

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～」

第二部 小児治験の課題解決に向けて ～採血負担の観点から～ パネルディスカッション

座長：

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 實雅昭 部会長

パネリスト：

東京都立小児総合医療センター 臨床研究支援センター 副センター長 友常雅子 先生

武田薬品工業株式会社 日本開発センター メディカルダイレクター 田中智子 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

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）

松尾哲夫 清水亮佑

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が分かるよう編集・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。

1. イントロ：本日の議論の位置づけ

座長（中村先生）： それではパネルディスカッションを始めます。まず 1 点お断りします。検査会社との連携や検査仕様、技術モデルといった点は、短時間で解決できる話ではないため、本日はあえて議論しません。ただし、国立医薬品食品衛生研究所の齊藤班*でも微量測定・微量採血の検討が進められていること、また将来的には、検査会社とも連携し、より少ない検体量で、より採血しやすいデバイスを検討していく必要がある、という点は共有しておきたいと思います。（*AMED 研究班：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 国立医薬品食品衛生研究所 齊藤公亮先生）

それでは田中先生、まずは今後に向けたグローバルへの発信について、お考えをお聞かせください。

2. 企業の立場：グローバルへの発信と課題

田中先生（企業・小児外科医）： ありがとうございます。これまで、「患者さんの負担が大きいから採血量を減らしましょう」という議論は繰り返し行われてきましたが、なかなか実際の改善には結びついていないのが現状です。その結果、企業側でも患者さんの組み入れに苦勞する場面が出てきているのではないかと感じています。

そこで現在、そうした影響を定量的に示すため、アンケート調査の準備を進めています。最近、多くの開発でグローバル主体でプロトコルが決定されます。弊社も内資系企業ではありますが、グローバルの合意が得られなければ、日本国内の検査に関する小さな改善であっても実現が難しいケースがあります。

だからこそ、「こういう問題が起きている」ということをグローバルに理解してもらうため、英語論文として発信していくことが重要だと考えています。論文になれば参照・引用しやすくなり、グローバルを説得する際にもデータをもとに説明しやすくなります。

座長（中村先生）：グローバルとの議論は、すでに進めているのですか。

田中先生：はい、進めています。ただし、部門や担当者によって認識の差は大きいと感じています。自分も困っている、改善したいと強く認識している人もいれば、特に課題と感じていない人もいます。企業内にも温度差があり、少しずつ浸透させていく必要があると感じています。

3. 医療現場の立場：採血量・溶血・CRC の負担

座長（中村先生）：治験が実施される医療現場の立場から、友常先生いかがでしょうか。

友常先生（医療現場・CRC）：小児の採血量について、理解してくれている企業もありますが、十分に理解されていない企業も正直あります。「この採血量は多すぎるのでは」とお伝えしても、実感としてイメージできていない方もいらっしゃると思います。そうした温度差は、非常に感じています。

また、溶血の問題も大きいです。中央測定に出して初めて「溶血だった」と分かることも多く、CRC は大きなショックを受けます。希少疾患で症例数が限られる中、細心の注意を払いながら採血しているだけに、事前に分かる仕組みがあればと常々思っています。

座長（中村先生）：医療現場としては、中央測定と二重の採血は避けたい、可能なものは医療機関内で測定したい、そして何より採血量を減らしたい、というのが本音ですよ。

友常先生：その通りです。すべてを院内測定にしてほしいわけではありませんが、中央測定でなくてもよい項目については、柔軟に選別してほしいというのが CRC の率直な思いです。

4. 小児の医療現場の見学を通じた気づき：企業側の視点の変化

座長（中村先生）：ここで、実際に小児の医療現場の採血を見学された製薬協 KT7 の皆さんの感想を共有していただきたいと思います。まず松尾さん、お願いします。

松尾氏（製薬協 KT7／企業）：貴重な機会をいただきありがとうございました。私自身、小児試験を複数担当してきて、ある程度は理解しているつもりでしたが、実際に現場を見ることで認識が大きく変わりました。

ご家族が患者さんを支え、医師や看護師が声をかけながら、何人ものスタッフで時間をかけて採血している。小さなシリンジを何本も使い分けながら採血する必要がある。その人員や時間、負担は、プロトコルにはほとんど反映されていません。薬物動態（PK）用の採血で「〇分後」と指定されても、現実的には難しい場面が多いことを、現場を見て初めて実感しました。

座長（中村先生）：続いて清水さん、いかがでしたか。

清水氏（製薬協 KT7／企業）：私も過去に小児治験を担当し、採血が原因でデータが欠測したり、来院予約の変更が頻回に発生したりということを経験し、その難しさは頭では理解しているつもりでした。しかし、実際

の採血現場を見ることで、「考えるよりも一度見ることの重要性」を強く感じました。治験薬の有効性や安全性を確認するためには採血をゼロにすることはできませんが、皆さんと協力しながら、負担を少しでも減らし、より良い治験環境を作ることは可能だと感じています。

5. 規制当局の立場：PMDA 審査員の視点

座長（中村先生）：ここで規制当局の立場について伺いたいと思います。PMDA では、米国に拠点を設けるなど、活動の幅を広げられています。そのような変化をみせる中で、PMDA として今回の課題についてどのようにお考えでしょうか。

飯村先生（PMDA）：ありがとうございます。PMDA では、アウトリーチ活動の一環として、ワシントン事務所を中心に、海外のスタートアップ企業やベンチャーキャピタルに対して、日本の薬事制度や日本での開発の魅力を発信しています。そうした活動を通じて、日本での開発に関心を持つ企業が着実に増えてきていると感じています。

