別紙３

総合研究報告書

令和５～７年度厚生労働行政推進調査事業費補助金
（医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業）
総括研究報告書

ICH-GCP改定における日本からのステークホルダー参画のための研究

研究代表者　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
ICH-E6ガイドライン（ICH-GCP）は、臨床試験における被験者保護と信頼性確保のための国際基準であり、日本でもGCP省令として治験実施の基本ルールとなっている。本研究では、ICH-E6(R3)改定に際し、日本のアカデミア、臨床研究中核病院、患者・被験者等のステークホルダーの意見を集約し、ICH-E6(R3) WGへ提言することを目的とした。令和5年度はPrinciples、Annex 1およびAnnex 2に関する意見集約を行い、DCT、RWD/RWE、倫理審査、安全性確保、過度なトレーニング回避等について日本から意見を提出した。令和6年度はPrinciplesおよびAnnex 1の最終化、Annex 2の検討、教育ツールのあり方について議論に参加し、proportionality、data governance、informed consent等に関する実務的視点を提示した。令和7年度にはPrinciplesおよびAnnex 1がStep 4に到達し、活動の中心は国内実装支援へ移行した。ICH公式トレーニングマテリアルの周知、ICRweb向け日本語教育コンテンツの作成、国内外の学会・フォーラムでの講演や意見交換を通じて、原則中心のGCP、proportionality、DCT等への適用に関する理解促進を図った。今後は、Annex 2の最終化も見据え、本研究で得られた知見と教育資材を活用し、国内の臨床研究・治験におけるICH-E6(R3)の適切な実装を支援していく。

分担研究者名
柴田 大朗　　国立がん研究センター・研究支援センター長

後澤 乃扶子　国立がん研究センター・研究支援センター・研究管理部長

沖田 南都子　国立がん研究センター中央病院・研究企画推進部長

秦 友美　　国立がん研究センター中央病院・国際研究支援室長

武内　聡　　国立がん研究センター・研究支援センター・研究管理課長

澤田石 勝也　国立がん研究センター・研究支援センター・研究管理課長

小林 隼人　　国立がん研究センター中央病院・機器開発・薬事管理室員

山岸 洸太　　国立がん研究センター中央病院・機器開発・薬事管理室員

田代 志門　　東北大学・大学院文学研究科・准教授

佐藤 典宏　　北海道大学病院・臨床研究開発センター・教授

池田 浩治　　東北大学病院・臨床研究推進センター・特任教授

布施 望　　国立がん研究センター東病院・臨床研究企画部長

花岡 英紀　　千葉大学医学部付属病院・臨床試験部・教授

丸山 達也　　東京大学医学部附属病院・臨床研究推進センター・副センター長

富永 俊義　　慶應義塾大学・医学部・特任教授

清水 忍　　名古屋大学医学部附属病院・先端医療開発部・准教授

加藤 貴雄　　京都大学医学部附属病院・先端医療研究開発機構・准教授

山本 洋一　　大阪大学医学部附属病院・教授

櫻井 淳　　岡山大学・学術研究院医療開発領域新医療研究開発センター・教授

戸高 浩司　　九州大学病院・ARO次世代医療センター・教授

原田　英治　　慶應義塾大学病院・臨床研究推進センター・教授

A．研究目的

医薬品規制調和国際会議（ICH）によって策定されたICH-E6ガイドライン（ICH-GCP）は、医薬品の臨床試験における被験者保護と信頼性確保のためのグローバルスタンダードとして広く受け入れられている。我が国でも「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」（GCP省令）として採用され、企業治験・医師主導治験の実施のためのルールとして極めて重要なものとなっている。

