

2026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
小児用医薬品開発の未来を描く～薬機法改正がもたらす新時代への挑戦
第一部：小児用医薬品開発促進に向けた産官学の取り組み

厚生労働指定研究
**「小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期
実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究」
の概要と提言**

研究代表者
国立成育医療研究センター
研究開発監理部 開発企画主幹

中村 秀文

今日のお話

1. **小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言の概要：特に本シンポジウムに関連した事項について**
2. **小児医薬品開発ネットワークの相談枠の新設について**

今日のお話

1. **小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言の概要：特に本シンポジウムに関連した事項について**
2. **小児医薬品開発ネットワークの相談枠の新設について**

背景

- 米国では 2017 年にがんに対する分子標的治療を開発する企業に小児用医薬品の開発を義務付ける法律 [the Research to Accelerate Cures and Equity \(RACE\) for Children Act](#) が制定
- 欧州でも小児規制の開発免除の要件の見直し
- 小児希少難治性疾患については、[海外で承認された医薬品について国内への導入が特に困難、さらに国内開発も進まない等](#)の問題を抱えている
- 小児希少難治性疾患においては、[小児がんと共通した障壁に加え、小児がんとは異なる課題](#)があるが、開発推進が急務
- 先行厚生労働科学研究「小児がん及び小児希少難治性疾患の医薬品開発の推進制度に資する調査研究」では推進制度の現状調査
- 先行厚生労働科学研究「特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における活用のための研究」において特定臨床研究の利活用に関するとりまとめ
- 令和 5 年度「創薬力の強化・安定供給の確保などのための薬事規制のあり方に関する検討会」等での検討⇒その後の通知発出等

目的

これまでに小児がん・小児希少難治性疾患を対象に国内で承認された医薬品（分子標的薬等）を対象に承認申請パッケージ・参考資料等の評価、類型化を行い、課題を整理・検討し、各類型・課題における新たな具体的開発・承認推進のためのスキームの検討を行う。先行研究で得られた国内外での規制や開発の最新状況、開発ラグの実態、海外での取り組みについての情報収集を活用することで、日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・承認後の追加データの収集などの在り方、またこれらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組みなども含めて包括的な提言を作成することを目的とする。

研究・会議参加者（敬称略）

小児がん分担班

- 国立がん研究センター：荒川 歩、小川 千登世、柴田 大朗、中村 健一、沖田 奈津子、内田 恵理子、白川 奈美
- 国立成育医療研究センター：富澤 大輔

PMDA

- 佐藤 淳子、飯村 康夫、田宮 憲一、清原 宏眞、崎山 美知代、中島 麗子、安川 孝志、谷之口 貴光、杉崎 敏文、高橋 俊行、西郷 有香、伊藤 隆裕、川北 佑香

小児難治疾患・剤形分担班

- 国立成育医療研究センター：河合 利尚、山谷 明正（明治薬科大学）、赤羽 美貴、齊藤 順平、加藤祐太、中村秀文
- 国立精神神経センター：中村 治雅
- 東京都立小児医療センター：森川 和彦
- 大阪母子医療センター：平野 慎也
- 藤田医科大学：伊藤 哲也

先行研究「医薬品開発の推進制度に資する調査研究」班

- 東京理科大：鹿野 真弓
- 京都府立医大：林 憲一

厚生労働省

- 厚労省：小川雄太、浦 克彰、文 靖子、佐藤 大介、太田貴洋、三宅晴子、古賀 大輔

薬事承認に資するエビデンス構築の基本方針

- 我が国で小児用医薬品の早期承認や国内外同時承認を実現するためには、国際共同治験への参画を目指すことが原則である。
- 将来的には、欧米において Paediatric Investigation Plan(PIP) や Pediatric Study Plan(PSP) が策定される段階で、日本も プロトコル立案に参画し、日本の臨床実態に即したデータが取得できる環境を創出する必要がある。
- 海外開発が先行している場合等では国際共同治験に参加できない事例も想定される。そのような場合には、国内外の成人及び小児に関する既存情報を踏まえ、国内で必要となるデータの内容を検討し、国内治験の実施を検討すべきである。
- 特に、小児がんや小児希少難治性疾患においては、治験以外のデータ活用の可能性も含めて検討が必要となることが多い。

薬事承認に資するエビデンス構築の基本的な方針

A : 国際共同治験に参加*1

B : 国内単独の治験を実施

B1 : 成人と同一の国内単独治験に小児を組み入れる*2

成人のみで開始した治験の変更届による小児への拡張（適格基準の拡大、用法・用量の追加）を含む

B2 : 主に小児を対象とした国内単独治験を実施

C : 治験以外のデータ

- 公知申請
- 先進医療・患者申出療養・その他の特定臨床研究
- 非介入研究データ（レジストリ、DB、厳密に計画して実施するカルテ調べ）

①まずは国際共同治験への参加を検討する（A）

- PIP/PSP等で計画されている場合は、計画されている国際共同治験への参加を検討する
- PIP/PSP等で計画されていない場合は、国際共同治験（アジア治験を含む）の実施可能性を検討する

