



ICH M11 導入後の 医薬品開発への影響

2025 年 10 月

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会 データサイエンス部会
2024 年度 タスクフォース 4



目次

[EXECUTIVE SUMMARY].....	2
1. はじめに	4
2. ICH M11	5
2.1 ICH M11 とは.....	5
2.2 タスクフォースの見解.....	6
2.2.1 医薬品開発への影響.....	6
2.2.2 治験実施依頼者への影響.....	7
3. ICH M11 を取り巻く動向	7
3.1 規制当局.....	7
3.1.1 FDA（米国食品医薬品局）	7
3.1.2 EMA（欧州医薬品庁）	8
3.1.3 厚生労働省、PMDA	8
3.2 関連団体.....	8
3.2.1 TransCelerate	8
3.2.2 CDISC.....	9
3.2.3 Vulcan	10
4. 「ICH M11 導入による影響」本タスクフォースの調査結果からの見解	11
4.1 規制当局への提出.....	11
4.2 製薬企業の期待.....	12
4.3 M11 準拠臨床試験実施計画書作成プロセス実装の検討.....	13
5. 終わりに	15
6. 参考文献 / 参考 WEBSITE	16
7. 用語一覧	19

[Executive summary]

本文書は、ICH M11 ガイドライン「電子的に構造化・調和された臨床試験実施計画書（Clinical electronic Structured Harmonised Protocol）」が 2025 年 11 月に ICH の Step4（ICH としての最終合意）に到達予定であることから、Step 5 到達を想定して、ICH M11 の医薬品開発への影響及び導入に向けた留意事項を整理した。これらの内容は、日本製薬工業協会（以下、製薬協） 医薬品評価委員会データサイエンス部会 2024 年度タスクフォース 4 で関連情報を調査・分析し、特に製薬企業の医薬品開発の観点から考察したものである。

ICH M11 実装により予想される医薬品開発への影響：

ICH M11 が実装されると、ICH で合意した臨床試験実施計画書テンプレートや技術仕様により臨床試験実施計画書が電子的に構造化される。臨床試験実施計画書の電子的構造化により、臨床試験実施計画書情報を使用する臨床試験ライフサイクル全体（計画、試験実施、データ収集、データ解析、申請）に波及するデジタルトランスフォーメーション（DX）が促進されることとなる。例えば、

- ・ まずは規制当局からの ICH M11 臨床試験実施計画書テンプレートに準拠した臨床試験実施計画書作成の推奨、近い将来では機械的に利用可能な臨床試験実施計画書情報のデータ（FHIR 標準形式等）の規制当局や治験実施医療機関などへの提出や相互運用などが予想される。
- ・ ICH M11 によって構造化・標準化された臨床試験実施計画書情報を起点とした臨床試験ライフサイクルの DX の実現には、臨床試験実施計画書情報を ICH M11 に準拠したスタディ・ディフィニションとして管理することが必要となり、その管理プロセスの構築やシステム実装への投資が不可欠である。
- ・ スタディ・ディフィニションの導入により、それを利用した臨床試験計画から申請までの一貫したデータ駆動型プロセスへと移行し、自動化による意思決定の迅速化とデータ品質の飛躍的な向上が期待される。実際、臨床試験プロセスの自動化により、臨床試験計画から総括報告書作成までの期間が約 8 か月短縮し、約 800 万ドルのコスト削減につながる、といった報告もある^{*24}。

ICH M11 導入に先立ち、製薬企業が医薬品開発において今後取り組むべき事項：

- ・ 臨床試験実施計画書情報を起点とした「臨床試験プロセスの自動化」の社内導入に向け、最初のステップとして次の検討を提案する。組織の規模や状況を踏まえ検討されたい。
 - ・ ICH M11 に準拠した「スタディ・ディフィニション」として臨床試験実施計画書情報を管理・収集・保存するためのレポジトリの導入
 - ・ 自動化プロセスの適応範囲の明確化及び関連システム導入
 - ・ 関連部門を含めた部門横断的なチームの編成
 - ・ スタディ・ディフィニションレポジトリの管理体制の構築
- ・ 臨床試験プロセスの自動化については、TransCelerate BioPharma Inc. (TransCelerate) や Clinical Data Interchange Standards Consortium (CDISC)、Health Level Seven International

(HL7) といった業界団体を中心とした Digital Data Flow (DDF) イニシアティブ（臨床試験プロセスの自動化コンセプト）が進行中であり、すでに ICH M11 準拠臨床試験実施計画書に基づいての自動化のユースケースが多数公開されている。これらの情報については、製薬協 医薬品評価委員会データサイエンス部会としても継続的に情報収集し、分析する予定である。

- ・ FDA や EMA といった規制当局においても、ICH M11 の導入を見据えた具体的な活動がすでに始まっており、各社はその動向を的確に把握するだけでなく、臨床試験実施計画書情報が各規制当局間で整合性を持った同一形式で利用可能となるよう、業界として積極的に声を上げ、対応していくことが求められる。
- ・ 臨床試験プロセスのデジタル化は、医薬品開発の効率化に不可欠な基盤になると考えられ、さらには、構造化された臨床試験プロトコル情報データを活用することで、生成 AI による試験横断的なレビューやより効果的な試験デザインの提案なども期待される。日本においても国際的な動向に遅れることなく着実に導入を進めることが期待される。

