

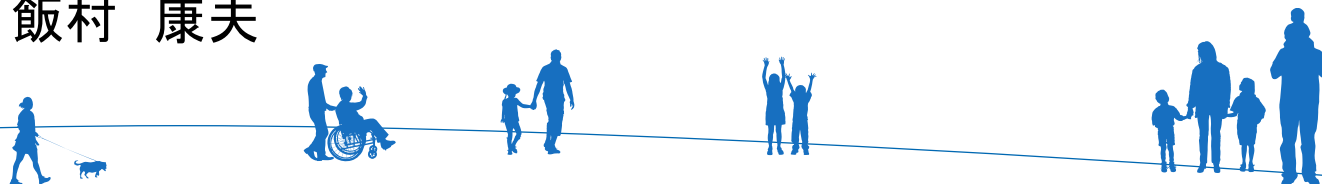
小児用医薬品の開発促進に向けたPMDAの取組

令和8年3月17日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

執行役員(新薬審査等部門担当)

飯村 康夫



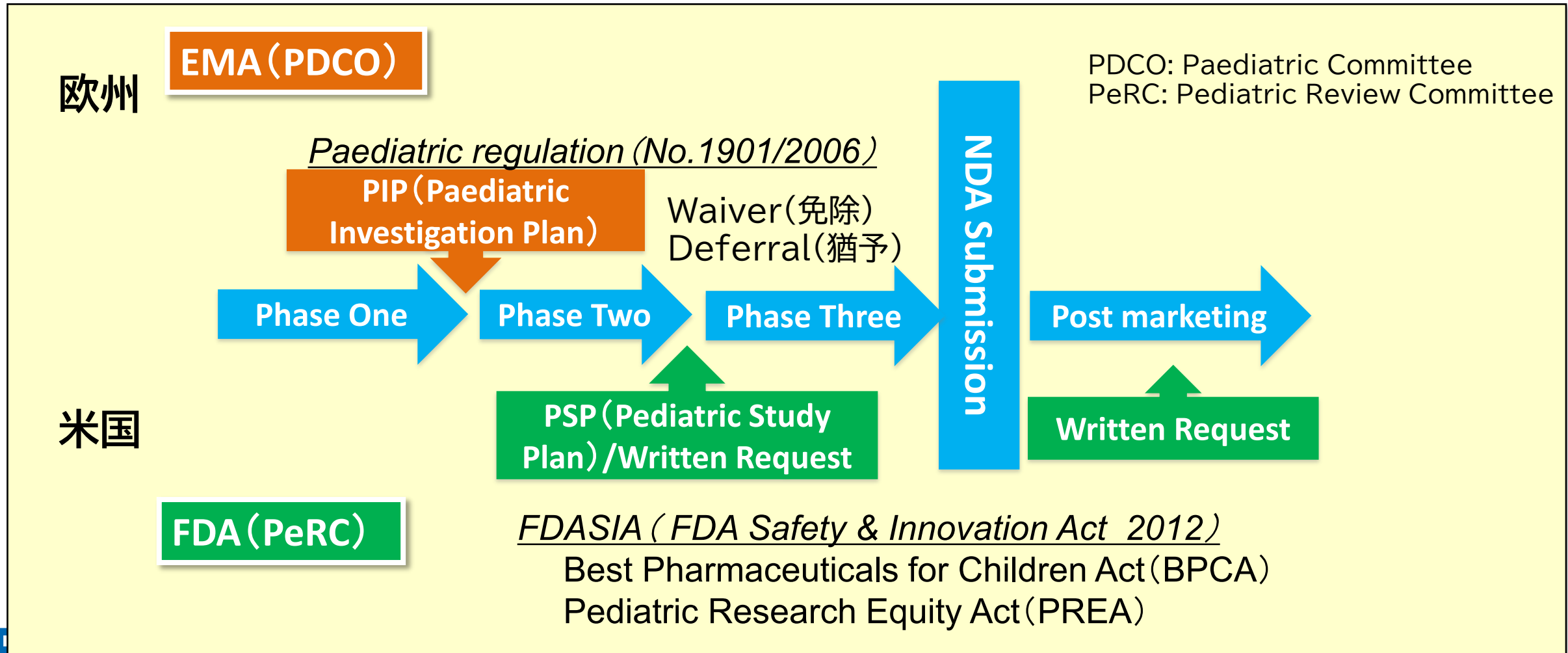
本日の内容

- これまでの国内外の取組み
- 日本における最近の取組み
- 小児用医薬品へのアクセス向上に向けて



海外における小児用医薬品の開発

欧米では小児用医薬品の開発が法制化されており、成人の開発過程で小児開発が検討される。



日本のこれまでの主な取り組み

インセンティブ等

- 薬価加算(小児加算5~20%)
- 再審査期間の延長

小児用医薬品開発の検討、効率化等

- 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
- 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
- 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

