



CHUGAI

Roche ロシュ グループ

医薬品開発協働ガイド

～医薬品開発について患者さんに知っていただきたいこと～

中外製薬株式会社

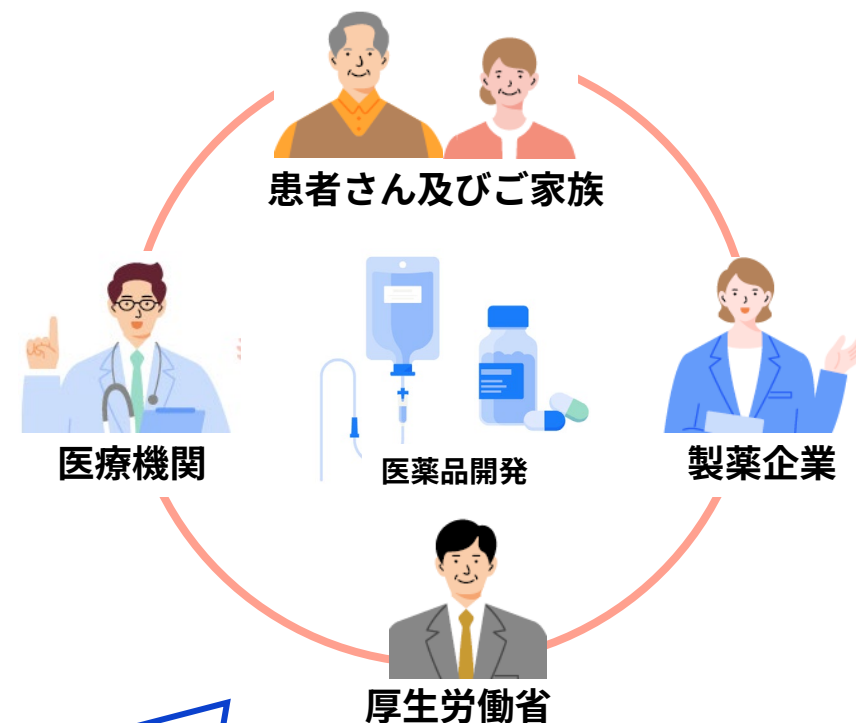
創造で、想像を超える。



中外製薬の想い

中外製薬は患者さんにご家族を医薬品開発チームの一員と考え、チームの一員である皆さまに向けて本ガイドを作成しました。

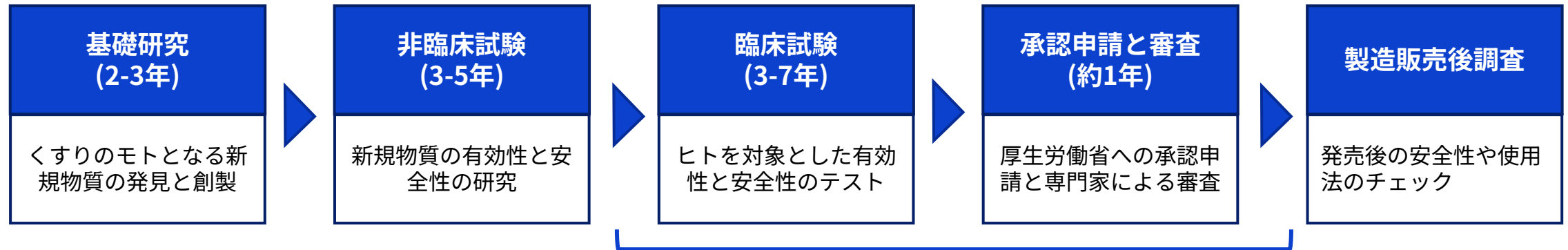
医薬品開発の全体像や治験の基礎知識を深めていただき、また、皆さまの経験が医薬品開発を進める上で重要なヒントになりうることを知っていただくことにより、さらに充実した協働の実現を目指しています。



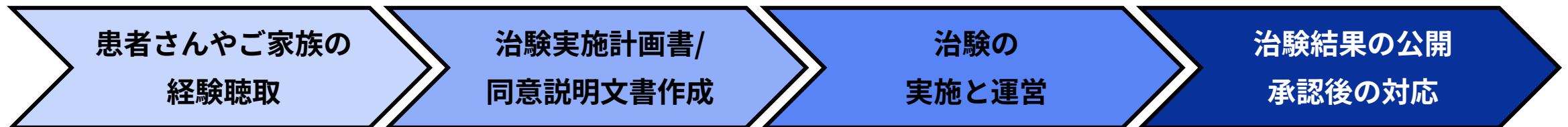
私たちは、患者さんの視点や声を反映した医薬品開発を行うことで、患者さんが心から満足できる「くすり」の開発に繋がると考えています。
患者さん、医療機関、製薬企業、厚生労働省がチームとなり取り組む医薬品開発を目指しています*。