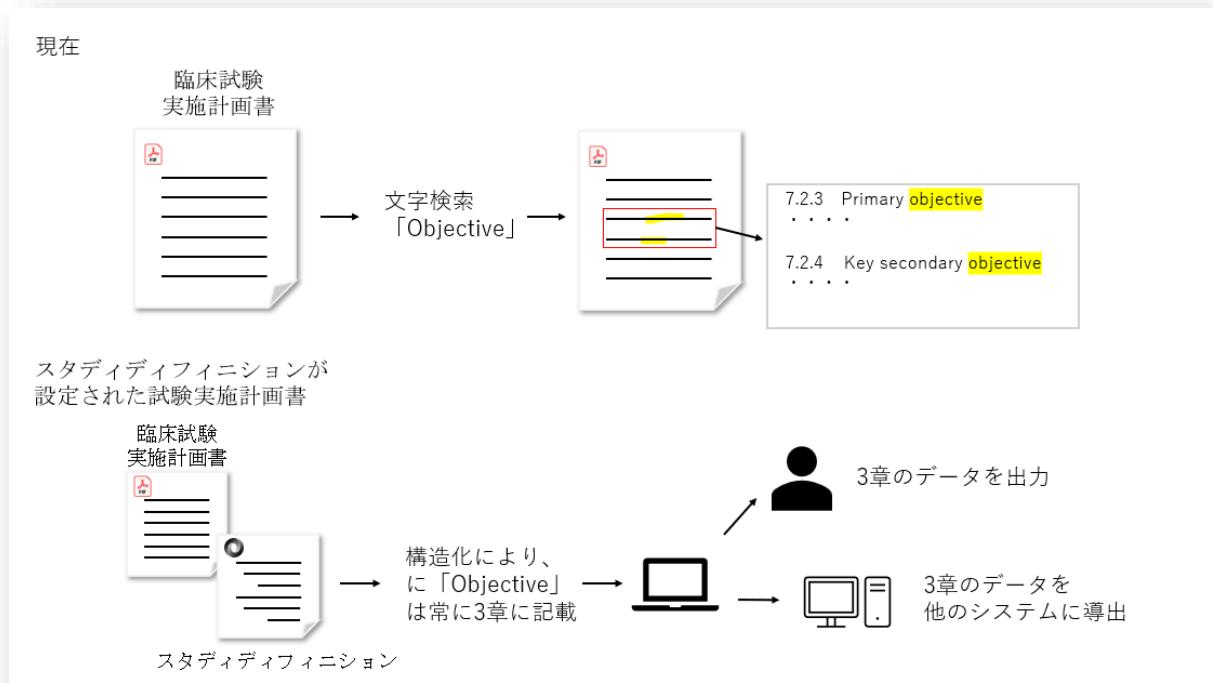
1. はじめに

ICH M11 「電子的に構造化・調和された臨床試験実施計画書（Clinical electronic Structured Harmonised Protocol 以下、CeSharP）に関するガイドライン」は 2025 年 3 月 13 日付けで Step 2b に到達した^{*1}。本ガイドラインの導入は臨床試験を取り巻く環境に幅広く影響を与えるとされ、すでに多くのサービスプロバイダーや一部の製薬企業がこのガイドライン導入に向けて注目し、対応を開始している。日本製薬工業協会（以下、製薬協） 医薬品評価委員会データサイエンス部会 2024 年度タスクフォース 4 では、ICH M11 「電子的に構造化・調和された臨床試験実施計画書（CeSHarP）」国内実装に向けたアンケートを製薬協加盟会社及び ARO 協議会法人会員にそれぞれ 2024 年 8 月及び同年 10 月に実施し、その結果はすでに製薬協ホームページで公開されている^{*2}。アンケート結果からは、多くの企業が関心を示している一方で、具体的な検討は今後開始予定である、という回答が大多数であった。また導入にあたって、技術仕様の理解や関連システムの実装に課題を感じている企業が多数存在することが明らかとなった。またこれら懸念とは別に、臨床試験実施計画書作成及び関連プロセスの効率化、自動化に対する期待が複数の回答から確認された。

ICH M11 が Step5 (Implementation) に到達した際の影響は非常に広範であり、多くのステークホルダーが関係すること、また導入に際して新たなシステムやそれに伴う新規プロセスが必要となることから、ICH M11 テンプレートに準拠した臨床試験実施計画書の社内導入（以下、ICH M11 導入）には相応の時間、リソース及びコストを要すことが見込まれる。一方で導入によって得られるメリットも多く、ICH M11 導入に伴い新たに必要となる「スタディ・ディフィニション」を起点とした臨床試験プロセス全体の自動化、といった臨床試験ライフサイクル全体の DX の急速な進展が期待される。TransCelerate が現在進めている Digital Data Flow イニシアティブが、まさにこの概念構築を進めている。[3.2.1.1 Digital Data Flow (DDF) 参照]

本成果物中の「スタディ・ディフィニション」とは、「臨床試験実施計画書の情報を各要素に分けて電子的に構造化・標準化したデータ」と定義する。例えば、試験の目的を確認する際に、従来の試験実施計画書では、該当する章を電子文書中で検索し、その章に記載された内容のうち、目的に該当する内容を人が判断して特定する必要がある。一方で、「スタディ・ディフィニション」が設定された試験実施計画書では、「OBJECTIVE」のラベルに紐付くデータ目的情報が構造化されているため、人もシステムも、経験や解釈に頼ることなく、必要な情報に直接アクセスできるようになる。

図 1. 臨床試験実施計画書における「Objective」検索の例



製薬協 医薬品評価委員会 データサイエンス部会 2024 年度タスクフォース 4 では、ICH M11 の国内導入に向けて調査検討を行い、本報告書では、特にデータサイエンス視点に基づいた現状と本タスクチームでの分析結果を製薬企業にフォーカスして示す。

なお、本資料の内容は本タスクフォースの見解に基づくものであり、メンバーが所属する組織の見解を示すものではない。また、各規制当局への対応方法については今後発出されるガイダンスに注目されたい。

2. ICH M11

2.1 ICH M11 とは

ICH M11 は、ICH 地域の全ての規制当局に受け入れが期待される臨床試験実施計画書テンプレート及び技術仕様の設計原則とアプローチを記述しており、ガイドライン本文、臨床試験実施計画書テンプレート及び技術仕様の 3 つの文章で構成される^{*3}。

- ICH M11 ガイドライン本文：臨床試験実施計画書テンプレート及び技術仕様の設計原則等の説明が示される^{*4,5}。
- 臨床試験実施計画書テンプレート：本テンプレートは、臨床試験実施計画書の構成、項目名、共通文章等が示される。臨床試験実施計画書のセクションを共通化し、必要な情報を明確に定義して、情報の一貫性を確保することにより、治験依頼者、治験責任医師等治験実施医療機関のスタッフ、臨床試験の参加者、倫理委員会、規制当局等の関係者に必要な情報への速やかなアクセシビリティを提供する^{*4,5}。