②国際共同治験への参加を行わない場合、国内での治験実施について検討する（B）

③治験の実施が困難な場合、Cの可能性を検討する

なお、A及びBの場合も、日本人小児の情報が少ない、又は結果的に組み入れられなかった場合も想定されるため、A及びBの場合でもCのデータの併用を念頭において計画する

*1 : 結果として日本人小児の登録が無かった場合、M&SやPPK解析等による確認、Cのデータによる補完を行う

*2 : 結果として小児の登録が無かった場合、M&SやPPK解析等による確認、Cのデータによる補完を行う

厚生労働行政推進調査事業「小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究」提言・検討の項目
(案)

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

- 1) 臨床試験への小児組み入れとデータ取得効率化
- 2) 既存データの最大活用
- 3) 日本人小児の安全性・有効性データがない、あるいは少ない場合の条件付き承認と、承認後の追加データ収集の在り方について

2. 小児剤形および添加物について

- 1) 国外に向けた添加物に関する情報発信と情報公開促進のスキームの確立
- 2) 日本国内における小児用製剤の受容性評価と日本に適した小児用製剤情報の発信
- 3) 小児の医療現場に資する剤形加工情報の提供について

3. 添付文書及びインタビューフォームへの小児関連記載内容の充実について

- 1) 剤形加工に関する情報提供について
- 2) 薬物動態情報の開示について

4. これらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組み

- 1) PMDAの体制強化について
- 2) PMDA, 企業、アカデミアやhealth care professionalの関係の強化について
- 3) アカデミア・現場の連携インフラと国際連携の強化
- 4) 小児医薬品開発を推進するための試験実施体制の強化とノウハウの蓄積の必要性
- 5) 治験及び製造販売後臨床試験の契約・審査・実施体制の見直し
- 6) 患者参画
- 7) 欧米のオーファン指定品目リストの公表
- 8) リスクシェアリング、ヘルスリテラシーの向上
- 9) 海外企業へのアウトリーチ活動について
- 10) 医療現場における薬剤師による剤形変更の現状と、それを踏まえた保険請求や収載単位の在り方について
- 11) 研究班で議論されたインセンティブやその他の事項について

厚生労働行政推進調査事業「小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究」提言・検討の項目
(案)

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

- 1) 臨床試験への小児組み入れとデータ取得効率化
- 2) 既存データの最大活用
- 3) 日本人小児の安全性・有効性データがない、あるいは少ない場合の条件付き承認と、承認後の追加データ収集の在り方について

2. 小児剤形および添加物について

- 1) 国外に向けた添加物に関する情報発信と情報公開促進のスキームの確立
- 2) 日本国内における小児用製剤の受容性評価と日本に適した小児用製剤情報の発信
- 3) 小児の医療現場に資する剤形加工情報の提供について

3. 添付文書及びインタビューフォームへの小児関連記載内容の充実について

- 1) 剤形加工に関する情報提供について
- 2) 薬物動態情報の開示について

4. これらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組み

- 1) PMDAの体制強化について
- 2) PMDA, 企業、アカデミアやhealth care professionalの関係の強化について
- 3) アカデミア・現場の連携インフラと国際連携の強化
- 4) 小児医薬品開発を推進するための試験実施体制の強化とノウハウの蓄積の必要性
- 5) 治験及び製造販売後臨床試験の契約・審査・実施体制の見直し
- 6) 患者参画
- 7) 欧米のオーファン指定品目リストの公表
- 8) リスクシェアリング、ヘルスリテラシーの向上
- 9) 海外企業へのアウトリーチ活動について
- 10) 医療現場における薬剤師による剤形変更の現状と、それを踏まえた保険請求や収載単位の在り方について
- 11) 研究班で議論されたインセンティブやその他の事項について

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

これまでは、海外での開発が完了、あるいは終盤に至ってから日本での開発が検討されることが多く、使用経験の取得のみを目的とした小規模な臨床試験が要求・実施されてきた。しかし、**今後は欧米での開発開始時点から日本も当該開発に参加すべき**である。

1) 臨床試験への小児組み入れとデータ取得効率化①

- 海外未承認の医薬品の場合、**小児の国際共同治験に遅滞なく日本から参加**することが原則
- **合理的に可能と考えられる年齢を出来るだけ試験に組み入れる**：疾患特性を考慮し、**10-12歳以上**を含めた臨床試験の実施を検討すべき。**9-11歳**の患者も必ずしも別試験で評価する必要はない。
- **可能な限り早期からの小児剤形の評価**：成人用製剤しかない場合、組み入れが困難な場合がある。小児用剤形の開発が検討されている場合には、新規の小児用剤形とこれまで開発した製剤（剤形）の同等性の評価、幼児や年少小児を対象とした当該小児用剤形を用いた臨床試験成績等を踏まえ、小児用剤形の安全性及び有効性を評価することが望ましい。
- **M&SやPPKの積極的活用**：試験には日本人症例の組み入れを前提とするが、結果として日本人症例の組み入れられなかった場合も、後述する海外小児の外挿を目的とする Modeling and Simulation (M&S)、Population Pharmacokinetics (PPK) 解析等を活用し、日本人小児の有効性及び安全性プロファイルに対する予測・評価を行うべきである。