治験において製薬企業と患者さんが協働するタイミング

医薬品ができるまでの道のり（詳細は[p. 6](#)参照）



治験が始まる前～治験実施中～承認後までのプロセス（詳細は[p. 18](#)参照）



患者さんの声・経験は、治験のあらゆる場面で製薬企業に届けられ、活かされています！

治験が始まる前から承認取得後まで、様々な場面で製薬企業と患者さんが協働する機会が設けられます。たとえば、患者さんの経験を聴いて治験実施計画書の作成に活かしたり、治験中に感じたこと・改善してほしいことや、治験結果の公開方法などについて意見交換したりしています。

「医薬品開発協働ガイド」の構成

この資料は、これまで治験や医薬品開発になじみがなかった患者さんにも基本的な概要を理解していただくためのガイドとなっており、以下の三部構成になっています。

1. 医薬品開発の概要

2. 治験とは？

3. 医薬品開発における患者さんとの協働

- ✓ まずは、医薬品開発の全体像や、治験の準備・実施プロセスについての理解をより一層深めていただくことを目的として、「1. 医薬品開発の概要」「2. 治験とは？」を構成しています。
- ✓ 医薬品開発の一般的な内容を紹介しています。

- ✓ 製薬会社が患者さんのご意見を聞きたい場面を理解していただくことを目的として構成しています。
- ✓ 具体的な協働の事例を「3. 医薬品開発における患者さんとの協働」で紹介しています。

(添付) 用語の解説

この資料内に出てくる用語の解説を一番最後に掲載しています。
資料を読んでいただく際にぜひご参照ください。

目次

1. 医薬品開発の概要

- ・ 医薬品ができるまでの道のりと成功確率

2. 治験とは？

- ・ 治験のルールとその必要性
- ・ 治験の各段階とその目的
- ・ 治験に関わる人々の役割
- ・ 治験実施計画書
- ・ 同意説明文書
- ・ 治験に参加いただく方の条件
- ・ 治験計画の審査
- ・ 治験参加時の一般的な流れ
- ・ 治験に関する情報公開

