

# 小児用医薬品開発促進に向けた 薬事制度における取組

令和8年3月17日

日本製薬工業協会  
医薬品評価委員会  
小児用医薬品開発シンポジウム

厚生労働省 医薬局 医薬品審査管理課長

紀平 哲也

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

# 1

## 小児用医薬品開発促進の現状

# ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

- 2023年3月時点において、欧米では承認されているが国内開発未着手の医薬品は86品目（未承認薬のうち60.1%）あり、そもそも承認申請がなされない（＝企業が開発しない）というドラッグラグ・ロスが発生していると指摘されている。
- 国内開発状況が未着手の86品目について傾向を分析したところ、ベンチャー発の医薬品や、オーファン、小児の割合が比較的大きいことが分かった。

## 日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）	
			開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	<b>143</b>	57	<b>86</b> (品目)

## 日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	オーファン	小児
<b>56</b> % (48品目)	<b>47</b> % (40品目)	<b>37</b> % (32品目)

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

※出典：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計

※2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計

※3：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計

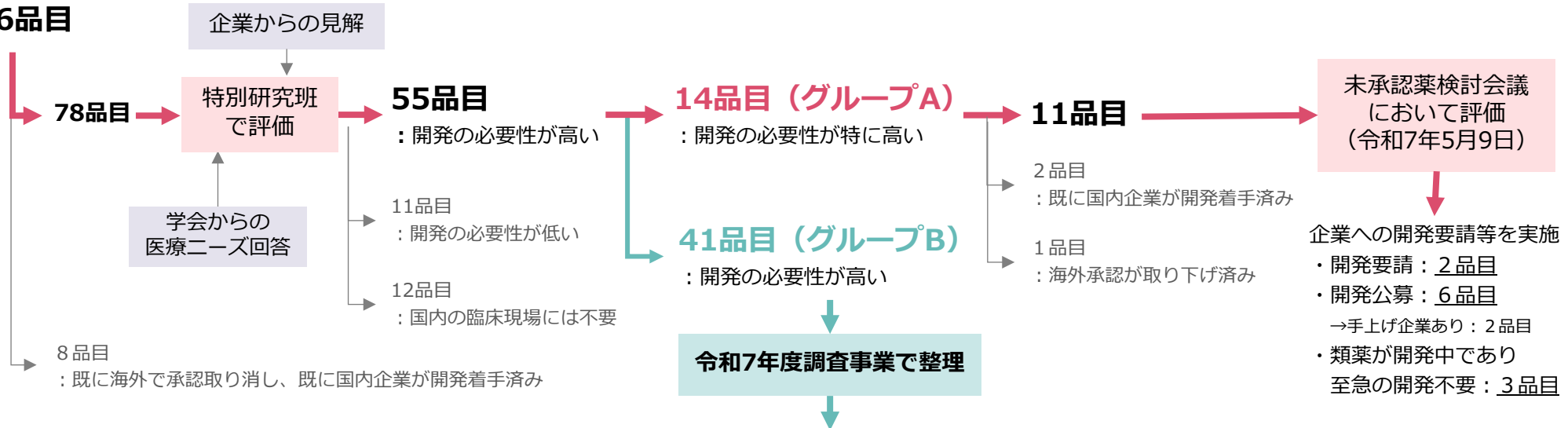
※4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までを受けた品目をオーファンとして集計

※5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

# ドラッグ・ロス解消に向けた取組の進め方について

- 令和6年度厚生労働科学特別研究事業において、学会からの医療ニーズ、企業からの見解等を踏まえた開発の優先順位を評価。
- 評価の結果、開発の必要性が高い品目は55品目。その内、開発の必要性が特に高いとされたのは14品目（グループA）。
- 令和7年5月9日に開催された未承認薬検討会議において、14品目のうち、既に国内開発済み等の3品目を除いた11品目について、医療上の必要性の評価を実施し、その後、企業への開発要請及び開発公募を実施。
- 上記以外の開発の必要性が高いとされた**41品目（グループB）**については、「未承認薬等迅速解消促進調査事業」において、未承認薬検討会議における評価に必要な情報の整理を実施し、順次、未承認薬検討会議における評価を実施予定。
- 前回の未承認薬検討会議（令和7年12月12日）までに、**7品目の医療上の必要性を評価、8品目の対応方針について報告**