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

1) 臨床試験への小児組み入れとデータ取得効率化②

- 作用機序に基づいた複数疾患を対象とした臨床試験も積極的に考慮：作用機序から複数の疾患に対して有効性が期待される医薬品の開発においては、同一疾患でなくても同一臨床試験で対象とすることも考慮する。複数の疾患を同一臨床試験に含める場合、エンドポイントが必ずしも同一である必要はなく、それぞれの疾患に適したエンドポイントを設定することを積極的に検討すべきである。
- 海外小児臨床試験データの日本人小児への外挿を積極的に活用：既に海外臨床試験において小児でのB/Rが確認されている場合、また当該データにより小児の承認が海外で得られている場合、海外小児の臨床試験成績等から日本人小児への外挿を検討すべきである。
- 特段の民族差に関する懸念がなければ、日本人小児を対象とした新規治験を実施せず、国内外の成人の臨床試験結果及び海外小児の臨床試験結果により臨床データパッケージを構築することも一案である。
- 日本人成人データがない場合も、日本人小児に対する当該医薬品のB/RをM&S、PPK解析等を積極的に活用して評価：疾患の希少性・重篤性、代替治療の有無、期待される効果等を踏まえ、日本人小児に対する当該医薬品のB/Rを検討する。その際、M&S、PPK解析等を積極的に活用して評価を行うことが重要である。
- 製造販売後の情報によるデータ補完：このような場合では、臨床データパッケージに日本人小児のデータが含まれない、又は極めて少ないことが多いため、製造販売後の情報によるデータ補完を行う必要性が高くなる（1. 3）参照）。

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

2) 既存データの最大活用①

- 先進医療Bや患者申出療養等の特定臨床研究の試験成績は、医薬品の承認申請に利用可能⇒広く周知が必要：当該研究の信頼性が担保されている場合には、その試験成績を承認申請に利用することが可能であり、先進医療Bの試験成績が評価資料として活用されている事例や、患者申出療養に基づく臨床研究の結果が参考資料として審査報告書に記載された事例がある（別添1）
- 公知申請：国内での治験実施が困難な希少な小児がんにおいて、実臨床データと海外試験成績を柔軟に評価した事例紹介。今後は、分子標的薬や免疫療法にもこの仕組みを拡張し、レジストリデータや国際共同治験の成果を積極的に公知申請へ活用できる制度設計が求められる。
- 非介入研究データ（レジストリ、データベース、適応外使用・compassionate useの事例に対して実施される研究、データ収集方法や解析方法を予め厳密に計画した上で実施するレトロスペクティブな調査等）の活用も推進：事例を提示（別添2）

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

2) 既存データの最大活用②

- 多様な治験以外の臨床試験データ、非介入研究データ、リアルワールドデータ（RWD）の活用については、そのデータの信頼性やエビデンスレベルを踏まえた活用可否の議論が必要であることは言うまでもない。一方で、絶対的な水準としての信頼性・エビデンスレベルの達成目標が一律に存在するわけではなく、個別の疾患や医薬品の特徴等を考慮した水準に基づいて活用可否の議論がなされている。
- ICH E11Aにおける小児用医薬品開発における外挿の議論、M&Sの活用、調査研究結果の引用：我が国において既に可能な限り広義の外挿の考えが活用されている現状を踏まえ、今後の審査に向けて実用可能な外挿実例の更なる蓄積を行う必要がある。

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

3) 日本人小児の安全性・有効性データがない、あるいは少ない場合の条件付き承認と、製造販売後の追加データ収集の在り方について①

- ①海外で既に主たる評価の対象となる臨床試験が適切に実施されていること、②極めて患者数が少ない等の理由により追加の臨床試験を新たに実施することが困難であること、③得られている有効性及び安全性に係る情報等から総合的に日本人におけるベネフィットがリスクを上回ると見込まれること、のいずれもが満たされる場合には、日本人データが存在しない状況であっても、条件を付した上で承認を検討し得る。
- 検証的臨床試験以外の臨床試験の試験成績や、Ⅱ. 1. 1) 及び2)に示したその他の情報により、一定の有効性や安全性が示されると判断される場合は、条件付き承認の可否を判断するための材料として、それらの情報を利活用すべきである。特に、日本国内でのデータ収集が困難な小児がんや小児希少難治性疾患においては、条件付き承認を積極的に検討すべきである。
- 条件付き承認後のデータ収集は、目的を明確にして実施すべきである。
- RWDの活用や学会との連携等、従来の使用成績調査や特定使用成績調査にこだわらない効率性を重視したデータ収集を目指すべきである。
- 特に、日本人データがない、あるいは少ない状況で条件付き承認となった医薬品の製造販売後のデータ収集については、製造販売企業への過度な負担を強いることなく、既存のレジストリの活用や関連学会の協力等、事例ごとに最適なデータ収集方法を検討するべきである。そのための一案として、製造販売当初は特定の医療機関や医師に使用を制限し、より厳密なデータ収集を行う体制も考えられる。