承認審査の取扱い

- 特定用途医薬品等指定制度

研究開発の支援・環境整備等

- 小児治験ネットワーク
- 小児医薬品開発ネットワーク事業



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日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は**143品目**。
- 未承認薬143品目中、**国内開発未着手の医薬品は86品目（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	143	57	86 (品目)

内訳

日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	希少疾病用医薬品 (オーファン)	小児用医薬品
56% (48品目)	47% (40品目)	37% (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に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

厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」研究班 整理結果公表(2025.3.31)

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日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は143品目。
- 未承認薬143品目中、**国内開発未着手の医薬品は86品目（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

日本国内未着手の品目内訳

	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	143	57	86 (品目)

※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）
 ※1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年3月時点で日本では承認されていない品目を国内開発の未着手として集計
 ※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
 ※4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までに受けた品目をオーファンとして集計
 ※5：2022年3月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

【特別研究班による分類結果】

- グループA「開発の必要性が特に高い医薬品」：14品目
- グループB「開発の必要性が高い医薬品」：41品目
- グループC「開発の必要性が低い医薬品」：11品目
- グループD「開発の必要性がない医薬品」：12品目

その他「既にドラッグ・ロスが解消されている医薬品」：8品目

グループA「開発の必要性が特に高い医薬品」:14品目

(国内に類薬や標準的治療法がないなど、臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品と判断されたもの)

品目 番号	販売名	成分名(一般名)	効能・効果
1	OXLUMO	ルマシランナトリウム	原発性高シュウ酸尿症 I 型
2	DETECTNET	銅-64ドータテート	神経内分泌腫瘍の診断における陽電子放射断層撮影(PET)
3	DOJOLVI	トリヘプタノイン	長鎖脂肪酸酸化障害
4	ARTESUNATE	アルテスネイト	成人および小児の重症マラリアの治療
5	AYVAKIT	アバプリチニブ	成人の切除不能または転移性の消化管間質腫瘍(GIST)で、血小板由来増殖因子受容体 α (PDGFRA)エクソン18に特定の変異(D842V)を有する症例
6	AKLIEF	トリファロテン	顔や体幹の尋常性ざ瘡
7	GA-68-DOTATOC	ガリウム-68エドトレオチド	陽電子放射断層撮影(PET)によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影
8	XENLETA	レファムリン酢酸塩	細菌性の市中肺炎(CABP)の治療
9	PRETOMANID	プレトマニド	多剤耐性結核
10	ZULRESSO**	ブレキサノロン	産後うつ病(PPD)
11	NUZYRA	オマダサイクリントシル酸塩	細菌性肺炎、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症
12	OMEGAVEN	精製魚油	非経口栄養関連胆汁うっ滞
13	NETSPOT	ガリウム-68ドータテート	陽電子放射断層撮影(PET)によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影
14	ANTHIM	オビルトキサキシマブ	吸入炭疽の治療

※:小児を対象とし承認されているもの

本日の内容

- これまでの国内外の取組み
- 日本における最近の取組み
- 小児用医薬品へのアクセス向上に向けて



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

(厚生労働省 医薬局)

(2023.7.10~2024.3.21)

□開発促進

✓ 希少疾病用医薬品の指定のあり方

✓ 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

□臨床試験

✓ 我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理

✓ 治験の更なる効率化(エコシステム)

□市販後安全対策

✓ 製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方

✓ リアルワールドデータの活用のあり方

□品質

✓ 医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方

□情報発信

✓ 我が国の薬事制度に関する海外への情報発信

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 を踏まえた検討状況とその後の規制動向

(2023.7.10~2024.3.21)

検討テーマ

検討状況

小児用医薬品の開発促進
に資する薬事審査等のあり方

成人用の医薬品の開発時に、任意で、小児用の開発計画を策定し、PMDAの確認を受けられる仕組みを導入
(2024年1月12日及び3月29日に関連通知等を発出)



- PMDAにおいて、小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置、小児用医薬品開発計画確認相談の受付開始（2024年7月）



