

M&P Legal Note 2025 No.13-1

新薬承認申請前に求められる実務対応とその留意点

2025年11月20日

松田綜合法律事務所

ヘルスケアチーム

[弁護士 徐 靖](#) (東京弁護士会)

[弁護士 永木琢也](#) (第二東京弁護士会)

1. はじめに

製薬業界における医薬品の製造販売承認申請を行うためには、様々なプロセスを経る必要があります。各段階において、法令遵守や契約の締結など、多くの対応が求められます。製造販売承認申請までの各段階における留意点を理解することは、円滑な申請手続きと上市を実現するために不可欠です。本記事では、製造販売承認の定義やその取得プロセス、関連する法令や契約の概要について詳しく解説します。

この記事を読んでわかること

- 製造販売承認までの流れ
- 製造販売承認までに関連する法令の概要
- 製造販売承認までに関連する契約締結における注意点

2. 製造販売承認とは

薬機法（以下「法」といいます。）は、流通する医薬品等の適正を担保するため、医薬品それ自体の「物」に対する規制として、医薬品を製造販売するためには、医薬品の品目ごとに、製造販売を行うことについて、厚生労働大臣（一部の医薬品については、都道府県知事）の承認（以下「製造販売承認」といいます。）を取得しなければならないと定めています（法14条1項）。そのため、新たに医薬品を開発したとしても、当該新医薬品について、製造販売承認を取得しない限り、製造販売をすることができません。

医薬品の製造販売承認にあたっては、名称、成分・分量、用法用量、効果効能、副作用などの品質、有効性安全性に関する事項について審査が行われることとなります（法14

条2項3号柱書、6項前段)。この審査は、医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」といいます。）が実施します（法14条の2の3第1項、薬機法施行令（以下「令」といいます。）27条1項）。

この審査では、審査の対象となる医薬品について、疾病の治療等について有効性を有するのかについての判断（法14条2項3号イ）のほか、有効性を有するとして、有効性に比してその有害性が合理的な範囲に収まっているかの比較考量の観点から判断されることとなります（法14条2項3号ロ）。そのほか、医薬品の性状又は品質が保健衛生上著しく不適當でないかについても審査の対象となります（法14条2項3号ハ、薬機法施行規則（以下「規則」といいます。）39条1項）。

なお、以上は、医薬品についての製造販売承認の解説となりますが、医療機器についても、医薬品と同様、販売するためには、基本的に、品目ごとに製造販売承認を取得する必要があります（法23条の2の5第1項）。そして、医療機器についても、製造販売承認の審査にあたっては、名称、成分、分量、構造、使用方法、効果、性能、副作用その他の品質、有効性及び安全性に関する事項の審査が行われることとなります（法23条の2の5第2項3号柱書、6項前段）。また、医療機器の製造販売承認は、厚生労働大臣が行い（法23条の2の5第1項）、その審査はPMDAが実施します（法23条の2の7第1項、令37条の37）。

3. 研究開発から製造販売承認までの流れ

以上のとおり、医薬品を製造販売するためには、製造販売承認が必要となり、製造販売承認の取得のためには、PMDAによる審査を経ることが必要となります。

そして、PMDAの審査は、医薬品の品質、有効性安全性に関する事項について行われ、また、法や規則により審査において提出が義務付けられている資料もあります（法14条3項第1文参照）。そのため、PMDAによる審査を受けるまでには、事前準備が重要となるほか、他社との間で各種契約を締結する必要も生じてきます。ここで、PMDAによる審査を受けるまでのプロセスとしては、①基礎研究、②非臨床試験、③臨床試験、④製造販売承認申請を経ることが一般的です。

そこで、以下では、基礎研究段階から、製造販売承認の取得のためのPMDAによる審査を受けるにあたって経るべき各プロセス（非臨床試験、臨床試験、製造販売承認申請）において留意すべき事項や締結が必要となる契約書の解説をいたします。

4. 基礎研究段階の留意点

(1) 特許の重要性

医薬品の開発には、多大なコスト（開発資材、労務費、時間等）がかかります。多大なコストをかけて医薬品の開発に成功できたにもかかわらず、自社が独占的に開発した医薬

品の製造販売を行うことができず、他社に模倣をされてしまうと、開発にかけた金銭的、人的コストが無駄になってしまいます。そこで、特許権の取得が重要となります。

(2) 特許制度とは

特許制度は、発明の保護及び利用を図ることにより、発明を奨励し、産業の発達に寄与することを目的とするものです（特許法1条）。

特許権は、産業上利用することができる発明を専有（＝独占）する権利を付与するものであり、産業上利用することができる発明について登録を受けることで発生します。特許権は、出願して産業上利用することができる発明について登録を受けることが必須であり、特許権を取得する対象となる発明をしたとしても、特許請求をして、認められない限り取得することはできません。