3. 医薬品開発における患者さんとの協働

- ・ 医薬品開発で患者さんと協働したい場面
- ・ 患者さんとの協働方法
- ・ 患者さんとの協働での気づき

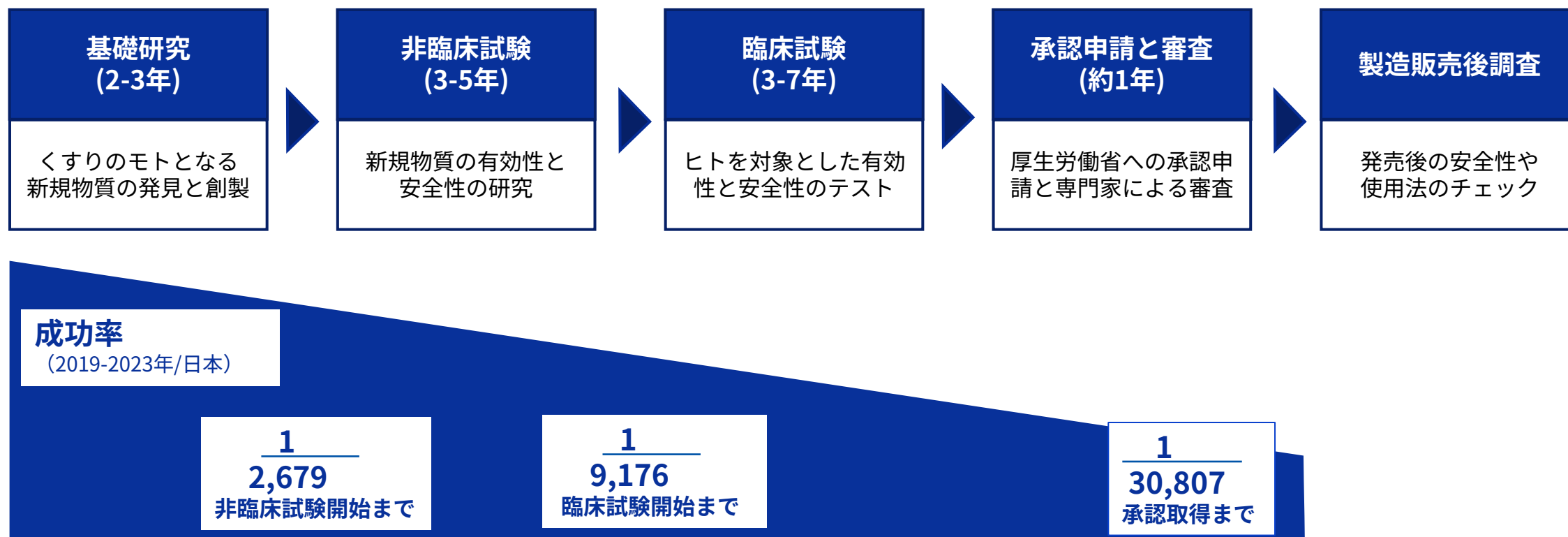
(添付) ・ 治験に参加される方の個人情報保護について

- ・ 用語の解説

医薬品ができるまでの道のり*と成功率**

医薬品の誕生には10年以上の年月を要しますが、成功率は極めて低いとされています。

また、審査を経て承認された後も販売後の調査を重ね、効能面・安全面できちんと確認がされています。



* 引用元：日本製薬工業協会HP「[創薬と育薬](#)」

**引用元：日本製薬工業協会HP「[DATA BOOK 2025 A-7-9 開発段階別化合物数と承認取得数\(日本\)](#)」

目次

1. 医薬品開発の概要

- ・ 医薬品ができるまでの道のりと成功確率

2. 治験とは？

- ・ 治験のルールとその必要性
- ・ 治験の各段階とその目的
- ・ 治験に関わる人々の役割
- ・ 治験実施計画書
- ・ 同意説明文書
- ・ 治験に参加いただく方の条件
- ・ 治験計画の審査
- ・ 治験参加時の一般的な流れ
- ・ 治験に関する情報公開

3. 医薬品開発における患者さんとの協働

- ・ 医薬品開発で患者さんと協働したい場面
- ・ 患者さんとの協働方法
- ・ 患者さんとの協働での気づき

(添付) ・ 治験に参加される方の個人情報保護について

- ・ 用語の解説

治験のルールとその必要性*

- 治験には研究的な側面もあるため、治験に参加される方の権利や安全を保護するための「ヘルシンキ宣言」や「医薬品の臨床試験の実施の基準（GCP: Good Clinical Practice）」「医薬品医療機器等法」などのルールがあります。
 - ヘルシンキ宣言、GCP、医薬品医療機器等法などの用語の解説は一番最後に掲載していますので、ご参照ください。
- 全ての治験はこれらのルールに基づいて計画・実施されています。
これらのルールを遵守することで、治験に参加された方の人権や安全、プライバシーが守られます。



治験の各段階とその目的*

治験は、通常3つのステップ（相）を踏んで進められます。

第Ⅰ相

- **少人数の健康成人**において、ごく少量から少しずつ「くすりの候補」の投与量を増やしていき、安全性はどうかについて調べます。
- 血液や尿などの中に存在する「くすりの候補」の量を測ることにより、どのくらいの速さで体内に吸収され、どのくらいの時間でどのように体外に排泄されるのかも調べます。

第Ⅱ相

- 「くすりの候補」が効果を示すと予想される**比較的少人数の患者さん**について、病気の程度によってどのような効き目を発揮するのか（有効性）、副作用はどの程度か（安全性）、またどのような使い方（投与量・間隔・期間など）をしたらよいか、といったことを調べます。
- 効き目や使い方を調べるにあたっては、通常いくつかの投与量を用いて比較検討しますが、その際にプラセボを加えるのが一般的です。また現在使われている標準的なくすりがある場合には、それと比較することもあります。

第Ⅲ相

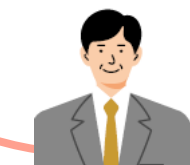
- **多数の患者さん**について、第Ⅱ相試験の結果から得られた「くすりの候補」の有効性、安全性、使い方を最終的に確認します。
- 確認の方法は、現在使われている標準的なくすりがある場合にはそれとの比較、標準的なくすりがないときにはプラセボとの比較が中心になります。
- これとは別に、長期間使用したときの有効性や安全性がどうかを調べることもあります。

3つのステップを終了したところで、くすりを開発している製薬企業がそれらのデータを全てまとめて厚生労働省にくすりとして認めてもらうよう申請します。厚生労働省の厳正な審査をパスし、承認されることによって初めて「くすりの候補」が「くすり」となるのです。

治験に関わる人々の役割

治験に参加される患者さん

- 「同意説明文書」の内容を理解し、スケジュールにそって来院し、検査を受け、正しく「くすりの候補」を使用します。
- 体調に変化があった場合は担当医に報告します。



製薬企業

- 治験に参加された方の人権が守られているかや、治験が正しい手順で実施されているか、副作用などが発生していないかなどを確認する目的で、参加された方のカルテを直接確認したり、医療機関の担当者と面会したりします。
- 最新の情報を医療機関や厚生労働省に報告する役割も担っています。

