

| 医薬品                 | 日本                                                                                                                                                                   | 米国                                                                                                                                                                                                  | EU                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  | 英国                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               |
|---------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 法規制の階層構造            | 憲法<br>> 法律(医薬品医療機器等法：薬機法)<br>> 政令<br>> 省令(GCP省令：法的拘束力あり)<br>> 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)<br>> 条例・規則<br><br>“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)<br>> 連邦法(FD&C Act等)<br>> 連邦規則(CFR, 法律を実施する規制)<br>> ガイダンス文書<br>(FDA Guidance Documents, 実務運用の基準)<br><br>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<br>> Regulation<br>> Directive<br>> EU Guidance<br>> ICH Guidelines<br>> Ethical Principles<br><br>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)<br>> 法令委任に基づく(詳細規定である法定文書(Statutory Instruments))<br>> 規制当局等のガイダンス<br>> IRAS・倫理審査(REC)関連指針<br>> NHSOーカルポリシー<br>※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<br><br>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)<br>・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)<br>医薬品部門はCDER、生物製剤はCBERが中心<br><br>・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<br>・EMA：中央調整・CTIS管理・GCP監視・科学助言<br>・EU加盟各国の規制当局(National Competent Authority：NCA)：国ごとの評価・承認・監視<br><br>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<br><br>・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<br>・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<br>・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<br><br>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<br><br>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<br>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<br>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<br>・被験者を特定の治療戦略に割り付けことが事前に決定されており、その割付け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<br>・IMP処方決定が、当該研究への被験者組入れ決定と同時に行われる<br>・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<br><br>CTRに定義されるclinical trialは、すべてCTRの適用対象となる<br><br>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<br>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<br><br>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<br><br>Non-CTIMPの場合、UK Policy Framework for Health and Social Care Researchが適用される<br><br>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<br><br>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<br><br>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<br><br>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<br>※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」<br><br>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<br>細胞・遺伝子治療は主に生物学的製剤(biologic)として規制                                                                                              | ATMP：<br>遺伝子治療医薬品<br>体細胞治療医薬品<br>組織工学製品<br>+ (機器一体型の複合ATMP)<br><br>医薬品として分類                                                                                                                                                                                                                                                                                                                         | ATMP：<br>遺伝子治療医薬品<br>体細胞治療医薬品<br>組織工学製品<br>+ (機器一体型の複合ATMP)<br><br>医薬品として分類<br>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<br>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<br>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<br>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、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<br><br>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<br><br>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<br>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<br><br>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<br><br>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<br><br>被験者本人回復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が決定される<br>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)<br><br>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<br><br>抗体薬物複合体(ADC)は通常生物製剤として扱う<br><br>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/安全要件も組入れ                                          | CTR適用対象となる試験はCTRに基づき実施<br><br>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、対応に必要なMRDの要求事項が異なる                                                                                                                                                                                                                                                                                                                 | 医薬品主体が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<br><br>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<br><br>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<br>・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<br>・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<br>PREAは「義務」、BPCAは「インセンティブ」<br><br>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<br><br>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<br><br>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<br><br>ICH E11/E6準拠の文書を前提に、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(オープン指定)<br>オープ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<br><br>超希少疾病では国際試験データのため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<br>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<br><br>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<br><br>オープン適応はPREA義務免除                                                                                          | CTRに基づき実施<br><br>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<br><br>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<br><br>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<br><br>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<br><br>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<br><br>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<br><br>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<br>倫理面では報酬・同意の妥当性及び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<br><br>輸入・保管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<br><br>乱用・逸脱リスクを踏まえ、各EU加盟国の国内法令に基づき追加要件(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<br><br>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<br><br>輸入や製造には別途許可が必要                                                                              |
| 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)の研究が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<br><br>各EU加盟国の国内制度に基づき実施される                                                                                                           | Non CTIMPI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：開始前の治験計画書の提出が必須<br>(IND免除に相当する制度はなし)<br>・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、JRCに登録することで提出したとみなされる<br>・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)<br><br>受理後30日審査が実施される<br>FDAは疑義があればClinical Hold可<br>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<br><br>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<br><br>第1相試験でもCTIMP該当時は必須<br>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<br>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<br>・特定臨床研究：CRB承認後、実施機関の長の許可が必要<br>・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)<br><br>IRB審査はFDAのIC原則(21 CFR Part 50)と連動して運用される<br><br>連邦資金研究ではCommon Rule(45 CFR 46)が併用適用され、single IRB審査や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<br>その評価は当該国の承認判断に反映される<br>ECO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<br>申請は通常IRASを通じて行う<br>NHS環境ではHRA Approvalが追加で求められる場合がある<br>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、企業は担当医師の特権等を確認するケースもある<br>・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<br>・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<br><br>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<br><br>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ううえで、EC審査等を通じて適切な管理措置を講じる                                                 | CTIMPI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<br><br>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<br>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<br>・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<br>・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)<br>小児はSubpart Dに準拠し、緊急時の限定免除は50.23/50.240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)<br>連邦資金関与時はCommon Rule(45 CFR 46)によりKey Information提示<br>多言語化は理解可能な言語での説明・翻訳・通訳手当てが明示要件 | CTR適用試験では、CTRにおいて同意取得m p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<br>実務上の要件はICH-GCPIに準拠する<br>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<br>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<br>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<br>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<br>その妥当性をIRB/CRBが審査することも規定<br>・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<br>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<br>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)<br>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<br><br>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<br>補償内容は事前に明確化し、被験者説明文書で開示する<br><br>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<br>・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<br>・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<br>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<br>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<br>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<br>安全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<br><br>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<br>・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<br>・倫理指針下の研究：個人情報の基本規定が示されている<br><br>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<br>機密保持の記載や個人情報の取り扱いIRBが確認<br>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)<br>認可免除の場合、IRB等承認されたデータ保護措置が必要<br>匿名化・限定データセット+データ利用契約(DUA)等も規制で整備されている                      | CTRの適用対象が否かを問わず、臨床研究全般にGDPRが適用<br>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<br>CTR適用試験では、ICFを通じて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<br>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<br><br>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     | <p>薬機法にてjRCTへの登録が</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・GCP適用試験：義務</li> <li>・臨床研究法適用試験： <ul style="list-style-type: none"> <li>特定臨床研究→義務</li> <li>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)</li> </ul> </li> <li>・倫理指針下の研究： <ul style="list-style-type: none"> <li>介入研究→指針上の義務</li> <li>非介入試験→努力義務(登録を推奨)</li> </ul> </li> </ul> <p>jRCT登録義務あり</p> | <p>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</p> <p>FDA規制試験はClinicalTrials.gov登録必須</p> | <p>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</p> <p>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</p> <p>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</p>                    | <p>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</p> <p>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</p> <p>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</p> <p>CTIMP・Non-CTIMPとも公的レジストリ登録が重視される</p> <p>The Medicines for Human Use (Clinical Trials) Regulations 2025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</p> |
| データ等の電子化 | <p>厚労省ER/ES指針</p> <p>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</p> <p>電子化された試験データ全般に適用</p> <p>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</p>                                                                                                                                                                                                               | <p>医薬品臨床試験のデータ電子化は21 CFR Part 11が中核</p> <p>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</p>                        | <p>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</p> <p>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</p> <p>電子署名についてはeIDAS規則が適用される</p> | <p>MHRAのEHRガイダンスおよびICH-GCPI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</p> <p>電子システムは適切に設計・バリデーションされ、アクセス管理も求められる</p> <p>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</p>                                                                                                                                                 |