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

3) 日本人小児の安全性・有効性データがない、あるいは少ない場合の条件付き承認と、製造販売後の追加データ収集の在り方について②

- 小児がん領域における新規医薬品の中には、有害事象の発生頻度が高い医薬品や、従来の古典的な殺細胞性抗がん剤とは異なる毒性プロファイルを有する医薬品。日本人データがない、あるいは少ない医薬品を条件付き承認後に使用する場合には、当該医薬品を使用する施設間で安全性情報が共有され、毒性が非耐容であった場合に速やかに減量や中止が可能となる管理体制が必要となる。
- 有害事象の頻度が高い、又は重篤な有害事象の発生が予想される医薬品：当該医薬品の使用可能施設を新規医薬品の使用や治験の実施に習熟した施設に限定した上で、製造販売後臨床試験の形でのデータ収集を行うことも検討し得る。
- 使用可能な施設や医師を限定することは、患者の新規医薬品へのアクセスの制限につながるため、有害事象の頻度が低く、安全に投与可能と推測される医薬品については、製造販売後調査の形で使用可能な施設を増やす、あるいは限定しない形でのデータ収集を行うことも検討し得る。
- 国内レジストリの標準化と質向上（医薬品の安全性や有効性評価にも活用可能なデータ収集及びモニタリング）：製造販売後調査にも対応できる体制整備。レジストリの維持や継続性を踏まえると、登録者・保有者の負担の観点も重要。
- 小児慢性特定疾病の医療意見書や指定難病の臨床調査個人票等の既存の医療・介護に関連する医療情報プラットフォームの整理・連携
- レジストリの充実・製造販売後調査との役割の切り分けや統合、現状では国内において様々な制度、研究、実臨床等で収集されている希少難治性疾患におけるRWDのより効率的な収集、活用を進める体制についての更なる議論
- 欧米やアジアの希少難治性疾患レジストリとの連携を想定：運用や登録項目共通化

厚生労働行政推進調査事業「小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究」提言・検討の項目
(案)

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と承認後のデータ収集について

- 1) 臨床試験への小児組み入れとデータ取得効率化
- 2) 既存データの最大活用
- 3) 日本人小児の安全性・有効性データがない、あるいは少ない場合の条件付き承認と、承認後の追加データ収集の在り方について

2. 小児剤形および添加物について

- 1) 国外に向けた添加物に関する情報発信と情報公開促進のスキームの確立
- 2) 日本国内における小児用製剤の受容性評価と日本に適した小児用製剤情報の発信
- 3) 小児の医療現場に資する剤形加工情報の提供について

3. 添付文書及びインタビューフォームへの小児関連記載内容の充実について

- 1) 剤形加工に関する情報提供について
- 2) 薬物動態情報の開示について

4. これらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組み

- 1) PMDAの体制強化について
- 2) PMDA, 企業、アカデミアやhealth care professionalの関係の強化について
- 3) アカデミア・現場の連携インフラと国際連携の強化
- 4) 小児医薬品開発を推進するための試験実施体制の強化とノウハウの蓄積の必要性
- 5) 治験及び製造販売後臨床試験の契約・審査・実施体制の見直し
- 6) 患者参画
- 7) 欧米のオーファン指定品目リストの公表
- 8) リスクシェアリング、ヘルスリテラシーの向上
- 9) 海外企業へのアウトリーチ活動について
- 10) 医療現場における薬剤師による剤形変更の現状と、それを踏まえた保険請求や収載単位の在り方について
- 11) 研究班で議論されたインセンティブやその他の事項について

4. これらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組み

1) PMDAの体制強化について

- PMDAは小児用医薬品領域において、2009年からEMAとFDAが参加するPediatric Clusterに参加している。
- PMDAには小児用医薬品ワーキンググループや希少疾病用医薬品ワーキンググループがあり、令和6年には新たに小児・希少難治性疾患用医薬品等薬事相談センターが設立されたものの、当局全体の審査の方針等について、部門の垣根を越えた連携体制の構築は今後の課題と考えられる。
- FDA等の取組を参考に、小児希少難治性疾患に関わる全領域において、審査や安全対策等について組織横断的に連携を進める体制構築が期待される。
- PMDAはPediatric Clusterに議題の提案が可能であり、欧米と同時期にPMDAに治験相談がなされた場合、Pediatric Clusterにおいて直接欧米の規制当局と議論し、PMDAとして治験相談へのアドバイスを行うことも可能である。

4. これらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組み

3) アカデミア・現場の連携インフラと国際連携の強化：国際的取り組みの周知と日本からの積極的参画の必要性

- ACCELERATE：小児がん領域の国際コンソーシアム
- ITCC：欧州の小児がん治療開発ネットワーク
- IRDiRC：希少難治性疾患国際コンソーシアム。様々な課題について、問題を特定しガイドライン・推奨事項を策定し共有する
- ERDERA；欧州の希少難治性疾患横断的な研究開発連携体制
- Critical Path Instituteのコンソーシアム活動：一例としての新生児の国際コンソーシアムINC

これらコンソーシアムへの日本からの参画は限定的⇒日本からの積極的参加が必要。参加を可能とする体制も必要。

- これら活動への患者団体参画のためには環境整備が必須であり、伴走した支援が行われ、段階的な教育・対話支援・ファシリテーション体制整備と人材育成が行われることが必要である。
- 海外の研究者が主導する臨床研究に日本から参加するための課題：**Academic Research Organization (ARO)** 機能やファンディング機能を伴った恒常的なネットワーク構築の必要性

4. これらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組み

4) 小児用医薬品開発を推進するための試験実施体制の強化とノウハウの蓄積の必要性

- 海外で進むネットワークの構築
 - 汎欧州小児臨床試験ネットワーク **C4C Stichting**：疾患別臨床研究ネットワークや各国の臨床試験ネットワークを横断的・一元的に機能
 - 米国 **PTN**：適応外薬の情報収集のための臨床試験実施ネットワーク
 - 米国 **RDCRN**：希少疾患多施設臨床研究、データマネジメント・コーディネーティングセンターによる標準化、患者団体との連携等を通じた、レジストリの整備や小児希少難治性疾患における臨床試験の基盤強化
 - 欧州 **ITCC**：小児がん治療開発ネットワーク
- 我が国のネットワークの体制強化の必要性
 - 小児治験ネットワーク：55医療機関の治験実施ネットワーク
 - 小児医薬品開発ネットワーク：日本小児科学会関連学会及び小児治験ネットワーク小児CRC部会による開発助言のための専門家ネットワーク
 - 小児がん治療開発コンソーシアム（仮）
- 小児希少難治性疾患・小児希少がんの開発には **オールジャパン体制と国際連携**が必須。開発のノウハウを持つ **ナショナルセンター** や **小児医療施設の体制整備** と **臨床研究中核病院** などの既存ネットワークの連携が必要
- 小児希少疾患・小児がんの **診療体制の強化**
 - 稀少難治性疾患の拠点となる **病院と近隣の医療機関の連携** は限定的
 - 医療機関との **物理的距離**
 - 医療機関内の **診療連携不足**
 - 医療の質・医療連携の質の地域差** 等

DCT や **遠隔医療連携** などの活用
- 患者及び患者団体との連携強化を支援し、更にその連携体制を **レジストリ構築** にも活用

4. これらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組み

6) 患者参画

- 欧米では、企業が医薬品開発を進める際に患者ニーズを聴取する仕組みが整っており、また医薬品の承認審査に係る議論を行う会合に患者やその家族が参加している環境にあるが、日本ではこのような環境は十分に整備されていない。
- 行政等が公的に患者団体の連携を支援し、アカデミア、企業、規制当局等の希少疾病用医薬品開発に関わる全てのステークホルダーが継続的に対話する環境を創出する必要がある。
- 欧米で試みられているように、患者データやニーズを倫理面に配慮して共有していく取組が重要であると考えられる。
- 学校教育においても医薬品に関する教育等が実施されている状況ではあるが、教育の担い手が不足しており、指導する教員側に疾患や医薬品に関する十分な知識がないといった課題もあり、指導する側への研修も重要。
- 海外では、小児による治験同意説明文書のレビュー等が実施されている国もあり、こうした先行事例を参考に、日本においても小児患者やその家族を交えた医薬品開発等が進められるよう、関係者が尽力すべきである。
- 患者団体と製薬企業の透明性を確保した積極的かつ適切な連携を促進するためには、規制当局や行政機関が、協力可能な内容や禁止される行為を具体的に示し、周知することが期待される。
- 患者団体参画のためには環境整備が必須であり、伴走した支援が行われ、段階的な教育・対話支援・ファシリテーション体制整備と人材育成が行われることが必要

今後の流れ

- 頂いたパブリックコメントは、すべて関係者で共有。可能な範囲で提言に反映作業中。
- 必要に応じて厚労省等から通知発出も検討いただく予定。

さらなる規制科学研究への取組（令和8年度-10年度）

- AMED医薬品等規制調和・評価研究事業「**小児用医薬品の開発推進に関する研究開発**」（研究開発代表者 医薬品医療機器総合機構 成川 衛 センター長）
- AMED医薬品等規制調和・評価研究事業「**小児治験を推進する微量採血手法の実用化に関する研究**」（研究開発代表者 国立医薬品食品衛生研究所 齊藤 公亮 室長）