医療機関

- 治験を担当する医師を中心に、治験に参加された方への様々な説明、安全性の確認、くすりの候補の評価などを行っています。
- 参加された方に副作用などが発生した際には最善の治療を行います。
- 医師、看護師、薬剤師らスタッフや治験コーディネーター（CRC）がいます。
- 治験審査委員会へ治験の実施状況を報告し、治験を継続してもよいか、審査を受けます。

厚生労働省

- 「くすりの候補」に関する新たな情報や計画の変更について企業から報告を受けた際に、随時確認し、必要に応じて、治験中止、治験の計画書の改訂、検査の追加などの適切な指示を行います。

治験実施計画書



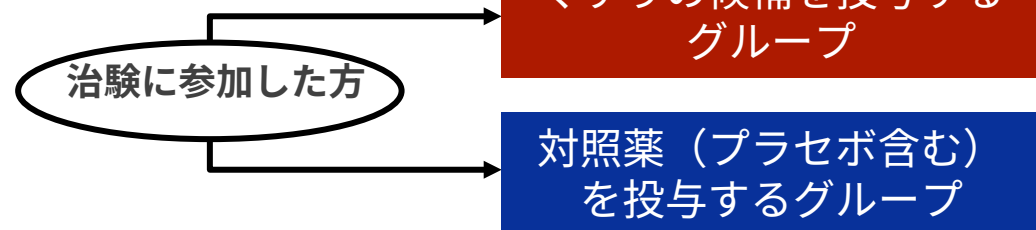
■ 治験実施計画書とは？

- 治験の対象となる方
- 薬の量や使用回数
- 安全性や有効性を評価するために必要な検査の種類や回数 などが記載された文書で製薬企業が作成します。

■ 治験実施計画書作成時のポイントは？

- 治験に参加される方の安全が確保できているか、負担は最小限に留められているか、治験薬の特徴を確認するためのデータ収集をどのように行うか、などを考慮しています。

主な治験デザイン



「くすりの候補」の比較試験では、多くの場合、患者さんはもとより治験を行う医師なども含め「くすりの候補」、プラセボ、標準的な「くすり」のいずれかが使われているのかが分からないようにする方法がとられます。これは、くすりの効き目と副作用を先入観なく、客観的に評価するためです*。

「くすりの候補」の特徴を確認する(評価方法)一例

- 例① がん：がんが完全に消失した患者さんの割合
→有効性を評価するため
- 例② 「くすりの候補」による副作用が出てくる時期や強さ
→安全性を評価するため
- 例③ 「くすりの候補」の薬物動態
→その後の治験計画・実施に役立てるため

2. 治験とは？

同意説明文書

患者さんが自由意思のもと、「治験に参加するか否か」を判断する上で最も重要な資料です。

治験への参加による利益や治験薬によるリスク、治験のスケジュールなどについて記載されており、同意説明文書を用いて医師から治験の説明が実施されます。

同意説明文書の構成

治験の説明

1. 治験の概要

- 治験とは
- 治験薬の概要
- 予想される利益とリスク
- 治験の流れ
- 治験の費用

2. 治験の詳細

- 守っていただきたいこと
- 治験の対象
- 治験の中止
- 健康被害が発生した場合の対応
- 治験薬及び検査などによるリスク

3. 治験のスケジュール

説明文書・同意文書（見本）
治験課題名：DEF 患者を対象とした ABC123 の有効性、安全性を評価する第 III 相臨床試験
治験実施計画書番号：ABC001
治験依頼者：中外製薬株式会社
治験責任医師：中外タロウ
000-1234-4321
実施医療機関の名称：●●病院
実施医療機関の所在地：●●県●●市△△1-1
治験審査委員会の名称：●●病院倫理審査委員会

この説明文書は、あなたに（被験薬名）の治験に参加するかどうかを判断していただくための文書です。この治験の目的や内容、予想される利益やリスクなどについて担当医師から十分に説明を受け、分からないことは納得がいくまで質問をし、この文書をよく読まれた上で、ご自身の自由な意思でこの治験に参加してもよいと思われた場合には治験参加同意文書にご署名ください。

なお、患者さんが未成年の場合や、病状などにより患者さんご自身が説明を受けることが難しい場合には、ご家族など患者さんに代わる方（代諾者）が説明を受け、この文書をよく読んでから、この治験に参加していただけるかどうかを判断してください。この文書中の「あなた」とは、代諾者ではなく、治験参加の候補となる方（患者さん）のことを指しています。また、患者さんが治験参加時には未成年で、治験参加中に成年に達した場合は、改めて治験継続の意思を文書で確認いたしますので、治験を継続したいと思われた場合には治験参加同意文書にご署名ください。