- 改正薬機法成立（2025年5月）
成人用の新薬の承認申請者に対し、小児用医薬品開発の計画策定を努力義務化



PMDAが行うドラッグロス対策について

希少疾病用医薬品、小児用医薬品などの実用化の支援

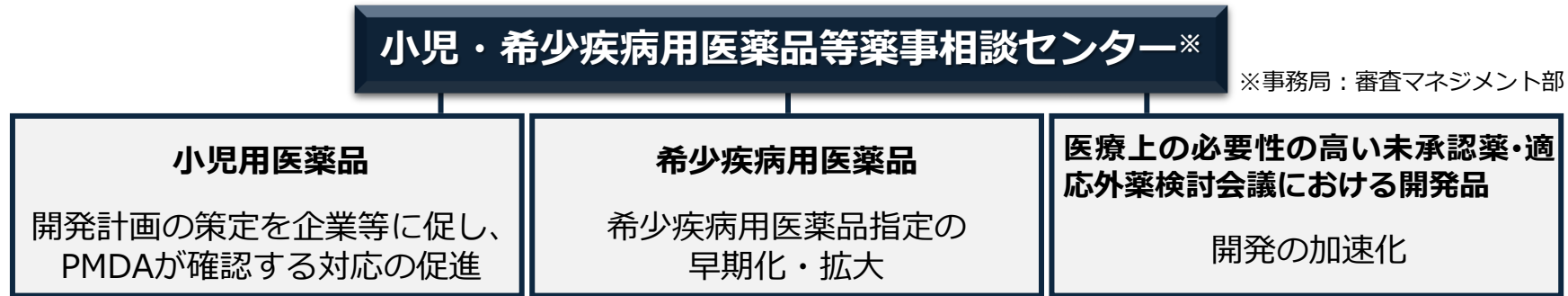
- ◆ **希少疾病用医薬品：指定の早期化など新たな仕組みに対応**
 - ⇒ 指定の早期実施（拡大部分は非優先品で始まり、エビデンスに応じて優先も可）
- ◆ **小児用医薬品：開発促進のための新たな仕組みに対応**
 - ⇒ 成人用医薬品の開発時に小児用医薬品開発の必要性確認（厚生労働省：薬価上のインセンティブを付与）
- ◆ **小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター設置（令和6年7月1日付け）**
 - ⇒ 当該センター事業を開始（新設した相談の実施／相談手数料の補助）
- ◆ **先駆的医薬品指定制度：総審査期間6か月を目指す**
- ◆ **先駆け総合評価相談：申込み全件対応**
- ◆ **治験エコシステムの早期導入を推進**
 - ⇒ 治験エコシステム導入推進事業を開始（選定された事業実施機関において課題を検討中）

海外発の革新的医薬品について日本での開発・導入に向けた環境整備と情報発信

- ◆ **海外の学会等において、海外ベンチャー企業等に日本の薬事制度・PMDA業務の情報発信・RS総合相談等を実施**
- ◆ **ワシントンD.C.事務所を窓口、海外のベンチャー企業等に対する相談・支援等の対応を実施**
- ◆ **国際共同治験参加に関する治験相談や日本での承認申請等に向けた的確な助言**
 - ⇒ 国際共同治験参加前に日本人第I相試験が必要ない場合の考え方や、希少疾病等で海外でのみ検証的臨床試験が実施された場合の日本人データの取扱いに係る考え方を通知で明示

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業の実施

- ◆ 小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために、令和6年(2024年)7月1日付けで設置した「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」において以下の事業を実施。



【小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業（相談の設置、相談手数料の補助）】

小児用医薬品開発計画確認相談

- ✓ 成人を対象とした医薬品の開発期間中に、小児を対象とした医薬品の開発計画を確認するもの。**当該確認は薬価上の加算等に繋がる。**

希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

- ✓ 開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価するもの。

医薬品申請データパッケージ相談（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開発品／医師主導治験による開発品）

- ✓ 主たる治験の試験デザイン等について指導及び助言を行うもの。
- ✓ 承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について主たる治験の結果等に基づき指導及び助言を行うもの。

医薬品公知申請品目該当性相談

- ✓ 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開発要請品について公知申請の該当性に係る情報の整理を行うもの。

「小児用医薬品の開発促進に向けた取組について」

薬機審長発第1618号 薬機RS長発第15号 令和7年3月21日

<https://www.pmda.go.jp/files/000274421.pdf>

PMDAの考え
を発信

- 成人対象のPOC試験以降の治験相談時
 - 企業は国内外の小児医薬品開発計画の有無を相談資料に記載（記載がない場合には、PMDAは企業に照会）



- 下記の場合、PMDAは開発企業に国内開発の検討を依頼
 - 国内の小児開発計画がない
 - 国内の小児開発計画が未定
- 相談記録にも記載

成人での開発段階から
小児開発を見据えた検討
を開始していただきたい

PMDAによる小児用医薬品に関連する通知・ガイドラインの情報発信

◆ 関連通知・ガイドラインに関する まとまった情報提供

レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方

小児・希少疾病用医薬品

[Click here for English Pages →](#)