## 86品目

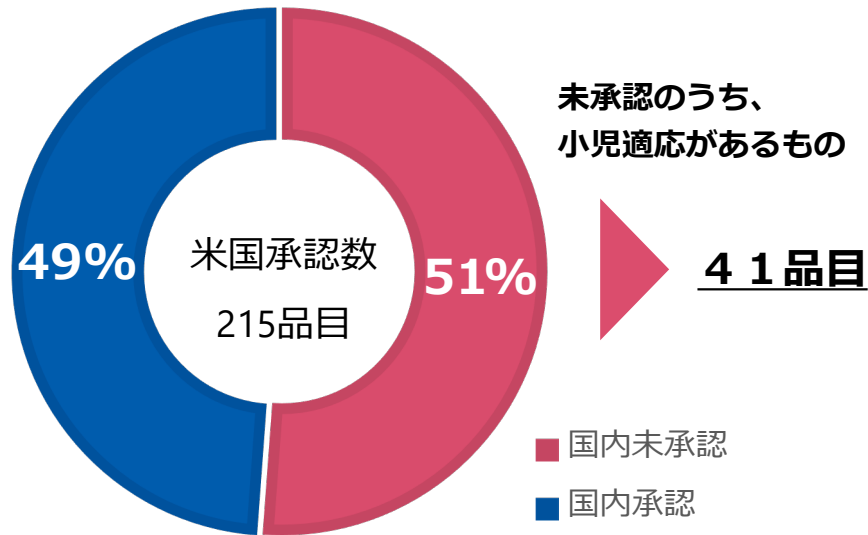


### 令和7年12月12日時点の対応状況

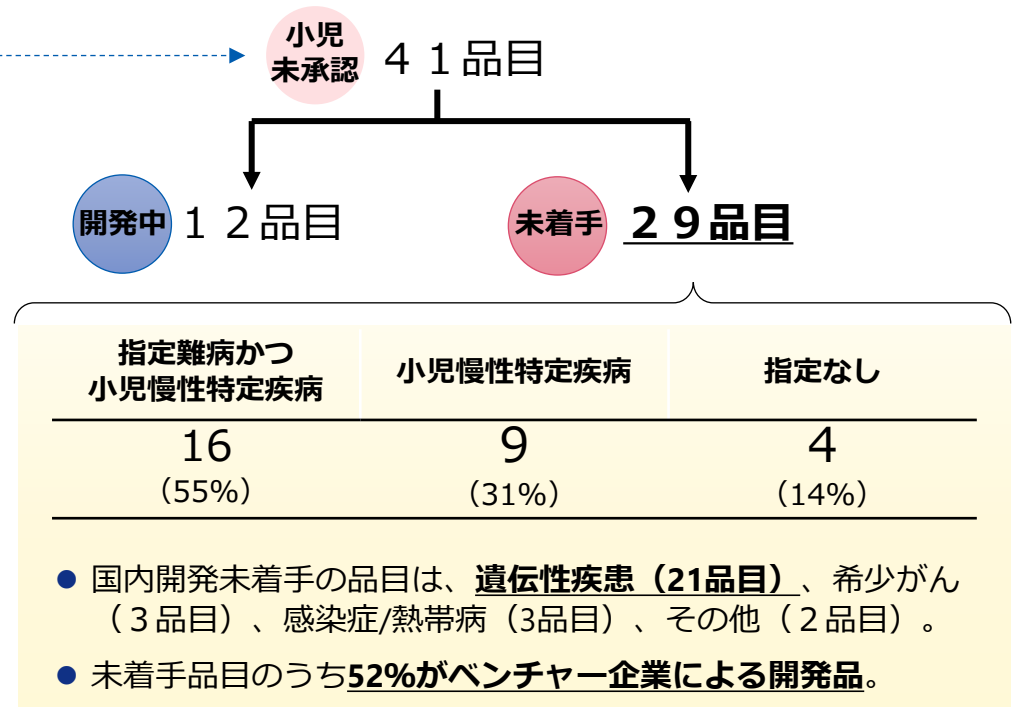
- 開発要請：2品目
- 開発公募：1品目
- 医療上の必要性の基準に該当しないと評価：4品目
- 未承認薬検討会議での評価を実施しないことを報告：8品目
  - 海外承認が取り下げ済み：1品目
  - 既に医療上の必要性を評価済み：2品目（開発要請1品目、開発公募1品目）
  - 利用可能性確保について検討する品目：2品目
  - 特定臨床研究・医師主導治験等の体制を構築する品目：3品目

# 小児用医薬品の国内承認・開発状況

## 米国で承認済みの希少疾病用医薬品の国内承認状況



## 未承認品目（小児適応あり）の国内開発状況



※ 出典：PMDA、FDAの各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※ 2010年から2021年に米国でオーファンドラッグ指定を受けて承認された品目を対象とし、2022年8月時点で開発状況が明確となっていないものを未着手とした。

※ 開発中止等が確認された9品目を含む。

※ 国内開発中品目について、国内開発における年齢の情報は公開されていない。

※ 米国でも小児開発がされていない品目は、感染症/熱帯病、がん、診断薬等であった。

創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会資料より

令和8年度当初予算案 99 百万円 (1.2億円) ※ ()内は前年度当初予算額

## 1 事業の目的

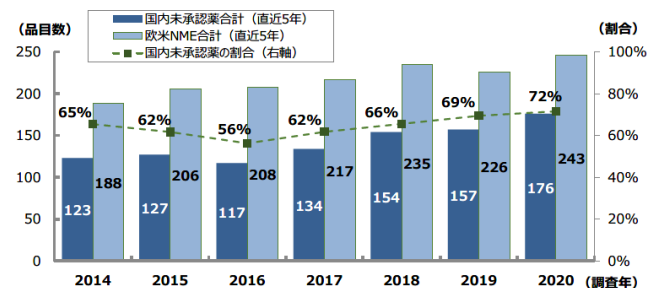
- 近年、希少疾病用・小児用等の医薬品を中心に、欧米では承認されている医薬品が日本で開発されない、**ドラッグ・ロスの拡大**が指摘されている。
- 我が国にとって医療上必要な医薬品の導入を促進するため、厚労省の検討会(※)において**薬事規制の大幅な見直し**を進めるとともに、その実行のため、**令和6年度より「PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置**し、以下の対応を進めている。

- ① 希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大
- ② 小児用薬の開発計画の策定を企業に促しPMDAが確認する仕組みの対応の促進
- ③ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における評価の加速化
- ④ PMDA相談手数料の企業等への補助

(※) 創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会(令和6年4月報告書とりまとめ)

- 令和8年度は、①見直しに伴う**希少疾病用医薬品の指定増加等に対応するための審査体制の確保**を行うとともに、②**未承認薬等検討会議において学会等の要望を待たずに国が主導的に評価・開発要請を行うスキーム**に迅速に対応する。

## 増加する国内未承認薬



	2016年	2020年
国内未承認薬合計	117品目	176品目
国内未承認薬の割合	56%	72%

## 2 事業の概要・スキーム

PMDA

### 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター

- ① **希少疾病用医薬品**  
指定・指定見直しの相談・審査
- ② **小児用医薬品**  
開発計画の確認・進捗管理
- ③ **未承認薬検討会議**  
評価の加速(調査、評価書作成等)