ABC123 3 / 60
治験実施計画書 No.ABC001 説明文書・同意文書（見本） 20●●年●●月●●日作成

<イメージ>

同意の確認

1. 同意/確認事項

- 説明内容に関する理解
- 質問と回答の機会
- その他必要な資料の提供
- 自由意志による同意

2. 参加者本人の署名

（必要に応じて代諾者の同意）

3. 説明文書を説明した医師の署名

治験参加同意文書		
治験課題名：	DEF 患者を対象とした ABC123 の有効性、安全性を評価する第 III 相臨床試験	
治験実施計画書番号：	ABC001	
医療機関名：	●●病院	

☐ 私は、この説明文書の内容について十分な説明を受けました。

☐ 私は、説明文書に記載された情報を理解し、質問に対しても十分な回答を得ました。この同意文書に署名した後、説明文書・同意文書の写しを受け取ることを理解しました。

☐ 治験に係る補償制度の概要についてを受領し、説明を受けました。

☐ 私の検査結果等の情報の取扱いについて、説明文書に記載された内容を理解しました。

☐ 私はみずからの自由な意思によりこの治験に参加することに同意します。

患者さんのお名前（自筆による署名）： 同意日： 年 月 日

代諾者が署名する場合には、以下は代諾者の方がご記入ください。

患者さんのお名前： 患者さんとの関係： 年 月 日

代諾者のお名前（自筆による署名）： 同意日： 年 月 日

治験に参加されることの記録として、この同意文書・説明文書（写し）を大切に保管してください。

以下に署名する者は、患者および/またはその代諾者に対し、本説明文書について十分な説明を行いました。

ABC123 57 / 60
治験実施計画書 No.ABC001 説明文書・同意文書（見本） 20●●年●●月●●日作成

<イメージ>

治験に参加いただく方の条件

「くすりの候補」の有効性の検証や参加いただく方の安全性確保のために
参加される方の条件を治験ごとに設けており、最終的に担当医師が治験に参加できるか判断します。

一般的に下記に当てはまる方が参加できます

- ・ 「くすりの候補」の対象となる病気と診断されている方
- ・ 治験スケジュールを遵守できると医師が判断された方

一般的に下記に当てはまる方は参加できません

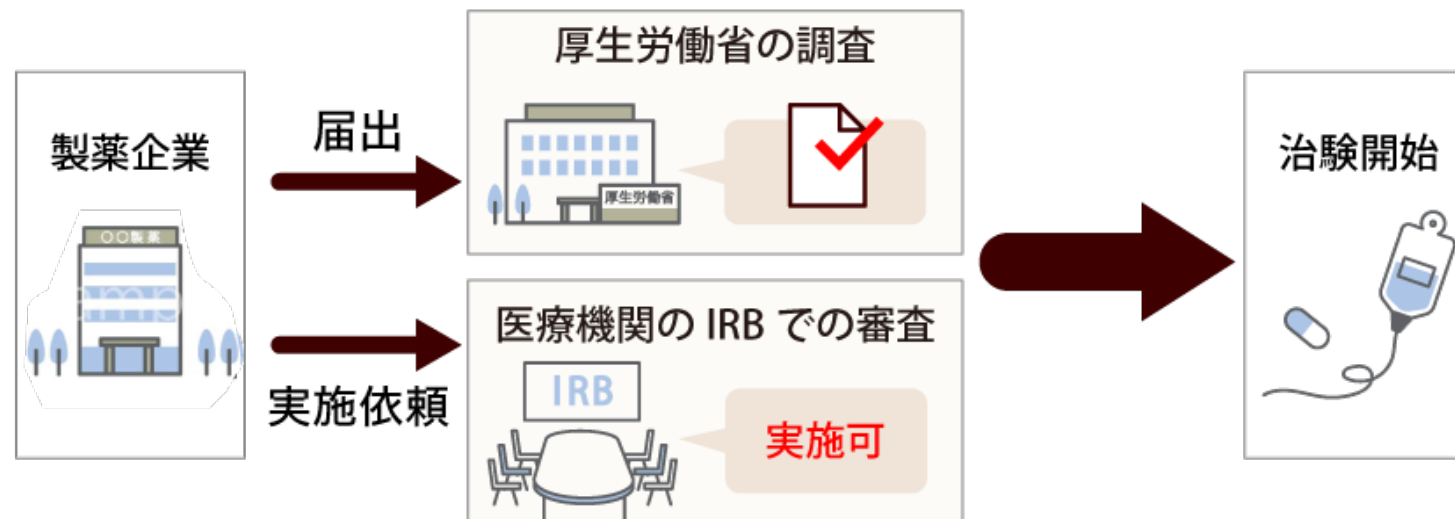
- ・ 「くすりの候補」と同じ働きをする薬を使用している方
- ・ 重大な心筋梗塞、不整脈、肺の病気を有する方、感染症が疑われる方
- ・ 授乳中の方、妊娠中（希望する人も含む）の方
 - ✓ 「くすりの候補」が生殖機能や胎児へ影響を及ぼす可能性がある場合