小児・希少疾病用（オーファン）医薬品に関連する主なガイダンス・ガイドラインを掲載しています。

小児用医薬品

- [小児用医薬品の開発促進に向けた取組について \[203KB\]](#) / [English Version \[229KB\]](#)
(2025年3月21日薬機審長発第1618号・薬機RS長発第15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 \[195KB\]](#) / [English Version \[102KB\]](#)
(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質疑応答集（Q&A）について \[196KB\]](#) / [English Version \[140KB\]](#)
(2024年3月29日 事務連絡)

◆ 海外発信等を目的に、英訳の作成及び ウェブサイトへの掲載

Reviews and Related Services

Pediatric and Orphan Drugs

[Add this page](#)

[日本語ページはこちら →](#)

Links to major regulatory information of pediatric and orphan drugs.

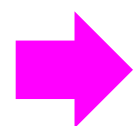
1. Regulations and Notifications

Pediatric Drugs

- [Initiatives to Promote Pediatric Drug Development \[229KB\]](#)
March 21, 2025 PMDA/CPE Notification No. 1618・PMDA/CRS Notification No. 15
- [Partial revision of "Planning of the Pediatric Drug Development Program during Development of Drugs for Adults" \[102KB\]](#)
March 29, 2024 PSB/PED Notification No. 0329-1

PMDA内での意見交換（2025年6～7月 3回開催） 「私たちPMDAが小児用医薬品の開発促進のために貢献 できることは？」

- 小児開発が進まない障壁は何か？
- 今後どのような検討が必要か？
- 今すぐ実行できることは何か？
- 日頃の業務に還元できることは何か？



- ✓ 欧米等で計画されている国際共同治験に日本からも参加
- ✓ PMDAもステークホルダーの1つとして一緒に開発する
というマインド



PMDA 小児用医薬品シンポジウム

「充実した小児薬物療法を目指し、国内外のStakeholderと共に歩む」

2025年8月27日(水)開催

時間	内容	講演者(敬称略)
12:30-13:00	オンライン開場	
13:00	開演	
13:00-13:05	開会の挨拶	PMDA 藤原康弘
13:05-13:35	基調講演:小児用医薬品のアクセス向上に向けて	PMDA 成川衛
13:35-14:05	特別講演1:アカデミア・日本小児科学会の取り組みとPMDA・行政・産業界への期待	日本小児科学会 滝田順子
14:05-14:35	特別講演2: Expectation for PMDA from other regulatory authority (EMA) 海外規制当局(EMA)からPMDAへの期待	欧州医薬品庁 Franca Ligas
14:35-14:40	休憩	
14:40-16:00	講演 ① 小児用医薬品開発の促進を目指して ～PMDAが貢献していくこと～ ① 産業界としてPMDAへの期待 ② 米国バイオ医薬品企業の立場からの見解 ③ 患者会の声から考える小児がん薬剤開発の未来	① PMDA 崎山美知代 ② 日本製薬工業協会 中路茂 ③ Bristol Myers Squibb Adam Levy Angela M. Davies ① 小児脳腫瘍の会 馬上祐子
16:00-16:15	休憩	
16:15-16:55	パネルディスカッション	座長:PMDA 飯村康夫 パネリスト:全講演者 厚生労働省 小川雄大 日本小児科学会 中村秀文
16:55-17:00	閉会の挨拶	PMDA 近藤恵美子

