

2026 年 3 月 17 日開催

日本製薬工業協会 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 パネルディスカッション

座長：

東京都立小児総合医療センター 臨床研究支援センター長 森川和彦 先生

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会 實雅昭 部会長

パネリスト：

厚生労働省 医薬局 医薬品審査管理課長 紀平哲也 先生

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 先生

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 先生

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会 小児用医薬品開発タスク
(KT7) 村木翔太 木下恭子

本概要は、2026 年 3 月 17 日に開催された日本製薬工業協会 小児用医薬品開発シンポジウムにおけるパネルディスカッションの音声記録を基に、議論の背景や主な論点分かるよう編集・要約したものである。編集にあたっては、発言の趣旨が損なわれないよう留意して要約を行っているが、記載内容は発言の逐語的な再現ではない。

また、本概要に示された見解は、当該パネルディスカッションにおいて示された意見を整理したものであり、登壇者個人または登壇者の所属組織、ならびに日本製薬工業協会としての公式見解、合意事項、あるいは政策的判断を示すものではない。

イントロ：本日の議論の位置づけ

座長（實部会長）： 演者の皆さま、ありがとうございました。本日は、薬機法改正や ICH E11A の合意といった環境変化を踏まえ、小児用医薬品開発をどのように進めていくべきか、多くの示唆をいただきました。最終的な目的は、子どもたちに医薬品を届けることです。そのためには、承認申請におけるデータパッケージの在り方が極めて重要になってきます。

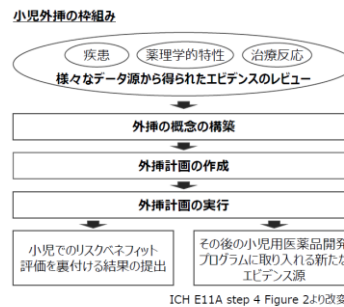
薬機法改正により小児開発計画が努力義務化され、また ICH E11A が一つのツールとして活用可能になりました。さらに、PMDA やアカデミアが伴走してスポンサーを支援する体制も示されています。本日は、こうした環境変化の中で、どのように科学的かつ柔軟なデータパッケージを構築できるのかを議論したいと思います。

論点 1：科学的かつ柔軟な承認申請データパッケージの構築

論点1 規制/環境変化を踏まえた小児用医薬品の開発戦略・データパッケージの在り方

以下のような規制/環境の変化がある中で、①科学的に妥当かつ柔軟なデータパッケージを本邦においてどのように構築すべきか、また、②企業・アカデミア・規制当局がどのように役割分担し、協働していくことができるか

- 薬機法改正による小児用医薬品開発の計画策定の努力義務化
- ICH E11A step 4の発出による小児外挿の論点の具体化
- PMDA/アカデミアによる伴走型支援の強化



ICH E11A step 4 Figure 2より改変



1. 企業の視点

座長（實部会長）：まず、KT7 の立場から、効率的かつ実行可能な小児医薬品開発の考え方についてお聞かせください。

村木氏（KT7／企業）：ありがとうございます。小児医薬品開発を考える上では、ICH E11A で示されている外挿の枠組みを参考にお話しします。外挿では、疾患、薬理、治療反応の類似性という三つの論点が表示されていますが、これは外挿に限らず、小児開発全般を考える上でも重要な視点だと考えています。

特に企業の責任として重要なのは、品目特異的な情報、すなわち PK/PD などの薬理学的特性を適切に評価し、当局との対話の中で十分な情報を提示することです。一方で、疾患や治療反応の類似性については、当該品目の小児試験だけでは十分な情報が得られない場合もあります。そのため、早期の段階から、小児開発におけるギャップ、例えばエンドポイントの妥当性などを見極め、必要に応じて成人データを活用しながら、バイオマーカーの検証などを進めていくことが重要だと考えています。