ICH-GCPは1996年に制定され、2016年にE6(R2)としてrisk-based monitoringや電子的な文書管理に関するIntegrated Addendumが作成されたものの、約25年にわたり全面的な見直しは行われてこなかった。しかし、医薬品開発や臨床試験を巡る環境変化や、患者・被験者の臨床試験参加への意識の変化などを背景として、ICH-GCPにも大改定の機運が高まってきた。そこでICHにおいて、2017年に「GCP刷新：ICH E8の近代化とそれに続くICH E6の刷新」と題するリフレクションペーパーが策定され、2019年11月にICH-GCPの改定作業に係る作業部会（ICH-E6(R3) WG）が立ち上げられた。

ICHは各国の規制当局と産業界がメンバーとして構成される組織だが、そこで作られるガイドラインは、医薬品に関わる他のステークホルダーに大きな影響を与えるものであり、GCPの改定に当たっては、治験においてinvestigatorとなり、医師主導治験ではsponsorともなるアカデミアや、GCPの目的たる被験者保護の対象となる患者・被験者など、各ステークホルダーの立場や意見を十分に取り入れる必要がある。

これまでICHガイドラインの策定においては、こうしたステークホルダーに対してはガイドライン案ができた段階でのパブリックコメントにて意見聴取がなされてきたが、2020年12月にはステークホルダーの視点をいっそうガイドラインに入れ込んでいくこと等を内容とする文書案が公開されるなど、ステークホルダーを作成過程により積極的に関与させる取り組みが進められている。

日本からのステークホルダーの関与としては、2020年度に厚生労働科学特別研究事業「ICH-GCP改定における国内ステークホルダーの参画のための研究」班が組織され、同研究班からICH-E6(R3)WGへの意見出しが既に行われており、その後も作業部会への意見出しを継続している。今後ICH-E6(R3)の改訂作業が継続するため、本研究では引き続きICH-E6(R3) WGの要請を踏まえつつ、国内のアカデミアや被験者など様々な立場におけるICH-GCPに対する意見（改善点、要望事項等）を集約し、日本のステークホルダーの意見をICH-GCP改定に反映させることを目指す。

B．研究方法

令和5年度は、Annex 2に関する検討が重点的に実施された。研究実施期間中に開催されたstakeholder engagement meetingに際しては、国内ステークホルダーから効率的に意見集約を行うため、規制要件の専門家に加え、各臨床研究中核病院を研究分担者としてアサインし、事前に送られてくるAnnex 2のドラフトを共有した上で、意見を募集し、研究代表者がとりまとめてstakeholder engagement meetingで発言を行った。

令和6年度は、ICH-E6（R3）WGによって、PrinciplesおよびAnnex 1の最終化の作業に加えて、Annex 2に関する検討、教育ツールの検討が実施され、研究班としてはacademic stakeholderとしてそれぞれについて意見を提出した。

研究実施期間中に開催されたstakeholder engagement meetingに際しては、国内ステークホルダーから効率的に意見集約を行うため、規制要件の専門家に加え、各臨床研究中核病院を研究分担者としてアサインし、事前に送られてくるドラフトを共有した上で、意見を募集し、研究代表者がとりまとめてstakeholder engagement meetingで発言を行った。

令和7年度は、ICH-E6(R3)の国内実装を支援する観点から、主として以下の方法により研究を実施した。

第一に、ICH-E6(R3) Principles および Annex 1 の Step 4 到達後の状況、ならびに Annex 2 の最終化に向けた国際的な議論の動向について情報収集を行った。米国 Society for Clinical Trials、DIA China、DIA Global、ESMO TAT、China Trials 等の国際学会・会議に参加し、各国における ICH-GCP 改定への対応状況、実装上の課題、教育ツールの策定状況等について海外研究者および関係者と意見交換を行った。

第二に、ICH から段階的に発行された公式トレーニングマテリアルについて、その内容を確認し、臨床研究中核病院等の国内研究機関に対して周知を行った。

第三に、国内向けの教育資材として、ICH-E6(R3)の考え方、主要な改定点、原則中心の GCP の理解、proportionality の考え方等を整理した日本語トレーニングコンテンツを作成し、国内最大の臨床研究 e-learning site である ICRweb への掲載に向けた準備を進めた。