治験計画の審査

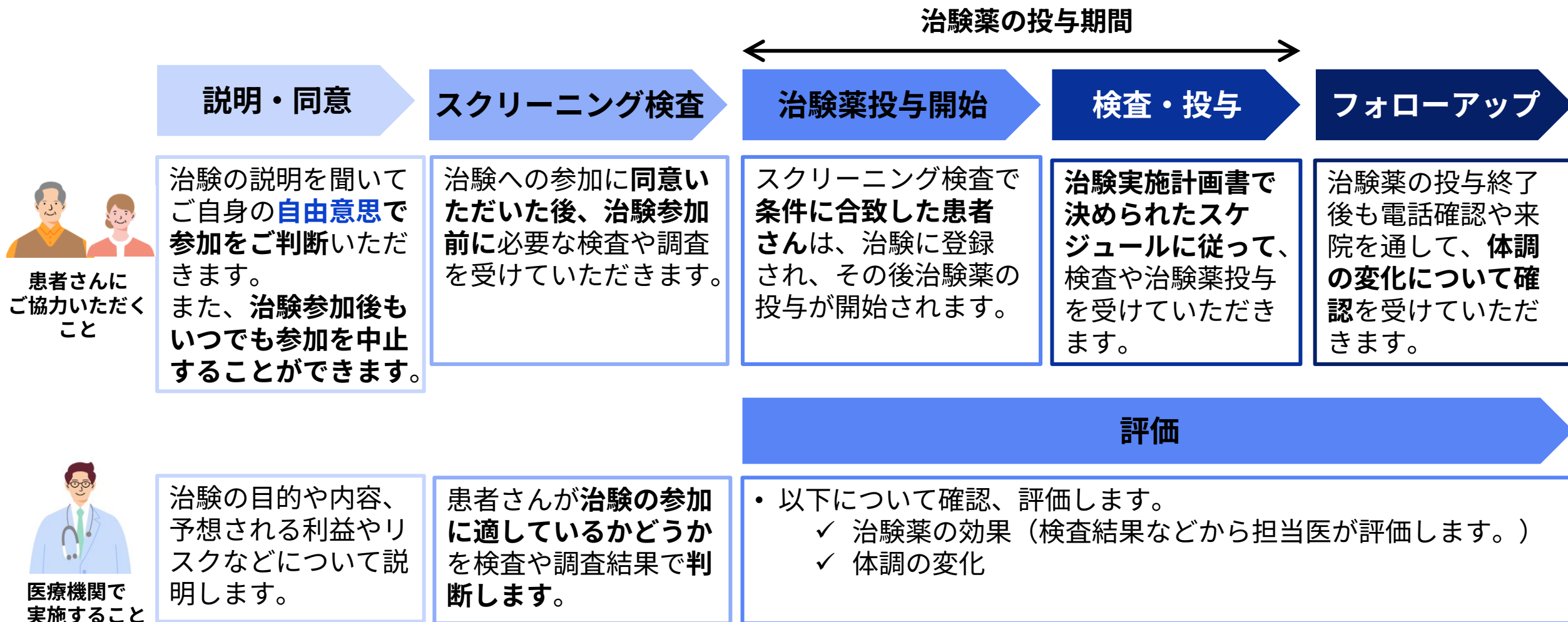
厚生労働省と治験を実施する医療機関ではそれぞれ「治験実施計画書」や「同意説明文書」などを審議します。

- ① 厚生労働省では、製薬会社が届出た治験実施計画書などをもとに、「治験のルール」、「治験に参加される方の人権・安全が守られているか」、「科学的に妥当か」といった観点で事前に調査します。
- ② 医療機関では、治験審査委員会（IRB）へ治験の実施可否について審査を依頼します。治験審査委員会ではその治験を行うことが適切か、治験に参加される方にとって倫理的・科学的な点で安全か、不利益はないか、などを審査します。



治験参加時の一般的な流れ

一般的に治験は以下のステップで進められます。



治験に関する情報公開

治験に関する情報や治験の結果は、以下のような方法で確認することができます。

■ 治験情報登録サイト (アイコンをクリックすると各ホームページが開きます)

サイト名	説明	QRコード	参考になる資料
 ジェイアールシーティー Japan Registry of Clinical Trials	- 日本で実施されている治験（企業治験を含む）や臨床研究全般の情報を見つけることができる公的なサイト - 治験・臨床研究を実施する企業や研究者は、jRCTに試験情報を掲載することが義務付けられており、国内の治験・臨床研究情報が網羅されている。		治験の探し方 ～jRCTのみかた～ (日本製薬工業協会作成)
 クリニカルトライアルズドットガブ	- 英語表記 - 主に米国で実施されている治験を見つけることができる公的なサイト		ClinicalTrials.govの ミカタ (米国研究製薬工業協会作成)