座長（實部会長）：E11A を使って「少ないデータで済ませる」というよりも、早期から小児開発に取り組み、取得できるデータは十分に取得していく、という考え方ですね。

2. アカデミアの視点：ケースバイケースの判断と対話の重要性

座長（實部会長）：アカデミアの視点から、中村先生コメントいただけますでしょうか。

中村先生（アカデミア）：ICH のガイダンスで示される事例は、非常に典型例で、また、今日製薬協がプレゼンした 2 つの事例は、これにきれいに当てはまった例ですが、すべての品目が同じように当てはまる

わけではありません。多くの場合、いわゆる広義の外挿として、ケースバイケースで考えざるを得ません。その際に重要なのは、PMDA やアカデミアと議論を重ねながら、一つひとつ事例を積み上げていくことです。成功事例だけを見て同じことをしようとすると、かえって行き詰まることもあります。

座長（實部会長）：ありがとうございます。企業としては、新しいガイダンスが出ると、これを使ってより効率的にと考える傾向がありますが、まずは国際共同試験に日本からも参加してデータを取っていくのがスタンダードであり、これに加えて小児外挿（E11A）や PBPK を利用していこうということと思いました。

3. 規制当局の立場：早期相談と個別最適の重視

座長（實部会長）：当局の立場から、コメントをお願いします。

飯村先生（PMDA）：小児用医薬品といっても、対象疾患や薬理作用はさまざまで、一律の正解があるわけではありません。だからこそ、できるだけ早期に PMDA へご相談いただき、どのようなエビデンスを用いて、どのような外挿スキームを考えるのかを、個別に議論することが重要だと考えています。早い段階で相談いただくことで、よりスムーズな開発につなげることができると思います。

座長（實部会長）：ありがとうございます。PMDA に相談に伺うにしても、早期の段階で治験依頼者として提示できるデータ等がないと敷居が高いといった考えもあるかもしれません。こちらについては、この後の論点 2 でいつからどのような協働ができるかという話ができればと考えています。紀平先生、今の点でコメントいかがでしょうか？

紀平先生（厚労省）：すでにお話に出ているように、「この方法を使えば必ず小児適応が取れる」という型があるわけではありません。ケースバイケースで考えなければならないのですが、その前提として、いかに成人の開発の中でデータを取っておくかが鍵になると思います。成人の開発をする際に、その先に小児の承認申請もあるという前提で、どのようなデータや情報を収集していくか、全体のデータパッケージとして考えていくことができると、小児の開発もスムーズに進むのではないかと思います。

座長（實部会長）：ありがとうございます。今の先生方の話を受けて、製薬協のメンバーから何かコメントありますか。

村木氏：ありがとうございます。今回紹介した事例は、非常に類似性が高く、外挿がよくはまった例だと理解しています。ですので、類似性が低い領域では、それに応じた小児開発計画の検討が必要と考えます。一方で、E11A で示されているのは、類似性が高い場合だけではなく、類似性が低い場合の中間的な手法も示されているので、これも参考に個別に最適なアプローチを検討できればと考えます。

4. 難治性・希少疾患と患者参画の重要性

中村先生：外挿といった場合、成人から小児への外挿の議論がメインになりますが、小児の難治性・希少疾患では、小児時期発症のものが多く、成人データからの外挿がそもそもできないケースも多いんです。そのような疾患では、早期治療開始のため、早期の医薬品開発が不可欠です。今、世界的には様々なコンソーシアムがあって、どのような治療法、評価方法を取ったらよいか、それに対するバイオマーカーはなにか。あるいは、遺伝子治療や細胞治療の長期フォローはどうしたら上手くいくかといった議論をしている。そのようなグローバルの議論に日本からも参加していかないと、海外のプロトコルの評価方法等が日本でバリデートされておらず、受け入れられないといったことも出てくる。もっとグローバルの視点で企業もアカデミアも情報収集をして、考えていかなければならないと思っています。

