・出版年月等」の欄には、「雑誌名」「出版年月」「PMID（PubMed ID）」について記載すること。
「出版年月」については、雑誌掲載月又はEpub ahead of printの掲載日とするが、次年度以後に提出する業務報告書において記載変更は認めないこと。

6.「論文種別」の欄には、主解析論文、サブ解析論文、プロトコール論文のいずれかを選択すること。いずれにも該当しない場合は、「その他」を選択し、説明を記載すること。

7.「医薬品等区分」「小児・成人」「疾病等分類」「実施施設数」「フェーズ（Phase）」の欄は、Q7-1(2)の（注） 2～7を参照し、記載・選択すること。

【特定臨床研究の実施に伴い発表したその他の論文】

Q8-2(1). 令和4～6年度の3年間に、貴院において**特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文**の件数をご記入ください。

Q8-2(2). 令和4～6年度の3年間に**特定臨床研究以外の臨床研究の実施に伴い発表された論文**の件数について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※下記の各内訳の中で、合計値がQ8-2(1)の件数になるようご記入ください。

内訳1:役割

筆頭著者が当該申請機関所属の場合	
筆頭著者は当該申請機関に所属していないが研究計画書に定める研究責任者が当該申請機関所属の場合	
その他の場合 ※筆頭著者及び研究責任者の氏名と所属をあわせて記載	

内訳2:論文種別

疫学研究	
観察研究	
介入研究	
その他	

内訳3:医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	
手術・手技	
その他	

内訳4:被験者・研究対象者

小児	
成人	
小児・成人	

内訳5:実施施設数

単施設	
多施設共同	

内訳6:フェーズ(Phase)

Phase Ⅰ	
Phase Ⅱ	
Phase Ⅲ	
PhaseⅣ	
その他	

※以下は上記の各件数を算出するのための記入表です。

件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q8-2記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	題名	発表者氏名	発表者の所属	役割	雑誌名・出版年月等	論文種別		医薬品等区分					小児／成人	疾病等分類	実施施設数	フェーズ(Phase)
						種別	その他の場合の説明	医薬品	医療機器	再生医療等製品	手術・手技	その他				
1																
2																
3																
4																
5																
6																
7																
8																
9																
10																

(注)
1.対象となる論文は、Q8-1(2)の(注)1・2を参照すること。

2.筆頭著者又は研究責任者が当該申請機関に所属しない場合であっても、当該申請機関が研究支援(プロトコール作成支援、データマネジメント、モニタリング、統計解析、研究実施調整業務等)を行い実施した研究に基づく論文は記載すること。

3.「役割」については、Q8-1(2)の(注)4を参照し、選択すること。

4.「医薬品等分類」の欄は、研究の対象について、「医薬品」「医療機器」「再生医療等製品」「手術・手技」のうち、該当するすべてを記載すること。
いずれにも該当しない場合は、「その他(　)」とすること。

5.「論文種別」の欄には、疫学研究、観察研究、介入研究のいずれかを記載すること。いずれにも該当しない場合は、「その他(　)」とすること。

6.「医薬品等区分」「小児・成人」「疾病等分類」「実施施設数」「フェーズ(Phase)」の欄は、Q7-1(2)の(注) 3～7を参照し、記載・選択すること。

【診療ガイドラインの根拠になった論文】

Q8-3. 令和4～6年度の3年間に、貴院において発表された診療ガイドラインの根拠になった論文の件数をご記入ください。

※以下は上記の件数を算出するのための記入表です。

　件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q8-3記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	題名	発表者氏名	発表者の所属	雑誌名・出版年月等	根拠として採用された診療ガイドライン
1					
2					
3					
4					
5					

（注）
1.「雑誌名・出版年月等」の欄は、Q8-1(2)の(注)5を参照し記載すること。また、当該ガイドラインは最新版のものであること。

2.「根拠として採用された診療ガイドライン」の欄には、「ガイドライン名」「ガイドラインの出版年月」について記載すること。

3.Q8-1、Q8-2と重複して差し支えない。

【薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文】

Q8-4(1). 令和4～6年度の3年間に、貴院において発表された薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文の件数をご記入ください。

Q8-4(2). 令和4～6年度の3年間に発表された薬事申請・承認の根拠になった研究又は論文の件数について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※合計値がQ8-4(1)の件数になるようご記入ください。

内訳：医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	

※以下は上記の件数を算出するのための記入表です。

　件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q8-4記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	題名	発表者氏名	発表者の所属	雑誌名・出版年月等又は登録ID等	医薬品等区分			承認番号等
					医薬品	医療機器	再生医療等製品	
1								
2								
3								
4								
5								

（注）
1.「雑誌名・出版年月等又は登録ID等」の欄は、「雑誌名・出版年月等」についてはQ7-2(2)の(注)5を参照し記載すること。
　「登録ID等」については、Q7-1(2)の(注)1またはQ7-2(2)の(注)2を参照し記載すること。

2.「医薬品等区分」の欄は、「医薬品」「医療機器」「再生医療等製品」のうち該当するものを選択すること。

3.「承認番号等」の欄には、薬事にかかる承認番号、認証番号、届出番号又は承認申請中（認証申請の場合は認証申請中）と記載すること。

4.Q8-1、Q8-2、Q8-3と重複して差し支えない。

◆ Part-3

他の病院または診療所と共同して医師主導治験/特定臨床研究を実施する場合に、貴院が実施の主導的な役割を果たした実績

【医師主導治験】

Q9-1(1). 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して医師主導治験を実施するにあたり、貴院が実施の主導的な役割を果たした医師主導治験の件数をご記入ください。

Q9-1(2). 令和4～6年度の3年間に他の病院又は診療所と共同して医師主導治験を実施するにあたり、貴院が実施の主導的な役割を果たした医師主導治験について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※下記の各内訳の中で、合計値がQ9-1(1)の件数になるようご記入ください。

内訳1:主導的な役割

当該病院において当該医師主導治験の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該医師主導治験の実施に関する包括的な支援を行った件数	

内訳2:医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	

内訳3:被験者・研究対象者

小児	
成人	
小児・成人	

内訳4:実施施設数

単施設	
多施設共同	

内訳5:フェーズ(Phase)

PhaseⅠ	
PhaseⅡ	
PhaseⅢ	
PhaseⅣ	
その他	

※以下は上記の件数を算出するのための記入表です。

件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q9-1記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	治験名	治験調整医師名	治験調整医師所属	届出日	登録ID等	主導的な役割	医薬品等区分			小児／成人	疾病等分類	実施施設数	フェーズ(Phase)
							医薬品	医療機器	再生医療等製品				
1													
2													
3													
4													
5													

(注)
1.主導的な役割を果たした実績の詳細を記載すること。

2.「登録ID等」の欄には、治験計画届書の受理時に独立行政法人 医薬品医療機器総合機構から発行された受付番号(当該治験の最初の届出時のもの)を記載すること。

3.「主導的な役割」の欄は、1又は2と選択すること。1は、当該病院において当該特定臨床研究の実施に関する業務を統括する責任者を定めた場合に、2は、当該病院が他の病院又は診療所に対し当該特定臨床研究の実施に関する包括的な支援を行った場合に記載すること。
2と記載した場合には、包括的な支援の内容を証明するために必要な書類を添付すること。なお、「包括的な支援を行った場合」とは、プロトコール作成支援、データマネジメント、モニタリング等の当該研究に係る主要な臨床研究支援業務を包括的に請け負った場合を指す。

4.「医薬品等区分」の欄は、研究の対象について、「医薬品」「医療機器」「再生医療等製品」のうち、該当するものすべてを選択すること。平成30年3月31日までに開始し、平成31年3月31日までに終了した臨床研究の場合は、選択しなくても差し支えない。

5.「小児／成人」の欄は、被験者・研究対象者が「小児」「成人」「小児・成人」のいずれに該当するかを選択すること。「小児」については、研究対象者が満18歳までの場合とすること。18歳未満の者と18歳以上の者を被験者・研究対象者として含む場合は、「小児・成人」と選択すること。

6.「疾病等分類」の欄は、世界保健機関(WHO)によるInternational Statistical Classification of Disease and Related Health Problems-10(2003年版)(以下「ICD-10」という。)に準拠した「基本分類表(2013年度版)準拠」の3桁分類を用いて、該当するすべてを記載すること。複数の疾病を対象とする研究であって記載が困難である場合は、「該当無し(疾病横断)」と記載すること。

7.「実施施設数」の欄は、研究を実施した施設の数を数字で記入すること。単施設で実施される研究の場合は1と記載すること。当該病院が他の病院又は診療所と共同して特定臨床研究を実施する場合には、数字の後ろに○をつけること。

8.「フェーズ(Phase)」の欄は、phaseⅠ、Ⅱ、Ⅲ、Ⅳの研究開発段階に応じ、「1」「2」「3」「4」のいずれかで記載すること。いずれにも該当しない場合は、「その他(　)」と記載し、()内に具体的に記載すること。

【特定臨床研究】

Q9-2(1). 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して特別臨床研究を実施するにあたって、貴院が実施の主導的な役割を果たした特別臨床研究の件数をご記入ください。

Q9-2(2).令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所と共同して特別臨床研究を実施するにあたって、貴院が実施の主導的な役割を果たした特別臨床研究について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※下記の各内訳の中で、合計値がQ9-2(1)の件数になるようご記入ください。

内訳1:主導的な役割

当該病院において当該特定臨床研究の実施に関する業務を統括する責任者を定めた件数	
当該病院が他の病院又は診療所に対し当該特定臨床研究の実施に関する包括的な支援を行った件数	

内訳2:医薬品等区分

医薬品	
医療機器	
再生医療等製品	

内訳3:被験者・研究対象者

小児	
成人	
小児・成人	

内訳4:実施施設数

単施設	
多施設共同	

内訳5:フェーズ(Phase)

PhaseⅠ	
PhaseⅡ	
PhaseⅢ	
PhaseⅣ	
その他	

※以下は上記の件数を算出するのための記入表です。

件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q9-2記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	臨床研究名	研究代表医師	研究代表医師所属	開始日	登録ID等	主導的な役割	医薬品等区分			小児／成人	疾病等分類	実施施設数	フェーズ(Phase)
							医薬品	医療機器	再生医療等製品				
1													
2													
3													

(注)

1.「開始日」の欄には、実施計画が臨床研究法施行規則第24条第1項に規定するデータベース(jRCT)に公表された日を記載すること。
ただし、平成30年3月31日までに開始した臨床研究については、臨床研究の実施を研究機関の長が許可した日を記載すること。

2.「登録ID等」の欄には、jRCTに登録した番号を記載すること。
なお、同法の施行前に「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に基づき実施した臨床研究等、jRCTに登録した番号がない臨床研究については、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」において登録が求められている国立大学附属病院長会議、一般財団法人日本医薬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において、臨床研究ごとに割り当てられた固有の識別番号を記載すること(国立大学附属病院長会議であれば「UMIN＋9桁の数字」、一般財団法人日本医薬情報センターであれば「JapicCTI-＋6桁の数字」、公益社団法人日本医師会であれば「JMA-IIA＋5桁の数字」)。

3.「主導的な役割」「医薬品等区分」「小児／成人」「疾病等分類」「実施施設数」「フェーズ(Phase)」の欄は、Q9-1(2)の(注) 3～8を参照し、記載・選択すること。

◆ Part-4

他の病院又は診療所に対し、特定臨床研究の実施に関する相談に応じ、必要な情報の提供、助言その他の援助を行った実績

Q10-1. 令和4～6年度の3年間に、他の病院又は診療所に対して、特定臨床研究に係る支援を行った件数をご記入ください。

Q10-2. 令和4～6年度の3年間に他の病院又は診療所に対して、特定臨床研究に係る支援を行った件数について、以下の内訳別に件数をご記入ください。

※合計値がQ10-1(1)の件数になるようご記入ください。

プロトコール作成支援	
データマネジメント	
モニタリング	
監査	
統計解析	
研究実施調整業務	
その他	

※以下は上記の件数を算出するのための記入表です。

件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q10記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	登録ID等	治験・臨床研究名	支援対象機関	研究支援の種類	特定臨床研究であることの説明
1					
2					
3					

(注)研究支援の種類の欄には、プロトコール作成支援、データマネジメント、モニタリング、監査、統計解析、研究実施の調整に係る業務支援、その他のいずれかを選択すること。

◆ Part-5

特定臨床研究に関する研修の実績

Q11. 令和6年度における特定臨床研究に関する研修会の開催回数をご記入ください。

※以下は上記の件数を算出するのための記入表です。

　件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q11記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	研修会の名称	研修会の内容	実施日
1			
2			
3			

Q12. 認定臨床研究審査委員会がある場合、委員を対象とした令和6年度の研修会について、以下をご記入ください。

開催回数	

研修参加人数（延べ）	内部の者	
	外部の者	

※以下は上記の件数を算出するのための記入表です。

　件数算出のための参考用となるため、各項目を詳細に記載する必要なく提出は任意となります。

※記入表の行を追加し、使用しても問題ございません。

※Q12記入後、下記の表を削除した上で提出しても問題ございません。

番号	研修会の名称	研修会の内容	研修参加人数		実施日
			内部の者	外部の者	
1					
2					
3					
合計					

（注）
1.当該病院に属さない者が参加でき、かつ受講者の研修記録が残っているものに限る。

2.「内部の者」は、自施設の認定臨床研究審査委員会の委員とすること。

3.「合計」の欄には、のべ参加人数から、複数回の研修を受講した場合の重複を除いた人数について記載すること。

Q13. 特定臨床研究に関わる者の研修修了制度の有無についてお答えください。

（注）ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

Q14. 特定臨床研究に関する研修計画の有無についてお答えください。

（注）ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

◆ Part-6

Q15. 下記の各体制について、貴院における有無と、関連する部門名をご記入ください。

	有／無	該当する体制に関連連する部門名
特定臨床研究を適正に実施するための体制		
特定臨床研究を支援する体制		
特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う体制		
安全管理のための体制		
認定臨床研究審査委員会における特定臨床研究の審査体制		
特定臨床研究に係る金銭その他の利益の収受及びその管理の方法に関する審査体制		
特定臨床研究に係る知的財産の適切な管理及び技術の移転の推進のための体制		
広報及び啓発並びに特定臨床研究の対象者等からの相談に応じるための体制		

（注）
1.ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択すること。

2.それぞれの体制に関連する部門名を記載するとともに、組織内における位置付け及び関連する組織図を添付すること。

※以下の項目は任意でご記入ください。

【特定臨床研究を支援する体制】

① 特定臨床研究の実施の支援を行う部門の設置状況

有／無	

(注)ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

特定臨床研究の実施の支援を行う部門の名称及び責任者

部門名	
氏　名	
役職名	

特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う体制

① 特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う部門

有／無	
部門名	

(注)ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

② 専従の特定臨床研究を実施するに当たり統計的な解析等に用いるデータの管理を行う者の配置状況

有／無	
氏　名	
所　属	
役職名	
資　格	

(注)ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

◆ Part-7

認定臨床研究審査委員会における特定臨床研究の審査体制

① 認定臨床研究審査委員会の設置状況

有／無	
認定年月日	

(注)ドロップボックスで「あり」「なし」のいずれかを選択してください。

定期的な開催の状況についてご記入ください。(例:毎月1回開催)

令和6年度の審査件数:

	臨床研究法に規定する特定臨床研究		臨床研究法に規定する特定臨床研究以外の臨床研究	
	研究責任医師(多施設共同研究の場合は研究代表医師)が自施設に所属する研究	研究責任医師(多施設共同研究の場合は研究代表医師)が他の医療機関に所属する研究	研究責任医師(多施設共同研究の場合は研究代表医師)が自施設に所属する研究	研究責任医師(多施設共同研究の場合は、研究代表医師)が他の医療機関に所属する研究
新規				
変更				
定期報告				
疾病等報告				
中止				
終了				
その他				

◆ 自由記載

以下の項目は任意でご記入ください。

Q16. 貴NCにおける医療系研究での他機関(NC や臨床研究中核病院に限らず)との連携に関して、特徴的な取り組みや重視している活動があればご記入ください。可能であれば、具体例(連携先医療機関の参加状況、研究テーマ等)や数値情報も併せてご記載ください。

別添 1

臨床研究規制に関するアンケート

本年度の厚生労働科学特別研究「日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究（研究代表者　楠岡英雄）」において、我が国における臨床研究の推進を阻害する要因や課題を明らかにすることとしております。

本アンケートでは、医療機関において、臨床試験を適切に実施するために不可欠となるCRB/ARO部門等の研究支援部門において、現状の課題等について質問を実施するものとなっております。

ご多用中のところ、お手数をおかけしますが、アンケートへのご協力の程、よろしくお願いいたします。

* 必須の質問です

I. 施設および部門の属性に関する詳細な質問

貴部門の現状を詳細に把握するため、以下の質問にご回答ください。

1. 貴施設の種別についてお聞かせください。該当するものを１つ選んでください。 *

1 つだけマークしてください。

- ◯ 大学病院（臨床研究中核病院認定あり）
- ◯ 大学病院（臨床研究中核病院認定なし）
- ◯ 国立高度専門医療研究センター（NC）またはそれに準ずる機関（臨床研究中核病院認定あり）
- ◯ 国立高度専門医療研究センター（NC）またはそれに準ずる機関（臨床研究中核病院認定なし）
- ◯ その他: _____

2． 貴施設のCRBにおいて働いている以下の職種について、現在の在籍人数 をお答えください。本設問では、各職種の専門性の密度を把握するため「専従」と「兼任」を分けてお伺いします。各職種・役割について該当する人数の箇所にチェックを入れてください。 *
※専従： その職種の業務をメインとしている場合（エフォート概ね80%以上）。
※兼任： 他の職種と兼務している、または他部署（病棟や事務局等）の業務と並行している場合。
※1名のスタッフが兼任・兼務している場合、それぞれの職種の「兼任」の該当する人数枠にチェックを入れてください。

1 行につき1 つだけマークしてください。

	0人(専従の兼任もいない)	専従：1〜2人	専従：3〜5人	専従：6〜10人	専従：11人以上	兼任：1〜2人	兼任：3〜5人	兼任：6〜10人	兼任：11人以上
医師委員（臨床経験者）	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯
薬剤師委員	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯
統計学・疫学の専門家	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯
倫理学・法学の専門家	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯
一般市民・患者代表	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯
事務局スタッフ	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯	◯

3-①.【前半 ：専従についてお答えください】　貴施設のAROにおいて働いている以下の職種について、現在の在籍人数 をお答えください。本設問では、各職種の専門性の密度を把握するため「専従」と「兼任」を分けてお伺いします。各職種・役割について該当する人数の箇所にチェックを入れてください。 *
※専従： その職種の業務をメインとしている場合（エフォート概ね80%以上）。
※兼任： 他の職種と兼務している、または他部署（病棟や事務局等）の業務と並行している場合。
※1名のスタッフが兼任・兼務している場合、それぞれの職種の「兼任」の該当する人数枠にチェックを入れてください。

1 行につき1 つだけマークしてください。

	0人(専従も兼任もいない)	専従：1〜2人	専従：3〜5人	専従：6〜10人	専従：11〜20人	専従：21人以上	専従はいないが兼任はいる
プロジェクトマネージャー（PM）							
臨床研究コーディネーター（CRC）							
データマネージャー（DM）							
統計解析担当（生物統計家）							
モニター（治験・研究進捗確認）							
薬事担当（薬機法対応）							
品質保証担当（QA）							
倫理・コンプライアンス担当							
臨床検査技師							
IT・システム担当							
研究費管理担当							
事務局スタッフ							

3-②. 【後半 ：兼任についてお答えください】 貴施設のAROにおいて働いている以下の職種 について、現在の在籍人数 をお答えくださ * い。本設問では、各職種の専門性の密度を把握するため「専従」と「兼任」を分けてお伺いします。各職種・役割について該当する人数の箇所にチェックを入れてください。
※専従： その職種の業務をメインとしている場合（エフォート概ね80%以上）。
※兼任： 他の職種と兼務している、または他部署（病棟や事務局等）の業務と並行している場合。
※1名のスタッフが兼任・兼務している場合、それぞれの職種の「兼任」の該当する人数枠にチェックを入れてください。

1 行につき1 つだけマークしてください。

	兼任：1〜2人	兼任：3〜5人	兼任：6〜10人	兼任11〜20人	兼任：21人以上	兼任はいないが専従はいる
プロジェクトマネージャー（PM）	◯	◯	◯	◯	◯	◯
臨床研究コーディネーター（CRC）	◯	◯	◯	◯	◯	◯
データマネージャー（DM）	◯	◯	◯	◯	◯	◯
統計解析担当（生物統計家）	◯	◯	◯	◯	◯	◯
モニター（治験・研究進捗確認）	◯	◯	◯	◯	◯	◯
薬事担当（薬機法対応）	◯	◯	◯	◯	◯	◯
品質保証担当（QA）	◯	◯	◯	◯	◯	◯
倫理・コンプライアンス担当	◯	◯	◯	◯	◯	◯
臨床検査技師	◯	◯	◯	◯	◯	◯
IT・システム担当	◯	◯	◯	◯	◯	◯
研究費管理担当	◯	◯	◯	◯	◯	◯
事務局スタッフ	◯	◯	◯	◯	◯	◯

4．貴施設には、データセンターが設置されていますか。該当するものを１つ選んでください。 *

1 つだけマークしてください。

- ◯ 設置されている　*質問 6にスキップします*
- ◯ 設置されていない　*質問 5にスキップします*

無題のセクション

5．先程の質問で「設置されていない」を選ばれた方におききします。

データセンターは必要だと思いますか。該当するものを１つ選んでください。

1 つだけマークしてください。

- ◯ 必要
- ◯ 必要ではない

無題のセクション

6. 貴施設のCRBの主な業務内容について、該当するものを選んでください。（複数回答可）※該当するものがない場合は「その他」を選ん * でください。提示以外の業務がありましたら「その他」の自由記載にお書きください。

当てはまるものをすべて選択してください。

- ☐ 臨床研究の審査
- ☐ 研究計画(実施計画)書・同意説明文書の審査
- ☐ 被験者保護に関する審査・監督
- ☐ 他の法令等に基づく（審査）委員会との調整
- ☐ （臨床）研究関連文書の承認・改訂対応
- ☐ その他: _____

7. 貴施設のAROの主な業務内容について、該当するものを選んでください。（複数回答可） ※該当するものがない場合は「その他」を選ん * でください。提示以外の業務がありましたら「その他」の自由記載にお書きください。

当てはまるものをすべて選択してください。

- ☐ 治験・臨床試験の企画・立案支援
- ☐ プロトコル作成・改訂支援
- ☐ データマネジメント（EDC構築・データクリーニング）
- ☐ 統計解析・結果報告書作成
- ☐ モニタリング・品質管理
- ☐ 医師主導治験の運営支援
- ☐ 規制当局対応（PMDA等）
- ☐ その他: _____

８. 貴施設の【CRB（認定臨床研究審査委員会）】の業務量について、業務量の多いものから上位３つをお選びいただき、１位、２位、３位の選択肢の順位付けをしてください。

当てはまるものをすべて選択してください。

	１位	２位	３位
臨床研究の審査	☐	☐	☐
研究計画(実施計画)書・同意説明文書の審査	☐	☐	☐
被験者保護に関する審査・監督	☐	☐	☐
他の法令等に基づく（審査）委員会との調整	☐	☐	☐
（臨床）研究関連文書の承認・改訂対応	☐	☐	☐
その他	☐	☐	☐

９. 貴施設の【ARO（学術研究機関）】の業務量について、業務量の多いものから 上位３つをお選びいただき、１位、２位、３位の選択肢の順位付けをしてください。

当てはまるものをすべて選択してください。

	１位	２位	３位
治験・臨床試験の企画・立案支援	☐	☐	☐
プロトコル作成・改訂支援	☐	☐	☐
データマネジメント（EDC構築・データクリーニング）	☐	☐	☐
統計解析・結果報告書作成	☐	☐	☐
モニタリング・品質管理	☐	☐	☐
医師主導治験の運営支援	☐	☐	☐
規制当局対応（PMDA等）	☐	☐	☐
その他	☐	☐	☐

10. 貴部門のマンパワーの確保の状況等（人員配置、専門性の確保）についてどのように思われますか。各項目について該当するものを１つずつ選択してください。 *

1 行につき1 つだけマークしてください。

	強くそう思う	そう思う	どちらとも言えない	あまりそう思わない	全くそう思わない
必要な人数が十分に確保されている	◯	◯	◯	◯	◯
必要な専門スキルを持つ人材が十分にいる	◯	◯	◯	◯	◯
人材不足やスキル偏在が業務に支障をきたしている	◯	◯	◯	◯	◯
人員計画の体制整備が十分に行われている	◯	◯	◯	◯	◯
スキルマップの体制整備が十分に行われている	◯	◯	◯	◯	◯

11. 貴施設において「設置・運営」している各審査委員会の件数として、該当するものを１つずつ選択してください。 *

※外部の委員会（受託審査のみ）を利用している場合は含めず、貴施設が設置者となっているものに限定してお答えください。

1 行につき1 つだけマークしてください。

	0件	1件	2件	3件以上
認定臨床研究審査委員会（CRB）（臨床研究法に基づく認定を受けた委員会）	◯	◯	◯	◯
治験審査委員会（IRB）（薬機法・GCP省令に基づく、主に治験を審査する委員会）	◯	◯	◯	◯
倫理審査委員会（「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」に基づく委員会）	◯	◯	◯	◯
特定認定再生医療等委員会 / 認定再生医療等委員会（再生医療等安全性確保法に基づく委員会）	◯	◯	◯	◯

II. 関わっている研究の類型と規制の実態に関する質問

12. 貴部門が現在関与（支援・運営）している研究・試験について、各規制法令の類型ごとに最も近い状況を選んでください。 *

※ここでの「研究・試験」には、治験、臨床研究法に基づく研究（特定・非特定）、および倫理指針に基づく研究（介入・観察研究等）、再生医療等提供計画に基づく研究など、全ての臨床的探究を含みます。

1 行につき1 つだけマークしてください。

	主担当部署として中心的に関与している	多数の案件に関与している（6件以上）	複数案件に継続的に関与している（3〜5件程度）	少数の案件に関与している（1〜2件程度）	関与していない
薬機法に基づく治験（企業治験、医師主導治験、再生医療等製品の治験を含む）	○	○	○	○	○
臨床研究法に基づく臨床研究（法第２条第２項に定める特定臨床研究、および法第4条第１項・第21条に基づく非特定臨床研究）	○	○	○	○	○
再生医療等安全性確保法に基づく「再生医療等研究」（第1種〜第3種再生医療等提供計画に基づく治験以外の研究）	○	○	○	○	○
倫理指針に基づく臨床研究（生命科学・医学系指針下で行われる介	○	○	○	○	○

入・観察研究等）

III. 臨床研究の推進における具体的な課題

13. （治験・）臨床研究を進めるに当たって、現在どのようなものが最も支障となっているか、 上位３つをお選びいただき、１位、２位、３位の選択肢の順位付けをしてください。

当てはまるものをすべて選択してください。

	１位	２位	３位
規制法令が複数あるので、それに対応する煩雑さ	☐	☐	☐
研究資金確保が困難	☐	☐	☐
研究時間確保が困難	☐	☐	☐
スタッフの人員不足	☐	☐	☐
専門家の人員不足	☐	☐	☐
臨床研究に必要な卒前教育の不足	☐	☐	☐
臨床研究に必要な卒後教育の不足	☐	☐	☐
その他	☐	☐	☐

14．貴施設における「ARO部門」の組織的な位置付けや権限について、現状に近いものをすべて選択してください。（複数回答可）

当てはまるものをすべて選択してください。

- ☐ 病院経営層（病院長・理事会等）に対し、直接意見を具申できる体制が整っている。
- ☐ 臨床部局（医師）に対し、コンプライアンス遵守のための強い勧告権限を持っている。
- ☐ 予算や人事権が独立しておらず、他部署（事務局や特定の臨床部局）の意向に左右されやすい。
- ☐ 研究者（医師）からの依頼を断りにくい空気があり、過剰な業務負担を強いられる傾向がある。
- ☐ 施設内でのAROの認知度が低く、十分な協力体制が得られないことが多い。

15．貴施設のARO部門に従事する専門職（PM、DM、統計、モニター等）のキャリア形成について、課題と感じるものを選択してください（複数回答可）。

当てはまるものをすべて選択してください。

- ☐ 専門職としての明確な昇進・昇格基準（ラダー）が存在しない。
- ☐ 任期付き雇用（有期雇用）が中心であり、長期的なキャリア展望を描きにくい。
- ☐ 専門性を正当に評価できる上司や評価者が組織内にいない。
- ☐ 臨床研究専門職としての「給与体系」が整備されておらず、民間（CRO等）への人材流出が止まらない。
- ☐ 資格取得や外部研修への参加に対する費用・時間の支援が不足している。

Ⅳ. 法律の数の煩雑さに関する課題

16. 複数の法令に対応するため、業務量の増大が生じていると感じますか？ 該当するものを１つ選んでください。 *

1 つだけマークしてください。

- ◯ 非常に増大している　*質問 17にスキップします*
- ◯ 増大している　*質問 17にスキップします*
- ◯ どちらとも言えない　*質問 18にスキップします*
- ◯ あまり増大していない　*質問 18にスキップします*
- ◯ 増大していない　*質問 18にスキップします*

無題のセクション

17. 先程の質問で、「非常に増大している」または「増大している」と回答された方におききします。具体的に、どのような業務で特に負担が増大していますか？ 上位３つをお選びいただき、１位、２位、３位の選択肢の順位付けをしてください。

当てはまるものをすべて選択してください。

	１位	２位	３位
法令該当性の判断に関する業務	☐	☐	☐
審査委員会（IRB、認定CRB等）対応業務	☐	☐	☐
当局への届出準備（例：臨床研究法の計画・変更届出）	☐	☐	☐
契約・予算交渉関連業務	☐	☐	☐
モニタリング/監査関連業務	☐	☐	☐
その他	☐	☐	☐

無題のセクション

18. 複数の規制法令があることで、研究の該当性判断に迷うなどの相談が、貴部門にどの程度寄せられますか？またそれにより業務に支障が生じていますか？該当するものを１つ選んでください。 *

1 つだけマークしてください。

- ◯ 頻繁に寄せられ、業務に大きな支障が生じている　*質問 19にスキップします*
- ◯ 時折寄せられ、業務に支障が生じている　*質問19にスキップします*
- ◯ 稀に寄せられるが、業務に大きな支障はない　*質問 20にスキップします*
- ◯ ほとんど寄せられない　*質問 20にスキップします*

無題のセクション

19. 先程の質問で、「頻繁に寄せられ、業務に大きな支障が生じている」または「時折寄せられ、業務に支障が生じている」と回答された * 方におききします。どのような支障が生じているか、詳細をご記載ください。（自由記載）

貴施設における審査委員会の設置および運用状況についてお聞かせください。

20. 複数の規制法令（薬機法、臨床研究法、倫理指針等）に基づく審査委員会において、効率的な運用のための「共通化」を行っていま * すか？該当するものを選んでください。（複数回答可）

当てはまるものをすべて選択してください。

- [ ] 事務局の共通化（一つの事務局が複数の委員会を運営している）
- [ ] 委員の共通化（同じ人物が複数の委員会の委員を兼ねている）
- [ ] 審査窓口の一本化（申請者が迷わないよう、受付窓口を一つにしている）
- [ ] 審査資料の様式の共通化（異なる規制でも同じ様式を使用している）
- [ ] 特に共通化は行っておらず、委員会ごとに独立して運用している
- [ ] 該当する委員会がない

21．複数の規制法令（薬機法、臨床研究法、倫理指針等）に基づく審査委員会において、申請案件がどの法令（薬機法、臨床研究法、倫理指針等）に該当するか判断が困難な場合、貴施設ではどのように判断していますか？該当するものを１つ選んでください。

1 つだけマークしてください。

- ◯ 専門部署（ARO・事務局等）による事前の該当性判断（仕分け）を行う
- ◯ 合同予備審査会（各委員会の代表者等による会議）で協議する
- ◯ 厚生労働省や外部機関に都度照会して判断する
- ◯ 申請者の自己判断に委ね、不適切な場合は委員会で差し戻す
- ◯ その他: _____

22．今後の法整備等の状況により「法令上可能」となった場合、貴施設では複数の法制度を一つの委員会で審査・運用したいと考えますか？該当するものを１つ選んでください。

1 つだけマークしてください。

- ◯ 強く希望する（審査のスピードアップやリソース削減のため）
- ◯ 検討の余地がある（メリット・デメリットを精査した上で判断する）
- ◯ 希望しない（専門性が異なるため、分けたままの方が適切である）
- ◯ わからない / 特になし

23．貴施設における審査委員会の設置および運用状況についてお聞かせください。 *

複数の法令に基づく委員会がそれぞれ設置されている場合、効率がよいと感じる点はありますか？該当するものを１つ選んでください。

1 つだけマークしてください。

- ◯ はい
- ◯ いいえ
- ◯ どちらとも言えない
- ◯ 委員会が複数ない

24．委員会運用について特に効率が良い、または悪いと感じる点について詳細をご記載ください。（自由記載） *

25. 規制の適合（コンプライアンス）のために、試験デザインの変更（特に研究の質を落とすようなもの）や試験そのものの中止に至った事例はどの程度ありますか？ 該当するものを１つ選んでください。 *

1 つだけマークしてください。

- 頻繁にある（デザイン変更、中止が複数回発生） *質問 26にスキップします*
- 時折ある（デザイン変更が数回発生、中止が稀にある） *質問 26にスキップします*
- 稀にある（デザイン変更がごく稀にある） *質問 26にスキップします*
- ほとんどない/全くない *質問 27にスキップします*

無題のセクション

26．先程の質問で、「頻繁にある」、「時折ある」または「稀にある」と回答された方におききします。具体的な例を差し支えない範囲でご記載ください。（自由記載） *

無題のセクション

27．各制度（薬機法、臨床研究法、再生法、倫理指針等）において、申請書類や報告書類の様式について、施設内独自の様式・書式などがある場合、その様式・書式は貴施設独自の運用として可能な限り統一（共通化）していますか？該当するものを１つ選んでください。 *

1 つだけマークしてください。

- はい、概ね統一されている *質問29にスキップします*
- いいえ、統一されていない部分が多い *質問 28にスキップします*
- 部分的に統一されている *質問 28にスキップします*

無題のセクション

28. 先程の質問で、「いいえ、統一されていない部分が多い」または「部分的に統一されている」と回答された方におききします。 *

それによる業務の増大などの不都合（例：研究者への指導、事務手続きの煩雑化）について詳細にお聞かせください。（自由記載）

Ⅴ. 研究時間・費用に関する課題

29. 複数の規制法令があることで、その対応のため、貴部門の運営において、費用面（ARO部門等の体制整備経費など）の負担は増大していますか？該当するものを１つ選んでください。 *

1 つだけマークしてください。

- 非常に増大している
- 増大している
- どちらとも言えない
- あまり増大していない/増大していない

30. 複数の規制法令があることで、その対応のため、貴部門の運営において、規制対応のための事務手続の煩雑化により、研究時間が割かれる（そがれる）などの影響が生じていますか？ 該当するものを１つ選んでください。 *

1 つだけマークしてください。

- 深刻な影響が生じている
- 影響が生じている
- どちらとも言えない
- あまり影響が生じていない/生じていない

31.費用面や研究時間への影響について、具体的な例や詳細をご記載ください。（自由記載） *

（補足）

本調査の目的は、臨床試験に関する日本の制度が複雑で分かりにくいという指摘（事実）を踏まえ、過剰規制とならない範囲で、薬機法、臨床研究法及び倫理指針での運用や様式について、統一化や整合性を検討するための基礎情報とすることにあります。貴部門で抱えている課題やご提言があれば、自由にご記載ください。

32.臨床研究、特に臨床試験に関する学部での教育は比較的手薄な内容となっているのが現状といえます。 *
どの学部に、どのような教育をすることが臨床研究を促進するために重要と思いますか？ご自由にご記載ください。

質問は以上になります。ご協力ありがとうございました。

このコンテンツは Google が作成または承認したものではありません。

Google フォーム

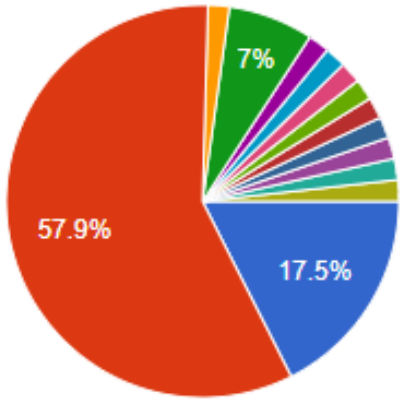
別添２

臨床規制に関するアンケート結果

Ⅰ．施設および部門の属性に関する詳細な質問

1．貴施設の種別についてお聞かせください。該当するものを１つ選んでください。

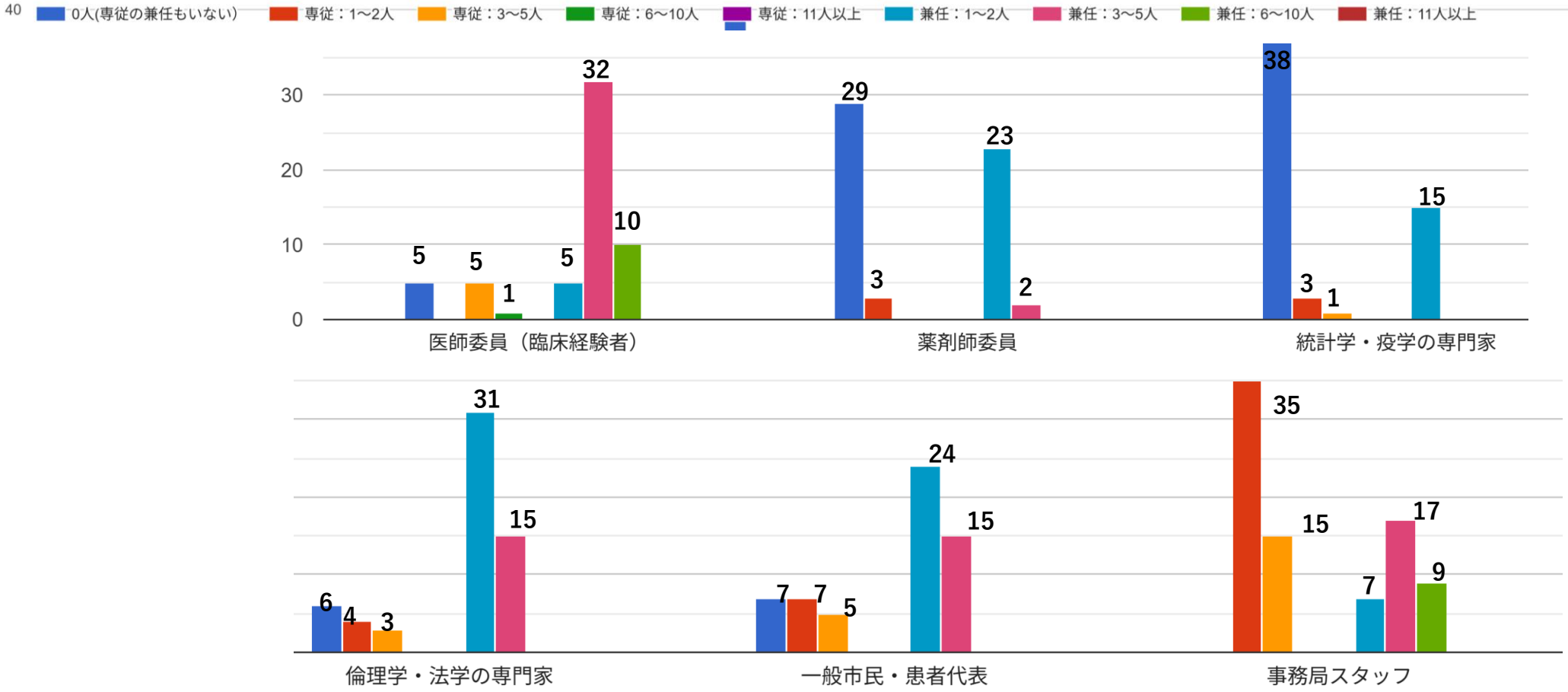
57 件の回答



1. 貴施設の種別についてお聞かせください。該当するものを１つ選んでください。	N	全体に対する%
クリニック	1	1.75%
医療法人	1	1.75%
県立病院	1	1.75%
公立病院（地域医療支援病院）	1	1.75%
公立病院（特定機能病院）	1	1.75%
国立高度専門医療研究センター（NC）またはそれに準ずる機関（臨床研究中核病院認定あり）	1	1.75%
国立高度専門医療研究センター（NC）またはそれに準ずる機関（臨床研究中核病院認定なし）	4	7.02%
大学	1	1.75%
大学病院（臨床研究中核病院認定あり）	10	17.54%
大学病院（臨床研究中核病院認定なし）	33	57.89%
地域がん診療連携拠点病院	1	1.75%
地方独立行政法人	1	1.75%
民間病院	1	1.75%

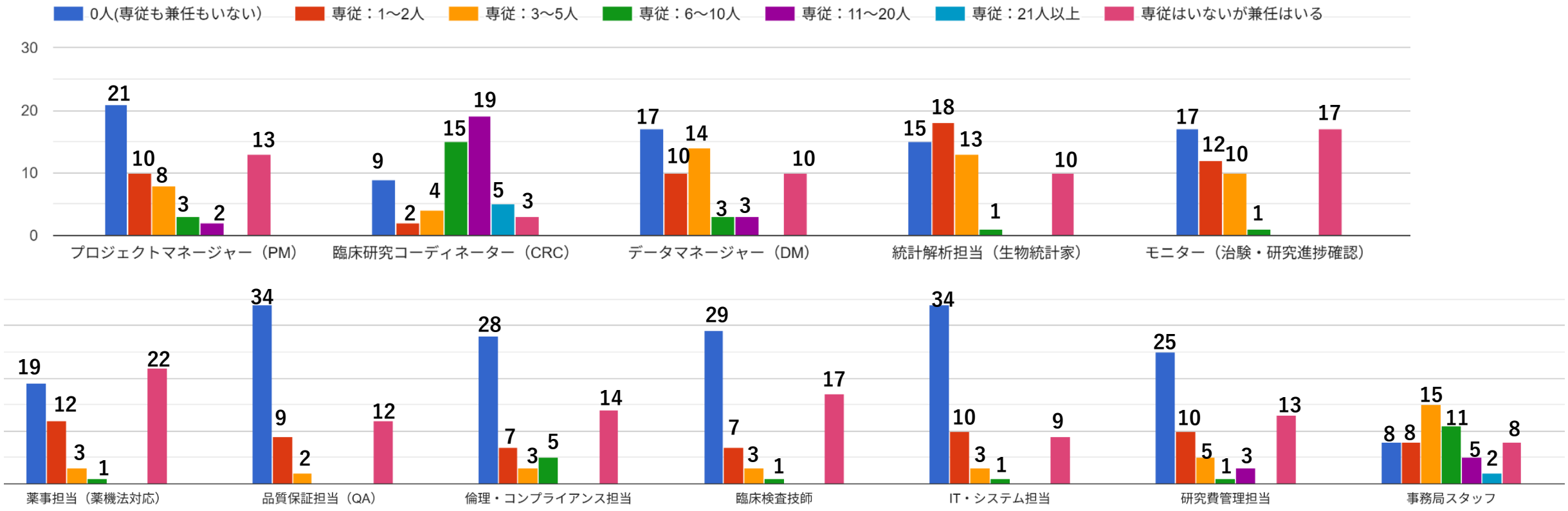
2.　貴施設のCRBにおいて働いている以下の職種について、現在の在籍人数 をお答えください。本設問では、各職種の専門性の密度を把握するため「専従」と「兼任」を分けてお伺いします。各職種・役割について該当する人数の箇所にチェックを入れてください。

※専従： その職種の業務をメインとしている場合（エフォート概ね80%以上）。
※兼任： 他の職種と兼務している、または他部署（病棟や事務局等）の業務と並行している場合。
※1名のスタッフが兼任・兼務している場合、それぞれの職種の「兼任」の該当する人数枠にチェックを入れてください。



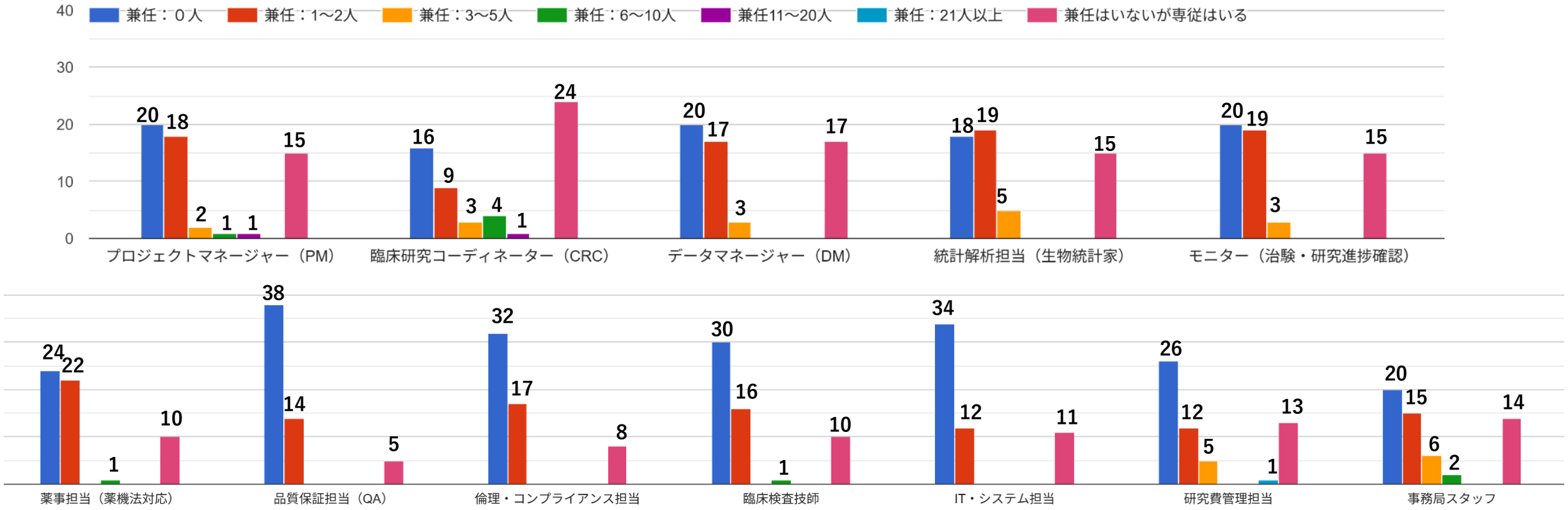
3-①.　【前半 ：専従についてお答えください】　貴施設のAROにおいて働いている以下の職種について、現在の在籍人数 をお答えください。本設問では、各職種の専門性の密度を把握するため「専従」と「兼任」を分けてお伺いします。各職種・役割について該当する人数の箇所にチェックを入れてください。

※専従： その職種の業務をメインとしている場合（エフォート概ね80%以上）。
※兼任： 他の職種と兼務している、または他部署（病棟や事務局等）の業務と並行している場合。
※1名のスタッフが兼任・兼務している場合、それぞれの職種の「兼任」の該当する人数枠にチェックを入れてください。



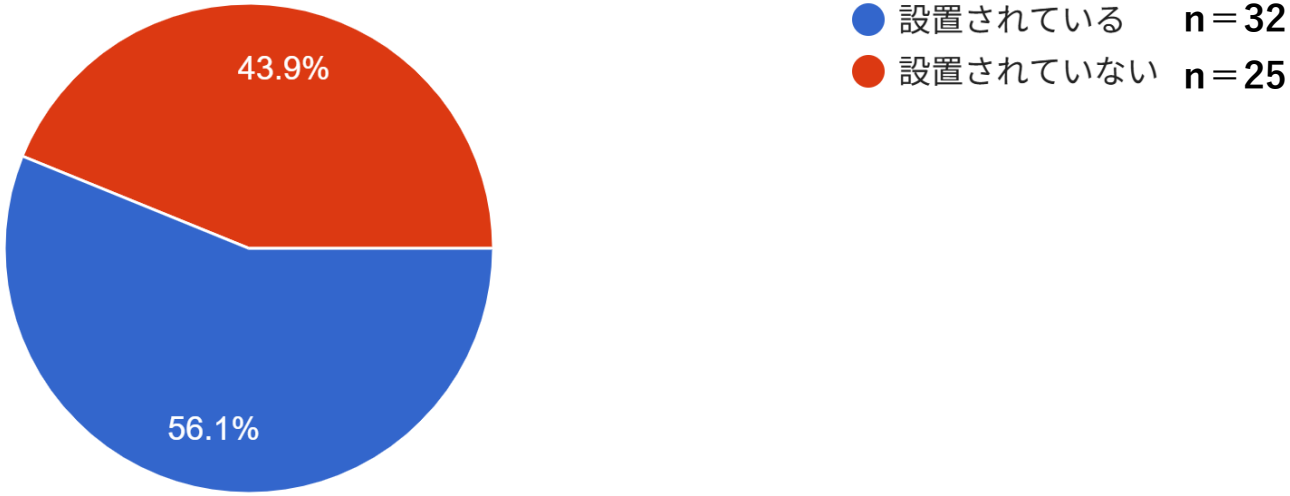
3-②.　【後半 ：兼任についてお答えください】　貴施設のAROにおいて働いている以下の職種 について、現在の在籍人数 をお答えください。本設問では、各職種の専門性の密度を把握するため「専従」と「兼任」を分けてお伺いします。各職種・役割について該当する人数の箇所にチェックを入れてください。

※専従： その職種の業務をメインとしている場合（エフォート概ね80%以上）。
※兼任： 他の職種と兼務している、または他部署（病棟や事務局等）の業務と並行している場合。
※1名のスタッフが兼任・兼務している場合、それぞれの職種の「兼任」の該当する人数枠にチェックを入れてください。



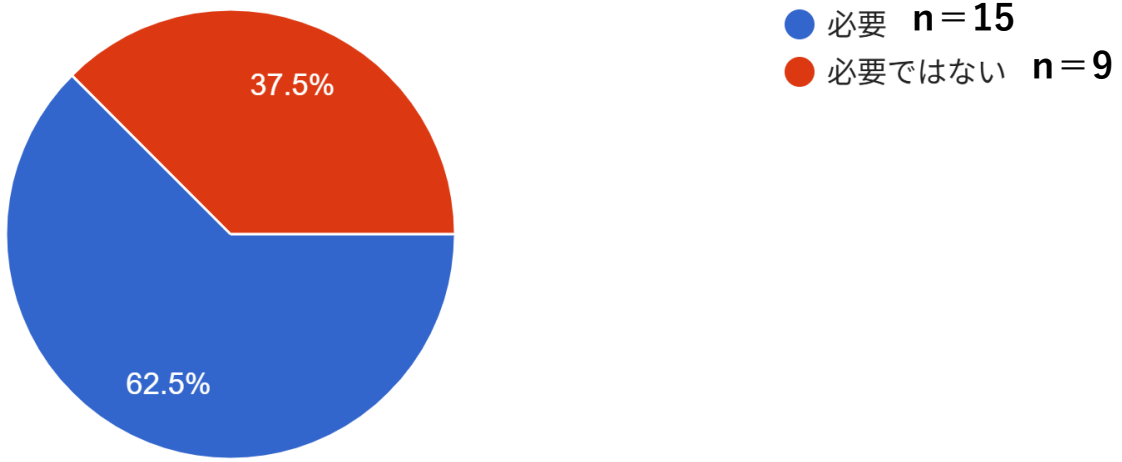
４．貴施設には、データセンターが設置されていますか。該当するものを１つ選んでください。