第四に、ARO 協議会、臨床試験学会、GCP renovation forum 等において、アカデミアの立場からみた ICH-E6(R3)の要点、日本における ICH-GCP 改定の影響、今後の国内実装上の留意点等について講演・討議を行った。

各研究者の役割分担は下記のとおり。
研究代表者：中村
日本からの意見をとりまとめ、ICH-E6(R3) EWG stakeholder engagement meetingで日本からの意見陳述を行った。また、研究全体の進捗管理を行い、提言をとりまとめた。
研究分担者：柴田、後澤、沖田、秦、武内、澤田石、小倉、山岸
研究代表者とともに、stakeholder engagement meetingへインプットする日本からの意見の取りまとめ、班会議の運営を行った。
研究分担者：田代、佐藤、池田、布施、花岡、丸山、富永、清水、加藤、山本、櫻井、戸高、原田
臨床試験の有識者や、臨床研究中核病院の立場からAnnex 2に対する記載に関する意見出しを行った。

（倫理面への配慮）
本研究は患者データを用いない調査研究であり、意見聴取は回答者の任意で行われる。

C．研究結果
ICH-GCP は、Principles、Annex 1、Annex 2 という 3 つのパートに分かれている。
令和 5 年度は、長らく検討されていた Principles および Annex 1 のガイドライン案並びに Annex 2 の concept paper が ICH から発出された。それを受けて、令和 5 年 7 月 6 日に第 1 回班会議を開催し、公開された Principles および Annex 1 について討議を行った。Principles と Annex 1 については既に多くの意見を研究班から ICH-E6(R3)WG へ提出しており、それらの意見が反映されていることを確認した。また、同月 28 日に PMDA 主催の「ICH E6（R3）「医薬品の臨床試験の実施基準」ガイドライン案説明会」が開催され、研究班として当ガイドライン案改定について意見を述べた。具体的には、従来の画一化された文書作成及び管理からの脱却、Proportionality という考え方が明文化されたこと、それらに伴い、臨床試験はより柔軟になっていくことが期待される旨を述べた。
　また、令和 5 年 9 月 12 日に FDA が主催する Annex 2 に向けた公開ウェブカンファレンスが行われた。このウェブカンファレンスは世界中から数千人が参加する大規模なものであった。当研究班の研究代表者が日本からの演者として登壇し、Annex 2 の重要トピックとなっている分散型臨床試験（DCT）について、日本で実施されているフルリモート型 DCT の取り組みと、規制上の課題について発表およびディスカッションを行った。
令和 6 年 1 月下旬～2 月中旬には、ICH E6 EWG から Annex 2 の stakeholder からの意見募集（Caucus Review）の依頼があったため、当研究班の研究分担者からも意見を募り、集約した上で日本からのステークホルダーからの意見として提出した。具体的には、（1）分散型臨床試験（Decentralized Clinical Trials; DCT）は、例えば委託可能な業務の範囲など、現地の規制要件も踏まえて実施すべきであること、(2) 遠隔地での治験参加者の安全性確保を倫理審査のポイントとして含めるべきこと、(3) 治験に参加する医療従事者に対するトレーニングについては、過度にならないよう留意すべきであること、(4) リアルワールドデータ（RWD）の活用の際には選択バイアスが最小化する工夫をすべきであること、(5) リアルワールドエビデンス（RWE）を承認申請の臨床データパッケージに含める際は、他にあわせて利用しようとするデータの充実度によって求められる質のレベルが変わってくること等を提言した。同時期の令和 6 年 2 月 9 日には第 2 回班会議を開催し、Annex 2 Caucus Review を中心にディスカッションを行った。続く同年 3 月 28 日には、ICH E6(R3) EWG による Stakeholder meeting（web 形式）が開催され、Caucus Review の結果を踏まえた Annex 2 に関する全体的な討議を行った。
令和 6 年度は、前年度に行われた Principles および Annex 1 に関するパブリックコメントを受けた修正作業が行われ、最終化に向けたディスカッションが行われた。具体的には令和 6 年 5 月 13 日に行われた Stakeholder Meeting で、研究責任医師のデータアクセスをどこまで保証するか、Computerized Systems の目的への適合性、同意撤回患者のデータ利用可能性の可否、倫理審査委員会の要件等について議論がなされた。これらの議論に基づいて修正がなされた Principles および Annex 1 に対する Final Consensus Version について 9 月に ICH 作業部会からレビュー依頼がなされたため、リアルワールドデータ利活用時の留意点などについて日本からの意見を提出した。さらに 11 月 6 日でのステークホルダーミーティングでは新たな ICH-GCP のトレーニングツールのあり方について議論がなされ、Proportionality、Data Governance、Informed Consent が優先度の高いトピックとして挙げられた。具体的な推奨事項としては、教育ツールはケーススタディを中心に構成すること、Principles を重視して Proportionality を取り入れつつ杓子定規な解釈にならないように注意すること、Informed Consent については同意を記録するのではなく試験参加者への十分な情報提供を行うこと、過剰なデータ収集を避けることなどが挙げられた。
　また、令和 7 年 1 月には Annex 2 に対するパブリックコメントが全世界で開始され、これに対して GCTC（Good Clinical Trial Collaborative）が主催するアカデミア代表が集い、Annex 2 に対する意見出しのあり方をディスカッションするワークショップが開催された。このワークショップはクローズドの会議であり、日本からは研究代表者が参