パネルディスカッションでは以下のテーマを議論

○欧米で検討される小児の臨床試験計画の最初の段階からどうやったら検討に加われるか？

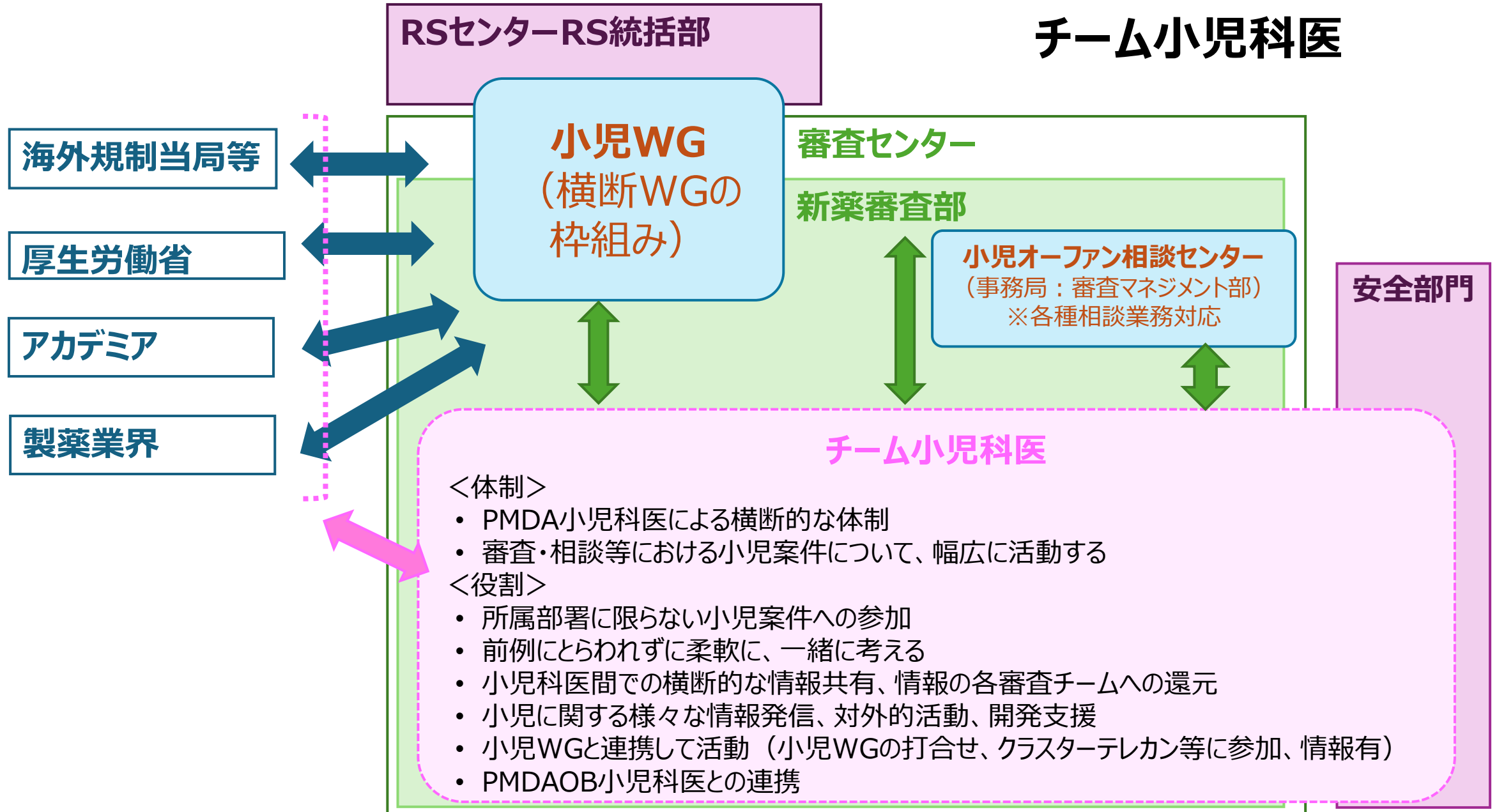
○試験計画の行政側の柔軟な受入れ

○小児用医薬品開発支援に向けたPMDAの体制強化

○患者参画のあり方



チーム小児科医



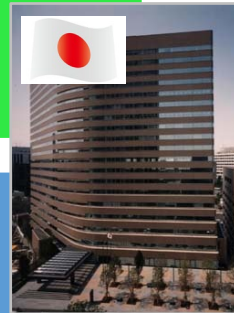
General Consultation Service at D.C. Office

- Guide for better understanding PMD Act
- Provide initial general comment on Japanese regulatory information
- Support procedures for formal consultation at PMDA Tokyo Office

15 General Consultations



7 Pre-Consultations at HQ



Formal Consultations (TBC)

No of consultations conducted (As of Dec.2025)

Startup companies
without base in Japan

PMDA
Washington D.C. Office
Free of Charge Consultation

[Pharmaceutical
affairs-related cases]

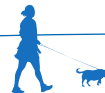
PMDA
Tokyo HQ

For advice on
individual
products, Review
Teams in HQ will
take over

[Non pharmaceutical
affairs-related cases]

Contact points according to
consultation contents

Check it out !



