

23 - 7

事 務 連 絡  
平成23年9月30日

各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課 御中

厚生労働省医薬食品局審査管理課

「腎性貧血治療薬の臨床評価方法に関するガイドライン」に関する  
質疑応答集（Q&A）について

「腎性貧血治療薬の臨床評価方法に関するガイドライン」については、平成23年9月30日付け薬食審査0930発第1号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知にて通知したところですが、今般、「腎性貧血治療薬の臨床評価方法に関するガイドライン」に関する質疑応答集（Q&A）を別添のとおりとりまとめましたので、貴管内関係業者に対し周知願います。

「腎性貧血治療薬の臨床評価方法に関するガイドライン」に関する Q&A

切替え維持試験について

Q1

既承認の全ての腎性貧血治療薬に対して切替え維持試験が必要か。

A1

必ずしも、当該被験薬の開発時に既承認の全ての腎性貧血治療薬に対して切替え維持試験を実施する必要はなく、臨床現場において当該被験薬への切替えが想定される既承認の腎性貧血治療薬のうち、代表的な薬剤に対して、切替え維持試験を実施することで差し支えない。

ただし、当該被験薬への切替えが想定される既承認の腎性貧血治療薬の中に、効果の持続性等の違いにより、切替え後の治験薬の用法・用量等について、他剤からの切替え時と異なる設定が必要になる可能性がある薬剤が存在する場合には、当該薬剤に対して別途切替え維持試験を実施する必要がある。

ウォッシュアウト期間について

Q2

貧血改善試験における、前治療薬のウォッシュアウト期間の目安を示していただきたい。

A2

ウォッシュアウト期間は、前治療薬の効果の持続時間や目的とする評価項目により異なると考えられるため、一律に目安を示すことは困難である。個別に医薬品医療機器総合機構に相談されたい。

対象患者選択基準について

Q3

対象患者として、「導入後3ヶ月以上経過した安定期の透析（血液透析又は腹膜透析）施行中の患者」とされているが、透析導入直後の患者について、臨床試験の対象とする必要はないのか。

A3

透析導入直後の患者は、病態の変動が大きく、適切な有効性及び安全性の評価ができない可能性があるため、用法及び用量を検討する試験や比較試験では除外する必要がある。

ただし、透析導入直後の患者を対象とした非盲検試験等を実施して、当該患者に対する被験薬の有効性及び安全性について確認しておくことが望ましい。

#### 長期投与試験の症例数について

Q4

長期投与試験の症例数について、「6 ヶ月以上の投与例が 300 例以上、1 年以上の投与例 100 例以上が望ましい」とされているが、透析中の患者及び保存期の患者それぞれについて、当該症例数を確保する必要があるのか。

A4

透析中の患者と保存期の患者では病態が異なるため、原則として、それぞれの患者群について、6 ヶ月以上の投与例 300 例以上、及び 1 年以上の投与例 100 例以上の症例数を確保し、長期投与時の安全性、有効性を確認する必要がある。