

事務連絡
令和4年8月25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・生活衛生局医薬品審査管理課

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課

「コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品に関する
技術的ガイダンス等について」
に関する質疑応答集（Q&A）について

標記について、今般、独立行政法人医薬品医療機器総合機構から、別紙のとおり報告がありましたので、今後の業務の参考とするよう、貴管下関係業者に対し御周知願います。

薬機発第 0809008 号
令和 4 年 8 月 9 日

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長 殿
厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長 殿

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 理事長

「コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品に関する
技術的ガイダンス等について」
に関する質疑応答集 (Q&A) について

コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品の開発に係る考え方及び留意点については、「コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品に関する技術的ガイダンス等について」(平成 25 年 12 月 26 日付け薬食審査発事務連絡)(以下「技術的ガイダンス」)等において示されているところです。

既承認のコンパニオン診断薬等の後続的位置付けで開発される体外診断用医薬品又は医療機器について、既承認のコンパニオン診断薬等との同等性試験を実施する際の留意事項を、技術的ガイダンスに関する質疑応答集(その3)として別添のとおりと取りまとめましたので、貴管下関係業者に対し周知願います。

【別添】

「コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品に関する技術的ガイダンス」に関する Q&A (その3)

3.2.2 同等性試験を行う際の留意事項

Q1：承認されたコンパニオン診断薬等（以下、「CDx」）との分析学的同等性を示すことにより後続的位置付けの製品を開発したいが、対象疾患が希少疾患であること等により、一定数の臨床検体を入手して既承認の CDx との分析学的同等性を検証することが困難である。既承認の CDx 及び開発予定の後続的位置付けの製品が、いずれも生体由来の試料から抽出された核酸の塩基配列情報に基づき適応判定を行う製品である場合、調製検体¹を用いた同等性試験を実施することは許容されるか。

A1：上記の状況において、調製検体を用いた同等性試験を実施することは可能である。ただし、試験計画の適切性については個別に判断する必要があることから、少なくとも以下の点に留意した上で試験計画を立案し、PMDA に相談すること。

- 臨床的カットオフ値付近の検体を一定数組み入れること。
- 陽性一致割合及び陰性一致割合の信頼区間の下限值に対し、事前に許容基準（閾値）を設定した上で、同等性を評価すること。

以上

¹臨床検体由来の遺伝子変異陽性検体に由来するゲノム DNA と陰性検体に由来するゲノム DNA を一定の割合で混合し調製した検体を指す。当該調製により、評価に必要な検体数を確保することができる場合がある。なお、このような場合、陰性検体は全て異なる患者由来のゲノム DNA を使用することが原則である。