57 件の回答



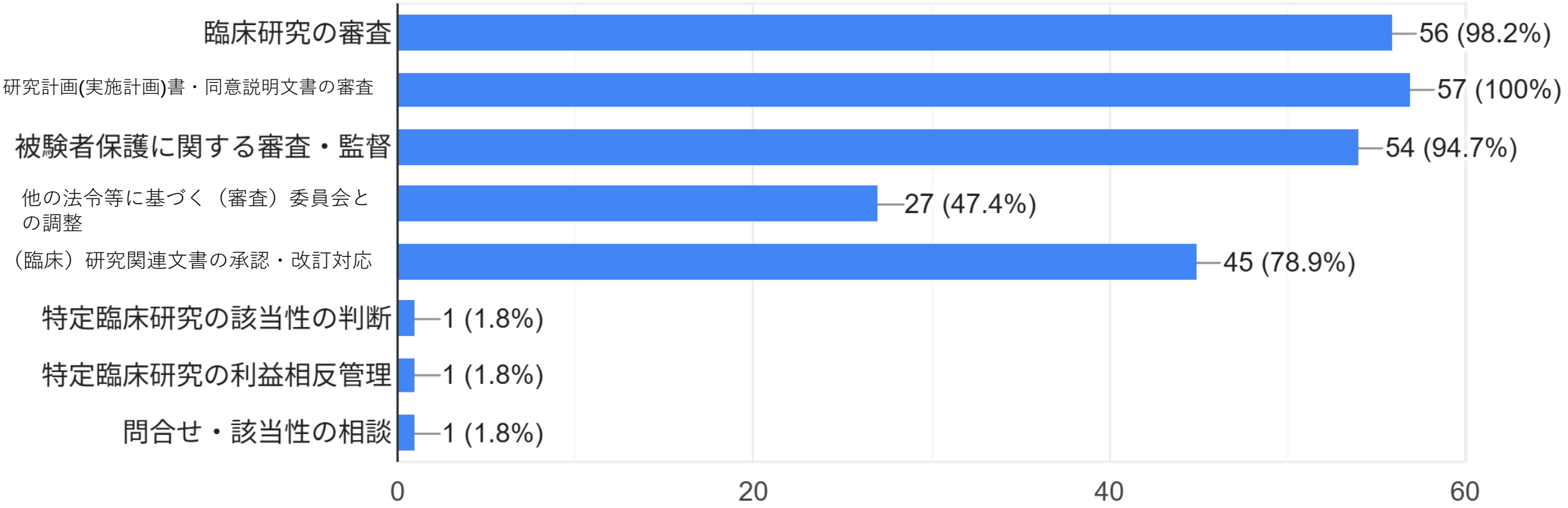
５．先程の質問で「設置されていない」を選ばれた方におききします。
データセンターは必要だと思いますか。該当するものを１つ選んでください。

24 件の回答（未回答１名）

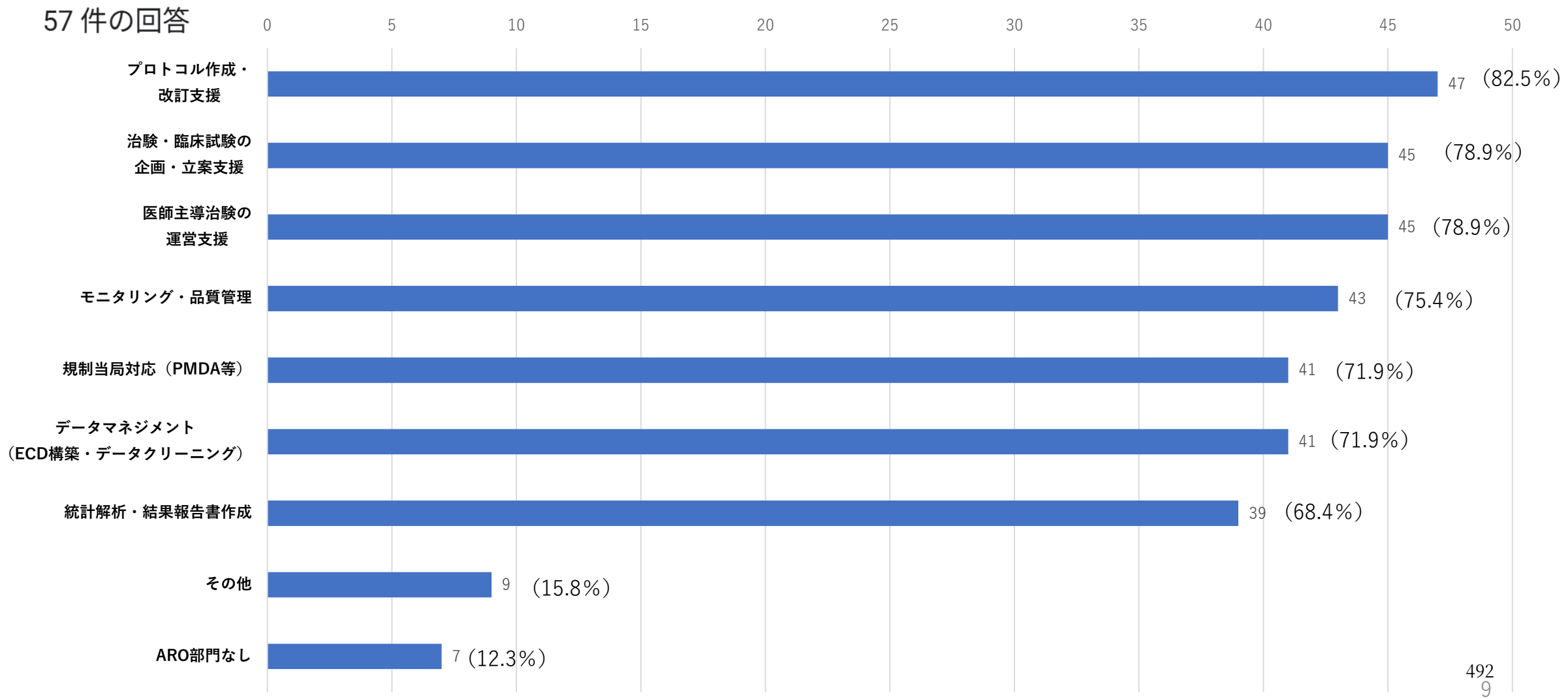


６．貴施設のCRBの主な業務内容について、該当するものを選んでください。（複数回答可）
※該当するものがない場合は「その他」を選んでください。提示以外の業務がありましたら「その他」の自由記載にお書きください。

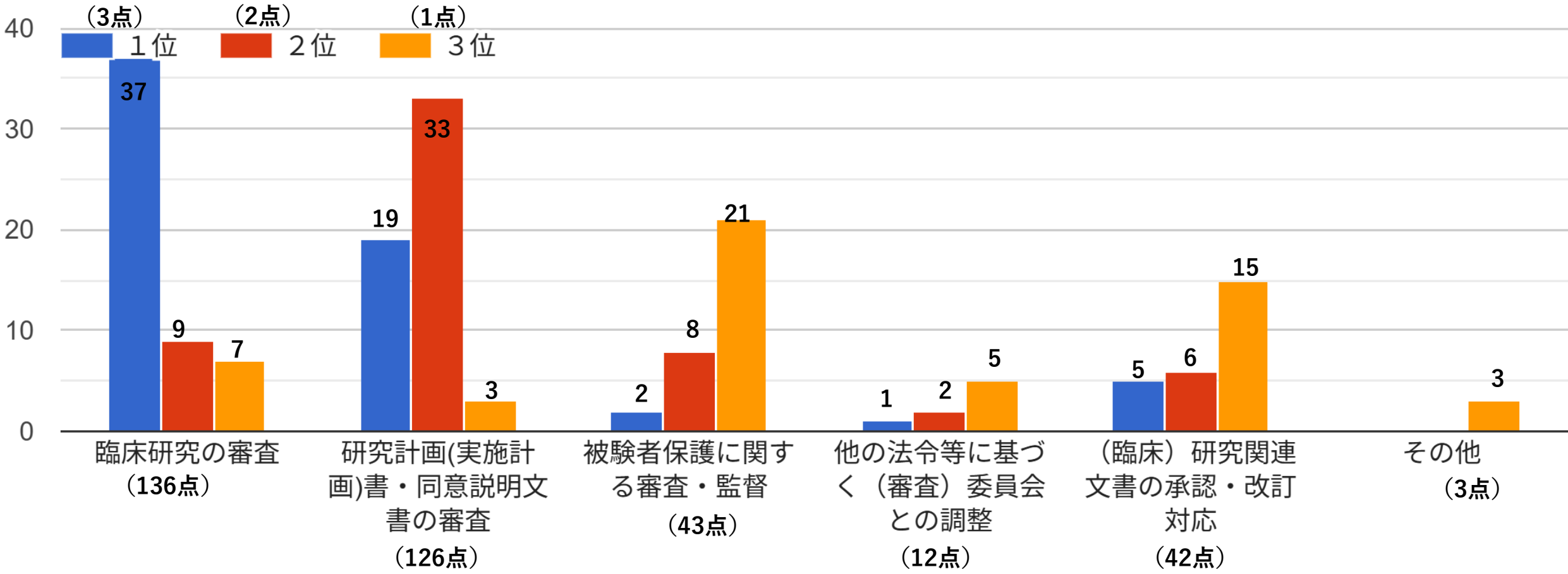
57 件の回答



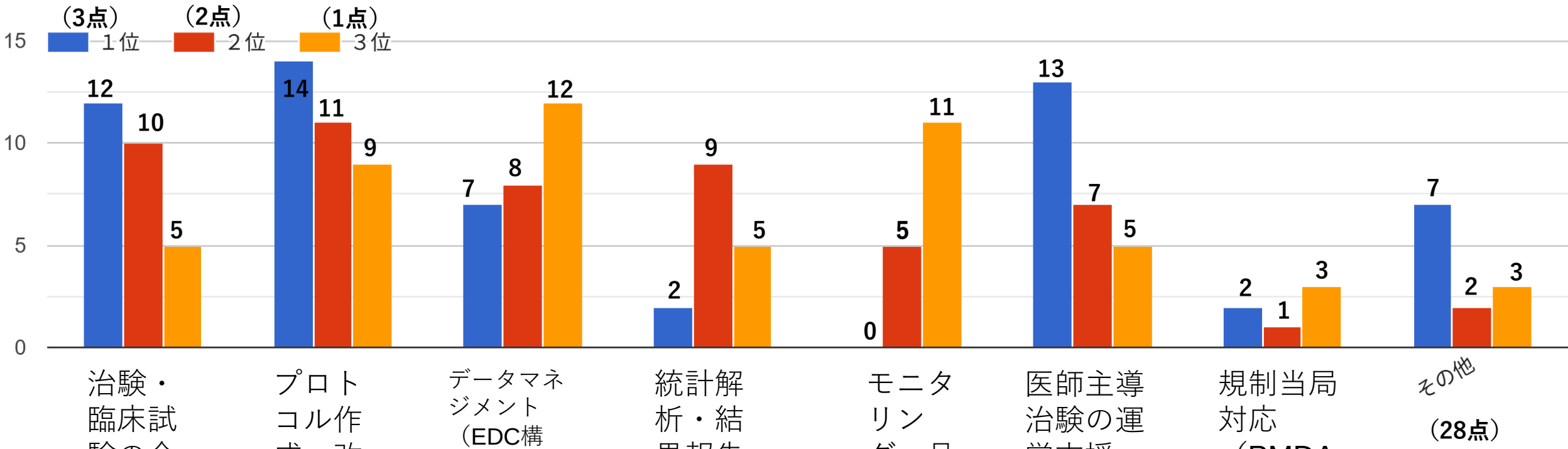
7．貴施設のAROの主な業務内容について、該当するものを選んでください。（複数回答可）
※該当するものがない場合は「その他」を選んでください。提示以外の業務がありましたら「その他」の自由記載にお書きください。



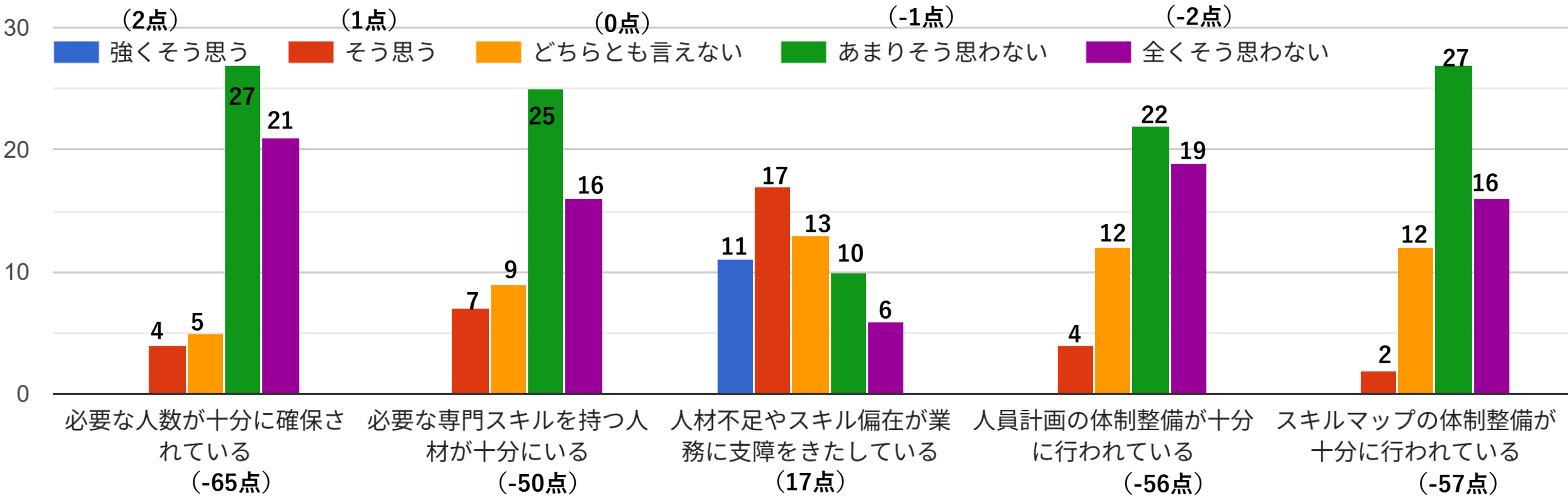
8. 貴施設の【CRB(認定臨床研究審査委員会）】の業務量について、業務量の多いものから上位３つをお選びいただき、１位、２位、３位の選択肢の順位付けをしてください。



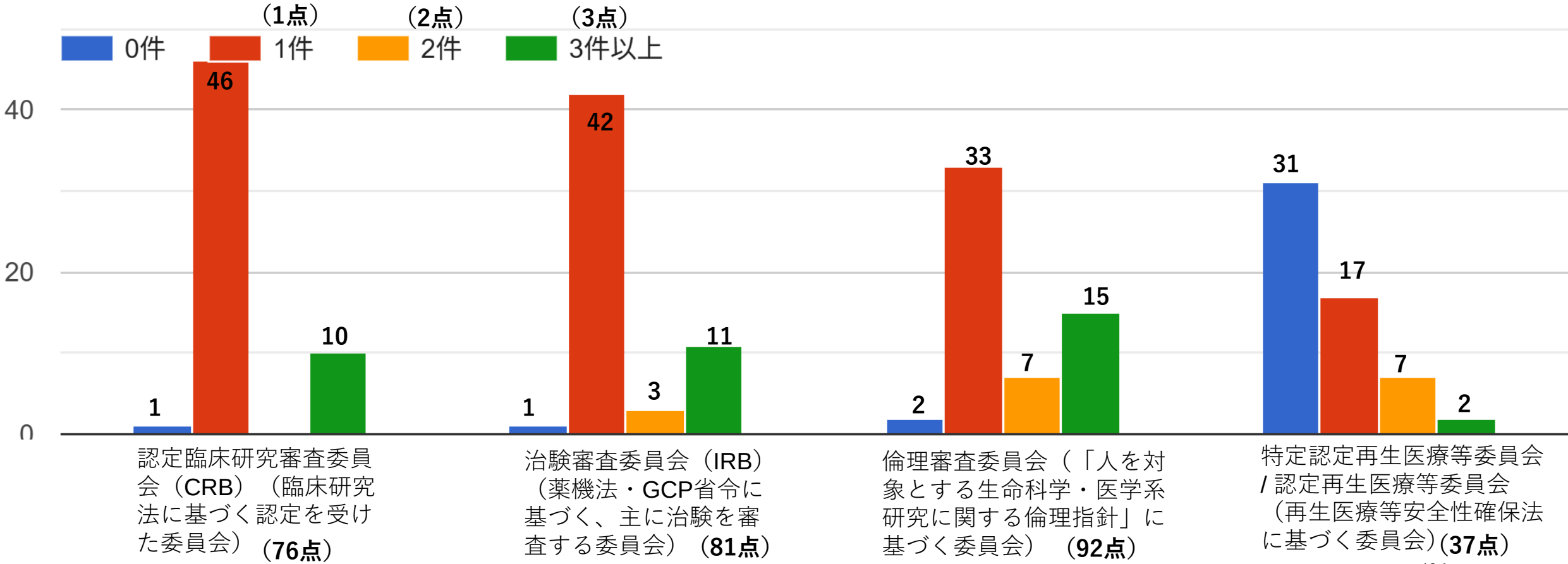
９．貴施設の【ARO(学術研究期間）】の業務量について、業務量の多いものから上位３つをお選びいただき、１位、２位、３位の選択肢の順位付けをしてください。



10. 貴部門のマンパワーの確保の状況等（人員配置、専門性の確保）についてどのように思われますか。各項目について該当するものを１つずつ選択してください。



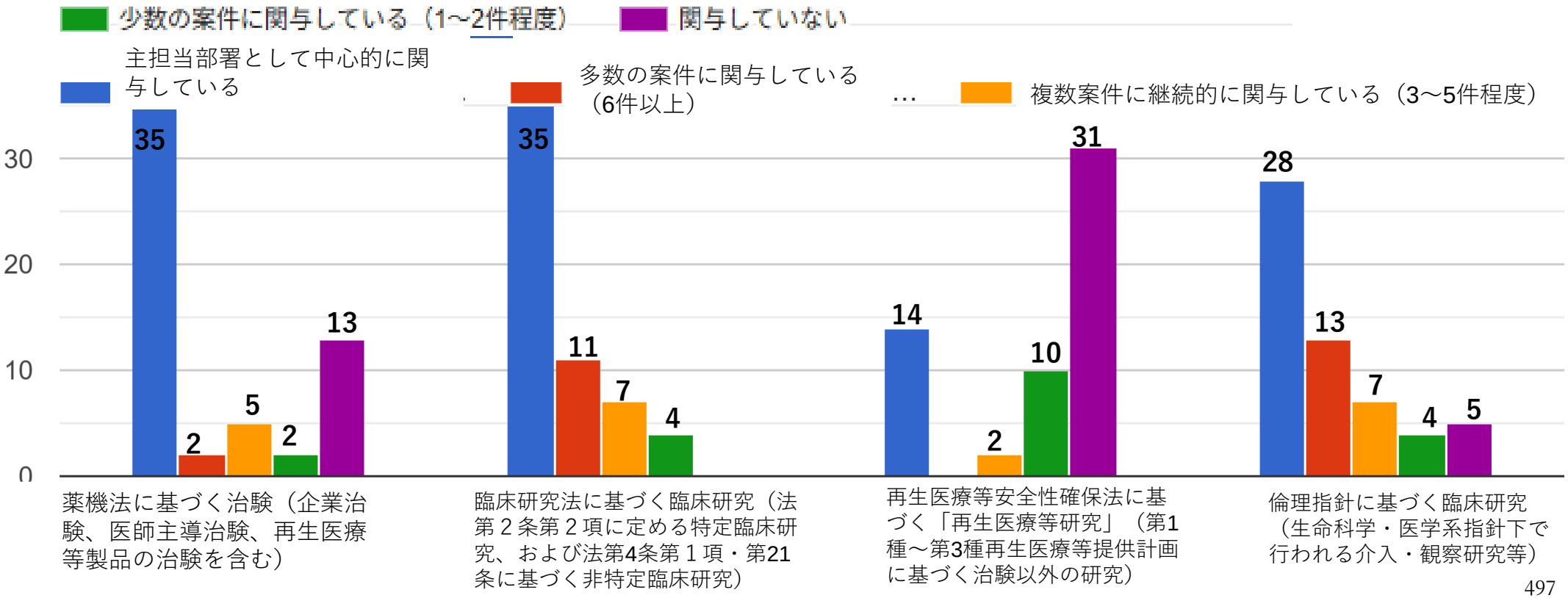
11. 貴施設において「設置・運営」している各審査委員会の件数として、該当するものを１つずつ選択してください。
※外部の委員会（受託審査のみ）を利用している場合は含めず、貴施設が設置者となっているものに限定してお答えください。



Ⅱ．関わっている研究の類型と規制の実態に関する質問

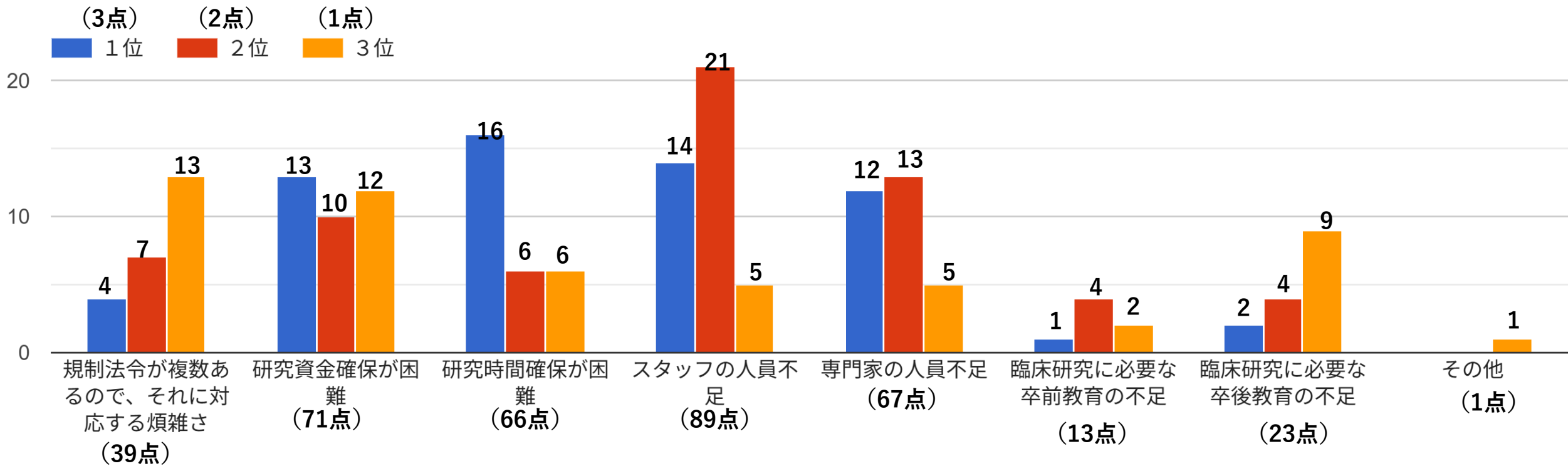
12．貴部門が現在関与（支援・運営）している研究・試験について、各規制法令の類型ごとに最も近い状況を選んでください。

※ここでの「研究・試験」には、治験、臨床研究法に基づく研究（特定・非特定）、および倫理指針に基づく研究（介入・観察研究等）、再生医療等提供計画に基づく研究など、全ての臨床的探究を含みます。

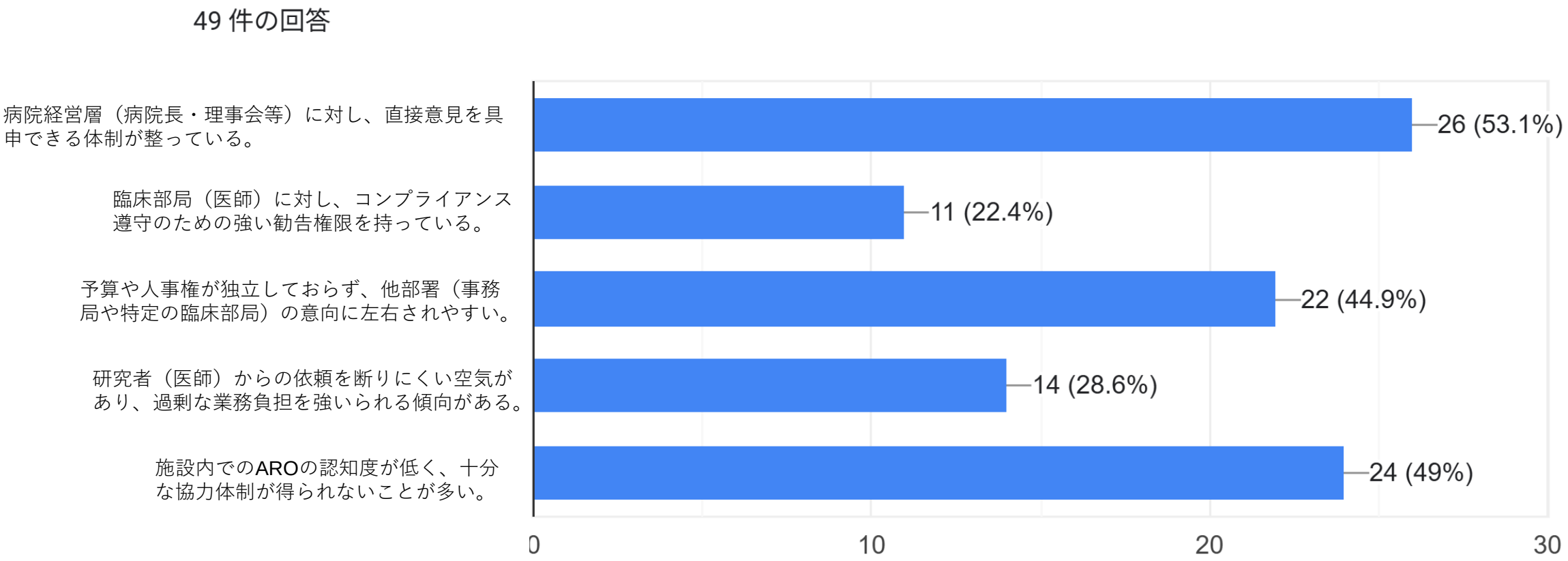


III．臨床研究の推進における具体的な課題

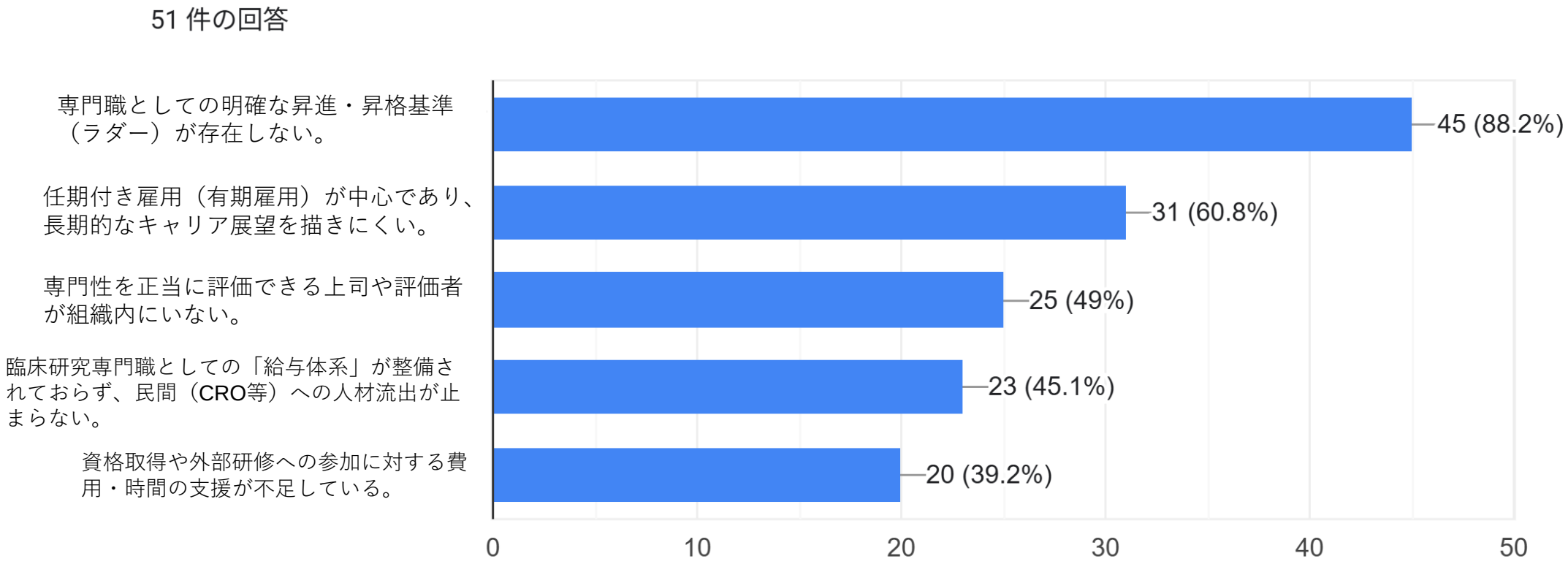
13．（治験・）臨床研究を進めるに当たって、現在どのようなものが最も支障となっているか、上位３つをお選びいただき、１位、２位、３位の選択肢の順位付けをしてください。



14. 貴施設における「ARO部門」の組織的な位置付けや権限について、現状に近いものをすべて選択してください。（複数回答可）



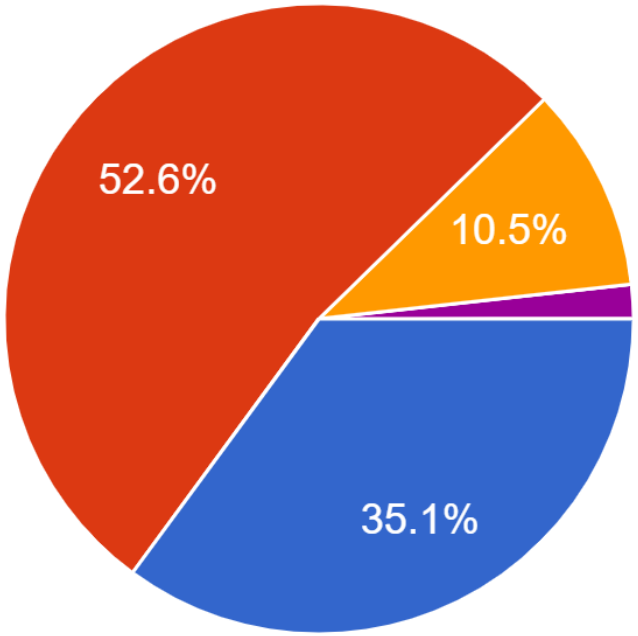
15. 貴施設のARO部門に従事する専門職（PM、DM、統計、モニター等）のキャリア形成について、課題と感じるものを選択してください。（複数回答可）



Ⅳ．法律の数の煩雑さに関する課題

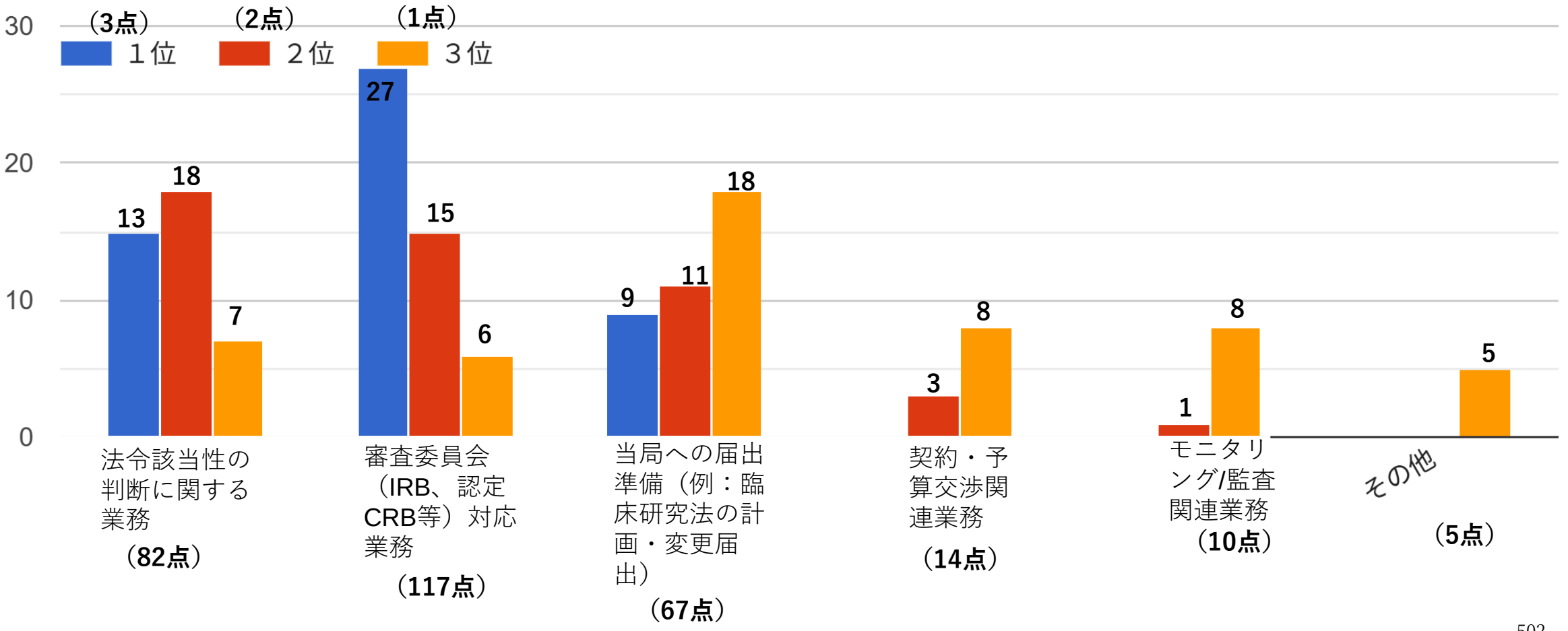
16．複数の法令に対応するため、業務量の増大が生じていると感じますか？該当するものを１つ選んでください。

57 件の回答



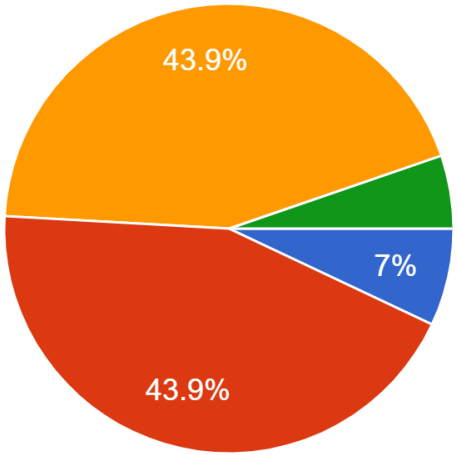
非常に増大している　n＝20
増大している　n＝30
どちらとも言えない　n＝6
あまり増大していない　n＝0
増大していない　n＝1

17. 先程の質問で、「非常に増大している」または「増大している」と回答された方におききします。具体的に、どのような業務で特に負担が増大していますか？上位３つをお選びいただき、１位、２位、３位の選択肢の順位付けをしてください。



18. 複数の規制法令があることで、研究の該当性判断に迷うなどの相談が、貴部門にどの程度寄せられますか？またそれにより業務に支障が生じていますか？該当するものを１つ選んでください。

57 件の回答



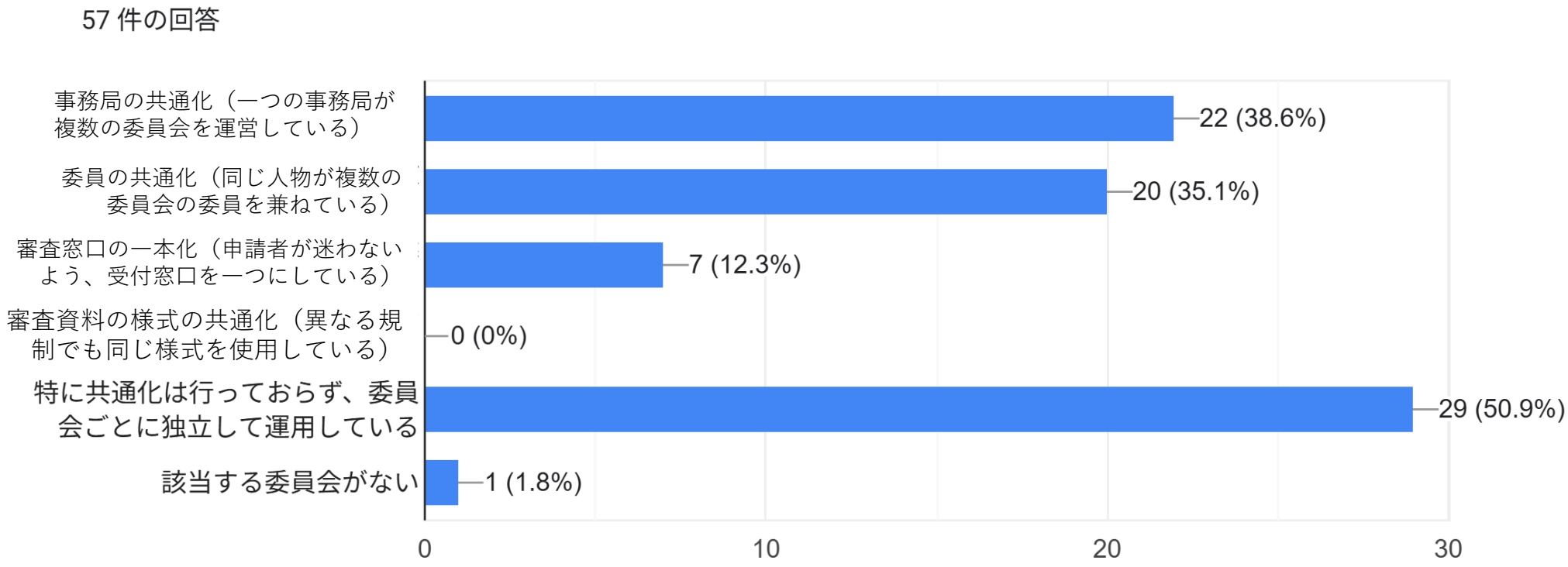
- 頻繁に寄せられ、業務に大きな支障が生じている　n＝4
- 時折寄せられ、業務に支障が生じている　n＝25
- 稀に寄せられるが、業務に大きな支障はない　n＝25
- ほとんど寄せられない　n＝3

19. 先程の質問で、「頻繁に寄せられ、業務に大きな支障が生じている」または「時折寄せられ、業務に支障が生じている」と回答された方におききします。どのような支障が生じているか、詳細をご記載ください。（自由記載）

29件の回答
回答の傾向（多い順）

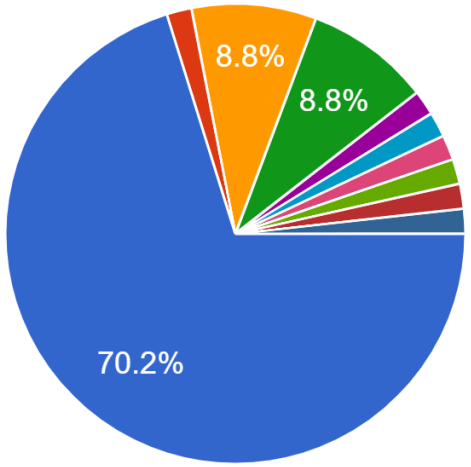
1. 該当性判断の困難さと基準の曖昧さ
・ 規制間の境界線にある案件が多く、特定臨床研究に該当するかどうかの判断に迷う。
・ 該当性判断の明確な基準がないため、都度、関連指針や通知を確認する必要がある。
・ 臨床研究法か倫理指針かの該当性、または個人情報保護法の解釈を含めた高度な判断が求められる。
2. 対応スタッフ・教員の過度なエフォート（労力）
・ 特定の担当教員が対応に追われ、時間的負担が非常に大きくなっている。
・ 研究者への制度説明や、問い合わせ内容の意図を確認する作業に多大な労力が割かれている。
・ 一定数以上の質問が寄せられ、相談対応業務が本来の業務を圧迫している。
3. 回答・調査に要する時間の長期化
・ 研究計画の確認や、複数名による確認作業に時間を要している。
・ 厚生労働省への確認や自治体との調整など、外部への照会に時間を要する。
・組織内に専門家がいないため、難しい案件の確認と回答までに時間がかかる。
4. 運営・体制上の調整コスト
・メールや電話への対応、関係者間の調整業務が煩雑である。
・倫理審査の必要性判断や、どの委員会に諮るべきかの仕分け業務が生じている。
・相談フォームを設けていても、結局は個別対応が必要となり効率化しきれていない。

貴施設における審査委員会の設置および運用状況についてお聞かせください。
20. 複数の規制法令（薬機法、臨床研究法、倫理指針等）に基づく審査委員会において、効率的な運用のための「共通化」を行っていますか？該当するものを選んでください。（複数回答可）



21. 複数の規制法令（薬機法、臨床研究法、倫理指針等）に基づく審査委員会において、申請案件がどの法令（薬機法、臨床研究法、倫理指針等）に該当するか判断が困難な場合、貴施設ではどのように判断していますか？該当するものを１つ選んでください。

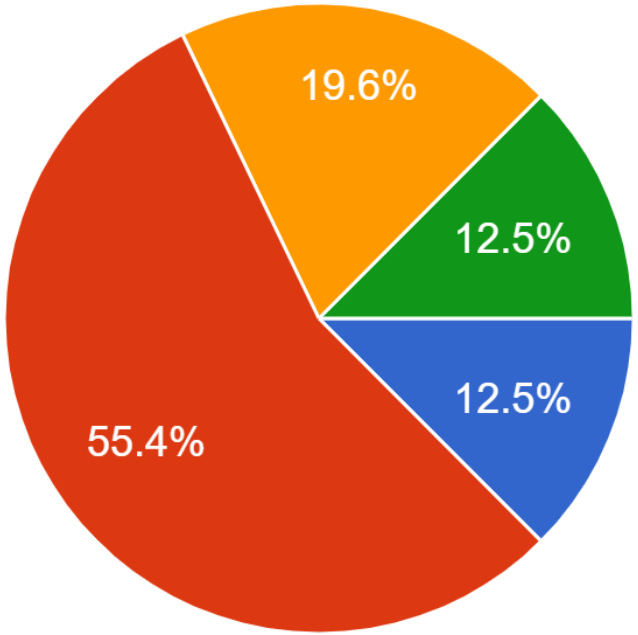
57 件の回答



- 専門部署（ARO・事務局等）による事前の該当性判断（仕分け）を行う **n＝40**
- 合同予備審査会（各委員会の代表者等による会議）で協議する **n＝1**
- 厚生労働省や外部機関に都度照会して判断する **n＝5**
- 申請者の自己判断に委ね、不適切な場合は委員会で差し戻す **n＝5**
- 申請者へ聞き取りを行いつつ、専門部署（ARO・事務局等） による事前の該当性判断対応を行っておりますが、判断に悩む場合は厚生労働省等への照会や、 委員会判断の対応を行っています。**n＝1**
- 一律、自施設代表の臨床研究法下の研究および 侵襲（軽微な侵襲は除く）を伴い、 介入を行う研究はAROの仮判断をうける **n＝1**
- 特定臨床研究の審査のみを受け入れており、明らかに特定臨床研究ではない 申請案件が来た場合は申請者に差し戻している **n＝1**
- その申請が提出された委員会で該当性を判断し，疑わしいものは該当する委員会へ確認依頼を行う **n＝1**
- 必要に応じて関係各所に照会 **n＝1**
- ARO・事務局等及び関係の委員長により事前に協議する **n＝1**

22. 今後の法整備等の状況により「法令上可能」となった場合、貴施設では複数の法制度を一つの委員会で審査・運用したいと考えますか？該当するものを１つ選んでください。

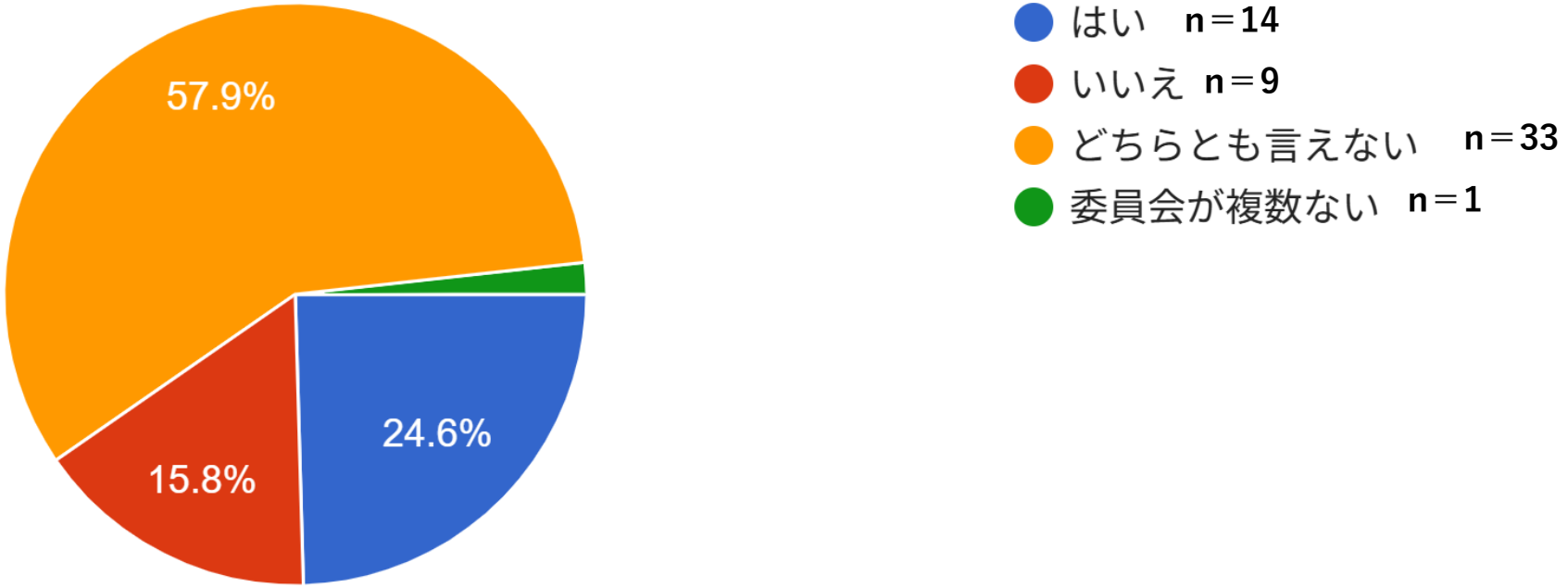
56 件の回答(未回答１名)



- 強く希望する（審査のスピードアップやリソース削減のため）n＝7
- 検討の余地がある（メリット・デメリットを精査した上で判断する）n＝31
- 希望しない（専門性が異なるため、分けたままの方が適切である）n＝11
- わからない / 特になし n＝7

23. 貴施設における審査委員会の設置および運用状況についてお聞かせください。
複数の法令に基づく委員会がそれぞれ設置されている場合、効率がよいと感じる点はありますか？該当するものを１つ選んでください。

57 件の回答



24．委員会運用について特に効率が良い、または悪いと感じる点について詳細をご記載ください。（自由記載）

57件の回答

1. 効率が良いと感じる点（メリット）

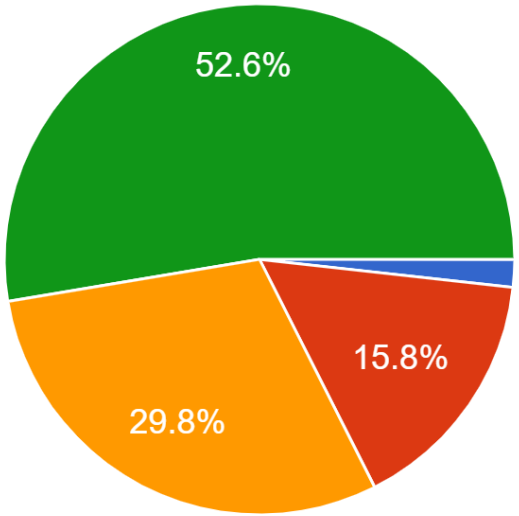
・法令ごとに審査観点が異なるため、分けたほうが専門性の高い審査ができる。
・法令遵守の観点から、それぞれの法令に基づき厳格な運営を行うことができる。
・委員会を分けることで、特定の委員会への業務負担の集中を回避できる。
・大規模病院（700床超）が複数ある法人内では、施設ごとに設置するほうが効率が良い場合がある。
・各委員会を独立運用することで、それぞれの法令に従ったスムーズな運営が可能になる。
・複数の委員会を1日で（同日に）実施することで効率を上げている事例がある。

2. 効率が悪いと感じる点（デメリット）

・複数の委員会の担当を兼ねるため、多くの職員を委員に配置しなければならない。
・独立して運営・開催することで、時間、人材リソース、費用の無駄が生じている。
・適応法によって用語や書式が少しずつ異なり、管理が困難である。
・何度も同じ申請に関して決裁を回す必要があり、効率が悪い。
・書式等が統一されていないことが、事務作業の負担となっている。
・法令ごとに規定が異なる場合に、どちらの基準を優先すべきか対応に迷う。
・委員会での議論が「本質以外（形式的な差異など）」に広がってしまうことがある。
・法令ごとに事務局が分かれている、あるいは専門的な判断を事務局が個別に行わなければならず、負担が大きい。
・システムが統一されていない（治験審査用のみ等）ことが効率を下げている。

25. 規制の適合（コンプライアンス）のために、試験デザインの変更（特に研究の質を落とすようなもの）や試験そのものの中止に至った事例はどの程度ありますか？該当するものを１つ選んでください。

57 件の回答



- 頻繁にある（デザイン変更、中止が複数回発生） **n＝1**
- 時折ある（デザイン変更が数回発生、中止が稀にある） **n＝9**
- 稀にある（デザイン変更がごく稀にある） **n＝17**
- ほとんどない/全くない **n＝30**

26. 先程の質問で、「頻繁にある」、「時折ある」または「稀にある」と回答された方におききします。具体的な例を差し支えない範囲でご記載ください。（自由記載）

27件の回答
回答の傾向（多い順）

1. 介入研究から観察研究への変更（ダウングレード）
・ 特定臨床研究に該当しないように、介入研究を観察研究に変更した。
・ 倫理指針の研究として申請したが、法規制を避けるためにデザインを変更した。
・ 介入試験を諦め、先に観察研究を実施することにした。

2. 規制回避を目的とした基準・デザインの変更
・ 特定臨床研究にならないように、選択除外基準や研究デザインを変更した。
・ 規制に沿うように研究コンセプトそのものを変更せざるを得なかった。
・ 検査の追加により特定臨床研究に該当することを避けるため、基準を変更した（結果として研究の質に影響）。

