

使用成績調査（有効性）に関する Q&A

新医薬品においては、承認申請時臨床試験（以下、「治験」という。）の症例数には限りがあり、対象動物の症状、年齢、併発している疾病、使用量、併用薬などがコントロールされているため、市販後に

- ① 十分な有効性が認められないおそれ
 - ② 市販後に未知の副作用が発現するおそれ
- があります。

このため、承認後一定期間内は、使用成績調査として、実際の臨床現場で使用されたデータを幅広く集め、有効性や安全性を再度確認する、再審査制度が設けられています。

有効性の評価を行う使用成績調査では、治験の成績との比較も行うため、評価基準等の条件を治験と同じとすることが理想的です。

しかし、臨床現場において、対照群を設定することなど、治験と同じ条件で調査を行うことは困難であるため、有効性の調査方法について、多くのご相談をいただいているところです。

そこで、今後、適切な使用成績調査（主に有効性）を実施いただくために必要な事項について Q&A をまとめました。

Q 1. 使用成績調査のうち、有効性に係る調査では、治験と同等の効果の判定基準及び疾病の診断基準とする必要がありますか？

A：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関係事務の取扱いについて（平成 12 年 3 月 31 日付、12 動薬 A 第 418 号）の別添 4 のガイドラインのイの③でお示ししているとおり、効果の判定基準及び疾病の診断基準は承認時と同じであることが望ましいですが、科学的な根拠又は合理的な理由があり、かつ承認時との効果の程度の比較が可能であれば、承認時と異なる効果の判定基準及び疾病の診断基準を用いることができます。

承認時と異なる基準を用いた場合には、再審査申請書添付資料の使用成績等調査概要の中で、承認時のそれとの相違点を明確にし、その基準をもって、有効性を判定できるとする科学的な根拠又は合理的な理由をご説明ください。

承認時に、治験と同等以上の有効性に関する使用成績調査又は製造販売後臨床試験を実施することが条件とされた場合を除き、調査を適切に実施するため、通常の臨床現場では実施できない検査項目、検査頻度等を簡素化する等の場合も合理的な理由と

なります。

Q 2. 使用成績調査において、治験時よりも選定基準、除外基準等の調査対象を幅広く設定した場合の留意点はありますか？

A：治験時よりも幅広く調査を実施した場合は、治験では試験しなかった要因（種、月齢、投与期間等）による有効性への影響について特に注意して解析し、十分な考察を行ってください。

また、承認の範囲外の使用を含めて調査を行った場合には、承認の範囲内での使用と、範囲外の使用を適切に判別・考慮して、有効性の考察と評価を行ってください。

例) >用法及び用量が異なる場合

>二次選択薬を一次選択薬として使用した場合

>使用上の注意において、使用しないこととされている動物（月齢、体重、妊娠の有無等）に使用した場合 等

Q 3. 使用成績調査では、対照群を設定しなくてもよいですか？

A：有効性を評価できる場合には、必ずしも対照群を設定する必要はありません。対照群を設定しない場合には、再審査申請書添付資料の使用成績等調査概要の中で、その理由をご説明ください。

Q 4. 再審査対象製剤が全く市販されなかった、販売開始までに時間がかかった等の理由で、再審査期間中に十分な使用成績調査が実施できない場合には、どうしたらよいですか？

A：十分な使用成績調査を実施できない場合でも、再審査申請期限までに再審査申請を行ってください。その場合、再審査申請書添付資料の使用成績等調査概要の中で、その理由をご説明ください。

また、有効成分及び用法・用量が類似している他の製剤を含めた、外国における使用成績、文献等による知見を収集することで、総合的に評価を行ってください。

審査の結果、有効性や安全性が評価できないと判断された場合には製造販売後臨床試験が要求されることがありますので、十分な調査が行えないことが予測された時点で、当所までご相談ください。

Q 5. 使用成績調査開始前に当所に計画書（案）について相談し、計画内容について了承を得ることができますか？

A：使用成績調査開始前にご相談があった場合には、そのご相談内容を踏まえて再審査を行います。事前のご相談は、当該調査の方法論の観点から明らかな問題点がないかを確認するものであり、計画内容及びその結果の科学的妥当性については申請者が責任を持ってご説明いただく必要があるため、事前のご相談において計画内容を了承することはできません。

再審査においては、その審査時点での科学的知見等を踏まえて審査を行うため、事前にご相談があった場合においても、調査方法及びその結果に関する妥当性について指摘させていただく場合がありますのでご回答をよろしくお願い致します。

今後とも、再審査制度の適切な運用のため、ご理解とご協力をお願い致します。
ご不明な点、使用成績調査に関する具体的なご相談等は、下記連絡先までお願い致します。



お問い合わせ先
動物医薬品検査所企画連絡室
担当者：技術指導課 再審査担当
ダイヤルイン：042-321-1961