（別添１）

臨床試験の実施状況に関する調査

1. 目的

我が国の臨床試験の登録サイトに登録されている臨床試験の情報に基づき、日本の製薬企業（外資系企業の日本法人を含む、以下同じ）による臨床試験の実施状況（Phase、試験実施地域、対象医薬品の薬効分類等）を調査し、経時的な変化を分析する。

2. 方法

(1) 対象臨床試験

一般社団法人日本医薬情報センター(JAPIC)の「医薬品等に関する臨床試験情報」に、2008年1月1日から2020年8月31日までに初回登録された臨床試験、もしくは「臨床研究実施計画・研究概要公開システム(jRCT)」に2019年4月1日～2023年12月31日までに初回公表された臨床試験のうち、製薬企業が試験実施者であり、医薬品を対象としたもの（企業治験）。ただし、以下の調査研究を除く。

除外：・特定の医薬品の有効性・安全性評価にかかわらないもの
・環境影響、ドーピング検査に関するもの

※一般社団法人日本医薬情報センター「医薬品等に関する臨床試験情報」の新規登録は2020年8月31日をもって終了している。

※「臨床研究実施・研究概要公開システム」の登録は2019年4月1日より開始されている。

(2) 調査項目

試験の相（Phase 1、1/2、2、2/3、3、4、その他）、試験のデザイン（介入、ランダム化、盲検化）、予定症例数、実施地域（日本、アジア、欧州、北米、南米、オセアニア、その他）、実施企業（内資／外資、共同開発）。対象医薬品の薬効分類はJAPIC登録試験のみ情報が登録されており、「臨床研究実施計画・研究概要公開システム(jRCT)」では登録されていないため、2021年登録の臨床試験より調査対象外である。なお、主に小児を対象とする試験として、2021年から2023年に公開された試験のうち、対象者の適格基準の上限年齢が18歳（2021年は20歳）である試験を抽出し、試験の相、予定症例数、実施地域、対象疾患を調査項目とした。

3. 結果

(1) 登録臨床試験数（表 1）

2008 年 1 月 1 日から 2023 年 12 月 31 日までに初回登録(JAPIC)もしくは初回公開（jRCT）された臨床試験は 5956 試験。（表 1）

表 1　登録臨床試験数（N=5956）

year	N	%
2008	153	2.6%
2009	296	5.0%
2010	375	6.3%
2011	340	5.7%
2012	305	5.1%
2013	353	5.9%
2014	347	5.8%
2015	342	5.7%
2016	350	5.9%
2017	315	5.3%
2018	389	6.5%
2019	433	7.3%
2020	371	6.2%
2021	622	10.4%
2022	489	8.2%
2023	476	8.0%
合計	5956	100.0%