特許権を取得することにより、特許権の対象となる発明を自社が独占的に使用することができ、他社の模倣を排除することができます。

(3) 医薬品に関する特許の種類

医薬品に関する特許の種類としては、以下のものがあります。

- 物質特許：新たな有効成分そのものに関する特許
- 用途特許（医薬用途特許、用法用量特許）：有効成分の新たな用途に関する特許
- 製剤特許：有効成分の組み合わせや剤形などに関する特許
- 製法特許：有効成分の製造方法に関する特許

(4) 共同研究開発契約について

研究開発にあたっては、他社と共同して実施することもあり得ます。医薬品等の開発には多額の金銭的、時間的、人力的コストがかかる一方で、成功率が低いいため、他社と提携を行うことで、開発負担の軽減が期待されるためです。その場合、共同研究開発契約を締結することとなります。

医薬品の共同研究開発契約において、留意すべき点は以下のとおりです。

ア 研究開発のための役割分担、費用分担、協議等研究開発の実務上の取り決め

役割分担を定めることで、当事者間の人員や業務の重複を避け、過大なコストがかかることを抑止することができます。そのため、役割分担は具体的に定める必要があります。

また、費用分担を契約書上定めておかない場合、費用の負担が生じる都度、当事者間で協議を行う必要が生じ、機動的な研究開発を妨げてしまう可能性があります。そのため、費用分担については、具体的に定めておく必要があります。

そして、当事者間において、研究開発を行う上での協議の方法についても契約締結段階

で合意しておくことができれば、効率的な研究開発に資することとなります。そのため、研究開発を行う上での協議の方法についても定めておくことが望ましいです。

イ 研究開発期間

研究開発の期間は、無期限とすることもあります。しかし、共同研究開発が事実上終了した後も契約が残っている場合、一方当事者が独自に研究開発に成功した際に、他方当事者から契約に基づいて実施許諾権などの権利を主張される可能性があります。そのため、研究開発の期間（特に終期）を定めておくことが望ましいです。

ウ 研究開発の成果に関する知的財産権の帰属、利用に関する規律

共同研究開発の成果に関する知的財産権は、共同研究開発における一番の関心事であり、紛争が先鋭化しやすい事項でもあります。まず、何が共同開発における「成果」に該当するのかについて、契約書上で定めておく必要があります。

次に、共同開発における成果に関する知的財産権の「帰属」を定める必要があります。

知的財産権の帰属についての定め方としては、一般的に、①一方に帰属させる方法、②共有とする方法、③成果の根幹となる発明等を行った当事者に帰属させる方法があげられます。どの方法とするかについては、研究開発の成果を用いた医薬品が完成した際に、自社においてどのような製造、販売の方法をとっていくのかについて考慮する必要があります。例えば、自社のみで製造、販売するのみであれば、自社において知的財産権の実施権を有していれば足りすし、第三者にライセンスを行うのであれば、第三者への実施許諾権を有している必要が生じてきます。

このように、共同研究開発契約を締結する段階で、成果の利用戦略についても定めておく必要があります。

エ 製造販売承認の取得に関する規律

共同研究開発の結果、完成した医薬品に関する製造販売承認をいずれの当事者が取得するのかについても定めておく必要があります。この点についても、完成した医薬品について、自社がどのような立場で製造、販売を行っていくかを考慮したうえで定めておく必要があります。

オ 契約終了時の規律

医薬品の商標は、製造販売承認を取得した後、自由に変更することができません。そのため、契約終了後における医薬品に付した商標の継続利用について定める必要があります。

また、医薬品は、製造販売後も継続した安全管理が求められます。その際、研究開発段階、非臨床試験段階及び臨床試験段階等におけるデータを利用する必要が生じ得ます。そ

のため、契約終了後も、これらのデータへのアクセス権、利用権などを残しておく旨を定めておく必要があります。

5. 非臨床試験段階の留意点

(1) 非臨床試験とは

非臨床試験とは、人に対する臨床試験（治験）の前段階として、被験物質の有効性、安全性、毒性を調査するための試験をいいます。動物試験が非臨床試験の例として多くあげられますが、培養細胞やコンピューターを用いたシミュレーションによる被験物質の評価も非臨床試験に該当します。

非臨床試験では、一般的に、薬効薬理試験、薬物動態試験、安全性薬理試験、毒性試験が実施されます。

非臨床試験のうち有毒性に関する試験（安全性試験又は毒性試験）については、「[医薬品の安全性に関する非臨床試験の実施の基準に関する省令](#)」（以下「GLP 省令」といいます。）が、試験の信頼性を確保するために、その基準について規律しています。