今日のお話

1. **小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言の概要：特に本シンポジウムに関連した事項について**
2. **小児医薬品開発ネットワークの相談枠の新設について**



小児医薬品開発ネットワーク

https://www.jpeds.or.jp/modules/activity/index.php?content_id=348

公益社団法人
日本小児科学会
Japan Pediatric Society

リンク > サイトマップ > E

学会について **各種活動** 小児科専門医 ガイドライン・提言 刊行物

学術集会
各種委員会
インテンシブコース
小児診療初期対応コース
各種研修会・講習会など
予防接種・感染症
出生前コンサルト小児科医
国際学会関係
表彰関係
災害対策関係
小児医薬品開発ネットワーク・医薬品供給相談
男女共同参画推進
中核病院小児科・地域小児科センター登録事業
小児科用語集
東京オリンピック・パラリンピックコンソーシアム
その他の情報

学会 INFORMATIO

重要なお知らせ

- > 大規模災害対策情報ス
- > 【更新】能登半島地震に

> 小児科学会からのま

小児医薬品開発ネットワーク支援事業

(厚生労働省医政局 医療施設運営費等補助金及び中毒情報基盤整備事業費補助金)

目的と概要

本事業は、先行して実施された[日本医療研究開発機構 \(AMED\) 研究事業 \(平成29年度～令和元年度\)](#)の体制を強化し、令和2年度より開始されました。日本小児科学会（以下、学会）が、[小児科に関連する専門分科会](#)、[小児治験ネットワーク](#)と連携し、小児医薬品開発に取り組む製薬企業・治験国内管理人等に対して、開発の企画段階から治験実施、承認申請、及びその後の対応に至るまでの全てのプロセスにおいて、オールジャパン体制で助言・協力・支援します。「医薬品開発は、製薬企業・医療現場・学会が協同して実施する」という意識の浸透、世界同時開発への参画推進やドラッグ・ラグの解消、また小児医薬品開発に関わる人材の育成も目指します。

本事業では、小児医薬品開発のために以下のような活動をしています。

- 規制科学及び医学的見地のみならず、医療現場及び患者・保護者の視点も含めた助言
⇒小児医薬品開発支援チーム（以下、ワーキンググループ）を、相談内容（疾患領域）ごとに迅速に組織します。ワーキンググループには、対象疾患領域の専門医、小児医薬品開発に精通した規制科学・開発薬事専門家、臨床薬理専門家、小児治験の経験が豊富な臨床研究コーディネーターも参加し、多角的な視点から小児医薬品開発に関する助言を受けることができます。
- 小児治験実施のプラットフォームである[小児治験ネットワーク](#)との連携による円滑な小児治験の実施
⇒小児治験ネットワークを通じて、フィジビリティ調査、治験実施、中央治験審査委員会での一括審査等を行うことができます。
- [小児医療情報収集システム](#)の活用
⇒小児病院・クリニックの総症例数100万人を超える電子カルテ情報を活用した症例調査等を行うことができます。



日本小児科学会薬事委員会

小児に必要な医薬品を安心して使えるようにするため

1. 企業から相談いただく、供給停止予定品目に供給の継続が必要なものがないか検討
2. 安定供給や適正使用のための要望書を厚生労働省に提出
3. 日本小児科学会分科会や関連学会と小児医薬品開発ネットワークを組織し、企業の小児医薬品開発を支援
4. 小児の薬に関するさまざまな問題解決に向け取り組む
5. 社会保険委員会と連携し、55年通知に則った「審査情報提供事例」として、原則として保険上認められるべきと考えられる事例について、分科会の担当者と連携し要望書内容を確認・修正し、厚労省へ要望書を提出
6. 社会保険委員会、予防接種・感染症対策委員会と連携し、抗菌薬等の安定供給の在り方等について、企業・厚労省等と、対策について綿密な意見交換
7. 添付文書の安全性情報等の記載変更について、PMDAと事前に相談し意見を伝える

- ✓ 薬事委員会には、主要関連学会の薬事担代表が参加。関連分科会の薬事委員会とも連携
- ✓ 小児科医以外にPMDA関係者、薬剤師も参加
- ✓ 令和6年の委員会は大幅増員し、分科会横断的に規制科学に関わる小児科医2名が新たに参加

薬事委員会の活動そのものも、医薬品開発・薬事に関わる小児科医の
on the job trainingの場も兼ねている



小児医薬品開発ネットワーク JPeDNet

2017年度—2019年度AMED研究費
2020年度-厚生労働省小児医薬品開発支援事業

本事業は、日本小児科学会薬事委員会が中心となり、各小児科専門領域における医薬品開発に理解のある小児科医が協力し、オールジャパン体制で企業治験の実施に協力・参加する