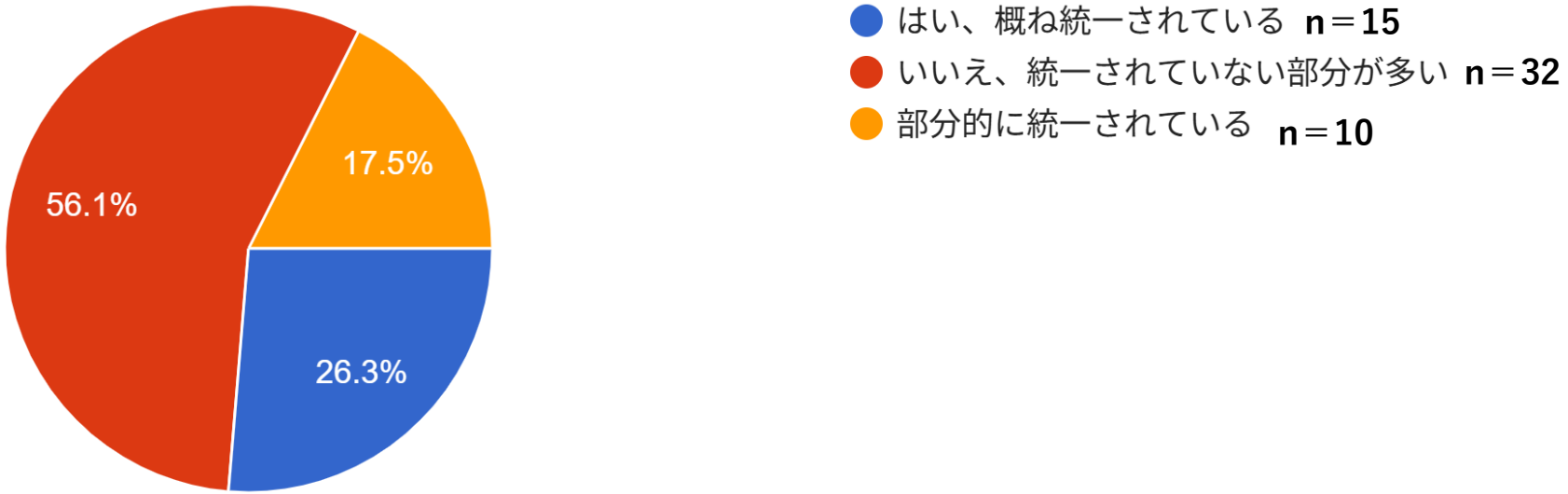
3. 研究の小規模化・多施設共同の断念
・ 多機関共同研究として計画していたものを、事務手続きの煩雑さを考慮して単施設研究に変更した。

4. 資金不足やコスト増による断念・中止
・ 臨床研究法下での実施は資金不足のため、倫理指針下へデザインを変更した。
・ 高額な対照薬を要する二重盲検試験において、企業からの提供が得られず断念したケース。
・ 減量開始コホートを追加すると特定臨床研究に該当し、リソースが足りなくなるため断念した。

5. 安全性・リスク判断による変更
・ 研究対象者への負担やリスクが大きいと判断され、デザインを変更した。
・ 安全性・有効性の観点から開発依頼者が変更を判断した。

27. 各制度（薬機法、臨床研究法、再生法、倫理指針等）において、申請書類や報告書類の様式について、施設内独自の様式・書式などがある場合、その様式・書式は貴施設独自の運用として可能な限り統一（共通化）していますか？該当するものを１つ選んでください。

57 件の回答



28. 先程の質問で、「いいえ、統一されていない部分が多い」または「部分的に統一されている」と回答された方におききします。
それによる業務の増大などの不都合（例：研究者への指導、事務手続きの煩雑化）について詳細にお聞かせください。（自由記載）

40件の回答
回答の傾向（多い順）

1. 事務手続きの煩雑化と事務局の負担増
- 事務手続きそのものが非常に煩雑になっている。
- 適切な様式や書式の案内が大変であり、研究者への案内自体が煩雑となる。
- 制度ごとに様式・書式が異なるため、管理が困難である。
- 同じ申請に関して何度も決裁を回す必要があり、効率が悪い。

2. 研究者への指導・説明コストの増大
- 法令ごとに研究者への説明・指導が必要になり、エフォートを要する。
- 使用する書式についての問い合わせが増え、対応に追われる。
- 適切な運用へ誘導することが困難であり、研究者の理解が追いつかない部分がある。

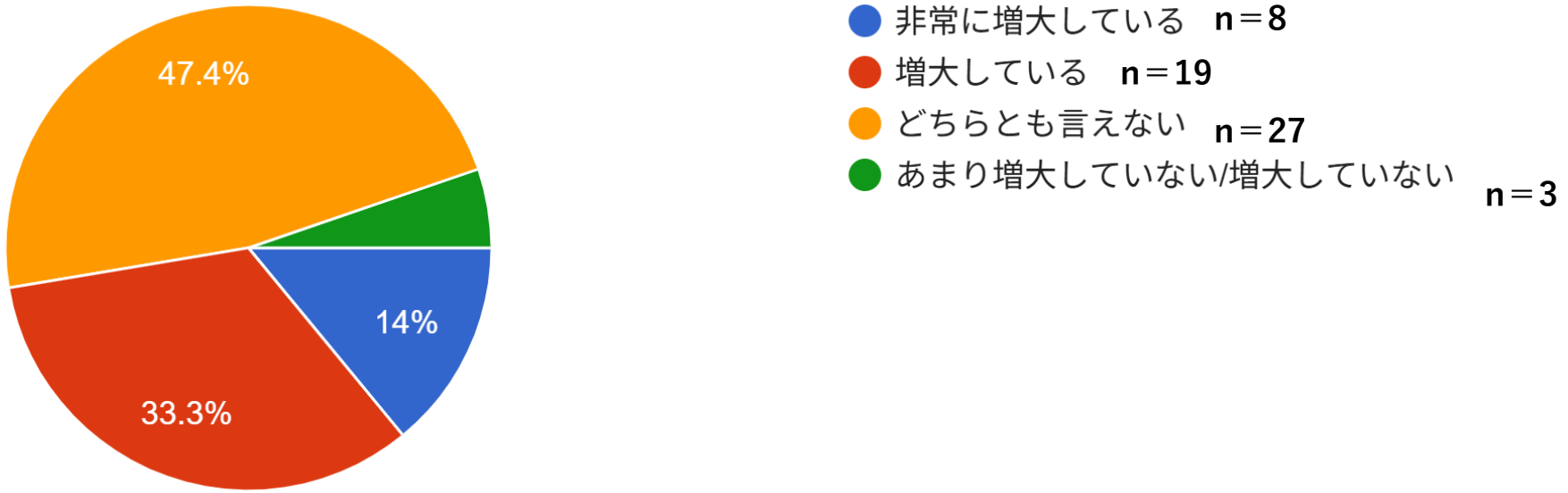
3. 研究者側の混乱とミス（書類の取り違え）
- 申請者が書式を混同して提出したり、別の委員会の書類と取り違えることがある。
- 研究者がどの書類を作成すべきか分からず、書類作成に多大な手間がかかっている。
- 申請の途中で別制度の様式にのせかえる必要が生じるなど、二度手間が発生している。

4. 共通化・統一の限界（制度上の障壁）
- 法令に対応するために共通化できないものがあり、各制度で利益相反の書式などが異なる。
- 規制ごとに用語が異なるため、用語や書式を完全に統一することが不可能である。

Ⅴ．研究時間・費用に関する課題

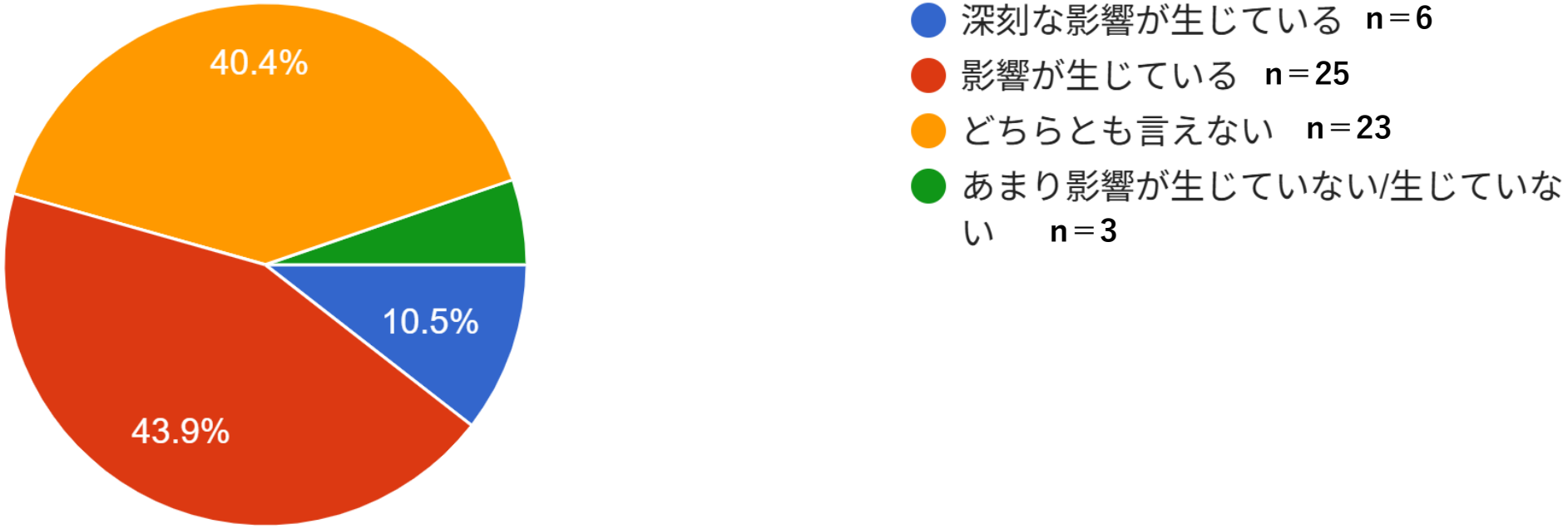
29．複数の規制法令があることで、その対応のため、貴部門の運営において、費用面（ARO部門等の体制整備経費など）の負担は増大していますか？該当するものを１つ選んでください。

57 件の回答



30. 複数の規制法令があることで、その対応のため、貴部門の運営において規制対応のための事務手続の煩雑化により、研究時間が割かれる（そがれる）などの影響が生じていますか？該当するものを１つ選んでください。

57 件の回答



31. 費用面や研究時間への影響について、具体的な例や詳細をご記載ください。（自由記載）

57件の回答

回答の傾向（多い順）

1. 事務手続き・審査の停滞とリードタイムの長期化

・ チェック項目が多く審査に時間を要するほか、特定臨床研究の該当性判断に時間がかかる。
・ 厚生労働省や地方厚生局、自治体などへの確認作業に時間を要し、回答待ちが発生する。
・ 想定していた法に則して作成した計画書が、後に別の規制対象と判断され、作り直しになるなど事務手続きに時間を要する。

2. 人材リソースの浪費と特定個人への負担集中

・ 特定の担当教員や専門スタッフが対応に追われ、精神的・時間的負担が非常に大きい。
・ 専門家がいない組織では、難しい案件の確認や研究者への回答に膨大な時間を費やす。
・ 判断の不確実性を補うため、複数名での確認が必要になり、スタッフのエフォートが削られる。

3. 研究者への指導・説明コストの増大

・ 法令ごとに研究者へ説明・指導を行う必要があり、事務手続きの煩雑化を招いている。
・ どの書類を作成すべきか、どの様式を使うべきかといった初歩的な相談への対応に追われる。

4. 費用・資金面への直接的な影響

・ 特定臨床研究として実施する場合、監査費用や対照薬の購入、認定臨床研究審査委員会（CRB）への審査料など、多額の費用が必要となる。
・ 研究費用を工面することが困難で、本来やりたい研究デザインを断念したり、観察研究にダウングレードしたりする事例がある。

5. 制度の統一化・一元化への提言（不都合の背景）

・ 治験、特定臨床研究、倫理指針でシステムを一本化できないことが、申請フォームや事務局のカバー範囲に悪影響を与えている。
・ 日本の独自規制が複雑すぎるため、国際共同試験の実施において障害となっている。
・ 規制ごとに「介入」や「実施期間」の定義が異なることが、現場の混乱を招いている。

32. 臨床研究、特に臨床試験に関する学部での教育は比較的手薄な内容となっているのが現状と言えます。どの学部に、どのような教育をすることが臨床研究を促進するために重要と思いますか？ご自由にご記載ください。

57件の回答

回答の傾向（多い順）

1. 全ての医療系学部（医・歯・薬・看護・保健等）への共通教育

・ 医学部・歯学部・薬学部・看護学部など、医歯薬保健すべての学部において基礎的な内容を教育すべきである。
・ 医師だけでなく、薬剤師、看護師、臨床検査技師、作業療法士などコメディカルの意識向上が重要である。
・ 臨床研究の基礎知識や法規制、倫理指針について、医療系の学部に対して共通の教育が必要である。

2. 医学部における教育の系統立て・強化

・ 医学部に系統立てた教育を導入すべきである。
・ 基礎・臨床実習前の医学部5年生や、早い段階からのゼミの設置が重要である。
・ 専門家による実践的な臨床試験教育や、研究計画の立案（計画書の書き方）についての教育が必要である。

3. 研究倫理・被験者保護の教育

・ 医療系学部への研究倫理等の教育、被験者保護の重要性についての教育が必要である。
・ 学生が実際に当事者となったときに「自分ごと」として実感できるような教育が必要である。

4. 工学部や生命科学系など、非医療系学部への拡大

・ 医工連携などの観点から、工学部や生命科学系の学部でも研究開発・管理についての教育が必要である。
・ 研究者となる可能性のあるすべての学部を対象にすべきである。

5. 教育手法やカリキュラムへの提言

・ 研究に関する研修を必須とすべきである。
・ 中核病院が学部学生に向けたeラーニングを提供することなどが有効である。
・ 研究を促進するためには、患者・市民参画（PPI）の観点からの教育も重要である。

Laws and Regulations for Clinical Studies of Drugs in Japan

Date of preparation: February 20, 2026

Chapter 1: Regulations pertaining to clinical studies of drugs in Japan

1. Hierarchy of the laws and regulations

1-1. Legal system

The legal system in Japan has a hierarchical structure according to the potency. The constitution is the supreme law in Japan, and all other laws and orders must follow the constitution. Below these, laws established by the Diet follow, and basic rules to be applied to the whole nation are established. To concretely operate the laws, cabinet orders are established. Below them, ministerial ordinances established by the ministers of individual ministries and agencies are positioned. Ministerial ordinances further details matters stipulated by laws and cabinet orders to stipulate procedures and standards necessary for practical operations.

Below these laws and ordinances, there are notices, notifications, and guidelines issued by administrative agencies. Although they are generally not legally binding, they play an important role in practice and supplement the interpretation and application of laws and ordinances. Furthermore, there are municipal Ordinances and regulations established by municipal governments, and they apply to regions within the scope of national laws and ordinances. As described above, the Japanese legal system forms a pyramid structure in the following order: Constitution, Laws, Cabinet Orders, Ministerial Ordinances, Notices/Notifications/Guidelines, and Municipal Ordinances and Regulations. Contents against the higher laws and regulations become invalidated. This hierarchical structure preserves consistency and order of the laws.

Only laws, cabinet orders, ministerial ordinances, guidance, and notifications issued by regulatory authorities (Ministry of Health, Labour and Welfare and Pharmaceuticals and Medical Devices Agency [PMDA]) are subject to this survey. Documents prepared by parties other than the regulatory authorities, such as academic society guidelines and voluntary standards of industry organizations, are not subject to this survey.

1-2. Regulatory authorities

The outline of the regulatory authorities in Japan is as follows:

Ministry of Health, Labour and Welfare:

It is one of the central ministries and agencies of the Japanese government, and is responsible for the formulation and implementation of policies in a wide range of areas such as medical care, public health, labor, and welfare. In the pharmaceutical regulations, individual divisions and bureaus, mainly Pharmaceutical Safety Bureau, are responsible for designing systems based on the Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (PMD Act), issuing administrative notifications, and making final decisions on approval, etc., and take the final responsibility for regulations on drugs, etc. in Japan. In the areas pertaining to clinical studies, the divisions and bureaus in charge of promotion of clinical trials and researches,

improvement of clinical trial environments, and R & D policies are responsible for development of the systems and policies. Based on these roles, the Ministry of Health, Labour and Welfare is positioned as an administrative body that forms the basis of the clinical trial system in Japan and supervises the direction of regulations and the final administrative judgment.

PMDA:
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) is an expert organization responsible for scientific review, safety measures, and adverse health effects relief for drugs, medical devices, and regenerative medicine products according to the PMD Act and the measures of the Ministry of Health, Labour and Welfare. PMDA receives clinical trial notifications and reports on adverse drug reactions/malfunctions that occurred during clinical trials and reports to the Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW). In addition, it provides consultation support before the start of clinical trials and conducts scientific review before regulatory reviews. Furthermore, as a core technical agency that conducts regulatory reviews, PMDA provides the basis for the evaluation of clinical study data, establishment of appropriate indications and usage, and determination of safety measures. In this way, PMDA plays a role to support the final judgment of the Ministry of Health, Labour and Welfare as a specialized agency responsible for scientific evaluation based on clinical trial data.

2. Regulations applied to clinical studies of drugs

"Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (PMD Act)" is the highest regulation among the laws and regulations related to clinical studies in Japan. Under the PMD Act, cabinet orders stipulated by the Cabinet supplement the details of the operation. Ministerial ordinances stipulated by the Ministry of Health, Labour and Welfare are positioned under them. Regulations applicable to clinical studies of drugs and their overview are as follows:

Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (Act No. 145, 1960) (Latest revision: Issued on May 21, 2025):
This is a basic law to ensure the quality, efficacy, and safety of drugs, medical devices, and regenerative medicine products in Japan. This Act is to establish consistent regulatory frameworks from the research stage to the post-marketing stage, including product approval system, authorization of manufacturers, standards for conducting clinical studies, and post-marketing safety measures. For clinical studies, it stipulates rules related to clinical trials of drugs (in compliance with ministerial ordinance on GCP for drugs) that are conducted under the regulations to ensure the scientific nature, ethics, and protection of subjects. Hereinafter, it is referred to as the PMD Act.

Clinical Trials Act (Act No. 16, 2017) (Latest revision: Issued on February 28, 2025, enforced on May 31, 2025):
This Act was established to ensure transparency, ethics, and safety and manage conflict of interest in "clinical trials" other than clinical trials of drugs. Especially, in clinical trials of specified drugs, etc.(specified clinical researches), review by Certified Review Board, notification of research plans, monitoring/audit, and appropriate management of information on conflict of interest are obligatory

are mandatory. It also stipulates prevention of wrongful clinical trials and mandatory information disclosure to systematically support the highly reliable clinical trials.

Act on the Safety of Regenerative Medicine (Act No. 85, 2013) (Latest version: Issued on June 14, 2024, enforced on May 31, 2025):
The Act is to establish a framework for safe provision of regenerative medicine, etc. (cell-processed products, cell therapy, gene therapy, etc.) to stipulate the risk-based classification system, notification of provision plans, reviews, permission/management standards for cell processing facilities, etc. In addition, it is intended to establish compatibility between safety of subjects and patients and technical development in regenerative medicine technologies in the clinical trial stage, by requiring appropriate safety management and ethical review and imposing regulations according to risks even in pre-marketing researches.

Cabinet Order (enforcement order based on the PMD Act):
A cabinet order is to establish details and scope of application of matters stipulated by the law according to the PMD Act. It specifies details necessary for operation of law such as clinical trial system, drug classification, approval system, and post-marketing safety measures and plays a role to guarantee the effectiveness of the PMD Act.

Ministerial Ordinance on Good Clinical Practice (GCP) for Drugs (Ministry of Health and Welfare Ordinance No. 28, 1997) (Latest revision: Enforced April 1, 2025):
The ministerial ordinance is to stipulate ethical and scientific standards to be observed when conducting clinical trials (clinical studies of drugs). It clarifies the roles and procedures of the investigator, sponsor (pharmaceutical company), institutional review board (IRB), etc. in order to protect the human rights and safety of subjects and secure the scientific validity of clinical trials and reliability of their data. It specifies matters necessary for the operation in Japan based on the international concept of ICH-GCP.

Guidance and notifications by MHLW and PMDA:
These are to supplement the interpretation and operation of the PMD Act and the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs, etc., and show specific guidelines and precautions at the practical level. It plays a role to enhance the quality and safety of clinical trials by providing practical judgment criteria that reflect the latest scientific knowledge and international trends in a wide range of fields such as planning and implementation of clinical trials, data handling, handling of electronic systems, reporting of adverse events, and post-marketing safety measures.

ICH Guidelines (international guidelines):
The guidelines are Internationally harmonized ethical and scientific standards for pharmaceutical development, developed jointly by the regulatory authorities and the pharmaceutical industries in Japan, the US and the EU. They are provided for comprehensive requirements for clinical trial design, monitoring, quality management, document management, IRB review, etc. with a focus on the protection of subjects and assurance of data reliability. The ministerial ordinance on GCP for drugs in Japan is also based on ICH E6 (GCP), and they serve as an essential guide for international harmonization of drug development requirements.

3. Classification for consideration of applicable regulations

When conducting clinical trials of drugs involving intervention in Japan, various categories may be included to consider their applicable regulations and guidance. The uniform definition of "intervention" in clinical trials is not established by laws and regulations. However, in "Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects" (hereinafter referred to as the "Ethical Guidelines"), "intervention" is defined as an act of intentionally controlling factors that may affect human health for research purposes. Hereinafter, based on this, applicable regulations are to be organized.

3-1. Regulations applied to clinical trials intended for the application for marketing approval

A clinical study (clinical trial) intended for marketing approval application is conducted according to on the PMD Act and Ministerial Ordinance on GCP for Drugs in Japan. The PMD Act stipulates legal requirements for obtaining marketing approval for drugs, and a sponsor is obliged to submit a clinical trial notification to the Ministry of Health, Labour and Welfare (Article 80-2). Control and accountability of investigational product (Article 80-2, Paragraph 1), selection of investigators (Article 80-2, Paragraph 1), and assurance of study safety (Article 68) are legally required, and administrative measures or criminal punishment may be imposed when these regulations are violated (Article 72, Article 75, and Article 83 to Article 91).

The Ministerial Ordinance on GCP for Drugs sets forth detailed standards to ensure the quality and reliability of clinical trials. The sponsor is obliged to conduct monitoring and audit (Article 3 of the ministerial ordinance on GCP). The investigator is obliged to obtain informed consent from subjects (Article 4 of the ministerial ordinance on GCP), prepare case report forms (CRFs) (Article 26 of the ministerial ordinance on GCP), and appropriately store records (Article 28 of the ministerial ordinance on GCP). Prior review by the ethical review board is mandatory (Article 5 of the ministerial ordinance on GCP), and the records after completion of the clinical trial must be retained for 5 years, in principle (Article 28 of the ministerial ordinance on GCP). These regulations are essential to ensure the scientific validity and ethics of the data to be used in the application for marketing approval.

"Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects" apply to all researches in human subject to be conducted in Japan. However, researches within the scope of other laws and guidelines are not covered. Specifically, clinical trials according to the PMD Act (clinical studies for the purpose of application for marketing approval) are not directly applicable to the ethical guidelines because they are subject to the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs.

3-2. Regulations applied to clinical trials that are not intended for the application for marketing approval

Clinical studies not intended for the application for marketing approval are subject to the Clinical Trials Act (Articles 2, 4, 6, 9, and 12) and the Ethical Guidelines. The Clinical Trials Act was established to ensure the transparency and reliability of clinical trials in drugs, and submission of the clinical trial plan is required in those that fall under specified clinical researches (Article 2, Paragraph 3: Clinical trials involving funding from company and use unapproved drugs or off-label

use) (Article 4). Furthermore, management of conflict of interest (Article 6), implementation of monitoring and audit (Article 9), and disclosure of clinical trial plan (Article 4) are mandated. In case of violation, criminal punishment or administrative measures may be imposed (Article 12).

3-3. Laws and regulations applied to new modalities

The laws and regulations applied to clinical trials in new modalities (nucleic acid drugs, gene therapy, cell-based therapy, etc.) differ depending on whether the clinical trial is intended for marketing approval application or not, rather than the product type itself. When the trial is intended for marketing approval application, it is positioned as a clinical trial, and the PMD Act and the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs are applied. On the other hand, if the study is conducted as a clinical trial that is not intended for marketing approval, the Clinical Trials Act is applied. If the study falls under a specified clinical research, approval from the certified review board and notification to the Ministry of Health, Labour and Welfare are mandatory.

Next, applicable laws and regulations are diverged depending on whether or not the investigational product falls under a regenerative medicine product. Regenerative medicine products are defined in the PMD Act as "human or animal cells processed through cell culture that are intended to rebuild, restore, or form the structure or function of human body or to be used to treat or prevent diseases" and "to introduce genes into human cells for use in gene therapy." If the study falls under this category and is intended for obtaining marketing approval, the Ministerial Ordinance on Good Clinical Practice for Cellular and Tissue-based Products (Ministerial Ordinance on GCP for Cellular and Tissue-based Products) will be applied, instead of the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs. Since manufacturing processes of cellular and tissue-based products are likely to reflect quality attributes directly, it is important to control cellular and tissue-based products in accordance with Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice (GCTP Ordinance).

On the other hand, to a clinical trial of regenerative medicine that is not intended for application for marketing approval but intended to provide medical treatment, the Act on the Safety of Regenerative Medicine is applied, and assurance of safety according to risks is required through the submission of treatment plan and committee review, etc.

In the new modalities, measures against additional regulatory guidelines are required according to the product characteristics, regardless of the study category such as clinical trial or clinical research.

Since chemical structures and degradation characteristics of nucleic acid drugs differ remarkably from those of conventional small molecule drugs, additional measures, such as raw material control, impurity profile, and degradation product evaluation, are required for quality control and stability evaluation based on ICH quality guidelines, such as ICH Q8 (Formulation development), Q9 (Quality risk management), and Q11 (Development and manufacture of drug substances).

In gene therapy, safety evaluation on viral vector, etc. and long-term risk control associated with gene transfer are important. Therefore, in reference to domestic guidelines such as the "Guidelines for Nonclinical Studies of Gene Therapy Products," etc. presented by PMDA/MHLW and related guidelines such as ICH S6 (R1) and M3 (R2), it is necessary to evaluate the biodistribution at a non-clinical phase and plan the long-term follow-up in clinical studies.

In cell-based therapy, controls of cell-derived materials, manufacturing process, manufacturing and quality are important. Measures should be taken according to the GCTP Ordinance. In addition, to evaluate the production lot equivalence and effects of process changes, concepts of ICH quality guidelines such as ICH Q8, Q9, Q10, and Q11 should be referred to.

3-4. Ethical guidelines applied to studies which are not subject to the Clinical Trials Act

Clinical studies in which an approved drug is used within the range of approved dosage and administration, no funding is provided by any company, and "testing with a significant burden" etc. is not added for research purposes are not subject to regulations of the Clinical Trials Act. Such studies consist mainly of interventions and observations within the scope of usual medical care, or studies using existing medical information, which include so-called "observational studies" and low-risk prospective studies.

These clinical studies are conducted based on the "Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects" instead of the laws and regulation. The Ethical Guidelines provide basic frameworks to conduct the studies ethically conduct of research, including protection of the rights of subjects, appropriate handling of personal information, methods of obtaining an informed consent, validity of study plans, and procedures for approval by the Ethical Review Board. Although the Ethical Guidelines are not laws and regulations, they are positioned as standard codes widely applied to medical research in Japan.

3-5. Regulations on clinical trials of combination products

In Japan, products combining two or more components including drugs, medical devices, and regenerative medicine products are classified as "combination products" according to notifications/guidance of the MHLW and PMDA, based on individual product definitions of the PMD Act, and drug-eluting stents, prefilled syringes, drug-device combination products-integrated, etc. fall under this category. Based on the main indications (or main functions), PMDA will determine which product should be handled as a drugs, medical devices or regenerative medicine products. The handling of these products are organized according to the related notifications and guidance including MHLW Notification "Handling of Marketing Application for Combination Products."

In clinical trials of combination products, applicable laws and regulations as well as practical handling are determined according to the main action. In other words, clinical trial frameworks for drugs, medical devices, and regenerative medicine products will be applied to the following products, respectively: Products with drug efficacy as the main action (the framework of the PMD Act and Ministerial Ordinance on GCP for Drugs), those with mechanical/structural actions as the main action (the framework of the medical device regulations), and those with cellular effects as the main action (the framework of regenerative medicine products according to the PMD Act). Applications and reviews are mainly conducted by the relevant divisions of PMDA, and cross-functional collaborative reviews are conducted as necessary.

An Antibody-Drug Conjugate (ADC) is usually considered as a product with "pharmacological action as the main action" and handled as a medicinal product. On the other hand, for products in which the main action is exerted by a device such as drug-eluting stent, clinical studies in products as

medical devices are required, and safety and release characteristics, etc. of the drug component are also evaluated.

3-6. Phase 1 study (First-In-Human, FIH/early phase)

A phase 1 study is intended to confirm the safety, tolerability, and pharmacokinetics (and pharmacodynamics if necessary) of the study drug at an early stage and to obtain basic information on dose selection and risk management in the subsequent phases. When the study is conducted as a clinical trial for the purpose of marketing approval application, monitoring, protection of subjects, and assurance of data reliability of data by the sponsor and study site are required pursuant to the PMD Act and the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs.

The clinical practice in the FIH/early phase is conducted based on the notification from the Ministry of Health, Labour and Welfare "Guidance for Establishing Safety in First-in-Human Studies", and key points for safety assurance, such as initial dose setting, dose escalation, treatment discontinuation criteria, adverse event monitoring, and appropriate study site system/personnel, are detailed. Regarding the handling of non-clinical safety studies of first-in-human studies at the time of submitting the clinical trial notification, the PMDA has clarified the practical concept through Q & A, etc. based on the notification to clarify the non-clinical package at the time of FIH notification.

As a result of the recent acceleration of global joint development, the MHLW Notification, "Basic principles for conducting phase 1 studies in Japanese prior to initiating multi-regional clinical trials including Japan for drugs in which early clinical development is preceding outside Japan" and its Q & A by PMDA have been made public. These notifications have presented a basic principle that an additional phase 1 study in Japanese subjects are not required as a general rule for drugs in which early clinical development is preceding outside Japan, based on the consideration of individual safety evaluation and effects of ethnic differences.

3-7. Studies in orphan drugs

Clinical studies of orphan drugs in Japan are conducted in accordance with the PMD Act and the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs, and Orphan Drug Designation system is utilized. In this system, drugs, etc. intended for use in less than 50,000 patients in Japan and at particularly high medical needs are positioned as Orphan Drugs and designated as an orphan drug by the Minister of Health, Labour and Welfare based on the opinion of the Pharmaceutical Affairs and Food Sanitation Council. The orphan drug designation itself does not guarantee approval, but if it is designated, incentives such as priority review, priority face-to-face consultation by the PMDA, reduction in application fees, extension of re-examination period, research grants, and tax preferential treatment will be given. Therefore, the orphan drug designation is commonly obtained at an early phase of clinical development.

In the field of rare diseases in which the number of patients is limited, flexible study designs such as small-scale studies, single-group designs, use of previous clinical data as a control, and use of multi-regional clinical trials are permitted. In recent years, if it is difficult to conduct an additional study in Japanese subjects with ultra-rare diseases, etc., the approval may be determined based only on data from global studies after individual scientific validity is evaluated.

3-8. Studies in children

Clinical trials in children are conducted to establish the appropriate dosage, administration method, efficacy, and safety for children, and ethical considerations and minimization of burdens are required more than those for adults. In clinical trials intended for marketing approval application, the PMD Act and the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs are applied, and more attention is placed on the informed consent by parents, child assent, restrictions of blood sampling volume and procedures, and long-term safety observation.

The international standards of ICH E11 "Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population" and Appendix E11 (R1) Addendum were adopted, which provide the basic principles necessary for pediatric drug development, such as age group, ethical considerations, study design, extrapolation modeling & simulation, and pediatric drug formulation development. In Japan, ICH E11 was officially introduced in accordance with the MHLW Notification (PMSB/ELD Notification No. 1334) "Guidance on Clinical Studies of Drugs in Children," and ICH E11 (R1) was adopted as an addendum and publicized according to PSEHB/PED Notification No. 1227-5 dated December 27, 2017, "ICH E11 (R1) Addendum: Clinical Studies of Drugs in Pediatric Population."

3-9. Regulations for handling narcotics and psychotropics in clinical trials

In Japan, narcotics and psychotropics are strictly regulated in accordance with "Narcotics and Psychotropics Control Act." When handling study drugs containing narcotics in clinical trials, it is mandated that the study site should be authorized as Narcotics Handler and that physicians who treat subjects should be licensed as Narcotics Practitioner. In addition, authorization by and notification to the MHLW (Narcotics Control Department, Regional Bureau of Health and Welfare), and drug accountability are mandatory for import, storage, use, disposal, etc. of narcotics and psychotropics. To respond to these regulations, a stringent management system for the study drug is also required in clinical trials.

Chapter 2: Detailed Regulations for Clinical Studies of Drugs in Japan

This chapter organizes the relevant regulatory requirements for each of the key elements required to conduct a clinical study in Japan.

1. Approval for conducting clinical studies by the government or regulatory authorities

Ministerial Ordinance on GCP for Drugs:

According to Article 80-2 of the PMD Act and related enforcement regulations, it is necessary to submit a clinical trial notification to the regulatory authorities before starting a clinical study (clinical trial) of a drug for the purpose of approval application. In Japan, when a clinical trial is conducted in an unapproved drug or for off-label use of the drug for the purpose of application for marketing approval, all of them are managed as "clinical trials" under the PMD Act.

In Japan, there is no exemption system to simplify the procedures for the use of unapproved drugs for the purpose of clinical trials (e.g., a system corresponding to exemption from IND). When conducting a clinical trial, the submission of clinical trial notification is mandatory.

Clinical Trials Act:

In a study subject to the Clinical Trials Act, a protocol reviewed and approved by the Certified Review Board (CRB) must be submitted to the Minister of Health, Labour and Welfare before the start of the study. This notification is considered to have been submitted to the Minister of Health, Labour and Welfare by registering the study protocol in jRCT (clinical research submission/publication system).

Ethical guidelines:

No procedures including filing an application with, submission to, or approval by the government or regulatory authorities are required.

2. Approval of conducting clinical studies by IRB

Clinical studies that are conducted in Japan are characterized by the different names and requirements of review boards and review materials depending on the applicable laws and regulations.

Ministerial Ordinance on GCP for Drugs:

Clinical studies must be reviewed and approved by the IRB established by each study site, or the IRB with which the study site has concluded an engagement agreement for the review. Based on the results of the IRB review, the clinical study can be conducted at the study site after it is approved by the head of the study site.

Clinical Trials Act:
Clinical studies must be reviewed and approved by the CRB established by each study site, or the CRB with which the study site has concluded an engagement agreement for the review. Based on the results of the CRB review, the clinical study can be conducted at the study site after it is approved by the head of the study site.

Ethical guidelines:
Clinical studies must be reviewed and approved by the Ethical Review Board established by each study site, or the Ethical Review Board with which the study site has concluded an engagement agreement for the review. Based on the results of the review by Ethical Review Board, the clinical study can be conducted at the study site after it is approved by the head of the study site.

3. Conflict of interest (COI) in clinical studies

Ministerial Ordinance on GCP for Drugs:
The Ministerial Ordinance on GCP for Drugs does not require preparation of materials explaining COI with the sponsor in the requirements for study sites and investigators. Also, the responsibilities of the Institutional Review Board based on the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs include no mandatory submission of materials concerning conflict of interest, and it is left to the individual discretion.

In addition, the company sponsoring the clinical study may voluntarily manage COI by complying with transparency guidelines stipulated by the industry organization make inquiries to physicians participating in the clinical trial about the status of acquisition of shares of the company with reference to overseas regulations, etc. The medical institution conducting the clinical trial may voluntarily accept reviews by the COI Management Committee established in the hospital according to the provisions of the medical institution.

Clinical Trials Act:
The Clinical Trials Act was established for the purpose of ensuring appropriate management of COI after the inadequacy of COI management was pointed out in past clinical studies. For this reason, the method (development of management plan, etc.) and criteria for COI management are strictly specified, and information on the COI management is also included in materials to be reviewed by CRB.

Ethical guidelines:
In Chapter 12, "management of conflict of interest" is clearly required for clinical studies conducted under the ethical guidelines. Specifically, it is stipulated that the statement of "status of conflict of interest related to funding sources and clinical studies by other institutions and conflict of interest of individual researchers" should be included in the study protocol. The study protocol, etc. containing the COI information will be confirmed by the Ethical Review Board at the time of the review, and necessary measures may be required. Unlike the Clinical Trials Act, which is a legal regulation, the Ethical Guidelines are characterized as guidelines that contribute to the proper conduct of medical researches.

4. Explanation to subjects and obtainment of consent, and multilingualization

Ministerial Ordinance on GCP for Drugs:

The Ministerial Ordinance on GCP for Drugs stipulates information that should be included in the informed consent form, and in principle, it is strictly stipulated that voluntary consent should be obtained from the subject himself/herself. In the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs, clear explanation of the nature of the investigational product, expected efficacy, possible risks, alternative treatments, etc. are mandatory, but no provisions of explanation about the information on the funding source or conflict of interest to subjects are included. In addition, there are no provisions on multilingualization of the informed consent form.

Clinical Trials Act:

The Clinical Trials Act stipulates the informed consent form equivalent to those stipulated in the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs and the process of obtaining a consent. It is characterized as a regulation to notify subjects of information on the COI management methods and the source of funds. There are no provisions on multilingualization of the informed consent form.

Ethical guidelines:

Unlike the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs and the Clinical Trials Act, provisions on retrospective observational studies with no use of drugs/medical devices are included. For this reason, various options such as obtaining written consent before start of the study, orally giving a consent, recording in medical records, and utilization of opt-out are available according to the individual clinical studies. However, there are no provisions for multilingualization of the informed consent form.

It is also characterized by the complexity of the informed consent process because the process of obtaining a consent differs depending on the planned study contents, presence or absence of invasive procedures and therapeutic interventions, etc.

5. Compensation to Subjects

Ministerial Ordinance on GCP for Drugs and Clinical Trials Act:

These regulations require establishment of policy and system for handling of compensation in the event of health injuries caused by the study prior to the start of the study to reflect them in the protocol, etc., and include clear descriptions about them in the informed consent form. On the other hand, since the amount of compensation and calculation standards are not uniformly provided for in the laws and regulations, it is generally determined by the implementation body of each study (sponsor, investigator, etc.) according to the characteristics of the study, in consideration of the industry guidance by the Japan Pharmaceutical Industry Legal Affairs Association (IHOKEN), etc. In addition, the IRB and CRB are required to review that the compensation policy and system for subjects are properly established in conducting the study in accordance with each law and regulation.

Ethical guidelines:

For studies involving invasive procedures (excluding minor invasiveness) and medical practice beyond usual medical care, it is required to consider appropriate handling of compensation with reference to the guidelines provided by IHOKEN as well as the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs and the Clinical Trials Act.

On the other hand, as represented by retrospective observational studies, etc., preparation of the compensation system is not required for studies with no risk of health injury caused by the study. In addition, in clinical trials conducted within the scope of usual medical care, a compensation system generally retained by medical institutions and companies is commonly used instead of establishing a study-specific compensation system.

6. Reporting of safety information to regulatory authorities

Ministerial Ordinance on GCP for Drugs:

Based on Article 80-2 of the PMD Act and the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs, the sponsor or sponsor-investigator is required to report suspected unexpected serious adverse reactions (SUSARs) occurring in clinical trials to the regulatory authorities within 7 days for unknown and life-threatening events including death, or within 15 days for unknown and other serious events.

Clinical Trials Act:

During a specified clinical research in an unapproved or off-label drugs, if any unexpected serious event that is suspected to be caused by the trial occurs, the investigator is required to report diseases, etc. to the Minister of Health, Labour and Welfare according to Article 16-3 of the Clinical Trials Act. The events must be reported through jRCT, and the reporting deadline is 7 days for death or life-threatening events or 15 days for other serious events.

Ethical guidelines:

In clinical trials conducted under the ethical guidelines, persons conducting clinical trials are not required to immediately report adverse events to the regulatory authorities directly. In this case, persons conducting clinical trials must provide safety information to manufacturers, etc. Based on such information, the manufacturer must evaluate the information as part of compulsory safety management under Article 68-10 of the PMD Act, and then report it to the regulatory authorities as reporting of adverse drug reactions, etc. and take appropriate safety measures, as needed, in accordance with Article 68-2 of the PMD Act and related ministerial ordinances.

7. Protection of subjects' information (protection of personal information and protection of personal healthcare information)

Protection of Subjects’ personal information is regulated by various laws in Japan including the confidentiality obligation imposed on physicians, etc. (Article 134 of the Penal Code). Recently, appropriate management is required in accordance with the "Act on the Protection of Personal Information" (Personal Information Protection Act), and more systematic and strict management is required for definition, acquisition/use, management, provision to third parties, etc. of personal

information. The Personal Information Protection Law is not a law specialized in the conduct of clinical trials, but a framework that is applied to general handling of personal information.

Ministerial Ordinance on GCP for Drugs:

The principles of the General Rules (11) of the Guidance on GCP for Drugs stipulate that records that may identify subjects should be protected, giving due consideration to the subjects' privacy and confidentiality. In addition, Article 2 of the same guidance stipulates that an identification code (subject identification code) should be assigned to each subject for management in order to protect the subject's confidentiality. Furthermore, Article 47 clearly states that assurances should be given to use the subject identification for data such as reports provided to the sponsor.

Clinical Trials Act:

Article 11 of the Clinical Trials Act clearly states that subjects' privacy must not be leaked to persons who are engaging or have engaged in specified clinical researches. Also, a term "subject identification code" is used in standard forms prepared by the Ministry of Health, Labour and Welfare in accordance with the Clinical Trials Act, and the subjects' personal information is coded before reporting.

Ethical guidelines:

Chapter 9 "Basic responsibilities for personal information, samples, and specimens/information from the deceased" of the Ethical Guidelines provides basic principles and responsibilities for the handling of personal information. In addition, the terminology system related to personal information used in the Guidelines classifies information as personal information, pseudonymously processed information, anonymously processed information, and information related to personal data to operate the system in alignment with the definitions in the Personal Information Protection Law.

8. Disclosure of clinical trial data (publication of registration/results)

The Japan Registry of Clinical Trials (jRCT) plays a central role in the registration of clinical trials in Japan. This system has been approved as a primary registry by the World Health Organization (WHO) to secure international transparency. jRCT is a system to centrally register and disclose information on clinical trials, clinical researches, and researches on regenerative medicine products, etc., and functions as a public database of clinical trial information accessible to patients and general public.

Ministerial Ordinance on GCP for Drugs:

Based on the revision of the Enforcement Regulations of the PMD Act (Notification dated August 31, 2020), new clinical trials starting after the revision are required to be registered in jRCT before the start of the study. Registration information should include study title, study category, study site, progress status, etc. After the registration, the information will be made public.

Clinical Trials Act:

Specified clinical researches based on the Clinical Trials Act (clinical trials that fall under those of unapproved drugs/off-label use/funded by companies, etc.) are also required to be registered in jRCT. The registration of the specified clinical research is required after approval by the Certified

Review Board (CRB) and before start of the trial. In specified clinical researches, a clinical trial notification needs to be submitted to the Minister of Health, Labour and Welfare in accordance with the provisions of the Clinical Trials Act, but the registration in jRCT will be regarded as having made the notification.

Ethical guidelines:

Among clinical researches that do not fall under the category of specified clinical researches, the registration in jRCT is required in clinical trials requiring intervention, in principle, based on the ethical guidelines. However, there are provisions that allow information not to be disclosed only if closing the information to public is permitted by the Ethics Review Board and the head of the study site for the purpose of protecting human rights and rights and interests. In other clinical trials (observational studies, etc.), disclosure of research information is required as a duty of effort.

In addition, a provision plan for regenerative medicine based on the Act on the Safety of Regenerative Medicine is also registered in jRCT. In this way, the system has been developed to visualize the status of research and provision of regenerative medicine technology to public.

Registry information to be opened to the public does not include personal information or company's intellectual property information. However, disclosure of basic information about the research and its progress increases the transparency and reliability of the research.

9. Laws and regulations on digitization of data, etc.

With the progress of digitization of clinical trials, processes of electronically recording, signing, and storing data have been increasing, which gives rise to areas that cannot be sufficiently covered by the conventional laws and regulations on "implementation of clinical trials" such as the PMD Act, GCP for Drugs, and Clinical Trials Act. In order to ensure the reliability of data associated with such digitization, the Ministry of Health, Labour and Welfare has established Guidelines for Electronic Records/Electronic Signatures (ER/ES guidelines) in Japan.

The ER/ES guidelines requires that clinical study data stored and managed electronically have the same authenticity, integrity, and reliability as those in paper records, and are applicable to all digitalized study-related data, such as eCRFs, electronic diaries, and monitoring records. This is consistent with the system validation, prevention of falsification, and securing of audit trail required by the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs, and positioned as basic guidelines that support the electronic operation of clinical trials.

Compliance with the ER/ES guidelines is not a legal obligation for specified clinical researches that are not intended for approval application and those that are conducted under the ethical guidelines. However, since the reliability of electronic records needs to be secured in the same way, the ER/ES guidelines are often used as a practical reference, and management in accordance with the ER/ES guidelines is occasionally required at the discretion of the internal rules of the research institution or the ethics review board.

Appendix: List of laws and regulations and guidance cited in this summary
(Order of description)

1. Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (Act No. 145, 1960) (Latest revision: Issued on May 21, 2025)
   Abbreviation: PMD Act
   https://laws.e-gov.go.jp/law/335AC0000000145
   (Article 80-2, Article 68, Article 68-10, Article 72, Article 75, etc.)

2. Clinical Trials Act (Act No. 16, 2017) (Latest revision: Enforced on May 31, 2025)
   https://laws.e-gov.go.jp/law/429AC0000000016

3. Act on the Safety of Regenerative Medicine (Act No. 85 of 2013) (Latest version: Enforced on May 31, 2025)
   https://laws.e-gov.go.jp/law/425AC0000000085

4. Cabinet Order (enforcement order based on the PMD Act)
   Enforcement Order of the Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices and Cabinet Order for Partial Revision of the Enforcement Order of the Act on the National Institutes of Biomedical Innovation, Health and Nutrition (Cabinet Order No. 357, 2025)
   https://laws.e-gov.go.jp/law/336CO0000000011

5. Ministerial Ordinance on Good Clinical Practice (Ministry of Health and Welfare Ordinance No. 28, 1997) (Latest revision: Enforced April 1, 2025)
   Abbreviation: Ministerial Ordinance on GCP for Drugs
   https://laws.e-gov.go.jp/law/409M50000100028

6. Guidance on "Ministerial Ordinance on Good Clinical Practice for Drugs" (Updated: April 1, 2025)
   https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc9134&dataType=1&pageNo=1

7. ICH Guidelines
   https://www.ich.org/page/efficacy-guidelines
   (E6, E11, Q8, Q9, Q10, Q11, S6 [R1], M3 [R2], etc.)

8. Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects (Updated: partially revised on March 27, 2023)
   https://www.mhlw.go.jp/content/001077424.pdf

9. Handling of Marketing Application for Combination Products (Updated: partially revised on November 22, 2016)
   https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc2324&dataType=1&pageNo=1

10. Guidance For Establishing Safety in First-in-Human Studies during Drug Development (December 25, 2020)
https://www.pmda.go.jp/files/000243439.pdf

11. Handling of Designation of Orphan Drugs (Updated: partially revised on January 16, 2024)
https://www.pmda.go.jp/files/000268405.pdf

12. Guidance on Clinical Studies of Drugs in Pediatric Population (December 15, 2000)
https://www.pmda.go.jp/files/000156072.pdf

13. Addendum to Clinical Investigation of Medicinal Products in Pediatric Population (December 27, 2017)
https://www.pmda.go.jp/files/000222107.pdf

14. Narcotics and Psychotropics Control Act (Act No. 14, 1953) (Latest revision: November 20, 2025)
https://laws.e-gov.go.jp/law/328AC0000000014

15. Use of Electromagnetic Records and Electronic Signatures for Applications for Approval or Licensing of Drugs, etc. (April 1, 2005)
Abbreviation: ER/ES guidelines
https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00ta8216&dataType=1&pageNo=1

16. Act on the Protection of Personal Information (Act No. 57, 2003)
https://laws.e-gov.go.jp/law/415AC0000000057

Laws and Regulations for Clinical Studies of Medical Devices in Japan

Date of preparation: February 20, 2026

Chapter 1: Regulations pertaining to clinical studies of medical devices in Japan

1. Hierarchy of the laws and regulations

1-1. Legal system

The legal system in Japan has a hierarchical structure according to the potency. The constitution is the supreme law in Japan, and all other laws and orders must follow the constitution. Below these, laws established by the Diet follow, and basic rules to be applied to the whole nation are established. To concretely operate the laws, cabinet orders are established. Below them, ministerial ordinances established by the ministers of individual ministries and agencies are positioned. Ministerial ordinances further details matters stipulated by laws and cabinet orders to stipulate procedures and standards necessary for practical operations.

Below these laws and ordinances, there are notices, notifications, and guidance issued by administrative agencies. Although they are generally not legally binding, they play an important role in practice and supplement the interpretation and application of laws and ordinances. Furthermore, there are municipal Ordinances and regulations established by municipal governments, and they apply to regions within the scope of national laws and ordinances. As described above, the Japanese legal system forms a pyramid structure in the following order: Constitution, Laws, Cabinet Orders, Ministerial Ordinances, Notices/Notifications/Guidance, and Municipal Ordinances and Regulations. Contents against the higher laws and regulations become invalidated. This hierarchical structure preserves consistency and order of the laws.

Only laws, cabinet orders, ministerial ordinances, guidance, and notifications issued by regulatory authorities are subject to this survey. Documents prepared by parties other than the regulatory authorities, such as academic society guidelines and voluntary standards of industry organizations, are not subject to this survey.

1-2. Regulatory authorities

The outline of the regulatory authorities in Japan is as follows:

Ministry of Health, Labour and Welfare:

It is one of the central ministries and agencies of the Japanese government, and is responsible for the formulation and implementation of policies in a wide range of areas such as medical care, public health, labor, and welfare. In the pharmaceutical regulations, individual divisions and

bureaus, mainly Pharmaceutical Safety Bureau, are responsible for designing systems based on the Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (PMD Act), issuing administrative notifications, and making final decisions on approval, etc., and take the final responsibility for regulations on drugs, etc. in Japan. In the areas pertaining to clinical studies, the divisions and bureaus in charge of promotion of clinical trials and researches, improvement of clinical trial environments, and R & D policies are responsible for development of the systems and policies. Based on these roles, the Ministry of Health, Labour and Welfare is positioned as an administrative body that forms the basis of the clinical trial system in Japan and supervises the direction of regulations and the final administrative judgment.

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA):

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) is an expert organization responsible for scientific review, safety measures, and adverse health effects relief for drugs, medical devices, and regenerative medicine products according to the PMD Act and the measures of the Ministry of Health, Labour and Welfare. PMDA receives clinical trial notifications and reports on adverse drug reactions/malfunctions that occurred during clinical trials and reports to the Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW). In addition, it provides consultation support before the start of clinical trials and conducts scientific review before regulatory reviews. Furthermore, as a core technical agency that conducts regulatory reviews, PMDA provides the basis for the evaluation of clinical study data, establishment of appropriate indications and usage, and determination of safety measures. In this way, PMDA plays a role to support the final judgment of the Ministry of Health, Labour and Welfare as a specialized agency responsible for scientific evaluation based on clinical trial data.

2. Classification for consideration of applicable regulations

When conducting clinical trials of medical devices involving intervention in Japan, various categories may be included to consider their applicable regulations and guidance. The uniform definition of "intervention" in clinical trials is not established by laws and regulations. However, in "Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects" (hereinafter referred to as the "Ethical Guidelines"), "intervention" is defined as an act of intentionally controlling factors that may affect human health for research purposes. Hereinafter, based on this, applicable regulations are to be organized.

2-1. Regulations applied to clinical trials that are intended for the application for marketing approval

Clinical studies intended for marketing approval application and those to confirm safety/efficacy

of an unapproved medical device or off-label use are called "clinical trials." To conduct clinical trials, compliance with the "Ministerial Ordinance on Good Clinical Practice for Medical Devices" (MHLW Ordinance No. 36) (hereinafter referred to as the "Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices") in principle is required based on the Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (PMD Act). In addition, to align with international standards, clinical trials should be conducted in accordance with ISO 14155 (the global standard for medical device clinical trials) with reference to the guidance/office memorandum issued by the MHLW and PMDA. There is a characteristic that the procedures required in the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices differ depending on the entity conducting the clinical trial; a business entity or a sponsor-investigator.

