

2026年8月22日 第13回JCOG患者・市民セミナー



講義4 医薬品の審査と承認

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
新薬審査第五部・審査専門員
山本 理雄

Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

1

PMDAとは？

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

厚生労働省所管の独立行政法人
設立：2004年4月
所在地：東京都千代田区霞が関3-3-2
新霞が関ビル

- 法律に基づき、以下の3つの業務を実施

健康被害救済

医薬品等による健康被害の迅速な救済

承認審査

医薬品等の品質・有効性・安全性について
助言、承認審査

安全対策

市販後の安全性情報の収集、分析、提供

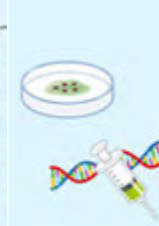


Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

2

2

PMDAで扱う医薬品等

医療用 医薬品	一般用 医薬品	医療機器	再生医療等 製品	医薬部外品	化粧品
病院で使う又は もらう薬	店頭で選んで 買う薬	リスクに応じて クラスⅠ～Ⅳに 分類	細胞加工製品 遺伝子治療製品	作用が緩和なも のとして認めら れたもの	清潔・美化等を 目的に塗布等す るもの
					

本日のお話は医療用医薬品を中心にご説明します

3

新しい医薬品ができるまで① ～基礎研究と非臨床試験～

基礎研究（医薬品のモトを探す）

- ・ 病気の原因や仕組みを見つける
- ・ 新しい物質（成分）を見つける
- ・ 化学的につくり出す



非臨床試験（医薬品のモトを研究する）

- ・ 培養細胞や動物を使って、効き目と安全性を研究します
- ・ 医薬品の保管方法なども研究します



4

新しい医薬品ができるまで② ～臨床試験～

臨床試験（治験）（医薬品のもとをヒトで確かめる）

- ・ ヒトにおける治療効果や副作用を確認します。
- ・ ヒトにおける試験を一般に「**臨床試験**」といい、「くすりの候補」を用いて国の承認を得るための成績を集める臨床試験は、特に「**治験**」といいます。

（なお、これに対してヒト以外の動物・細胞における試験を「**非臨床試験**」といいます。）



- ・ 有効性（くすりが効くかどうか）
 - ・ 安全性（どんな副作用があるのか）
 - ・ 薬物動態（体内でのくすりの動き）
- といったデータを収集します。

出典：厚生労働省「治験」ホームページより一部改変
<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/chiken.html>



Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

5

5

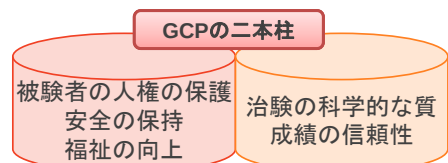
治験のルール

治験を行う製薬会社、病院、医師は「**医薬品医療機器等法**」というくすり全般に関する法律と、これに基づいて国が定めた「**GCP**」という規則を守らなければなりません。

GCPは欧米諸国をはじめ国際的に認められています。

治験のルール

- ・ 治験の内容をあらかじめ国に届け出ること（治験計画届出）
- ・ 治験審査委員会で治験の内容をあらかじめ審査すること
- ・ 同意が得られた患者さんのみを治験に参加させること（本人が困難な場合には代諾）
- ・ 重大な副作用は国に報告すること
- ・ 製薬会社は、治験が適正に行われていることを確認すること



出典：厚生労働省「治験」ホームページより一部改変
<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/chiken.html>



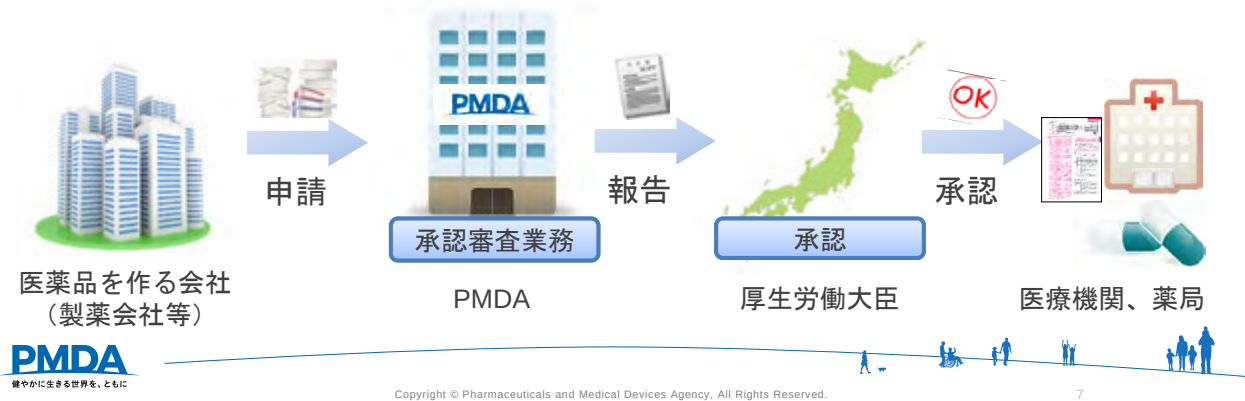
Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