(2) GLP 省令の要点

GLP 省令は第 1 章から第 8 章で構成されており、試験に従事する者、試験施設、試験に使用する機器、動物及び試験物質、試験実施の方法並びに試験内容の報告及び保管等について定めています。各章ごとの規定の概要は以下のとおりです。

1 章 総則（1 条～4 条）

省令の趣旨、定義、試験を委託する際の手続きについて定められています。

2 章 職員及び組織（5 条～8 条）

試験に従事する職員及び信頼性保証部門の職員の要件、運営管理者の業務、試験責任者の業務並びに信頼性保証部門責任者の業務について定められています。

3 章 試験施設及び機器（9 条～10 条）

試験施設に関する免責、構造及び設備等の要件並びに試験を行うために必要な機器の要件及び管理方法等について定められています。

4 章 試験施設等における操作（11 条～12 条）

標準操作手順書の作成等及び試験動物の飼育管理等について定められています。

5 章 被験物質等の取扱い（13 条～14 条）

被験物質等、試薬及び溶液の管理方法及び使用方法等について定められています。

6 章 試験計画書及び試験の実施（15 条～16 条）

試験計画書の作成等及び試験の実施に関する事項について定められています。

7 章 報告及び保存（17 条～18 条）

試験に関する最終報告書の作成及び試験関係資料（試験計画書、標本、生データその他の記録文書、最終報告書等）の保存等に関する事項について定められています。

8章 複数の場所にわたって実施される試験（19条）

複数の場所で実施される試験について、連絡体制の確保等の必要な措置を講じることが定められており、1条から18条までの条文の準用規定、読み替え規定が定められています。

6. 臨床試験段階の留意点

(1) 臨床試験とは

臨床試験とは、医薬品を、健康な人や患者に対して投与することで、医薬品の人に対する効果と安全性を調べる試験です。人における試験を一般に「臨床試験」といいますが、製造販売承認を得るための成績を集める臨床試験は、特に「治験」と呼ばれます。

治験は、次の3つのフェーズに分かれます。

フェーズ1では、健康な成人に対して投与して安全性、薬物動態（生体がどのように薬を処理するのか、吸収、分布、代謝、排泄のプロセスがどうなっているのか）を確認します。

フェーズ2では、少数の患者に投与して有効性と安全性を確認し、用法用量を決定します。

フェーズ3では、多数の患者に投与して、既存の薬と比較して有効性や安全性を確認し、適応疾患における用法用量を決定します。

医薬品の治験の実施の基準は、「[医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令](#)」（以下「GCP省令」といいます。）が定めています。

(2) GCP省令の概要

GCP省令は、被験者の人権の保護、安全の保持及び福祉の向上を図り、治験の科学的な質及び成績の信頼性を確保するために、薬機法に基づき制定された省令です。

GCP省令の各条項の概要は以下のとおりです。

- 治験依頼者による治験の準備に関する基準（4条～15条）
- 治験依頼者による治験の管理に関する基準（16条～26条）
- 実施医療機関による治験実施にあたっての治験審査委員会（IRB と呼ばれます。）による審査（27条～34条）
- 実施医療機関の要件及び治験実施の基準（35条～41条）
- 治験責任医師による治験実施の基準（42条～49条）
- 被験者による同意の取得に関する基準（50条～55条）

(3) 治験の関係者

治験の関係者は、以下のとおりです。

- ①. 治験の依頼者（医薬品メーカー）
- ②. 治験の実施医療機関、治験責任医師（実施医療機関において治験に係る業務を統括する医師又は歯科医師）
- ③. 被験者
- ④. 医薬品メーカー（①）から委託を受けた、治験の依頼業務及び管理業務の受託者（開発業務受託機関（Contract Research Organization、以下「CRO」といいます。））
- ⑤. 治験実施医療機関（②）から委託を受けた治験支援業務の受託者（治験施設支援機関（Site Management Organization、以下「SMO」といいます。））

SMO に対しては、治験開始のための補助、治験実施のための補助、IRB の設立・運営の補助、治験コーディネーター（CRC）の派遣などを委託することがあります（参照：[SMO の役割と主な業務 | 治験と SMO | 日本 SMO 協会 \(jasmo.org\)](#)）。

(4) 治験契約

企業主導治験において、製薬会社（医薬品メーカー）は、医療機関に治験の実施を依頼する必要があります。

治験依頼者が医療機関に対して治験の実施を依頼する際には、一定の事項を記載した文書により契約を締結しなければならないと定められています（GCP 省令 13 条）。ただし、GCP 省令上、一定の場合、受託者の承諾を得て、文書による契約の締結に代えて電磁的方法による契約の締結も可能とされています（GCP 省令 13 条 2 項・12 条第 2 項）。