In recent years, the administrative notice "Examples of points to consider and approaches for utilization of study results obtained from specified clinical research in applications for approval of medical devices and regenerative medical products" (June 5, 2024) shows the concept of effective regulatory use of results obtained from specified clinical trials.

2-1-1. Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices

The Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices is a legal regulation in Japan that stipulates standards for ethically, scientifically conducting clinical studies of medical devices in a lawful manner. The purpose of this regulation is to protect study participants' safety and rights and ensure reliability of study data. In addition, there are characteristics that clinical trial procedures, system, document types, timing of preparation, person responsible for preparation/storage, etc. should be established, and operational procedures should be specified in detail, including Japan-specific regulations on compensation requirements based on the Ministerial Ordinance.

Absolute conditions for medical device approval in Japan include clinical trial data satisfying requirements of the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices, and the compliance with the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices is prioritized over the compliance with the ISO shown in the section 2-1-2 below.

2-1-2. ISO 14155 (International Standard for Clinical Investigation of Medical Devices)

ISO 14155 is the international standard to appropriately conduct clinical studies (clinical trials) of medical devices in an ethical and scientific manner in order to ensure subjects' safety and improve reliability of clinical data. Unlike ICH-GCP (E6 [R3]), it is an independent standard for medical device development, but intentions of the provisions are very close to each other.

While the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices is a legal regulation in Japan, there is a major difference that ISO 14155 does not include legal requirements but mainly recommendations and criteria. Also, since ISO 14155 was established on the assumption of

development of various medical devices, it is characterized by a flexible structure that can respond to the legal system and facility conditions in each country. On the other hand, since it was established based on the premise of aligning the system with that of each country, it is also characterized by the highly abstract standard. In other words, ISO 14155 is a global standard. It is advised in the GCP for medical devices to refer to ISO 14155 for information to be included in protocols, investigator's brochures, etc. The standard is widely used in Japan.

2-2. Regulations applied to clinical trials that are not intended for the application for marketing approval

A clinical study that is not intended for marketing approval application does not fall under a "clinical trial" according to the PMD Act. Such clinical studies shall be conducted in accordance with the PMD Act, the Clinical Trials Act (Act No. 16, 2017), and the Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects (Ethical Guidelines).

2-2-1. Clinical Trials Act

The Clinical Trials Act is applicable to clinical trials to verify safety and efficacy of drugs and medical devices in humans, although they are not intended for approval application. If any of the following applies, the clinical trial is subject to legal requirements as a "specified clinical research." In addition, if none of the following applies, and a clinical trial is conducted using drugs or medical devices, compliance with the Clinical Trials Act is required as a duty of effort, which is characterized by the complicated impact of the Act not only due to the objective of the clinical trial but also due to the surrounding financial environment.

(1) Clinical trials in unapproved or off-label use of medical devices
(2) Clinical trials that are funded or provided with medical devices by manufacturers (makers)

If the clinical research falls under the category of specified clinical research, the notification to the Minister of Health, Labour and Welfare, review by the Certified Review Board (CRB), monitoring, etc. are mandatory requirements. In addition, management of conflict of interest is required according to the "Guidance on the Management of Conflict of Interest in Clinical Trials Act."

There are several points to note when conducting clinical trials in unapproved medical devices in accordance with the Clinical Trials Act.

- Investigators themselves are required to import the medical devices and report to the Ministry of Health, Labour and Welfare.
- Acts of claiming indications of unapproved medical devices are prohibited.

All medical devices for which "approval," "certification," and "notification" for manufacturing and marketing have not been made are "unapproved medical devices." Even if the medical device has been approved, if the shape, specification, etc. is changed outside the scope of approval, etc., or if it is used outside the scope of approval, etc., it is handled in the same way as the unapproved medical device.

2-2-2. Ethical guidelines

The ethical guidelines are applied to general drug and medical device research that does not fall under the category of Clinical Trial Act or clinical trials, such as observational studies or studies in the usual use of approved medical devices involving no additional intervention (additional tests involving minimally invasive procedures may be included in observational studies).
According to the Ethical Guidelines, informed consent and review by Institutional Review Board (IRB) are required.

In addition, the following laws are applied as necessary in the clinical trials described above in the section 2-2:

(1) Personal Information Protection Act: Necessary for the handling of study data management and anonymization
(2) Laws related to medical service such as Medical Practitioners Act: Since acts of using medical devices apply to medical practice, regulations within its scope are applicable.
(3) Act on the Safety of Regenerative Medicine: Applicable when handling regenerative medicine

3. Regulatory classification of medical devices

3-1. Classification

Medical devices are classified into the following four classes based on the level of risk to the human body if the medical device malfunction occurs:

Classification	Summary	Example of applicable device	Necessity of clinical trial
Class I	General medical devices for extremely low risk level. Such medical devices can be marketed only by submitting a notification of manufacturing and marketing to the PMDA.	Thermometer, gauze, stethoscope	Unnecessary

Classification	Summary	Example of applicable device	Necessity of clinical trial
Class II	Controlled medical devices for relatively low risk levels Medical devices for which certification standards exist can be certified by a third-party certification body registered by the Minister of Health, Labour and Welfare.	Blood pressure monitor, ultrasound diagnostic device, MRI scanner	Medical devices for which certification standards exist: Unnecessary Other than the above, approval of the PMDA is required.
Class III	Specially controlled medical devices for risk levels that may affect life Medical devices designated by the Minister of Health, Labour and Welfare by specifying standards can be certified by a third-party certification body.	Artificial dialyzer, mechanical ventilator, catheter, artificial bone	Medical devices for which certification standards exist: Unnecessary For other than the above, approval by the PMDA is required with use of data from clinical trials.
Class IV	Specially controlled medical devices for the highest risk levels that are indispensable for life support and potentially have serious effects	Pacemaker, artificial heart valve, heart-lung machine	Approval by the PMDA is required with use of data from clinical trials.

Based on the above, the implementation of clinical trials and the submission of results from clinical trials are required only in some of the Class II, Class III, and IV medical devices that are subject to approval review by the PMDA.

3-2. Novelty-based classification of medical devices

As shown in the table below, whether or not results from clinical trials are required differs depending on the following medical device classification: new, improved, and generic medical devices.

Novelty of medical devices	Necessity of submission of clinical data (results from clinical trials)
New medical devices (medical devices with a clearly different structure from existing medical devices)	Necessary, in principle
Improved medical devices	Necessary depending on the degree of improvement
Generic medical devices	Unnecessary

Clinical trials can be omitted if equivalence to predicate devices is demonstrated. Even for improved medical devices with minor improvements such as changes in materials or appearance, clinical evaluation may be required if they have effects on the safety and performance. In addition, limited clinical evaluation or investigation may be required for moderate improvements such as additional features and software updates. When a major improvement such as structural changes or additional indications that may produce new risks is made to the medical device, clinical investigation at a clinical trial level is required. On the other hand, if new risks are unlikely to be produced, full-scale clinical trials may be unnecessary as long as there is scientific evidence of no increased risks. In such a case, the safety and efficacy are confirmed by conducting a clinical trial with a small sample size to show the actual results of use in humans. However, even if no new risks are produced, major improvements are considered to potentially change the effects on use conditions and patients. Therefore, limited clinical evaluation for approval application tends to be required more commonly.

These clinical evaluations do not necessarily require implementation of clinical trials under the PMD Act. In fact, a limited number of medical devices were approved without submission of clinical study results, and the approval with submission of overseas clinical study results and clinical evaluation reports is more common. Exploratory clinical studies are often conducted to evaluate efficacy and safety of medical devices that are developed through repeated improvements.

4. In vitro diagnostics

4-1. Handling of in vitro diagnostics in Japan

In vitro diagnostics are defined as “drugs that are intended for exclusive use in the diagnosis of diseases and not for direct use in human or animal body” and classified as drugs under the PMD Act. However, they are classified into Class I to Class III according to their effects on humans, and the review process depends on the risks of each product. Therefore, they are practically handled in the same way as medical devices.

Classification	Summary	Product example	Review
Class I	• Products have relatively low diagnostic information risk and smaller impact of the information accuracy on life support compared to the Class III items. • Reference materials for calibration and standard measurement methods are available, and self-checking is easy. • Excluding general diagnostic drugs (OTC)	Hemoglobin, total protein for hematological test, etc.	Self-certification (notification of manufacturing and marketing)
Class II	• Products that are likely to have relatively low diagnostic information risk and smaller impact of the information accuracy on life support compared to the Class III items and general diagnostic drugs (OTC)	Coagulation factors, Human chorionic gonadotrophin kits, etc.	Registered certification body (marketing certification)
Class III	• Products have relatively high diagnostic information risk and larger impact of the information accuracy on life support.	Glucose kit for self-testing, tumor marker kit for tissue testing, etc.	Ministry of Health, Labour and Welfare (marketing approval)

Class I medical devices that meet criteria for exemption from the approval/certification (criteria pursuant to Article 23-2-5, Paragraph 1 of the PMD Act) are subject to the notification system. Class II medical devices that conform to the certification criteria (those pursuant to Article 23-2-23, Paragraph 1 of the PMD Act) must be certified by a registered certification body registered by the Minister of Health, Labour and Welfare. Class III medical devices and those that do not fall under the definitions of Classes I and II above (applicability to intended use, nonproprietary name, etc.) must be reviewed by the PMDA for approval. The term "nonproprietary name" in this context is a standardized name to indicate systematically and uniformly the type of medical device, and the name, definition and code are organized based on Japan Medical Device Nomenclature (JMDN).

4-2. Clinical performance study of in vitro diagnostics

4-2-1. Required studies

Since in vitro diagnostics are not used directly on the human body, biobanks and residual samples are actively used when collecting data required for approval application. In addition, clinical performance studies may be performed using samples prospectively collected from patients. Since these studies are conducted as medical researches pursuant to the Ethical Guidelines,

clinical investigations as clinical trials are not required, but performance studies using clinical specimens are required pursuant to Article 14, Paragraph 3 of the PMD Act. In Japan, precision of reagents is evaluated using human samples, in accordance with the PMDA requirements, ISO 20916, international guidelines (GHTF/IMDRF SG5), etc.

Since clinical performance studies of in vitro diagnostics are not subject to the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs/Medical Devices, they do not correspond to so-called clinical trials. Nor, they neither correspond to clinical researches. At present, "Guidelines for Clinical Investigation of In Vitro Diagnostics (March 30, 2015)" is published for industry by the Japan Association of Clinical Reagents Industries. However, laws and guidance, etc. to be complied with for implementation of clinical performance studies of in vitro diagnostics are still unclear, and a lack of clear rules for implementation is pointed out.

< Guidelines for Clinical Investigation of In Vitro Diagnostics (March 30, 2015) >

Key statements:

- Contract and conflict of interest management are essential for research support.
- Classification into "joint study", "contract research", "clinical trial", etc. and implementation conditions
- Scope of clinical trial, amount of provision, and upper limit of trial period (within 6 months in principle, single use only, etc.)
- Attribution and neutrality of data, arrangement of contract at the time of publication
- In the case of an investigator-initiated study, arrangement of joint study contract, etc. is needed for corporate support.

In principle, the use of the results of clinical performance studies conducted overseas is acceptable. However, it is necessary to consider the effects of racial differences, environmental factors, differences in actual clinical environments, etc. on the performance and clinical significance of the in vitro diagnostic reagent.

4-2-2. Reporting of adverse drug reactions

Currently in Japan, adverse reactions of in vitro diagnostics are required to be reported as adverse drug reactions. However, there is a problem that it is difficult to apply to the concept of adverse reactions because they are not used directly on the human body. On the other hand, outside Japan, reports on in vitro diagnostics are included in medical device malfunction reports. Therefore, the introduction of malfunction reporting system based on the characteristics of in vitro diagnostics and arrangement in accordance with medical devices are needed in Japan as in other countries

4-3. Systems for in vitro diagnostics to be required in the future

As discussed above, clinical performance studies of in vitro diagnostics are not covered by the Ministerial Ordinance on GCP for Drugs/Medical Devices, and many of them are conducted pursuant to the Ethical Guidelines. In Japan, clinical studies of in vitro diagnostics are conducted involving no intervention and using archived specimens. Therefore, it is desirable to establish the Ministerial Ordinance on GCP and guidelines for clinical performance studies that are specific to in vitro diagnostics.

In addition, the intended use of in vitro diagnostics is clearly defined as "for use in prognosis diagnosis, prediction, understanding of physiological status, determination of treatment, etc." in foreign countries, whereas in Japan, in vitro diagnostics are defined in relatively ambiguous manner as “drugs that are intended for exclusive use in the diagnosis of diseases and not for direct use in human or animal body.” However, there is an increasing need for in vitro diagnostics that are intended to obtain medically necessary and important information, such as those to determine physiological conditions (e.g., blood type and pregnancy determination) and companion diagnostics that are used to identify patients in whom the efficacy and safety of specific drugs are expected. For this reason, as in other countries, discussions to expand the definition of in vitro diagnostics and considerations to establish appropriate regulations according to the intended use and risks are required in Japan.

Chapter 2: Details on the regulations for clinical investigation

1. Laws and regulations on approval for conducting clinical studies by the government or regulatory authorities

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices:

In Japan, prior to the conduct of a clinical trial, a clinical trial notification must be submitted prior to the start of the clinical trial pursuant to Article 80 of the PMD Act and Article 275 of the Enforcement Regulation of the PMD Act. In Japan, clinical investigations of medical devices corresponding to devices with new intended use are controlled as "clinical trials." Under the current circumstances In Japan, however, there is no exemption system that simplifies the procedures to use unapproved devices for the purpose of clinical trials.

Clinical Trials Act:

Prior to the start of the study, the protocol must be submitted to the Minister of Health, Labour and Welfare.

After the review and approval by the CRB, registration of the protocol in Japan Registry of Clinical Trials (jRCT) is deemed as notification.

Ethical guidelines:

After the review and approval by the Ethical Review Board, the study can be conducted upon approval by the head of the study site. No procedures including filing an application with, submission to, or approval by the government or regulatory authorities are required.

2. Compliance with ISO 14155

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices:

It is specified that ISO 14155 should be consulted when preparing a protocol, investigator's brochure, and clinical study report.

Clinical Trials Act and Ethical Guidelines:

The Clinical Trials Act and Ethical Guidelines do not include statements that explicitly advise on citation of or compliance to ISO 14155. However, when conducting a global joint study, compliance to ISO 14155 may be required because there are no similar regulations to the Clinical Trials Act and Ethical Guidelines in other countries, and ISO 14155 is an international standard for conducting global clinical studies.

3. Process and laws and regulations for approval of conducting researches by Ethical Review Board and IRB

Clinical studies that are conducted in Japan are characterized by the different names and requirements of review boards and review materials depending on the applicable laws and regulations.

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices:

Clinical studies must be reviewed and approved by the IRB established by each study site, or the IRB with which the study site has concluded an agreement for requesting the review. Based on the results of the IRB review, the clinical study can be conducted after it is approved by the head of the study site.

Clinical Trials Act:

Clinical studies must be reviewed and approved by the CRB established by each study site, or the CRB with which the study site has concluded an agreement for requesting the review. Based on the results of the CRB review, the clinical study can be conducted after it is approved by the head of the study site.

Ethical guidelines:

Clinical studies must be reviewed and approved by the Ethical Review Board established by each study site, or the Ethical Review Board with which the study site has concluded an agreement for requesting the review. Based on the results of the review by the Ethical Review Board, the clinical study can be conducted after it is approved by the head of the study site.

4. Laws and regulations on conflict of interest (transparency)

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices:

The Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices does not require preparation of materials explaining conflict of interest with the sponsor in the requirements for study sites and investigators. The Guidance on Article 51 "Responsibilities of Institutional Review Board" of the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices stipulates that "other materials considered necessary by the Institutional Review Board (if there is collaboration with a business entity, documents related to conflict of interest, etc.)" and is left to individual discretion.

In addition, the company sponsoring the clinical study may voluntarily manage conflict of interest by complying with transparency guidelines stipulated by the industry organization and make inquiries to physicians participating in the clinical trial about the status of acquisition of shares of the company with reference to overseas regulations, etc.

The medical institution conducting the clinical trial may voluntarily accept reviews by the

Management Committee of Conflict of Interest (COI) established in the hospital according to the provisions of the medical institution.

Clinical Trials Act:

The Clinical Trials Act was established because of the problem of inappropriate management of conflict of interest as a background of the development. For this reason, the method (development of management plan, etc.) and criteria for the management of conflict of interest are strictly specified, and information on the management of conflict of interest is also included in materials to be reviewed by CRB.

Ethical guidelines:

In Chapter 12, "management of conflict of interest" is clearly required for clinical studies conducted under the ethical guidelines. Specifically, it stipulates the inclusion of COI status in the study protocol and third-party evaluation of information on the conflict of interest by the Conflict of Interest Committee and Ethical Review Board in the study site. Unlike the Clinical Trials Act, which is a legal regulation, the Ethical Guidelines are characterized as guidelines that contribute to the proper conduct of medical researches.

5. Laws and regulations on explanation for consent, acquisition of consent, and multilingualization

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices:

The Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices stipulates 18 items that should be included in the informed consent form, and in principle, it is strictly stipulated that the consent should be obtained from the subject himself/herself. The Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices is characterized by "Explain about the medical device must be given when it is placed into the body" due to the characteristics of medical devices, and there are no provisions requiring explanation about the information on the funding source or the conflict of interest to subjects. In addition, there are no provisions on multilingualization of the informed consent form.

Clinical Trials Act:

The Clinical Trials Act stipulates the informed consent form equivalent to those stipulated in the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices and the process of obtaining a consent. It is characterized as a regulation to notify subjects of information on the COI management and the source of funds. However, there are no provisions for multilingualization of the informed consent form.

Ethical guidelines:

Unlike the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices and the Clinical Trials Act,

provisions on retrospective observational studies with no use of drugs/medical devices are included. For this reason, various options such as obtaining written consent before start of the study, orally giving a consent, recording in medical records, and utilization of opt-out are available according to the individual clinical studies. However, there are no provisions for multilingualization of the informed consent form.

It is also characterized by the complexity of the informed consent process because the process of obtaining a consent differs depending on the planned study contents, presence or absence of invasive procedures and therapeutic interventions, etc.

6. Laws and regulations on compensation to subjects

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices and Clinical Trials Act:

Provision of compensation to subjects prior to the conduct of the clinical study is strictly stipulated. The specific method and criteria for compensation are not included in the law. Generally, the scope and amount of compensation are determined by each entity conducting the study based on the guidance by industry organizations (e.g., The Japan Federation of Medical Devices Associations and Japan Pharmaceutical Industry Legal Affairs Association). In addition, a system where the IRB or CRB reviews that any institution to provide appropriate compensation is established to conduct clinical trials is stipulated in each law and regulation.

Ethical guidelines:

For studies involving invasive procedures (excluding minor invasiveness) and medical practice beyond usual medical care, it is advised to refer to the guidelines provided by Japan Pharmaceutical Industry Legal Affairs Association as well as the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices and Clinical Trials Act.

On the other hand, for clinical investigations other than the above that are unlikely to cause any health, as represented by retrospective observational studies, etc., preparation of the compensation system is not required. In addition, in clinical trials conducted within the scope of usual medical care, a compensation system generally retained by typical medical device marketing authorization holders is commonly used instead of a study-specific compensation system.

7. Laws and regulations on reporting of safety information to regulatory authorities

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices:

Pursuant to Article 80-2, Paragraph 6 of the PMD and Article 274-2 of the Enforcement Regulation,

the sponsor or sponsor-investigator must report death, serious disability, malfunction, etc. related to the use of medical devices in clinical trials to the regulatory authorities. In addition, malfunction report, etc. in a study using an unapproved medical device that is conducted pursuant to the Clinical Trials Act must be reported by the investigator to the PMDA pursuant to Article 16-4 of the Clinical Trials Act.

Clinical Trials Act:

Pursuant to Article 14 and Article 16-4 of the Clinical Trials Act and Article 56 of the Enforcement Regulation of the Clinical Trials Act, the following measures must be taken: Unexpected adverse events suspected to be caused by the conduct of the research using unapproved or off-label use of drugs, etc. must be reported within 7, 15, or 30 days in accordance with the same criteria as those for clinical trials of medical devices.

Ethical guidelines:

In clinical research that can be conducted under the Ethical Guidelines, use of the medical device is limited within the scope of approval or observational research, etc., and therefore there are no provisions that requires the entity conducting the research to directly report to regulatory authorities. For this reason, information must be shared with the manufacturer based on the procedures for post-marketing malfunction report, etc., and safety reports must be submitted to the regulatory authorities based on the medical device malfunction report in accordance with Article 68-10, Paragraph 1 of the PMD Act, being the manufacturer as the main entity.

8. Laws and regulation on protection of subjects' information (protection of personal information and protection of personal healthcare information)

Protection of Subjects' personal information is regulated by various laws in Japan, beginning with Article 134 of the Penal Code which is considered as a traditional confidentiality obligation imposed on physicians, etc. In recent years, personal information must be properly managed based on the Personal Information Protection Law which includes detailed descriptions ranging from the definition to handling of personal information. It should be noted that the Personal Information Protection Law is not a regulation specific to the conduct of clinical investigation.

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices:

The principles of the General Rules (11) of the Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices stipulate that records that may identify subjects should be protected, giving consideration to the subjects' privacy and confidentiality. In Article 2, use of identification codes assigned to individual

subjects (subject identification code) is stipulated to protect the subjects' confidentiality. It is clearly stated in Article 67: Responsibilities of investigators (case report forms, etc.) that the subject identification codes must be used in report data.

Clinical Trials Act:

In Article 11 of the Clinical Trials Act, it is clearly stated that subjects' privacy must not be leaked to persons who are engaging or have engaged in researches. Also, a term "subject identification code" is used in standard forms prepared by the Ministry of Health, Labour and Welfare in the Clinical Trials Act, and the subjects' personal information is coded before reporting.

Ethical guidelines:

Chapter 9: Basic responsibilities for personal information, samples, and specimens/information from the deceased of the Ethical Guidelines provides basic principles and responsibilities for the handling of personal information. In addition, in the terminology system related to personal information shown in the Guidelines, definitions as personal information, pseudonymously processed information, anonymously processed information, and information related to personal data are used in alignment with the Personal Information Protection Law.

9. Laws and regulations on disclosure of clinical trial data

Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices:

Pursuant to Article 272-2, Paragraph 1 and Article 272-2 of the Enforcement Regulations of the PMD Act, "Disclosure of Information," it was stipulated that "when a clinical trial is conducted, matters of which the World Health Organization requires disclosure and other matters that contribute to ensuring the transparency of the conduct of the clinical trial and the people's choice to participate in clinical trials shall be disclosed in advance."

Based on this regulation, "Registration of Clinical Trial Implementation Status, etc." (PSEHB/PED Notification No. 0831-9, dated August 31, 2020) issued by the Director of Pharmaceutical Evaluation Division, Pharmaceutical Safety and Environmental Health Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare, requires to register information on clinical trials in jRCT when conducting clinical trials.

Clinical Trials Act:

Article 24 of the Enforcement Regulation of the Clinical Trials Act (Publication of information, etc.) requires investigators to register information on clinical trials in the database prepared by the Ministry of Health, Labour and Welfare when conducting clinical trials. In addition, achieving this publication is considered as completion of the information submission to the Minister of Health, Labour and Welfare.

Ethical guidelines:

In the Ethical Guidelines, registration in jRCT for clinical trials involving intervention are required as in Chapter 3, Part 6: Procedures related to research protocol. However, there are provisions that allow information not to be disclosed only if closing the information to public is permitted by the Ethics Review Board and the head of the study site for the purpose of protecting intellectual properties and privacy. In other clinical trials (observational studies, etc.), disclosure is advised as a duty of effort.

The Guidance on the Ethical Guidelines advises that the registration in UMIN-CTR is acceptable.

10. Laws and regulations on digitization of data, etc.

The ER/ES guidelines are to establish usage of electromagnetic records and electronic signatures in clinical studies intended for approval applications. Compliance with the ER/ES guidelines is not required in researches and clinical trials under the Ethical Guidelines that are not intended for approval application.

Appendix: List of laws and regulations and guidance cited in this summary (Order of description)

1. Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (Act No. 145, 1960) (Latest revision: Issued on May 21, 2025)
   Abbreviation: PMD Act
   https://laws.e-gov.go.jp/law/335AC0000000145
   - Article 23-2-5, Paragraph 1: Marketing Approval of Medical Devices and In Vitro Diagnostics
   - Article 23-2-23, Paragraph 1: Certification for Marketing Specially-Controlled Medical Devices
   - Article 14, Paragraph 3: Marketing Approval for Pharmaceuticals, Quasi-Pharmaceutical Products and Cosmetics
   - Article 68-10, Paragraph 1: Reporting Side Effects
   - Article 80-2, Paragraph 6: Handling of Clinical Trials

2. Ministerial Ordinance on Good Clinical Practice for Medical Devices (Ordinance of the Ministry of Health, Labour and Welfare No. 36, 2005) (Latest revision: Enforced April 1, 2025)
   Abbreviation: Ministerial Ordinance on GCP for Medical Devices
   https://laws.e-gov.go.jp/law/417M60000100036

3. ISO 14155:2020 Clinical investigation of medical devices for human subjects — Good clinical practice

4. Examples of points to consider and concepts in use of results from researches in the application for marketing approval of medical devices and regenerative medicine products (June 5, 2024)
   https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001298502.pdf

5. Clinical Trials Act (Act No. 16, 2017) (Latest revision: Enforced on June 1, 2025)
   https://laws.e-gov.go.jp/law/429AC0000000016
   - Article 11: Confidentiality Obligation
   - Article 14: Report to the Minister of Health, Labour and Welfare
   - Article 16-4: Compilation of Information and Conduct of Investigation by PMDA

6. Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects (Updated:

partially revised on March 27, 2023)
Abbreviation: Ethical Guidelines
https://www.mhlw.go.jp/content/001077424.pdf

7. Guidance on Conflict of Interest Management under the Clinical Trials Act (May 15, 2025)
https://www.mhlw.go.jp/content/10800000/001489048.pdf

8. Act on the Protection of Personal Information (Act No. 57, 2003) (Latest revision: Enforced on June 1, 2025)
Abbreviation: Personal Information Protection Law
https://laws.e-gov.go.jp/law/415AC0000000057

9. Medical Practitioners' Act (Act No. 201, 1948) (Latest revision: Enforced on June 1, 2025)
https://laws.e-gov.go.jp/law/323AC0000000201

10. Act on the Safety of Regenerative Medicine (Act No. 85, 2013) (Latest version: Enforced on June 1, 2025)
Abbreviation: Act on the Safety of Regenerative Medicine
https://laws.e-gov.go.jp/law/425AC0000000085

11. ISO 20916: 2019 In vitro diagnostic medical devices — Clinical performance studies using specimens from human subjects — Good study practice

12. IMDRF MDCE WG/N56:2019 - Clinical Evaluation
Terms in this summary: GHTF/IMDRF SG5
https://www.imdrf.org/documents/clinical-evaluation

13. Guidelines for Clinical Investigation of In Vitro Diagnostics (March 30, 2015)
https://jacri-ivd.jp/information/shiryou/798/

14. Enforcement Regulation of the Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (Ordinance No. 1 of the Ministry of Health and Welfare, 1961) (Latest revision: Enforced on December 22, 2025)
https://laws.e-gov.go.jp/law/336M50000100001
    - Article 272-2: Disclosure of Information
    - Article 274-2: Report of Failure Information on Clinical Trials Related to Medical

Appliances or Instruments, etc.

15. Guidance on "Ministerial Ordinance on Good Clinical Practice for Medical Devices" (Partial revision: December 26, 2023)
https://www.pmda.go.jp/files/000266400.pdf

16. Enforcement Regulation of the Clinical Trials Act (Ordinance of the Ministry of Health, Labour and Welfare No. 17, 2018) (Latest revision: Enforced on November 20, 2025)
https://laws.e-gov.go.jp/law/430M60000100017
    - Article 24: Disclosure of Information, etc.
    - Article 56: Reporting of Diseases, etc. to the Minister of Health, Labour and Welfare

17. Registration of the implementation status of clinical trials (August 31, 2020)
https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/000665717.pdf

18. Guidance on the Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects (April 1, 2024)
https://www.mhlw.go.jp/content/001237478.pdf

19. Penal Code (Act No. 45, 1907) (Latest revision: Enforced on June 1, 2025)
https://laws.e-gov.go.jp/law/140AC0000000045/20250601_504AC0000000067
    - Article 134: Disclosure of Secrets

20. Use of Electromagnetic Records and Electronic Signatures for Applications for Approval or Licensing of Drugs, etc. (April 1, 2005)
Abbreviation: ER/ES guidelines
https://www.pmda.go.jp/files/000158308.pdf

Laws and Regulations for Clinical Investigations of Drugs in the United States

Date of preparation: February 20, 2026

Chapter 1: Regulations pertaining to clinical investigations of drugs in the United States

1. Hierarchy of the laws and regulations

1-1. Legal system

In the laws and regulations that support clinical investigations of drugs in the United States, the Federal Constitution is placed at the top, followed by the comprehensive laws related to drugs established by Congress. These laws, in the context of drug development and clinical investigations conducted in the United States, provide authorities of regulatory authorities, obligations a business entity must comply with, and justification for administrative, civil, and criminal proceedings applicable in the event of violations. The Code of Federal Regulations (CFR) puts these higher-level laws into more practical levels to stipulate specific clinical investigation procedures, protection of participants, ethical review, and application procedures in detail. These regulations are legally binding, and companies and research institutions conducting clinical investigations in the United States must plan, review, and conduct clinical investigation and manage records thereof in compliance with these regulations. If a violation is confirmed, not only administrative guidance but also suspension of clinical investigations, suspension of manufacturing/marketing, penal charge, and criminal liability may be imposed.

On the contrary to these higher-level regulations with legal force, guidance documents published by US regulatory authorities serve as aids in the interpretation of the regulations and as specific guidance for the practical operation. Although the guidance documents are not legally binding, it has a strong influence on the actual management of clinical trials and application activities as they suggest the regulatory authority's "current thinking" on how to fulfill the obligations set forth in the regulations and expected review processes. Deviations from the guidance, per se, are not a violation of the law, but additional explanations about the scientific rationale and appropriateness of alternatives are required, which may result in delay in the review and additional requirements.

1-2. Major regulatory authorities

The U.S. regulatory system for drugs consists of the federal agencies. The central agency is the U.S. Food and Drug Administration (FDA), which is a subdivision of the U.S. Department of Health and Human Services (HHS) and has the legal authority to oversee safety, efficacy, and quality of drugs. The FDA’s Center for Drug Evaluation and Research (CDER) is responsible for drug review and oversight and plays a broad role from conducting clinical trials to premarket review and pharmacovigilance.
In addition, the “Common Rule (45 CFR Part 46)” relating to protection of participants applies to federally-funded research, and the HHS’s Office for Human Research Protections (OHRP) is

responsible for its operation and oversight. This serves as common standards for ethical review and protection of participants in human research, not limited to drugs.
In addition, compliance with regulations of Health Insurance Portability and Accountability Act of 1996 (HIPAA) is required in clinical trials in drugs, and these regulations are enforced by the Office for Civil Rights (OCR).

- HHS: Department of Health and Human Services. The Federal Government's agency that governs health and welfare policies in the United States.
  - FDA: The federal agency within HHS. Responsible for safety, efficacy, and quality of food, drugs, cosmetics, medical devices, and radiation-emitting products distributed in the U.S., and for review, licensing, standard formulation, monitoring, and control thereof.
    - CDER: Drug division of the FDA. Responsible for review and approval of drugs for human use (new, generic, and OTC drugs) as well as regulation of manufacturing, labeling, and quality, and post-approval pharmacovigilance. Also responsible for evaluation/approval (Biologics License Application [BLA]), review, and oversight of therapeutic protein monoclonal antibodies and other many therapeutic proteins (e.g. cytokines, enzymes).
    - Center for Biologics Evaluation and Research (CBER): Biological product division within FDA. Responsible for review to Biologics License Application (BLA) of vaccines, blood products, cell and gene therapy, etc. and quality control and safety monitoring.
  - OHRP: Subdivision of HHS. Responsible for protecting the rights, welfare, and safety of participants (human) participating in clinical investigations conducted or funded by the Federal Government. Also responsible for operation of the Common Rule (45 CFR Part 46), which applies to all federally funded researches in human subject (including medical and social sciences).
  - National Institutes of Health (NIH): Subdivision of HHS. The primary agency that funds clinical investigations and conducts researches. Responsible for operation of ClinicalTrials.gov to require registration of clinical trials and publication of information.

2. Regulations applicable to clinical investigations of drugs

2-1. Constitution and Federal statutes

The Constitution of the United States establishes the authority of the Federal Government, and Congress serves as a base for the enactment. The following acts are related to clinical trials and researches:

- Food, Drug, and Cosmetic Act (FD&C Act):
  A basic law which authorizes FDA to review, approve, and regulate drugs, medical devices, etc.
- Public Health Service (PHS) Act:
  Although this act does not impose direct procedural requirements on clinical investigations, but provides important justification for clinical trial registration and result reporting system (ClinicalTrials.gov), measures against illicit acts in researches, and funding and support system for clinical and public health researches, etc.
- FDAAA(Food and Drug Administration Amendments Act):
  Under the act, clinical trial registration in ClinicalTrials.gov and publication of information

are required. Details are provided in 42 CFR Part 11.

- HIPAA:
  A federal law requiring assurance of privacy and security of patients' electronic health information. It requires health care providers and related business entities to appropriately manage Protected Health Information [PHI], take security measures, and notify of information leakage.

2-2. Code of Federal Regulations (CFR)

In conduct of clinical investigations and researches, FDA has established regulations in its jurisdiction in accordance with the FD&C Act, etc., and compiled them as Title 21 of CFR (mainly Chapter I: FDA). They include detailed requirements for clinical investigations and pre-marketing reviews for drugs, medical devices, biological products, and foods, etc., and systematize obligations of sponsors, principal investigator, IRB, and other persons subject to regulations and the FDA operation and procedures.
On the other hand, the Common Rule (45 CFR Part 46) contains basic rules for participant protection that apply to all human subject research conducted, supported, or otherwise subject to regulation by any Federal agency. The HHS' OHRP plays a central role to establish fundamental requirements such as IRB, informed consent, and agencies' compliance assurance, and additional protections of specific populations and IRB registration requirements, where appropriate. The same research may meet the applicable conditions of both FDA regulations and Common Rule. In such a case, requirements of the both regulations should be complied with. Although there are many conditions in common, there are differences in the handling of definitions and exemptions, etc.

- Regulations related to FDA (21 CFR)
  - 21 CFR Part 11: Electronic Records; Electronic Signatures
  - 21 CFR Part 16: Procedures for Regulatory Hearing
  - 21 CFR Part 50: Protection of Human Subjects (Informed Consent)
  - 21 CFR Part 54: Financial Disclosure by Clinical Investigators
  - 21 CFR Part 56: Institutional Review Board(IRB)
  - 21 CFR Part 58: GLP for Nonclinical Laboratory Studies
  - 21 CFR Part 312: Investigational New Drug(IND)Application
  - 21 CFR Part 314: Applications for FDA Approval to Market a New Drug
  - 21 CFR Part 320: Bioavailability and Bioequivalence Requirements
  - 21 CFR Part 601: Biologics License Application (BLA)
- Regulations related to HHS/OHRP (45 CFR Part 46)
  - Subpart A: the Common Rule (IRB, consent, federally-funded study), applicable only if funded by a federal agency
  - Subpart B: Protections for pregnant women, human fetuses, and neonates
  - Subpart C: Protections of Prisoners
  - Subpart D: Protections for Children
  - Subpart E: Requirements for registration of IRB

In addition to 21 CFR and 45 CFR Part 46, major federal regulations relating to clinical investigations and researches of drugs are as follows:

- 42 CFR Part 11

Implementation rules in Section 801 of the Food and Drug Administration Amendments Act (FDAAA) specifies details of registration of applicable clinical trials in and submission of results information to ClinicalTrials.gov, the Responsible Party, the submission deadlines, and legal consequences of failure to comply.

- 45 CFR Part 160 & 164
  As HIPAA's privacy/security rules, PHI handling standards, use and disclosure conditions, individuals' rights, security management, and notification of leakage, etc. are specified. Medical institutions and CROs collect and monitor data using PHI in accordance with these rules.

2-3. Federal guidelines and guidance

The guidance documents issued by FDA and OHRP indicate "FDA's and OHRP's current views" under the laws and CFR. Such guidance is not legally binding and may propose alternative measures which can be adopted on the premise of legal compliance. The FDA and OHRP have issued many guidance documents for clinical trials and researches of drugs. In relation to this, FDA also recommends to comply with ICH-GCP which is published as a position of guidance.

- FDA Guidance
  - Scope: FDA's jurisdiction (including drugs, medical devices, biological products, clinical trials for IND)
  - Put supplement to interpretation of 21 CFR (Parts 50, 56, 312, etc.), GCP (ICH E6) and technical requirements (electronic records and decentralized clinical trials) into practice.
  - It is almost mandatory in practice because it is directly linked to global clinical trials and new drug applications.
- OHRP Guidance
  - Federally-funded research (Common Rule application)
  - Supplement to interpretation of Common Rule (45 CFR Part 46)
  - Includes social science and public health researches outside of FDA regulations. Emphasis on ethics and protection

3. Classification for consideration of applicable regulations

When conducting clinical investigations and researches of drugs involving intervention in the United States, various categories may be included to consider their applicable regulations and guidance. The definition of Intervention is specified in the section "Clinical Trial Definition" of NIH, but regulations applicable to clinical trials are determined not based on the presence or absence of intervention, but based on the factors including the presence or absence of IND application, whether or not the investigation is intended for marketing application, involvement of funding by the Federal Government.

3-1. Regulations on clinical investigations requiring submission of Investigational New Drug (IND)

Clinical investigations requiring IND submission in the United States are regulated in an integrated manner under 21 CFR Part 312. Part 312 covers the full cycle of the IND submission, including scope and definitions, submission requirements, operational changes, safety reporting, annual

reporting, and regulatory actions.

First-In-Human studies of newly developed compounds and subsequent phase 1 to phase 3 investigations are subject to IND under the FD&C Act as a legal requirement to supply and use pre-approval drugs in clinical trials. An IND is required for a clinical investigation using an approved drug if it is reasonably determined that participant risks will be increased due to reasons such as a significant change in dose, addition of a new route of administration, use in a new patient population (e.g., high risk population), or exploratory use to evaluate an unknown effects.

The applicants submits an IND including a clinical trial protocol, pre-clinical data, Chemistry, Manufacturing and Controls (CMC) information, and labeling. FDA will review the safety and adequacy within 30 days of receipt. As a result, a measure to temporarily suspend the start or continuation of a clinical trial (Clinical Hold) may be ordered if there are concerns about the protection of participants or scientific validity.
After the start of the clinical trial, the information is required to be shared with FDA continuously through revision of the protocol for significant changes in the study contents, revision of IND to additionally submit new non-clinical/clinical information, etc., and annual report summarizing the progress of the study and safety information. For safety surveillance, under 21 CFR Part 312.32, expedited reporting of suspected unexpected serious adverse reactions (SUSAR) within 7 or 15 days is mandatory, depending on the nature of the event. A sponsor and investigator are also responsible for investigational drug management, record keeping, reporting to the regulatory authorities and IRB, and others according to their position.
The provisions on labeling to prevent misperception as a marketed drug, prohibition of promotional activities, restriction of onerous supply, etc. will apply to investigational drugs. When a serious problem occurs during a clinical investigation, FDA will take administrative measures such as suspension or discontinuation to given an opportunity for discussion or objection as necessary. In addition, expanded access to provide patients with serious diseases with investigational drugs and acceptance criteria for overseas clinical data are also specified within Part 312.

3-2. Regulations on clinical investigations subject to IND exemption (IND-exempt)

As specified in 21 CFR Part 312.2 (b), IND exemption applies to cases where the investigational drug is lawfully marketed in the United States and the purpose and conduct of the investigation is limited to the extent that no new FDA review is required.
The scope of IND exemption is particularly limited, and even for a clinical investigation using an approved drug, IND is not exempted if it includes a study design that may reasonably be expected to increase the dose, administer to a new patient population, or increase the risk. Also, IND is not exempted if the investigation is intended to be reported to FDA in support of a new indication for use or significant change in the labeling for the drug. These are summarized as the "criteria for determining IND exemption" presented by FDA, and if the sponsor is uncertain about the judgment, it is recommended to have prior consultation with the review division.
In addition, even when the investigation is subject to IND-exempt, review by IRB and compliance with informed consent are required as a requirement for exemption from IND. The provision that prohibits commercial distribution or sales promotion (Part 312.7) applies to investigational drugs.

3-3. Regulations on clinical investigations of biological products and new modalities

In the United States, unlike the category of "regenerative medicine products" in Japan, there is no independent product category in line with drugs and medical devices. Products in which human cells or tissues are used are regulated as Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue-Based Products (HCT/Ps) within the framework of 21 CFR Part 1271. 21 CFR Part 1271 is intended to prevent introduction, transmission, or spread of communicable diseases by HCT/Ps, and in order to realize this, requirements for facility registration and listing, eligible donors, and Current Good Tissue Practice (cGTP) are specified. If the applicable product satisfies all the requirements of 21 CFR Part 1271.10 (minimal manipulation, homologous use, etc.), IND or approval is not required, in principal, focusing on the registration as a 361 HCT/P under Part 1271, donor qualification, cGTP, etc.
On the other hand, if the HCT/P does not meet the criteria of 21 CFR Part 1271.10 (i.e., it is a 351 HCT/P), it is regulated as an existing drug, device, and/or biological product. In practice, as a biologic, the regulations on drugs such as IND (21 CFR Part 312) and BLA apply in addition to CFR Part 1271.

CBER within FDA is responsible for review and oversight of clinical investigations that use biological products or novel modalities (e.g., cell and gene therapy) in the United States. Relevant regulations include 21 CFR Parts 600 – 680 which specify requirements for manufacturing control, quality control, record control, deviation reporting, etc. from development to approval of biological products and require securing the product safety, purity, and potency. CBER reviews both the IND submitted in the clinical phases and the BLA submitted in the final phase, and the safety and efficacy data from the clinical trials is used as the rationale for the final BLA review.

3-3-1. Use of biological products

In clinical trials using biological products (e.g. vaccines, blood products, allergen products, etc.), CMC information such as identity, purity, and potency of the product, raw material and process controls, and rationales for stability are required from an early stage of IND submission.
While the investigation is ongoing, whether changes to the product characteristics or manufacturing process that are made with changes to the protocol or CMC information have an impact on the consistency or interpretation of the data from the clinical investigation should be evaluated continuously. For example, differences in product characteristics associated with lot or scale change may influence reproducibility of the evaluation or interpretation of safety signals. Therefore, a system to show the equivalence using data is important for each change.

3-3-2. Use of new modalities (cell and gene therapy, etc.)

While new modalities such as cell and gene therapy (CGT) are classified as biological products, they have characteristics including personalization, small-scale production, and high sensitivity to manufacturing processes. Therefore, the depth of CMC information required in clinical investigations, the concept of comparability evaluation, and the method of safety evaluation are more characteristic than the conventional biological products.
The IND requires submission of product-specific information according to the risks associated with the product, such as vector characteristics, cell identity, viability, differentiation and function, residual impurities, and off-target assessment at an early phase. In light of these characteristics, FDA and CBER have clarified the concepts of applying the CMC requirements in a phase-appropriate manner, and have shown a more flexible review policy for the scope of GMP in an early phase, establishment of release criteria, and comparability evaluation at the time of process

changes than the conventional products. This also makes it possible to proceed with clinical investigations of CGT that require manufacturing and prompt administration that are tailored to each patient while securing the quality and safety.
On the other hand, in the new modalities, changes in the manufacturing process have a relatively large impact on clinical outcomes. Therefore, it is essential to explain the comparability of the data before and after the changes at each phase of the investigation. FDA continues to publish guidance on concepts of change control and comparability evaluation throughout the product lifecycle, and requires to demonstrate consistency in safety, activity, and efficacy before and after the change using quality, nonclinical, and clinical data from the clinical investigation phases.
In addition, for gene therapy, etc., a long-term follow-up is generally required in a study design, and safety evaluation plan in consideration of vector persistence and delayed risks associated with gene transfer should be formulated in advance at the IND stage. These elements are finally reviewed in the BLA in an integrated manner together with the manufacturing facility and processes.

3-4. Regulations on clinical investigations of combination products

A combination product is defined by FDA as a product combining two or more components, "drugs," "devices," and "biological products," and includes an antibody drug conjugate (ADC) and products combining a drug and a dedicated device.
In a clinical investigation, FDA first determines the primary mode of action (PMOA) for a product to determine whether it should be treated as a drug, device, or biological product. According to the PMOA, either CDER, CBER, or CDRH will be the main review center and determine the applicable regulatory practice for IND/Investigational Device Exemption (IDE). Even for a combination product, a clinical investigation process for either IND (when handled as a drug or biologic) or an IDE (when handled as a device) will be selected, in general.
ADC is usually considered as a combination of "biologic and drug," and clinical investigations are conducted under the regulations on biological products.
For a product combining a drug and dedicated device (e.g., a drug with a built-in delivery system, drug plus light irradiation device, etc.), operability and safety evaluation of the device component needs to incorporated in the clinical trial design in addition to the safety and efficacy evaluation of the drug.

3-5. Phase 1 study (First-In-Human [FIH]/Early phase)

The guidance published by FDA is important as a requirement specific to phase 1 studies (early phase clinical trials) of drugs in the United States. This guidance has been formulated to clarify the minimum information necessary to ensure safety while limiting to the range necessary for the first use in human for nonclinical, CMC, and other information required particularly in early phase clinical trials among the IND components under 21 CFR Parts 312.22 – 312.23. In this guidance, FDA clarifies that the range of submission of non-clinical data and CMC information can be adjusted according to the risks to participants, considering that the requirement level more flexible than that in usual late phase clinical trials can be applicable to phase 1 studies in which the evaluation focuses on securing the safety in the first administration to participants.
In addition, manufacturing control in phase 1 studies are handled more flexibly than that in late phase studies, and FDA has issued a separate guidance called "CGMP for Phase 1 Investigational Drugs." The guidance explains it is sufficient to apply the streamlined GMP

principles to ensure the safety and quality of clinical trials at the phase 1 stage, instead of full-scale GMP that applies to commercial products. This balance ensures participant safety while avoiding excessive burden during the early development stage.

3-6. Studies in orphan drugs

Clear regulations and guidance structure are in place in the United States to support clinical investigations in orphan drug. Rare diseases are characterized by a very small number of patients, less than 200,000 patients in the United States, and often limited knowledge of the disease course and clinical presentation. Because of this background, the system based on the Orphan Drug Act is the core in the United States. When a disease under drug development is designated as a rare disease, companies under development can receive advantages such as development support and market exclusivity for a certain period. In addition, 21 CFR Part 316 was established as a regulation that embodies this system to specify the framework for orphan drug designation procedures, clinical investigation support, benefit of exclusivity period, etc.

FDA has issued several guidance documents on how to proceed with clinical trials specific to rare diseases. Of these, the latest general guidance (Rare Diseases: Considerations for the Development of Drugs and Biological Products) shows FDA's basic concepts on major issues in the development, such as study design, safety evaluation, use of external comparator, and handling of pediatric patients, reflecting issues specific to rare diseases, such as limited number of patients, disease diversity, and uncertainty in disease understanding. FDA also clarifies its policy of using 'maximum flexibility' for rare disease development, with operational considerations to advance development in areas with limited number of patients, including utilization of single-arm study and external comparator group, adjustment of statistical requirements, and simplification of the nonclinical package.

In addition, FDA's Office of Orphan Products Development (OOPD) operates a grant scheme to support clinical investigations for rare diseases. This system continues to invite application for funding programs for clinical investigations in rare diseases with unmet medical needs.

In addition, because rare diseases overlap with fields with more pediatric patients, the system has also been adjusted for Pediatric Research Equity Act (PREA), which requires clinical investigations in children, for example, that exemption from requirements is granted for designated orphan drug indications.

3-7. Regulations on clinical investigations in children

Two Federal statutes of PREA and Best Pharmaceuticals for Children Act (BPCA) play a central role in proceeding with clinical trials in children in the United States. These statutes were established by the U.S. Congress and are operated by FDA.

First, the Pediatric Research Equity Act (PREA) specifies a system requiring business entities to design and conduct clinical trials in children when a certain drug is likely to be used in children. A sponsor must submit an Initial Pediatric Study Plan (IPSP) to FDA in the application for new active ingredients or new indications. The submitted plan will be reviewed by the Pediatric Review Committee (PeRC) within FDA. In parallel with the development in adults, this system requires to obtain necessary data in the pediatric population.

Next, BPCA is a system to promote pediatric development by granting a 6-month period of pediatric exclusivity when a sponsor voluntarily conducts a pediatric study. While PREA is a mandatory system, BPCA is characterized by support to pediatric studies through incentives.

Under the BPCA, the contents of a pediatric study that FDA considers necessary are presented to the sponsor as a Written Request, and if the study is conducted according to this request, an extension of the exclusivity period will be offered.
Regarding the protection of subjects and ethical aspects, 21 CFR Part 50 Subpart D has established the provision where pediatric patients are positioned as a vulnerable participant population. In addition to the requirement of review by IRB, this provision organizes the classification of investigation risks and benefits (e.g., cases where minimal risks, direct benefits are expected, cases where important findings are obtained without direct benefits) and acceptable investigation conditions for each classification. Furthermore, it clearly specifies requirements for parental permission and assent of children and exemption from them.

3-8. Regulations on clinical trials conducted during emergency

In the United States, if a Public Health Emergency (PHE) is declared, FDA will promptly issue specific guidance aiming for balancing continuation of clinical trials and protection of participants. These guidance documents provide specific, flexible measures for operation of clinical trials during emergency. For example, during the time of COVID-19, FDA published a guidance on "Conduct of Clinical Trials for Medical Products during Public Health Emergency" (original in March 2020 and final revision on August 30, 2021). This guidance clearly indicated flexible actions for operations and their concepts required in practice, including remote monitoring, alternative evaluation methods instead of outpatient visit, adjustment of evaluation schedule, and in-home delivery of investigational drugs, on the premise of ensuring participant safety, complying with GCP, and putting the top priority on maintaining trial integrity.
Furthermore, based on the experiences from actions taken for COVID-19, FDA finalized the versatile guidance “Considerations for the Conduct of Clinical Trials of Medical Products During Major Disruptions Due to Disasters and Public Health Emergencies” in September 2023, in anticipation of a wide range of serious disruptive events such as infections, natural disasters, military collisions and bioterrorism natural disasters, in addition to the individual actions against pandemics. This guidance cross-sectionally organizes issues such as decision on trial continuation, remote assessments and use of digital tools, deviation recording and reporting, assessment of impact to statistical analysis and investigational drug management during supply chain disruption. It also features basic principles that can be applied with or without a PHE declaration.

3-9. Regulations on clinical investigations of controlled substances

In the United States, there are important additional requirements regulated by the Drug Enforcement Administration (DEA) in addition to the FDA regulations (IND) when handling controlled substances in clinical trials.
When a controlled substance is used in a research or clinical trial, a researchers (usually the principal Investigator) or institution must obtain a DEA Researcher Registration (DEA Form 225).

Chapter 2: Details of Regulations on Clinical Trials of Drugs in the United States

1. Approval for conducting clinical investigations by the government or regulatory authorities

An IND is usually filed to FDA to start a clinical investigation in which a new drug is administered to humans in the U.S. In principle, the safety and scientific validity are confirmed during the review period of 30 days after FDA receives the IND, and the investigation can be started if there is no notice of suspension from FDA after 30 days.

FDA may issue a Clinical Hold to suspend the start or continuation of the investigation if it determines that there are questions about the participant safety or scientific validity. Typical reasons include serious safety concerns, lack of preclinical safety margins, and critical protocol design deficiencies. To release the hold, the sponsor must resolve the concerns by submitting supplemental data or revising the protocol.