- 技術仕様：臨床試験実施計画書を電子的に構造化する際に基礎となる情報が示される。試験実施計画書の内容の相互運用可能な電子的交換を可能にするコンフォーマンス（適合性）、カーディナリティ（多密度）及びその他の技術的属性を提示する^{*4,5}。

※コンフォーマンス（適合性）：臨床試験実施計画書テンプレートで定義された見出し、データ要素、又はテキストによるコンテンツの設定の必要性のルール。Required、Optional、Contiditional で規定される。

※カーディナリティ（多密度）：one to one、one to many、many to many といった多密度。表に対する行の数値的な関係を示す。

現行の臨床試験実施計画書は、標準フォーマットが定められていないため、形式や内容が多岐にわたり、規制当局や治験実施医療機関が必要な情報を迅速かつ正確に把握することが困難な状況にある。ICH M11 の導入により臨床試験実施計画書が構造化・標準化されることで、規制当局や治験医療機関の関係者による必要な情報への迅速なアクセス、レビューの効率化、臨床試験実施計画書の理解の深化が期待される。これにより、臨床試験実施時には、臨床試験実施計画書に規定された内容の順守が促進され、臨床試験の品質向上にもつながる。

ICH ガイドラインは国際的な調和を目指している一方で、各国の規制当局が独自の基準や要件を持つことが可能であり、その独自要件についても動向を注視していく必要がある。例えば FDA や EMA ではすでに ICH M11 の積極的な利用を想定した医薬品開発の推進に向けていくつかのプロジェクトが動いている（3.1 規制当局 参照）。

また、本タスクフォースでは、ICH M11 を起点とした臨床試験データフローの自動化を重要な検討事項として位置付けている。すでに TransCelerate や CDISC といった業界団体が Digital Data Flow (3.2.1.1 DDF 参照) イニシアティブとしてそのコンセプト開発を進めており、ICH M11 との連携が注目されている。

2.2 タスクフォースの見解

2.2.1 医薬品開発への影響

ICH M11 による臨床試験実施計画書の構造化・標準化及びスタディ・ディフィニションの導入により、臨床試験実施計画書作成に伴う一連のプロセスの効率化が期待される。治験実施依頼者の臨床試験実施計画書作成、レビュー、改訂作業等の作成プロセスが効率化される。また、各試験の EDC や治験薬配送システムの自動構築にも寄与する。これらにより、試験計画開始から試験実施準備完了までの期間短縮が期待される。さらに、臨床試験実施計画書情報を治験実施医療機関に伝送し、治験実施医療機関でも構造化・標準化された臨床試験実施計画書が活用されることから、逸脱の減少など臨床試験の品質向上も見込まれる。さらに、規制当局側にも効率的な臨床試験実施計画書レビューや治験届情報や臨床試験情報公開とのデータの一部相互利用というメリットがもたらされる可能性がある。

これらの効果を通じて、ICH M11 導入は、患者への新しい治療法の迅速な提供に貢献することが期待される。

2.2.2 治験実施依頼者への影響

前述の通り、ICH M11 による臨床試験実施計画書の構造化・標準化及びスタディ・ディフィニションの導入により、臨床試験ライフサイクル全体の DX が促進され、試験期間短縮や臨床試験のコスト削減が期待できる。例えば、臨床試験実施計画書の標準化に伴う作成期間短縮はもちろんの事、ICH M11 と DDF（3.2.1.1 参照）の連携により、ICH M11 形式の臨床試験実施計画書情報であるスタディ・ディフィニションを起点とした臨床試験プロセスの自動化を実装することで、EDC のデータベース構築から総括報告書作成業務までの自動化が可能となり、コスト削減などの効果が見込まれる。なお、臨床試験プロセスのデジタル化によって、試験デザイン策定から総括報告書作成までの期間が約 8 か月短縮し、約 800 万ドルのコスト削減につながるといった報告が 2024 CDISC Japan Interchange で行われた^{*24}。

一方、ICH M11 を導入するにあたり、新規システム実装やそれに伴う新規プロセス構築への初期投資が必要となる。また、従来はマニュアルで作成していた臨床試験実施計画書を電子データとして活用することになるため、臨床試験実施計画書執筆担当部門（臨床開発、メディカルライティング）だけでなくシステム実装・運用を担う IT 部門等を含めた新たな体制構築も求められる。さらに、ビジネスニーズをシステムに的確に反映するためには、ICH M11 を熟知した人材の確保や教育も重要な課題となる。詳細については「4.3 M11 準拠臨床試験実施計画書作成プロセス実装の検討」を参照されたい。

3. ICH M11 を取り巻く動向

3.1 規制当局

3.1.1 FDA（米国食品医薬品局）

FDA は、医薬品開発の推進のために ICH M11 を積極的に活用することを計画している^{*6}。方向性としては、ICH M11 による臨床試験定義の標準化、更には HL7 や CDISC といった国際的なデータ標準を採用することで、異なるシステムやプロセス間でのデータ形式や内容の統一、データの解釈における曖昧さを減少させることでエラー削減を目指している。また、データの相互運用性を高めることで、異なるシステム間でのスムーズなデータ交換が実現し、効率的なデータ統合を促進させる。これにより、データの品質と一貫性が確保され、より効率的かつ信頼性の高いデータ解析や意思決定が可能になると期待されている。

具体的な活動として、ProjectPRISM^{*7} が挙げられる。これは、FDA が所有するクラウドプラットフォームである precisionFDA^{*8} を活用し、企業との連携によって推進されている概念実証プロジェクトである。このプロジェクトでは、ICH M11 形式の臨床試験実施計画書電子データを precisionFDA の Shared Interactive Review Spaces から共有することで、スポンサーと規制当局の間でのインタラクティブな情報交換を実現し、共同での申請資料の検証と科学的レビューの実現可能性を探っている。さらに、欧州医薬品庁（EMA）との連携も検討されており、国際的な協力体制の構築も視野に入れている。