① 施策の目的

国際共同治験の実施体制の強化を行うため、日本国内に開発拠点を有さない海外のスタートアップや製薬企業から国内での治験・臨床試験の実施について相談を受付・支援、国内での知見等の実施を誘致することで、ドラッグ・ラグ/ロスの解消につなげる。

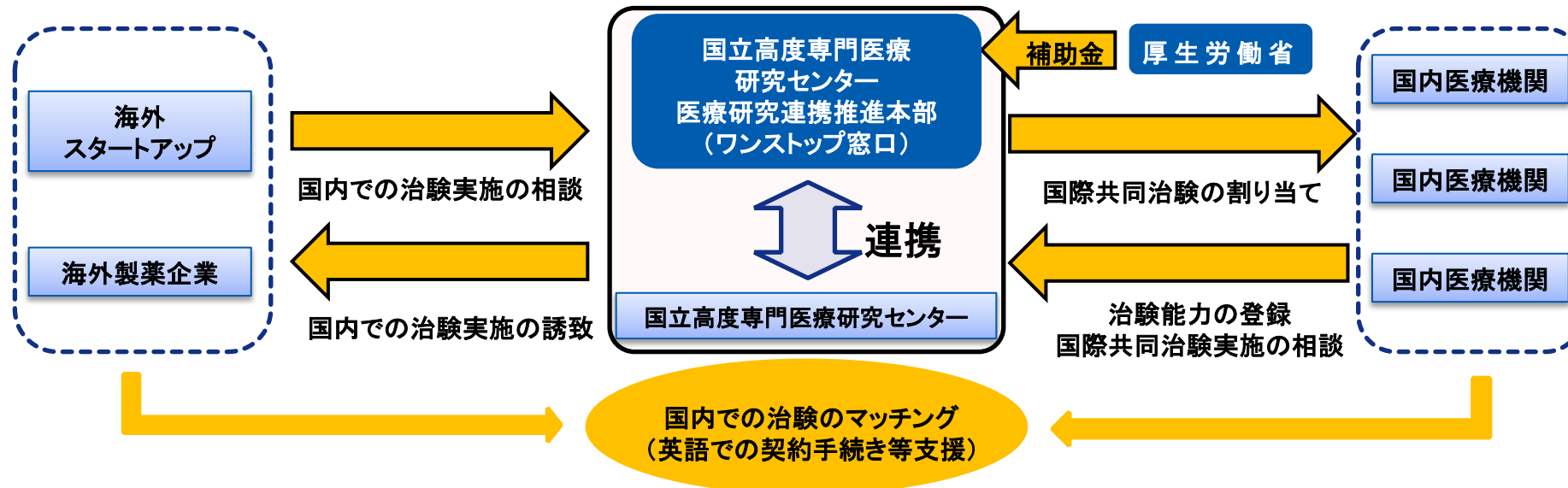
② 対策の柱との関係

I	II	III
○		

③ 施策の概要

日本国内に開発拠点を有さない海外のスタートアップや製薬企業に対し、国内での治験実施について相談を受け、国内での治験実施を調整するとともに、国内での治験の実施の誘致を行うワンストップサービス窓口の設置を行う。

④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等



⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

令和10年度におけるワンストップ窓口への国際共同治験の相談件数を年間15件とする。

国際共同治験ワンストップ窓口とPMDAの連携について

令和8年2月10日付で、「国際共同治験ワンストップ窓口とPMDAの連携について」(医政研発0210第1号、医薬薬審発0210第1号、医薬機審発0210第1号厚生労働省医政局研究開発政策課長、医薬局医薬品審査管理課長、医薬局医療機器審査管理課長連名通知)が発出されている。

1 対面助言の優先的な取扱い

(1) 国際共同治験ワンストップ窓口にご相談があった品目のうち、以下の①から③の全ての要件を満たすものについて、「独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う対面助言、証明確認調査等の実施要綱等について」(平成24年3月2日付け薬機発第0302070号独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通知)の優先的な対面助言として取り扱うこと。

- ① 対象となる疾患について国内で有効な治療薬がなく、類似の作用機序薬の開発が国内で行われていないため、国際共同治験ワンストップ窓口が医療上の必要性が高いと考えるもの。
- ② 医薬品及び再生医療等製品に関するもの。
- ③ 国内で治験を実施予定であるもの。

2) (1)により優先的な対面助言の対象とした品目のうち、開発企業が新興バイオ医薬品企業(Emerging Biopharma。例えば、グローバル全体での年間売り上げ5億米国ドル未満かつ年間研究開発費2億米国ドル未満の企業。)であり日本法人を有さないなどの事情により、国際共同治験ワンストップ窓口を利用する必要性が高い場合、個別に、国際共同治験ワンストップ窓口とPMDAが相談して、PMDAに対面助言の英語での対面助言資料提出を可能とすること。