(2)　登録臨床試験の概要（表 2）

直近 3 年間の登録臨床試験の概要は表 2 のとおり。3 年間大きな変化はないが、日本のみ試験の割合は減少傾向。

表 2　登録臨床試験の概要（2021～2023 年）

		2021年のみ（N=622）		2022年のみ（N=489）		2023年のみ（N＝476）	
		N	%	N	%	N	%
試験の相							
	phase 1	158	25.4%	118	24.1%	119	25.0%
	phase 1/2	29	4.7%	25	5.1%	23	4.8%
	phase 2	123	19.8%	101	20.7%	94	19.7%
	phase 2/3	14	2.3%	22	4.5%	18	3.8%
	phase 3	263	42.3%	214	43.8%	216	45.4%
	phase 4	7	1.1%	4	0.8%	3	0.6%
	other	28	4.5%	5	1.0%	3	0.6%
試験のデザイン - 介入							
	介入試験	595	95.7%	487	99.6%	476	100.0%
	非介入試験	27	4.3%	2	0.4%	0	0.0%
試験のデザイン―ランダム化							
	非ランダム化	400	64.3%	320	65.4%	332	69.7%
	ランダム化	222	35.7%	168	34.4%	144	30.3%
	Missing			1	0.2%		
試験のデザイン - 盲検化							
	オープン	285	45.8%	245	50.1%	231	48.5%
	部分盲検	12	1.9%	11	2.2%	13	2.7%
	二重盲検	299	48.1%	232	47.4%	232	48.7%
	Missing	26	4.2%	1	0.2%		
予定症例数							
	-100	358	57.6%	274	56.0%	268	56.3%
	101-1000	228	36.7%	203	41.5%	180	37.8%
	1000-	36	5.8%	12	2.5%	28	5.9%
	missing	0	0.0%	0	0.0%		
実地地域							
	日本のみ	276	44.4%	194	39.7%	174	36.6%
	アジア*	233	37.5%	200	40.9%	203	42.6%
	欧州*	288	46.3%	196	40.1%	247	51.9%
	北米*	318	51.1%	256	52.4%	287	60.3%
	オセアニア*	158	25.4%	120	24.5%	134	28.2%
	南米*	244	39.2%	118	24.1%	153	32.1%
	アフリカ*	43	6.9%	19	3.9%	46	9.7%
	その他**	0	0.0%	0	0.0%	1	0.2%
企業							
	内資系企業	213	34.2%	173	35.4%	150	31.5%
	外資系企業	387	62.2%	306	62.6%	319	67.0%
	内資／外資共同	22	3.5%	10	2.0%	7	1.5%
共同開発							
	単独企業	599	96.3%	478	97.8%	466	97.9%
	2社以上	23	3.7%	11	2.2%	10	2.1%

*日本に加えて該当地域で実施（複数該当有）　**地域・国不明の国際治験を含む

(3)　登録臨床試験の経年変化　（表 3）

表 3　登録臨床試験の概要の経時変化（2008~2023）

		2008		2009		2010		2011		2012		2013		2014		2015	
		N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%
		153	100.0%	296	100.0%	375	100.0%	340	100.0%	305	100.0%	353	100.0%	347	100.0%	342	100.0%
試験の相																	
	phase 1	16	10.5%	29	9.8%	63	16.8%	53	15.6%	51	16.7%	51	14.4%	66	19.0%	59	17.3%
	phase 1/2	3	2.0%	12	4.1%	8	2.1%	9	2.6%	10	3.3%	12	3.4%	10	2.9%	16	4.7%
	phase 2	33	21.6%	98	33.1%	102	27.2%	71	20.9%	78	25.6%	68	19.3%	72	20.7%	70	20.5%
	phase 2/3	13	8.5%	15	5.1%	12	3.2%	8	2.4%	10	3.3%	10	2.8%	10	2.9%	10	2.9%
	phase 3	81	52.9%	131	44.3%	164	43.7%	171	50.3%	131	43.0%	156	44.2%	133	38.3%	151	44.2%
	phase 4	6	3.9%	9	3.0%	12	3.2%	7	2.1%	8	2.6%	11	3.1%	17	4.9%	11	3.2%
	other	1	0.7%	2	0.7%	14	3.7%	21	6.2%	17	5.6%	45	12.7%	39	11.2%	25	7.3%
実地地域																	
	日本のみ	132	86.3%	250	84.5%	306	81.6%	284	83.5%	255	83.6%	272	77.1%	274	79.0%	248	72.5%
	アジア*	16	10.5%	32	10.8%	54	14.4%	37	10.9%	27	8.9%	44	12.5%	46	13.3%	68	19.9%
	欧州*	10	6.5%	22	7.4%	31	8.3%	26	7.6%	26	8.5%	58	16.4%	54	15.6%	72	21.1%
	北米*	7	4.6%	20	6.8%	24	6.4%	23	6.8%	25	8.2%	33	9.3%	45	13.0%	63	18.4%
	オセアニア*	8	5.2%	9	3.0%	8	2.1%	12	3.5%	8	2.6%	18	5.1%	18	5.2%	41	12.0%
	南米*	6	3.9%	13	4.4%	21	5.6%	10	2.9%	5	1.6%	15	4.2%	24	6.9%	34	9.9%
	アフリカ*	1	0.7%	2	0.7%	2	0.5%	2	0.6%	3	1.0%	9	2.5%	2	0.6%	9	2.6%
	その他**	1	0.7%	7	2.4%	11	2.9%	14	4.1%	14	4.6%	16	4.5%	10	2.9%	11	3.2%
実施企業																	
	内資系企業	64	41.8%	143	48.3%	169	45.1%	152	44.7%	137	44.9%	177	50.1%	205	59.1%	185	54.1%
	外資系企業	84	54.9%	126	42.6%	185	49.3%	164	48.2%	140	45.9%	153	43.3%	123	35.4%	138	40.4%
	内資／外資共同	5	3.3%	27	9.1%	21	5.6%	24	7.1%	28	9.2%	23	6.5%	19	5.5%	19	5.6%
共同開発																	
	単独企業	140	91.5%	254	85.8%	338	90.1%	306	90.0%	262	85.9%	320	90.7%	308	88.8%	294	86.0%
	2社以上	13	8.5%	42	14.2%	37	9.9%	34	10.0%	43	14.1%	33	9.3%	39	11.2%	48	14.0%

