

日薬連発第 753 号
2026 年 10 月 13 日

加盟団体 殿

日本製薬団体連合会

抗悪性腫瘍剤と並行して開発するコンパニオン診断薬等の開発に関する留意事項（Early Consideration）

標記について、令和 8 年 10 月 5 日付け事務連絡にて（独）医薬品医療機器総合機構 新薬審査第五部、プログラム医療機器審査部および体外診断薬審査室より通知がありました。

つきましては、本件につき貴会会員に周知徹底いただきたく、ご配慮の程よろしくお願い申し上げます。

事務連絡

令和 8 年 10 月 5 日

(別記) 御中

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

新薬審査第五部

プログラム医療機器審査部

体外診断薬審査室

抗悪性腫瘍剤と並行して開発するコンパニオン診断薬等の開発に関する留意事項

(Early Consideration)

日頃より、独立行政法人医薬品医療機器総合機構の審査等業務に対し、ご理解とご協力を賜り厚く御礼申し上げます。

抗悪性腫瘍剤の開発において、薬剤の治療効果が期待される患者、患者にとって適切な用法・用量又は特定の副作用が発現するおそれの高い患者を特定するために、投与に際して特定の遺伝子変異やタンパク発現を検出する体外診断用医薬品又は医療機器（以下、「診断薬等」）が使用される場合があります。

今般、抗悪性腫瘍剤の開発に併せて検討される診断薬等について、抗悪性腫瘍剤の投与における当該診断薬等の必要性及び当該診断薬等のコンパニオン診断薬等（CDx）への該当性に関する評価の考え方、並びに機構への相談時期等の開発上の実務的な留意事項を別添のとおり整理しましたので、お知らせいたします。

なお、Early Consideration とは、科学的知見や情報等が必ずしも十分に集積されていない段階ではあるものの、新たな技術等のイノベーションの実用化と革新的な医薬品等の開発を促進するための参考情報として、その時点における考え方を示したものであり、今後、新たに得られる知見や科学の進歩等により、変わり得るものであることにご留意ください。

(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

欧州ビジネス協会医療機器・I V D委員会

一般社団法人日本医療機器産業連合会

一般社団法人 日本臨床検査薬協会

一般社団法人米国医療機器・I V D工業会

抗悪性腫瘍剤と並行して開発するコンパニオン診断薬等の開発に関する留意事項
(Early Consideration)

令和 8 年 10 月 5 日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

新薬審査第五部

プログラム医療機器審査部

体外診断薬審査室

1. 目的・背景

抗悪性腫瘍剤の開発において、薬剤の治療効果が期待される患者、患者にとって適切な用法・用量又は特定の副作用が発現するおそれの高い患者を特定するために、投与に際して特定の遺伝子変異やタンパク発現を検出する体外診断用医薬品又は医療機器（以下、「診断薬等」）が使用される場合がある。

「コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品の承認申請に係る留意事項について」（平成 25 年 7 月 1 日付け薬食審査発 0701 第 10 号）では、コンパニオン診断薬等（以下、「CDx」）と関連する医薬品の同時期の承認申請が原則とされている¹⁾。しかしながら、両者の開発、申請及び承認までのスケジュールの整合を図るには、それぞれの開発者が、臨床試験の計画段階から早期に課題を整理し、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、「機構」）との相談を通じて適切な開発戦略を構築することが肝要である。

本文書は、抗悪性腫瘍剤の開発に併せて検討される診断薬等について、抗悪性腫瘍剤の投与における当該診断薬等の必要性及び当該診断薬等の CDx への該当性に関する評価の考え方、並びに機構への相談時期等の開発上の実務的な留意事項を整理したものである。なお、本文書の内容は、これまでに得られている科学的知見等を踏まえ検討したものであり、今後新たに得られる知見や科学の進歩等により変わり得るものであることに留意されたい。

2. 診断薬等の必要性及び CDx への該当性に関する評価の考え方

1) 判断の観点

抗悪性腫瘍剤の開発において、当該薬剤の投与の際に診断薬等を用いて特定の患者を検出する必要があるか否か、また当該診断薬等が CDx に該当するか否かについては、以下の観点等を踏まえて検討する。

- 当該診断薬等が、抗悪性腫瘍剤の効果がより期待される患者の特定、用法・用量の最適化又は投与中止の判断に用いられ、抗悪性腫瘍剤の使用に不可欠と考えられるか。なお、対象疾患の診断、病型分類の用途で用いられる診断薬等は除く。
- 検出・測定の対象となるタンパク、遺伝子等と、抗悪性腫瘍剤の作用機序及び腫瘍生物

学的な意義（がんの発生・進展に対する寄与）の関係。

- 抗悪性腫瘍剤の主要な臨床試験（検証的試験等）において、患者又は用量選択のために当該診断薬等の使用が必須となっているか。なお、主要な臨床試験にバイオマーカー陽性例と陰性例のいずれも組入れ可能とした場合、抗悪性腫瘍剤の薬理学的機序等も考慮の上、全体集団、陽性例集団、陰性例集団のそれぞれにおけるベネフィット・リスクバランス等を踏まえ、診断薬等を用いた投与対象の限定の可否を慎重に判断すること。