治験契約における必要的記載事項としては、以下のようなものがあります。

- 契約年月日
- 治験依頼者の氏名及び住所
- 治験の依頼・管理の業務を委託する場合には、受託者の氏名、住所及び当該委託した業務の範囲
- 実施医療機関の名称及び所在地
- 契約担当者の氏名及び職名
- 治験責任医師の氏名
- 治験の期間
- 治験使用薬の管理に関する事項
- 記録の保存に関する事項
- 通知に関する事項
- 被験者の秘密の保全に関する事項

- 治験の費用に関する事項
- 実施医療機関が治験実施計画書を遵守して治験を行う旨
- 被験者の健康被害の補償に関する事項
- その他治験が適正かつ円滑に行われることを確保するために必要な事項 等

(5) 治験に関する業務委託契約

企業主導治験において、製薬会社（医薬品メーカー）は、治験の依頼及び管理に係る業務を CRO に委託するケースがあります。CRO が受託する業務としては、例えば以下のような業務が挙げられます。

- ①. 治験薬の交付に関する業務
- ②. 治験のモニタリングに関する業務
- ③. 治験のデータマネジメント業務
- ④. 治験データの統計解析業務（治験薬の有効性・安全性を統計学的に検証する業務）
- ⑤. メディカルライティング業務（治験総括報告書等の各種申請書類の作成業務）
- ⑥. 症例報告書の回収及び原資料等との照合に関する業務
- ⑦. 治験薬の回収に関する業務

治験依頼者が CRO に対して治験に関する業務を委託する際には、一定の事項を記載した文書により契約を締結しなければならないと定められています（GCP 省令 12 条 1 項）。ただし、GCP 省令上、一定の場合、受託者の承諾を得て、文書による契約の締結に代えて電磁的方法による契約の締結も可能とされています（GCP 省令 12 条第 2 項）。治験に関する業務委託契約における必要的記載事項としては、以下のようなものがあります。

- 委託業務の範囲
- 委託業務の手順に関する事項
- 委託業務が手順に基づき適正・円滑に行われているか治験依頼者が確認できる旨
- 受託者に対する指示に関する事項
- 受託者に対する指示の遵守状況を治験依頼者が確認できる旨
- 受託者が治験依頼者に対して行う報告に関する事項
- 治験における被験者の健康被害の補償のために必要な措置に関する事項
- その他当該委託業務について必要な事項 等

7. 製造販売承認の留意点

(1) 製造販売承認申請

製造販売承認にあたっては、製造販売承認の申請書に臨床試験の試験成績に関する資料等必要な資料を添付して申請する必要があります。

(2) PMDA への事前相談

製造販売承認申請を行う前に、PMDA に対して任意相談制度（事前相談及び対面相談並びに大学・医療機関、ベンチャー企業向けの RS 総合相談及び RS 戦略相談等）を行うことができます。製造販売承認の取得に関するノウハウを蓄積していない企業にとっては、この任意相談制度をうまく活用することが重要です。

任意相談を行うにあたっては、相談事項の論点整理や利用する対面相談の要否、区分の整理を行うための事前相談から行うこととなります。この事前相談の段階においても、研究開発を行う中で、開発する製品がある程度固まった段階で、行うことが必要となります。この事前相談は、相談事項の論点整理や利用する対面相談の区分の整理を行うためのものですので、どういうものを開発したらいいか迷っている状態では、PMDA としても助言を行うことができないためです。

対面相談の内容については、治験に関する相談、医薬品安全性相談、医薬品の事前評価相談等、多岐にわたります。詳細は以下の URL をご参照ください。

[医薬品・医薬部外品の相談業務について | 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 \(pmda.go.jp\)](https://pmda.go.jp)

この記事に関するお問い合わせ、ご照会は以下の連絡先までご連絡ください。

ヘルスケアチーム

弁護士 徐 靖

<https://jmatsuda-law.com/members/yasushi-jo/>

弁護士 永木琢也

<https://jmatsuda-law.com/members/takuya-nagaki/>

松田綜合法律事務所

〒100-0004 東京都千代田区大手町二丁目 1 番 1 号 大成大手町ビル 10 階

電話：03-3272-0101 FAX：03-3272-0102

この記事に記載されている情報は、依頼者及び関係当事者のための一般的な情報として作成されたものであり、教養及び参考情報の提供のみを目的とします。いかなる場合も当該情報について法律アドバイスとして依拠し又はそのように解釈されないよう、また、個別な事実関係に基づく具体的な法律アドバイスなしに行われされないようご留意下さい。