6

6

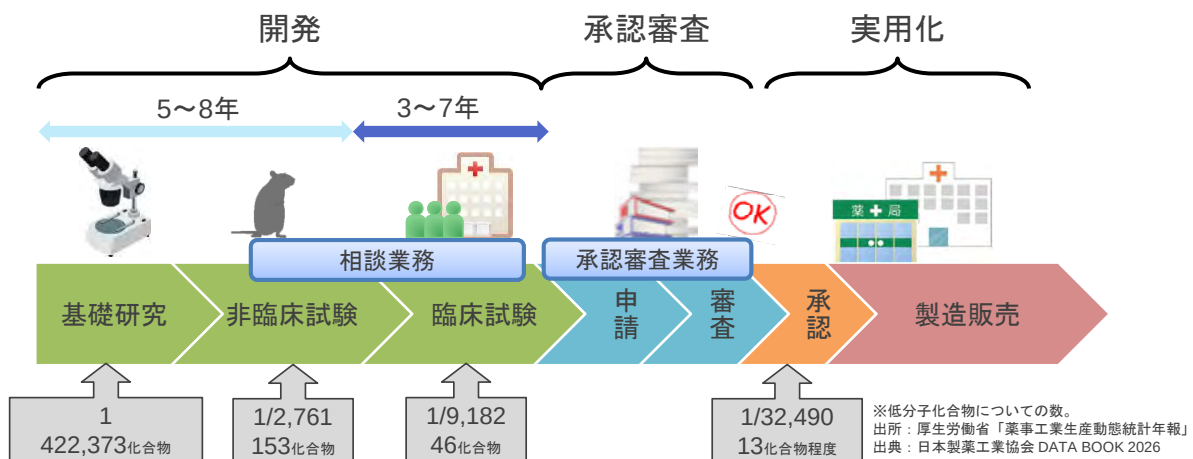
新しい医薬品ができるまで③ ～医薬品の申請から承認、販売まで～

- ・ 医薬品は、製薬企業等が様々な試験を実施し、品質、有効性及び安全性について問題がないか確認します。
- ・ その試験結果に基づき、厚生労働大臣へ承認申請を行い、品質、有効性及び安全性に問題がなければ承認され、医療現場等で使用することができるようになります。