☆その他の情報サイトについても「[製薬協HP](#)」や「[jRCT以外の情報サイトの紹介](#)」に掲載されていますので、ご参照ください。

- 学術論文・学会
- 製薬会社（各企業の公式ホームページ）

目次

1. 医薬品開発の概要

- ・ 医薬品ができるまでの道のりと成功確率

2. 治験とは？

- ・ 治験のルールとその必要性
- ・ 治験の各段階とその目的
- ・ 治験に関わる人々の役割
- ・ 治験実施計画書
- ・ 同意説明文書
- ・ 治験に参加いただく方の条件
- ・ 治験計画の審査
- ・ 治験参加時の一般的な流れ
- ・ 治験に関する情報公開

3. 医薬品開発における患者さんとの協働

- ・ 医薬品開発で患者さんと協働したい場面
- ・ 患者さんとの協働方法
- ・ 患者さんとの協働での気づき

(添付) ・ 治験に参加される方の個人情報保護について

- ・ 用語の解説

医薬品開発で患者さんと協働したい場面

私たちは患者さんにご家族を医薬品開発における「チームの一員」として考えています。
皆さまのご意見は医薬品開発においてとても価値のある情報です。

【ご意見をいただきたいこと】

- ・「患者さんやご家族の生活/想い」から
治験での評価項目・評価方法へのご意見

【ご意見をいただきたいこと】

- ・ 治験参加中に感じたことは？
- ・ 改善を期待したいことは？

患者さんやご家族の
経験聴取

治験実施計画書/
同意説明文書作成

治験の
実施と運営

治験結果の公開
承認後の対応



【ご意見をいただきたいこと】

- ・ 普段実施している検査か？
- ・ 日常診療と比べ参加可能なスケジュールか？
- ・ 副作用などの対処や緊急体制で気になる点は？
- ・ 参加できる条件に違和感があるか？
- ・ 同意説明文書は理解可能な内容か？

【ご意見をいただきたいこと】

- ・ 治験の結果はどのような内容を
どんな方法で知りたいか？

患者さんとの協働方法

協働内容や目的によって適切な方法を取り、試験期間を通じて患者さんやご家族からご意見をうかがっています。

開発担当者と患者さんの対面/Webでの面談

- ・ 治験を準備する段階で、試験計画に関するご意見をうかがう
- ・ 治験の実施にかかわらず、患者さんのご経験と疾患や治療に対するご意見をうかがう

患者さんによる資材の確認と、 開発担当者と患者さんの面談

- ・ 治験の結果を患者さんにもわかりやすい言葉でお伝えする資材の文章についてご意見をうかがう

患者さんやご家族の
経験聴取

治験実施計画書/
同意説明文書作成

治験の
実施と運営

治験結果の公開
承認後の対応



アンケートの実施

- ・ 治験に参加頂いた患者さんに、「治験参加中に困ったこと」や「治験中に使用する患者さん向けの資料とその内容」についてご意見をうかがう（試験実施中/試験終了後）

患者さんとの協働での気づき①

患者さんやご家族の
経験聴取

治験実施計画書/
同意説明文書作成

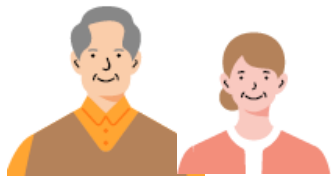
患者さんが日常で注意されていることはなにか

中外の医薬品開発担当者は、ある病気をお持ちの患者さんから現在の治療や病気に対するご意見をうかがい、「くすりの候補」の開発に活かす取り組みを行いました。



中外製薬の担当者

＜患者さんへの質問＞
今までの治療の中で、一番気になる副作用は何でしょうか？



患者さん

＜患者さんのご意見＞
顔が丸くむくむ懸念は気にしているが、それよりも「日光を浴びる」ことにより症状悪化のリスクがあるため、可能な限り外出を避けたいです。



中外製薬の担当者

＜患者さんの声を聞いて気づいたこと＞
副作用のみならず、日常生活の中で日光を浴びることを気にされているのですね。来院日を減らすなど、治験計画に活かす検討をしていきます！