| 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)<br>憲法><br>法律(薬機法)><br>政令><br>省令(GCP省令)<br>(法的拘束力なし)<br>告示・通知・ガイドライン><br>ガイダンス<br><br><b>法的拘束力のある省令で臨床試験手順が細かく規定</b>                    | (法的拘束力あり)<br>連邦法(FD&C Act, 法規制の最上位)><br>連邦規則(CFR, 法律を実装する規制)><br>(法的拘束力なし)<br>ガイダンス文書(FDA Guidance Documents, 実務運用の基準) | (法的拘束力あり)<br>Regulation(MDR)><br>Directive><br>(法的拘束力なし)<br>MDCG guidance                                                    | (法的拘束力あり)<br>議会制定法(MMDA)><br>法定文書(UK MDR)><br>(法的拘束力なし)<br>MHRA等のガイダンス><br>倫理審査(REC)関連指針<br><br><b>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</b> |
| 規制当局                | 厚生労働省: 法規制の制定主体<br>PMDA: 審査の実施主体                                                                                                                 | FDA(Food and Drug Administration): 規制と審査の主体<br>↳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<br>各加盟国規制当局(Competent Authorities): 治験の承認・運用<br><br><b>各加盟国 CA が承認権限を持つ分権型</b>                | 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)<br>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)<br>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<br>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<br><br><b>分類がそのまま提出ルート(510(k)、De Novo、PMA)と直結</b>                                                             | I / II a/ II b/ 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<br>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 VIIに従って実施<br>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<br>(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、重篤インシデント等をMHRA・MOREで迅速報告(2日/10日/15日)<br><br><b>NI: EU IVDR基準で報告</b>                                                    |
| 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)<br>特定臨床研究はCRB承認+JRCT登録<br>倫理指針研究は国の届出不要<br><br><b>届出制(治験計画届)であり、当局承認ではない</b>                                                 | SR機器はFDAのIDE承認が必須<br>NSR機器はIRB承認+略式IDEで開始可<br>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と倫理審査が必須<br>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<br>RECの倫理審査も必須<br>申請・改訂・報告はIRASを通じて実施<br><br><b>NI: MHRAによるauthorisation(許可)が必須</b>                                   |
| 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<br>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<br><br><b>明確に法規で参照を規定している</b>                                     | 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<br>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<br><br><b>法体系ごとに異なる委員会が存在する</b>                                                       | 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<br><br>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<br><br><b>効率的な同一ポータルによる並行審査</b>                                            |
| 利益相反                | GCPではCOI管理の明確義務なし(委員会判断)<br>臨床研究法はCOI管理を法的義務化<br>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<br><br><b>研究者個人の財務情報を法規で明確に要求する</b>                       | MDRは当局側のCOI排除と独立性を明確に規定<br>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<br><br><b>審査側のCOI排除を法規で強く規定する</b>                  | 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<br>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)<br>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)<br>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<br>いずれも多言語化規定なし<br><br><b>法体系ごとに同意の仕組みが異なる</b> | 同意取得は21 CFR Part 50で法的義務<br>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<br><br><b>明確に多言語化を法的義務化</b>                              | 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<br>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)<br>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<br>倫理指針は侵襲研究のみ補償準備を求める<br>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<br>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<br>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<br>補償内容を直接定めた法令はない<br><br><b>NI: EU MDRの補償要件準拠</b>                                           |
| 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<br>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JADEなどをFDA・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 2020-10/17がAE/SAEなどの分類と報告手順・期限・経路を具体化<br>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/SADやデバイス不具合等を迅速に報告する義務あり<br>報告はMORE(オンライン報告システム)を通じて行う<br><br><b>NI: EU MDR/IVDRの基準で報告</b>                 |
| 被験者情報保護             | 個人情報保護法が基本枠組み<br>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<br>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<br>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<br>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<br>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<br>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<br>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<br><br>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<br>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<br><br>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<br><br>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/リバージョン・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<br>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<br><br>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用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。