FDA が ICH M11 を活用することは、企業間の臨床試験実施計画書の統一を促進し、臨床試験のデータ収集から報告までのプロセス全体の一貫性と品質の向上に資する、極めて重要な

ステップである。ProjectPRISM を通じて、FDA と製薬業界は共同で規制当局への提出資料の検証と科学的レビューを行い、効率的かつ建設的なコミュニケーションとコラボレーションを目指している。これにより、臨床試験実施計画書の設計と実施が最適化され、試験の成功確率向上が期待される。

3.1.2 EMA（欧州医薬品庁）

EMAにおいては、欧州臨床試験規則（CTR）^{*9}が2022年1月31日から施行され、EU/EEA諸国全体での臨床試験申請資料提出プロセスの簡素化を目指している。CTRの施行に伴い、Clinical Trials Information System（CTIS）^{*25}が導入され、EU域内での臨床試験の申請、評価、承認、実施、監視、報告に関する情報を一元管理するプラットフォームとして機能している。CTISは、申請者と規制当局間のコミュニケーションを効率化し、透明性の向上と臨床試験の質の確保を支援するものである。また、CTRに基づき策定されたプログラムの一つであるAccelerating Clinical Trials in the EU（ACT EU）^{*10}は、欧州における臨床試験の迅速化と効率化を目指す取り組みで、臨床試験のデザイン、実施、データ管理、解析の各段階での効率化を支援し、医薬品開発と承認プロセスの加速を目的としている。ACT EUは、データの標準化と相互運用性を確保するためのツールとリソースを提供し、臨床試験の品質と一貫性の向上をスコープとしている。ICH M11による臨床試験実施計画書の標準化及びスタディ・ディフィニションの導入は、医薬品開発の効率性やデータの品質の向上、さらにはグローバルな一貫性確保に寄与するものであり、ACT EUの目指す方向性と高い親和性を有していると考えられる。

3.1.3 厚生労働省、PMDA

2025年7月時点では公式な発表は確認されていない。

3.2 関連団体

3.2.1 TransCelerate

TransCelerateは、製薬業界の複数企業が共同で設立した非営利団体である。2012年に設立され、臨床試験の効率化と革新を目指して活動している。TransCelerateは、臨床試験のデジタル化と自動化を推進する「DDF（Digital Data Flow）イニシアティブ」を提唱した団体である。以前から共通試験実施計画書テンプレート（CPT）を作成し、構造化されたモデルコンテンツを提供し、医薬品開発の業界標準化に貢献してきた。

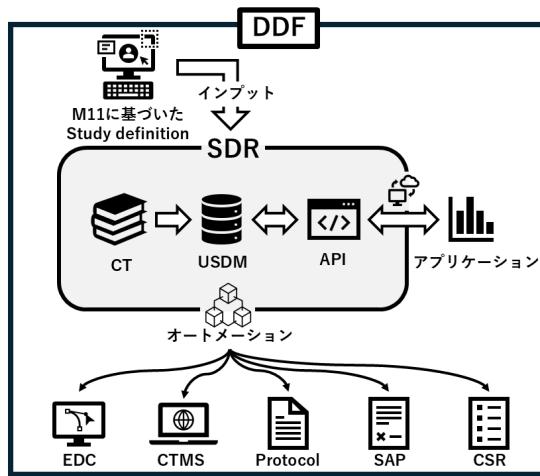
3.2.1.1 Digital Data Flow（DDF）

DDFとは臨床試験実施計画書情報の電子化を推進し、スタディ・ディフィニションを電子的に構造化・標準化された形で管理することで、これを起点とした臨床試験ライフサイクル

全体のデジタル化・自動化を推進するイニシアティブである。TransCelerate は、CDISC、Vulcan など多くの団体と連携し、ICH M11 との整合性も図りながら検討を進めている^{*11}。

DDFにおいて、スタディ・ディフィニションは Study Definition Repository (SDR) に格納され、SDR 内のデータは、業界標準である CDISC の Unified Study Definition Model (USDM)、Controlled terminology (CT) 及び USDM API にて高度に構造化・標準化された形で管理される。これにより、臨床試験ライフサイクル全体での自動化、相互運用性、再利用を可能とするデジタルワークフローのメカニズムが提供され、開発タイムラインを短縮し、データの信頼性と品質のさらなる向上が期待される^{*12}。

図 3.2.1.1 DDF 全体像



3.2.1.2 Study Definition Repository (SDR)

TransCelerate の DDF においてスタディ・ディフィニションのレポジトリである SDR は、ICH M11 準拠の臨床試験実施計画書作成にあたって重要な役割を果たす。スタディ・ディフィニションを SDR に格納し、これを起点として M11 準拠臨床試験実施計画書の作成、さらにはこれを起点とした臨床試験データフローの自動化の構想が進んでいる (3.2.1.1 Digital Data Flow (DDF) 参照)。SDR の実装ガイド (Study Definition Repository Reference Implementation、SDR RI) は TransCelerate が CDISC、アクセンチュア、マイクロソフト等と協力して作ったソリューションで、その詳細は GitHub にて公開されている^{*13, 14}。

3.2.2 CDISC

CDISC は、臨床試験データの標準化と相互運用性を推進するための国際的な非営利団体である。1997 年に設立され、製薬企業、規制当局、学術機関、サービスプロバイダーなど、幅広いステークホルダーが参加している^{*15}。

CDISC は TransCelerate とともに DDF イニシアティブや、ICH M11 及び UDP (3.2.3.1 参照) に協力している。特に DDF において、臨床試験データを格納する推奨モデル USDM (Unified Study Definition Model (3.2.2.1 Unified Study Definition Model (USDM) 参照)) は CDISC から公開されている。また、CDISC は、ICH 用語集の長期的なサポートとキュレーションを担い、