患者さんとの協働での気づき②

患者さんやご家族の
経験聴取

治験実施計画書/
同意説明文書作成

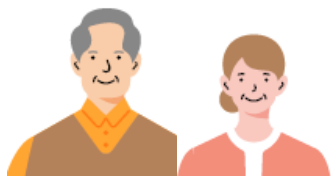
患者さんにとっての治療のゴールはなにか

中外の医薬品開発担当者は、ある病気をお持ちの患者さんから現在の治療や病気に対するご意見をうかがい、「くすりの候補」の開発に活かす取り組みを行いました。



中外製薬の担当者

＜患者さんへの質問＞
治療薬Bでの治療方針に求めることは何でしょうか？



患者さん

＜患者さんが大事にしていること＞
痛みを抑えることを一番に期待しています。そのため、副作用が出る可能性があっても、効果のある量を使用したいと思っています。

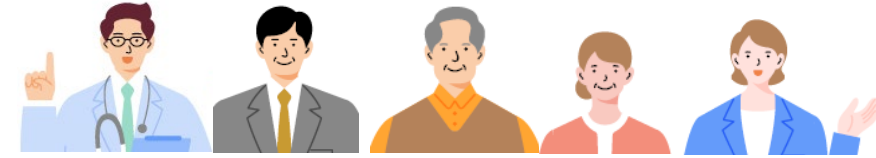


中外製薬の担当者

＜患者さんの声を聞いて気づいたこと＞
治験データの中で、治療薬Bの用量別で患者さんにどのような症状が発生しているかを調査して、患者さんに共有していく必要がありそうです！

治験に参加される方の個人情報保護について

情報の保護



- 治験では、適用されるプライバシーの保護や治験を実施する際守るべきルールを定めた法律に従って、治験参加者のプライバシーを保護するために多くの安全対策を実施しています。
- 治験参加者の医療情報や個人情報の機密保持を確実にするために、治験データと治験参加者から収集した検体（血液等）には、固有の番号が割り当てられます。

情報の使用および共有

- 中外製薬等の担当者は、固有の番号が付けられた治験データを分析したり、研究目的で使用する場合があります。また、独立した研究者や政府機関と共有されることがあります。
- さらにこの治験の結果が医学雑誌に公表される、または学会などで発表される場合がありますが、治験参加者が特定されることはありません。

用語の解説（1/2）

本資料で用いる用語解説*を下表に示します。

用語	解説
非臨床試験	人を対象としない、細胞や動物などを使って薬の有効性や安全性、薬物動態など、必要なデータを収集する試験のことです。この試験の結果は臨床試験の重要な情報となります。
臨床試験	薬の有効性や安全性を人で調べる試験を臨床試験といいます。
治験	臨床試験のうち、新薬開発の際に行われる試験を治験といいます。
承認申請	薬として製造販売してもよいという許可を得るための申請です。 承認を得るために、それまでに行った非臨床試験（細胞、動物での作用と毒性）と臨床試験、製造法など、開発に関わる情報を厚生労働省に提出し、審査を仰ぎます。
治験薬	治験に使う薬です。開発する薬と、その比較対照として使われる薬、またはプラセボ（偽薬）があります。*なお本資料では、治験で開発する薬を示す用語として「くすりの候補」を使っています。
プラセボ	評価する薬の成分は入っていませんが、色・形・大きさなどの外観が評価する薬と全く同じに作られたものです。偽薬（ぎやく）とも呼ばれます。薬の有効性や安全性を評価する比較となります。
有害事象	薬のために起きたかどうかに関わりなく、薬を使用したときに起こる、あらゆる好ましくない症状、徴候、疾患などの出来事をいいます。

用語の解説 (2/2)

本資料で用いる用語解説*を下表に示します。

用語	解説
副作用	薬を使用したことにより起こる好ましくない反応のことです。急性の副作用（アレルギー反応など）と長期使用による慢性の副作用があります。GCP（医薬品の安全性試験の実施に関する基準）では、薬との因果関係の否定できない有害事象を副作用と規定しています。
ジーシーピー GCP	Good Clinical Practice：医薬品の臨床試験実施に関する基準。臨床試験に参加する人の人権を尊重し、科学的に人での臨床試験を実施することを定めた法令です。臨床試験に携わる全ての製薬会社、医療機関などはこれに従わなくてはなりません。
治験審査委員会 アイアールビー (IRB)	臨床試験に参加する人の人権の保護や安全性の確保、また、その試験が科学的に妥当かどうか、内容に問題がないかを検討する委員会です。審査委員会の構成員は、医療関係者のほか、病院とは利害関係のない人や、医学、薬学の専門家以外の人も含めなくてははいけません。
薬物動態	薬が体の中に入り、血液中に現れて体の外に出ていく様子をいいます。薬は体内に吸収されると、一部は分解されたりしながら、最終的には排泄されます。その過程や経路、時間などを調べて、有効性や安全性の情報に活用します。
ヘルシンキ宣言	1964年の世界医師会総会で採択された、人間を対象とする医学研究の倫理的原則。
医薬品医療機器法	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。 国（厚生労働省）が定める医薬品や医療機器等の品質・有効性・安全性を確保する他、製造・表示・販売・流通・広告などについて定めた法律。

創造で、想像を超える。



中外製薬