表 3　continued

		2016		2017		2018		2019		2020		2021		2022		2023	
		N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%
		350	100.0%	315	100.0%	389	100.0%	433	100.0%	371	100.0%	622	100.0%	489	100.0%	476	100.0%
試験の相																	
	phase 1	59	16.9%	73	23.2%	67	17.2%	90	20.8%	82	22.1%	158	25.4%	118	24.1%	119	25.0%
	phase 1/2	11	3.1%	11	3.5%	12	3.1%	16	3.7%	19	5.1%	29	4.7%	25	5.1%	23	4.8%
	phase 2	68	19.4%	60	19.0%	87	22.4%	92	21.2%	82	22.1%	123	19.8%	101	20.7%	94	19.7%
	phase 2/3	6	1.7%	8	2.5%	15	3.9%	22	5.1%	10	2.7%	14	2.3%	22	4.5%	18	3.8%
	phase 3	160	45.7%	132	41.9%	176	45.2%	192	44.3%	160	43.1%	263	42.3%	214	43.8%	216	45.4%
	phase 4	18	5.1%	10	3.2%	5	1.3%	4	0.9%	5	1.3%	7	1.1%	4	0.8%	3	0.6%
	other	28	8.0%	21	6.7%	27	6.9%	17	3.9%	13	3.5%	28	4.5%	5	1.0%	3	0.6%
実地地域																	
	日本のみ	241	68.9%	212	67.3%	235	60.4%	200	46.2%	152	41.0%	276	44.4%	194	39.7%	174	36.6%
	アジア*	62	17.7%	67	21.3%	90	23.1%	139	32.1%	124	33.4%	233	37.5%	200	40.9%	203	42.6%
	欧州*	86	24.6%	80	25.4%	129	33.2%	187	43.2%	170	45.8%	288	46.3%	196	40.1%	247	51.9%
	北米*	73	20.9%	76	24.1%	124	31.9%	208	48.0%	194	52.3%	318	51.1%	256	52.4%	287	60.3%
	オセアニア*	30	8.6%	38	12.1%	46	11.8%	89	20.6%	96	25.9%	158	25.4%	120	24.5%	134	28.2%
	南米*	42	12.0%	42	13.3%	57	14.7%	82	18.9%	78	21.0%	244	39.2%	118	24.1%	153	32.1%
	アフリカ*	11	3.1%	42	13.3%		0.0%	16	3.7%	20	5.4%	43	6.9%	19	3.9%	46	9.7%
	その他**	10	2.9%	4	1.3%	15	3.9%	16	3.7%	13	3.5%	0	0.0%	0	0.0%	1	0.2%
実施企業																	
	内資系企業	161	46.0%	164	52.1%	197	50.6%	155	35.8%	150	40.4%	213	34.2%	173	35.4%	150	31.5%
	外資系企業	170	48.6%	129	41.0%	175	45.0%	253	58.4%	202	54.4%	387	62.2%	306	62.6%	319	67.0%
	内資／外資共同	19	5.4%	22	7.0%	17	4.4%	25	5.8%	19	5.1%	22	3.5%	10	2.0%	7	1.5%
共同開発																	
	単独企業	308	88.0%	279	88.6%	360	92.5%	386	89.1%	343	92.5%	599	96.3%	478	97.8%	466	97.9%
	2社以上	42	12.0%	36	11.4%	29	7.5%	47	10.9%	28	7.5%	23	3.7%	11	2.2%	10	2.1%