### PMDA相談手数料の補助

対象：上記①・②に関して企業が支払う相談手数料。未承認薬等検討会議での開発公募品や医師主導治験による開発品。

## 3 実施主体等

実施主体：PMDA

費用内訳：

- ・相談手数料の補助(企業、アカデミア等)
- ・体制確保の人的費：補助率50/100等

# 小児医薬品開発ネットワーク支援事業

令和8年度概算要求額 25百万円（－） ※（）内は前年度当初予算額 ※令和6年度補正予算額 25百万円

## 1 事業の目的

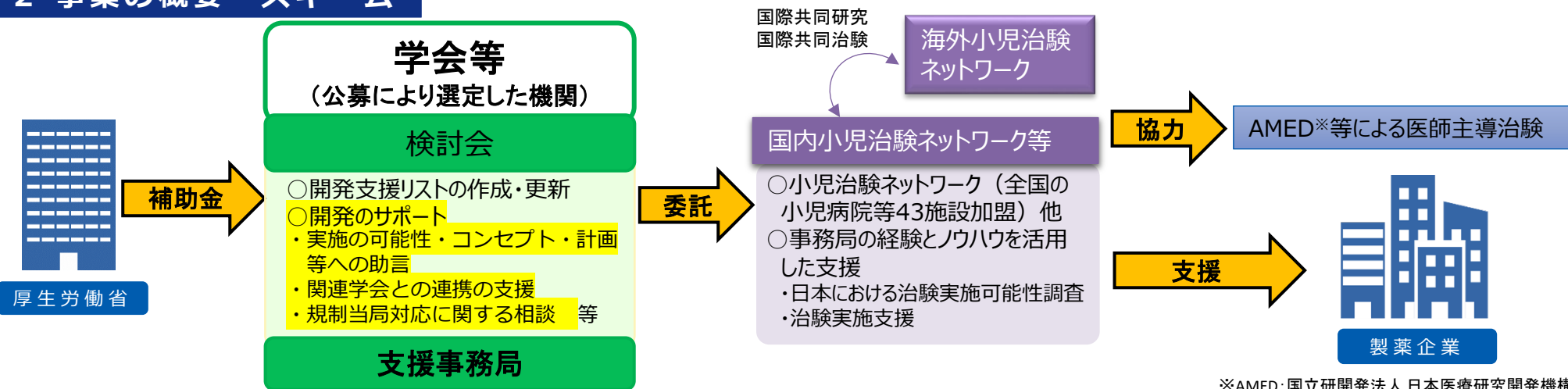
- 我が国において、小児に使用される医薬品の6～7割が適応外であると言われている（※1）。平成26年度から令和3年度に承認された医薬品のうち、小児適応がある（小児に対する効能・効果、用法・用量が明記された）医薬品は全体の30%前後にすぎない（※2）。また、欧米で承認されているにもかかわらず、国内では未承認の医薬品が143品目あり、このうち国内で開発未着手となっている医薬品は令和5年3月末時点で86品目（60.1%）あり、そのうち小児用医薬品が32品目（37%）と（※3）、小児用医薬品の開発は遅々として進んでいない状況にある。
- また、「**がん対策推進基本計画**」（令和5年3月28日閣議決定）の小児がん及びAYA世代のがん対策において、「国は、小児がん領域における薬剤アクセスの改善に向けて、治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討する」こととされた。
- 小児の治験を加速すべく、
  - ・引き続き開発支援リストの作成・更新や、開発者からの依頼に応じた開発サポートを実施するとともに
  - ・日本で行われる小児治験について、小児の治験にかかる各種ネットワークにつなげ、被験者の組み入れを加速する
  - ・国内ネットワークと海外ネットワークの連携を強化し、国際共同治験を日本に呼び込む

※1 厚生労働科学研究 森田修之分担研究の平成11年度研究報告書（平成12年4月）

※2 小児用医薬品開発促進に向けた最近の取組み PMDA小児医薬品WG（令和5年3月）

※3 医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会報告書 参考資料（令和5年6月）

## 2 事業の概要・スキーム



※AMED: 国立研開発法人 日本医療研究開発機構

## 3 実施主体等

- ◆ 実施主体：公募により選定
- ◆ 補助率：10/10
- ◆ 対象経費：補助金（人件費、諸謝金等）

# 小児医薬品開発ネットワーク支援事業からのアウトプット事例： ▶小児治験における同意説明文書及びアセント文書例の作成について

治験参加者保護の観点から、小児が治験に参加する際には、説明し賛意を得ることが望ましい（アセントの取得）。  
小児治験を実施したことがない企業等が活用することを想定し、汎用性が高く、自由に活用できる同意説明文書とアセント文書テンプレートを改訂し、説明ガイドを作成した。

## 改訂したアセント文書例 (小学校低学年用・高学年用)

治験実施依頼機関名： 治験実施計画書番号： アセント文書A 表紙

原番号： 作成日：

**「{治験薬名}」～ちけんのはなし～**

いま あたらしくすりをつくる「ちけん」に さんかしてくれるおともだちを さがしています。

ちけんで ききめと あんぜんにつかえることがわかったら「{治験薬名}」は ぐすりとしてみんなが つかえるようになります。

びょういん ちけんこ

↑低学年用 高学年用→

## 年齢別に異なるアセント文書と同意説明文書

代諾者用（高校生用） 章立ては同じ 中学生用

- ### 工夫のポイント
- 説明の際には代諾者と本人と一緒に説明を聞くことが多いため、**一緒に文書を開き、話を聞くことを前提にした構成**
  - 理解能力に適した提示（低年齢向けにはイラスト・ひらがなで作成、中学生向けには治験の概要を示す等）
  - 対象年齢者の意見を聴取し用語表現などを反映
  - 現代的な注意事項を反映（SNSへの投稿禁止等）

○「小児治験における同意説明文書・アセント文書の文書例」の掲載先  
<https://pctn-portal.ctdms.ncchd.go.jp/service/agree/>



# 小児医薬品開発ネットワーク支援事業からのアウトプット事例： ▶小児治験における同意説明文書及びアセント文書例の作成について

医政研発 1127 第 1 号  
医薬薬審発 1127 第 3 号  
令和 7 年 11 月 27 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医政局研究開発政策課長  
（ 公 印 省 略 ）  
厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

小児治験における同意説明文書及びアセント文書の文書例の活用について（依頼）

平素より医薬行政に御協力いただき、誠にありがとうございます。

厚生労働省医政局研究開発政策課では、深刻化する小児用医薬品のドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスへの解消に向け、「小児医薬品開発ネットワーク支援事業」を通じて、小児用医薬品の開発を推進しています。

本事業は、我が国において、小児用医薬品の開発が望まれている状況を踏まえ、小児用医薬品の開発支援リストをまとめ、製薬企業等に開発の要望を行い、企業に対する治験実施（治験実施施設の選定、相談に対する助言等）の支援を行うとともに、小児治験にかかる各種ネットワークの活用により円滑な治験の実施を支援することなどを目的として、厚生労働省事業として令和 2 年度から実施しているものです。

この度、公益社団法人日本小児科学会、国立研究開発法人国立成育医療研究センター及び小児治験ネットワーク小児 CRC 部会が、小児治験の同意説明文書及びアセント文書の標準化を進めるため、医療機関（小児治験に精通した CRC 等）及び専門家（倫理、国語教育）に加えて児童（小学生及び中学生）等からの意見も踏まえ、「小児治験における同意説明文書・アセント文書の文書例」を改訂・公開しました（下記 URL 参照）。小児治験における同意説明文書・アセント文書（以下「小児 ICF・IAF」という。）の標準化に関する取組は、世界でも例がなく、日本が先行した取組となります。

2025年11月27日に  
都道府県、関連団体  
等に宛てて通知発出。

「小児治験における同意説明文書・アセント文書の文書例」の掲載先

<https://pctn-portal.ctdms.ncchd.go.jp/service/agree/>



# 小児医薬品開発支援体制強化事業

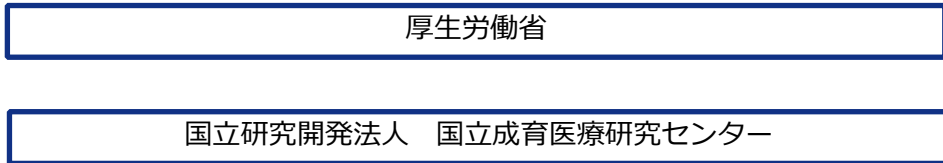
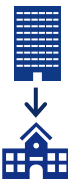
令和8年度概算要求額 **43**百万円 (30百万円) ※ ()内は前年度当初予算額