座長（實部会長）：ありがとうございます。非常に考えさせられるお話だと思いました。

5. 論点 1 まとめ

座長（森川先生）：いろいろな課題や解決に向けた提案が出てきたと思いますが、今後一層どのような協働が必要と考えられているか。ひとことずつコメントいただければと思います。まず、製薬協の方からお願いします。

村木氏：ご指摘いただいた通り、小児の疾患の場合は、成人のデータを利用することが難しい。そういった場合、例えば他の品目だったり、同クラスの類薬のデータを利用できたらと思います。一方で、個々の企業や個別の試験で解決できない情報もあるので、そういった品目横断的な疾患類似性であったり、治療反応の類似性の整理を、個社でなく企業間で、また、当局やアカデミアを含めて情報をプールできれば理想的な形になるかと思いました。

中村先生：その点は重要ですね。米国 FDA などは疾患の情報等をかなりまとめて持っている。PMDA もおそらくそうでしょう。そういうところから最適の評価方法を考え、少数例しかいない患者さんにきちんと有効性を証明していくかというのは日本国内でも、世界的にもデータを共有していかなければならない。欧州でも議論されているが、患者さんのレジストリデータや電子カルテデータはサイエンスのために共有されるべきだという考え方が進んでいる。日本でもそのような広い視点も含めて進めていかなければならない。

飯村先生：小児用医薬品の臨床評価に関する AMED 研究班を立ち上げる予定である。具体的には製薬協、中村先生にも協力いただいて、小児臨床試験の計画・実施時の考慮事項や、成人データを用いて評価可能な品目における臨床評価の論点等を整理し、最終的にはガイダンスや Early Consideration にまとめていく予定にしています。このような小児の臨床評価のポイント整理を産官学でできるとよい。また、このシンポジウムのように関係者が集まって、継続的に議論していくことが非常に大切であると思います。

紀平先生：先に、少しコメントさせてください。「規制当局」という言い方をされることがありますが、この言葉については、私自身、少し引っかかることがあります。確かに、薬機法や GCP のように「規制」という枠組みは存在しますが、医薬品、特に小児用医薬品の開発という文脈においては、厚生労働省や PMDA は、企業と対立する立場にあるというよりも、患者さんや国民のために取り組むという目線に立てば、同じ方向を向いている存在だと私は考えています。

いかにデータを作るかはケースバイケースと言いましたが、ICH E11A などで示されている外挿の考え方についても、単純に「外挿できる／できない」という二択ではなく、類似性には濃淡があり、その度合いに応じて、どのようなデータで説明を補完していくかを、全体のデータパッケージとして考えていくことが重要だと思います。

中村先生：紀平先生のご発言を受けて補足しますが、米国では FDA が NORD（National Organization for Rare Disorders：米国希少疾病協議会）と守秘義務契約の下で患者会と意見交換を行い、患者さんにとって何が本当に重要かという視点を、評価の中に積極的に取り込んでいます。開発では、現場を想像するだけでなく、患者さんが何に困っているのかを直接聞き、その声を評価や開発計画に反映させることが重要です。日本では、その取り組みがまだ十分とは言えないと感じています。私たちも今後、医師主導試験で患者さんと一緒にプロトコルを検討する試みを行う予定です。患者会の開発参画も進んでおり、こうした患者さんの声をより積極的に取り入れることで、より現実的でニーズに即した開発につながるのではないかと考えています。