During the investigation, "whether the investigation is appropriately conducted under the conditions of approval" will be continuously inspected by expedited safety reporting (Part 312.32) and appropriate notification of protocol amendments (Part 312.30 and Part 312.31).

2. Approval for conducting of clinical trials by Institutional Review Board (IRB)

IRB review and approval are mandatory when conducting a clinical investigation under FDA regulations in the U.S. This is specified in 21 CFR Part 56, and the initial review, continuing review, and record retention by IRB are required for clinical investigations subject to FDA regulations. The roles of the IRB include protection of participants' rights, safety and well-being, and the review is conducted in accordance with FDA's regulations on informed consent (21 CFR Part 50).

The initial review will cover the protocol, informed consent form, participant information materials, participant recruitment method, compensation procedures, data management, confidentiality, etc. For federally-funded investigations, the Common Rule (45 CFR Part 46), which includes the fundamental policy of participant protection overseen by OHRP, also applies to specify the composition, review criteria, and institutional assurance of IRBs. Under the Common Rule, it is mandatory to use a single IRB (sIRB) in principle, to ensure consistency and acceleration of ethical review.

3. Conflict of interest (COI) in clinical investigations

In the U.S., the system ensures that the financial interests of researchers and institutions involved in clinical investigations do not bias the design, conduct, analysis, and reporting of clinical investigations.

21 CFR Part 54 requires applicants to submit financial interests of each clinical investigator. Such financial interests include outcome-contingent compensation, more than a certain amount of equity or stock in a sponsor (e.g., more than a certain monetary value of listed shares and private equity), and proprietary interest in the investigational product.

In federally-funded investigations, pursuant to 42 CFR Part 50 Subpart F, the research institution requires investigators to disclose their significant financial interests (SFIs) (and those of their spouse and dependent children), and reviews and manages whether they correspond to financial

conflict of interest (COI). The requirements include establishment and dissemination of institutional policies, education of researchers, periodic disclosure of financial interests, management plans and reports of financial COI (to NIH and PHS), and correction actions at the time of violation.

4. Explanation to participants and obtainment of consent, and multilingualization

4-1. Principles in informed consent

If an FDA-regulated clinical trial is conducted in the U.S., informed consent is required in accordance with 21 CFR Part 50 and applies to all FDA regulated clinical trials.
21 CFR Part 50 clarifies the basic elements to be explained to participants at the time of informed consent (the purpose, duration, and procedures of the trial, foreseeable risks and discomforts, reasonably expected benefits, disclosure of alternative treatments, confidentiality and possible FDA inspection, compensation and treatment in the event of injury, contact information, and voluntary consent and rights of consent withdraw). Depending on the nature of the trial, additional elements may be added, such as unforeseeable risks, conditions under which the investigator may terminate participation without consent, additional costs, withdrawal procedures, and notification of significant new information. FDA‘s guidance on the informed consent practice was updated in 2023 to clarify the attitude to deliver the explanation understandable for participants without coercion or undue inducement and put emphasis on the entire process.

4-2. Clinical investigations in children

In investigations in minors, requirements such as assents according to age and maturity level (expression of intention equivalent to consent) and parental consent are required in accordance with the criteria in Subpart D (additional safeguards for children).

4-3. Cases in which exemption from consent is allowed

21 CFR Part 50 includes provisions on the exemption from informed consent under strict conditions.
If the participant is confronted by a life-threatening situation necessitating the urgent use of the investigational drug and has no sufficient time to obtain a consent, the informed consent procedure is temporarily exempted on the conditions of written certification by the attending physician, expedited reporting to the IRB, etc. as an exemption from informed consent in a clinical investigation during emergency.
If all of the following conditions are met, "participation in a clinical trial without informed consent" will be permitted after prior approval by the IRB.

- The participant is life-threatening.
- Informed consent cannot be obtained (from the participant or legal representative).
- No standard of care is effective or available.
- The research is in high scientific need.
- Community consultation and public disclosure before and after the trial

These are FDA's most stringent provisions on exceptions and are rarely used in clinical trials under normal situations.

4-4. Additional requirements in federally-funded investigations

For federally-funded investigations, the provisions on informed consent in the Common Rule (45 CFR Part 46) also apply, which requires a clear presentation of “key information” at the beginning of the consent document, with greater emphasis on ease of understanding.

4-5. Multilingualization

The informed consent process in a language understandable to participants is an explicit requirement under FDA regulations, and any plans in which participants other than English speakers are enrolled are required to incorporate arrangements of translated consent forms and appropriate interpreters.

5. Compensation to participants

The U.S. Federal statutes and FDA regulations do not specify uniform requirements for a sponsor to necessarily provide compensation (medical care or monetary compensation) for research-related injury. Instead, 21 CFR Part 50 clearly specifies explanation and disclosure requirements as essential elements of informed consent: “explanation as to whether any compensation and an explanation as to whether any medical treatments are available if injury occurs (in a research involving more than minimal risk) and, if so, where further information may be obtained.” This is not a mechanism requiring the provision of compensation, but a mechanism requiring transparency of contents and necessity of submission.
FDA's guidance on informed consent (2023) also reorganized the clarification of availability of compensation and medical treatments in the event of research-related injuries, their contents and contact information. In addition, it emphasizes on the avoidance of any wording that may lead to an exculpatory language, the use of wording that is easy to understand, and avoidance of undue inducement or coercion. Specific statements are required, including "openly disclose the fact if no compensation is available (or voluntary insurance)" and "which expenses may be incurred and who are responsible for the payment ."

Similarly, the Common Rule (45 CFR Part 46) requires elimination of undue influence and sufficient provision of information through the framework of explanation and consent. However, it does not establish the obligation to provide compensation itself. Therefore, regardless of the presence or absence of federal funding, "clarifying availability of compensation and its provision process in the informed consent form" is the basis of the actual practice.

6. Reporting of safety information to regulatory authorities

Pursuant to 21 CFR Part 312.32, the sponsor must notify FDA and all participating investigators of significant safety information from clinical trials under IND as soon as possible. The article includes definitions of adverse event (AE), serious, life-threatening, unexpected, suspected adverse reaction and provides the criteria for determining which, when, and how the information is to be delivered.

Reporting deadlines are as follows:

- Death or life-threatening "unexpected suspected adverse reaction": Prompt reporting within 7 days (subsequent supplementary information acceptable)
- Serious "unexpected suspected adverse reactions" other than the above: Prompt reporting

within 15 days

The concept of "suspected" in this context means that there is a reasonable possibility that a causal relationship to the drug is suggested and requires a judgment that goes further than that in AE. "Unexpected" adverse reactions refers to cases where the risk information is not included in the Investigator's Brochure (IB) or IND or inconsistent in terms of severity and specificity.

The sponsor collects safety information from all domestic and overseas studies and information sources, and evaluates the causal relationship in individual cases as well as risks that can be recognized for the first time from the aggregate. The guidance finalized in December 2025, "Sponsor Responsibilities-Safety Reporting Requirements and Safety Assessment for IND and BA/BE Studies" has clarified the practical concept of reporting judgment by determining "the frequency and severity beyond expectations" in aggregate evaluation, not individual cases, for foreseeable serious adverse events (e.g., disease progression and known adverse events).
The responsibilities of the principal investigator are also organized. The guidelines on practical operations, including prompt sponsor reporting of serious adverse events (21 CFR Part 312.64 [b]) and on expedited reporting to the IRB (Part 312.66), are incorporated in the guidance (2025) "Investigator Responsibilities-Safety Reporting for Investigational Drugs and Devices."

For IND-exempt bioavailability (BA)/bioequivalence (BE) studies, serious and unexpected adverse events require expedited reporting to FDA, as specified in these two guidance documents above.
On the other hand, the 7/15-Day expedited reporting per Part 312.32 does not apply to IND-exempt studies other than BA/BE studies, and reporting of "unanticipated problems" mainly by IRB is a basic rule. The establishment of the mechanism of expedited reporting from the IRB to the institution, and from the institution (as needed) to FDA is required under 21 CFR Part 56.108 (b).

7. Protection of participants' information (protection of personal information and protection of personal healthcare information)

Compliance with regulations on the protection of participants is mandatory in the conduct of clinical trials. 21 CFR Part 50 which specifies the requirement to obtain informed consent is applicable to clinical trials under FDA’s regulations, and 21 CFR Part 56 which specifies the IRB composition, review criteria, etc. specifies the IRB review criteria for clinical trials regulated by FDA and requires the initial review, approval, and continuing review by the IRB for certain studies. These criteria are used in the detailed review by the IRB for the confidentiality statement in the informed consent form (including statement of FDA inspection visibility) and handling of personal information during the study.
Additionally, for studies involving PHI, in accordance with the HIPAA Privacy Rule (45 CFR Part 164 Subpart E), HIPAA patient authorization is required in principle, and special data protection measures, such as waiver/alteration by approval of the IRB/Privacy Board are required even if authorization is not required. The regulation has organized data minimization options such as de-identification and limited data sets plus data use agreement (DUA).

8. Disclosure of clinical trial data (publication of registration/results)

In the U.S., the registration and result publication through ClinicalTrials.gov is required by the law (FDAAA 801/42 CFR Part 11). In an applicable clinical trial (ACT), registration within 21 days of participant enrollment and result submission within 12 months of the completion of data collection of the primary endpoint are required. Phase 2 and later controlled clinical investigations apply to ACT, and phase 1 investigations are excluded in principle.

Because of NIH funds and International Committee of Medical Journal Editors (ICMJE) recommendations, registration is often required in practice even in the investigations that are not subject to the laws and regulations. FDA strives to secure transparency through monitoring activities such as certification of compliance by Form FDA 3674, a Bioresearch Monitoring Program (BIMO), and other enforcement frameworks such as a Compliance Management Program (CMP). The main public registry equivalent to jRCT in Japan is ClinicalTrials.gov in the U.S., and early and accurate registry operation is essential in anticipation of global studies, applications for marketing approval, and academic presentations.

9. Laws and regulations on electronization of data, etc.

In the United States, data electronization in clinical investigations of drugs is regulated mainly by 21 CFR Part 11 which specifies handling of electronic records and electronic signatures. Part 11 is intended for storage of electronic data in a format that allows review by regulatory authorities with the reliability and integrity equivalent to those of paper media and applies to electronic records that are prepared, maintained, and submitted in accordance with the regulatory requirements among the records electronically generated and stored, such as electronic data capture (EDC), electronic case report form (eCRF), electronic signatures, and audit trail used in clinical investigations.

Appendix: List of laws and regulations and guidance cited in this summary (Order of description)

1. Federal Food, Drug, and Cosmetic Act, Section 505 and Section 745(a)
   Abbreviation: FD&C Act
   Japanese translation: Food, Drug and Cosmetic Act
   https://www.govinfo.gov/content/pkg/COMPS-973/pdf/COMPS-973.pdf

2. Public Health Service Act
   Abbreviation: PHS Act
   Japanese translation: Public Health Service Act
   https://www.govinfo.gov/content/pkg/USCODE-2011-title42/html/USCODE-2011-title42-chap6A.htm

3. Food and Drug Administration Amendments Act of 2007
   Abbreviation: FDAAA
   https://www.congress.gov/crs-product/RL34465?q=%7B%22search%22%3A%22FDAAA%22%7D&s=1&r=10

4. Health Insurance Portability and Accountability Act of 1996
   Abbreviation: HIPAA
   Japanese Translation: Health Insurance Portability and Accountability Act
   https://aspe.hhs.gov/reports/health-insurance-portability-accountability-act-1996

5. 21 CFR Part 11 — Electronic Records; Electronic Signatures
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-11

6. 21 CFR Part 16 — Regulatory Hearing Before the Food and Drug Administration
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-16

7. 21 CFR Part 50 — Protection of Human Subjects (Informed Consent)
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-50

8. 21 CFR Part 54 — Financial Disclosure by Clinical Investigators
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-54

9. 21 CFR Part 56 — Institutional Review Boards
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-56

10. 21 CFR Part 58 — Good Laboratory Practice for Nonclinical Laboratory Studies
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-58

11. 21 CFR Part 312 — Investigational New Drug Application
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-D/part-312
    - 312.2(b)
    - 312.6

- 312.8
- 312.22-23
- 312.30-33
- 312.50
- 312.53
- 312.56
- 312.57
- 312.60–68
- 312.110

12. 21 CFR Part 314 — Applications for FDA Approval to Market a New Drug
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-D/part-314

13. 21 CFR Part 320 — Bioavailability and Bioequivalence Requirements
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-D/part-320

14. 21 CFR Part 601 — Applications for FDA Approval of a Biologic License
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-F/part-601

15. 45 CFR Part 46 — Protection of Human Subjects
    https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-A/part-46
    - Subpart A: the Common Rule (IRB, consent, federally-funded study)
    - Subpart B: Protections for pregnant women, human fetuses, and neonates
    - Subpart C: Protections of Prisoners
    - Subpart D: Protections for Children
    - Subpart E: Requirements for registration of IRB

16. 42 CFR Part 11 — Clinical Trials Registration and Results Information Submission
    https://www.ecfr.gov/current/title-42/chapter-I/subchapter-A/part-11

17. 45 CFR Part 160 — General Administrative Requirements
    https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-C/part-160

18. 45 CFR Part 164 — Security and Privacy
    https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-C/part-164

19. INDs — Determining Whether Human Research Studies Can Be Conducted Without an IND Abstract Language: IND Exemption Criteria
    https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/investigational-new-drug-applications-inds-determining-whether-human-research-studies-can-be

20. 21 CFR Part 1271 – Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue-Based Products(HCT/P)
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-L/part-1271

21. 21 CFR Part 600-680 — Biologics
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-F

22. Content and Format of Investigational New Drug Applications (INDs) for Phase 1 Studies
https://www.fda.gov/media/72057/download

23. Current Good Manufacturing Practice for Phase 1 Investigational Drugs
Abstract Language: CGMP for Phase 1 Investigational Drugs
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/current-good-manufacturing-practice-phase-1-investigational-drugs

24. 21 CFR Part 316 — Orphan Drugs
https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-D/part-316

25. Rare Diseases: Considerations for the Development of Drugs and Biological Products
https://www.fda.gov/media/119757/download

26. Pediatric Research Equity Act
Abbreviation: PREA
https://www.fda.gov/drugs/development-resources/pediatric-research-equity-act-prea

27. Best Pharmaceuticals for Children Act
Abbreviation: BPCA
https://www.fda.gov/drugs/development-resources/best-pharmaceuticals-children-act-bpca

28. Considerations for the Conduct of Clinical Trials of Medical Products During Major Disruptions Due to Disasters and Public Health Emergencies
https://www.fda.gov/media/172258/download

29. 42 CFR Part 50 — Policies of General Applicability
· Subpart F: Conflict of Interest
https://www.ecfr.gov/current/title-42/chapter-I/subchapter-D/part-50/subpart-F

30. Informed Consent
Abstract Language: Practical Guidance for Informed Consent
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/informed-consent

31. Sponsor Responsibilities—Safety Reporting Requirements and Safety Assessment for IND and Bioavailability/Bioequivalence Studies Guidance for Industry
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/sponsor-responsibilities-safety-reporting-requirements-and-safety-assessment-ind-and

32. Investigator Responsibilities – Safety Reporting for Investigational Drugs and Devices
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/investigator-responsibilities-safety-reporting-investigational-drugs-and-devices

Laws and Regulations for Clinical Investigations of Medical Devices in the United States

Date of preparation: February 20, 2026

Chapter 1: Regulations pertaining to clinical investigations of medical devices in the United States

1. Hierarchy of the laws and regulations

1-1. Legal system

The medical device regulations in the United States consist of a hierarchy of more than one legal systems.

(1) Federal statutes-Highest source of law

The Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (FD&C Act) serves as the core of medical device regulation, and provisions for medical devices were organized by the Medical Device Amendments of 1976. The FD&C Act provides a basic framework of definitions, premarket reviews, post-market surveillance, penalties in the event of violations, etc. for medical devices.

(2) Code of Federal Regulations (CFR)-Regulations to implement the law

The regulations that embody the FD&C Act are incorporated in Title 21 CFR. When conducting a clinical trial of a medical device, 21 CFR Part 812 serve as the core, but the relevant provisions are also strictly stipulated, thus needing to widely deal with them according to the objectives of the investigation.

The following parts are particularly important in the field of medical devices:

- 21 CFR Part 11: Validation of electronic records and electronic signatures
- 21 CFR Part 50: Informed consent requirements
- 21 CFR Part 56: Protection of subjects/IRB requirements and IRB operations
- 21 CFR Part 803 (Medical Device Reporting): Postmarketing reporting of adverse events and malfunctions
- 21 CFR Part 54 (Financial Disclosure by Clinical Investigators): Collection and submission of financial interest of clinical investigators
- 21 CFR Part 892: Classification of radiology devices
- 21 CFR Part 807 (510 (k)): Premarket notification
- 21 CFR Part 809: Label and labeling requirements for In vitro diagnostic (IVD) products

- 21 CFR Part 812 (Investigational Device Exemption [IDE]): The core regulation for the conduct of clinical trials, including SR/NSR determination, IDE application/exemption, monitoring, recording/reporting (of unanticipated device-related adverse events, etc.), Investigator Agreement, and Financial Disclosure
- 21 CFR Part 814 (Premarket Approval): Approval system for high-risk medical devices
- 42 CFR Part 11 (ClinicalTrials.gov): Registration and results disclosure of applicable clinical trials
- 45 CFR Part 46 (Common Rule): Common rules for protection of subjects applicable to research including federal funding

These CFRs are operated by the U.S. Food and Drug Administration (FDA) and are legally binding.

(3) FDA Guidance Documents-Working Practice Standards

Although the guidance documents are not legally binding, they provide FDA's views and interpretation of regulations and practical expectations. Applicants generally prepare application documents in accordance with the guidance. Failure to follow the guidance is subject to proof of its own scientific validity. There are many types of guidance documents, and those related to the conduct of clinical trials in medical devices are summarized as shown below.

- Design Considerations for Pivotal Clinical Investigations for Medical Devices(2013, Final)
- Adaptive Designs for Medical Device Clinical Studies(2016, Final)
- Investigational Device Exemptions (IDEs) for Early Feasibility Medical Device Clinical Studies(2013, Final)
- Significant Risk and Nonsignificant Risk Medical Device Studies(2006, Final)
- Evaluation and Reporting of Age-, Race-, and Ethnicity-Specific Data in Medical Device Clinical Studies(2017, Final)
- Electronic Source Data in Clinical Investigations(2013, Final)
- Use of Electronic Informed Consent(2016, Final)
- Electronic Systems / Electronic Records / Electronic Signatures in Clinical Investigations: Q&A(2023, Draft)
- Oversight of Clinical Investigations — A Risk-Based Approach to Monitoring(2013, Final)
- Processes and Practices Applicable to Bioresearch Monitoring (BIMO) Inspections(2025, Final)
- Financial Disclosure by Clinical Investigators(2013, Final)
- Investigator Responsibilities – Safety Reporting for Investigational Drugs and Devices(2025, Final)

1-2. Major regulatory authorities

The U.S. regulatory system for medical devices consists of the federal agencies. Food and Drug Administration (FDA), a subdivision of the U.S. Department of Health and Human Services (HHS), is the core of the system and has the legal authority to oversee the safety, effectiveness, and quality of medical devices. Center for Devices and Radiological Health (CDRH) within FDA is primarily responsible for reviewing and overseeing medical devices. Regulatory purposes for medical devices include premarket review, manufacturing and quality control, postmarket surveillance, and reporting of adverse events.

In addition, the “Common Rule (45 CFR Part 46)” relating to protection of participants applies to federally-funded research, and HHS’s Office for Human Research Protections (OHRP) is responsible for its operation and oversight. This is a uniform standard not only for medical devices, but also for ethical review of clinical trials in human and protection of participants.

■ List of main institutions:

- FDA
  - CDRH: Responsible for evaluation, approval, and postmarketing surveillance of medical devices
  - Center for Biologics Evaluation and Research (CBER): Responsible for regulations of some combination products, etc.
- OHRP: Operation and oversight of the Common Rule
- Office for Civil Rights (OCR): Enforcement of the Privacy Rule and Security Rule of the Health Insurance Portability and Accountability Act of 1996 (HIPAA)

2. Classification for consideration of applicable regulations

When conducting clinical trials of medical devices involving intervention in the United States, various categories may be included to consider their applicable regulations and guidance. The definition of Intervention is specified in the section "Clinical Trial Definition" of NIH, but regulations applicable to clinical trials are determined not based on the presence or absence of intervention, but based on the factors including the presence or absence of IND/IDE, whether or not the investigation is intended for marketing application, involvement of funding by the Federal Government.

2-1. Regulations applicable to clinical trials that are intended for the application for marketing approval

Clinical investigations intended primarily for obtaining marketing authorization (in particular, Premarket Approval [PMA] of Class III medical devices) are focused on the quality of the clinical evidence and the compliance of the application format that can withstand the scientific and regulatory review by the FDA (CDRH) to which the submission is made. Regulations including 21 CFR Part 812

(IDE), Part 50 (IC), Part 56 (IRB), and Part 11 (electronic records) must be complied with when conducting a clinical trial. On the other hand, the essential elements of the structure and summary (indication, device description, alternative therapy, market history, etc.) of the clinical and nonclinical data in the PMA application are specified in 21 CFR Part 814 (particularly Part 814.20). It is important to design and operate the investigation by organizing the relationship between the implementation regulations (Part 812, Part 50, Part 56, and Part 11) and the application regulation (Part 814). While a pivotal study is often planned and conducted as a precursor to PMA, the study design clarifies the primary endpoint, statistical plans, comparator selection, and bias control with reference to the FDA guidance (Design Considerations for Pivotal Clinical Investigations). The framework of monitoring and actions against non-conformance/deviations plans prioritization of critical data/processes and central monitoring, etc. based on Risk-Based Monitoring (2013, Final) and Q & A (2023). In addition, the definition, severity, and reporting procedures for protocol deviations have been well organized in recent guidance and they are important to ensure data integrity that can withstand approval.

2-2. Regulations applied to clinical trials that are not intended for the application for marketing approval

2-2-1. IDE for the conduct of clinical trials

An application for Investigational Device Exemption (IDE) is required even if a clinical trial that is not intended for approval but intended for evaluation of the safety and effectiveness of the medical device. An IDE is an FDA exemption for the use of unapproved devices in humans, and an approved allows exemption from marketing authorization requirements (e.g., 510 (k), registrations/listings, and most parts of Good Manufacturing Practice [GMP]) and the efficient conduct of clinical trials (e.g., IDE exemption from 812.2 (c) for diagnostic devices). However, the detailed requirements for an IDE have in common regardless of the intention for marketing approval or not, and are detailed in the following sections.

2-2-2. Regulations based on risk classification

- Significant Risk (SR): IDE submission required
- Non-Significant Risk (NSR): IRB approval required in accordance with Abbreviated IDE
- Exempt: IDE exemption if the conditions such as noninvasive diagnosis are met

When conducting a clinical investigation of medical device that is not intended for approval, for a medical device corresponding to SR, a sponsor must file an application for IDE to FDA before starting the investigation, and Institutional Review Board (IRB) will make a final judgment on the risk suggested by the sponsor.

SR refers to the investigational device with the potential of serious risks to participants' health, safety, or welfare due to the following reasons under the IDE regulations: (1) implants, (2) professing life support and maintenance, (3) important uses in diagnosis, treatment, etc., and (4) other reasons. The decision as to whether or not a medical device is classified as SR is made depending not only on own

specific characteristics of the device but also on the method of use in the protocol (how to use the results, additional procedures, influence on clinical judgment).

However, if a medical device has limited risks and classified as NSR, an IDE submission to FDA is not required, but clinical trials are conducted under the IRB approval in accordance with the Abbreviated IDE.

Additionally, investigations that fall under the exempted investigation described in 21 CFR Part 812, such as use of a marketed device in accordance with its labeling and use of a diagnostic device under a specific condition without invasive procedures and energy transfer, are exempt from the IDE itself.

2-3. Classification of medical devices requiring clinical investigations

2-3-1. Classification

Classification	Summary	Example of applicable device	Necessity of submission of clinical data (results from clinical trials)
Class I	• Medical devices with the lowest risk • General Controls alone ensure safety and effectiveness. • Mostly 510 (k) exempt	Bandage, gauze, elastic bandage, examination gloves, etc.	Mostly requiring no clinical trials (mostly 510 (k) exempt and general controls only)
Class II	• Moderate risk • General Controls + Special Controls • Mostly 510 (k) required	Sphygmomanometer, syringe, catheter infusion pump, CT scanner, pregnancy testing drug, contact lens (soft, daytime wear), etc.	• Necessity and extent of clinical data are determined individually according to the characterization and claimed performance of the product item (mostly required proof of equivalence). • Subject to De Novo classification for novel medical devices lacking predicate device with low to moderate risks
Class III	• Medical devices with the highest risk device • Medical devices relating to life support or maintenance, or with serious risks • PMA required	Pacemakers, artificial heart valves, orthopedic implants (artificial joints, etc.), etc.	Submission of clinical trial results (clinical trial data) is usually required.

- 510 (k) (21 CFR Part 807): A system that requires the proof of substantial equivalence

- De Novo (21 CFR Part 860): For novel medical devices with low to moderate risks
- PMA (21 CFR Part 814): Strict approval system for medical devices with high risks

FDA has granted 510 (k) exemption for many Class I and some Class II medical devices. This is because the safety and effectiveness of the device is considered to be well understood and reasonably assured by the General Controls. However, there are general limitations to the exemption, and Class I devices designated as reserved devices or with any significant changes in the indications or technology may not be exempted. As a rule, applicability or limitations to the exemption must be confirmed with FDA Product Classification Database for each product item (product code).

In addition, De Novo classification is an application route for medical devices with low to moderate risks (equivalent to Class I/II devices) that lack predicate devices (appropriate existing devices). Although clinical trial data are not always required, FDA may require the submission of clinical data if reasonable assurance of safety and efficacy is difficult to be demonstrated only by the novelty and risk characteristics of the device and non-clinical data. The scope of the necessary data is determined flexibly according to the risks. De Novo classification establishes a new Class I/II device classification and product code and creates a predicate for future 510 (k)s.

In the US, there is no system equivalent to Notified Body (NB) in EU, but there is a system to improve the review efficiency in some medical devices with low to moderate risks by making use of third party review, investigation, and audit. In all cases, the final decision on marketing authorization is retained by FDA.

- **3P510k(3P510k/Accredited Persons):**

  A 510 (k) Substantial Equivalence (SE) or Not Substantial Equivalence (NSE) is reviewed by an FDA-recognized third party in some of the Class I/II devices, and the final decision is made by FDA. This does not apply to De Novo and PMA. This program was established based on §523 of the FD&C Act (21 U.S.C. §360m), and the applicable items are designated and disclosed by FDA.

- **ASCA(Accreditation Scheme for Conformity Assessment):**

  Specification tests certified by FDA, such as electrical safety, electromagnetic compatibility (EMC), and biocompatibility, are performed in ASCA-certified laboratories to streamline the re-verification process during the review. It is not a system for making a final decision on conformance assessment of products by a third party, but by FDA.

- **MDSAP(Medical Device Single Audit Program):**

Quality Management System (QMS) audit reports by a third-party auditing organization are accepted by FDA as a substitute for routine inspections (excluding “for cause” and pre-PMA audits, etc.).

3. In vitro diagnostic products

3-1. Handling of in vitro diagnostic products in the United States

The U.S. FDA defines in vitro diagnostic products (IVD) as “reagents, instruments, and systems used in human specimen (collection, preparation, and testing) for the purpose of the diagnosis of disease or other conditions, including a determination of the state of health” in 21 CFR Part 809, and classifies them as “medical devices” under the FD&C Act.

Classification	Summary	Example of applicable device
Class I	• Low risk • An IVD in which the safety and efficacy may be assured by General Controls alone • Mostly 510 (k) exempt	• General clinical laboratory reagents • General-purpose reagents (buffer, diluent, etc.) • Reagents for some urine pregnancy tests
Class II	• Moderate risk • General Controls + Special Controls required • 510 (k) premarket notification required mostly	• Blood glucose test systems • Immunological test systems • Rapid diagnostic testing kits for infectious diseases (influenza, etc.)
Class III	• High risk • IVD products for which a false result may directly lead to patient's life or serious health hazard • PMA required in principle	• IVD products for definitive diagnosis of serious infection such as HIV, HBV, and HCV • Companion Diagnostics • Tumor genomic profiling by NGS

In light of the compilation of technical data for an application, an IVD often is focused on analytical validity, which may obviate or limit the need for clinical performance, depending on the novelty, risk, or clinical environment, if the non-clinical data (sensitivity/specificity/reproducibility, cross-reactivity, interference/cross-reactivity, etc.) is sufficient to match the product's performance characteristics (how well the test performs in the assay). On the other hand, clinical performance studies are required for new reaction principles, intended use at high clinical risks, and result assessments directly relating to patient treatment strategies.

When conducting a clinical investigation in human to obtain clinical performance data, in principle, an IDE is applicable, and the investigated IVD is subject to IDE if it meets the following four conditions:

- Non-invasive (general low-risk procedures such as blood sampling may not be applicable)
- Does not require Invasive sampling/collection that present significant risk (e.g., cerebrospinal fluid collection)

- Do not introduce energy into a subject (e.g., radiation, ultrasound, electrical stimulation)
- Is not used as a sole diagnostic procedure without confirmation by another established diagnostic procedure

If this exemption does not apply, the IRB must determine whether the investigation has SR or NSR, and if SR is detected, the clinical investigation is conducted under the FDA approved IDE. For NSR, it is conducted under the abbreviated IDE requirements.

3-2. Clinical performance study for an IVD

3-2-1. Required studies

Clinical performance studies required for an IVD in the U.S. are those conducted to show how accurately the test can distinguish diseases in real world settings, including prospective clinical performance studies in which patient samples are prospectively collected in a clinical setting and compared with the Golden Standard method for the evaluation of Positive Percent Agreement (PPA) and Negative Percent Agreement (NPA); retrospective studies to reproduce the actual clinical case spectrum using existing residual specimens or sample banks to confirm accuracy; bridging studies to supplement additional subgroup information and differences in use conditions; and combined usability study to confirm operability and misuse risks in combination with clinical performance in anticipation of OTC, home and POC testing. All of these studies are designed based on FDA's views on the clinical performance evaluation (PPA/NPA presentation, validity of comparison method, reproducibility of use environment), together with various clinical verifications such as prospective, retrospective, and operability evaluation to lay out the necessary clinical evidence for premarket review (IDE).

3-2-2. Reporting of adverse reactions

In the U.S., an IVD is a medical device, which is not included in the adverse drug reaction reporting system but in the Medical Device Reporting (MDR) including reporting of device malfunctions and adverse events. If the clinical performance study for an IVD is conducted under an IDE, events that correspond to adverse reactions are treated as an "unexpected adverse device effect (UADE)" and expedited reporting to FDA and IRB by the sponsor is required under 21 CFR Part 812.

Chapter 2: Details on the regulations for clinical investigation

1. Laws and regulations on approval for conducting clinical studies by the government or regulatory authorities

In the U.S., when conducting a clinical investigation of an unapproved medical device or medical device with new intended use, approval of an IDE application prior to beginning clinical investigations is required in accordance with 21 CFR Part 812 stipulated by FDA.

If the medical device used in a clinical investigation falls under the category of "SR devices," the investigation cannot be started until the sponsor submits an IDE application to FDA, and the conditions specified in 812.30 (e.g., 30 days after the receipt by FDA) are satisfied. On the other hand, for investigations of medical devices that fall under the category of "NSR devices," an IDE application to FDA is not required, but clinical investigations can be started by obtaining approval from the IRB at the study site while complying with the abbreviated IDE. For clinical investigations applicable to IDE, the protocol, subject protection, monitoring, reporting requirements, labeling, etc. must comply with requirements in 21 CFR Part 812 (e.g., labeling in 812.5, monitoring in 812.46, recording in 812.140, reporting in 812.150, etc.).

The point for which FDA requires IDE approval for the conduct of a clinical investigation of a medical device that falls under SR device is similar to the clinical trial notification system in Japan. In Japan, there are no provisions for approval, etc. because the PMDA's inspection is completed within a certain period after the notification was filed to PMDA. However, if the IDE is approved by FDA under 21 CFR 812, FDA will notify the sponsor in writing as a legally binding administrative decision (order) (812.30 (a)).

2. Compliance with ISO 14155

Clinical investigations of medical devices are conducted in the U.S. mainly in accordance with 21 CFR (e.g., Part 812). At least the major provision (21 CFR 812.28) defining GCP specifies the rules as a framework including review by the Institutional Ethics Committee (IEC)/continuing review, and informed consent, and ISO 14155 is not directly referred to.

On the other hand, FDA has published ISO 14155:2020 as Recognized Consensus Standard. While the recognized consensus standard is a framework that can be utilized in supporting data of the medical device in a form of Declaration of conformity, etc., it is not a legal basis for substituting clinical trial requirements in the United States. The conduct of clinical trials and acceptance of data are based on the requirements set forth in 21 CFR (Statement of Compliance with Part 50/Part 56/Part 812 for investigations in the United States and Statement of Compliance with GCP as defined in 812.28 for investigations outside the United States).

Therefore, ISO 14155:2020 does not replace the U.S. CFR requirements, but is consistent as a supportive framework for operation and documentation because it is consistent in many aspects with the GCP framework defined in 21 CFR 812.28 in terms of protection of participants, assurance of data reliability, monitoring, and necessity of ethical review.

3. Process and laws and regulations for approval of conducting researches by Ethical Review Board and IRB

Clinical investigations of medical devices in the U.S. are conducted under a framework based on respective legal requirements, including ethical review by the IRB (21 CFR Part 56) and FDA's IDE regulations (21 CFR Part 812). In principle, FDA-regulated clinical investigations are required to obtain IRB approval and appropriate informed consent from participants. For SR devices, FDA

requirements must also be satisfied in the FDA's IDE procedures (however, there are regulatory exceptions in the IRB review and informed consent). This is a central mechanism to protect the safety and rights of participants and to ensure the quality and reliability of clinical data to be obtained.

The IRB is an independent ethical review board responsible for protection of study participants in FDA-regulated clinical investigation. 21 CFR Part 56 specifies the IRB's composition, responsibilities, review procedures, and continuing review. In particular, 21 CFR 56.103 (excluding exceptions in 56.104, 56.105, and others) specifies that clinical investigations in which a prior submission is required to FDA (for example, those subject to Part 812) can only be initiated after the initial and continuing review by the IRB review. Additionally, 21 CFR 50.20 specifies basic rules of informed consent (requirements of subject consent except for exceptions including 50.22, 50.23, and 50.24).

In addition, the Common Rule (45 CFR Part 46) also applies if a clinical investigation is funded by the Federal government or subject to implementation, support, or regulation. 45 CFR 46.101 specifies that this policy applies to all research involving human subjects conducted, supported, or subject to regulation by any Federal department or agency (with the exception of research eligible for exemption under 46.104). In addition, 45 CFR 46.103 specifies that Compliance Assurance for research covered by this policy must be submitted to OHRP. Therefore, if a medical device clinical investigation is applicable to both the FDA regulation (e.g., 21 CFR Part 50, 56, and 812) and the Common Rule (45 CFR Part 46), a so-called dual compliance is required. The IRB confirms whether the requirements of the Common Rule in addition to the requirements under FDA regulations are met to evaluate the ethical validity of the entire research.

In clinical investigations of medical devices, the procedure is diverged by whether the device falls under SR or NSR. If the IRB considers that it falls under SR, the IRB must notify the investigator and sponsor as appropriate pursuant to 21 CFR 812.66, and the sponsor cannot start the investigation unless the sponsor follows the framework of 21 CFR 812.30 (a). If a medical device is considered to fall under NSR, an IDE application to FDA is not required in principle in accordance with the abbreviated IDE requirements of 21 CFR 812.2 (b) (except for the case when FDA requires an application under 812.20 (a)). In this case, the IRB continuously monitors the investigation through continuing review, etc.

4. Laws and regulations on conflict of interest (transparency)

In the U.S., conflict of interest (COI) of clinical investigators involved in clinical investigations of medical devices is an important issue directly affecting the reliability of study data and protection of subjects, and is strictly controlled under 21 CFR Part 54. The purpose of this regulation is to exclude the possibility that the financial interest of investigators may influence the results of clinical trials, and to ensure the transparency and reliability of clinical data to be submitted.

21 CFR Part 54 requires that sponsors (applicants) report financial conflict of interest of any clinical investigators involved in a clinical investigation that is relied on by a marketing application for a

medical device submitted to FDA (e.g., PMA, 510 (k), reclassification applications). The conflict of interest specified herein includes performance-linked compensation that may increase or decrease depending on the study results, significant payments to the sponsor company (payments of 25,000 dollars or more in total during the study period plus one year after the completion of the study, consulting fee, provision of facilities, etc.), significant ownership of stocks such as the sponsor company, and intellectual property rights such as patents, licenses, etc. related to the study device. Since these financial interests may affect the judgment of investigators, FDA considers the disclosed financial information when FDA evaluates the reliability of clinical data submitted, together with information such as study design and purpose, and information obtained from on-site inspections.

5. Laws and regulations on explanation for consent, acquisition of consent, and multilingualization

In the United States, 21 CFR Part 50 requires Informed Consent requirements for conducting clinical investigations of medical devices. Part 50 applies to FDA-regulated clinical investigations in human subjects and serves as a basic principle to protect the rights, safety and well-being of subjects, regardless of medical device, drug, or biological product.

This regulation is intended to allow participants to make an informed and voluntary decision about participation in investigation and plays a central role in medical device clinical trials conducted in the United States.

Information that participants can fully understand when participating in the investigation is required to be provided. The regulation specifies that the informed consent form and relevant documents must be provided in a language that participants can understand. Specifically, 21 CFR 50.20 states that informed consent form is required to "be provided in a language understandable to subjects or the subject's legal representative." FDA Informed Consent Guidance (August 2023) is recommended as a guide about views on the informed consent from non-English speakers, etc.

21 CFR 50.20 and 50.25 have organized that the investigator “must obtain a legally effective informed consent” before involvement of a clinical trial subject in research. In addition, they specifies that an investigator shall seek such consent only under circumstances that provide the prospective subject or the representative sufficient opportunity to consider whether or not to participate and that minimize the possibility of coercion or undue influence. The document must contain core contents, such as research objectives, foreseeable risks and discomforts, potential benefits, alternative procedures, privacy protection, compensation and treatment availability, and contact information.

Furthermore, in the U.S., the IRB will also review the appropriateness of the informed consent process in accordance with 21 CFR Part 56. The IRB is required to confirm not only the ethical nature of the study design but also whether the written information is easy to understand for subjects, unnecessarily professional, and whether the requirements for protection of subjects are met. Clinical trials cannot be started without IRB’s approval of the informed consent form by the IRB, and monitoring will be continued during the study period.

In the US, the informed consent requirements under Part 50 apply even if a medical device clinical trial is conducted under an IDE. The IDE regulations requires investigators and sponsors to monitor safety and manage labeling, and record keeping; however, informed consent is the core of subject protection, and therefore, compliance is required regardless of whether an IDE submission is required. In addition, when a UADE occurs, the contents of the consent may be revised during the study period, for example, where expedited reporting to the IRB and revision of the contents of the consent form is needed as necessary.

6. Laws and regulations on compensation to subjects

In the United States, although the handling of compensation for a research-related injury in a clinical investigation of a medical device and contents of the compensation system itself are not stipulated by Federal statutes, they are specified in the requirements of informed consent under on 21 CFR Part 50. FDA requires clear explanation of what treatment and compensation subjects can receive for injuries or disadvantages that may occur during a clinical investigation, which is a requirement of the CFR for the compensation system in the United States.

FDA's informed consent regulations under 21 CFR Part 50 require that the basic elements to be included in the consent form are an explanation as to whether any compensation and medical treatments are available if injury occurs and, if so, what they consist of, or where further information may be obtained.

In the U.S., contents of the compensation depend on the sponsor, study site, insurance policy, etc. However, FDA puts emphasis on transparency of compensation and accountability so that the participants are not disadvantaged. For this reason, it is essential to clearly state whether compensation will be provided, the scope of compensation, procedures for compensation, persons who bear medical expenses, etc. at the stage of informed consent. Failure to do so may result in the IRB not approving the informed consent form and not approving the clinical investigation.

7. Laws and regulations on reporting of safety information to regulatory authorities

Reporting of safety information on medical devices in the U.S. to regulatory authorities consists of two layers: expedited reporting and continuing review of UADE, etc. during clinical investigation and reporting of deaths, serious injuries, and serious malfunctions within the due date during the post-marketing period. Reporting subjects, due date, and formats are clearly defined, and prompt and comprehensive safety management is promoted in cooperation with the IRB, FDA, and sponsor.

7-1. Safety Reporting During Clinical Trial Conduct (Under IDE)

The IDE regulations require safety control, record keeping, and reporting in the evaluation of unapproved medical devices and those with a new intended use in humans. The sponsor must report certain safety events to both the IRB and FDA within the required timeframe. UADE is treated as a serious and unexpected device-related adverse event and requires prompt notification and correction. After review and approval of the IDE, significant deviations and significant changes are subject to

prior reporting and also require annual and progress reporting. The IRB will review the appropriateness of continuing the investigation and the necessity of revising the informed consent form through safety information.

(Reference) 7-2. Postmarketing reporting of adverse events and malfunctions (MDR: Medical Device Reporting)

Any device-related death, serious injury or malfunction (including failure or malfunction that may become serious at the time of recurrence) after the market launch must be reported to FDA in accordance with MDR (21 CFR Part 803). The scope and deadline for reporting are specified respectively for manufacturers, importers and medical institutions, and manufacturers are required to submit reports in eMDR (electronic submission).

8. Laws and regulation on protection of subjects' information (protection of personal information and protection of personal healthcare information)

- Informed consent (21 CFR Part 50)
- IRB Requirement (21 CFR Part 56)
- HIPAA Privacy Rule(45 CFR Part 164 Subpart E)

Compliance with regulations on the protection of participants is mandatory in the conduct of clinical trials. 21 CFR Part 50 which specifies the requirement to obtain informed consent is applicable to FDA-regulated clinical trials, and 21 CFR Part 56 which specifies the IRB composition, review criteria, etc. specifies the IRB review criteria for clinical trials regulated by FDA and requires the initial review, approval, and continuing review by the IRB for certain studies. Based on these standards, the IRB closely review the explanation and handling rules relating to the protection of personal information during the clinical investigation.

Additionally, for studies involving protected health information (PHI), in accordance with the HIPAA Privacy Rule (45 CFR Part 164 Subpart E), patient consent is required in principle, and data protection measures according to a waiver approved by the IRB/Privacy Board are required even if the consent is not required.

9. Laws and regulations on disclosure of clinical trial data

In the U.S., the registration and result publication through ClinicalTrials.gov is required by FDAAA 801 and 42 CFR Part 11. In a medical device investigation that falls under an applicable clinical trial (ACT), registration within 21 days of the first participant enrollment and result submission within 12 months of the completion of data collection of the primary endpoint are required. Because of National Institutes of Health (NIH) funds and International Committee of Medical Journal Editors (ICMJE) recommendations, registration is often required in practice even in the investigations that are not subject to the laws and regulations. FDA strives to secure transparency through monitoring activities such as certification of compliance by Form FDA 3674, a Bioresearch Monitoring Program (BIMO),

and other enforcement frameworks such as a Compliance Management Program (CMP). The main public registry equivalent to jRCT in Japan is ClinicalTrials.gov in the U.S., and early and accurate registry operation is essential in anticipation of global studies, applications for marketing approval, and academic presentations.

10. Laws and regulations on electronization of data, etc.

In the United States, data electronization in clinical investigations of medical devices is regulated mainly by 21 CFR Part 11 which specifies handling of electronic records and electronic signatures. Part 11 is intended for storage of electronic data in a format that allows review by regulatory authorities with the reliability and integrity equivalent to those of paper media and applies to electronic records that are prepared, maintained, and submitted in accordance with the regulatory requirements among the records electronically generated and stored, such as electronic data capture (EDC), electronic case report form (eCRF), electronic signatures, and audit trail used in clinical investigations.

Appendix: List of laws and regulations and guidance cited in this summary (Order of description)

1. Federal Food, Drug, and Cosmetic Act
   Abbreviation: FD&C Act
   Japanese translation: Food, Drug and Cosmetic Act
   https://www.govinfo.gov/content/pkg/COMPS-973/pdf/COMPS-973.pdf

2. 21 CFR Part 11 — Electronic Records; Electronic Signatures
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-11

3. 21 CFR Part 50 — Protection of Human Subjects (Informed Consent)
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-50

4. 21 CFR Part 56 — Institutional Review Boards
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-56

5. 21 CFR Part 803 — Medical Device Reporting
   Abbreviation: MDR
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-803

6. 21 CFR Part 54 — Financial Disclosure by Clinical Investigators
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-A/part-54

7. 21 CFR Part 892 — Radiology Devices
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-892

8. 21 CFR Part 807(510(k))— Establishment Registration and Device Listing for Manufacturers and Initial Importers of Devices
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-807

9. 21 CFR Part 809 — In Vitro Diagnostic Products for Human Use
   https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-809

10. 21 CFR Part 812 — Investigational Device Exemptions
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-812

11. 21 CFR Part 814 — Premarket Approval of Medical Devices
    https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-814

12. 42 CFR Part 11 — Clinical Trials Registration and Results Information Submission
    https://www.ecfr.gov/current/title-42/chapter-I/subchapter-A/part-11

13. 45 CFR Part 46 — Protection of Human Subjects
https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-A/part-46

14. Design Considerations for Pivotal Clinical Investigations for Medical Devices (2013, Final)
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/design-considerations-pivotal-clinical-investigations-medical-devices

15. Oversight of Clinical Investigations — A Risk-Based Approach to Monitoring (2013, Final)
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/oversight-clinical-investigations-risk-based-approach-monitoring

16. A Risk-Based Approach to Monitoring of Clinical Investigations Questions and Answers (2023, Final)
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/risk-based-approach-monitoring-clinical-investigations-questions-and-answers

17. 21 CFR Part 860 — Medical Device Classification Procedures
https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-H/part-860

18. ISO 14155:2020 Clinical investigation of medical devices for human subjects — Good clinical practice

19. FDA Informed Consent Guidance (Aug 2023)
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/informed-consent

20. 45 CFR Part 164 Subpart E — HIPAA Privacy Rule
https://www.ecfr.gov/current/title-45/subtitle-A/subchapter-C/part-164/subpart-E

21. Food and Drug Administration Amendments Act of 2007
Abbreviation: FDAAA

https://www.govinfo.gov/content/pkg/PLAW-110publ85/pdf/PLAW-110publ85.pdf#page=82

- Section 801

Regulatory Framework for Clinical Trials of Medicinal Products in the EU

Date of preparation: February 20, 2026

Chapter 1: Regulations governing clinical trials of medicinal products in the EU

1. Regulatory hierarchy

1-1. Legal system

The regulatory framework for clinical trials of medicinal products in the EU has a hierarchical (pyramidal) structure consisting of several layers, including regulations, directives, and guidance. As a regulation (secondary legislation) adopted on the basis of the EU Treaties (primary law), a regulation that applies directly in the Member States forms the core of clinical trial regulation, and the Clinical Trials Regulation (Regulation (EU) No 536/2014; CTR) serves as the basic regulatory framework. The CTR establishes a harmonized framework for the application, assessment, and conduct of clinical trials in the EU, ensuring both the efficient conduct of multinational trials and the protection of subjects. In addition, to ensure the transparency of clinical trial information, the CTR requires applications and the disclosure of information through the Clinical Trials Information System (CTIS).

In contrast, directives are a form of legislation that are implemented by the Member States through transposition into national law, including those establishing the regulatory framework for medicinal products in general (e.g., Directive 2001/83/EC). The regulation that applies directly to clinical trials is the CTR. However, given that clinical trial data are ultimately used for the marketing authorisation of medicinal products, requirements and concepts under relevant Directives may also be referenced.

In addition, EU guidance (e.g., Q&A documents, notices, and procedural documents) issued by the European Commission and the European Medicines Agency (EMA) supplements the interpretation and practical implementation of the CTR and related regulations. Although they are not legally binding, they are important reference materials for ensuring consistent implementation by Member State authorities and across the EU.

Furthermore, ICH guidelines (e.g., ICH E6 (GCP); ICH E8 (Design)) are used as international scientific and ethical standards for clinical trials. Although ICH is not legislation in principle, GCP compliance is a practically essential standard in the EU.

Lastly, the Declaration of Helsinki and other ethical principles are positioned at the highest level. While these are not legally binding, they influence regulatory, review, and practical decisions as fundamental principles that support the ethical conduct of clinical trials and the principles of subject protection.

1-2. National competent authorities

In the EU, the European Commission is involved in the preparation and revision of the CTR and is responsible for the formulation and coordination (establishment of provisions and implementation procedures) of the regulatory framework at the EU level. The EMA is the

coordinator for the whole regulation and maintains and operates CTIS. In the EU, one or more national competent authorities (NCAs) are established in each Member State to authorize and oversee clinical trials of medicinal products and to assess applications via CTIS. Ethics committees (ECs) independent of NCAs in each Member State are involved as needed, and their assessment is reflected in the decision on whether to conduct a clinical trial.

2. Regulations applicable to clinical trials of medicinal products

In the CTR, a clinical study is defined in Article 2(2)(1), and a clinical trial is defined in Article 2(2)(2). Clinical studies of medicinal products in the EU are first classified according to whether they fulfil the following conditions defining a clinical trial subject to the CTR.

(a) The assignment of the subject to a particular therapeutic strategy is decided in advance and does not fall within normal clinical practice of the Member State concerned.
(b) The decision to prescribe the investigational medicinal product (IMP) is taken together with the decision to include (enroll) the subject in the clinical study.
(c) Diagnostic or monitoring procedures in addition to normal clinical practice are applied to the subjects.

Interventional clinical trials with medicinal products in humans fall within the scope of the CTR. Clinical trials subject to the CTR include trials to evaluate unauthorized medicinal products and trials to verify new doses, indications, administration methods, etc., of authorized medicinal products. These are classified as trials that may involve additional risks and burdens. As the CTR does not distinguish its scope of application based on the marketing classification of medicinal products (e.g., prescription medicines or OTC medicines), clinical trials conducted with products that fall under the definition of a “medicinal product” set out in Article 1(2) of Directive 2001/83/EC (Community code relating to medicinal products for human use) are subject to the CTR.

Studies not falling within the scope of the CTR are classified as non-interventional studies or observational studies. These are studies that observe, collect, and analyze data obtained as a result of normal clinical practice, rather than studies in which treatment policy or administration of medicinal products is determined by the study protocol.

Clinical trials subject to the CTR are classified as low-intervention clinical trials when certain conditions are met. If a trial qualifies as a low-intervention clinical trial, certain requirements, such as those for monitoring and IMP management, may be simplified or reduced according to the characteristics of the trial. A low-intervention clinical trial is a trial that uses authorized medicinal products and includes cases where the products are used in accordance with the authorized conditions of use or based on well-established scientific evidence. These are classified as trials with minimal additional risks and burdens associated with the intervention.

In trials involving advanced therapy medicinal products (ATMPs) or trials conducted during a public health emergency, additional regulatory requirements and guidance related to manufacturing and quality control, as well as expedited procedures, apply in addition to the CTR framework.

Under the CTR, application and assessment procedures for clinical trials are harmonized across the EU. Applications must be submitted online via CTIS. The purpose of the trial is described as part of the application information, but this is not a requirement for determining the applicability of the CTR. If it is an interventional clinical trial, it is handled in the same legal framework in principle.

CTIS serves as the common platform for the operation of clinical trial systems in the EU and European Economic Area (EEA) based on the CTR. It is positioned as the core infrastructure that enables the practical implementation of a harmonized regulatory system. CTIS simultaneously

functions as a single application portal, supports the joint assessment and supervision by the NCAs of EU Member States, and provides public access to clinical trial information to ensure transparency.