N=5956　*日本に加えて該当地域で実施（複数該当有）　**地域・国不明の国際治験を含む

試験の相：Phase 3 が半数弱、つづいて Phase 2 が多い傾向がつづいていたが、2017 年以降、Phase 1 が増加。2023 年も Phase 1 が約 4 分の 1。
実施地域：日本のみで実施する臨床試験の割合が 86.3%（2008 年）から 36.6%（2023 年）に減少傾向。日本以外の地域で実施する試験の割合は、いずれの地域についても、年々増加。
企業：内資系企業、外資系企業の割合はほぼ半々であったが、2019 年は外資系企業が半数を超え、2023 年もその傾向が継続。

(4) 登録臨床試験の薬効分類

2021 年登録分以降は解析できず。

(5) 実施地域による分析

表 4-1　実施地域と phase　（2021 年）

	phase1		phase1/2		phase2		phase2/3		phase3		phase4		other		合計	
	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%
日本のみ	119	43.1%	15	5.4%	39	14.1%	6	2.2%	66	23.9%	3	1.1%	28	10.1%	276	100.0%
アジア*	18	7.7%	7	3.0%	53	22.7%	7	3.0%	145	62.2%	3	1.3%	0	0.0%	233	100.0%
欧州*	22	7.6%	8	2.8%	73	25.3%	6	2.1%	175	60.8%	4	1.4%	0	0.0%	288	100.0%
北米*	35	11.0%	14	4.4%	78	24.5%	6	1.9%	182	57.2%	3	0.9%	0	0.0%	318	100.0%
オセアニア*	13	8.2%	3	1.9%	37	23.4%	1	0.6%	103	65.2%	1	0.6%	0	0.0%	158	100.0%
南米*	15	6.1%	7	2.9%	56	23.0%	6	2.5%	157	64.3%	3	1.2%	0	0.0%	244	100.0%
アフリカ*	1	2.3%	0	0.0%	8	18.6%	5	11.6%	28	65.1%	1	2.3%	0	0.0%	43	100.0%
その他**	0	－	0	－	0	－	0	－	0	－	0	－	0	－	0	－

表 4-2　実施地域と phase　（2022 年）

	phase1		phase1/2		phase2		phase2/3		phase3		phase4		other		合計	
	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%
日本のみ	80	41.2%	8	4.1%	30	15.5%	7	3.6%	65	33.5%	1	0.5%	3	1.5%	194	100.0%
アジア*	17	8.5%	11	5.5%	47	23.5%	10	5.0%	111	55.5%	3	1.5%	1	0.5%	200	100.0%
欧州*	18	9.2%	10	5.1%	46	23.5%	10	5.1%	109	55.6%	2	1.0%	1	0.5%	196	100.0%
北米*	33	12.9%	15	5.9%	62	24.2%	14	5.5%	127	49.6%	3	1.2%	2	0.8%	256	100.0%
オセアニア*	9	7.5%	8	6.7%	23	19.2%	6	5.0%	71	59.2%	1	0.8%	2	1.7%	120	100.0%
南米*	4	3.4%	3	2.5%	26	22.0%	6	5.1%	77	65.3%	1	0.8%	1	0.8%	118	100.0%
アフリカ*	1	5.3%	0	0.0%	5	26.3%	1	5.3%	11	57.9%	1	5.3%	0	0.0%	19	100.0%
その他**	0	－	0	－	0	－	0	－	0	－	0	－	0	－	0	－