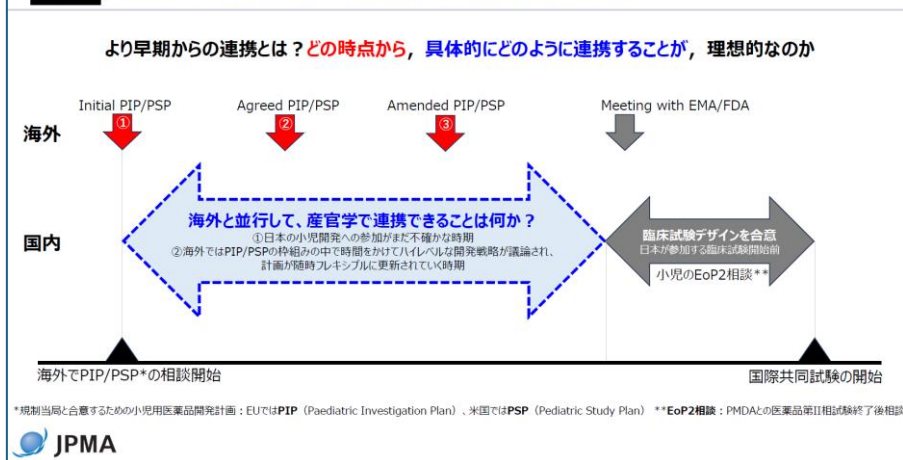
座長（實部会長）：紀平先生、中村先生のお話を伺い、私自身もマインドセットを変えていく必要性を強く感じました。役割は違っても、国民に医療を届けるという目的は同じであり、その視点に立てば、これまで見ていなかった協働の可能性にも気づかされます。一緒に取り組むことで、より多くのことができるのではないかと感じました。

論点 2：小児開発の早期連携と協働の可能性

座長（森川先生）：続いて論点 2 に移ります。小児開発はなるべく早期から、産官学で取り組んでいくことが理想的だという意見が出ていますが、どのタイミングから、どのような協働が可能かについて議論したいと思います。

まずは「早期から」の認識合わせをしたいので、製薬協 木下さんに一枚スライドを作ってもらいました。木下さんから説明をお願いします。

論点2 産官学の早期連携がもたらす価値：小児開発の戦略設計



木下氏（KT7／企業）：まず、小児開発の開始時期について欧米の例を模式図で示しました。欧州では PIP (Paediatric Investigational Plan)、米国では PSP (Pediatric Study Plan)を提出し、規制当局と合意した上で小児開発を進める枠組みとなっており、成人の Phase I または Phase II 終了時に Initial PIP/PSP を作成し、その後、必要に応じて修正（Amend）を重ねながら合意形成を進めていく、比較的長期のプロセスとなっている点が特徴的です。

一方、日本では、日本参加が確定した臨床試験については、PMDA やアカデミアと試験デザインや戦略を議論し、合意形成を行うことは概ね実施できていますが、より早期段階に相当する部分では、日本が積極的に関与できていないのが現状です。特に、開発のごく初期に近づくほど、日本の関与が限定的になっている点が課題と考えています。

1. 小児開発の早期連携と協働 行政の立場から

座長（森川先生）：国内外において、開発早期といっても、様々なタイミングがあることが説明されました。これを受けて、実際に国内開発を行う場合に、どの時点からどのようなことができることが理想的なのか、それぞれのお立場でお話いただきたいのですが。まず、行政の立場から紀平先生お願いします。

紀平先生：早ければ早いほど良いと思います。2つのポイントでお話ししますが、1つ目は、最近疾患が細分化され、複雑な疾患に対する医薬品の開発が進んでいますが、日本の実臨床での診断体制や保険制度との整合性などを考慮しないと、治験が進まない。また、承認がとれても実臨床で使えないという問題も起こり得ます。その疾患の日本での現状を早期に開発へフィードバックすることが、最終的な成功につながるということです。もう1つは、海外で合意されたプロトコルを日本に導入するとなると、単純に受け入れるということになりますが、国内の企業の皆さんの臨床試験の企画立案能力を高めるためにも、プロトコル検討の議論に参加してほしいということです。プロトコルを作り上げる議論への参加はその医薬品の開発のためにも大事ですし、今後の他の品目の開発のためにも非常に有用だと思います。