## 1 事業の目的

小児用医薬品のドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスが深刻化する中で、「経済財政運営と改革の基本方針 2023 (令和5年6月16日閣議決定)」や「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間とりまとめ (令和6年5月22日)」等において、小児用医薬品開発の促進が指摘されている。小児領域の医薬品開発を促進するため、国立成育医療研究センターにおける小児用医薬品開発の支援体制を強化し、小児用医薬品開発のサポート (製薬企業、アカデミア等への開発サポート等) を強化する。

さらに、**日本における産官学患の4者が参画する小児医薬品開発推進コンソーシアムの本格始動に伴い事務局機能を拡大**し、より良い小児医薬品等の開発環境を整備するとともに、**小児治験に関する人材育成・研修業務を強化**する。

## 2 事業の概要・スキーム



### (i)小児医薬品開発支援の体制強化

- ・アカデミア等からの出向者の受け入れ、SMO/CROへの業務委託

### (ii)小児医薬品開発支援内容の充実

- ・新たにアカデミア主導での小児医薬品開発を支援
- ・開発のサポート (実施の可能性・コンセプト・計画等への助言、関連学会との連携の支援、規制当局対応に関する相談等)
- ・国内における使用実態等告知申請に必要な情報収集の支援 (小児医療情報収集システム (DB) 活用による情報収集を含む)
- ・開発企業がない小児用医薬品の開発に関して、必要に応じて治験を支援 (※) し、企業導出を支援 (プロトコル作成助言等)

※国立研開発法人 日本医療研究開発機構 (AMED) 臨床研究・治験推進研究事業

### (iii)小児治験ネットワークとの連携・体制強化

- ・小児治験ネットワーク体制の強化、**産学官患からなる小児医薬品開発推進のコンソーシアムの本格始動に伴う事務局機能の拡大**
- ・国内小児治験について、小児治験ネットワーク等につなぎ、被験者の組入れを加速化

### (iv)小児治験に関する普及啓発・研修の実施

- ・保護者、患者会：DCTを含む小児治験の普及啓発による患者参画の推進 (関係学会と連携)
- ・医療従事者：小児用医薬品治験に関する理解、DCT治験に関する知識を広めるための講習会を開催
- ・製薬企業：小児治験ネットワーク及び本支援スキームの普及啓発の強化
- ・関係学会：治験登録促進の呼びかけ、DCTの理解・普及啓発 等

## 3 実施主体等

◆ 実施主体：国立研究開発法人 国立成育医療研究センター ◆ 補助率：定額 ◆ 対象経費：補助金 (人件費等)

令和8年度概算要求額 **38億円** (32億円) ※ ()内は前年度当初予算額

## 1 事業の目的

- 有望な医薬品シーズがアカデミアや企業で見いだされても、その後の臨床研究や治験を効率的に実施しなければ、早期の薬事承認に繋がらない。
- 日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげ、革新的な医薬品を創出するため、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究・治験を推進する。

## 2 事業の概要・スキーム

- 第3期の健康・医療戦略において実用化の推進がキーワードとなっているなか、最も医薬品開発の出口に近い臨床開発段階にある有望な臨床研究・治験等を実施するため、本事業では多くの新規課題を支援する必要がある。
- 革新的な医薬品を創出すべく、アカデミア主導の臨床研究・医師主導治験の支援を促進している一方、現状の公募では採択数が限られており、有望な研究課題も不採択にせざるを得ない状況にあるため、採択課題数の増加は必須である。(拡充)
- 革新的医薬品の開発は成功確率が低い一方で、開発コストは年々増加しているため、特に希少疾病や小児領域等の患者ニーズや社会的ニーズは高いものの企業による開発が進みにくい領域において、引き続き臨床研究・治験等を推進する。

### <支援に係る主なコンセプト>

疾患の希少性、不採算性等を総合的に考慮し、公益性の高い特定臨床研究・医師主導治験を支援

### 臨床研究・治験の推進

① 患者ニーズの高いもの

- 臨床研究・医師主導治験のプロトコール作成
- 特定臨床研究の実施
- 医師主導治験(新有効成分、新効能、新用量医薬品)の実施
- 認知症を対象とした特定臨床研究・医師主導治験・企業治験等の実施
- 小児を対象とした特定臨床研究・医師主導治験・企業治験の実施

② 新しい手法を活用するもの

- 疾患登録システム(患者レジストリ)等を、薬事承認申請に利用可能な比較対照群等に利活用する、特定臨床研究・医師主導治験の実施
- デジタルデバイス、オンライン診療等の新しい技術や訪問診療等を活用した特定臨床研究・医師主導治験(Decentralized Clinical Trial;分散型臨床試験)のプロトコールの作成、実施

## 3 実施主体等

◆ 補助先：国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) ◆ 補助率：定額 ※AMEDにおいて公募により研究者・民間事業者等を選定

# 2

## 小児用医薬品開発促進に向けた 薬事制度の見直し

ひと、くらし、みらいのために



厚生労働省  
Ministry of Health, Labour and Welfare

# 小児用医薬品に関連する主なガイダンス・ガイドライン

2000年12月15日 医薬審第1334号	ICH-E11 小児集団における医薬品の臨床試験
2001年6月22日 事務連絡	小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンスに関する質疑応答集（Q&A）について
2017年12月27日 薬生審査発1227第5号	小児集団における医薬品開発の臨床試験に関するガイダンスの補遺について
2015年9月30日 薬食審査発0930第1号	「小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイダンス」について
2020年6月30日 事務連絡	成人と合わせて評価可能な小児（10歳又は12歳以上の小児）の臨床評価の留意点について
2025年3月21日 薬機審長発第1618号他	小児用医薬品の開発促進に向けた取組について
2025年11月27日 事務連絡	小児治験における同意説明文書及びアセント文書の文書例の活用について（依頼）
2020年8月31日 薬生薬審発0831第5号	特定用途医薬品の指定に関する取扱いについて
2020年8月31日 薬生発0831第11号	医療用医薬品の再審査期間について
2024年1月16日 医薬薬審発0116第3号	「再審査期間の取扱いについて」の一部改正について
2020年11月26日 事務連絡	小児に対する用法・用量の開発に伴う再審査期間の延長に関する質疑応答集（Q&A）について
2024年1月12日 医薬薬審発0112第3号	成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について
2024年3月29日 医薬薬審発0329第1号	「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」の一部改正について
2024年3月29日 事務連絡	成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定についての質疑応答集（Q&A）について