用語集の公開プロセス及びその運用管理をサポートすることで、データの一貫性と品質の確保にも貢献している^{*16}。

3.2.2.1 Unified Study Definition Model (USDM)

USDM は臨床試験データの標準化と相互運用性を向上させるための重要な枠組みである。CDISC によって開発された標準の Study Definition Reference Architecture であり、臨床試験実施計画書情報の ICH M11 要素を盛り込んだ電子的構造及びそのデータ交換方法について記載している。また USDM は HL7 の FHIR 標準を利用して、臨床試験データの交換を可能にする重要な役割を果たしている。

2025 年 7 月現在、Version 4 Model がリリースされている。本バージョンにはパブリックコメント募集時点での ICH M11 臨床試験実施計画書テンプレートや SDTM Trial Design の表現が組み込まれており、統合が進められている^{*17}。

USDM は次の 5 つの要素で成り立っている

- 統一モデリング言語 [Unified Modeling Language (UML)] で表現された Unified Study Definitions Model, USDM) のクラス図
- Application Programming Interface (API) 仕様
- CDISC 統制用語 (Controlled terminology (CT))
- Conformance rules
- Unified Study Definitions Model 実装ガイド (USDM-IG)

なお、USDM では、SDR 内での臨床試験実施計画書作成、読み取り、更新、そして異なるソフトウェアやアプリケーション間と機能を共有するために標準の API (USDM API^{*17}) も用意されている。

3.2.2.2 CDISC Controlled terminology (CT)

CDISC が National Cancer Institute's Enterprise Vocabulary Services (EVS) と協働して管理している標準統制用語^{*18}である。

CDISC CT の DDF 用サブセットが USDM で利用するために作成された。このサブセットは他の公開済の CDISC CT (CT for SDTM、CT for ADaM 及び CDISC Glossary など) とも調和されているため、臨床試験ライフサイクル全体において用語や定義の再利用が可能になり、データの一貫性が保たれ、異なるシステム間でのデータ交換がスムーズとなる^{*18}。

3.2.3 Vulcan

Vulcan は、HL7 (Health Level Seven International) の FHIR (Fast Healthcare Interoperability Resources) 標準を推進するための Accelerator グループの一つで、FHIR 標準を用いて臨床試験データの収集、管理、共有の効率化など、ヘルスケアと臨床研究の接続性を推進し、情報の相互運用性向上を目指している。HL7 は、医療情報の交換、統合、共有、及び取得を標準化する

ための国際的な組織であり、FHIR とは、医療データの交換を容易にするために HL7 が開発した標準規格である。

Vulcan と ICH M11 は、どちらも臨床試験データの標準化と相互運用性を目指す取り組みであるが、それぞれ異なる側面からアプローチしている。

例えば Vulcan は、データ交換の電送部分について FHIR 標準を用いて正確性と一貫性を確保、臨床試験データの相互運用性を強化する。一方で ICH M11 はデータ自身（臨床試験実施計画書情報）に標準フォーマットを用いて電子的標準化・構造化を促進する。

これにより、両者は相互補完的に機能し、臨床試験データの効率的な管理と利用が促進されると期待される^{*19}。

3.2.3.1 Utilizing the Digital Research Protocol (UDP)

UDP (Utilizing the Digital Research Protocol) は Vulcan、CDISC、TransCelerate の共同プロジェクトであり、ICH M11 を基盤としデジタル技術を活用して医薬品開発の効率化と標準化を目指す取り組みである。具体的には、データ収集、管理、共有の標準化を図り、FHIR 標準を利用して異なるシステム間でのデータの相互運用性の確保を目指している。これにより、臨床試験データの品質向上、データ収集の迅速化、コスト削減が期待される^{*20}。

3.2.3.2 HL7 FHIR Connectathon

HL7 FHIR Connectathon は様々なシナリオに基づいて FHIR などの標準規格に基づくデータ交換の実現性を検証することを目的としたイベントであり、医療機関、サービスプロバイダー、研究者などが一堂に会し、最新のデジタルヘルス技術の実装とテストを行っている。実際の医療データを用いたシナリオでシステム間のデータ交換の課題を抽出し、解決策を模索している。これらの検証により、異なるシステム間でのデータのシームレスな共有を確立し、患者ケアの質向上や臨床試験の効率化を目指している。また Connectathon は、技術的な検証だけでなく、参加者間のネットワーキングや情報共有の場としても重要であり、デジタルヘルスの未来を切り開くための貴重な機会となっている。

本イベントにおいて、Vulcan UDP のトラックでは、ICH M11、USDM 及び CT を用いて、UDP のコンセプトに従い、臨床試験実施計画書の電子的転送シナリオを検証している。2024 年 9 月開催時には、「治験依頼者から規制当局への臨床試験実施計画書の提出」というシナリオが検証対象となつた^{*21}。

4. 「ICH M11 導入による影響」本タスクフォースの調査結果からの見解

以下、本タスクフォースのこれまでの調査結果及びそこからの見解を述べる。

4.1 規制当局への提出

ICH M11 が Step5 到達以降に日本の規制当局に必要な対応として想定されるものを以下に記す。

規制当局への提出が必要と想定されるもの

- ICH M11 臨床試験実施計画書テンプレートに準拠した臨床試験実施計画書（以下、M11 準拠臨床試験実施計画書）：
導入初期の段階では、ICH M11 にて構造化・標準化された臨床試験実施計画書を PDF ファイルで提出することが現実的と想定される。
- M11 準拠臨床試験実施計画書データファイル：
将来的には M11 準拠臨床試験実施計画書の構成情報データの提出が求められると考えられる。なお、本データファイル形式が他国と異なる可能性もあるため、場合によっては国ごとの個別対応が必要となる可能性もある。

4.2 製薬企業の期待

ICH M11 導入により、臨床試験実施計画書の標準化だけでなく、治験実施依頼者にて構造化・標準化された臨床試験実施計画書情報を電子的に活用する事が可能となり、製薬企業には大きな期待が寄せられている。電子的に活用するためのアプローチとして、臨床試験実施計画書情報をスタディ・ディフィニションのレポジトリで電子的に管理することで、臨床試験実施計画書情報の再利用や臨床試験実施計画書作成プロセス管理が可能となる。