加して日本からの意見を述べた。ここでは日本のみならず世界各国で行われているパブリックコメントで課題となっているトピックを把握するとともに、日本のコンテクストについてインプットした。

この他、GCP renovationは日本を含めて世界中で大きなトピックスとなっており、今後の実装をどのように進めていくかが世界中で議論になっている。当該年度は各種の国際学会で情報収集するとともに海外研究者ともGCP renovationの実装について議論を行い、日本の学会でも研究代表者が中心となってGCP renovationの実装に向けた教育活動を行った。

令和7年度は、年度当初の段階で、ICH-E6(R3)はPrinciples、Annex 1、Annex 2の3部構成のうち、PrinciplesおよびAnnex 1が既にStep 4に到達し、ICHとして最終合意された文書として一般公開されていた。また、Annex 2についてもパブリックコメントが終了しており、日本からICH作業部会への意見出しは概ね完了していた。そのため、令和7年度の主たる活動は、ICH-E6(R3)の改定内容の周知、国内実装に向けた教育資材の整備、および国内外の関係者との実装上の課題に関する意見交換であった。

令和7年5月18日には米国Society for Clinical Trialsに参加し、米国におけるICH-GCP実装に向けた動向に関する情報収集を行うとともに、教育ツールの策定について協議した。令和7年5月24日にはDIA Chinaに参加し、中国におけるICH-GCP改定の影響について議論を行い、中国企業に対して日本のICH-GCP対応状況および治験環境について講演した。令和7年6月16日にはDIA Globalに参加し、米国におけるICH-GCP改定の影響について議論するとともに、主に米国企業を対象として日本のICH-GCP対応状況および治験環境について講演した。

国内においては、令和7年9月19日にARO協議会で「アカデミアの立場からみたICH-E6(R3)の要点」について講演し、ICH-GCP改定のポイントや基本的な考え方を日本の臨床研究支援組織の関係者に周知した。令和7年11月11日にはGCP renovation forumに海外オンライン参加し、GCP renovationの影響について日本の立場からディスカッサントとして参加した。同フォーラムでは、proportionalityの実装の重要性や、DCT等の新たな形態の臨床試験におけるICH-GCP適用の具体例について発言した。

さらに、令和8年2月11日には、今年度作成を進めていたICRweb向けのICH-E6(R3)コンテンツが完成し、ICRweb事務局へ提出した。現在、公開に向けた準備が進められている。令和8年2月20日には臨床試験学会において「GCPの歴史は不適切事案の上に成り立っている」と題した講演を行い、日本におけるICH-GCPの歴史、ならびに原則中心の新たなGCPの考え方について周知した。