3. Classification for determining applicable regulations

When conducting interventional clinical trials or clinical studies of medicinal products in the EU, several classifications may be considered in order to determine the applicable regulations and guidance.

3-1. Regulations applicable to clinical trials subject to the CTR

In clinical trials subject to the CTR, basic requirements such as application, assessment, conduct, safety reporting, and transparency (public disclosure of information) are specified by the CTR, and these procedures are taken through CTIS. In addition, compliance with GCP is required to ensure trial quality and the protection of subjects. Cross-cutting requirements also apply, including those related to the manufacturing, quality control, and supply of IMPs (e.g., GMP), as well as personal data protection regulations applicable when handling subject information, such as the General Data Protection Regulation (GDPR).

3-2. Regulations applicable to clinical studies not falling within the scope of the CTR

Clinical studies not falling within the scope of the CTR are generally classified as non-interventional studies or observational studies, and the clinical trial application procedures through CTIS and the assessment procedures under the CTR do not apply in principle. However, even when a study falls outside the scope of the CTR, certain regulatory considerations remain necessary from the perspectives of subject protection, research ethics, and data management.
In particular, where personal data are processed, the GDPR applies. Accordingly, appropriate management is required with respect to obtaining consent, ensuring the lawfulness of data processing, secondary use of data, and cross-border data transfers. In addition, although requirements relating to ethical review and research implementation system are influenced by national systems in each Member State, appropriate review and oversight based on common EU ethical principles are expected. Furthermore, where the study is related to post-authorisation safety evaluation, it is important in practice that the study be designed and conducted in a manner consistent with the regulatory framework for medicinal products (e.g., considerations related to post-authorisation pharmacovigilance).

3-3. Regulations applicable to low-intervention clinical trials

A low-intervention clinical trial is defined in Article 2(3)(k) of the CTR. Where a trial qualifies as a low-intervention clinical trial, the streamlining of certain operational aspects for the conduct of the trial (e.g., monitoring, quality control, IMP management, and documentation) is considered possible in a proportionate manner, provided that the protection of subjects is not compromised.
Article 2(3)(k) of the CTR specifies the conditions for a low-intervention clinical trial as follows: (1) the IMPs, excluding placebos, are authorized; and (2) according to the protocol of the clinical trial, the IMPs are used in accordance with the terms of the marketing authorisation; or the use of the

IMPs is evidence-based and supported by published scientific evidence on the safety and efficacy of those IMPs in any of the Member States concerned. In addition, the CTR also requires that the additional diagnostic or monitoring procedures do not pose more than minimal additional risk or burden to the safety of the subjects compared to normal clinical practice.
On the other hand, with regard to the operational simplifications applicable to low-intervention clinical trials, the CTR does not set out specific implementation details (e.g., monitoring frequency) in a uniform manner. Accordingly, the application of such simplifications is expected to be based on a risk-proportionate approach, taking into account the characteristics of the trial and the level of risk to subjects, and to be designed and implemented by the sponsor on the basis of scientific evidence. When applying and conducting a trial as a low-intervention clinical trial, it is important to clearly demonstrate that the trial meets the criteria set out in Article 2(3)(k) and, where operational aspects (e.g., monitoring methods, IMP management, and the scope of documentation) are to be applied in a proportionate manner, to justify their appropriateness with supporting rationale demonstrating that subject protection and data quality can be ensured.

3-4. Trials involving advanced therapy medicinal products (ATMPs)

In the EU, ATMPs constitute a special category of medicinal products. The legal framework for ATMPs is established by Regulation (EC) No 1394/2007 (the ATMP Regulation) and Part IV of Annex I to Directive 2001/83/EC. The former provides the overall regulatory framework for ATMPs and defines tissue engineered products and combined ATMPs, while the latter sets out the definitions of gene therapy medicinal products (GTMPs) and somatic cell therapy medicinal products (sCTMPs). ATMPs comprise four product categories: GTMPs, sCTMPs, tissue engineered products (TEPs), and combined ATMPs, in which a medical device is incorporated as an integral part of the product. The ATMP Regulation also establishes a regulatory framework that includes the involvement of the EMA's specialized committee, the Committee for Advanced Therapies (CAT), among others. The determination of whether a product falls within the definition of an ATMP is carried out by the CAT within the EMA. Upon request from developers, the CAT issues a "classification recommendation."

Clinical trials involving ATMPs are applied, assessed, and conducted in accordance with the CTR as long as they fall within the scope of the CTR. In addition, because ATMPs require particularly careful management of manufacturing, quality, and biological risks, additional considerations based on ATMP-specific regulations and guidelines are required in addition to the CTR. In clinical trials involving ATMPs, it is important to be able to adequately explain the risk assessment and the scientific rationale for the trial design in light of the characteristics of the ATMP concerned.

- For gene therapy medicinal products, the "Guideline on the quality, non-clinical and clinical aspects of gene therapy medicinal products" published by the EMA sets out the fundamental principles for their development and evaluation and serves as an important reference document for the planning and application of ATMP clinical trials.
- For ATMPs containing genetically modified cells (e.g., cell therapies using genetically modified cells), reference should be made to the EMA guideline (the Guideline on quality, non-clinical and clinical aspects of medicinal products containing genetically modified cells [EMA/CAT/GTWP/671639/2008 Rev.1]) or other relevant guidelines, and additional evaluation appropriate to the characteristics of the product is required from the perspectives of quality, non-clinical, and clinical development.

- Where investigational ATMPs are used, rather than ATMPs at the marketing authorisation application stage, reference should be made to the “Guideline on quality, non-clinical and clinical requirements for investigational advanced therapy medicinal products in clinical trials” published by the EMA. It is necessary to explain the adequacy of the data package required for the conduct of the clinical trial, taking into account the quality, non-clinical, and clinical requirements applicable to ATMP clinical trials.
- Where human-derived cells or tissues are used as raw materials (donor materials), management in accordance with Directive 2004/23/EC (the European Tissues and Cells Directive) and its implementing directives, Commission Directives 2006/17/EC and 2006/86/EC, is required with respect to donor eligibility assessment, procurement and handling, infection risk management, and traceability.
- Where the product qualifies as a genetically modified organism (GMO)—an organism in which the genetic material has been altered using genetic modification techniques—the clinical trial is conducted in accordance with the CTR. However, additional regulatory procedures, including an environmental risk assessment (ERA), may also be required under Directive 2001/18/EC (deliberate release) and/or Directive 2009/41/EC (contained use). For this reason, the assessment of GMO status and the related procedures (e.g., submission materials, review procedures, and timelines) should be planned taking into account the requirements of the relevant Member States, including the country fiches published by the European Commission.

Since ATMPs require particularly careful manufacturing and quality control, additional considerations are required with respect to the manufacturing and quality control (GMP) of IMPs. In particular, given the complexity of manufacturing processes and the need to manage product variability for ATMPs, it is important to appropriately establish manufacturing controls (such as sterility assurance, raw material management, process control, storage and transportation, and change control) in accordance with the requirements of EU GMP (EudraLex Volume 4), and to be able to explain their adequacy.

Accordingly, in clinical trials involving ATMPs, in addition to meeting the general requirements under the CTR (e.g., subject protection, informed consent, safety reporting, and transparency), it is necessary to design the application and conduct of the trial taking into account additional requirements arising from the characteristics of the product. These include additional considerations relating to quality, non-clinical, and clinical aspects under the ATMP Regulation and relevant EMA guidelines, GMP and raw material management (including human-derived materials), and ERA where the product qualifies as a GMO.

3-5. Regulations for clinical trials involving combination products

Clinical trials involving combination products composed of a medicinal product and a medical device are applied, assessed, and conducted in accordance with the CTR as long as they fall within the scope of the CTR. Where such clinical trials involve the use of a medical device that is integral to the administration or use of the medicinal product (e.g., delivery devices or inhalers), the requirements of the Medical Device Regulation (MDR; Regulation (EU) 2017/745) should also be taken into account. Articles 1(8) and 1(9) of the MDR set out how products in which medicinal products and medical devices are combined are handled.

In clinical trials involving combination products, the method of administration or use of the IMP may be closely related to the specifications or conditions of use of the medical device. Therefore,

it is important to clearly define the role of the medical device in the trial (e.g., whether it is the primary object of the investigation or used as an accessory to the administration or use of the medicinal product) as well as the intended conditions of use. In addition, the administration and use conditions should be clearly specified in the trial plan so that the evaluation of the efficacy and safety of the medicinal product is not unduly affected by differences in the conditions of use or operation of the medical device. In practice, MDCG 2019-2 (Guidance on the borderline between medical devices and medicinal products under Regulation (EU) 2017/745), issued by the Medical Device Coordination Group (MDCG) of the European Commission, as well as the Questions and Answers... regarding medicines used in combination with medical devices (EMA/37991/2019) published by the EMA, are useful references for understanding regulatory considerations and preparing for discussions with authorities.

It should also be noted that, in clinical trials involving combination products, the applicable regulatory framework (i.e., medicinal product regulation or medical device regulation) and the focus of the required evaluation may differ depending on whether the medicinal product or the medical device is the principal mode of action. Even where the trial is conducted as a trial subject to the CTR, it is important to recognize that the product may qualify as a combination product and, where necessary, to take into account additional requirements under the MDR, and to design the application and conduct of the trial ensuring consistency between the CTR application (including the trial plan and operation) and the requirements of the MDR.

3-6. Regulations for phase 1 (first-in-human / early phase) trials

Clinical trials of medicinal products corresponding to phase 1 trials are applied, assessed, and conducted in accordance with the CTR as long as they fall within the scope of the CTR. Phase 1 trials generally focus on the evaluation of safety, tolerability, and pharmacokinetics (PK), and it is therefore important to adequately design and justify the risk assessment and risk mitigation measures according to the characteristics of the trial. In particular, within phase 1 trials, first-in-human (FIH) trials require more careful identification of risks and clearer presentation of risk mitigation strategies than typical phase 1 trials. This includes aspects such as the selection of the starting dose, dose escalation strategy, safety monitoring, and stopping criteria. As a practical basis for these considerations, the EMA has published the “Guideline on strategies to identify and mitigate risks for first-in-human and early clinical trials with investigational medicinal products (EMEA/CHMP/SWP/28367/07 Rev.1),” which serves as an important reference document for risk management in phase 1 trials, including FIH trials.

In addition, in phase 1 trials, the adequacy of the non-clinical safety data package required for trial initiation is often a key issue. Therefore, such data should be prepared taking into account ICH M3(R2) (Non-clinical safety studies for the conduct of human clinical trials and marketing authorisation for pharmaceuticals), an international guideline that sets out the timing and requirements for non-clinical safety studies.

3-7. Trials involving orphan drugs

Clinical trials involving orphan medicinal products are applied, assessed, and conducted in accordance with the CTR as long as they fall within the scope of the CTR. In addition, separate from the CTR, Regulation (EC) No 141/2000 (the Orphan Regulation) applies as the regulatory framework for the designation system and incentives for orphan medicinal products. The Orphan Regulation establishes the community procedure for the designation of orphan designation and

provides a framework for granting incentives to promote research and development in the field of rare diseases. Within the EMA, the Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) is responsible for the designation of orphan medicinal products.
The criteria for orphan designation are set out in Article 3(1) of the Orphan Regulation. Under this provision, a medicinal product must be intended for the diagnosis, prevention or treatment of a life-threatening or chronically debilitating condition affecting “not more than five in 10 thousand persons” in the EU when the application is made, or, without incentives, it must be unlikely that the marketing of the medicinal product would generate sufficient return to justify the necessary investment. Furthermore, it must be shown that there exists no satisfactory method of diagnosis, prevention or treatment of the condition in question that has been authorized in the EU or, if such method exists, that the medicinal product will be of significant benefit to those affected by that condition.
Where orphan designation is granted, sponsors may benefit from various incentives during the development and authorisation process, including protocol assistance (scientific advice specifically for orphan medicinal products) and reductions or exemptions from regulatory fees. In addition, once the product obtains marketing authorisation in the EU, it is granted orphan market exclusivity for a period of ten years in principle, except in certain cases, and the marketing of similar medicinal products for the same indication will be limited.

3-8. Regulations applicable to clinical trials in children

For clinical trials in children (referred to as “minors” under the CTR), additional requirements specific to children are set out in Article 32 of the CTR, in addition to the general principles concerning subject protection and informed consent (Article 28 of the CTR). Article 32 of the CTR requires that, provided the scientific and ethical justification for conducting the trial in children is established, the balance between burdens and benefits must be appropriate. Specifically, where a direct benefit to the child is expected, the benefit must outweigh the risks and burdens. Where no direct benefit is expected, the risks and burdens imposed on the subject must be kept to a minimum, provided that the trial aims to obtain medical knowledge in the relevant child population. Accordingly, when designing the trial plan, it is important to incorporate ethical considerations aimed at minimizing the trial-related burden (e.g., limiting the number of blood samplings and reducing procedural invasiveness) and to ensure that the appropriateness of these measures can be justified.
With regard to the consent procedure, Article 32 of the CTR requires that informed consent be obtained from the legally designated representative (e.g., a parent or guardian). At the same time, appropriate information must be provided to the child, taking into account the child’s age and maturity, and the child’s assent must be sought. If the child expresses a wish not to participate or to withdraw, that wish must be respected. Furthermore, if the subject reaches the legal competence to give informed consent as defined in the law of the Member State concerned during a clinical trial, the subject’s own consent needs to be obtained.
In addition, for paediatric medicinal product development in the EU, the CTR applies to the conduct of clinical trials in children, a separate framework for promoting the development of medicinal products for children is established by the Paediatric Regulation (Regulation (EC) No 1901/2006). Under this regulation, the submission and approval of a Paediatric Investigation Plan (PIP) is generally required. The Paediatric Committee (PDCO) of the EMA is responsible for the review of PIPs. A PIP includes trial plans in different paediatric age groups, appropriate formulation design (e.g., easy-to-take dosage forms), and the development timeline. Clinical trials

in children must not only comply with the ethical and consent requirements under the CTR but also be consistent with the requirements set out in the PIP.

3-9. Trials conducted during a public health emergency

A “public health emergency” is a concept related to the EMA’s emergency response framework (Emergency Task Force [ETF]) and is defined in Regulation (EU) 2022/123. Under this regulation, a public health emergency refers to a situation formally recognized by the European Commission pursuant to Decision No 1082/2013/EU on serious cross-border threats to health. Accordingly, the term “public health emergency” does not refer to a general situation of “heightened social urgency” but rather to an emergency formally recognized through procedures established under EU legislation (e.g., pandemics).

Clinical trials of medicinal products conducted in connection with a public health emergency are applied, assessed, and conducted in accordance with the CTR as long as they fall within the scope of the CTR. In addition, as it is particularly important in a public health emergency to ensure both the prompt conduct of trials and the protection of subjects, the involvement of the EMA’s ETF may be considered.

In the EU, the ETF has been established within the EMA pursuant to Regulation (EU) 2022/123, which is the regulation strengthening the EMA. During a public health emergency, the ETF provides scientific input on the development of therapeutics and vaccines, as well as advice on clinical trial protocols, thereby supporting the conduct of clinical trials within the EU. Support provided by the ETF may also be coordinated with the Clinical Trials Coordination Group (CTCG), which serves as a framework for coordinating the implementation of the CTR among NCAs of EU Member States, in order to support the prompt and smooth conduct of clinical trials in the EU.

3-10. Regulations for clinical trials involving controlled narcotic drugs

Clinical trials using medicinal products containing controlled substances, such as narcotic drugs and psychotropic substances, are applied, assessed, and conducted in accordance with the CTR as long as they fall within the scope of the CTR. Substances regulated as narcotic drugs or psychotropic substances are associated with a higher risk of abuse and diversion. When establishing the trial framework, additional requirements for the storage, management, and distribution of such substances (e.g., importation, transport, storage, dispensing, and destruction) under the national laws of EU Member States must be taken into account. These requirements include licensing or notification requirements, the designation of responsible personnel, record-keeping obligations, and specific storage facility requirements. While the content of these additional requirements is broadly similar across the Member States, differences remain in authorisation procedures and operational details. Therefore, confirmation of the specific requirements applicable in each Member State is necessary.

Chapter 2: Detailed requirements for clinical trials of medicinal products in the EU

The requirements applicable to the following elements that constitute a clinical trial are summarized below. In the EU, all clinical trials of medicinal products involving an intervention fall within the scope of the CTR. Among clinical trials subject to the CTR, cases where a trial qualifies as a low-intervention clinical trial and different requirements apply are also outlined.

1. Authorisation of the conduct of clinical trials by Member States or NCAs

Where clinical trials of medicinal products conducted in the EU fall within the scope of the CTR, the assessment by NCAs required prior to the initiation of the trial is conducted through CTIS. The EMA is responsible for the operation of CTIS, while the NCAs of each EU Member State carry out the assessment. The clinical trial application (CTA) consists of a part subject to coordinated assessment among EU Member States (Part I: the scientific validity of the clinical trial and information on the quality, safety, and efficacy of the medicinal product) and a EU Member State-specific assessment part (Part II: matters such as subject recruitment and informed consent). Each Member State performs the assessment and takes its decision. When clinical trials based on the same protocol are conducted in multiple EU Member States, the CTA is structured so that Part I, which is subject to a coordinated assessment, is prepared in a unified manner, while Part II, which addresses Member State-specific requirements, is supplemented for each Member State. This allows sponsors to plan the authorisation of multinational clinical trials in a manner consistent with the CTR, while reducing the burden of preparing entirely separate applications for each Member State.

Even where a trial is applied as a low-intervention clinical trial, the authorisation procedure itself follows the Part I / Part II assessment framework conducted through CTIS. However, in the CTA it is important to demonstrate that the trial meets the criteria set out in Article 2(3)(k) of the CTR and, where operational aspects (e.g., monitoring) are to be applied in a proportionate manner, to justify the appropriateness of such approaches from the perspectives of subject protection and data quality.

In contrast, studies that fall outside the scope of the CTR are not subject to the EU-harmonized clinical trial authorisation procedure under the CTR (i.e., the CTIS application). Instead, they are managed in accordance with the national legislation of each EU Member State (e.g., ethical review procedures) as well as cross-cutting regulatory frameworks such as the GDPR.

2. Authorisation of the conduct of clinical trials by ECs

As described above, in trials subject to the CTR, the assessment conducted through CTIS is operated under a framework in which it is divided into Part I (EU-common) and Part II (Member State-specific), and ethical review by ECs is incorporated in accordance with the national systems of each EU Member State. In practice, matters directly related to the protection of subjects—such as consent documents and subject-facing materials, subject recruitment, compensation, privacy protection, and the handling of vulnerable populations—are mainly included in Part II. Therefore, the involvement of ECs constitutes the core of the evaluation concerning ethics and subject protection in Part II. It should be noted that Part II does not mean an area reviewed only by authorities; rather, based on the system of each EU Member State, ECs participate in the evaluation, and the results are reflected in the decision of the relevant Member State. Accordingly,

taking into account that the documents submitted through CTIS serve as materials for NCAs and may also serve as the basis for ethical review, it is important that they be structured so that scientific validity and the protection of subjects can be explained in an integrated manner.
The review system of ECs in the EU is not unified across EU Member States, and several forms exist based on national systems (central EC, regional EC, institutional/hospital EC, etc.). Therefore, in multinational trials, Part II documents need to be appropriately localized so as to meet the EC review requirements of each Member State. The matters reviewed by ECs include, primarily, the appropriateness of explanations to subjects and the obtaining of informed consent (comprehensibility, multilingualization, freedom to withdraw, etc.), as well as the appropriateness of subject recruitment methods, the minimization of risks and burdens, consideration for vulnerable populations, the arrangement of compensation, and the protection of personal data (notification content and data management in light of the GDPR).

3. Conflict of interest (COI) in clinical trials

In clinical trials of medicinal products in the EU, the practical management requirements for COI are formed through a combination of the CTR, ICH-GCP, the operation of ethical review and research governance in each EU Member State, and industry codes such as the EFPIA Disclosure Code. As a common approach across EU Member States, sponsors and medical institutions are required to identify the existence of COI relating to investigators and other study personnel, assess risks that may affect the scientific validity of the clinical trial, the protection of the rights and safety of subjects, and the reliability of data, and implement appropriate management measures where necessary. Specifically, it is required to identify and appropriately record and update financial relationships and other interests of investigators and study personnel, such as remuneration, lectures and consulting activities, research funding, shareholdings, and positions or secondary employment. These matters are reviewed within the framework of EC review and quality management during the conduct of the trial, thereby contributing to ensuring the transparency of trial conduct.

4. Explanation to subjects, informed consent, and multilingualization

In trials subject to the CTR, explanation to subjects and the obtaining of informed consent constitute core requirements for the protection of subjects. Under the CTR, in addition to the general requirements for obtaining informed consent, additional requirements are also provided according to subject characteristics (e.g., incapacitated subjects, minors, and pregnant or breastfeeding women) (Articles 30 to 35). In addition, the ICH-GCP sets out practical requirements for the process of obtaining informed consent (including the information to be included in the explanation and consent documents, the timing and method of obtaining consent, and documentation and record retention). Furthermore, Annex I to the CTR includes a description of subject recruitment and the procedures for obtaining informed consent as part of the information required to be submitted in a CTIS application.
Consent documents and subject-facing information materials are reviewed with the involvement of ECs in the Member State review process, and their appropriateness is assessed. In multinational trials, the multilingualization of consent documents is not merely a translation exercise; localization is required taking into account differences among the Member States in culture, healthcare delivery systems, insurance systems, and complaint contact points. In particular, the level of detail required in descriptions concerning the benefits and disadvantages

of participation in the clinical trial, alternative treatment options, handling in the event of trial discontinuation, privacy, compensation, and data disclosure differs by the Member State. Therefore, it is practical to design documentation based on a common core document (master ICF), while managing differences through Member State-specific addenda (country addendum).

5. Compensation for subjects

In trials subject to the CTR, compensation for subjects is addressed under Article 76 of the CTR, which requires EU Member States to establish systems for compensation (insurance, a guarantee, or a similar arrangement). Rather than requiring a single EU-wide approach, the specific details of compensation are left to the national laws of each Member State and to the practices of the competent authorities and ECs. In practice, the submission of proof of insurance or compensation is a mandatory requirement in the CTIS application (Part II).

For trials that qualify as low-intervention clinical trials, insurance or compensation requirements may be relaxed or simplified on the premise that the level of risk is low. However, this is not applied uniformly and depends on the practices of individual EU Member States and the judgement of ethical review.

6. Reporting of safety information to NCAs

In trials subject to the CTR, the reporting of safety information to NCAs is stipulated as a mandatory regulatory requirement, with the CTR forming the core of the framework. In addition, it is implemented in accordance with EU pharmacovigilance legislation (Regulation (EC) No 726/2004 and Directive 2001/83/EC, as amended), the relevant ICH guidelines aligned with these frameworks (e.g., ICH E2A, E2B, E2D, E2F, and E6), and related guidance issued by the EMA and the European Commission (e.g., EMA guidance on safety reporting under the CTR). Expedited reporting of suspected unexpected serious adverse reactions (SUSARs) and submission of the Annual Safety Report (ASR, corresponding to the Development Safety Update Report (DSUR)) are carried out electronically through the EU-wide pharmacovigilance database known as EudraVigilance. NCAs of each Member State access safety information through this database.

Furthermore, based on the concept of risk-proportionate safety management according to the risk level of each trial under the CTR, the methods for the collection and evaluation of AEs/SAEs may be streamlined under certain conditions. In low-intervention clinical trials, given the assumption of a lower level of risk, there is relatively greater scope for applying such streamlining. Where such streamlining is applied, it is important that the scope of data collection and procedures be clearly specified in the protocol in advance and that their appropriateness can be explained to NCAs and ECs.

Clinical trials involving advanced therapy medicinal products (ATMPs) require consideration of the potential for long-term therapeutic effects or impacts, immunological reactions, and specific risks arising from manufacturing and quality. Accordingly, from the trial design stage, it is necessary to establish a robust safety evaluation system that includes long-term follow-up and specialized assessments (the ATMP Regulation).

In trials related to a public health emergency, rapid evaluation and sharing of safety information are particularly emphasized due to the potentially significant impact on public health as a whole. While supervision by NCAs under normal circumstances (within the safety reporting framework based on the CTR) remains the basis, the framework of the ETF established within the EMA

under Regulation (EU) 2022/123 is expected to facilitate more rapid and coordinated evaluation and information sharing across the EU.

7. Protection of subject information (protection of personal data and personal health information)

In the EU, requirements concerning the protection of subject information are subject to the GDPR, which is the general law on the processing of personal data. Accordingly, regardless of whether a study falls within the scope of the CTR, clinical studies, including clinical trials, that involve the processing of personal data (particularly special categories of data such as health data and genetic data) are required under the GDPR to clarify (i) the legal basis for the processing of the data and (ii) the purposes for which the data are processed and the scope of data to be used, and to limit the processing to the minimum data necessary. Furthermore, it is necessary to appropriately inform subjects of the details of data use (including the purposes of use, recipients of the data, the retention period, and contact points for inquiries), and to establish a governance framework that includes information security management, oversight of contractors (e.g., contract research organizations (CROs) and vendors), and management of data transfers outside the EU. In addition, as subjects have certain rights under the GDPR (e.g., the right of access), it is important to prepare procedures in advance to respond to such rights.

In trials subject to the CTR, the documentation for CTA applications submitted via CTIS in accordance with the CTR (Part II: Member State-specific requirements) must include an explanation of data processing in subject-facing information documents. Accordingly, in trials subject to the CTR, clearer explanations are required regarding the description of data processing in subject-facing information documents and the status of arrangements for GDPR compliance, as part of the application and assessment process.

8. Disclosure of clinical trial data (registration and results disclosure)

In trials subject to the CTR, the disclosure of clinical trial data (registration and results disclosure) is positioned as a mandatory requirement under the CTR from the perspective of subject protection and ensuring the transparency of clinical trial. Even in multinational clinical trials, basic information on the trial is centrally managed through CTIS and made publicly accessible. After completion of the trial, results information is disclosed by preparing summary results and a layperson summary and submitting them to CTIS. The layperson summary is not merely a translation but presents organized information on the purpose of the trial, the methods, the main results, and safety-related information, in a form understandable to non-specialists. In disclosing results, while ensuring transparency, it is also necessary to appropriately protect the privacy of subjects (governed by the GDPR) and the confidential information of companies. From the study planning stage, sponsors need to prepare documentation design and data management with disclosure in mind (e.g., ensuring consistency of descriptions that can withstand public disclosure of results, approaches to anonymization, and identification of information to be disclosed).

On the other hand, for non-interventional studies not falling within the scope of the CTR, the obligations for CTIS registration and results disclosure under the CTR do not in principle apply. When determining the requirements for registration and results disclosure for studies conducted within the EU, it is important to distinguish not only whether the study is interventional but also whether it falls within the scope of the CTR, whether it was conducted under the previous regulatory framework, and whether the study is subject to transparency requirements under

another framework (e.g., post-authorisation safety frameworks).

9. Regulatory framework for digitalization of data

The digitalisation of processes in clinical trials of medicinal products (e.g., electronic data capture, eSource, eTMF, and electronic signatures) is implemented within the clinical trial framework established under the CTR, and practical operations are designed and managed in accordance with ICH-GCP (ICH E6). To ensure the reliability of electronic data, it is important, in line with the record management principles required under ICH E6 and related guidance, to verify through validation that the electronic systems used operate appropriately, and to establish access control management and audit trails. In addition, source documents should be clearly identified, and rules should be established, as necessary, for the transfer or transcription of data from electronic medical records and other systems. Data integrity based on the ALCOA+ principles should also be ensured through standard operating procedures (SOPs) and related controls. With regard to electronic signatures, the eIDAS Regulation provides the legal framework for electronic signatures in the EU, and a qualified electronic signature (QES) generally has the same legal effect as a handwritten signature.

Appendix: List of laws, regulations, and guidance cited in this summary (in order of appearance)

1. Regulation (EU) No 536/2014 on clinical trials on medicinal products for human use
   Abbreviation: CTR
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32014R0536
   (Articles 2(2)(1), 2(2)(2), 2(3)(k), 28, 30 to 35, and 76, etc.)

2. Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:02001L0083-20190726

3. ICH E6 (R3) Guideline for good clinical practice (GCP)
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/ich-e6-r3-guideline-good-clinical-practice-gcp-step-5_en.pdf

4. ICH E8 (R1) General considerations for clinical studies
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/ich-guideline-e8-r1-general-considerations-clinical-studies_en.pdf

5. Regulation (EC) No 1394/2007 on advanced therapy medicinal products
   Abbreviation: ATMP Regulation
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32007R1394

6. Guideline on the quality, non-clinical and clinical aspects of gene therapy medicinal products
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-quality-non-clinical-and-clinical-aspects-gene-therapy-medicinal-products_en.pdf

7. Guideline on quality, non-clinical and clinical aspects of medicinal products containing genetically modified cells
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-quality-non-clinical-and-clinical-aspects-medicinal-products-containing-genetically-modified-cells-revision-1_en.pdf

8. Guideline on quality, non-clinical and clinical requirements for investigational advanced therapy medicinal products in clinical trials
   https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-quality-non-clinical-clinical-requirements-investigational-advanced-therapy-medicinal-products-clinical-trials_en.pdf

9. Directive 2004/23/EC on setting standards of quality and safety for the donation, procurement, testing, processing, preservation, storage and distribution of human tissues and cells
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32004L0023

10. Commission Directive 2006/17/EC implementing Directive 2004/23/EC as regards technical requirements
    https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32006L0017

11. Commission Directive 2006/86/EC implementing Directive 2004/23/EC as regards traceability and notification of serious adverse reactions and events
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32006L0086

12. Directive 2001/18/EC on the deliberate release into the environment of genetically modified organisms
https://eur-lex.europa.eu/eli/dir/2001/18/oj/eng

13. Directive 2009/41/EC on the contained use of genetically modified micro-organisms
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32009L0041

14. Regulation (EU) 2017/745 on medical devices
Abbreviation: MDR
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A02017R0745-20250110

15. MDCG 2019-2 Guidance on the borderline between medical devices and medicinal products under Regulation (EU) 2017/745
Abbreviation: MDCG 2019-2
https://health.ec.europa.eu/system/files/2020-09/md_mdcg_2019_2_gui_udi_dev_en_0.pdf

16. EMA – Questions & Answers for applicants, marketing authorisation holders of medicinal products and notified bodies regarding medicines used in combination with medical devices
Term used in this summary: EMA Q&A (EMA/37991/2019)
https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/questions-answers-implementation-medical-devices-vitro-diagnostic-medical-devices-regulations-eu-2017-745-eu-2017-746_en.pdf

17. Strategies to identify and mitigate risks for first-in-human and early clinical trials with investigational medicinal products
https://www.ema.europa.eu/en/strategies-identify-mitigate-risks-first-human-early-clinical-trials-investigational-medicinal-products-scientific-guideline

18. ICH M3(R2) Non-clinical safety studies for the conduct of human clinical trials and marketing authorisation for pharmaceuticals
https://www.ema.europa.eu/en/ich-m3-r2-non-clinical-safety-studies-conduct-human-clinical-trials-pharmaceuticals-scientific-guideline

19. Regulation (EC) No 141/2000 on orphan medicinal products
Abbreviation: Orphan Regulation
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:02000R0141-20190726

20. Regulation (EC) No 1901/2006 on medicinal products for paediatric use
Abbreviation: Paediatric Regulation
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2006/1901/oj/eng

21. Regulation (EU) 2022/123 on a reinforced role for the European Medicines Agency in crisis

preparedness and management
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2022/123/oj/eng

22. Regulation (EC) No 726/2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products
https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:02004R0726-20220128

23. Reporting safety information on clinical trials
Term used in this summary: EMA guidance on safety reporting under the CTR
https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/clinical-trials-human-medicines/reporting-safety-information-clinical-trials

24. Regulation (EU) 2016/679 on the protection of natural persons with regard to the processing of personal data and on the free movement of such data
Abbreviation: GDPR
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2016/679/oj/eng

25. Regulation (EU) No 910/2014 on electronic identification and trust services for electronic transactions in the internal market (eIDAS)
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2014/910/oj

Regulatory Framework for Clinical Investigations of Medical Devices in the EU

Date of preparation: February 20, 2026

Chapter 1: Regulations governing clinical investigations of medical devices in the EU

1. Regulatory hierarchy

1-1. Legal system

The regulatory framework for clinical investigations of medical devices in the EU has a hierarchical (pyramidal) structure composed of multiple layers, including regulations, Member State legislation (national laws), and guidance.

At the highest level are regulations that apply directly as EU law, and the Medical Device Regulation (MDR; Regulation (EU) 2017/745) constitutes the core regulatory framework for medical devices, including clinical investigations. The MDR establishes harmonized requirements across the EU for the safety and performance of medical devices and also sets out certain requirements for the conduct of clinical investigations (subject protection, ethical and scientific considerations, applications and notifications, and reporting). In addition, the regulatory framework incorporates a system design based on the submission and sharing of information (including its phased implementation) through the European Database on Medical Devices (EUDAMED), with the aim of ensuring transparency of clinical investigation information and facilitating cooperation among authorities.

In contrast, Member State legislation (national laws) constitutes a body of law established by each Member State to complement EU regulations and plays an important role particularly in areas where the MDR leaves the setting of additional requirements to the Member States (e.g., “other clinical investigations” under Article 82 of the MDR). Accordingly, while the MDR serves as the core regulatory framework common across the EU, in practice compliance must also take into account differences among the Member States (such as application portals, ethics review practices, and additional procedural or documentation requirements).

In addition, EU guidance (e.g., Q&A documents, notices, and procedural documents) issued by the European Commission and the Medical Device Coordination Group (MDCG) supplements the interpretation and practical implementation of the MDR and related regulations. Although they are not legally binding, they are important guidance materials for ensuring consistent implementation by Member State authorities and across the EU.

Furthermore, ISO standards (e.g., ISO 14155), etc. are used as international scientific and ethical standards for clinical investigations. Although ISO standards are not legislation in principle, in the context of clinical investigations of medical devices, they are regarded as a practical common framework for ensuring that investigations are appropriately designed, conducted, documented, and reported, and they contribute to shaping regulatory expectations. Moreover, when conducting clinical investigations, other relevant legislation in addition to the MDR (e.g., the General Data Protection Regulation (GDPR) relating to the protection of personal data) must also be taken into account, and cross-cutting compliance is required with respect to the handling of subject information or other related matters.

1-2. Competent authorities

The European Commission is involved in the framework of the MDR and other related legislation, and it organizes and coordinates the regulatory framework across the EU. In particular, with regard to clinical investigations of medical devices, Article 73 of the MDR provides that the European Commission has a role in organizing and maintaining an electronic system, in cooperation with the Member States, for applications and information exchange. The MDCG is established under Article 103 of the MDR and is composed of representatives of the competent authorities (CAs) of the Member States, with the European Commission acting as chair. Guidance documents approved by the MDCG are not legally binding but are positioned as documents that provide a common understanding for the practical implementation of the MDR.

The authorisation procedures for clinical investigations are operated with the involvement of the Member States in which the clinical investigation is to be conducted. The sponsor submits an application to the Member State(s) where the clinical investigation is planned to be conducted (Article 70 of the MDR), and the application documentation must include the documents specified in Annex XV, including the clinical investigation plan. In practice, the “sponsor” is often the manufacturer; however, the MDR specifies the applicant as the “sponsor,” and this is not limited to companies.

Furthermore, clinical investigations are subject to scientific and ethical review, and ethical review is conducted by an ethics committee (EC) in accordance with national laws (Article 62 of the MDR). The Member States are required to ensure that the procedures for ethical review are operated in a manner consistent with the authorisation procedures for clinical investigations under the MDR (Article 62 of the MDR).
In comparison with the implementation of “common portal-type” systems, such as the Clinical Trials Regulation (CTR) and the Clinical Trials Information System (CTIS), a key characteristic for medical devices is that authorisation decisions are made at the Member State level. For the MDR, on the other hand, an EU-level electronic system for clinical investigations (Article 73) is planned. However, due to delays in the establishment of EUDAMED (the clinical investigations and performance studies module), which is one of the electronic systems provided for under Article 73, applications and information submissions have instead been handled through national procedures in each Member State during the transition period, as described in MDCG 2021-1 Rev. 1. In the recent revision (Regulation (EU) 2024/1860), step-by-step implementation of EUDAMED is underway, and a shift toward full-scale operation of the electronic system is expected in the future.

- Medicinal products: National competent authorities (NCAs) + (common platform such as CTR and CTIS)
- Medical devices: Member States concerned (authorisation procedures in each Member State) + the European Commission (Article 73: electronic systems) + the MDCG (Article 103)

2. Classification for determining applicable regulations

When conducting clinical investigations of medical devices in the EU, several classifications may be considered in order to determine the applicable regulations and guidance.

2-1. Regulations applicable to clinical investigations intended for CE marking

The regulatory framework for clinical investigations of medical devices in the EU is centered on EU regulations such as the MDR. In addition, EU legislation that applies in a cross-cutting manner as necessary (e.g., regulations concerning personal data protection) and non-binding guidance issued by the MDCG support practical implementation. MDCG guidance consists of non-legally binding recommendations, but it is referenced as providing a common understanding of the practical implementation of the MDR and related regulations (including expectations regarding documentation and procedural approaches).

EU essential legislation constitutes the top-level legal framework for the uniform regulation of the safety, performance, and market distribution of medical devices and consists of two regulations: Regulation (EU) 2017/745 (MDR) and Regulation (EU) 2017/746 (*In Vitro* Diagnostic Medical Device Regulation, IVDR). While these regulations set out a common framework at the EU level, operational procedures (such as application assessment and ethical review) are implemented within the frameworks of the individual Member States.

In situations where clinical data are collected for the purpose of CE marking (conformity assessment), which corresponds to the marketing authorisation application process, several key compliance requirements apply under the framework of the MDR. These include the preparation of a clinical investigation plan (CIP), an investigator's brochure (IB), safety reporting, and the reporting and disclosure of results after completion of the investigation. In addition, these compliance requirements are further specified as recommended requirements in the final guidance by the MDCG. Clinical investigations intended for CE marking are carried out in accordance with Article 62 and Annex XV of the MDR and require prior approval by the competent authority of the relevant Member State and an ethics committee. The MDR also establishes obligations for reporting following completion of the investigation.

For *in vitro* diagnostic medical devices subject to the IVDR, guidance on performance studies has been developed. The assessment concerns the need for performance evaluation rather than "clinical investigations," and performance studies must be conducted in accordance with the applicable requirements.

- Regulation (EU) 2017/745 (MDR)

A comprehensive regulation governing medical devices and applicable to medical devices in general.

- Regulation (EU) 2017/746 (IVDR)

A regulation governing *in vitro* diagnostic medical devices, applicable to *in vitro* diagnostic medical devices (such as test kits and diagnostic software). Under the IVDR, the regulatory focus is on determining whether "clinical performance evaluation," rather than "clinical investigation," is required.

2-2. Regulations applicable to clinical investigations not intended for CE marking

Even for clinical research that is not intended for CE marking, if a systematic clinical investigation involving a medical device falls within the definition of a clinical investigation under the MDR, Article 82 of the MDR applies. Clinical investigations subject to Article 82 of the MDR

are required to comply with certain provisions of Article 62 of the MDR, including those relating to the protection of the rights, safety, and dignity of subjects and ethical review. In addition, the Member States shall set out additional requirements (including procedural requirements) for such investigations. Depending on the Member State, notification or other regulatory procedures may therefore be required.

However, not all clinical research involving medical devices falls within the definition of a clinical investigation under the MDR. Under the MDR, a clinical investigation is defined as a systematic investigation involving human subjects, undertaken to assess the safety or performance of a device. Therefore, even when a medical device is used in clinical research, if its purpose is not to assess the safety or performance of that device, it may not be subject to the clinical investigation procedures under the MDR (Chapter VI and Annex XV of the MDR).
Specifically, even if the evaluation is not for CE marking such as post-market clinical follow-up (PMCF) after obtaining CE marking, the notification procedure may be applied depending on the type of investigation (with or without CE mark, within or outside the scope of intended use, presence or absence of additional invasive or burdensome procedures, etc.) (e.g., framework under Article 74 of the MDR). This approach is similar to the regulatory framework under the Japanese Clinical Trials Act and the Ethical Guidelines for Medical and Biological Research Involving Human Subjects.

Accordingly, even in clinical research not intended for CE marking, the protection of subjects and compliance with ethical requirements remain important considerations. However, the applicable procedures (including any additional requirements established by the Member States) vary depending on the intended purpose of the investigation (whether Article 62(1) of the MDR applies) and on its type (e.g., Articles 74 and 82 of the MDR).

2-3. Classification of medical devices requiring clinical investigations and the approach to determining the need for clinical investigations

For medical devices subject to the MDR, classification rules are defined in Annex VIII of the MDR. Based on factors such as invasiveness, duration of use, and the part of the body contacted, medical devices are classified into the following four basic classes.

2-3-1. Classification under the MDR and the need for clinical investigations

Class	Overview	Need for Clinical Investigation
Class I	Low-risk devices (e.g. bandages, non-invasive measuring devices)	Generally not required; literature data or equivalence may be used as alternatives.
Class IIa	Moderate-risk devices (e.g. infusion pumps, ultrasound diagnostic devices)	Generally not required; however, a clinical investigation is required if equivalence cannot be adequately demonstrated.
Class IIb	High-risk devices (e.g., long-term invasive devices such as ventilators and long-term indwelling catheters)	Often required.
Class III	Highest-risk devices (e.g., heart valves, implantable devices)	Generally required; exemptions are exceptional.

Among these classes, clinical investigations are generally required for class III devices and implantable devices. For certain class IIb devices (for specific use), a clinical investigation may also be required depending on the device. For classes I, IIa, and IIb (for general purposes) devices, clinical evaluation is generally considered sufficient, and a clinical investigation is not required in principles. However, if the available clinical evidence is insufficient, a clinical investigation is required.
Even for class III implantable devices, a clinical investigation may exceptionally be waived if the manufacturer demonstrates that the device is a modified version of its own existing device and is technically, biologically, and clinically equivalent, or if sufficient clinical data or evidence based on a well-established technology are already available. In such cases, the justification and conditions are determined on a case-by-case basis.

Note: Role and involvement of notified bodies

Under the MDR, a notified body (NB) is a third-party conformity assessment body designated by a Member State. It assesses whether a medical device complies with MDR requirements and issues certificates where applicable. An NB does not replace “authorisation” by a competent authority; rather, it acts as a third party involved in the manufacturer’s conformity assessment process.
Devices handled by NBs are those for which third-party assessment is required under conformity assessment procedures (e.g., Annexes IX to XI) under the MDR. Where third-party assessment is not required, the manufacturer ensures conformity through a declaration of conformity and affixes the CE marking under its own responsibility. When an NB is involved in the conformity assessment, its identification number is affixed alongside the CE marking.

Device classification is determined by the manufacturer in accordance with Annex VIII of the MDR. If the manufacturer and the NB disagree on the application of the classification rules, the competent authority makes the final determination.

In relation to clinical evidence, the NB reviews the technical documentation and clinical evaluation as part of the conformity assessment to confirm that sufficient clinical evidence is available. For class III devices and implantable devices (e.g., implantable pacemakers/defibrillators, mechanical heart valves, and cerebral/spinal nerve stimulators), clinical investigations are generally required. However, exemptions may apply under the limited conditions set out in Article 61(4) to (6) of the MDR. A typical example of such an exemption is where a manufacturer claims equivalence with an improved version of its own previously marketed device. In such cases, the demonstration of equivalence must be endorsed by the NB, as explicitly required. In addition, the framework also assigns the NB a role in confirming the adequacy of the post-market clinical follow-up (PMCF) plan. Accordingly, for class III devices and implantable devices, decisions on the need for clinical investigations, possible exemptions, and equivalence claims may be considered based on the NB’s assessment, in light of relevant guidance.

Accordingly, through the conformity assessment procedures, the NB verifies conformity as an independent third party from the perspectives of technical documentation, clinical evaluation, and post-market surveillance, and is positioned as the practical assessment body in the CE marking process.

3. *In vitro* diagnostic medical devices

3-1. Handling of *in vitro* diagnostic medical devices in the EU

In the EU, an *in vitro* diagnostic medical device is treated as a type of a medical device and is designated as an *in vitro* diagnostic (IVD). IVDs are regulated by the IVDR. The IVDR defines reagents, instruments, devices, systems, software, etc. intended to be used in vitro for the examination of specimens derived from the human body for the purpose of providing information on physiological or pathological states, genetic predisposition, or responses to treatment as IVDs, and also includes specimen receptacles within the scope of IVDs. The IVDR also provides definitions and positioning of accessories, self-testing devices, point-of-care testing (POCT), companion diagnostics (CDx), and, as a special category, laboratory-developed tests (LDTs) developed and used within clinical laboratories.

IVDs are classified into four classes A to D, determined based on the intended purpose and the level of public risk (public health risk). Performance evaluation consists of three elements: scientific validity, analytical performance, and clinical performance. In conformity assessment, the specified procedures apply to class B, C, and D devices. Class A devices are generally subject to self-declaration, although when they are placed on the market in a sterile condition, a notified body is involved only with respect to aspects related to sterilization.

Class	Overview	Examples
Class A	Minimal risk, no public impact	Products for general laboratory use (general reagents such as buffer solutions, test tubes, specimen receptacles)
Class B	Low to medium risk, low public risk	Many IVDs (e.g. chemistry, immunology, and pregnancy tests)
Class C	High risk, moderate public risk	Many infectious disease tests (e.g., COVID-19 self-tests), genetic tests, companion diagnostics, etc.
Class D	Highest risk, high public risk	Tests for pathogens with major implications for blood transfusion, transplantation, and public health (e.g., HIV, HBV, HCV)

Based on the three elements of performance evaluation—scientific validity, analytical performance, and clinical performance—devices of class B and above require assessment by an NB.
Under the IVDR, “scientific validity” refers to evidence demonstrating that the analyte or marker that the IVD is intended to measure is scientifically associated with the disease, pathological process, physiological state, or clinical condition related to the device’s intended purpose.

3-2. Clinical performance studies of IVDs

3-2-1. Studies to be performed

Performance studies are conducted within the framework of Chapter VI of the IVDR. In particular, studies in which invasive sample-taking is done for the purpose of the performance study, interventional clinical performance studies, or studies in which the conduct of the study involves additional invasive procedures or other risks for subjects of the study shall be designed,

conducted, recorded, and reported in accordance with Article 58 and Articles 59 to 77 (which specify the requirements for conducting performance studies), and Annex XIV (which sets out detailed procedures and documentation requirements), in addition to meeting the requirements set out in Article 57 of the IVDR and Annex XIII (which sets out the general requirements for performance evaluation). Such studies require designated procedures, including application to and authorisation by the competent authority and ethical review. Depending on the type of performance study, notification to the competent authority may be required; for example, performance studies involving CDx using only left-over samples.

3-2-2. Reporting of adverse events

During the conduct of a clinical performance study, safety reporting is required under Article 76 of the IVDR, including the reporting of serious adverse events (SAEs) and device deficiencies (DDs). MDCG 2024-4 outlines the reporting procedures, including cases where the electronic system based on Article 69 of the IVDR (i.e., EUDAMED and its modules) is not operational or is not fully functional. It specifies the reportable events, reporting timelines, and reporting formats, and provides a performance study summary safety reporting form as an appendix.

Chapter 2: Detailed requirements for clinical investigations

1. Regulatory framework for the authorisation of clinical investigations by national competent authorities

In the EU, the conduct of clinical investigations of medical devices is governed by the provisions of Chapter VI (Articles 62 to 82) and Annex XV of the MDR. These provisions aim to ensure that clinical investigations protect the rights and safety of subjects while appropriately managing the generation of data necessary to demonstrate the performance, clinical benefit, and clinical safety of medical devices.

Most clinical investigations under the MDR require application to and authorisation by the CA of the Member State before the investigation begins. This authorisation procedure applies not only to unauthorized devices but also to CE-marked devices investigated for a new intended purpose. The purpose of the authorisation is to ensure that subjects are not exposed to unnecessary risks at the stage when the investigation is conducted. A key consideration is whether the potential risks arising from the investigation are justified in relation to its scientific value. The competent authorities comprehensively evaluate factors such as the investigation methodology, target population, safety management measures, and known risk information of the device, and grants authorisation only when it determines that appropriate protective measures are in place.

In addition, under the EU regulatory framework, the conduct of a clinical investigation requires not only authorisation by the competent authority but also approval by an ethics committee. This is an essential element for the protection of subjects, and the outcome of the ethical review also serves as an important factor in the authority's assessment for authorisation.

1-1. Examples of the interface between the MDR and Member State legislation (Germany / the Netherlands)

As a Regulation, the MDR applies directly in the Member States. Accordingly, the fundamental requirements for clinical investigations (the protection of rights, ethical principles, scientific validity, investigation plan, information and informed consent, safety reporting, and communication of results at the end of the investigation) are defined within a common EU framework. However, the conduct of clinical investigations requires "concrete institutional arrangements" at the Member State level, such as healthcare delivery systems, the design of research ethical review systems, the allocation of responsibilities among administrative bodies, language requirements, application portals, and review procedures. These aspects cannot be fully addressed by the MDR alone. Consequently, the common requirements set out in the MDR are further specified through national implementing laws, domestic research regulations, and procedural guidance issued by competent authorities, forming a "two-layer" regulatory structure consisting of EU-wide rules and Member State-specific implementation. To understand this interface, this section presents the regulatory systems of Germany and the Netherlands as representative examples and outlines how the rules of the MDR are incorporated into national laws and translated into practical procedures.

1-1-1. Germany: A structure in which the common framework of the MDR is implemented in national law by the MPDG and procedures are clarified through the operation of authorities

In Germany, the Medizinprodukterecht-Durchführungsgesetz (MPDG) serves as the national implementing law that "implements" the system for clinical investigations under the MDR in a form

that can be operated domestically. While the MDR provides common principles and procedural frameworks for clinical investigations, elements such as the authority responsible for receiving applications, the allocation of ethical and scientific reviews, document submission methods, requirements for change management, domestic legal obligations of each actor (e.g., sponsors and principal investigators), and responses to violations must be designed within national systems by the Member States. The MPDG complements these “nationally regulated areas” and embeds the requirements of the MDR into the German legal framework, thereby enabling clinical investigations to be conducted through administrative procedures.

The practical effect of this interface is that “procedural pathways are clearly organized within the national system according to the type of clinical investigation.” In other words, clinical investigations that support conformity assessment, such as those involving non-CE-marked devices or those investigating off-label uses of CE-marked devices, generally require authorisation by the competent authority before their start, whereas certain clinical investigations involving CE-marked devices (e.g., investigations corresponding to PMCF under specified conditions) require only notification rather than authorisation. In addition, for cases classified as “other clinical investigations,” procedures and requirements are determined within the framework of the MPDG, taking into account the common requirements set out in the MDR. In this way, starting from the EU-wide framework established by the MDR, the MPDG provides the structure of national procedures (such as which authority is responsible, which category applies, whether authorisation or notification is required, when submission is required, and the applicable requirements), allowing sponsors to determine which regulatory pathway their clinical investigation falls under.

Furthermore, in operational practice after the start of the investigation, the management of safety reporting (SAEs, device deficiencies, etc.) and substantial modifications required by the MDR is implemented through national laws and regulatory practice. The MDR presents the principles and obligations for modifications and safety reporting, but in practice, procedural elements such as what is determined to be “serious,” which authority must be notified, the required format, and the applicable timeline need to be defined. The German system ensures the feasibility of applications, notifications, modifications, and safety reporting by incorporating the MDR provisions through the MPDG and implementing procedures presented by the authorities. Accordingly, the German system can be understood as a three-layer structure, “MDR (common requirements) → MPDG (national implementation) → authorities’ practice (clarification of practical procedures),” through which EU-wide rules and national systems are connected.