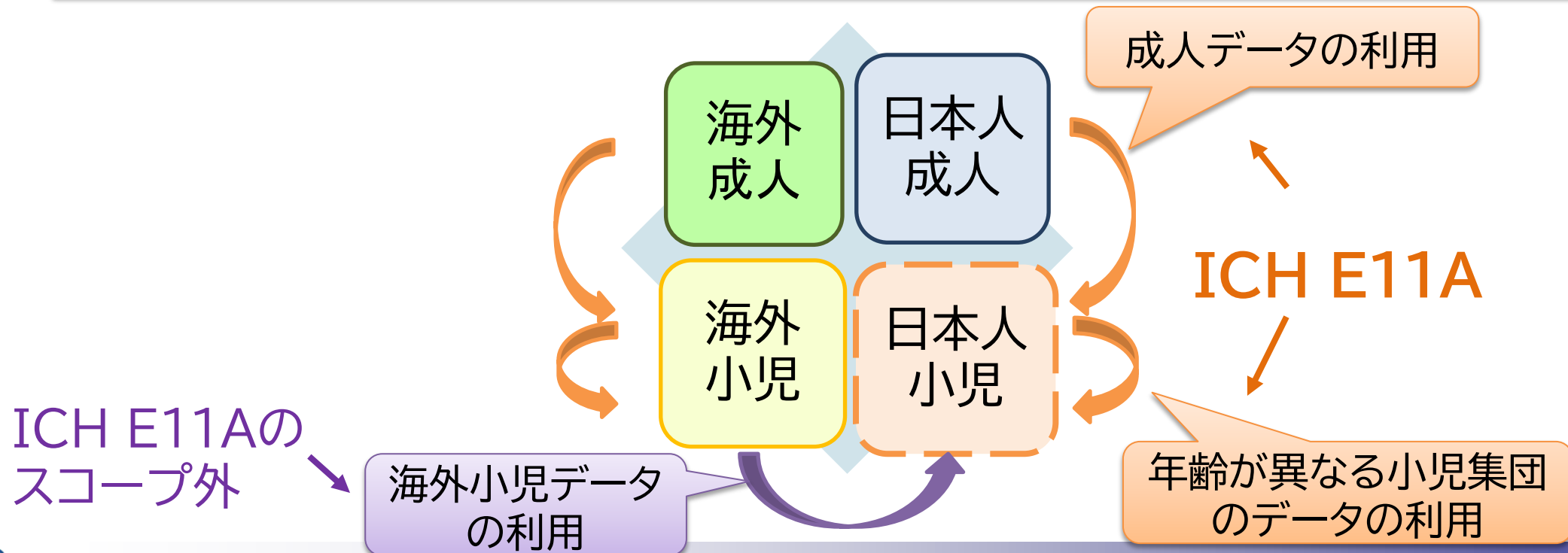
ICH E11A「小児用医薬品開発における外挿」とは？

Pediatric Extrapolation

https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_E11A_Guideline_Step4_2024_0821.pdf

疾患経過及び期待される医薬品への反応が、小児及び参照集団(成人又は他の小児集団)の間で十分に類似していると推定できる場合に、小児集団における医薬品の有効かつ安全な使用を支持するエビデンスを提供する手段。