# 小児用医薬品に関連する主なガイダンス・ガイドライン

2000年12月15日 医薬審第1334号	ICH-E11 小児集団における医薬品の臨床試験
2001年6月22日 事務連絡	小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンスに関する質疑応答集（Q&A）について
2017年12月27日 薬生審査発1227第5号	小児集団における医薬品開発の臨床試験に関するガイダンスの補遺について
2015年9月30日 薬食審査発0930第1号	「小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイダンス」について
2020年6月30日 事務連絡	成人と合わせて評価可能な小児（10歳又は12歳以上の小児）の臨床評価の留意点について
2025年3月21日 薬機審長発第1618号他	小児用医薬品の開発促進に向けた取組について
2025年11月27日 事務連絡	小児治験における同意説明文書及びアセント文書の文書例の活用について（依頼）
2026年2月27日 医薬薬審発0227第9号	「特定用途医薬品の指定に関する取扱いについて」の一部改正について
2026年2月27日 医薬発0227第1号	「医療用医薬品の再審査期間について」の一部改正について
2026年2月27日 医薬薬審発0227第2号	「再審査期間の取扱いについて」の一部改正について
2026年2月27日 事務連絡	再審査期間の取扱いについての質疑応答集（Q&A）について
2026年2月27日 医薬薬審発0227第8号	「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」の一部改正について
2026年2月27日 事務連絡	成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定についての質疑応答集（Q&A）の改正について

# 小児用医薬品のドラッグロス解消に向けた制度的対応

## 小児用医薬品開発の計画策定の努力義務化

- 医療用医薬品の承認申請時に、**小児用医薬品の開発計画を策定することを努力義務化**してはどうか。ただし、小児に関する需要がない又は充足している場合は例外とする。
- 小児用医薬品の開発計画が策定された医薬品の再審査期間について、すでに10年が設定されている場合は延長の余地がない現状を踏まえ、**再審査期間延長に係る上限を12年に引き上げる**。

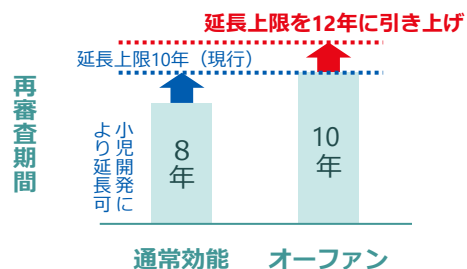
## 特定用途医薬品に係る制度の見直し

- 小児用医薬品等の開発の支援を行う特定用途医薬品指定制度の対象について、**用量追加や剤形追加の申請区分のみならず、新有効成分等の申請区分も対象にする**こととする（省令事項）。
- あわせて、再審査期間についても、現在は効能追加や剤形追加を前提として**4年以上6年未満**となっていることから、**申請区分に応じて再審査期間が設定されるよう見直す**こととする。

### 成人の開発時の 小児開発計画策定



### 再審査期間の延長上限



### 特定用途医薬品の対象申請区分（改正前）

- ① 用法又は用量の変更
- ② 剤形の追加
  - 新有効成分含有医薬品等は含まれない
  - 薬機法等において、特定用途医薬品の再審査期間は、4年以上6年未満とされている

# 3

## 小児用医薬品の開発のための 臨床試験計画

# 「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」の一部改正について（2026年2月27日医薬薬審発0227第8号）

## 1. 小児用医薬品の開発について

（略）

本通知の対象となる小児用医薬品の開発とは、医療上の必要性に基づき、以下の（1）から（3）のいずれか又は複数に該当する開発を行う場合を指す。

- （1） 効能・効果において成人と小児が区別される医薬品において  
効能・効果の対象に小児を含めるために行う開発
- （2） 小児における適切な用法・用量を設定するために行う開発
- （3） 成人用とは異なる小児用の剤形の開発

# 成人と合わせて評価可能な小児（10歳又は12歳以上の小児）の臨床評価の留意点について（2020年6月30日事務連絡）

## I. 総論

1. 背景及び目的
2. 対象年齢について
3. 対象疾患について
4. 小児を組入れる臨床試験について
5. 市販後の情報収集及び情報提供について
6. 倫理的配慮
7. ICH の小児関連のガイドラインとの関係
8. 各薬剤開発において考慮する事項について

## II. 対象疾患毎の事項

1. 2型糖尿病
2. 家族性高コレステロール血症
3. アレルギー疾患
  - 3-1 気管支喘息
  - 3-2 アレルギー性鼻炎
4. 抗ウイルス薬、抗菌薬
5. 造血器悪性腫瘍

### 1. 2型糖尿病 2. 家族性高コレステロール血症 3. アレルギー疾患

- (1) 病態について
- (2) 治療実態について
- (3) 成人と合わせて開発が可能と考える理由
- (4) 対象となる年齢層について
- (5) 臨床評価方法
- (6) 市販後の情報収集
- (7) その他の留意点

### 4. 抗ウイルス薬、抗菌薬

- (1) 既存ガイドライン等との関係
- (2) 感染症の病態について
- (3) 成人と合わせて開発が可能と考える理由及び対象とする年齢層について
- (4) 臨床評価方法
- (5) 市販後の情報収集
- (6) その他の留意点

### 5. 造血器悪性腫瘍

- (1) 「小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイダンス」との関係
- (2) 病態について
- (3) 治療実態について
- (4) 成人と合わせて開発が可能／必要と考える理由
- (5) 対象となる年齢層について
- (6) 臨床評価方法
- (7) 市販後の情報収集
- (8) その他の留意点

## 新医薬品承認審査実務に関わる審査員のための留意事項（H20.4.17）

- 1) **目的とする効能・効果を鑑み開発コンセプト、データパッケージ及び試験デザインが適切か**
- 2) 提出された資料におけるデータの信頼性が確保されているか
- 3) 有効性及び安全性に関し、民族的要因による重大な差異はないか  
（海外臨床試験結果が評価資料として提出されている場合）
- 4) 有効性に関し、**プラセボ又は他用量等に対する優越性が検証されているか**
- 5) 有効性に関し、**プラセボによる反応率が一定と推定される領域か**
- 6) 有効性に関し、**標準薬に対する非劣性／優越性が検証されているか**
- 7) **非盲検非対照試験であっても、有効性が十分に確認されているといえるか**
- 8) 試験間で主要な結果に矛盾がないか
- 9) 認められたリスクがコントロール可能か、また、ベネフィットと比較して認められたリスクが許容可能であるか
- 10) 申請資料で示された非臨床試験の試験成績において懸念すべき点がないか
- 11) 申請資料で示された有効性・安全性と同等の有効性・安全性を示す新医薬品を恒常的に生産できる品質確保の方策が採られているか

