

3

開発段階に応じた臨床試験の種類

3.1 第I相（初期の臨床薬理試験段階）

新薬を患者に提供するためには、動物およびヒトでその有効性と安全性を確認する必要がある。新薬をはじめてヒトに投与する試験として、第I相試験が実施される。第I相試験では、抗精神病薬や抗がん剤など健康者に投与することによるリスクが高い薬剤を除き、通常、健康成人男性が投与の対象とされる。本節では、経口投与される合成化合物をヒトにはじめて投与する場合を想定して解説する。

第I相試験の主目的は、ヒトにおける初期の安全性および忍容性を推測するとともに、ヒトにおける薬物動態情報を得ることである¹⁾。また、健康者の血液検査値などで薬力学的な評価が可能な場合には、第I相試験で有効性に関する予備的情報を得ることもできる。第I相試験により得られた、安全性、薬物動態（および有効性）に関する情報を非臨床試験で得られた知見と合わせて十分に吟味・考察することで、第II相試験以降の開発プログラムを科学的かつ効率的に設計し、有用な新薬をより早く患者に提供することができる。そのためには、試験目的に見合った試験デザインを選択し、デザインにふさわしい統計学的手法を用いて試験結果を分析する必要がある。

本節では、主に、第I相単回投与試験、反復投与試験ならびに第I相試験段階で薬力学的な評価を行う場合の留意点について解説する。

3.1.1 第I相試験に先立って実施される非臨床試験

新薬の開発においては、非臨床試験の成績を検討して、有用な新薬となる可能性の高い開発候補化合物（以下、化合物）をできるだけ早く臨床試験に供する必要がある。

薬効薬理試験ではサル、イヌ、ラットなどの動物に化合物を投与する *in vivo* 試験、動物やヒトの組織を用いた *ex vivo* 試験、および細胞やレセプターを用いた *in vitro* 試験により化合物の薬効が評価される。