ICH E11(R1):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



「小児用医薬品開発における外挿」 Pediatric Extrapolation

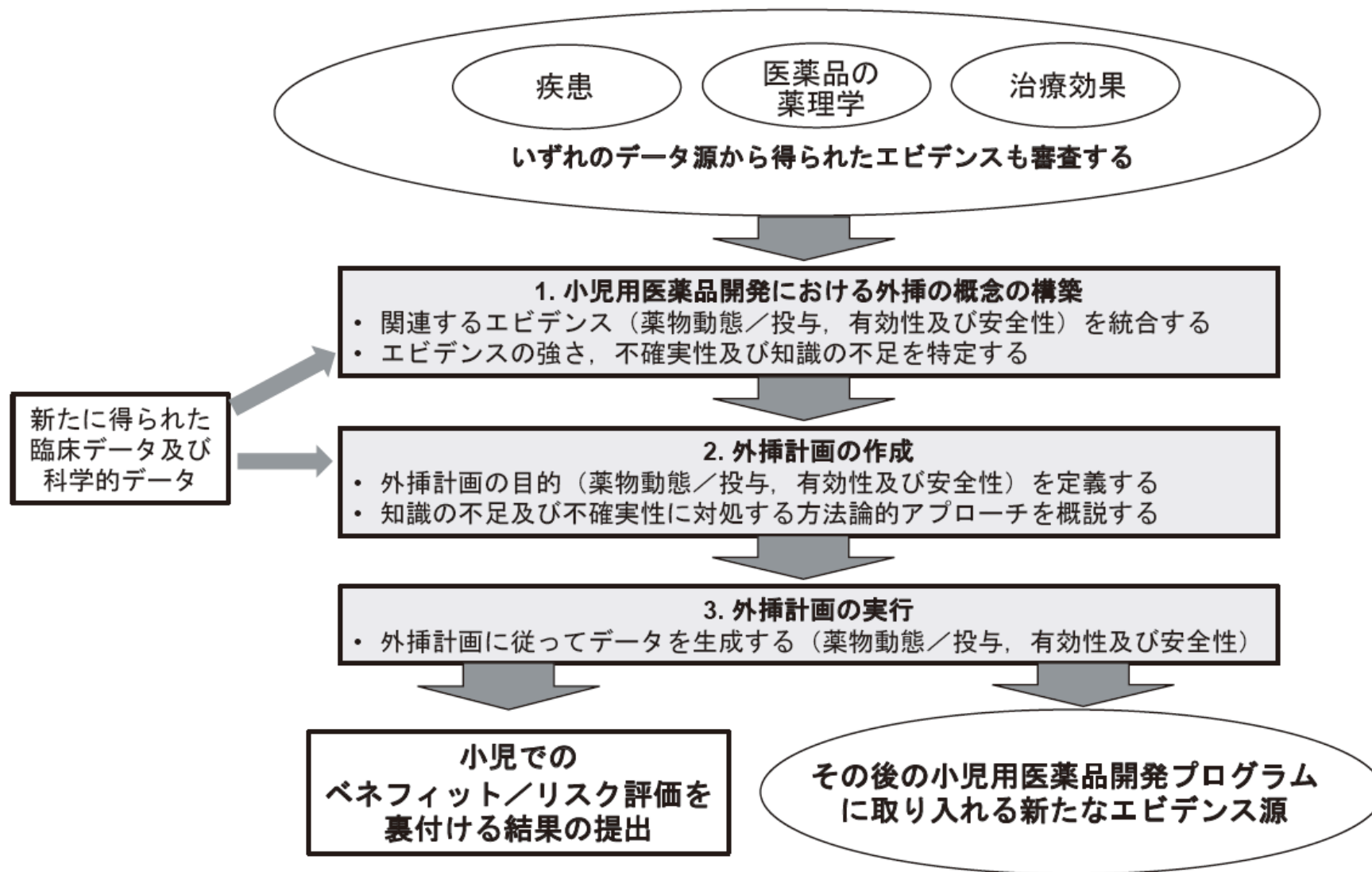


Fig. 2 小児用医薬品開発における外挿の枠組み (E11A²⁾より)

本日の内容

- これまでの国内外の取組み
- 日本における最近の取組み
- 小児用医薬品へのアクセス向上に向けて



1. 小児用医薬品の承認取得に際して必要とされる要件の明確化に係る研究

【研究計画】

- (1) 小児臨床試験の計画・実施時に考慮すべき事項の文書化
- (2) 成人と合わせて評価可能な小児の臨床評価の留意点の改訂
- (3) 小児の適応外公知申請等に係る指針の作成

2. 欧米で計画・実施される小児臨床試験への日本の参加促進に係る研究

【研究計画】

- EMA/FDAとの連携のもと、PMDAにおいて、欧州PIP、米国PSPの状況をモニター
- グローバル企業の日本法人から、自社製品のPIP/PSP情報を任意で提出していただくことも検討
- 日本での小児適応開発とギャップが生じている医薬品・適応をリスト化
- リストの公表、個別企業への小児開発の働きかけを行うことも検討



●小児を対象とした国際共同治験の内容がグローバルで固まる前に、 PMDAと相談を

小児医薬品開発における制度活用や、開発戦略について初期段階から助言を得たい場合

- ・小児医薬品開発で優先審査等の優遇措置を希望される場合は、特定用途医薬品の指定申請をご検討ください。
- ・小児医薬品開発の開発戦略全体の助言を希望される場合は、相談内容を明確にした上で対面助言をご利用ください。適切な相談枠が不明の場合は事前面談でご相談ください。



小児用医薬品開発を促進するために

- 産患官学での連携は必須
- 前例主義 ➡ 誰もが自らが開発者に！
- PMDAも柔軟に考えていくので、開発段階から一緒に相談しながら進めていきましょう。



ご清聴ありがとうございました

PMDA

健やかに生きる世界を、ともに