2) 実務的留意事項

- 上記の観点を総合的に検討し、CDx への該当性を判断すること。なお、CDx への該当性に不確実性がある場合は、機構への相談を検討すること。
- 抗悪性腫瘍剤の開発者は、開発早期から CDx の必要性を検討し、必要に応じて診断薬等の開発者と適切に情報共有を行い、抗悪性腫瘍剤と CDx の開発、申請及び承認までのスケジュール（4 項参照）を見据えて、連携及び調整を行うこと。
- 主要な臨床試験で使用される診断薬等について、分析性能及び臨床性能の評価が適切に行われているか検討すること。
- 臨床試験で治療効果が確認された集団と同質の集団を実臨床で特定するという観点からは、主要な臨床試験で使用した診断薬等を CDx として承認申請すべきであるが、何らかの理由で当該診断薬等と承認後（製造販売後）に使用される診断薬等が異なることが想定される場合は、診断薬等間の分析学的同等性を、同等性試験成績に基づき説明可能かを検討すること。
- 下記のような場合も、CDx としての承認申請（又は承認事項一部変更承認申請）の必要性が検討される。
 - 開発中の抗悪性腫瘍剤の検査対象となるバイオマーカーを測定可能な診断薬等が既に承認されている場合であっても、その使用目的等（体外診断用医薬品の場合には使用目的欄、医療機器の場合には使用目的又は効果欄）に関連する抗悪性腫瘍剤の CDx としての使用に関する記載がない場合。
 - 開発している抗悪性腫瘍剤との併用が必須となる特定の薬剤の投与に際して、診断薬等を用いて患者集団の特定が必要となる場合。
 - 安全性確保の観点から、特定の患者背景（遺伝学的要因等）の確認が必要となる場合。

3. 機構への相談時期

2 項に示した検討事項に基づき、CDx の必要性が示唆された段階で、可能な限り早期（遅くとも主要な臨床試験の計画に係る相談時）に機構に開発計画を共有し、相談を行うことが推奨される。相談時には、相談資料に以下の点を含める必要がある。なお、相談の内容に応じて、適切な部門（新薬審査第五部、プログラム医療機器審査部又は体外診断薬審査室）を

選択すること²⁾。

- CDxが必要と考えた根拠（抗悪性腫瘍剤の作用機序、標的とするバイオマーカーの腫瘍生物学的な意義、バイオマーカー陽性例及び陰性例での有効性及び安全性に関するデータ、想定するデータパッケージ等）。
- 承認申請を予定する診断薬等の詳細（検査原理、CDxにおけるバイオマーカー陽性の定義（遺伝子変異のリスト等）、性能、国内外の承認の有無、国内外での診断薬等の開発状況）。
- 抗悪性腫瘍剤の主要な臨床試験で使用する診断薬等と承認申請を予定する診断薬等の関係（異なる場合は主要な臨床試験で使用する診断薬等の詳細）。

また、開発の過程で、当該診断薬等の臨床上の必要性、位置付け等に変更が生じ得る場合も、必要に応じて機構との相談を検討することが推奨される。

4. 申請・承認時期に関する留意事項

CDxについては、原則として、関連する抗悪性腫瘍剤が薬価収載（既収載品目に関しては薬事承認、以下同様）される時点で、保険適用されている必要がある。したがって、CDxの保険適用のために必要な期間、並びに抗悪性腫瘍剤の薬価収載（予定）時期及びCDxの申請区分に基づく標準審査期間を踏まえて、CDxの申請時期等の開発スケジュールを構築すべきである。

開発スケジュールの構築に当たっては、抗悪性腫瘍剤とCDxの開発者は、各承認予定時期の確認等において緊密に連携する必要がある。以上の考え方で構築したスケジュールに対して遅滞することが見込まれる場合は、可能な限り早期に機構に相談を行うこと。

なお、希少がんを対象とした医師主導治験において開発された医薬品については、CDxの承認申請を同時期に行うことが困難な場合の取扱いが別途通知されている³⁾。

5. 参考文献

- 1) コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品の承認申請に係る留意事項について（薬食審査発 0701 第 10 号、平成 25 年 7 月 1 日）
- 2) 独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う対面助言、証明確認調査等の実施要綱等について（薬機発第 0303070 号、平成 24 年 3 月 2 日（最終改正 令和 8 年 5 月 29 日））
- 3) 「希少がんを対象として自ら治験を実施する者による医薬品の治験によって開発された特定のバイオマーカーに基づき投与される医薬品の承認申請に係る取扱いに関する留意事項」の改正について（医薬薬審発 0319 第 1 号、医薬機審発 0319 第 1 号、令和 6 年 3 月 19 日）

以上