D．考察

ICH-GCPは医薬品を対象とした臨床試験の国際規範であり、今回の改定内容が日本の臨床試験の現場に与える影響は極めて大きい。令和6年度はICH E6(R3) WGによるstakeholder meetingや、final consensus versionのレビューを通じて、日本における臨床現場の実態を伝え、ICH E6(R3) EWGへのインプットを行った。また、米国Society for Clinical Trialsや、英国が中心となっているGood Clinical Trial Collaborativeで各国のGCP renovationの実装状況や課題意識について情報収集を行い、日本の立場についての積極的な情報発信を行った。

PrinciplesとAnnex 1については、令和7年1月にstep 4に到達し、今後はどのように国内実装するかに焦点が移る。Annex 2は本研究終了時点でStep 4には到達していないが、Annex 2にはpragmatic trial、real world data、DCTといった新たな臨床試験の手法が含まれているため、日本国内の臨床試験実施に及ぼす影響は大きい。

今後は、Step 4に到達したPrinciplesおよびAnnex 1の国内実装を着実に進めるとともに、Annex 2の最終化および日本への実装を見据え、必要に応じて本研究で得られた知見や教育資材を活用し、国内の臨床研究・治験環境におけるICH-E6(R3)の適切な理解と運用を支援していく必要がある。

E．結論

日本のアカデミアからの意見を集約し、ICH-E6(R3) WGに対して日本からの提言を行った。ICH-GCP は、医薬品の臨床試験における被験者保護と信頼性の確保のためのグローバルスタンダードであり、日本からの意見を反映させられるよう本研究班の成果の情報発信を行う。

F．健康危険情報

該当なし

G．研究発表

1. 論文発表

中村健一. 医療機関側が取り組むGCP renovationへの対応と期待. 医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス. 56(2);99-102. 2025

2. 学会発表

中村健一. GCP renovationの国内実装への期待と課題. 第13回レギュラトリーサイエンス学会. 2023/9/9

Kenichi NAKAMURA. Fully Decentralized Clinical Trials in Oncology. ICH E6(R3) Public Web Conference. 2023/9/12

中村健一. GCP renovationが日本の研究規制に与える影響. 第23回CRCと臨床試験のあり方を考える会議. 2023/9/17

中村健一. GCP renovationとICH-E8(R1)とE6(R3)のポイント. ARO協議会認定講習会. 2023/12/17

Kenichi NAKAMURA. Utilizing Real-World Evidence in Clinical Trials for Rare Genetic Abnormalities. Taiwan Surgical Association. 2024/3/16
中村健一. E6 (R3)で何が変わるか？アカデミアの立場から. レギュラトリーサイエンス財団ウェビナー. 2024/4/5
中村健一. ICH-GCPが変わる！GCP renovationのポイントと考え方. 東北大学臨床研究講習会. 2024/5/29
中村健一. E6(R3)の実装に向けた現場への期待. 第24回CRCと臨床試験のあり方を考える会議. 2024/8/7
Kenichi NAKAMURA. Challenges for Domestic Implementatin of GCP Renovation. DIA Japan 2024. 2024/10/29
中村健一. GCP renovationの実装と臨床試験環境の改善. 第13回日本臨床試験学会. 2025/3/1
Kenichi Nakamura. Unlocking Jpan's Clinical Trial Landscape. DIA China. 2025/5/24
Kenichi Nakamura. Unlocking Jpan's Clinical Trial Landscape. DIA Global. 2025/6/16
中村健一. アカデミアの立場からみたICH-E6(R3)の要点. ARO協議会. 2025/9/19
Kenichi Nakamura. GCP renovation from Japan's perspective. GCP renovation forum. 2025/11/11
中村健一. GCPの歴史は不適切事案の上に成り立っている. 日本臨床試験学会. 2026/2/20

H. 知的財産権の出願・登録状況
該当なし