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、国際共同試験の利用など、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也没有ありません。

### 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、試験実施前の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](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](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](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が必要となります
- 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<br>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<br>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<br>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<br><br>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ェ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  | <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> <li>一般用検査薬（OTC）を除く</li> </ul> | 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  | <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>                                          | 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  | <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>                                                                   | 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があります。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委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はありません。

### 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、被験者の個人情報ハ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 章一第 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・ガイドンス一覧

### （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://iacri-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](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、FDCA 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取り、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益関係が、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益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 より一步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・ガイドンス一覧

### (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、こ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療機器を指します。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   | <ul style="list-style-type: none"> <li>・最もリスクが低い医療機器</li> <li>・一般的管理（General Controls）のみで安全性・有効性を担保</li> <li>・多くが 510(k) 免除</li> </ul> | 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  | <ul style="list-style-type: none"> <li>・中程度リスク</li> <li>・一般管理 + 特別管理（Special Controls）</li> <li>・多くが 510(k) 必須</li> </ul>              | 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 | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。）</li> <li>・predicate が存在しない新規の低～中リスク機器は De Novo の対象</li> </ul> |
| クラス III | <ul style="list-style-type: none"> <li>・最もリスクが高い機器</li> <li>・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</li> <li>・PMA 必須</li> </ul>                  | 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）**：

電氣的安全・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  | <ul style="list-style-type: none"> <li>・低リスク</li> <li>・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</li> <li>・多くは 510(k) 免除</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>・一般的な臨床検査用試薬（General clinical laboratory reagents）</li> <li>・汎用試薬（緩衝液、希釈液など）</li> <li>・一部の尿妊娠検査試薬</li> </ul>                |
| クラスⅡ  | <ul style="list-style-type: none"> <li>・中リスク</li> <li>・一般的管理＋特別管理（Special Controls）が必要</li> <li>・多くは 510(k) による市販前届出が必要</li> </ul>         | <ul style="list-style-type: none"> <li>・血糖測定システム（Blood glucose test systems）</li> <li>・免疫測定系（Immunological test systems）</li> <li>・感染症迅速診断キット（インフルエンザ等）</li> </ul> |
| クラスⅢ  | <ul style="list-style-type: none"> <li>・高リスク</li> <li>・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</li> <li>・原則として PMA が必要</li> </ul>                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>・ HIV/HBV/HCV など重篤感染症の確定診断用 IVD</li> <li>・コンパニオン診断（Companion Diagnostics）</li> <li>・ NGS による腫瘍遺伝子プロファイル検査</li> </ul>        |

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ド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可否を審査します

### （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 の特性に応じたり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 (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に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 (EMA/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、承認手続き自体は 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](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](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](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](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](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](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](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、追加の手續・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（Article 73）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、試験の種類（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ー／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 (Medizinproduktegesetz, 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 のどの要求に關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、臨床試験が科学的小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—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、申請ポータル等の運用要件等）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り許容します。

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](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](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](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](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](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](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](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

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を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](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：自序ガイダンス  
<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-involving-children/>

[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](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](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/69247ba05f777c304ba7ee4/GB\\_Flow\\_Chart\\_Accompanying\\_Guidance\\_v3.pdf](https://assets.publishing.service.gov.uk/media/69247ba05f777c304ba7ee4/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](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](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<br>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<br>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态、(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<br>UK MDR 2002<br>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<br>(General IVDs)     | 4 カテゴリー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<br>(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<br>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<br>該当 IVD    | 4 カテゴリー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](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](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](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](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>