1-1-2. The Netherlands: A two-layer structure in which the MDR’s three frameworks (Art 62/74/82) form the basis and the WMO and related legislation complement the review system and procedures

In the Netherlands, the basic framework for clinical investigations presented by the MDR serves as the starting point, while areas that must be regulated domestically are complemented by the Medical Research Involving Human Subjects Act (Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen, WMO) and related legislation. Under the MDR, the regulatory framework for clinical investigations can broadly be organized into multiple categories, including at least the following: (i) clinical investigations supporting conformity assessment (generally under Article 62), (ii) clinical investigations involving CE-marked devices (Article 74), and (iii) other clinical investigations (Article 82). In the Netherlands, this “MDR-based categorization” serves as the basis, while the WMO and related legislation provide the organization of the review system and the specification of national procedures (including the acceptance of applications, the positioning of review bodies,

national requirements for the protection of research subjects, and the handling of research involving specific populations).
The key point of this two-layer structure is that “the MDR defines the common requirements—what must be met—while the WMO and related legislation define the operation of the system—who conducts the review and how the procedures are carried out.” In other words, the MDR sets out EU-wide requirements concerning ethics, scientific validity, and safety, whereas the design of the review system (such as the role of central review bodies, the placement of ethics committees, the allocation of review responsibilities, and the scope of additional procedures or documentation required at the national level) may differ between the Member States. In the Netherlands, these elements are established through the WMO and related national laws, thereby enabling the MDR provisions to be implemented within the Dutch research system. In particular, because the MDR leaves room for the Member States to introduce additional requirements for “other clinical investigations” under Article 82, the role of national laws in supplementing the MDR becomes relatively more important. In this area, the WMO and related legislation serve as the institutional framework that connects the abstract provisions of the MDR with practical procedures.

2. Conformity with ISO 14155

Clinical investigations of medical devices in the EU are governed by the MDR as the legal framework. However, in the practical conduct of clinical investigations, the international standard ISO 14155 is regarded as an important reference standard. Although ISO 14155 is not a legally binding regulation, it is widely recognized as a “practical standard” for meeting the requirements of the MDR and serves as an essential reference for conducting clinical investigations in accordance with the MDR.

First, ISO 14155 is positioned as an international GCP for clinical investigations of medical devices to ensure subject safety, data reliability, and ethical conduct. The standard provides specific guidance for the design, conduct, monitoring, recording, and reporting of clinical investigations, and serves to ensure common understanding and consistency among stakeholders such as sponsors, principal investigators, ethics committees, and competent authorities. The scope of ISO 14155 covers not only pre-market clinical investigations but also post-market clinical follow-up, and by applying the relevant principles according to their nature, it provides a framework for ensuring the quality of clinical data throughout the medical device lifecycle.

When discussing the status of ISO 14155:2020 as a harmonized standard under the MDR, caution is required. More precisely, its status as a harmonized standard (i.e., the presumption of conformity) depends on whether the standard is cited in the Official Journal of the European Union (OJEU). As the citation status in the OJEU may be updated, it is necessary to check the latest list published in the OJEU. This is because the legally binding MDR and the international standard ISO 14155:2020 do not fully coincide, and some requirements may differ. In situations where both the legal requirements of the MDR and the operational standards of ISO 14155 apply, the principle is clear that the provisions of the MDR, which have legal force, always take precedence.

[Positioning of Amendment A11:2024 (MDR compliant)]
Amendment A11:2024 is a revision added to EN ISO 14155:2020 (GCP for clinical investigations of medical devices) and is organized for the purpose to clarifying its connection with the clinical

investigation requirements under the MDR in the EU. A11:2024 does not replace the overall approach of the standard but adds corrections and supplements to EN ISO 14155:2020 in order to align it with the EU regulatory framework.
The practical significance of A11:2024 is that, when clinical investigations are conducted with reference to ISO 14155, it makes it easier to explain the relationship with the “requirements of the MDR (in particular MDR Annex XV: Clinical Investigations)” and to apply both consistently. Specifically, through the maintenance and update of Annex ZA, which shows the correspondence between the standard and the legislation, it clarifies which requirements of EN ISO 14155 relate to which requirements of the MDR, making it easier to explain clinical investigation plans, monitoring procedures, recording and reporting procedures, and subject protection systems in relation to MDR requirements.
However, the addition of A11:2024 does not automatically make the standard a “harmonized standard under the MDR.” In general, the status of a harmonized standard in the EU (i.e., presumption of conformity through voluntary use of the standard) depends on whether the standard is cited in the OJEU by the European Commission. Therefore, A11:2024 should be understood as an institutional development that clarifies the correspondence with the MDR and prepares for possible future operation as a harmonized standard.

Therefore, in the conduct of clinical investigations, it is important to reference EN ISO 14155:2020+A11:2024 as the practical basis for clinical investigation operations, while designing the investigation to meet the requirements set out in the Articles and Annexes of the MDR as the highest-level binding requirements (through a gap assessment and the establishment of supplementary measures). This approach helps ensure subject protection and data reliability, while improving the ability to demonstrate compliance with the clinical investigation requirements of the MDR.

3. Ethics committee (EC)/ IRB approval process and regulatory framework

Before initiating a clinical investigation of a medical device in the EU, the MDR requires both authorisation by the competent authority of the Member State and ethical review by an ethics committee (EC). The procedures under the MDR are divided into authorisation, notification, etc., depending on the type of clinical investigation (Articles 62, 74, or 82) and national procedures.

First, Article 62 of the MDR clearly states that clinical investigations must undergo both scientific and ethical review. Clinical investigations must be designed under the fundamental principle that “the rights, safety, and dignity of subjects prevail over all other interests,” and must undergo review by an ethics committee (EC) and obtain approval before the start of the investigation.
In the EU, ethics committees (EC) perform a role similar to that of IRBs in the United States. However, because legal systems differ among EU Member States, ethical review is conducted by independent bodies operating under the national laws of each Member State.
Ethics committee (EC) review is an important entry point for determining whether a clinical investigation may proceed. The ethics committee (EC) evaluates all documents related to the ethics of the investigation, including the clinical investigation plan, subject information materials, informed consent documents, risk–benefit assessment, information on the investigational device, and the qualifications of the investigator. If ethics committee (EC) approval is not obtained, a clinical investigation cannot begin even if authorisation has been granted by the competent authority.

The MDR does not specify the order of review between authorisation by the competent authority and ethical review by an ethics committee (EC). However, in some Member States, ethics committee (EC) review is legally required to be completed first.

[Reference: Overview of ethics committee (EC) approval and CA authorisation systems in Germany and the Netherlands (before the start of clinical investigations)]

In clinical investigations of medical devices in the EU, it is generally required to obtain ethical approval by an ethics committee (EC) and regulatory authorisation by the competent authority (CA) before the start of the investigation (or to complete the required procedures depending on the type of investigation). However, the specific design of these systems (such as the allocation of review responsibilities, the order of review, and the involvement of central bodies) is defined within the national laws and systems of each Member State.

(1) Germany: A regulatory structure in which CA authorisation follows ethics committee (EC) approval

In Germany, obtaining "ethics committee (EC) approval" prior to the start of a clinical investigation is positioned as an important element of the system, with "authorisation by the CA (or completion of the required start conditions depending on the type)" following in sequence. The formal name of the ethics committee is "Ethik-Kommission (ethics committee)" in German, and it functions as the body responsible for ethical review under national laws (including the MPDG, the national implementing law of the MDR) and the domestic system. The CA is the competent authority designated by the Member State, and in Germany, a framework has been adopted in which "the federal higher authority" performs review and supervision as the CA. Accordingly, in Germany, the regulatory process can be understood as follows: (i) determine the category of clinical investigation under the MDR framework and national requirements; (ii) prepare the documentation for submission to the ethics committee (EC) and obtain ethics committee (EC) approval; (iii) submit an authorisation application to the CA or complete the required procedures; and (iv) start the clinical investigation after obtaining ethics committee (EC) approval and meeting the CA start conditions. The detailed procedures prior to the start of the investigation are supplemented by national implementing laws such as the MPDG.

(2) The Netherlands: A structure in which the approval system is organized through the MDR frameworks (Art 62/74/82) and national laws (WMO etc.), with a central framework acting as the entry point for the purpose of CE marking

In the Netherlands, the attributes of a clinical investigation are first organized under the MDR frameworks (Articles 62, 74, and 82), and the systems for ethical review (EC approval) and national procedures (CA authorisation or other required procedures) are defined under national laws (including the WMO). An important country-specific feature is that, for clinical investigations conducted for the purpose of obtaining or extending CE marking (conformity assessment) (generally corresponding to Article 62 and Article 74(2)), the central organization, the Central Committee on Research Involving Human Subjects (CCMO), acts as the institutional entry point, carrying out formal checks of submitted information (e.g., validation) and allocating the responsible review body. The official Dutch name of the CCMO is "Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek." The CCMO is positioned as the central body of the review system under national laws. It is involved in the review as a designated review body depending on the

research category. It also plays a role in the framework for the accreditation and operation of MREC/METC committees. After this, an accredited ethics committee (MREC/METC, etc.) or the CCMO grants ethics committee (EC) approval (ethical approval), and the investigation proceeds to start after authorisation by the CA or completion of the required procedures. Accordingly, the Dutch system is not one in which “a single central ethics committee (EC) approves all investigations.” Rather, “for investigations intended for CE marking, the central framework (CCMO) is involved in the entry procedures, and the investigation starts after ethics committee (EC) approval and CA authorisation have been obtained (or the required procedures have been completed).”

(3) Common key points of the regulatory systems

In both countries, the key points of the pre-start system are the following: (a) determination of the category of clinical investigation (the MDR framework and its application to national laws); (b) preparation of the documentation used for ethics committee (EC) approval and CA authorisation (or required procedures); (c) design of informed consent and subject protection measures (compensation, personal data protection, etc.); (d) version control of submitted documents; and (e) confirmation that the start conditions (ethics committee (EC) approval, CA authorisation / non-objection / receipt of notification, etc.) are fulfilled.

4. Regulatory framework for conflicts of interest (transparency-related)

In the EU, in the areas of clinical investigations, review, evaluation, and advice on medical devices, the management of conflicts of interest (COI) is regarded as an important element for ensuring transparency and the neutrality of review. In particular, the COI of the review side (those involved in evaluation, advice, and review) is expressly addressed in the MDR from the perspectives of independence and transparency. In other words, the Member States are required to ensure that persons involved in the verification, evaluation, and decision-making related to clinical investigation applications have no conflicts of interest, are independent of sponsors and investigators, and are not subject to undue influence. In addition, for EU-level review and advisory bodies (such as the MDCG and expert panels), mechanisms are required for the preparation, updating, and publication of declarations of interests, as well as for the management and prevention of potential COI. These are COI management measures designed to ensure the neutrality of regulatory review.

In contrast, regarding COI management on the implementation side (investigators and institutions conducting clinical investigations), the MDR requires financial disclosure by individual investigators as part of the application documentation (Annex XV), but it does not directly specify detailed procedures for evaluation criteria or management methods.
COI on the implementation side is managed through review by ethics committees (EC), national laws of the Member States, and international standards such as ISO 14155, with the aim of ensuring the ethical and scientific validity of clinical investigations, minimizing bias, and protecting subjects. In other words, EU COI management can be understood as a combined structure: the MDR directly requires strong independence and transparency on the review side, while on the implementation side, the MDR ensures “transparency (disclosure),” and the “actual management” of COI relies on ethical review and national systems.

5. Regulatory framework for information provision, informed consent, and multilingualization

The MDR explicitly sets out the requirements for informed consent in Article 63, and requires that clinical investigations be conducted in accordance with recognized ethical principles under the "General requirements / ethical principles" in Annex XV. On this basis, the clinical investigation plan, the patient information sheet (PIS), and the informed consent form (ICF) are prepared as a set and reviewed by the ethics committee (EC), taking into account the provision of sufficient information and consent based on free will, as well as special considerations for vulnerable subjects (including minors, adults with limited decision-making capacity, and pregnant women, as provided in Article 64 and subsequent Articles). In practice, subject-facing documents such as the PIS/ICF are submitted for ethical review.
ISO 14155 is an international standard that operationalizes GCP for clinical investigations of medical devices and sets out operational requirements, such as ethics, scientific validity, subject protection, and informed consent. The MDR states in Recital 64 that it is important for the rules on clinical investigations to be consistent with well-established international guidance or standards such as ISO 14155, and in practice ISO 14155 is widely used as a reference framework for planning, conducting, recording, and reporting clinical investigations.

In the EU, the language used for documents and information in clinical investigations of medical devices is not a single EU-wide language; in practice, it follows the requirements set by each Member State and relevant institution where the investigation is conducted. The MDR requires that clinical investigations be conducted within a framework in which "the rights, safety, and dignity of subjects take precedence," and provides that ethical review is carried out by ethics committees (ECs) established under Member State legislation. Accordingly, documents used for PIS/ICF, review, and submission must, in practice, be presented in a language that can be understood in the relevant Member State. Although the MDR does not list detailed language requirements in its provisions, ethical review is entrusted to the legislation and practices of the Member States, and Recital 64 refers to alignment with international ethical principles (such as the Declaration of Helsinki). On this basis, explanations and consent in a language that subjects can understand are assumed in practice.

Supplement: Specification of language requirements by Member State—examples from Germany and the Netherlands

As noted above, the MDR does not set out detailed language requirements in its provisions. However, the operational use of language is specified through the regulatory frameworks of the Member States and through the published requirements for ethical review and application procedures (such as templates, checklists, and operational requirements for application portals). This section outlines how the language requirements for PIS/ICF are implemented in regulatory systems and practices, using Germany and the Netherlands as examples.

(1) Germany

In Germany, a framework based on the MDR and the MPDG has been established in which applications are submitted through BfArM's application information system (DMIDS). In practice, DMIDS is designed on the basis of a German-language environment, and German functions as the de facto working language at the entry point of the review process.

For informed consent documents (patient information sheet and consent form), the national framework of ethics committees (AKEK) provides model texts (Mustertexte) of “information and consent” for clinical investigations of medical devices and related materials. Applicants are expected to prepare their documents with reference to these materials. In line with the intent of the MDR, patient information should be “comprehensive yet concise and clear, and should be understandable to the subject (or legal representative).” When translations are involved, it is emphasized that the documents should not be simple literal translations but should be prepared in meaningful German that meets national quality requirements. Accordingly, in Germany, German is used as the basic language for institutional and application procedures, while the design of subject-facing documents (including appropriate translation where necessary) ensures in practice that subjects can understand the information.

(2) The Netherlands

In the Netherlands, research conducted under the WMO requires review and approval by an accredited ethics committee (MREC) or the central committee (CCMO). The informed consent process is based on verbal and written explanations and written consent as the basic requirements.

Regarding language use, the requirements related to subject Information sheets and informed consent forms published by the CCMO provide that review committees generally “review only the Dutch-language version of the information sheet and consent form.” At the same time, to ensure that participants can fully understand the explanation and make an informed decision, it is specified that “information documents in a language that the participant can understand must be prepared” for participants whose Dutch is insufficient.

Translation is in principle the responsibility of the sponsor. Although submission of the translated documents themselves is not mandatory, the requirements are specifically designed, including cases in which translation certification may be required when foreign-language versions are prepared. In addition, not only written documents but also verbal explanations must be provided in a language that the participant can understand. Accordingly, the Netherlands can be characterized as having a system in which the review language (Dutch) and the participant-facing language (a language that the participant can understand) are distinguished, with translation responsibility and certification requirements clearly defined within the regulatory framework.

6. Regulatory framework for compensation for subjects

Regarding compensation for subjects in clinical investigations of medical devices in the EU, Article 69 of the MDR requires the Member States to ensure that systems for compensation for any damage suffered by a subject resulting from participation in a clinical investigation are in place in the form of insurance, a guarantee, or a similar arrangement that is equivalent as regards its purpose. The same Article also requires that such arrangements be appropriate to the nature and the extent of the risk of the investigation concerned, and that the sponsor and the investigator make use of the system referred to in the form appropriate for the Member State in which the clinical investigation is conducted. Accordingly, when conducting multinational clinical investigations in the EU, the specific requirements for compensation systems are defined by the national laws and practices of each Member State. Therefore, it is important in practice to arrange insurance or equivalent arrangements in accordance with the requirements of each Member State in which the clinical investigation is conducted and to prepare the necessary documentation.

7. Regulatory framework for safety reporting to competent authorities

In clinical investigations in the EU, safety reporting is operated under a two-layer structure: it is defined as a legal obligation under Chapter VI of the MDR, and MDCG 2020-10/1 specifies definitions, scope, reporting routes, and interim operational procedures.

The MDR requires clinical investigations to be designed, conducted, recorded, and reported under the principle that "the rights, safety, and dignity of subjects take precedence," and places safety monitoring during the investigation and reporting to authorities as essential, with assessment and oversight by the competent authorities of the Member States and review by ethics committees (ECs).

The specific reporting items, submission routes, and report formats are described in MDCG 2020-10/1 as standard practice, clarifying what information the sponsor must report, to whom, when, and how. MDCG 2020-10/1 also defines the scope, terminology, and categories of safety information, organizes events that may occur during a clinical investigation into categories such as adverse event (AE), adverse device effect (ADE), serious adverse event (SAE), serious adverse device effect (SADE), and unanticipated serious adverse device effect (USADE), and requires sponsors to identify, assess, and report them to the competent authorities of the Member States through the specified timelines and routes.

The timing of safety information reporting is broadly divided into expedited reporting (e.g., USADE or serious events involving death, life-threatening conditions, hospitalization, or severe dysfunction of subjects, where device-related involvement is suspected or confirmed) and periodic tabulation and evaluation (including annual safety evaluation and compilation for the final report). MDCG 2020-10/1 outlines the reporting flow to the authorities and provides examples of the minimum information items (including recent measures taken for subject protection, corrective actions related to the device, and evaluation of whether the investigation should continue), focusing in particular on "immediately reportable events" that are subject to expedited reporting.

8. Regulatory framework for protection of subject information (protection of personal data and healthcare information)

Protection of subject information (protection of personal data and healthcare information) in clinical investigations of medical devices in the EU is structured as a layered framework. The GDPR provides the cross-cutting foundation, while the MDR clinical investigation framework and ISO 14155 add operational requirements on top of it. The GDPR is a horizontal regulation aimed at ensuring both the protection of personal data of individuals (data subjects) in the EU and the free movement of such data.

The GDPR adopts a two-step structure, requiring both a legal basis for processing (Article 6) and conditions for the processing of special categories of data (Article 9). Processing of data concerning health is prohibited in principle (Article 9(1)) but is permitted only when specific conditions are met, such as explicit consent (Article 9(2)(a)) or exceptions for scientific research purposes (Article 9(2)(j)).

The role of the MDR is to establish the legal framework under which clinical investigations are conducted with "the rights, safety, and dignity of subjects as the highest priority." Article 62 of the MDR requires review by an ethics committee (EC), and Annex XV sets out ethical principles aligned with the Declaration of Helsinki as general requirements, broadly defining the framework for subject protection, including the handling of sensitive information.

ISO 14155 specifies confidentiality and privacy protection at the operational level. Its ethics provisions require subject confidentiality, data protection, and appropriate document management, alongside prohibitions on undue inducement and additional protections for vulnerable populations. It also requires that data protection procedures and allocation of responsibilities be specified in the clinical investigation plan.

9. Regulatory framework for disclosure of clinical investigation data

In the EU, information on clinical investigations of medical devices is registered and disclosed in EUDAMED. EUDAMED is the official database operated by the European Commission and includes mechanisms to publish information on clinical investigations/performance studies (CI/PS) in order to enhance transparency. The system is currently being introduced module by module, and the CI/PS module is expected to become mandatory after audit and publication in the Official Journal. (Modules for “actor registration,” “UDI/device registration,” “NB/certificates,” and “market surveillance” have already been confirmed as functional and will become mandatory for use from May 28, 2026.)

10. Regulatory framework for digitalization of data

The reliability of electronic records is operationalized by ISO 14155, which requires procedures to be established in the CIP and SOPs for system validation (qualification), access control, audit trails, the location of source data and transcription rules, and data integrity based on ALCOA++. Electronic signatures are governed by the eIDAS Regulation, under which a qualified electronic signature (QES) has the same legal effect as a handwritten signature.

Appendix: List of laws, regulations, and guidance cited in this summary (in order of appearance)

1. Regulation (EU) 2017/745 on medical devices
   Abbreviation: MDR
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A02017R0745-20250110
   - Article 73 (Electronic system on clinical investigations)
   - Article 103 (Medical Device Coordination Group)
   - Article 70 (Application for clinical investigations)
   - Annex XV (Clinical investigations)
   - Article 62 (General requirements regarding clinical investigations conducted to demonstrate conformity of devices)
   - Article 82 (Requirements regarding other clinical investigations)
   - Chapter VI (CLINICAL EVALUATION AND CLINICAL INVESTIGATIONS)
   - Article 74 (Clinical investigations regarding devices bearing the CE marking)
   - Annex VIII (Classification rules)
   - Annex IX (Conformity assessment based on a quality management system and assessment of the technical documentation)
   - Annex X (Conformity assessment based on type examination)
   - Annex XI (Conformity assessment based on product conformity verification)
   - Article 61 (Clinical evaluation)
   - Article 63 (Informed consent)
   - Article 69 (Damage compensation)

2. ISO 14155:2020 Clinical investigation of medical devices for human subjects — Good clinical practice
   Abbreviation: ISO 14155

3. Regulation (EU) 2016/679 on the protection of natural persons with regard to the processing of personal data and on the free movement of such data
   Abbreviation: GDPR
   https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2016/679/oj/eng
   - Article 6 (Lawfulness of processing)
   - Article 9 (Processing of special categories of personal data)

4. MDCG 2021-1 Rev.1 Guidance on harmonised administrative practices and alternative technical solutions until EUDAMED is fully functional
   Abbreviation: MDCG 2021-1 Rev. 1
   https://health.ec.europa.eu/document/download/ea0369a7-d86c-465e-9a54-0c0dfb01bc84_en
   - Article 103

5. Regulation of the European Parliament and of the Council of 13 June 2024 amending Regulations (EU) 2017/745 and (EU) 2017/746 as regards a gradual roll-out of Eudamed, the obligation to inform in case of interruption or discontinuation of supply, and transitional provisions for certain in vitro diagnostic medical devices

Abbreviation: Regulation (EU) 2024/1860
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2024/1860/oj

6. Regulation (EU) 2017/746 on in vitro diagnostic medical devices
Abbreviation: IVDR
https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2017/746/oj/eng
   - Chapter VI (CLINICAL EVIDENCE, PERFORMANCE EVALUATION AND PERFORMANCE STUDIES)
   - Article 57 (General requirements regarding performance studies)
   - Annex XIII (Performance evaluation, performance studies and post-market performance follow-up)
   - Article 58 (Additional requirements for certain performance studies)
   - Articles 59–77
   - Annex XIV (Interventional clinical performance studies and certain other performance studies)
   - Article 76 (Recording and reporting of adverse events that occur during performance studies)
   - Article 69 (Electronic system on performance studies)

7. Guidance on content of the Clinical Investigation Plan for clinical investigations of medical devices
Abbreviation: MDCG 2024-3
Term used in this summary: Final guidance by the MDCG
https://health.ec.europa.eu/document/download/690de85a-ac17-45ea-bb32-7839540c25c4_en?filename=mdcg_2024-3_en_0.pdf

8. Guidance on content of the Investigator's Brochure for clinical investigations of medical devices
Abbreviation: MDCG 2024-5
Term used in this summary: Final guidance by the MDCG
https://health.ec.europa.eu/document/download/ee7ee8eb-841a-4085-a8dc-af6d55ebf1bd_en?filename=mdcg_2024-5_en.pdf

9. Safety reporting in clinical investigations of medical devices under the Regulation (EU) 2017/745
Abbreviation: MDCG 2020-10/1
Term used in this summary: Final guidance by the MDCG
https://health.ec.europa.eu/document/download/0537d335-7eed-4087-b65d-3c2bd8c72c1a_en?filename=md_mdcg_2020-10-1_guidance_safety_reporting_en.pdf

10. Guidance on the publication of the clinical investigation reports and their summaries in the absence of EUDAMED
Abbreviation: MDCG 2024-15
Term used in this summary: Final guidance by the MDCG
https://health.ec.europa.eu/document/download/0e076d19-62dc-4ff9-83f2-be6072a45993_en?filename=mdcg_2024-15_en.pdf

11. Questions & Answers regarding performance studies of in vitro diagnostic medical devices under regulation (EU) 2017/746
    Abbreviation: MDCG 2025-5
    Term used in this summary: Guidance on performance studies
    https://health.ec.europa.eu/document/download/f22f559b-dee5-43b4-9595-3ccdcca9f7ad_en?filename=mdcg_2025-5_en.pdf

12. Safety reporting in performance studies of in vitro diagnostic medical devices under Regulation (EU) 2017/746
    Abbreviation: MDCG 2024-4
    https://health.ec.europa.eu/document/download/5cc894e0-331d-4fa2-8ab3-cdd4437c48fc_en?filename=mdcg_2024-4_en.pdf

13. Regulation (EU) No 910/2014 on electronic identification and trust services for electronic transactions in the internal market (eIDAS)
    https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2014/910/oj

Regulatory Framework for Clinical Trials of Medicinal Products in the UK

Date of preparation: February 20, 2026

Chapter 1: Regulations governing clinical trials of medicinal products in the UK

1. Regulatory hierarchy

1-1. Legal system

The regulatory framework for clinical trials of medicinal products in the UK has a hierarchical structure similar to that of Japan but differs in that the UK does not have a written constitution. The highest level consists of Acts of Parliament, with the “Medicines and Medical Devices Act 2021” forming the legal basis for clinical trials.

The next level consists of statutory instruments, which set out detailed provisions under delegated legislation. The “Human Medicines Regulations 2012” stipulate the comprehensive rules for medicinal products for human use, while clinical trial regulation is mainly set out in the “Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004.” These regulations were substantially amended in 2024 and 2025 and will be fully enforced on April 28, 2026, aiming to improve procedural efficiency and transparency.

Below this level are guidance issued by the regulatory authority. Although these are often not legally binding, they are important guidance that must be referenced in practice. The guidance includes practical interpretations and operational measures for clinical trial planning, conduct, monitoring, amendment procedures, and compliance with GCP.

In addition, guidance is provided for research ethics committees (RECs) and the Integrated Research Application System (IRAS), describing application procedures, model sponsor agreements, and the details of the integrated review process. These complement legislation and guidance and provide the practical framework required for the conduct of clinical trials in practice.

In addition, local policies of National Health Service (NHS)* Trusts also exist and support operational practice at the site level, provided that they do not conflict with national legislation.

In this way, the UK legal system forms a hierarchical structure: Acts of Parliament → statutory instruments → regulatory authority guidance → IRAS and ethical review guidance → NHS local policies. Compliance with GCP in clinical trials is also legally required under the 2004 Regulations and related guidance, with a strong emphasis on alignment with the international standard, ICH-GCP.

*NHS:

This is a public healthcare system intended to provide healthcare services to all UK residents free of charge in principle. It provides a comprehensive range of services, including hospitals, clinics, emergency services, and community healthcare, and is also responsible for employing healthcare professionals and implementing healthcare policy. Most clinical research is conducted in NHS facilities, and in such cases, R&D approval and site agreements with the relevant NHS Trust are required.

1-2. Main regulatory authorities

The main regulatory authorities in the UK are outlined below.

- **Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA)**
  It operates under the Department of Health and Social Care and is responsible for reviewing clinical trial authorisation (CTA), conducting GCP inspections, and issuing guidance for clinical trials of investigational medicinal products (CTIMPs).
- **Health Research Authority (HRA)**
  It is established as a non-departmental public body and is responsible for the ethics and governance of medical research.
- **Research Ethics Committee (REC)**
  It is established under HRA and conducts ethical review of research including clinical trials.

2. Regulations applicable to clinical trials of medicinal products

The main regulations applicable to the conduct of clinical trials of medicinal products in the UK are as follows.

- **Medicines and Medical Devices Act 2021**
  Legislation providing a comprehensive framework that enables the regulatory system for medicines, medical devices, and related products in the UK to be updated in a flexible and timely manner. It aims to establish a UK-specific regulatory environment following the UK's withdrawal from the EU. The Act also provides for the establishment of a "Commissioner for Patient Safety" to enhance patient safety and forms the legal basis for rapid regulatory updates and improved access to innovative therapies.
- **Human Medicines Regulations 2012**
  The principal regulations governing the entire lifecycle of medicines in the UK, including manufacture, sale, distribution, advertising, clinical trials, and pharmacovigilance. Reflecting EU law, these regulations establish a comprehensive framework to ensure the quality, safety, and efficacy of medicines and set out the medicines licensing system, requirements for clinical trial conduct, standards for manufacturing and distribution (GMP/GDP), and temporary authorisation measures in emergencies (e.g., Regulation 174).
- **Human Medicines (Amendment etc.) (EU Exit) Regulations 2019**
  Legislation enacted in 2019 to ensure that the Human Medicines Regulations 2012 and other EU-based medicines laws could continue to operate independently in the UK following its withdrawal from the EU. Because the EU centralized authorisation system no longer applies in the UK, functions previously relying on the European Medicines Agency (EMA), including marketing authorisation and variation assessment, GMP/GDP oversight, and pharmacovigilance, were transferred to the UK authority, MHRA. The legislation also introduced a framework to convert medicines centrally authorized in the EU at the time of exit into UK marketing authorisations (UK MAs) under equivalent conditions. In addition, it adjusts provisions on marketing authorisation, import controls, the handling of products from the European Economic Area (EEA), the handling of GMP/GDP certificates, and the recognition of prescriptions issued in the EEA, reflecting the UK's operation as a third country outside the EU. It further establishes UK-specific pharmacovigilance requirements, such as the appointment of a UK qualified person for

pharmacovigilance (QPPV) and a UK contact point, and also provides for data and market exclusivity and the continued application of incentives for orphan and pediatric medicines.

- **Human Medicines (Amendment) (Modular Manufacture and Point of Care) Regulations 2025**
  Regulations amending the Human Medicines Regulations 2012 to introduce a regulatory framework for new types of medicines manufactured at the place where the patient receives treatment (point of care, POC), including ultra-short-shelf-life and highly personalized medicines. To complement the conventional fixed manufacturing model, the regulations provide a framework to appropriately manage distributed manufacturing across multiple sites, such as hospitals. They establish a hub-and-spoke quality management system centered on a central “control site” (a core site responsible for the quality system and key responsibilities), aimed at ensuring appropriate safety, quality, and efficacy while enabling broader access to advanced therapies.
- **The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004**
  The principal legislation regulating CTIMPs in the UK, implementing the EU Clinical Trials Directive 2001/20/EC into domestic law. The regulations require CTA authorisation and a favourable opinion from a REC before a clinical trial can be conducted and define requirements for the design, conduct, subject protection, GCP compliance, and regulatory oversight of clinical trials. They also establish comprehensive provisions covering the lifecycle of a clinical trial, including trial initiation and completion, reporting of serious breaches, and the responsibilities of sponsors and investigators.
- **The Medicines for Human Use (Clinical Trials) (Amendment) Regulations 2025**
  The amendments to the above Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 aimed at modernizing the UK clinical trial framework while enhancing international alignment and competitiveness. The amendments introduce measures such as the clarification of terminology, a risk-based approach to trial modifications, enhanced transparency, and closer coordination between RECs and MHRA (through the formalization of the combined review process). These changes represent a regulatory reform intended to strengthen the UK’s position as a globally competitive country for conducting clinical trials.
- **UK Policy Framework for Health and Social Care Research**
  A policy framework that sets out common principles and standards of good practice for research conducted in the fields of health and social care across the UK. The framework consolidates the previously separate regional Research Governance Frameworks and establishes 19 principles supporting high-quality research, including the safety of research participants, transparency, ethical conduct, and risk-proportionate research management. It applies to research funders, sponsors, researchers, research organizations, and care providers, and serves as the foundation of research governance in the UK.

For reference, the basic terms and their definitions under the respective regulations are provided below.

<u>Medicinal Product</u>

- Defined in the Human Medicines Regulations 2012
- Any substance or combination of substances presented as having properties of preventing or treating disease
- Any substance or combination of substances intended to restore, correct, or modify a

physiological function by exerting a pharmacological, immunological, or metabolic action, or to make a medical diagnosis

Clinical Trial

- Defined in the Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004
- Any investigation intended
  1. to discover or verify the clinical, pharmacological or other pharmacodynamic effects of the medicinal product,
  2. to identify any adverse reactions to such a product, or
  3. to study absorption, distribution, metabolism, and excretion of such a product, with the object of ascertaining the safety or efficacy of the product
- A clinical trial refers to a study conducted to evaluate the efficacy and safety of a medicinal product and is commonly referred to in practice as a CTIMP.
- It is an investigation conducted in human subjects; non-interventional trials are excluded.

Non-interventional trial

- Defined in the Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004
- Authorized medicinal products are used in the usual manner.
- The assignment of any patient involved in the study to a particular therapeutic strategy is not decided by a protocol but falls within current practice.
- The decision to prescribe a medicinal product is clearly separated from the decision to include the patient in the study.
- No diagnostic or monitoring procedures are applied; only those used in normal clinical practice are permitted.
- Epidemiological methods are to be used for the analysis of the collected data.

3. Classification for determining applicable regulations

When conducting interventional clinical trials or clinical research of medicinal products in the UK, several classifications may be considered in order to determine the applicable regulations and guidance.

3-1. Regulations applicable to clinical trials fall under CTIMPs

In the UK, research is not primarily distinguished by whether it is intended for marketing authorisation. Instead, the “presence or absence of intervention” determines whether the research falls under CTIMPs or non-CTIMPs, which in turn determines the applicable regulatory framework. If the research falls under a CTIMP, the Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 and their amendments apply. These regulations impose comprehensive requirements covering trial authorisation, ethical review, trial conduct, safety reporting, and compliance with GCP.

For CTIMPs, CTA authorisation by MHRA and ethical review by a REC are mandatory. The review processes of MHRA and the REC have been aligned and streamlined, and a combined review submitted through IRAS is required. This integrated process covers authorisation, modifications, and end-of-trial notification. In conducting the trial, compliance with GCP is a legal requirement. The regulations set out requirements relating to the trial plan, monitoring, auditing, supply and management of the investigational medicinal product, notification of serious breaches, reporting of adverse events and suspected unexpected serious adverse reactions (SUSARs), and the maintenance and archiving of the trial master file. Non-compliance may result in strict regulatory

action, including orders to suspend or terminate the trial, administrative corrective measures, and criminal penalties in some cases.

3-1-1. Risk classification of CTIMPs

MHRA recommends a “risk-adapted approach,” whereby trial requirements and conduct are adjusted according to the level of risk, in order to ensure the safety of clinical trials and to improve the efficiency of trial conduct. For CTIMPs, the MHRA guidance, Risk-Adapted Approach to Clinical Trials and Risk Assessments, categorizes trials into Type A (no higher than the risk of standard medical care), Type B (somewhat higher than the risk of standard medical care), and Type C (markedly higher than the risk of standard medical care), and provides corresponding principles for risk management.

These type classifications are not fixed categories specified directly in legislation. Rather, they serve as a framework applied after assessing the additional risk of the trial compared with standard medical care. Accordingly, the classification is not determined mechanically using a fixed checklist. Instead, it is based on an overall risk assessment that takes into account factors such as the authorisation status of the investigational medicinal product (IMP), dosage and administration, the target population, known safety information, the trial design, and any additional procedures involved in the trial.

In general, trials classified as Type A involve relatively low additional risk, and simplified monitoring or procedures may therefore be acceptable in some cases. In contrast, trials classified as Type C involve relatively higher additional risk, and more stringent safety measures, monitoring plans, and documentation are required to ensure subject protection and safety.

Before the trial begins, it is important to clearly identify the risks specific to the trial and the corresponding mitigation measures and to organize them into an appropriate risk management plan. In the application process (e.g., submissions through IRAS), information on the risk assessment and risk mitigation measures may be required to be provided.

In addition, complex and innovative trial designs, such as adaptive trials (designs that allow planned changes to the sample size, allocation ratio, dose, or addition/suspension of arms based on data obtained in interim analyses and according to predefined decision rules), platform trials (designs that allow the simultaneous and continuous evaluation of multiple intervention arms using a common control arm under a single master protocol, with the addition or removal of intervention arms over time), and basket trials (designs that evaluate the same treatment across different “baskets” defined by common biomarkers rather than by organ site across different diseases or populations), require careful consideration beyond the standard CTIMP requirements. From the protocol design stage, elements such as pre-planned adaptation rules, change control, transparency of statistical methods, and staged safety evaluation are essential. Such applications may fall within the category of “Applications that need expert advice” under MHRA guidance, and prior consultation with specialists (MHRA Scientific Advice Service) is recommended.

3-2. Regulations applicable to clinical trials that do not fall under CTIMPs (non-CTIMPs)

Research that does not involve an intervention is treated as a non-CTIMP. For example, observational research in which an authorized medicinal product is used within the authorized conditions of use and no tests imposing an additional burden on patients are conducted for research purposes fall into this category. In such a case, the research is expected to follow the

"UK Policy Framework for Health and Social Care Research" issued by HRA. The regulatory focus is primarily on ethical requirements, including prior review by a REC, submission for ethical review through IRAS, informed consent from participants, management of conflicts of interest, and transparency of research information. Compliance with data protection legislation is also required, including the UK GDPR, the Data Protection Act 2018, and the Data (Use and Access) Act 2025. Although CTA authorisation and SUSAR reporting requirements do not apply to non-CTIMPs, it is expected to follow the guidance issued by HRA and UK Research and Innovation (UKRI) to ensure ethical and scientific validity.

3-3. Advanced therapy medicinal product (ATMP) trials

An overview of ATMPs, as defined in the Human Medicines Regulations 2012, and the products that fall within this category is provided below.

Advanced therapy medicinal product (ATMP)
This is a collective term for medicinal products that fall into one of the following categories: gene therapy medicinal products, somatic cell therapy medicinal products, or tissue engineered products. The concept also includes "combination ATMP (combined ATMP)," in which a medicinal product is integrated with a medical device.

Gene therapy medicinal product
This refers to a medicinal product designed to achieve therapeutic, preventive, or diagnostic effects by administering recombinant nucleic acid to humans or introducing it into human cells (*in vivo* or *ex vivo*) in order to regulate, repair, replace, add, or delete genetic sequences. Gene transfer using viral or non-viral vectors is included, but conventional vaccines against infectious diseases are not included in this definition.

Somatic cell therapy medicinal product
This refers to a product prepared using autologous, allogeneic, or xenogeneic cells or tissues related to its intended clinical use that have undergone "substantial manipulation," or that are used for "non-homologous use," meaning they are not used for the same essential function in the donor and the recipient, and that is intended for the treatment, prevention, or diagnosis of disease through pharmacological, immunological, or metabolic action.

Tissue engineered product
This refers to a product that contains or consists of "engineered" cells or tissues that have undergone substantial manipulation or are intended for non-homologous use, and that is used to regenerate, repair, or replace human tissue. The cells or tissues are typically viable and may be combined, where appropriate, with scaffold materials, biomaterials, matrices, or other supporting structures. When integrated with a medical device, the product is treated as a combination ATMP.

For the conduct of ATMP trials, MHRA has issued guidance on ATMPs (Advanced therapy medicinal products: regulation and licensing in UK). ATMP trials fall within the CTIMP framework but are expected to be applied according to the guidance, with the use of a classification opinion or scientific advice where appropriate. Given the specific characteristics of ATMPs, key regulatory considerations include GMP certification of manufacturing facilities, long-term follow-up plans,

safety assessments, and the maintenance of manufacturing records.
When cells or tissues of human origin are handled in an ATMP trial, it is necessary to confirm whether the material constitutes relevant material under the Human Tissue Act 2004. Under Section 53 of the Human Tissue Act 2004, relevant material is defined as “material, other than gametes (sperm or eggs), that consists of or includes human cells.” Where the material falls within this definition, requirements under the Human Tissue Act 2004 may apply depending on the purpose and method of its collection, storage, and use. Under the Act, a licence from the Human Tissue Authority (HTA) may be required when relevant material is stored for certain purposes. However, in clinical research that has undergone appropriate ethical review, such as conventional CTIMPs, an HTA licence is generally not required.

3-4. Regulations for clinical trials involving combination products

In the UK, when drug–device combination products are used in clinical trials, the applicable regulations differ depending on whether the product is treated as a medicinal product or as a medical device. In practice, however, the combined review conducted in parallel by MHRA and HRA serves as the central review process. Where the combination product is regulated primarily as a medicinal product, CTA authorisation by MHRA is required before the trial can begin, together with ethical review by a REC. In such cases, the application is submitted through the HRA combined review using IRAS, allowing a single application and a single decision, and the requirements related to medicinal products and medical devices are reviewed in parallel.

3-5. Phase I accreditation scheme trials

Trial sites conducting phase I and first-in-human (FIH) trials are encouraged (on a voluntary basis) to participate in MHRA phase I accreditation scheme. Applications for participation require the establishment of rigorous internal procedures, including emergency and resuscitation capabilities, arrangements for emergency collaboration for patient transfer, continuous availability and regular training of qualified personnel, detailed risk assessment and management plans, sentinel dosing, stepwise dose escalation and stopping criteria, and measures to prevent excessive volunteer participation (e.g., the Over-Volunteering Prevention System, TOPS).
There is no separate regulatory application procedure specific to phase I or FIH trials; the basic framework—CTA authorisation and REC review—is the same as for other CTIMPs. However, MHRA expects study plans to follow the 2017 EMA guidance on FIH risk mitigation and MHRA’s own guidance (Applications that need expert advice). Accordingly, risk-mitigation measures, such as selection of the starting dose, sentinel dosing, staggered dosing, and stopping criteria, should be clearly defined. Where appropriate, it is recommended to seek expert input from the Commission on Human Medicines (CHM) or to obtain pre-submission advice through MHRA Scientific Advice Service. From an ethical standpoint, the appropriateness of remuneration and consent based on the HRA/REC guidance is reviewed, and when radioactive medicinal products, etc. are involved, the requirements of the Ionising Radiation (Medical Exposure) Regulations (IR(ME)R) and the Administration of Radioactive Substances Advisory Committee (ARSAC) apply. Although these guidance documents are not standalone legislation, they are widely referenced in practice as a safety-focused operational approach specific to phase I and FIH trials.

3-6. Trials involving orphan drugs

Clinical trials of medicinal products intended for rare diseases are generally conducted under the same CTIMP regulations as other medicinal product trials, based on the Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004. Such trials are carried out following authorisation by MHRA and ethical review by HRA/REC.

3-7. Pediatric CTIMPs

When conducting CTIMPs involving pediatric participants in the UK, pediatric-specific requirements are set out in guidance issued by MHRA and HRA/REC apply. These include the submission of a Paediatric Investigation Plan (PIP), child consent and assent procedures, the legality of proxy consent (e.g., consent provided by a legal representative for participants under 16 years of age), pharmacokinetics and dose-finding, and special considerations for safety monitoring. Documentation and reporting are expected to be aligned with ICH E11/E6. MHRA also provides checklists and guidance specifically for pediatric CTIMPs, and such trials are subject to more careful review.

3-8. Regulations for clinical trials conducted in emergency settings

Emergency research refers to research conducted in urgent clinical situations, such as cardiac arrest, severe stroke, or impaired consciousness, where immediate treatment is required and the participant lacks the capacity to provide consent, making prior informed consent practically impossible to obtain. In the UK, the regulatory approach to such research is outlined in the HRA guidance “Research in emergency settings.”

According to this guidance, in clinical trials (particularly CTIMPs) where treatment must be administered urgently and obtaining prior informed consent would delay necessary medical intervention, and where the participant lacks decision-making capacity and it is not reasonably practicable to obtain consent from an appropriate legal representative, enrolment without prior consent may be exceptionally permitted under procedures approved in advance by an NHS research ethics committee. When the research has been proceeded under this exception, formal consent must be obtained as soon as possible once the participant regains capacity or a legal representative becomes available.

3-9. Regulations for clinical trials involving controlled narcotic drugs

Controlled drugs, such as narcotic and psychotropic drugs, are strictly regulated under the Misuse of Drugs Act and the Misuse of Drugs Regulations and are subject to additional legal requirements when used in clinical research.

In particular, for studies involving Schedule 1 substances (which may be used only for research purposes: hallucinogens, MDMA, psilocybin, etc.), each site that stores, supplies, or administers the substance in the study must obtain a Schedule 1 research licence from the Home Office in advance, in addition to the standard CTIMP procedures. Possession, storage, supply, and administration of the substance must then be conducted in accordance with the conditions of that licence. If the substance is sourced from overseas, a separate import licence is required. In addition, for the production or compounding of the substance, a production licence must also be obtained from the Home Office.

Chapter 2: Detailed requirements for clinical trials of medicinal products in the UK

The requirements applicable to the following elements that constitute a clinical trial are summarized below.

1. Authorisation of the conduct of clinical trials by the UK regulatory authority

For the conduct of CTIMPs, CTA authorisation is required as noted above. The CTA framework is established under the Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004, and applications must be submitted in accordance with the procedures and requirements specified by MHRA. Even for phase I trials (e.g., those involving healthy volunteers), CTA authorisation is required as long as the trial qualifies as a CTIMP. In recent years, regulatory simplification has progressed, including the introduction of approaches such as low-intervention trials and notification-based frameworks. Accordingly, it is important to confirm the applicable requirements and procedures based on the latest information provided by MHRA.
For non-CTIMPs, CTA authorisation by MHRA is generally not required.

2. Approval by an ethics committee for the conduct of clinical trials

For the conduct of CTIMPs, ethical review by a REC is required, and a favourable opinion must generally be obtained before the trial can proceed. Applications for REC review are submitted under the HRA framework, typically through IRAS. In addition, where a CTIMP is conducted within the NHS setting, HRA approval may also be involved in addition to ethical review, and the applicable procedures should therefore be confirmed depending on the study setting.
For non-CTIMPs (e.g., observational research or medical data research), REC review is often required depending on the nature of the research and from the perspective of subject protection. In particular, when research is conducted within the NHS environment, both REC review and HRA approval are likely to be required. In contrast, for research conducted outside the NHS setting, HRA approval may not be required, although obtaining an opinion from a REC may still be necessary.

3. Conflict of interest (COI) in clinical trials

For CTIMPs, the management of COI is carried out within the framework of sponsor responsibilities under the Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004 and compliance with GCP. Sponsors are required to establish appropriate management systems for COI, identify research funding sources and relationships between investigators and companies (e.g., employment, shareholdings, honoraria), and disclose relevant information in subject information documents or other materials, where necessary. During REC review, these interests are assessed to determine whether they are appropriately managed from an ethical perspective, including whether there are any undue inducement or concerns regarding subject protection.
For non-CTIMPs, COI management should be conducted by the research organization in accordance with research governance frameworks such as the UK Policy Framework for Health and Social Care Research. In particular, for research conducted within the NHS setting, REC review often requires the disclosure and clarification of research funding sources and investigators' COI. In commercial research, ensuring transparency in financial relationships is

particularly important. In non-commercial research, various interests, such as secondary employment, joint research, or endowments and sponsored academic positions, tend to be points of discussion.

4. Explanation to subjects, informed consent, and multilingualization

Providing information to subjects and obtaining informed consent are core requirements in REC review regardless of the type of research. Participants must be able to understand the content and make a voluntary decision about participation. This principle applies equally to both CTIMPs and non-CTIMPs.

However, the regulatory framework and the level of operational requirements differ depending on whether the research is a CTIMP. In non-CTIMP research, the primary focus is generally on subject protection. In contrast, CTIMPs are required to be conducted within the framework of clinical trial regulations and GCP, which impose more comprehensive regulatory requirements, including the management of the IMP, safety monitoring, documentation, and quality management. Accordingly, with respect to informed consent, CTIMPs typically require more detailed and structured explanations regarding the risks and benefits associated with the trial intervention or the use of the medicinal product, available alternative treatments, and possible adverse events and their management.

In addition, with regard to the provision of multilingual information sheets and informed consent forms, it is important that information is provided in a form that is understandable to participants and that consent is appropriately obtained, rather than that UK legislation uniformly stipulates the “provision of information in a specific language.” Accordingly, when language barriers are anticipated within the target population, appropriate measures are required to ensure participant comprehension, including support such as the preparation of translated documents and arrangements for interpreter services. In CTIMPs in particular, because greater emphasis is placed on the importance of the information provided and on safety-related communication systems, the quality assurance of translations and the appropriateness of the operational framework are more likely to become points of focus during review.

In light of the above, although the fundamental requirements relating to the provision of information, the obtaining of informed consent, and multilingual support are common to both CTIMPs and non-CTIMPs, it should be noted that, for CTIMPs, the scope of regulatory requirements applicable to clinical trials is broader, and consequently a higher level of expectation applies to both the content of the information provided and the operational framework.

5. Compensation for subjects

For CTIMPs, it is important that the sponsor establishes an appropriate framework for compensation and indemnity in the event that a subject suffers harm arising from the trial. In the UK, particularly for sponsor-initiated clinical trials, it is common practice to follow the Compensation Guidelines of the Association of the British Pharmaceutical Industry (ABPI), which incorporate the concept of no-fault compensation. Accordingly, prior to the initiation of the trial, it is expected that the compensation arrangements are appropriate and that the approach to compensation is clearly described in the subject information sheet and related documents.

For non-CTIMPs, where participation in the study may involve risks, appropriate arrangements for compensation and liability should also be organized. In particular, for research conducted within NHS settings, matters are typically addressed based on the responsibility structure of the

implementing body (NHS, university, etc.) and existing compensation schemes. However, depending on the nature of the research, additional insurance coverage may be required. Therefore, from a research governance perspective, it is important that such arrangements are appropriately defined and clearly documented.

6. Reporting of safety information to the regulatory authority

For CTIMPs, in order to ensure the safety of subjects, safety information relating to serious adverse events must be appropriately evaluated and reported to MHRA in accordance with the specified procedures. In practice, the sponsor is required to establish a safety reporting system that includes expedited reporting of SUSARs and periodic safety reporting such as the Development Safety Update Report (DSUR), and to ensure continuous safety monitoring throughout the conduct of the trial.
For non-CTIMPs, MHRA safety reporting framework (e.g., SUSAR and DSUR) does not generally apply. However, depending on the nature of the research, appropriate safety management may still be required. In research involving interventions, procedures should be established for the identification and management of adverse events, and, where appropriate, REC review should be obtained, and reporting and information sharing should be undertaken in accordance with the rules of the study sites to ensure the safety of study subjects.

7. Protection of subject information (protection of personal data and personal health information)

For CTIMPs, as personal data and health information of subjects (special category data) are processed, appropriate data protection measures are required in accordance with the UK GDPR, the Data Protection Act 2018, and the Data (Use and Access) Act 2025. Sponsors and trial sites are expected to establish appropriate data governance arrangements, including the lawful basis for data processing, purpose limitation, data minimization, access control, data retention periods, and safeguards for international data transfers, and to ensure transparency to subjects (e.g., the provision of relevant information in information sheets).

For non-CTIMPs, the handling of personal data and health information is often a primary consideration in medical data research and observational research, and data protection obligations under the UK GDPR and related legislation apply. In particular, when NHS medical information is used, ensuring the confidentiality of the data and clearly explaining the appropriateness of the intended use are important. It is therefore necessary to demonstrate through the research plan and ethics review process that appropriate data management measures are in place.

8. Disclosure of clinical trial data (registration and results disclosure)

For CTIMPs, in order to ensure transparency in clinical trials, it is required that the trial be registered in an official database (e.g., ISRCTN) and that the requirements for results disclosure be fulfilled. In the UK, HRA places particular emphasis on clinical trial registration as an ethical requirement, and registration may be required as a condition for obtaining a favorable ethical opinion. In addition, based on relevant guidance from MHRA, it is important to register the trial

prior to trial initiation and disclose the results after trial completion in a planned manner.
For non-CTIMPs, research registration and results disclosure are also important elements for ensuring research transparency. In particular, for studies that fall within the scope of clinical trials, HRA may require registration in a public registry. From the perspectives of ethical review and research governance as well, it is desirable that policies regarding registration and disclosure be clarified in advance. Depending on the nature of the research, appropriate public registries and methods for the publication of results should be selected.