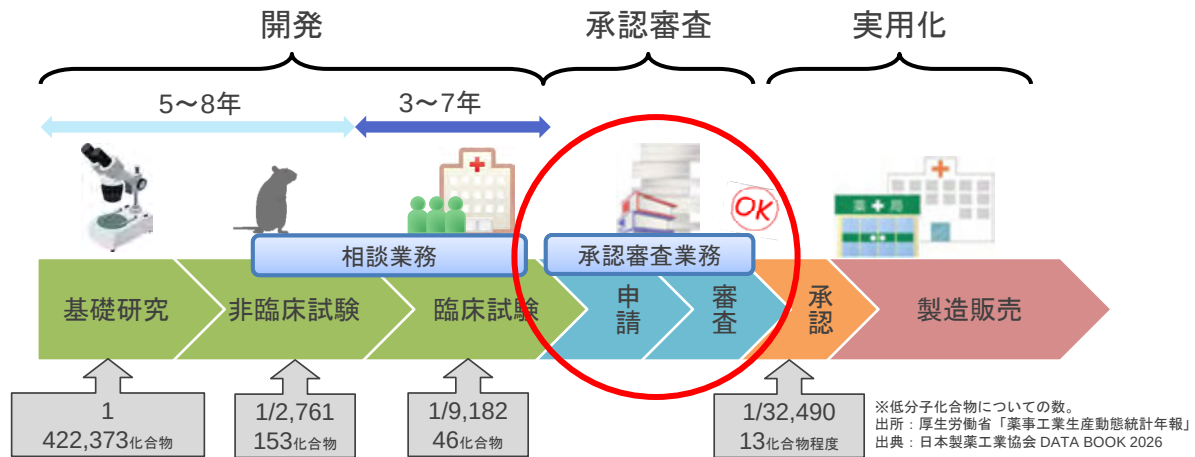
7

新しい医薬品ができるまで（まとめ）

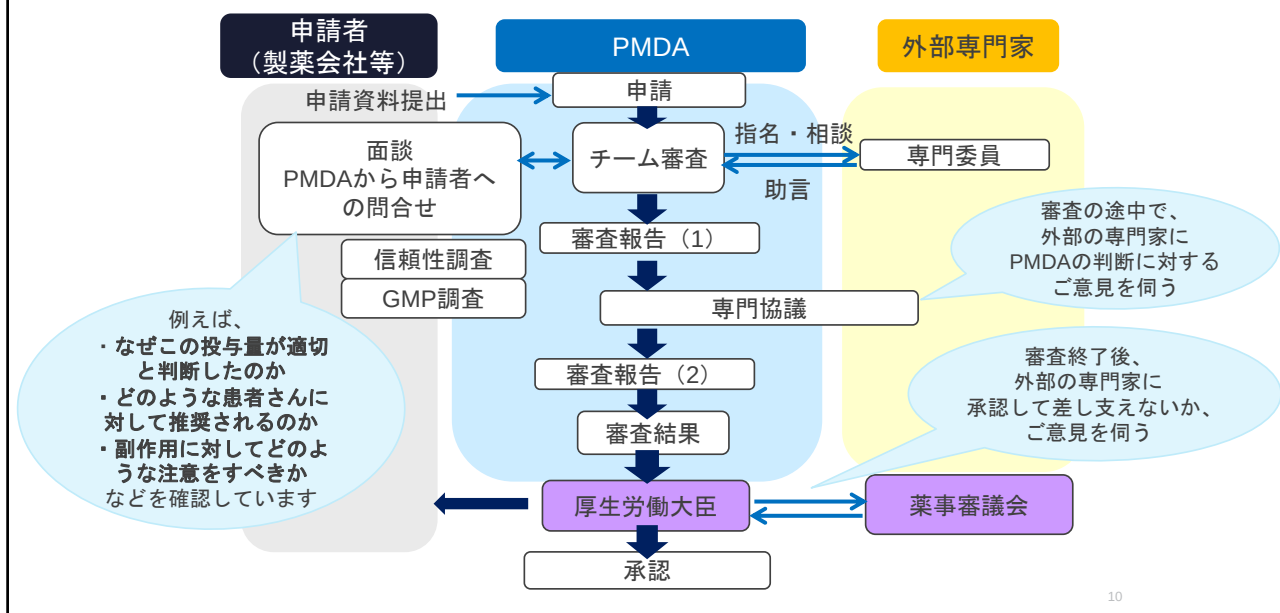


8

新しい医薬品ができるまで（まとめ）



新薬の承認審査の主なプロセス



申請資料の主な内容

- 品質に関する資料（くすりの性質、製造方法、品質を担保するための試験に関する資料）
- 非臨床試験（くすりを動物・細胞に使用したときの結果）
 - ・薬理：くすりがどのように効くのか
 - ・毒性：どのような毒性があるのか
 - ・薬物動態：体内でのくすりの動き
- 臨床試験（くすりをヒトに使用したときの結果）
 - ・有効性：くすりが効くか
 - ・安全性：許容できない副作用がないか
 - ・薬物動態：体内でのくすりの動き