# 新医薬品承認審査実務に関わる審査員のための留意事項（H20.4.17）

- 1) 目的とする効能・効果を鑑み開発コンセプト、データパッケージ及び試験デザインが適切か
- 2) ● 開発する新医薬品が、臨床現場のニーズに則したものであるか
- 3) ● 必要な試験成績が全て提出されているか
- 3) ● 対象患者が適切に設定され、選択されているか
- 設定されている用法・用量が適切か
- 4) ● 症例数が適切に設定されているか
- 無作為化及び盲検化が適切に実施されているか
- 5) ● 評価項目が適切か
- 6) ● 有害事象が適切に収集され、評価されているか
- 7) 非盲検非対照試験であっても、有効性が十分に確認されているといえるか
- 8) 試験間で主要な結果に矛盾がないか
- 9) 認められたリスクがコントロール可能か、また、ベネフィットと比較して認められたリスクが許容可能であるか
- 10) 申請資料で示された非臨床試験の試験成績において懸念すべき点がないか
- 11) 申請資料で示された有効性・安全性と同等の有効性・安全性を示す新医薬品を恒常的に生産できる品質確保の方策が採られているか

## 新医薬品承認審査実務に関わる審査員のための留意事項（H20.4.17）

- 1) 目的とする効能・効果を鑑み開発コンセプト、データパッケージ及び試験デザインが適切か
- 2) 提出された資料におけるデータの信頼性が確保されているか
- 3) 有効性及び安全性に関し、民族的要因による重大な差異はないか  
（海外臨床試験結果が評価資料として提出されている場合）
- 4) 有効性に関し、**プラセボ又は他用量等に対する優越性が検証されているか**
- 5) ● プラセボ対照比較試験又は2用量以上が設定された臨床試験において、**プラセボ又は他の用量群に対する優越性が検証されているか**
- 6) ● 評価指標が適切であり、**認められた有意な群間差が臨床的に意義がある**といえるか
- 7) ● 盲検性が適切に担保されていたか
- 8) ● 交絡因子が存在し、結果に重大な影響を及ぼしていないか
- 9) リスクが許容可能であるか
- 10) 申請資料で示された非臨床試験の試験成績において懸念すべき点がないか
- 11) 申請資料で示された有効性・安全性と同等の有効性・安全性を示す新医薬品を恒常的に生産できる品質確保の方策が採られているか

## 新医薬品承認審査実務に関わる審査員のための留意事項（H20.4.17）

- 1) **目的とする効能・効果を鑑み開発コンセプト、データパッケージ及び試験デザインが適切か**
- 2) 提出された資料におけるデータの信頼性が確保されているか
- 3) 有効性及び安全性に関し、民族的要因による重大な差異はないか  
（海外臨床試験結果が評価資料として提出されている場合）
- 4) 有効性に関し、**プラセボ又は他用量等に対する優越性が検証されているか**
- 5) 有効性に関し、**プラセボによる反応率が一定と推定される領域か**
- 6) ● **過去に実施されたプラセボ対照試験の結果から、プラセボ反応率が一定**  
7) **であることが立証されているか**
- 8) ● **プラセボ対照試験が実施されていなくても、対象疾患の性質、薬物動態と**  
9) **臨床効果との相関性等から、対象とする疾患におけるプラセボ反応率が**  
10) **ほぼ一定であると推定可能であるか**
- 11) ● **公表されている論文、学会のガイドライン等における記載から、対象とする**  
10) **疾患におけるプラセボ反応率がほぼ一定であると推定可能であるか**
- 11) 申請資料で示された有効性・安全性と同等の有効性・安全性を示す新医薬品を恒常的に生産できる品質確保の方策が採られているか

## 新医薬品承認審査実務に関わる審査員のための留意事項（H20.4.17）

- 1) 目的とする効能・効果を鑑み開発コンセプト、データパッケージ及び試験デザインが適切か
- 2) 提出された資料におけるデータの信頼性が確保されているか
- 3) 有効性及び安全性に関し、民族的要因による重大な差異はないか（海外臨床試験結果が評価資料として提出されている場合）
- 4) 有効性に関し、**プラセボ又は他用量等に対する優越性が検証されているか**
- 5) 有効性に関し、**プラセボによる反応率が一定と推定される領域か**
- 6) 有効性に関し、**標準薬に対する非劣性／優越性が検証されているか**
- 7) ● **対照薬**が適切か
- 8) ● **対照薬で設定されている用量**が適切か
- 9) ● 盲検性が適切に担保されていたか
- **評価指標**が適切であり、**予め設定された非劣性限界**が適切か（非劣性の場合）
- 10) ● 評価指標が適切であり、優越性が示されている場合には、**認められた有意な群間差が臨床的に意義**があるといえるか（優越性の場合）
- 11) ● **交絡因子**が存在し、結果に重大な影響を及ぼしていないか

## 新医薬品承認審査実務に関わる審査員のための留意事項（H20.4.17）

- 1) **目的とする効能・効果を鑑み開発コンセプト、データパッケージ及び試験デザインが適切か**
- 2) 提出された資料におけるデータの信頼性が確保されているか
- 3) 有効性及び安全性に関し、民族的要因による重大な差異はないか  
（海外臨床試験結果が評価資料として提出されている場合）
- 4) 有効性に関し、**プラセボ又は他用量等に対する優越性が検証されているか**
- 5) 有効性に関し、**プラセボによる反応率が一定と推定される領域か**
- 6) 有効性に関し、**標準薬に対する非劣性／優越性が検証されているか**
- 7) **非盲検非対照試験であっても、有効性が十分に確認されているといえるか**
- 8) ● プラセボ対照試験、既存薬との非劣性試験が実施されていないことについて、  
9) **合理的な理由**が認められているか
- 10) ● 類薬等で明確な有効性を示す臨床試験結果が得られているか
- 11) ● 薬理学的な作用機序が明確であるか
- **主要評価項目が客観的な指標により評価**されているか

## 【参考】 生物学的同等性試験ガイドライン

### 生物学的同等性 試験

- 生物学的同等性試験を行う目的は、先発医薬品に対する後発医薬品の治療学的な同等性を保証することにある。
- 生物学的同等性試験では、通常、先発医薬品と後発医薬品のバイオアベイラビリティを比較する。
  - バイオアベイラビリティ：有効成分の未変化体又は活性代謝物が体循環血中に入る速度及び量

### 薬力学的試験

- 本試験は、ヒトにおける薬理効果を指標に、治療学的同等性を証明する試験である。
- 血中又は尿中の未変化体又は活性代謝物の定量的測定が困難な医薬品、及びバイオアベイラビリティの測定が治療効果の指標とならない医薬品に対して適用される。

### 臨床試験

- 本試験は臨床効果を指標に、治療学的同等性を証明する試験である。
- 生物学的同等性及び薬力学的試験が困難あるいは適切でないときに適用される。

## 【参考】 生物学的同等性試験ガイドライン

### PKパラメータ

- 生物学的同等性試験を行う目的は、先発医薬品に対する後発医薬品の治療学的な同等性を保証することにある。
- 生物学的同等性試験では、通常、先発医薬品と後発医薬品のバイオアベイラビリティを比較する。
  - バイオアベイラビリティ：有効成分の未変化体又は活性代謝物が体循環血中に入る速度及び量

