

事 務 連 絡
令和 8 年 4 月 30 日

各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課 御中

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課

医薬品の条件付承認制度に関する質疑応答集（Q & A）について

医薬品の条件付承認制度については、「医薬品の条件付承認の取扱いについて」（令和 8 年 2 月 27 日付け医薬薬審発 0227 第 6 号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）により、その内容を示したところです。

今般、条件付承認制度に関する質疑応答集（Q & A）を別添の通り作成しましたので、御了知の上、貴管下関係業者等に対し、業務の参考として周知いただきますよう御配慮願います。

なお、本事務連絡については、別記の団体等に宛てて連絡するので、念のため申し添えます。

(別記)

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

(別添)

条件付承認制度に関する質疑応答集（Q & A）

Q 1. どのような場合に条件付承認制度の活用が想定されるか。

A 1. 条件付承認制度の活用については、個別の医薬品の特性を踏まえて検討する必要がある。承認後の主要な評価項目にかかる試験成績等の提出を前提に、代替される探索的な試験成績等によって承認が可能と判断される品目（欧米等において、条件付承認制度に準じる制度により既に承認を受けている又は当該制度を適用することについて規制当局と合意し開発を進めている品目で、検証的試験が実施中又は実施予定のものを含む。）について、活用を検討することが想定される。

また、例えば、欧米等において既に承認されており、日本では開発に着手されておらず、ドラッグ・ロスが生じていると指摘されている医薬品であって、日本人の有効性及び安全性に関する追加のデータが必要であるものの早期に承認する必要がある場合などに適用することも考えられる。

一方で、既に得られている臨床試験の試験成績等から、承認後に臨床試験の試験成績等の提出等の条件を課さずとも、日本人患者における有効性、安全性が認められると評価できると考えられる場合には、原則として、本制度は適用されない。

Q 2. 「医薬品の条件付承認の取扱いについて」（令和 8 年 2 月 27 日付け医薬薬審発 0227 第 6 号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知。以下「通知」という。） 1. の②に記載されている「検証的臨床試験以外の臨床試験の試験成績等」とは、どのようなものが想定されるか。

A 2. 一般的には探索的臨床試験の成績を想定しているが、医薬品の性質によりそれ以外の試験等も想定される。申請時に必要な有効性及び安全性の情報については、疾患の重篤度、当該疾患の治療環境等を踏まえ、個別の医薬品ごとに判断されるが、例えば、必ずしも確立した代替エンドポイントではないものの治療薬の薬力学的指標として妥当な指標の成績を確認する試験等の成績や、検証的臨床試験で代替エンドポイントにより中間解析を行った成績等のほか、抗菌薬の場合の抗菌力試験、薬剤感受性（耐性菌）試験、遺伝性疾患に対する医薬品の場合の患者由来の iPS 細胞を用いた試験結果等の非臨床試験の成績等も含めて説明することが想定される。

なお、中間解析の成績で承認申請を行う場合には、盲検化の解除や中間解析後の医療環境の変化により、試験の解釈が困難となる可能性があるため、あらかじめ試験デザイン等について独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）と相談すること。

これらの試験成績の条件付承認制度への利用可能性については、適宜 PMDA の相談制度を活用し、医薬品条件付承認品目該当性相談を行う前に整理しておくこと。

Q 3. 通知 2. の 1) において、想定される承認時の医薬品、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。以下「薬機法」という。）第 14 条の 2 の 2 第 1 項の規定に基づく条件の概要等について PMDA と相談を行うこととされているが、条件の概要等としてどのようなものが想定されるか。

A 3. 相談時に当該段階で得られている情報を元に、条件付承認に係る条件として承認後に実施を求めることが想定される臨床試験・調査の種類、目的、規模、期間等や、承認時の条件として医療機関を限定することが想定される場合にはその考え方や限定方法の概略等について相談することを想定している。

想定される条件付承認に係る条件の概要については、承認申請時に提出することが想定される申請データパッケージと合わせて検討し、医薬品条件付承認品目該当性相談において PMDA と合意すること。