製薬企業としては、この臨床試験実施計画書情報を起点とした臨床試験ライフサイクル全体の DX を社内に実装し、臨床試験プロセスのスピード、リソース、コストの面から抜本的な効率化を図っていきたい。具体的には、臨床試験実施計画書情報がデジタル資産として活用され、医薬品開発から申請、臨床試験実施計画書情報の継続した管理・活用に至るまで、一貫したデータ駆動型プロセスへの移行が可能となり、臨床試験の意思決定の迅速化とデータ品質の飛躍的な向上が期待されている。

また、臨床試験実施計画書情報を効率的に利用するために、DDF イニシアティブで提唱しているスタディ・ディフィニションのレポジトリでの管理が推奨される。スタディ・ディフィニションのレポジトリの導入は ICH M11 Step 5 到達を待たずとも、今から準備が可能である。詳細は 4.3 章に記すが、ICH M11 Step 5 到達時にはすでに本格稼働が可能となるように、本タスクフォースからは早めの導入検討を提案したい。

下記に、DDF イニシアティブが提唱するスタディ・ディフィニションを起点とした臨床試験プロセスのデジタル化・自動化のユースケースの一例を記す。これらは、前述したデジタルトランスフォーメーションが具体的にどのような形で実現されるかを示すものである。

DDF イニシアティブが提唱する臨床試験プロセスのデジタルトランスフォーメーション・自動化ユースケース（一例）^{*22}

- EDC のデータベース構築

臨床試験実施計画書情報が SDR から直接提供されることで、手動での転記や設定作業が削減され、EDC データベースの構築が迅速かつ高精度に自動化される。

- ・ CTMS との連携
臨床試験の定義情報が SDR から自動的に CTMS に取り込まれることで、手動での情報転記が不要となり、臨床試験進捗管理の精度と効率が向上する。
- ・ IRT をはじめとした外部データの取り込み
臨床試験実施計画書定義に基づき、IRT やセントラルラボなどからの外部データが自動的に標準化された形式で取り込まれ、検証プロセスが効率化される。
- ・ EMR (Electronic Medical Records) とのデータ連携
臨床試験実施計画書情報と、電子カルテ (EMR) との連携が促進され、より効率的なデータ収集と分析が可能になる。
- ・ eTMF との連携
文書ファイリングや分類が自動的に、かつ一貫性のある形で実行される。
- ・ 統計解析計画書の作成
統計解析に必要な変数定義やエンドポイント設定などの初期ドラフト作成が半自動化される。
- ・ 申請時提出資料の作成（申請電子データ、総括報告書作成など）
申請時に必要な電子データセットや総括報告書の一部のコンテンツが自動的に生成され、規制当局への提出準備が効率化される。
- ・ 臨床試験実施計画書コンテンツの再利用
過去の試験や類似試験の臨床試験実施計画書コンテンツが SDR 内で構造化されて管理されているため、新たな臨床試験実施計画書作成時に必要な情報を容易に検索・抽出し、再利用することが可能になる。
- ・ 新規試験での臨床試験実施計画書の自動出力
SDR 内の標準化された臨床試験実施計画書定義テンプレートと、新規試験の要件を組み合わせることで、臨床試験実施計画書の初期ドラフトが半自動的に生成される。
- ・ 臨床試験デザインの品質の評価
デザインの整合性、実現可能性、倫理的側面などを自動的に評価し、最適化提案を行うツールの開発が期待される。

4.3 M11 準拠臨床試験実施計画書作成プロセス実装の検討

M11 準拠臨床試験実施計画書作成のための新規プロセス導入をするにあたって、各製薬企業で検討が必要な事項を以下に示す。

スタディ・ディフィニションのレポジトリ

M11 準拠臨床試験実施計画書作成のためにスタディ・ディフィニションの管理が推奨される。そのためにはスタディ・ディフィニションを管理・収集・保存するためのレポジトリが必要となる。

M11 準拠臨床試験実施計画書作成に必要となるスタディ・ディフィニションを、ICH M11 の技術仕様で求められている統制用語や構造(例:CDISC Controlled Terminology、

USDM (Unified Study Definition Model) (3.2.2 参照))にて管理・収集・保存することで、レポジトリ内に格納されたスタディ・ディフィニションから M11 準拠臨床試験実施計画書作成、臨床試験実施計画書情報の再利用が可能となる。

また、本レポジトリに臨床試験ライフサイクル全体の定義データを格納することで、前述した DDF イニシアティブで提唱されるユースケース等、臨床試験のデジタルトランスフォーメーションの実現が期待される。

レポジトリ実装のために、スタディ・ディフィニションの利用範囲想定の下、その用途に沿った新規システムの導入検討が必要となる。利用範囲とは、例えば、臨床試験プロセスの自動化を想定するならばどの範囲のプロセスや機能を対象とするか、あるいは M11 準拠臨床試験実施計画書作成のみに限定するか、などがあげられる。利用範囲に応じて、システムが自社開発となるのか、あるいは既存システムの導入になるのか、といった判断が可能となる。

レポジトリのアーキテクトについては、DDF イニシアティブや CDISC が提唱する Study Definition Repository (SDR) と CDISC USDM の組み合わせでの管理が第一候補となる。この構成により、スタディ・ディフィニションの管理・再利用が容易となると想定する。

なおスタディ・ディフィニション データ管理者には業界標準 (ICH M11、DDF、CDISC) や IT スキル及び新たな役割としてメタデータ管理のスキルを備えた人材の育成が必要である。

ちなみに、M11 準拠臨床試験実施計画書データファイル形式については標準開発が進んでおり (例 FHIR 標準)、効率的な臨床試験実施計画書情報の利用のために、電子的に提出可能な形式で作成準備として、スタディ・ディフィニションのレポジトリや電子化試験実施計画書作成ツールの導入検討などを進めておくことを提案する。