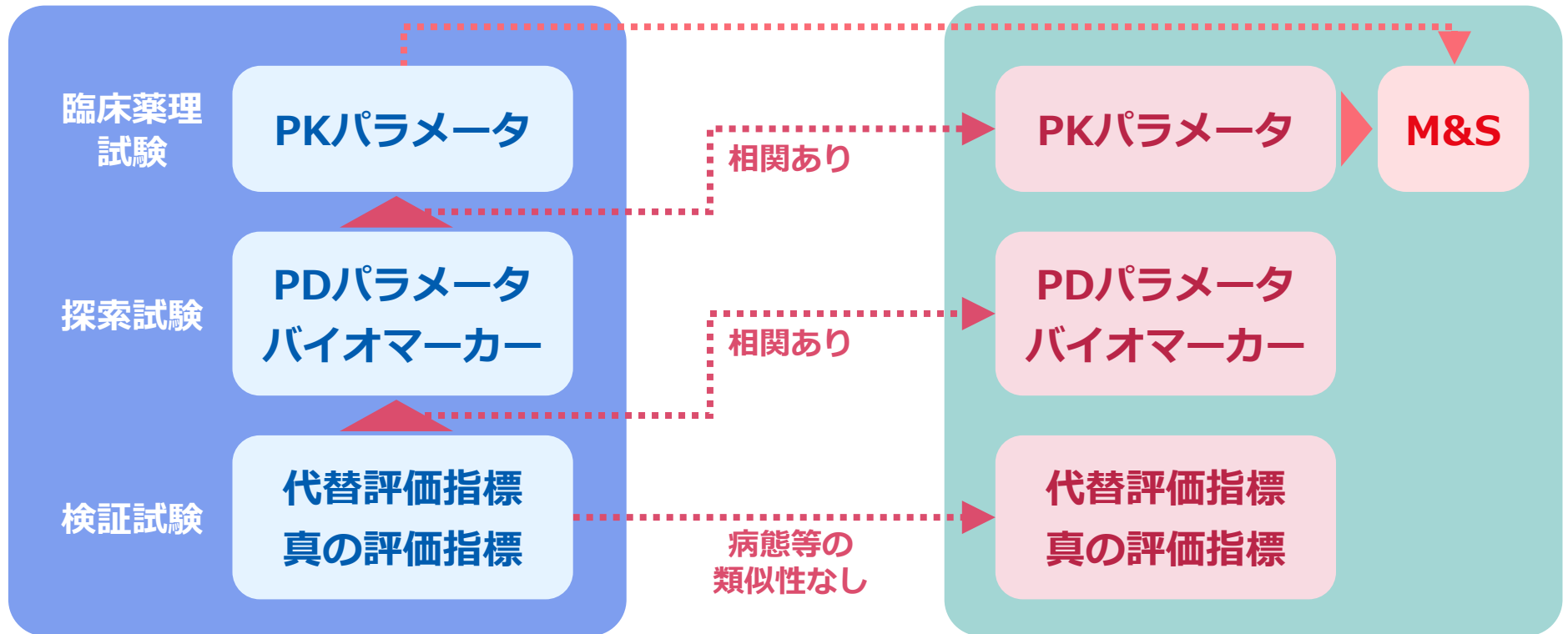
### PDパラメータ バイオマーカー

- 本試験は、ヒトにおける薬理効果を指標に、治療学的同等性を証明する試験である。
- 血中又は尿中の未変化体又は活性代謝物の定量的測定が困難な医薬品、及びバイオアベイラビリティの測定が治療効果の指標とならない医薬品に対して適用される。

### 代替評価指標 真の評価指標

- 本試験は臨床効果を指標に、治療学的同等性を証明する試験である。
- 生物学的同等性及び薬力学的試験が困難あるいは適切でないときに適用される。

# 小児用医薬品の臨床試験計画（イメージ）



# 臨床試験デザインの要素例

群の設定	割付	盲検化	対照群	試験目的
並行群間比較試験	無作為化	二重盲検	実薬	優越性
クロスオーバー試験	非無作為化	評価者盲検	プラセボ	仮説検定 ・検出力 ・マージン
単群試験		単盲検	無治療	非劣性
		非盲検		記述統計

# 腎臓難病の克服を目指して ドラッグラグ・ロスの現況と解消に向けて

Opening Remarks ..... 南学正臣 (一般社団法人日本腎臓学会 理事長・東京大学)

ご挨拶 ..... 山田洋輔 (厚生労働省 健康局・生活衛生局難病課)

基調講演 1 司会：南学正臣 (東京大学)、柏原直樹 (川崎医科大学高齢者医療センター)

## 我が国の創薬力向上に向けての課題とPMDAの取り組み

..... 藤原康弘 (独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) 理事長)

基調講演 2 司会：丸山彰一 (名古屋大学)、柏原直樹

## 医薬品の承認制度について

..... 紀平哲也 (厚生労働省 医薬局 医薬品審査管理課長)

講演 司会：岡田浩一 (埼玉医科大学)、中川直樹 (旭川医科大学)

## 腎臓難病における新薬開発の現況とエンドポイントの動向

..... 猪阪善隆 (大阪大学)

## IgA腎症治療薬開発の現況

..... 鈴木祐介 (順天堂大学)

## サロゲートエンドポイントとしてのタンパク尿の意義

..... 矢野裕一郎 (順天堂大学)

## 難治性腎疾患研究班事業 (J-IGACS) の解析結果

..... 坪井伸夫 (東京慈恵会医科大学)

## J-CKD-DB の解析結果

..... 板野精之 (川崎医科大学)

総合討論 司会：岡田浩一、柏原直樹

..... 猪阪善隆、鈴木祐介、丸山彰一、中川直樹

Closing Remarks ..... 柏原直樹 (NPO 法人日本腎臓病協会 理事長・川崎医科大学高齢者医療センター)

2025

11/26 水

定員  
160名

ホテル東京ガーデンパレス

2F 天空の間 東京都文京区湯島 1-7-5  
(御茶ノ水駅徒歩 5分)