表 4 -3　実施地域と phase　（2023 年）

	phase1		phase1/2		phase2		phase2/3		phase3		phase4		other		合計	
	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%	N	%
日本のみ	85	48.9%	5	2.9%	28	16.1%	6	3.4%	48	27.6%	0	0.0%	2	1.1%	174	100.0%
アジア*	15	7.4%	15	7.4%	39	19.2%	7	3.4%	125	61.6%	1	0.5%	1	0.5%	203	100.0%
欧州*	17	6.9%	15	6.1%	52	21.1%	11	4.5%	149	60.3%	2	0.8%	1	0.4%	247	100.0%
北米*	32	11.1%	16	5.6%	63	22.0%	12	4.2%	160	55.7%	3	1.0%	1	0.3%	287	100.0%
オセアニア*	7	5.2%	5	3.7%	23	17.2%	8	6.0%	89	66.4%	1	0.7%	1	0.7%	134	100.0%
南米*	4	2.6%	5	3.3%	24	15.7%	6	3.9%	113	73.9%	1	0.7%	0	0.0%	153	100.0%
アフリカ*	0	0.0%	0	0.0%	6	13.0%	1	2.2%	39	84.8%	0	0.0%	0	0.0%	46	100.0%
その他**	0	0.0%	0	0.0%	1	100.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	1	100.0%

*日本に加えて該当地域で実施（複数該当有）

**地域・国不明の国際治験を含む

日本のみで実施している試験は、早期の phase である phase 1 の試験の割合が 2 割であったが、2021 年 43.1%⇒2023 年 48.9%と、約半数に増加。他国を含む試験では、phase 1 の割合が小さく、後期の phase である phase 3 の試験の割合が高い傾向は、2023 年も継続

したが、北米を含む試験では、Phase 1 の割合が若干高くなっていた。

（６）小児対象の試験の概要

主に小児を対象とする試験（適格基準の上限年齢が 18 歳（2021 年は 20 歳）である試験）の概要は表 5 のとおりであった（2021 年～2023 年）。

2021 年から 2023 年の登録数は、それぞれ 21 試験、37 試験、31 試験と少数であった。試験の相は、2021 年は偏ったものの、約半数が Phase 3 であった。予定症例数は 100 例までの試験が約 6 割を占め、全体の試験での割合（6 割弱）より若干高い傾向がある。実施地域は日本のみの割合が高かったが、北米・欧州を含む試験の割合も高い。

表 6 には、これらの試験の対象疾患を示した。少数であり、対象疾患も各分野に散見され限定的であった。

表５　主に小児を対象とする治験の概要（2021 年～2023 年）

		2021(N=21)		2022(N=37)		2023(N=31)	
		N	%	N	%	N	%
試験の相							
	phase 1	0	0.0%	2	5.4%	2	6.5%
	phase 1/2	1	4.8%	3	8.1%	0	0.0%
	phase 2	2	9.5%	8	21.6%	1	3.2%
	phase 2/3	1	4.8%	5	13.5%	1	3.2%
	phase 3	15	71.4%	18	48.6%	27	87.1%
	phase 4	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
	other	2	9.5%	1	2.7%	0	0.0%
予定症例数							
	-50	9	42.9%	19	51.4%	9	29.0%
	51-100	4	19.0%	5	13.5%	9	29.0%
	101-500	7	33.3%	10	27.0%	10	32.3%
	501-1000	0	0.0%	2	5.4%	2	6.5%
	1001-	1	4.8%	1	2.7%	1	3.2%
実施地域							
	日本のみ	9	42.9%	19	51.4%	12	38.7%
	アジア*	6	28.6%	5	13.5%	10	32.3%
	欧州*	10	47.6%	16	43.2%	16	51.6%
	北米*	12	57.1%	17	45.9%	19	61.3%
	オセアニア*	4	19.0%	5	13.5%	7	22.6%
	南米*	8	38.1%	5	13.5%	10	32.3%
	アフリカ*	3	14.3%	1	2.7%	3	9.7%
	その他**	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
年齢上限							
	～1歳	1	4.8%	1	2.7%	0	0.0%
	2歳～6歳	0	0.0%	2	5.4%	2	6.5%
	7歳～12歳	3	14.3%	8	21.6%	13	41.9%
	13歳～15歳	3	14.3%	5	13.5%	3	9.7%
	15歳～18歳	13	61.9%	21	56.8%	13	41.9%
	19歳～20歳	1	4.8%	-		-	