飯村先生：PMDA としても同じ考えで、なるべく早く相談に来て欲しいと思いますが、現実にはいまだできていないという認識です。グローバルでプロトコルが固まってから持ち込まれると、日本側として調整が難しくなるケースがあり、治験が実施できない、または、承認後に日本の医療環境に合わないといった問題も起こり得ます。全てを PIP/PSP の検討開始時期から参加という訳にはいかないかもしれませんが、可能な限り早期に日本も関与することで、日本に合った開発ができると考えています。また、これにあたっては、小児科学会の小児医薬品開発ネットワークを積極的に活用いただきたいと思います。

2. 小児開発の早期連携と協働 アカデミアの立場から

座長（森川先生）：ありがとうございます。アカデミアの立場から中村先生お願いします。

中村先生：小児医薬品開発ネットワークでの議論でも、プロトコルが固まった段階で持ち込まれると、日本の医療現場で難しい点があっても変更できず、結果的に症例登録が難しくなるという話がよく出ます。また、すでに決まった内容に助言しても反映されない状況が続くと、現場の医師のモチベーションが下がってしまうという課題もあります。一方で、最近はベンチャー企業や CRO を通じて、プロトコルがまだ固まる前の段階で相談を受けるケースも増えており、その段階であれば、医師も積極的に助言を行い、それが実際にプロトコルに反映されることで、日本でも実施しやすい試験につながっています。

企業側では、日本で最終的に開発するか分からない段階で相談してよいのかと遠慮されることもあります。そのため今回、ネットワークでは迅速相談の仕組みを設けることにしました。早期から議論に参加することで、結果的にグローバル開発の中での日本の存在感も高まり、日本に相談すると開発が進めやすくなるという好循環につながるのではないかと思います。ぜひ積極的に活用していただきたいと思います。

座長（森川先生）：ありがとうございます。日本の承認後を見据えた開発をするためにも、なるべく早期からといったご意見を各方面からいただきましたが、製薬協の皆さんはどのように考えているのでしょうか。

3. 小児開発の早期連携と協働 企業側の課題と今後のチャレンジ

木下氏：グローバル試験への参画を確実にするためには、企業側が欧米の動きをより早期から把握し、日本でも早い段階から関与していく姿勢を持つことが重要だと考えています。一方で、PIP/PSP の開始段階では、日本参加が不確かな時期であるため、社内的に外部と相談しにくいという課題があります。また、海外では PIP/PSP の合意形成に長い時間をかけ、計画を柔軟に更新していくのに対し、日本ではどの段階の計画を共有して議論を始めるべきかが明確でないという構造的な違いもあります。そのため今後は、早期の段階から国内外で差が生じやすい論点を特定し、アカデミアや PMDA とオープンに意見交換することで、日本の医療実態に適した開発計画につなげていくことが重要だと考えています。

これは PIP/PSP を否定するものではなく、日本からのインプットによって国際共同治験の価値を高め、世界の子どもたちに医薬品を早く届けるための取り組みです。その一案として、Initial PIP/PSP の段階から産官学で意見交換するラウンドテーブルのような仕組みをパイロット的に試し、効果を検証しながら環境整備を進めていくことも検討の余地があると考えています。

座長（森川先生）：ありがとうございます。製薬協からこのようなご提案がありますが、これについて何かご意見あれば。

飯村先生：そうですね、パイロット的にやってみるということは、PMDA の中ではどうはまるか分かりませんが、私個人としては賛成です。一度パイロットでやってみて、改善しながらより良い運営をしていくことは大切かと思います。

4. 論点 2 まとめ：産官学・患者が同じ方向を向くために

座長（森川先生）：本日の議論を通じて、産官学、そして患者さんを含め、同じ方向を向いて協働していくことの重要性が改めて共有できたと思います。立場は違っても、目的は同じです。今後もこうした対話と協働を積み重ねながら、小児用医薬品開発を前に進めていければと思います。本日はありがとうございました。