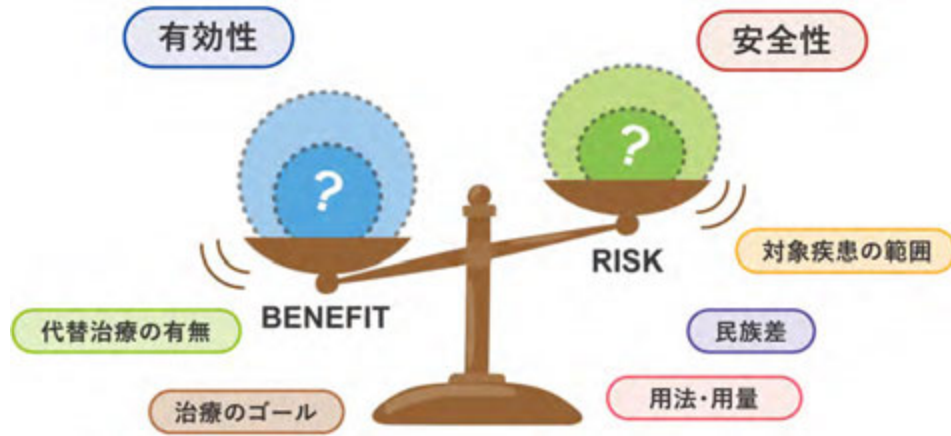


医薬品の審査

PMDAではデータは科学的に証明されているかという視点で

- ・医薬品の評価に必要なデータに不足はないか
- ・医薬品が効くことをきちんと説明できているか
- ・医薬品を使うべき病気の範囲は適切か
- ・医薬品の使い方や量は適切か
- ・病気の治療薬としての意義があるか
- ・期待される有効性が安全性を上回っているか
- ・発売後の適正使用に必要な安全対策（添付文書等）は十分かなどを確認しています。

多要素間のバランス

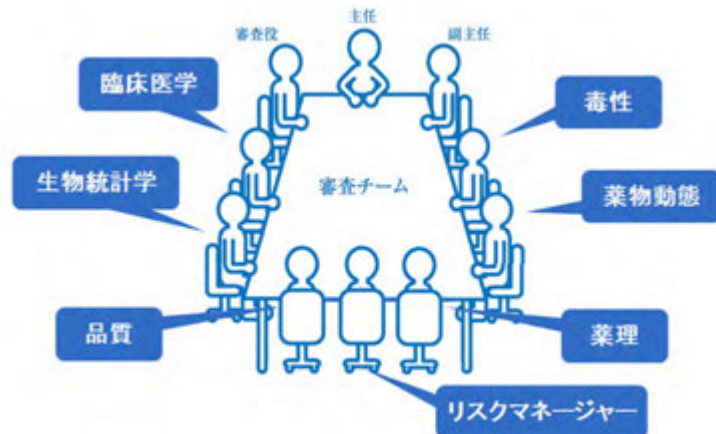


ベネフィット・リスクのバランスが重要

13

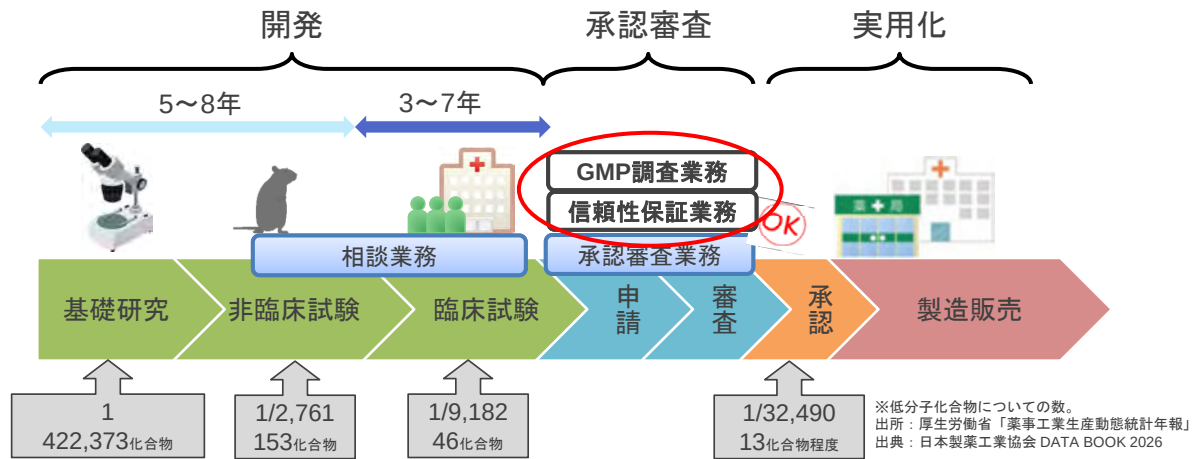
審査におけるチーム体制

新医薬品、新医療機器、再生医療等製品の審査は、薬学、工学、臨床医学、毒性、生物統計など専門知識を有する審査員で構成される審査チームにより実施している。



14

新しい医薬品ができるまで（まとめ）



15

信頼性保証業務

GCP実地調査、適合性書面調査とは・・・

提出された申請資料の内容が基準（※）に適合し、倫理的かつ科学的に信頼できるかどうかを調査する

※GCP及び医薬品医療機器法施行規則第43条信頼性の基準

信頼性のないデータだったら？

もし正しいデータが収集されていなかったら・・・



もし有害事象や副作用が適切に収集されていなかったら・・・



ヒトでの有効性及び安全性が評価できない！

16

GMP調査業務

GMP適合性調査とは...