*日本に加えて該当地域で実施（複数該当有）

**地域・国不明の国際治験を含む

※成年の年齢は 2022 年 3 月までは 20 歳であったため、2021 年度は 20 歳までを集計。

表 6-1　2023 年対象疾患

対象疾患名	治験数
COVID-19の予防または治療	5
アトピー性皮膚炎	4
血友病	3
クローン病	2
APDS（活性化ホスホイノシチド 3 キナーゼデルタ症候群)	2
若年性特発性関節炎	2
潰瘍性大腸炎	2
便秘症	2
慢性誘発性寒冷蕁麻疹/特発性の慢性蕁麻疹	1
喘息	1
円形脱毛症	1
近視	1
心不全	1
全身型重症筋無力症（gMG）	1
造影MRI検査	1
低ホスファターゼ症	1
伝染性軟属腫	1

表 6-2　2022 年対象疾患

対象疾患名	治験数
COVID-19の予防	6
軟骨無形成症	4
乾癬	3
アトピー性皮膚炎	2
クローン病、潰瘍性大腸炎	2
全身麻酔施行下での予定手術患者	2
腎性貧血	2
大うつ病性障害及び持続性抑うつ障害	2
NMOSD　視神経脊髄炎スペクトラム障害	1
RSV感染症	1
SGA性低身長症，ターナー症候群における低身長	1
血友病	1

てんかん	1
ムコ多糖症Ⅱ型	1
過活動膀胱	1
原発性高シュウ酸尿症	1
高カリウム血症	1
再発性／難治性固形腫瘍	1
痛風、高尿酸血症	1
全身型重症筋無力症	1
神経線維腫症１型	1
白血病	1

表 6-3　2021 年対象疾患

対象疾患名	治験数
潰瘍性大腸炎	3
成長ホルモン分泌不全性低身長症	2
クローン病	2
HPV感染	1
RSウイルス感染症	1
アトピー性皮膚炎	1
ウィルソン病	1
てんかん	1
乾癬	1
喘息	1
季節性アレルギー性鼻炎	1
高血圧	1
小児四肢疼痛発作症	1
糖原病Ⅱ型	1
統合失調症	1
肺動脈性肺高血圧症	1
非典型溶血性尿毒症症候群	1

まとめ

2023年登録の臨床試験の特徴は、大部分が2021年までの傾向を踏襲するものであり、Phase 3が約半数を占めているが、Phase 1の割合が上昇する傾向が継続している。日本のみの臨床試験は、2008年以降ほぼ一貫して低下の傾向をたどり、36.6%と約3分の1まで低下し、国際共同治験として実施している治験が増加していることを示している。日本のみ試験ではPhase 1の割合が高く、諸外国を含む治験ではPhase 3の割合が高い傾向がある。

今回、主に小児を対象とする治験についてまとめた。試験の相としてはPhase 3の割合が高く、予定症例数が少ない小規模の治験の割合が高い傾向にあった。日本のみ試験の割合は2022年までは高かったが2023年は低下し、欧州・北米を含む国際共同治験の割合が高かった。3年間のみであること、治験数が少ないことから、今後とも傾向を注視していきたい。

製薬企業が実施する治験・臨床試験は2008年以降、主にJAPIC「医薬品等に関する臨床試験情報」に登録されてきたが、2020年8月31日をもって新規の登録は終了し、2021年以降は、すべて臨床研究実施計画・研究概要公開システムに登録されることとなった。臨床研究実施計画・研究概要公開システムでは、対象疾患の登録はあるものの、治験薬に関する薬効領域の登録がないため、薬効領域の解析は2021年登録分より困難になった。薬効領域の情報は、医薬品の開発がどのような疾患領域で行われているかを知る重要な情報であり、引き続き今後の対応が望まれる。なお、海外では、米国ClinicalTrials.govでも、疾患領域（Conditions by category）もしくは薬効領域（Drug Intervention by category）が登録されており、EU Clinical Trials Registerでも、疾患領域（Disease：ただし、MedDRAによる分類を採用）が登録されている。

以上