専門領域によっては、治験の経験がほとんどない領域や、過去に治験の進捗が思わしくなかった領域も、

- 他の領域の経験のある小児科医や国立成育医療研究センター・小児治験ネットワークのノウハウを提供することにより、治験成功可能性を最大化させる
- また進捗が思わしくない場合には、その解決について最大限の助言と協力を
する

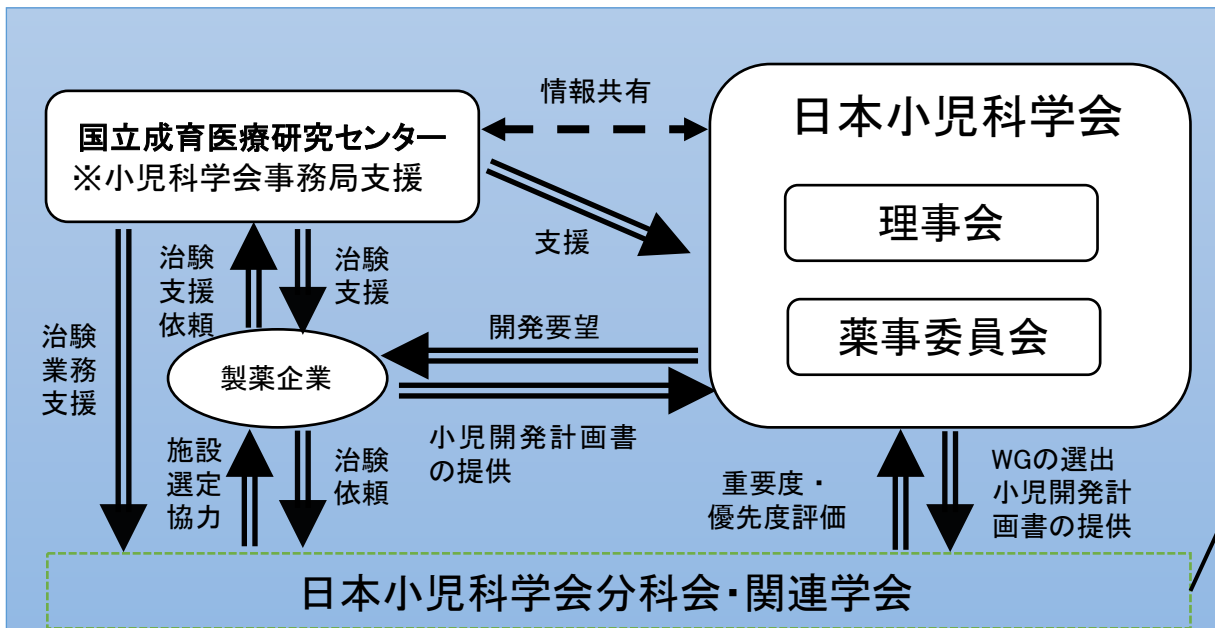


日本小児科学会

—小児医薬品開発のためのネットワーク—

▶製薬企業から情報提供(開発支援依頼)のあった医薬品について、当該領域の専門家からなるワーキング(WG)を設置し臨床における重要度・開発優先度の評価を実施

⇒日本小児科学会より企業への開発要望、治験実施(治験実施施設の選定、相談・助言など)の支援



ワーキンググループ設置済の分科会／関連学会	
1	日本新生児成育医学会
2	日本小児循環器学会
3	日本小児神経学会
4	日本小児血液・がん学会
5	日本小児アレルギー学会
6	日本先天代謝異常学会
7	日本小児腎臓病学会
8	日本小児内分泌学会
9	日本小児感染症学会
10	日本小児呼吸器学会
11	日本小児栄養消化器肝臓学会
12	日本小児心身医学会
13	日本小児精神神経学会
14	日本小児東洋医学会
15	日本小児リウマチ学会
16	日本小児歯科学会
17	日本小児外科学会
18	日本小児麻酔学会

- ①AMED事業(2017~2019年度) : 13品目の開発支援要請
⇒13品目におけるワーキンググループに参加した専門家は、**17領域から60名**(それぞれ延べ数)。
- ②厚生労働省事業(2020~2025年度(2026.2迄)) : 30品目の開発支援要請
⇒30品目におけるワーキンググループに参加した専門家は、**35領域から193名**(それぞれ延べ数)