医薬品を製造している製造所に対して、製造設備や製造管理手法が**GMP**
(※)に適合し、適切な品質のものが製造される体制であるかどうかを調査する。

※GMP：医薬品及び医薬部外品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令（「Good Manufacturing Practice」の略）

GMPは医薬品を
承認するための要件！



PMDA一般向けウェブサイト



- 医薬品名で検索すると、薬の情報（添付文書、**患者向医薬品ガイド**、**患者向け資料**など）が閲覧可能
- 患者副作用報告、副作用被害救済制度などの情報にもワンクリックでアクセス

情報提供～患者向医薬品ガイド～

特に重篤な副作用があり、**自覚症状で早期発見が期待できる** 医薬品を中心に、添付文書を基に患者さんやそのご家族向けのわかりやすい説明書を作成。



※作成が必要と判断される場合に製薬企業等が作成する

情報提供～患者向け資材～

くすりを使うときに特に注意が必要な内容（副作用等）について、患者さん向けのわかりやすい説明書を作成。



※作成が必要と判断される場合に製薬企業等が作成する

患者参画WG



患者参画WGのHPのURL : <https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/cross-sectional-project/0020.html>

● 患者参画検討WG発足（令和元年）→患者参画WG（令和6年～）

<目的>

医薬品の開発や安全対策について、患者さんの視点による課題をPMDAで共有し、患者とPMDAとで相互にコミュニケーションを図るためのPMDAの取組みを検討すること

- ✓ 患者団体等との意見交換のあり方の検討、意見交換会の実施
- ✓ 患者向け広報のあり方や窓口の設置のあり方の検討
- ✓ 患者参画ガイダンスの作成（令和3年9月）



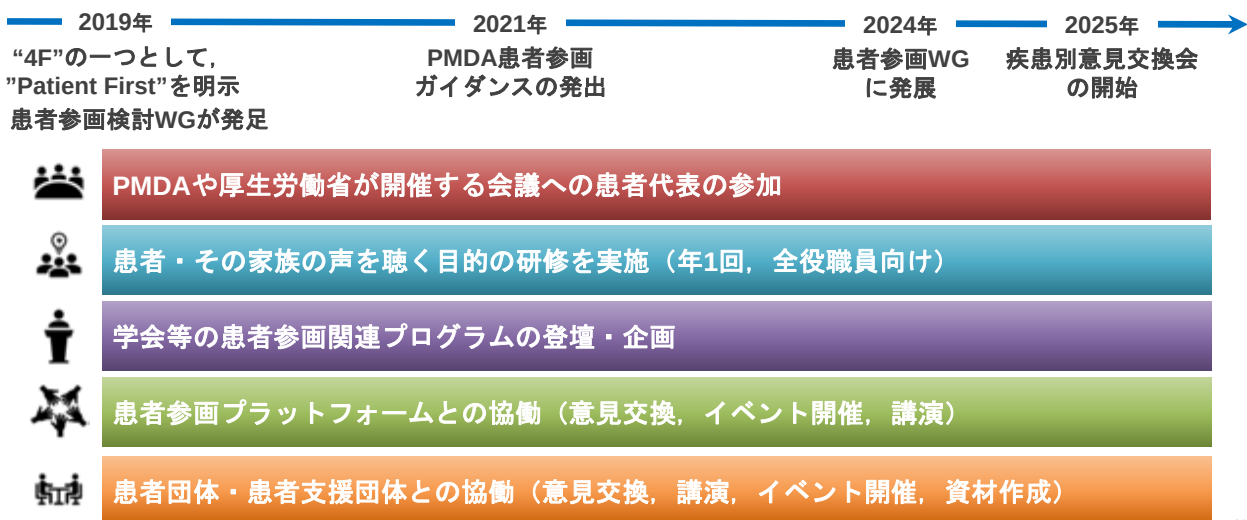
Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

21

21

PMDAの患者参画のこれまでの歩み

2019年4月より「患者参画」を明示した歩みを始め、歩みを進めてきました



22

22

健やかに生きる世界を、ともに、明日へつなぐ

私たち PMDA は、科学と情報を駆使する「知」の技術と、
世界と未来を見据え、寄り添い、調和させる「人」の力、
審査・安全・救済の「セイフティ・トライアングル」で、
誰もが安心でき、一人ひとりが健やかに生き生きと輝く、
そんな日常を支える“ライフ・プラットフォーム”として、
ともに、「明日のあたりまえ」をつくり続けていきます。



Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

23

23

PMDA

健やかに生きる世界を、ともに

ご清聴ありがとうございました



Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

24

24