M11 準拠臨床試験実施計画書を起点とした臨床試験プロセスの自動化の検討

M11 準拠臨床試験実施計画書を導入後、さらに多くの恩恵を得るためにには、臨床試験実施計画書作成以降の下流のプロセスにおいて、「4.2 製薬企業の期待」で述べた DDF ユースケースに基づき、スタディ・ディフィニションを起点とした臨床試験プロセスの自動化を検討することが重要である。臨床試験プロセスの自動化については現在多くのサービスプロバイダーが DDF イニシアティブや CDISC 標準に基づきシステム開発を進めている。自社開発も選択肢の一つではあるが、各社の状況を踏まえたうえで、それぞれのメリット・デメリットを踏まえた上で、最適な実装方法を選定する必要がある。

自動化の範囲検討は、関連部門間での協議が不可欠である。例えば、IT 部門、臨床試験実施計画書作成部門、データマネージメント、統計解析部門、総括報告書作成部門など、自動化対象となる業務に関与する部門のほか、新たなロールとなるスタディ・ディフィニション データ管理者の参画が望まれる。また、スタディ・ディフィニションのレポジトリの仕組みやシステム構成によっては、サービスプロバイダーの関与も

不可欠となる場合もある。

システム導入の方法は、組織の規模や現状を踏まえた柔軟な対応が推奨される。例えば、メガファーマのような大規模な組織であれば、運用中のシステムから新規プロセス対応システムへの移行を前提とした方法が適しているし、現在システムに依存せずに運用している組織であれば新規システム導入が現実的な選択肢となる^{*23}。

併せて、関連部門のマインドセットの転換や業務変革に伴うインパクト分析、導入前後のパフォーマンスの比較など、チェンジマネージメントも重要となる。本業務変革は、これまでの文書中心からデータ中心のアプローチへの転換や、プロセス全体をシームレスに連携させるための高度な標準化が前提となる。この変革を成功させるためには、個人レベルや組織レベルでの受入体制の整備が鍵となる。さらに、導入後の定着と継続的な活用を支える体制の構築も重要であり、例えばトレーニング体制、技術サポート、導入後の継続的なパフォーマンス分析などが望まれる。

なお、高度なデジタル化・自動化を目指すため、IT部門の役割が増大する傾向になるが、成果物がエンドユーザーの意図をきちんと反映しているか担保するためにも、関連部門の積極的な参画は不可欠である。

5. 終わりに

本文書では、ICH M11 の導入後に予想される、臨床試験実施計画書の電子的構造化・標準化の進展を起点とした医薬品開発及び製薬企業側のデータフローの変化、さらにはそこから起こりえる医薬品開発のライフサイクル全体の DX の可能性について考察した。ICH M11 が目指す「電子的に構造化・調和された臨床試験実施計画書」は、単なる電子的構造化・標準化を超え、医薬品開発のライフサイクル全体をデータ駆動型に変革し、国際競争力を飛躍的に向上させるための重要な戦略的基盤となるものである。

ICH M11 の導入により、スタディ・ディフィニションをデータとして管理する必要性が生じる。これを業界標準構造で管理することで、臨床試験情報が常に電子的かつグローバル標準形式で保持できるようになる。これにより、他システムとの自動連携や、規制当局によるレビューを支援する相互運用可能な電子ツールの実装が可能となり、承認申請の迅速化、臨床開発タイムラインの劇的な短縮、そして医薬品開発コストの大幅な軽減が期待される。これは単なる業務効率化に留まらず、革新的な医薬品をより早期に患者に届けることを可能にし、企業の市場競争力を強化するという明確なビジネス成果に直結する。

このような変革を実現するためには、将来を見据えた戦略的投資が不可欠である。ICH ガイドラインは、規制当局も含むグローバル全体で導入され、申請時電子データ提出や eCTD と同様にシステムの整備・実装が必要となることから、いずれ不可避な投資と捉えるべきである。本タスクフォースとしては、臨床試験環境の整備（エコシステム）として日本が国際的な潮流に遅れを取らないよう、早期の投資判断がドラッグラグ・ドラッグロスの観点からも重要であると強調したい。この初期投資は中長期的に多大なリターンをもたらす戦略的資産形成になりうる。蓄積されたスタディ・ディフィニションは、AI エージェントによる臨床試験実施計画書作成支援や、過去データに基づく最適な試験デザインの提案、個別化医療に向け

た治験戦略の立案など、これまでにない価値を創出する重要なデータ基盤となる。スタディ・ディフィニションの蓄積量は多いほどその価値は高まり、一部の大手製薬企業ではすでに導入されている。

ICH M11 の導入は、製薬企業のみならずアカデミアにとっても恩恵をもたらすと考えている。M11 準拠臨床試験実施計画書の導入により、製薬企業との連携が円滑化される。実施医療機関でも、臨床試験実施計画書の情報が院内システムと連動することで、院内書類の自動入力や Decentralized Clinical Trial (DCT) との連携が容易になるなど、治験実施環境の抜本的な改善と患者アクセスの向上に寄与する様々なユースケースが検討されるだろう。

現在 ICH M11 はまだ Step3 の段階にあるが、これを「まだ先の話」と捉えるのではなく、日本の医薬品開発が国際的なイノベーションの最前線に立ち続けるために、早急な導入検討に着手することを強く推奨したい。なぜなら、導入によって臨床試験ライフサイクルにおけるほとんどのプロセスが影響を受け、変革は予想以上に早いスピードで進展する可能性が高いからである。日本の医薬品開発における競争力を維持するだけでなく、データ駆動型アプローチによる新たな価値創造と、将来の医療革新に貢献するためにも、変化の主導者となることが今、最も重要である。

6. 参考文献 / 参考 Website

*1 : News: ICH M11 draft Guideline reaches Step 2 of the ICH process

<https://www.ich.org/news/ich-m11-updated-technical-specification-document-now-available-ich-website>