★厚生労働省事業よりWGには小児CRCも参画し、医師と共に医学的な助言のみでなく治験実施面での具体的なアドバイスも実施

開発支援リストの作成・更新、企業への開発要望、治験実施のサポートを進める



産官学連携による
小児医薬品開発の
さらなる促進へ



日本小児科学会小児医薬品開発ネットワーク —小児医薬品開発のためのオールジャパンネットワーク—

- ▶ 企業からの応募を受けて、薬事委員会は小児医薬品開発支援チーム（以下、**WG**）リーダーを指名し、リーダーは関連学会から専門家を選抜し**WG**を組織
- ▶ 必要に応じて、複数の関連学会から専門家を選抜（例：新生児、感染症と呼吸器）
- ▶ **WG**には、薬事委員会の担当者、対象疾患領域の専門医（複数）、小児医薬品開発に精通した規制科学・開発薬事専門家、臨床薬理専門家、小児治験の経験が豊富な小児治験ネットワーク小児**CRC**部会の**CRC（複数）**も参加し、多角的な視点から小児医薬品開発に関する助言を実施
- ▶ 企業の開発担当者からの説明とそれに対する助言（1回2時間、複数回の開催可能）
- ▶ 医学的な助言のみでなく治験実施面での具体的なアドバイス、施設選定支援など、幅広く支援。

参加する医師、**CRC**に対する規制科学のon the job training的な側面を持つ 28

関連学会と小児**CRC**の規制科学知識・技能の底上げも目指す



小児医薬品開発ネットワーク支援事業 －今後の対応（申請区分の追加）－

<主旨>

小児医薬品開発ネットワーク支援事業では、製薬企業等から支援依頼があった場合に**担当領域の専門医**及び**小児CRC（小児治験ネットワーク小児CRC部会員）**から構成される**ワーキンググループ（WG）**を組織し、検討会議を開催している。

一方、相談品目の開発状況（背景）によっては、従来の検討会議だけでなく、早急な回答を要望されるもの（**迅速相談**）、治験実施実務面で小児CRCからの助言のみを要望されるもの（**CRC相談**）もあることから、

「相談区分」を新たに設けて企業等の要望に対応しつつ日本での小児医薬品開発の推進につなげていく。

<相談区分>

通常相談 （治験実施・開発支援）

WG（専門医及び小児CRC）での議論

- ・ 治験実施計画書への助言
- ・ 症例登録推進策
- ・ 学会・分科会への周知etc

⇒開発優先度を評価し企業へ通知

<（新設）相談区分>

迅速相談 （開発検討支援）

少数の専門医の意見

CRC相談 （治験実務支援）

小児CRCの意見

※「迅速相談」、「CRC相談」においては開発優先度は評価しない



小児医薬品開発ネットワーク支援事業 - 今後の対応（申請区分の追加） -

<相談区分一覧>

	通常相談	迅速相談	CRC相談
WGメンバー	担当領域の専門医（複数名） 及び小児CRC（複数名） <6~8名>	担当領域の薬事委員及び 専門医（少数） <2~3名>	小児CRC（少数） <3~4名>
担当領域の決定方法	日本小児科学会薬事委員会で 審議・決定	日本小児科学会薬事委員会 委員長が決定	-
WGメンバー選出方法	担当領域の薬事委員が選出及 び小児CRC部会長が選出	担当領域の薬事委員が選出	小児CRC部会長が選出し、 薬事委員会委員長が承認
申請からWGまでの期間	1.5~2ヶ月程度	2週間程度	3週間程度
検討結果通知（文書）	日本小児科学会長名で通知 ※開発優先度評価も実施	薬事委員会委員長名で通知 ※開発優先度は評価しない	薬事委員会委員長名で通知 ※開発優先度は評価しない
主な相談項目	<治験実施・開発支援> (全般：開発早期~治験実施 中) ・治験実施計画書への助言 ・症例登録推進策 ・Feasibility ・治験実施施設の紹介 ・治験実施中の各種懸念に 対する助言 ・医学専門家の紹介 etc	<開発検討支援> (開発企画段階~開発早期) ・規制当局からの要望、指摘 への早急な対応 ・治療上の課題、必要性 (ニーズ) ・開発可能性の助言 etc	<治験実施運用支援> (全般：開発早期~治験実施 中) ・症例集積性向上のための 実務支援 ・ICF/IAF作成支援 ・治験実施計画書への助言 (特に実務面での助言) ・同意(アセント)取得に対 する助言 etc



日本小児科学会小児医薬品開発ネットワーク

- 日本小児科学会のホームページをご覧ください。
https://www.jpeds.or.jp/modules/activity/index.php?content_id=348 –
- 新規相談区分について1月の学会理事会にて承認
 - 製薬企業からの相談の敷居を下げしてほしいという要望に対応
 - 海外バイオベンチャーや、その受け皿としてのCRO等からの相談への迅速な対応
 - 現在、小児科学会ホームページの改定準備中
 - 英文ホームページについても併せて準備中
- 令和8年度以降は、厚生労働省の国際共同治験ワンストップ相談窓口事業「ENSEMBLE x J」（補助事業者：国立がん研究センター）との連携も視野に、さらなる活動の展開を考えています。

https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_70355.html

製薬企業・CROの皆様、是非気軽に相談ください！