9. Regulatory framework for digitalization of data

As a key UK official document directly related to digitalization, MHRA provides guidance on electronic health records (EHRs). Based on the Guidance on EHRs and the ICH E6 (GCP), electronically maintained medical records must have sufficient completeness and integrity to allow the course of a clinical trial to be faithfully reconstructed at a later stage. This requirement is essential for ensuring the credibility of trial results. If records are inadequate and the trial cannot be reconstructed, the trial may be considered non-compliant with GCP. MHRA considers the inability to reconstruct a clinical trial to be a significant regulatory risk that may constitute a regulatory breach and undermine the reliability of clinical trial data. In addition, electronic record systems themselves must be appropriately designed and validated and must comply with GCP. Furthermore, appropriate security and access control measures must be in place when third parties who have access to electronic records, such as monitors or auditors, view the records.
Electronic signatures may generally be used in clinical trials, and properly designed electronic signatures are considered “valid signatures.” However, not all forms of electronic signatures are acceptable. According to joint guidance issued by MHRA and HRA, specific requirements are set out to ensure reliability through identity, integrity, and timestamp.

Appendix: List of laws, regulations, and guidance cited in this summary (in order of appearance)

1. Medicines and Medical Devices Act 2021
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2021/3/contents

2. The Human Medicines Regulations 2012
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2012/1916/contents

3. The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2004
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2004/1031/contents

4. The Human Medicines (Amendment etc.) (EU Exit) Regulations 2019
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2019/775/contents

5. The Human Medicines (Amendment) (Modular Manufacture and Point of Care) Regulations 2025
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2025/87/contents/made

6. The Medicines for Human Use (Clinical Trials) (Amendment) Regulations 2025
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2025/538/contents

7. HRA Guidance: UK Policy Framework for Health and Social Care Research
   https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/policies-standards-legislation/uk-policy-framework-health-social-care-research/

8. Guidance: Risk-Adapted Approach to clinical trials and Risk Assessments
   https://www.gov.uk/government/publications/risk-adapted-approach-to-clinical-trials-and-risk-assessments/risk-adapted-approach-to-clinical-trials-and-risk-assessments

9. Data Protection Act 2018
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2018/12/contents/enacted

10. UK General Data Protection Regulation
    Abbreviation: UK GDPR
    https://ico.org.uk/about-the-ico/what-we-do/legislation-we-cover/general-data-protection-regulation/

11. Data (Use and Access) Act 2025
    https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2025/18/contents

12. Guidance: Advanced therapy medicinal products: regulation and licensing in UK
    https://www.gov.uk/guidance/advanced-therapy-medicinal-products-regulation-and-licensing

13. Human Tissue Act 2004
    https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2004/30/contents

14. Guideline on strategies to identify and mitigate risks for first-in-human and early clinical trials with investigational medicinal products(2017)
Term used in this summary: EMA guidance on FIH risk mitigation
https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-strategies-identify-and-mitigate-risks-first-human-and-early-clinical-trials-investigational-medicinal-products-revision-1_en.pdf

15. Ionising Radiation (Medical Exposure) Regulations 2017(IR(ME)R)
https://www.legislation.gov.uk/uksi/2017/1322/contents/made

16. Administration of Radioactive Substances Advisory Committee(ARSAC)
https://www.gov.uk/government/organisations/administration-of-radioactive-substances-advisory-committee

17. Guidance: Clinical trials for medicines: expert advice
Term used in this summary: MHRA's own guidance
https://www.gov.uk/guidance/clinical-trials-for-medicines-expert-advice

18. HRA Guidance: Research involving children
https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/policies-standards-legislation/research-involving-children/

19. Guidance: Completed paediatric studies: submission, processing, and assessment
https://www.gov.uk/guidance/completed-paediatric-studies-submission-processing-and-assessment

20. HRA Guidance: Research in emergency settings
https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/policies-standards-legislation/research-emergency-settings/

21. Misuse of Drugs Act 1971
https://www.legislation.gov.uk/ukpga/1971/38/contents

22. The Misuse of Drugs Regulations 2001
https://www.legislation.gov.uk/uksi/2001/3998/contents

23. ABPI — Clinical trial compensation guidelines
Term used in this summary: Compensation Guidelines of ABPI
https://www.abpi.org.uk/media/wz1k4sww/compensation_guidelines_2014.pdf

24. Guidance: Access to Electronic Health Records by Sponsor representatives in clinical trials
Term used in this summary: Guidance on EHRs
https://www.gov.uk/guidance/on-site-access-to-electronic-health-records-by-sponsor-representatives-in-clinical-trials

Regulatory Framework for Clinical Investigations of Medical Devices in the UK

Date of preparation: February 20, 2026

Chapter 1: Regulations governing clinical investigations of medical devices in the UK

1. Regulatory hierarchy

1-1. Legal system

In the UK, the legal framework governing clinical investigations of medical devices, similar to that for medicinal products, is structured hierarchically, with Acts of Parliament at the highest level. These establish the fundamental framework for the safety and marketing of medical devices. A key example is the “Medicines and Medical Devices Act 2021,” which forms the basis of medical device regulations.

The next level consists of statutory instruments (SI), which provide detailed provisions under delegated legislative authority. For medical devices, the key regulation is the “UK Medical Devices Regulations 2002 (UK MDR 2002).” This regulation provides the framework for scientifically assessing the safety and performance of medical devices and for ensuring the protection of patients. Within this regulatory hierarchy, Acts of Parliament form the highest tier, followed by the UK MDR 2002 as secondary legislation (SI). These are supplemented by guidance and notices issued by the Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA), as well as review requirements imposed by research ethics committees (RECs). It should also be noted that in Northern Ireland (NI), the Regulation (EU) 2017/745 on medical devices (EU MDR) applies; therefore, regulatory requirements may differ depending on the region. In this summary, the “UK” refers to the United Kingdom; GB refers to Great Britain (England, Scotland, and Wales), while NI refers to Northern Ireland. The discussion below focuses primarily on the regulatory framework under the UK MDR 2002.

1-2. Main related legislation

- Medicines and Medical Devices Act 2021 (2021 c.3)
- The Medical Devices Regulations 2002 (SI 2002/618)
- The Medical Devices (Amendment etc.) (EU Exit) Regulations 2019 (SI 2019/791)
- The Medical Devices (Amendment) (Great Britain) Regulations 2023 (SI 2023/627)
- The Medical Devices (In Vitro Diagnostic Devices) (Amendment) Regulations 2024 (SI 2024/221)
- Data Protection Act 2018 (2018 c.12)

1-3. Main regulatory authorities

The main regulatory authorities and review bodies involved in clinical investigations of medical devices in the UK are outlined below.

- Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA)
Under the oversight of the Department of Health and Social Care, MHRA acts as the competent authority for medical device regulation. It is responsible for receiving and reviewing notifications or applications for clinical investigations of medical devices, issuing decisions (e.g., “no objection” or “objection” in GB, and “authorisation” or “refusal” in NI), presenting requirements for safety reporting and amendment procedures, and maintaining relevant guidance.

- Health Research Authority (HRA)
HRA is established as a non-departmental public body. It operates the Research Ethics Service (RES), providing the framework for ethical review of research conducted mainly within the National Health Service (NHS) and is responsible for research governance and compliance review (part of the UK research approval process) and developing policies and guidance for research transparency.

- Research Ethics Committee (REC)
RECs review the ethical aspects of research plans, including subject protection, informed consent procedures, and the appropriateness of risks and burdens. In the UK, multiple RECs are operated, and allocation (booking) based on the research characteristics and review by “flagged RECs” capable of handling specific areas may be conducted (in NI, the Health and Social Care (HSC) REC A/B correspond to such RECs).

1-4. Regional differences in regulation

In the UK, different regulatory systems apply to medical devices depending on the region. This is based on arrangements introduced after UK’s withdrawal from the EU, including the “Northern Ireland Protocol” and the subsequent “Windsor Framework.”
In GB, the UK MDR 2002 applies, and approvals and clinical investigations of medical devices are conducted under this domestic law. In the GB market, conformity assessment is mainly based on the UKCA (United Kingdom Conformity Assessed) marking. As a transitional measure following the UK’s withdrawal from the EU, CE marking may still be accepted for placing on the market for a limited period; therefore, the applicable period and conditions should be confirmed based on relevant guidance. Notifications or authorisations for clinical investigations are also overseen by MHRA under the UK MDR 2002.
In contrast, in NI, the EU MDR and the Regulation (EU) 2017/746 *In Vitro* Diagnostic Medical Device Regulation (EU IVDR) continue to apply under arrangements with the EU. Therefore, devices placed on the NI market must obtain CE marking, and clinical investigations must be conducted in accordance with the requirements of the EU MDR. In addition, products intended for NI may need to bear the UKNI marking alongside the CE marking in certain cases.
This difference also impacts the requirements of clinical investigations. In GB, MHRA notification and ethical review are required prior to the start of an investigation under the UK MDR 2002. In NI, in accordance with the EU MDR provisions, EU-standard requirements for safety and performance evaluation and reporting obligations apply. Therefore, when conducting investigations in both GB and NI, procedures and documentation must comply with each legal framework. As the submission destination and authorisation processes differ, coordination at the planning stage is essential.

2. Classification for determining applicable regulations

When conducting clinical investigations of medical devices in the UK, several classifications may be considered in order to determine the applicable regulations and guidance.

2-1. Regulations applicable to clinical investigations with or without marketing authorisation intent

In GB, clinical research involving medical devices is governed by the UK MDR 2002 as the legal basis, with practical implementation supported by guidance published by MHRA and HRA. Regardless of whether the research is intended to support a marketing authorisation application, the research involving medical devices may fall under the definition of a clinical investigation (CI) under the UK MDR 2002. Therefore, the practical starting point is to determine whether the planned research constitutes a CI that requires procedures with MHRA (notification or application). The determination of CI applicability should be made based on the GB flowchart and accompanying guidance published by MHRA. This involves reviewing decision points according to the characteristics and objectives of the research, such as whether it involves human subjects, the regulatory status of the device, whether the use falls within the marketed indication, and whether the purpose is to evaluate safety or performance. Based on this assessment, the need for an application should be determined, and the regulatory classification of the planned research will be clarified.
In particular in GB, it should be noted that post-market studies conducted under certain conditions may not require a CI application. In addition, even retrospective or non-interventional research may be classified as a CI depending on the study design.
When conducting a CI, the main procedures required prior to initiation are as follows: (i) prior procedures with MHRA (notification or application), and (ii) ethical review by a REC. In conducting clinical investigations, in addition to the framework of the UK MDR 2002, BS EN ISO 14155:2020 is expected to be followed as best practice rather than as a regulatory requirement. Therefore, its principles should be reflected in the planning, conduct, recording, and reporting of the investigation to ensure subject protection and data reliability.

Note: The regulatory framework in NI differs from that in GB as the EU MDR/IVDR apply. Therefore, procedures and determinations regarding clinical investigations should be assessed based on NI-specific guidance (e.g., flowcharts).

[UK MDR]
1) Flowchart (PDF)
Studies under UK MDR 2002 (CI determination flowchart)
https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/1072413/flowchart_CIs_-_Studies_under_UKMDR2002_v1_A4.pdf

2) Accompanying Guidance to the Flowchart
GB Flow Chart Accompanying Guidancehttps://assets.publishing.service.gov.uk/media/69247ba05f7777c304ba7ee4/GB_Flow_Chart_Accompanying_Guidance_v3.pdf

[EU MDR] (NI)
1) Flowchart
Flow Chart – Clinical Investigations in Northern Ireland

https://assets.publishing.service.gov.uk/media/67619df526a2d1ff182534a1/Flow_Chart_-_Clinical_Investigations_in_Northern_Ireland.png

2) Accompanying Guidance to the Flowchart
NI Flow Chart – Accompanying Guidance
https://assets.publishing.service.gov.uk/media/67619e4126a2d1ff182534a2/NI_Flow_Chart_-_Accompanying_Guidance_v1.0.pdf

2-2. Classification of medical devices requiring clinical investigations

2-2-1. Class classification and approval process (GB: UK MDR 2002)

Class	Overview	Example of Devices	Need for Clinical Investigation
Class I	Low risk	Syringes without needles, standard adhesive bandages, examination lamps	Generally not required if the device is already marked and used within its intended purpose. Additional data may be required if there are special uses or performance modifications.
Class Is / Im	Class I devices that are sterile (Is) or have a measuring function (Im)	(Case-by-case depending on the device)	Evaluation related to sterility (Is) or measurement (Im) is required, but a clinical investigation is generally not required when used within the intended purpose.
Class IIa	Medium risk	Short-term corrective contact lenses, suture needles, standard hearing aids	Conformity assessment is required. A CI may be required if a clinical evaluation is not sufficient to support compliance with the applicable requirements. If gaps arise due to novelty (e.g., new materials or new indications) or specific conditions of use, a CI should be considered.
Class IIb	Medium to high risk	Apnea monitors, ventilators, surgical lasers, diagnostic X-ray sources	Due to higher risk, gaps in the clinical evaluation are more likely, and a CI is therefore more frequently required. A CI may be required if existing data cannot sufficiently demonstrate safety and performance.
Class III	High risk	Pacemakers, hip replacement systems, breast implants, contraceptive IUDs	A clinical investigation is highly likely to be required, and detailed verification is essential.

A UK approved body (conformity assessment body) is designated by MHRA. Under the UK MDR 2002, it assesses whether manufacturers and medical devices meet the applicable requirements and issues the necessary certification (certificate) as the result of conformity assessment. Based on this certification, the manufacturer affixes the UKCA marking, allowing it to be placed on the market of GB. It corresponds to a notified body (third-party conformity assessment of CE marking) in the EU, and in Japan, it plays a similar role as a registered certification body under the third-party certification system.

The criteria for determining whether a clinical investigation is required are as follows. The manufacturer first prepares a clinical evaluation report (CER) and assesses whether existing clinical data adequately demonstrate safety and performance. If the device is used within its intended purpose and sufficient literature and pre-market data are available, a clinical investigation is generally considered unnecessary. However, if data are insufficient due to factors such as new materials, AI technology, or use outside the intended purpose, a clinical investigation is required, and notification to MHRA at least 60 days in advance is required.
Whether a clinical investigation is required depends on the certification status of the device and its intended use. For example, a clinical investigation is required in the following cases:

- A new medical device that has not obtained UKCA marking
- Use of an approved device for a purpose outside its certified intended purpose
- Cases where safety and performance cannot be sufficiently demonstrated based on existing data or literature alone (e.g., highly advanced technological products or devices incorporating AI)

On the other hand, when an approved device is used within its certified intended purpose, or when sufficient existing data are available in the context of post-market clinical follow-up (PMCF), a clinical investigation is generally not required. Determinations are made using the official guidance and checklists provided by MHRA.

3. *In vitro* diagnostic medical devices (IVD)

3-1. Handling of *in vitro* diagnostic medical devices in the GB

In vitro diagnostic medical devices (IVDs) in GB are regulated under the legal framework centered on the UK MDR 2002. Following its withdrawal from the EU, the UK has continued to operate the regulatory system in GB based on the UK MDR 2002, with provisions being updated through EU Exit-related amendments (e.g., SI 2019/791) and subsequent amending SIs (e.g., SI 2023/627 and SI 2024/221).
Furthermore, the UK MDR 2002 constitutes a framework that implemented the former EU directives into UK domestic law. With respect to IVDs, it was established to implement several directives, including the Directive 98/79/EC (IVDD). (Note that the EU IVDR does not apply in GB.)
A key feature of the legal positioning of IVDs is that they are defined as a category of “medical device.” According to GB-specific guidance published by MHRA and based on Regulation 2 of the UK MDR 2002, an IVD is defined as a “medical device which is a reagent, kit, instrument, apparatus, equipment, or system intended by the manufacturer to be used *in vitro* for the examination of specimens derived from the human body for the purpose of providing information (i) concerning a physiological or pathological state, (ii) concerning a congenital abnormality, (iii) to determine the safety and compatibility of donations, including blood and tissues, or (iv) to

monitor therapeutic measures." Accessories are also addressed. Although they do not provide diagnostic information on their own, they may be treated as IVDs under the UK MDR 2002 when they are intended to be used together with a specific IVD. For this reason, elements directly applied to the human body, such as invasive specimen collection devices, are generally addressed under Part II (general medical devices). In addition, IVDs that are intended to evaluate the performance of a product prior to market placement (under development) are defined as devices for performance evaluation. While such devices are outside the scope of the standard conformity assessment route, the preparation of a prescribed statement of conformity and registration with MHRA are required.

3-1-1. Classification

The regulatory classification of IVDs in GB differs from the Class A–D system under the EU IVDR and is instead organized into four categories based on Part IV of the UK MDR 2002. MHRA's GB-specific guidance on IVDs presents four categories in accordance with increasing levels of regulatory control (perceived risk): (a) general IVDs, (b) IVDs for self-testing, (c) IVDs coming within List B of Annex II to Part IV, and (d) IVDs coming within List A of Annex II to Part IV, and clarifies that these categories constitute the basic framework for classification in GB.

Category UK MDR 2002 Part IV	Overview (Regulatory Position: Summary)	Examples	Conformity Assessment (Overview)
General IVDs	Relatively lower regulatory category among the four categories (IVDs that, in principle, do not fall under self-testing, List A, or List B)	Biochemistry, hormone tests, etc.	Conformity assessment is generally carried out primarily through self-declaration (declaration of conformity). Details should follow the MHRA IVD guidance.
Self-test IVDs	Category subject to stronger regulatory control than general IVDs. IVDs intended for use by lay persons.	Self-pregnancy tests, self-blood glucose tests, etc.	Self-declaration alone is not sufficient, and involvement of a third-party certification body (e.g., a UK approved body) may be required, particularly for the assessment of design aspects. Determination of applicability should follow the MHRA IVD guidance.
IVDs coming within List B of Annex II	Relatively higher regulatory category (lower than List A but subject to stronger regulatory control than general IVDs and self-test IVDs).	Rubella, toxoplasmosis, phenylketonuria (PKU), etc.	Conformity assessment is generally required with the involvement of a third-party certification body (e.g., a UK approved body). The conformity assessment route should follow the UK MDR 2002 Part IV and MHRA IVD guidance.

Category UK MDR 2002 Part IV	Overview (Regulatory Position: Summary)	Examples	Conformity Assessment (Overview)
IVDs coming within List A of Annex II	The most highly regulated category among the four categories	HIV, HBV/HCV, ABO/anti-Kell, etc. (including blood donation and transplantation-related testing)	Conformity assessment is generally required with the involvement of a third-party certification body (e.g., a UK approved body). The conformity assessment route should follow the UK MDR 2002 Part IV and MHRA IVD guidance.

3-1-2. Conformity assessment and launch (marking/registration)

For market placement, regardless of the category, IVDs are required to comply with the essential requirements set out in Part IV Annex I. Based on the category, the appropriate conformity assessment route must then be selected. For general IVDs, the process is generally carried out through the manufacturer's declaration of conformity within the prescribed scope (self-declaration based on Annex III). In contrast, for self-test IVDs, confirmation of design aspects intended for use by lay persons is required, and the involvement of a UK approved body may be required for design examination or similar assessments. Furthermore, for IVDs falling under Annex II (List A or List B), conformity assessment involving a UK approved body is generally required.

Finally, at the stage of placing the product on the market following conformity assessment, administrative procedures such as affixing a marking to show conformity (e.g., UKCA) and registration with MHRA become practical requirements. One important exception should be noted: devices for performance evaluation are excluded from the normal conformity assessment procedures. However, this does not mean that regulatory requirements do not apply. For such devices, the manufacturer is required to prepare a statement of conformity (Part IV Annex VIII) and complete registration with MHRA. Therefore, it is important to recognize that the applicable requirements differ depending on the intended purpose of the device (market placement or performance evaluation).

3-2. Clinical investigations / performance evaluation studies for IVDs

3-2-1. Studies to be performed

When conducting a performance evaluation study for an IVD in GB, the IVD is treated as a "device for performance evaluation" under Part IV of the UK MDR 2002. According to the MHRA GB-specific guidance on IVDs, devices for performance evaluation are described as IVDs intended by the manufacturer to be the subject of one or more performance evaluation studies, and performance evaluation must be conducted in accordance with this framework.

In a performance evaluation study of an IVD itself, the performance of the device is assessed using the IVD under evaluation, and the results are accumulated as technical documentation and data. In such cases, the process must proceed in the following order: "first ensuring that the requirements applicable to devices for performance evaluation (preparation of a statement of conformity and registration with MHRA) are met, and then conducting the performance evaluation."

Accordingly, at the beginning of the study planning stage, it is necessary to proceed on the premise that the IVD will be handled as a device for performance evaluation, and to prepare the required documentation and complete the registration in advance. This constitutes a key practical point in the implementation process.

The legal checkpoints when planning a performance evaluation study of an IVD itself are threefold: (i) confirming that the IVD can be classified as a device for performance evaluation, (ii) preparing a statement of conformity in accordance with Part IV Annex VIII, and (iii) completing registration with MHRA. Designing and conducting the performance evaluation study after satisfying these requirements constitutes an approach that is consistent with the GB regulatory framework.

3-2-2. Reporting of adverse events

In GB, adverse event reporting (safety reporting) for IVDs is organized not under Article 76 of the EU IVDR, but under the GB medical device vigilance system based on the post-market surveillance requirements (Part 4A) newly introduced into the UK MDR 2002. Manufacturers (including the UK responsible person, if applicable) are required to report serious incidents, adverse trends, and field safety corrective actions (FSCAs) related to the IVD to MHRA, in accordance with the specified requirements and timelines. Reporting timelines are classified according to the level of seriousness. A serious public health threat must be reported no later than 2 days, death or an unanticipated serious deterioration in a person's state of health no later than 10 days, and other serious incidents no later than 15 days, after the manufacturer becomes aware of the incident. Reports are submitted through the online reporting environment designated by MHRA, the Manufacturer's Online Reporting Environment (MORE). Where necessary, an initial report may be submitted with incomplete information, followed by supplementary and final reports. For performance studies conducted in NI, safety reporting is organized in accordance with the framework of the EU IVDR. Where the European Database on Medical Devices (EUDAMED) is not yet fully operational, reporting is, in practice, carried out using alternative procedures in accordance with the Medical Device Coordination Group (MDCG) guidance.

3-3. Handling of *in vitro* diagnostic medical devices (IVDs) in NI (differences from GB)

In NI, a regulatory framework different from that of GB applies under the Windsor Framework. Specifically, IVDs in NI are regulated based on the EU IVDR, and therefore the applicable legislation differs from the UK MDR 2002 (Part IV), which forms the core regulatory framework in GB. Accordingly, instead of being organized according to the IVDD-based four categories used in GB (general IVDs, self-test IVDs, Annex II List B, and Annex II List A), IVDs in NI must be assessed and brought into conformity in accordance with the classification system of the EU IVDR (risk Classes A to D) and the related requirements.

This difference also affects practical aspects of market placement and investigations. IVDs placed on the market in NI are, in principle, organized on the basis of CE marking in conformity with the EU IVDR, and, where necessary, NI-specific marking requirements (such as the UKNI marking) must also be considered. In addition, where a performance evaluation study for an IVD is conducted in NI, the study must be planned, conducted, documented, and reported in accordance with the provisions on performance studies under the EU IVDR, rather than under the framework of Part IV of the UK MDR 2002 used in GB.

Furthermore, to ensure the implementation and enforcement of the EU IVDR in NI, the domestic legal framework has been supplemented by the Medical Devices (*In Vitro* Diagnostic Devices etc.) (Amendment) Regulations 2024 (SI 2024/221). Accordingly, for projects conducted in NI, it is necessary first (1) to identify the applicable requirements on the basis of the EU IVDR, and then (2) to confirm consistency with the relevant domestic law governing implementation and enforcement in NI (including SI 2024/221).

Chapter 2: Detailed requirements for clinical investigations

1. Regulatory framework for the authorisation of clinical investigations by the UK regulatory authority

In GB, companies planning to conduct clinical investigations that require prior notification to the regulatory authority (e.g., investigations involving devices without marking or off-label use) are required to notify MHRA at least 60 days before the start of the investigation. The application is submitted through IRAS together with the required documentation. The submission package includes the clinical investigation plan (protocol), technical specifications and risk assessment, the investigator's brochure where applicable, patient information sheets and participant consent forms, as well as documentation demonstrating insurance coverage and indemnity arrangements. Following submission, MHRA reviews the application and notifies the applicant by letter of either no objection or objection within 60 days. During this period, ethical review by a REC is conducted in parallel. Where the investigation combines a clinical trial of an investigational medicinal product (CTIMP) and a medical device investigation, the review by MHRA and REC may be conducted together under the combined review process.

[Note: Regulatory framework in NI]
In NI, unlike in GB, a regulatory framework aligned with the EU medical device regulations (MDR and IVDR) applies. Accordingly, for clinical investigations that include study sites in NI, the submission is made to MHRA as in GB; however, the application requirements and the basis for review must be organized in accordance with the NI regulatory framework. In addition, in NI, the outcome of the regulatory review is expressed as "authorisation or refusal" by the authority, rather than the "no objection or objection" approach used in GB. Consequently, a clinical investigation may not be conducted without prior authorisation from the authority. Furthermore, in NI, the standard timeframe for the preliminary procedure (authority's review) is 45 days. Where the involvement of external experts is required, this period may be extended by a further 20 days. In addition, applications involving healthcare institutions in NI may be handled together with those involving institutions in GB for the same investigation. Therefore, the regulatory assessment and procedures may not necessarily follow the same approach as for investigations conducted solely in GB. In particular, even in cases where notification to the authority may not be required in GB (e.g., studies corresponding to post-market use within the intended purpose), the regulatory requirements and procedural considerations in NI may differ. Accordingly, when planning investigations that include NI, it is important to clearly describe the NI-specific requirements and operational differences in addition to the explanation of the GB framework.

2. Compliance with ISO 14155

In GB, ISO 14155 (BS EN ISO 14155:2020) is not positioned as a direct obligation (i.e., a designated standard) under the applicable legislation for conducting clinical investigations of medical devices. However, regulatory authority guidance indicates that compliance with ISO 14155 is expected as best practice. In its official guidance on the notification and review of clinical investigations, the regulatory authority, MHRA specifies the documentation required for submission, such as the clinical investigation plan, investigator's brochure, and patient information sheet/informed consent form (PIS/ICF), as well as the key review considerations, including ethics, safety, and the validity of the procedures. These are implicitly expected to be

aligned with the GCP principles (design, conduct, recording, and reporting) set out in ISO 14155. The MHRA guidance further supplements these requirements at the operational level and specifies detailed expectations for safety monitoring during the clinical investigation, procedures for modifications, reporting in the event of early termination, and the evaluation of human factors. In particular, serious adverse events and clinical investigation deviations must be reported to MHRA without delay, and appropriate corrective actions must be implemented where necessary.

[Note: Relationship with ISO 14155 (BS EN ISO 14155:2020) in NI]
In NI, clinical investigations are conducted under a framework aligned with the EU MDR/IVDR. Accordingly, ISO 14155 is regarded as a GCP standard representing best practice for operationally meeting EU clinical investigation requirements and should be reflected in the planning, conduct, recording, and reporting of clinical investigations. Therefore, where NI is included, documentation and operational processes should also be prepared on the basis of alignment with ISO 14155, with particular emphasis on subject protection and data reliability.

3. REC/ IRB approval process and regulatory framework

In GB, clinical investigations of medical devices are structured as a dual process requiring both regulatory review by MHRA and ethical review by REC, as described above. In terms of application timing, it is standard practice to prepare the full set of application documents via IRAS and to proceed with MHRA procedure and REC review (and, where applicable, governance approvals depending on the research region and site classification) in parallel. Therefore, rather than “one preceding the other,” both an MHRA decision (e.g., no objection) and a favourable opinion from a REC are required as conditions for initiation.
For submission, documents such as the clinical investigation plan (protocol), investigator’s brochure, patient information sheet (PIS)/participant consent form, and technical documentation (including risk assessment and relevant data) are generally prepared and submitted via IRAS. The reviews are generally conducted in parallel: MHRA focuses primarily on safety, performance, and the validity of the investigation design, while the REC evaluates ethical aspects, such as subject protection, the appropriateness of the consent process, and the acceptability of risks and burdens.
Regarding the establishment and operation of REC, multiple RECs are organized and operated nationally in accordance with the Governance Arrangements for Research Ethics Committees (GAfREC) based on standardized operating procedures. Each clinical investigation is assigned to an appropriate REC according to the nature of the research through an online allocation system (booking mechanism). Depending on the characteristics of the research, review by RECs capable of handling specific areas (flagged RECs) may be required; however, unlike systems such as that of the Netherlands, where a “limited number of central RECs accepted by the country review almost all medical device clinical investigations,” the UK adopts a decentralized review system involving multiple RECs.

[Note: Ethical review by RECs in NI]
In NI, review is conducted by two RECs within the Health and Social Care (HSC), namely HSC REC A and HSC REC B. These RECs are supported by the Office for Research Ethics Committees Northern Ireland (ORECNI) and conduct reviews within a framework aligned with the UK-wide system (including GAfREC and standardized procedures). Applications follow the same IRAS-based submission and booking process as in GB.

4. Regulatory framework for conflicts of interest (transparency-related)

In clinical trials of medical devices in GB, the management of conflict of interest (COI) is regarded as an important element related to the trust of research and the fairness of review. At a minimum, transparency-related information and guidance on clinical investigations of medical devices published by HRA set out process requirements, including the management of interests on the part of ethics review bodies and those involved in the review, rather than exhaustively specifying the COI of individual investigators. With respect to applicants (sponsors), information related to COI is also reviewed as part of the application documents during ethical review.

A notable feature in GB is that COI management on the part of the regulatory authorities (such as MHRA) is clearly institutionalized. In particular, MHRA has established and published policies for managing COI among experts and reviewers in order to avoid decisions within the organization being influenced by other interests. These policies are intended to prevent situations in which decisions by those with review authority lack neutrality or appear to lack neutrality.

Furthermore, principles relating to transparency in GB are regarded as a fundamental basis supporting the neutrality of the research process and of evaluation and review, and it is clearly stated in the HRA transparency guidance that research should be conducted fairly and that its results should be appropriately made public, thereby contributing to the trust of research participants and society as a whole.

Overall, COI management in GB is structured to ensure neutrality not by “detailed specification of individual researchers’ COI,” but by multiple mechanisms, including review by ethics committees, internal COI management by the regulatory authorities, and the assurance of transparency across the research as a whole.

[Note: COI management in NI]

In clinical investigations of medical devices in NI, COI management is also regarded as an important element related to the trust of research and the fairness of review. Ethical review in NI is conducted by HSC RECs and supported by ORECNI; these operate within the framework of the UK-wide Research Ethics Service (RES) and are managed under common standards and procedures. The framework for COI management in NI is broadly consistent with that in GB.

5. Regulatory framework for information provision, informed consent, and multilingualization

In GB, with respect to the provision of information and the obtaining of consent in clinical investigations of medical devices, detailed procedures and review criteria for consent are implemented through a framework combining multiple regulations and systems, not solely in legislation.

In GB, in order to initiate a CI subject to the medical device regulations, ethical approval by REC is required, and in the course of this ethical review, the appropriateness of the information provided to participants and the methods for obtaining consent are subject to review. Through the ethical review process, investigators are required to demonstrate the appropriateness of documents and procedures related to informed consent. Clinical investigations of medical devices in GB are primarily governed under the framework of the UK MDR 2002.

Furthermore, MHRA clearly requires the submission of the “patient information sheet (PIS)” and the “participant consent form” as part of the documentation for CI applications. This requirement

is incorporated into official guidance as part of the application requirements for clinical investigations and serves to ensure that participants are provided with clear information on the purpose, risks, benefits, and impacts of participation in the investigation, and that consent is given voluntarily based on such understanding.
In the UK, there is no system in which multilingual requirements for clinical investigations of medical devices are stipulated on a provision-by-provision basis in legislation. However, it is an ethical and legal requirement that information provided to study participants be presented in a "form that is understandable," and in order to achieve such understandability, measures such as translation (multilingualization) and interpretation may be required depending on the content of the research and the target population. Rather than legislation explicitly prescribing an "obligation of translation" in provisions, the necessity for multilingual measures is assessed within the framework of HRA and REC review and operations.
While the general approach to the provision of information and the obtaining of consent is broadly the same in NI, it should be noted that the regulatory basis (applicable legislation) for clinical investigations of medical devices in NI differs from that in GB, and the EU MDR/IVDR apply in NI.

6. Regulatory framework for compensation for subjects

In clinical investigations of medical devices in GB, with respect to requirements relating to subject compensation, methods of compensation or amounts of indemnification are not set out in detail on a provision-by-provision basis in a single specific piece of legislation.
Under the UK MDR 2002, notification to MHRA and ethical review (REC approval) are required in order to conduct a clinical investigation. While this legislation does not specify the details of compensation on a provision-by-provision basis, it requires that subject safety be ensured and that appropriate risk management measures be in place for the conduct of clinical investigations. As part of such safety assurance, the adequacy of compensation and insurance is incorporated in practice.
In addition, MHRA clearly states in its official guidance "Clinical investigations for medical devices" that "evidence of insurance or indemnity" must be submitted as part of the application documentation for clinical investigations. This is required to demonstrate that the sponsor has the capacity to assume adequate compensation responsibility in the event that subjects suffer harm as a result of participation in the investigation, and constitutes a central practical requirement of the compensation framework.
Furthermore, REC reviews not only the appropriateness of the clinical investigation plan but also, from the perspective of subject protection, whether compensation and insurance systems are appropriately ensured. If the compensation system is insufficient, approval will not be granted.

In NI, although the applicable legislation is the EU MDR/IVDR, the fundamental approach of ensuring appropriate compensation (insurance and indemnity schemes) from the perspective of subject protection is broadly the same as in GB. It should be noted that in NI, the EU MDR explicitly requires the establishment of a system for compensation for damage (e.g., insurance or guarantees).

7. Regulatory framework for safety reporting to the regulatory authority

In clinical investigations of medical devices in GB, the reporting of safety information (such as adverse events and device deficiencies) is regarded as an essential element for ensuring the

protection of participants and the ethical conduct of the investigation and is implemented within a multi-layered structure combining a legal framework and detailed operational requirements set out in the MHRA guidance.
The UK MDR 2002 (and related regulatory frameworks) do not specify detailed classifications of adverse events or specific reporting formats on a provision-by-provision basis; however, these frameworks are structured on the premise that the sponsor, as the party conducting the clinical investigation, is responsible for accurately identifying safety-related information and reporting it to MHRA as necessary.
According to the MHRA official guidance, events identified during a clinical investigation that fall under serious adverse events (SAEs), serious adverse device effects (SADEs), or device deficiencies are required to be reported without delay and are treated as information directly relevant to decisions on the continuation of the investigation and the evaluation of participant safety. Furthermore, issues affecting the safety of the investigation and significant procedural deviations are also subject to reporting to MHRA without exception. These detailed reporting requirements form the basis for MHRA to appropriately monitor safety risks throughout the investigation and to take necessary supervisory measures, and constitute a core component of safety management in clinical investigations of medical devices in GB.
In addition, in GB, in order to enhance the accuracy of safety monitoring, reporting of SAEs and related information is required to be conducted through MORE, thereby ensuring the timeliness and systematic handling of reports. MORE is the official platform for centrally receiving all medical device-related incident reports, and the submitted information is analyzed by MHRA. Regulatory actions and risk mitigation measures are considered as necessary.

[Note: Differences in NI]
In NI, as in GB, the reporting of safety information in clinical investigations of medical devices is an important element for ensuring the protection of participants and the ethical conduct of the investigation. However, as NI is subject to the EU MDR/IVDR under the Windsor Framework, it is necessary to note that the legal basis (applicable legislation) and the reference framework for terminology and procedures differ from those in GB.
The MHRA official guidance distinguishes between studies conducted in GB only, those conducted in GB and NI, and those conducted in NI only, in terms of applicability and explanatory content. For studies in NI, it is assumed that the recording and reporting of safety information are carried out in accordance with the requirements of the EU MDR/IVDR. Therefore, where sites in NI are included, it is important to ensure alignment of the clinical investigation plan (CIP) and procedures, taking into account that the scope and definitions of reportable events, as well as the basis for reporting formats and timelines, may differ from those in GB.
With regard to adverse incident reporting for medical devices, manufacturers (or those reporting on their behalf) are, in principle, required to submit reports to MHRA via MORE, regardless of whether the events occur in GB or NI. MORE is also positioned as the reporting route in NI.

8. Regulatory framework for protection of subject information (protection of personal data and healthcare information)

In the UK, the protection of personal data and healthcare information handled in clinical investigations of medical devices is not specified in detail by a single piece of legislation.
In the UK, even after withdrawal from the EU, the principles of data protection legislation (General Data Protection Regulation, GDPR) have been incorporated into domestic law as the UK GDPR,

and their detailed implementation is supplemented by the Data Protection Act 2018 (DPA 2018) and the Data (Use and Access) Act 2025 (DUAA).
These constitute the fundamental legal framework for the handling of personal data, in particular "data concerning health," which are highly sensitive in nature. HRA, as a public body, indicates that the application of the DPA 2018 and the UK GDPR is a prerequisite in the handling of research data and requires research institutions to appropriately determine "under what conditions the processing of personal data is permitted" and "what security measures are necessary."
The legal framework for personal data protection under the UK GDPR, the DPA 2018, and the DUAA is common to both GB and NI.

9. Regulatory framework for disclosure of clinical investigation data

In the clinical investigations of medical devices in the UK, ensuring the transparency of study content and results is positioned as an essential element for the protection of participants and the maintenance of public trust. However, there is no UK-specific registry or centralized database dedicated to medical devices comparable to EUDAMED in the EU or Japan Registry of Clinical Trials (jRCT) in Japan.
The HRA transparency guidance indicates the importance of registering research in publicly accessible databases and making results publicly available after completion. However, among these transparency obligations, those clearly established as new statutory requirements are limited to CTIMPs (under the amended regulations effective from April 28, 2026), and a comparable new legal framework has not been uniformly extended to clinical investigations of medical devices. On the other hand, HRA positions registration in publicly accessible registries as a condition for REC approval for "clinical trials," including clinical investigations of medical devices, and strongly recommends registration and results disclosure in public registries such as ClinicalTrials.gov and the International Standard Randomised Controlled Trial Number (ISRCTN) registry.
In NI, as the EU MDR/IVDR apply, EU regulatory frameworks such as EUDAMED are involved in medical device regulation. However, based on HRA research transparency requirements (registration in public registries and disclosure of results), ethical review requirements in NI (HSC REC A and HSC REC B) likewise require registration and results disclosure in public registries such as ClinicalTrials.gov and the ISRCTN registry, as in GB.

10. Regulatory framework for digitalization of data

As a key UK official document directly related to digitalization, MHRA provides guidance on electronic health records (EHRs).
First, electronically maintained medical records must have sufficient completeness and integrity to allow the course of a clinical trial to be faithfully reconstructed at a later stage. This requirement is essential for ensuring the credibility of trial results. If records are inadequate and the trial cannot be reconstructed, the trial may be considered non-compliant with fundamental principles such as ISO 14155. MHRA considers the inability to reconstruct a clinical trial to be a significant regulatory risk that may constitute a regulatory breach and undermine the reliability of clinical trial data. It is also required that such records comply with GCP requirements applicable to CTIMP, etc. Furthermore, appropriate security and access control measures must be in place when third parties who have access to electronic records, such as monitors or auditors, view the records.

In the UK, electronic signatures may generally be used in clinical trials, and properly designed electronic signatures are considered “valid signatures.” However, not all forms of electronic signatures are acceptable. According to joint guidance issued by MHRA and HRA, specific requirements are set out to ensure reliability through identity, integrity, and timestamp.

Appendix: List of laws, regulations, and guidance cited in this summary (in order of appearance)

1. Medicines and Medical Devices Act 2021
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2021/3/contents

2. UK Medical Devices Regulations 2002
   Abbreviation: UK MDR 2002
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2002/618/contents
   - Part IV (In Vitro Diagnostic Medical Devices)
   - Part 4A (Post-market surveillance requirements)

3. Medical Devices (Amendment etc.) (EU Exit) Regulations 2019
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2019/791/contents

4. Medical Devices (Amendment) (Great Britain) Regulations 2023
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2023/627/contents/made

5. Medical Devices (In Vitro Diagnostic Devices etc.) (Amendment) Regulations 2024
   https://www.legislation.gov.uk/uksi/2024/221/contents/made

6. UK General Data Protection Regulation
   Abbreviation: UK GDPR
   https://ico.org.uk/about-the-ico/what-we-do/legislation-we-cover/general-data-protection-regulation/

7. Data Protection Act 2018
   Abbreviation: DPA 2018
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2018/12/contents

8. Data (Use and Access) Act 2025
   Abbreviation: DUAA
   https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2025/18/contents

9. Regulation (EU) 2017/745 on medical devices
   Abbreviation: MDR
   https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A02017R0745-20250110

10. Regulation (EU) 2017/746 on in vitro diagnostic medical devices
    Abbreviation: IVDR
    https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2017/746/oj/eng

11. Directive 98/79/EC on *in vitro* diagnostic medical devices (no longer in force)
    Abbreviation: IVDD
    https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:31998L0079

12. In vitro diagnostic medical devices: guidance on legislation

Term used in this summary: GB-specific guidance published by MHRA
https://www.gov.uk/government/publications/in-vitro-diagnostic-medical-devices-guidance-on-legislation

13. ISO 14155:2020 Clinical investigation of medical devices for human subjects — Good clinical practice
Abbreviation: ISO 14155

14. Governance Arrangements for Research Ethics Committees
Abbreviation: GAfREC
https://s3.eu-west-2.amazonaws.com/www.hra.nhs.uk/media/documents/GAfREC_Final_v2.1_July_2021_Final.pdf

15. Research transparency
Term used in this summary: HRA transparency guidance
https://www.hra.nhs.uk/planning-and-improving-research/policies-standards-legislation/research-transparency/#:~:text=If%20you%20work%20in%20research,research%20transparency%20in%20the%20UK.

16. Guidance on legislation: Clinical investigations of medical devices – compiling a submission to MHRA
https://assets.publishing.service.gov.uk/media/62f52991d3bf7f4c6a8677f8/Guidance_for_mfrs_-_compiling_a_submission_to_MHRA_-_May_2021.pdf

17. Guidance on legislation: Clinical investigations of medical devices – guidance for manufacturers
https://assets.publishing.service.gov.uk/media/68e3b0abef1c2f72bc1e4e17/Guidance_for_mfrs_on_clinical_investigations-October_2025.pdf

18. MHRA position statement and guidance: Electronic Health Records
https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/470228/Electronic_Health_Records_MHRA_Position_Statement.pdf

19. Joint statement on seeking consent by electronic methods
Term used in this summary: Joint guidance issued by MHRA and HRA
https://s3.eu-west-2.amazonaws.com/www.hra.nhs.uk/media/documents/hra-mhra-econsent-statement-sept-18.pdf

研究成果の刊行に関する一覧表

書籍

著者氏名	論文タイトル名	書籍全体の編集者名	書　籍　名	出版社名	出版地	出版年	ページ
該当なし							

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
該当なし					

令和７年　１２月　２２日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~)　殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名　国立病院機構大阪医療センター

所属研究機関長　職　名　院長

氏　名　　松村　泰志

次の職員の 令和７年度 厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名　令和７年度 厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

２．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名　（所属部署・職名）　国立病院機構大阪医療センター・名誉院長

（氏名・フリガナ）　楠岡　英雄（クスオカ　ヒデオ）

４．倫理審査の状況

	該当性の有無	左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有　無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学･医学系研究に関する倫理指針（※3）	□　■	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　■	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　■	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること（指針の名称：　　）	□　■	□		□

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査に場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ■　　未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ■　無 □（無の場合はその理由：　　）
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ■　無 □（無の場合は委託先機関：　　）
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 ■　無 □（無の場合はその理由：　　）
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 □　無 ■（有の場合はその内容：　　）

（留意事項）　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令 和 8 年 3 月 2 日

厚生労働大臣　殿

機関名　国立大学法人東北大学

所属研究機関長　職　名　総長

氏　名　冨永 悌二

次の職員の令和７年度厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名　厚生労働科学特別研究事業

２．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名　（所属部署・職名）　東北大学病院臨床研究推進センター・特任教授

（氏名・フリガナ）　池田　浩治　イケダ　コウジ

４．倫理審査の状況

	該当性の有無 有　無	左記で該当がある場合のみ記入 (※1) 審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	□　■	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　■	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　■	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること（指針の名称：　）	□　■	□		□

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。
(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ■　未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ■　無 □ （無の場合はその理由：　）
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ■　無 □ （無の場合は委託先機関：　）
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 ■　無 □ （無の場合はその理由：　）
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 ■　無 □ （有の場合はその内容：　研究実施の際の留意点を示した。　）

（留意事項）　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

2025年　12月　24日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~)　殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名 大阪歯科大学

所属研究機関長　職　名　学長

氏　名　川添 堯彬

次の職員の 令和７年度 厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名　令和７年度 厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

２．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名　（所属部署・職名）医療イノベーション研究推進機構　事業化研究推進センター　開発支援部門・教授

（氏名・フリガナ）　谷城　博幸・タニシロ　ヒロユキ

４．倫理審査の状況

	該当性の有無	左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有　無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学･医学系研究に関する倫理指針（※3）	□　■	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　■	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　■	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること（指針の名称：　　）	□　■	□		□

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査に場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ■　未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ■　無 □（無の場合はその理由：　　）
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ■　無 □（無の場合は委託先機関：　　）
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 ■　無 □（無の場合はその理由：　　）
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 □　無 ■（有の場合はその内容：　　）

（留意事項）　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和　8年　1月　15日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~)　殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名　京都大学

所属研究機関長　職　名　大学院医学研究科長

氏　名　波多野　悦朗

次の職員の 令和 7 年度 厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1．研究事業名　令和 7 年度 厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

2．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

3．研究者名　（所属部署・職名）大学院医学研究科・教授

（氏名・フリガナ）　井上　悠輔・イノウエ　ユウスケ

4．倫理審査の状況

	該当性の有無	左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有　無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学･医学系研究に関する倫理指針 (※3)	□　■	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　■	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　■	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること（指針の名称：　　）	□　■	□		□

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。
(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ■　　未受講 □

6．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ■　無 □(無の場合はその理由:　　)
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ■　無 □(無の場合は委託先機関:　　)
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 ■　無 □(無の場合はその理由:　　)
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 □　無 ■(有の場合はその内容：　　)

(留意事項)　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

２０２６年 ２ 月 ４ 日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~)　殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名　国立大学法人東北大学

所属研究機関長　職　名　総長

氏　名　冨永　悌二

次の職員の 令和７年度 厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名　厚生労働科学特別研究事業

２．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名　(所属部署・職名)　大学院文学研究科・教授

(氏名・フリガナ)　田代　志門・タシロ　シモン

４．倫理審査の状況

	該当性の有無	左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有　無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	□　■	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　■	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　■	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：　　)	□　■	□		□

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。
(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ■　未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ■　無 □(無の場合はその理由：　　)
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ■　無 □(無の場合は委託先機関：　　)
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 ■　無 □(無の場合はその理由：　　)
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 ■　無 □（有の場合はその内容：研究実施の際の留意点を示した）

(留意事項)　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

２０２５年１２月２４日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~)　殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名 学校法人北里研究所 北里大学

所属研究機関長　職　名　学長

氏　名　砂塚　敏明

次の職員の 令和７年度 厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名　令和７年度 厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

２．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名　（所属部署・職名）　薬学部・教授

（氏名・フリガナ）　成川　衛 ・ ナルカワ　マモル

４．倫理審査の状況

	該当性の有無	左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有　無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	□　■	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　■	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　■	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること（指針の名称：　　）	□　■	□		□

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査に場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ■　未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ■　無 □（無の場合はその理由：　　）
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ■　無 □（無の場合は委託先機関：　　）
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 ■　無 □（無の場合はその理由：　　）
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 □　無 ■（有の場合はその内容：　　）

（留意事項）　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

2026年　4月　1日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~)　殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名　国立研究開発法人国立がん研究センター

所属研究機関長　職　名　理事長

氏　名　間野　博行

次の職員の 令和７年度 厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名　令和７年度 厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

２．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名　（所属部署・職名）　中央病院　国際開発部門・国際開発部門長

（氏名・フリガナ）　中村健一・ナカムラケンイチ

４．倫理審査の状況

	該当性の有無	左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有　無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学･医学系研究に関する倫理指針（※3）	□　■	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　■	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　■	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること（指針の名称：　　）	□　■	□		□

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査に場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ■　　未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ■　無 □（無の場合はその理由：　　）
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ■　無 □（無の場合は委託先機関：　　）
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 ■　無 □（無の場合はその理由：　　）
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 □　無 ■（有の場合はその内容：　　）

（留意事項）　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

2025 年 12 月 22 日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~) 殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名 天松医科大学
所属研究機関長 職 名 学長
氏 名 妻邊 務司

次の職員の 令和７年度 厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名 令和７年度 厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

２．研究課題名 日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名 (所属部署・職名) 天松医科大学・学長
(氏名・フリガナ) 妻邊 務司・ワタナベ ヒロシ

４．倫理審査の状況

	該当性の有無		左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有	無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	□	☑	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□	☑	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□	☑	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	□	☑	□		□

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。
(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ☑ 未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ☑ 無 □(無の場合はその理由:)
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ☑ 無 □(無の場合は委託先機関:)
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 □ 無 ☑(無の場合はその理由: 該当しない研究であるから)
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 □ 無 ☑(有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

2026 年　1 月　5 日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~)　殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名　八戸赤十字病院

所属研究機関長　職　名　院長

氏　名　紺野　広

次の職員の 令和 7 年度 厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名　令和 7 年度 厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

２．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名　(所属部署・職名)　脳神経疾患センター　センター長

(氏名・フリガナ)　佐々木　真理　（ササキ　マコト）

４．倫理審査の状況

	該当性の有無	左記で該当がある場合のみ記入 (※1)		
	有　無	審査済み	審査した機関	未審査 (※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針 (※3)	□　■	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　■	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　■	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること（指針の名称：　　）	□　■	□		□

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

(※2) 未審査に場合は、その理由を記載すること。
(※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ■　　未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ■　無 □(無の場合はその理由:　　)
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ■　無 □(無の場合は委託先機関:　　)
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 □　無 ■(無の場合はその理由：　該当しない研究のため　　)
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 □　無 ■(有の場合はその内容：　　)

(留意事項)　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

2025年　12月　22日

厚生労働大臣
(~~国立医薬品食品衛生研究所長~~)　殿
(~~国立保健医療科学院長~~)

機関名　埼玉医科大学総合医療センター

所属研究機関長　職　名　教授

氏　名　滝沢牧子

次の職員の 令和７年度 厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

１．研究事業名　令和７年度 厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）

２．研究課題名　日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究

３．研究者名　（所属部署・職名）医療安全管理学　教授

（氏名・フリガナ）　滝沢牧子（タキザワマキコ）

４．倫理審査の状況

	該当性の有無	左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
	有　無	審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学･医学系研究に関する倫理指針（※3）	□　☑	□		□
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	□　☑	□		□
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	□　☑	□		□
その他、該当する倫理指針があれば記入すること（指針の名称：　）	□　☑	□		□

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査に場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

５．厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ☑　未受講 □

６．利益相反の管理

当研究機関におけるＣＯＩの管理に関する規定の策定	有 ☑　無 □（無の場合はその理由：　）
当研究機関におけるＣＯＩ委員会設置の有無	有 ☑　無 □（無の場合は委託先機関：　）
当研究に係るＣＯＩについての報告・審査の有無	有 □　無 ☑（無の場合はその理由：　）
当研究に係るＣＯＩについての指導・管理の有無	有 □　無 ☑（有の場合はその内容：　）

（留意事項）　・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。