14:00~16:00 受付13:30~

日本腎臓学会ならびに日本腎臓病協会会員/メディア関係者：参加費無料  
上記以外の方：参加費 5,000円

# 4

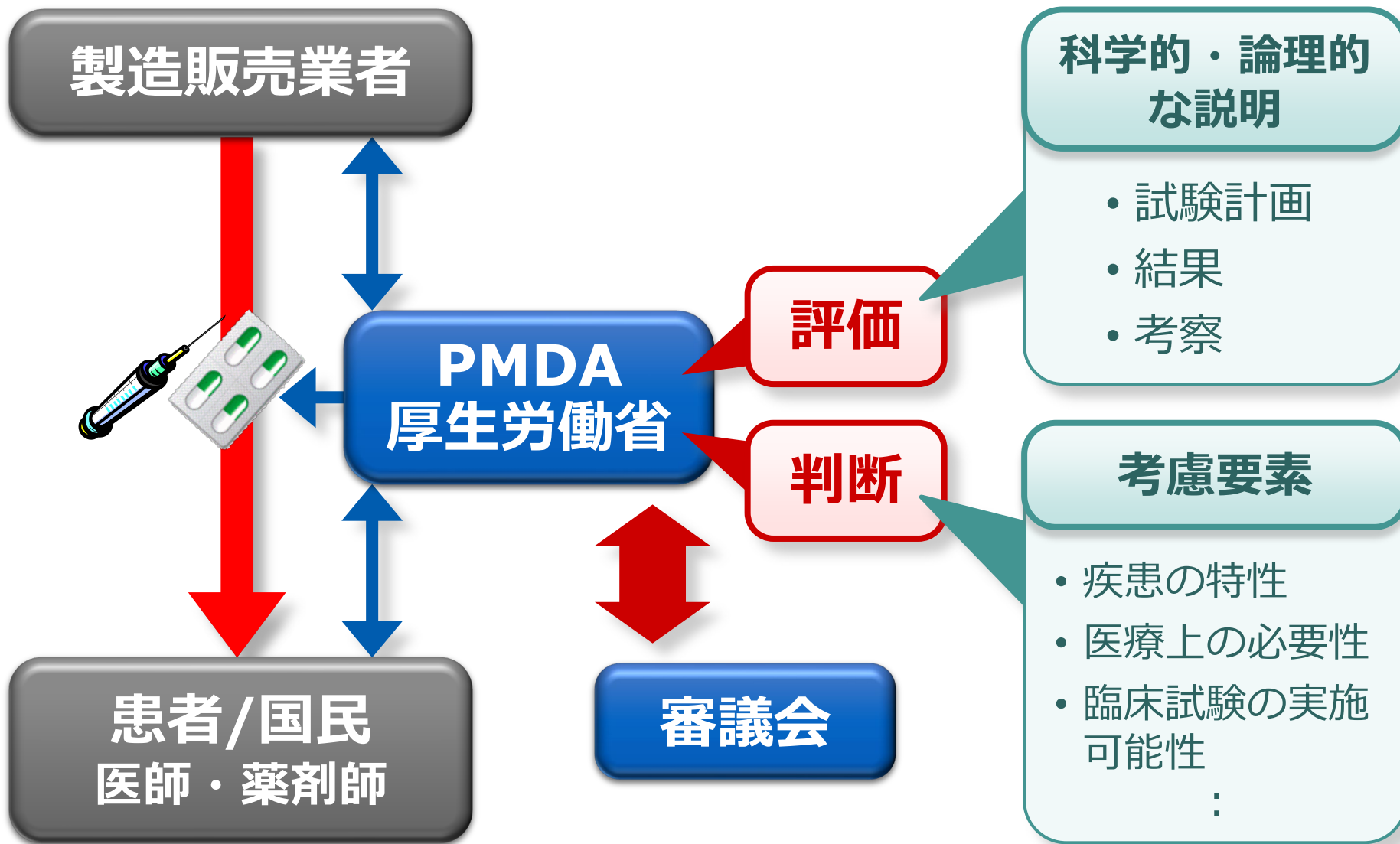
## 小児用医薬品の開発促進に向けて

ひと、くらし、みらいのために



厚生労働省  
Ministry of Health, Labour and Welfare

# 医薬品の承認審査



# 医薬品の審査・承認制度に関する見直し

- **海外開発先行品の国際共同治験前の日本人第1相試験は原則不要へ**
  - 国際共同治験の開始前における日本人での第I相試験の実施に関する基本的な考え方をとりまとめ
- **希少疾病等に用いる医薬品について海外においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における日本人データに係る基本的考え方**
  - 日本人患者を対象とした臨床試験成績がなくとも承認申請を行うことが可能と考えられる場合をとりまとめ
- **バイオ後続品の同等性検証における日本人データの必要性**
  - 被験者の民族的要因が試験結果に影響しないと考えられる場合には、日本人を組み入れた臨床試験を実施しないことで差し支えない
- **条件付承認制度の見直し**
  - 臨床的有用性が合理的に予測可能な場合に、承認を可能とする
- **製造方法等の変更管理における中等度変更事項・年次報告の導入**
  - 医薬品の規格・試験方法、製造方法について、変更による品質への影響が中等度である場合には迅速に承認するとともに、軽微な変更の一部については年に1回報告し、確認を受けることで変更を行うことを可能とする

申請者による検討と説明の重要性

ご清聴ありがとうございました



## 医薬品医療機器情報配信サービス（PMDAメディナビ）

<http://www.pmda.go.jp/safety/info-services/medi-navi/0007.html>

無料登録で、医薬品・医療機器の安全性情報、医薬品の承認情報がタイムリーにメールで配信されます。

PMDAメディナビ

検索

The screenshot shows the PMDA website interface. At the top, there are navigation links for '本文へ', 'ホーム', 'English', 'サイトマップ', and 'お問い合わせ先'. A search bar contains 'PMDAメディナビ'. Below the search bar, there are buttons for 'よく見るページ一覧', 'サイト内検索', and '検索'. A warning icon indicates '安全性情報・回収情報等'. There are also buttons for '添付文書等検索' and '各種様式ダウンロード'. The main navigation menu includes '業務別', '訪問者別', and '製品種類別'. Under '業務別', there are links for '承認審査関連業務', '安全対策業務', '健康被害救済業務', 'レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方', and '国際関係業務 (ICH・IMDRF等)'. A central message box contains the following text: 

PMDAメディナビ、登録証明書に関するお問い合わせについてのお願い  
現在、PMDAメディナビ登録証明書の発行等について、大変多くのお問い合わせを受けており、対応にお時間をいただいております。  
お問い合わせの前に、上記のリンク先ページにある、よくあるご質問（Q&A）等をご確認ください。  
なお、お電話での問い合わせは繋がりにくくなっておりますので、お問い合わせの際はメールにてご連絡をいただき、折り返しのご連絡をお待ちください。

 Below this message is a large blue banner for 'PMDA Updates' with the text '→ 詳細はこちら'. At the bottom, there are several icons and links: '報告受付サイト', '医薬品副作用被害救済制度', '医薬品副作用被害救済制度 eラーニング講座', and 'PMDA Updates'.