*2 : ICH M11 「電子的に構造化・調和された臨床試験実施計画書 (CeSHarP)」国内実装に向けたアンケート結果（2024 年度）

https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/DS_202503_ICHM11.html

*3 : ICH 公式ホームページ Guidelines - Multidisciplinary Guidelines

<https://www.ich.org/page/multidisciplinary-guidelines>

*4 : PMDA ICH M11 「電子的に構造化・調和された臨床試験実施計画書 (CeSHarP)」ガイドライン案説明会 資料

<https://www.pmda.go.jp/int-activities/symposia/0128.html>

*5 : ICH M11 「電子的に構造化・調和された臨床試験実施計画書」技術仕様案（Step 2 文書）に関する説明会資料

<https://www.pmda.go.jp/int-activities/symposia/0156.html>

*6 : FDA 公式ホームページ ドラフトガイダンスドキュメント M11 Clinical Electronic Structured Harmonised Protocol

<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/m11-clinical-electronic-structured-harmonised-protocol>

*7 : An Introduction to PRISM (precisionFDA Regulatory Information Service Module) by Ginny Hussong Branch Chief, Data Standards Center for Biologics Evaluation and Research at PHUSE/FDA Computational Science Symposium

https://www.lexjansen.com/css-us/2024/PRE_03.pdf

*8 : precisionFDA 公式ホームページ

<https://precision.fda.gov/>

*9 : EMA Clinical Trials Regulation

<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/clinical-trials-human-medicines/clinical-trials-regulation>

*10 : Accelerating Clinical Trials in the EU 公式ホームページ

https://accelerating-clinical-trials.europa.eu/index_en

*11 : DDF Website :

<https://transcelerate.github.io/ddf-home/>

*12 : TransCelerate - Digital Data Flow Asset - Clinical Trial Process

<https://www.transceleratebiopharmainc.com/initiatives/digital-data-flow/>

*13 : How TransCelerate, Microsoft, Accenture, and CDISC are Working to Revolutionize Digital Data Flow - TransCelerate

<https://www.transceleratebiopharmainc.com/how-transcelerate-microsoft-accenture-and-cdisc-are-working-to-revolutionize-digital-data-flow/>

*14 : GitHub - transcelerate/ddf-sdr-platform: Digital Data Flow - Platform Terraform Scripts

<https://github.com/transcelerate/ddf-sdr-platform>

*15 : CDISC : <https://www.cdisc.org/>

*16 : CDISC Digital Data Flow : <https://www.cdisc.org/ddf>

*17 : Unified Study Definition Model Implementation Guide version 4.0

<https://github.com/cdisc-org/DDF-RA/blob/v4.0.0/Deliverables/IG/USDM-IG.pdf>

*18 : CDISC Terminology | CBIIT

<https://datascience.cancer.gov/resources/cancer-vocabulary/cdisc-terminology>

*19 : HL7 Vulcan : <https://www.hl7vulcan.org/events>

*20 : UDP - HL7 Vulcan

<https://hl7vulcan.org/projects/udp/>

*21 : HL7 FHIR Connectathons | HL7 International

<https://www.hl7.org/events/fhir-connectathon/>

*22 : The TransCelerate / CDISC Digital Data Flow Project: Practical Electronic Study Designs by Dave Iberson-Hurst, CDISC DDF / USDM product Owner

https://www.cdisc.org/sites/default/files/2024-04/3_2024%2004%202023%20DDF%20USDM%20DIH%20V3_DAVE_24Apr2024.pdf

*23 : Vulcan UDP (Utilizing the Digital Protocol): Approaches to Implementation

https://www.transceleratebiopharmainc.com/wp-content/uploads/2024/10/Vulcan-Utilizing-Digital-Protocol-Webinar-October-2024.pdf?utm_campaign=2024%20Webinars&utm_source=hs_email&utm_medium=email&hsenc=p2ANqqtz-

TlzjZGzCwR9yQqG7CvZ47yvr82daW5HnZxahQhAuqTEb7I9tZvLe7_4o1uIdIPMCroWL

*24 : 2024 CDISC Japan Interchange, “DDF: The Art of the Possible Becomes Reality”, presented by Frederik Malfait (SVP Information Architecture, Nurocor) and Barrie Nelson (EVP Clinical Innovation, Nurocor)

*25 : Clinical Trials Information System

[Clinical Trials Information System | European Medicines Agency \(EMA\)](#)

7. 用語一覧

略語	説明
ACT EU	Accelerating Clinical Trials in the EU
ADaM	Analysis Data Model
API	Application Programming Interface
CDISC	Clinical Data Interchange Standards Consortium
CeSHarP	Clinical electronic Structured Harmonised Protocol
CPT	Common Protocol Template developed by TransCelerate
CT	CDISC Controlled terminology
CTMS	Clinical Trial Management System / 臨床試験管理システム
CTR	European Union Clinical Trials Regulation / 欧州臨床試験規則
DCT	Decentralized Clinical Trial
DDF	Digital Data Flow
EDC	Electronic Data Capture
EHR	Electronic Health Record / 電子カルテ
EMA	European Medicines Agency
eTMF	Electronic Trial Master File
EVS	National Cancer Institute's Enterprise Vocabulary Services
FDA	Food and Drug Administration / 米国食品医薬品局
FHIR	Fast Healthcare Interoperability Resources
HL7	Health Level Seven International
IRT	Interactive Response Technology
JSON	JavaScript Object Notation
Project PRISM	Project PrecisionFDA Regulatory Information Service Module
SDR	Study Definition Repository
SDTM	Study data tabulation model
TransCelerate	TransCelerate BioPharma Inc.

資料作成者

データサイエンス部会 2024 年度 タスクフォース 4-2

【チームメンバー】

磯崎 充宏	鳥居薬品株式会社	
小泉 慶一	中外製薬株式会社	
大澤 創	中外製薬株式会社	
河添 有宏	塩野義製薬株式会社	
染谷 美紀	ファイザーR&D 合同会社	タスクフォースリード
津森 桂子	MSD 株式会社	タスクフォースリード
長谷川 秀美	日本ベーリンガーインゲルハイム 株式会社	タスクフォースリード

【担当副部会長】

土屋 悟	住友ファーマ株式会社	
------	------------	--