なお、承認条件を決定するのは厚生労働大臣であることから、通知 5. 条件付承認に係る条件で示したとおり、条件付承認に係る条件の概要については、申請時に提出される資料等に基づき相談時に想定されていたものから審査過程において変更される可能性はある。

Q 4. 条件付承認制度の適用について、PMDA の相談の結果、適用の要件を満たすとされた医薬品について、その後新たに得られた臨床試験成績等を踏まえ、制度の適用を希望せずに製造販売承認申請を行うことは可能か。

A 4. PMDA との相談を経て条件付承認制度の適用を希望して承認申請を行おうとしていた医薬品について、承認申請に係る計画を変更しようとする場合、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課に相談すること。

Q 5. 条件付承認制度により承認された医薬品について、条件として付された臨床試験の成績等を活用して適応拡大のための製造販売承認事項一部変更承認申請（以下「一変申請」という。）や、注意喚起・情報提供に係る添付文書改訂（例えば、対象患者の拡大に関するもの）を行うことは可能か。

A 5. 個別の事例についてはそれぞれの状況に応じて判断されるが、通知 5. に示したとおり、条件として求める臨床試験における対象患者は必ずしも条件付承認を受けた範囲と完全に一致せず、臨床試験の実施可能性を踏まえつつ、異なる治療ラインや、異なる疾患の進行段階等であっても認められる場合があり、当該試験において、承認を受けた範囲外の患者や臨床試験成績が得られていない旨注意喚起されている患者に対する有効性、安全性等が評価できると考えられる場合においては、一変申請又は添付文書改訂に係る有効性、安全性等を示す資料として活用できる可能性はある。

Q 6. 通知 6. の②における条件とされた試験等の実施状況等の PMDA への報告は、いつを節目として行うことが適当か。

A 6. 条件付承認を受けた医薬品については、「医薬品リスク管理計画指針について」（平成 24 年 4 月 11 日付け薬食安発 0411 第 1 号・薬食審査発 0411 第 2 号。令和 8 年 2 月 27 日一部改正）により条件とされた試験等の概要及び実施完了予定時期を記載することとされており、実施状況等の報告については、条件付承認を受けた医薬品の安全性定期報告の際に行うことが想定される。

なお、患者の登録状況等を踏まえ、条件とされた試験等の完了予定時期に変更が生じる可能性がある場合、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課に相談すること。

Q 7. 通知 7. における条件付承認の際に条件とされた試験等の成績の公表については、どのように行うべきか。

A 7. 例えば、製造販売業者が自社のホームページで公表することや、臨床研究等提出・公開システム（j R C T）等の公開データベースに試験成績を記載することにより公表することが想定される。また、調査申請を受け、評価を行った結果については、PMDA のホームページで公表するため、当該結果の公表をもって成績の公表とすることも想定される。

Q 8. 条件付承認を受けた医薬品に対する薬機法第 14 条の 2 の 2 第 2 項の規定に基づく調査の結果、承認の取消や承認内容の変更が行われるのはどのような場合か。

A 8. 承認の取消等の要否については、条件として実施された臨床試験成績等に基づいて、有効性、安全性について、主要評価項目・副次評価項目等の結果、臨床試験の統計解析計画、部分集団別の有効性・安全性等の観点から評価し、個別に薬事審議会の意見を聴いて検討する。検討の結果、条件付承認した効能・効果、用法・用量等について、有効性が認められなかった等により薬機法第 14 条第 2 項第 3 号のいずれかに該当すると認められる場合には承認を取り消し、投与対象を限定するなど、承認事項を一部変更すれば薬機法第 14 条第 2 項第 3 号のいずれにも該当しないと認められる場合は、効能・効果、用法・用量等の変更を行う。また、適正使用のために必要な措置等の承認条件に適切に対応されれば薬機法第 14 条第 2 項第 3 号のいずれにも該当しないと認められる場合には、承認条件の変更等を行う。