一方で、今回のテーマの小児採血については、PMDA の審査員全体がその大変さを十分に理解しているかという、必ずしもそうではないと感じています。本日の議論やご発表を拝聴し、企業だけでなく、審査員にとっても、小児の採血が医療現場や子どもたちにとってどれほど大きな負担になっているのかを、改めて理解する必要があると感じました。今後は、こうした現場の実情を審査員にも共有していくとともに、可能であれば現場を知る機会を設けることも重要だと思います。

6. グローバルと日本の環境差、プロトコール設計の課題

座長（中村先生）：先ほど、小児臨床試験での採血量のガイダンスがアメリカと欧州で異なるという話がありました。また、米国や欧州と日本では、治験を実施する医療環境が異なります。海外では専門の採血担当者がいる一方で、日本では医師や看護師が多くの業務を担っています。米国のようにリソースがリッチな国がある一方、小児の希少疾患の開発は世界中で実施する必要があるが、もっとリソースがプアな地域はいっぱいある。この違いを前提に、実施可能なプロトコールを設計する必要があるのではないかと思います。

田中先生：私も全く同じ印象を持っています。特に米国では医師が採血をすることが少ないので、小児採血の負担を医師が想像しにくいのではないかと。国内では多くの小児科医がご自身でも採血をされており、時間が掛かるとか、大変だといったことに加えて、心理的にもどうやっても採血負担を改善したいと考えるのではないかと。米国では概念として減らした方が良いとは思っても、実際に例えば 30cc 採血することがどういうことか、小児科医であっても想像しにくいところがあるのではないかと思います。

一方で、例えば米国のガイダンスで体重 1 キロあたり 5cc というと、10 キロのお子さんと 50cc ということになり、実際にはこの量の採血はほぼ不可能だと思います。ですので、ガイダンス通りにプロトコールに設定した採血量でも、実際には対応できず、治験開始後に修正が必要になり、結果として全体が遅れてしまうケースもあります。患者さんの負担だけでなく、開発全体の効率や承認の遅れにつながるという点を、グローバルにも伝えていく必要があると思います。

松尾氏：プロトコールの設計について言えば、例えば年齢で区切った場合、海外と日本のお子さんでは同じ年齢でも体格の違いがある場合がある。同じ採血量をプロトコールで設定しても、体格の小さな日本の患者さんには負担が大きかったりする現実もある。そこを検討できているかは企業によっても違う可能性があると思います。ま

た、国際共同治験では一番症例が登録できる国を基準にしてプロトコルを設計して、なるべく早く治験を進めたいという考えもある。そうすると、日本から提案があっても、世界のプロトコルとしては採用されないということもある。実際に現場を見せていただくとジレンマを感じる点です。

座長（中村先生）：国立がん研究センターのように、日本が国際共同治験に参加することで患者登録が進んだという事例を発信されているところもあります。「日本の医療機関が治験に参加することで企業にとっても益になるんだよ」といったメッセージを出す取り組みもしなければいけませんよね。清水さんはいかがですか？

清水氏：最近、米国で自社の小児試験をリードしているメンバーと採血量の課題について話をしました。中村先生のおっしゃるように、米国では専門の技師がいるので、採血量や負担は課題として認識されていないという回答でした。むしろ、医薬品の投与や PK の採血が基準の時間内に実施されているかといったコンプライアンスの部分重視しているということでした。とはいえ、治験のリソースがリッチではない地域でも治験を実施したり、承認を取ることを考えると、日本で採血負担の課題に取り組んで、改善提案をグローバルに発信していくことは重要であり、今後も続けていきたいと考えています。

7. 治験現場の声を伝達する際の課題

座長（中村先生）：もう一つ、現場の声が企業（治験依頼者）に十分届かない理由として、治験現場と企業の間に入ること、意図が正確に伝わらないケースもあると感じています。友常先生、いかがでしょうか。

友常先生：CRC の多くは同じことを感じていると思います。現場の困りごとを伝えても、企業に届く前に、結果的に逸脱扱いになってしまったり、困ったまま終わってしまうこともあります。一方で、企業側で治験現場の対応は CRO に一任しているという企業もあり、そのような企業の場合は、現場の声を聴いてもらいたいと思っても届かないのかなというジレンマも感じています。

8. Take home message : 今後に向けて

座長（中村先生）：それでは、今日の Take home メッセージと言いますか、今後できること、明日につないでいかないといけないと思うことについて、最後に、一人ずつコメントをお願いします。

松尾氏：企業として、治験が実施される医療機関の現場を知ることは必要であり、医療機関の声をお聞きしなければならないと考えました。また、治験手順に関する説明責任を果たすことも必要だと思います。プロトコルに書いてあるから、国際共同治験だから変更できない、という説明で終わらせるのではなく、「なぜこの採血が必要なのか」を、医療現場にきちんと説明する責任があると感じました。

飯村先生：小児治験の採血の課題を、企業・医療機関・CRO/SMO・PMDA が一緒になって共有し、どうあるべきかを議論し続けることが重要だと思います。小児医療の現場の見学は PMDA の職員も実施すべきだと感じています。

田中先生：実際の小児の医療現場を見ることが難しくても、これまでより少し想像力を働かせ、現場の声に耳を傾けることが大切だと思います。治験現場で医療従事者や患者さん、CRC さんが困っているんじゃないか？ 困っているけれど声が届いてないのではないか？ 自分たちがベストと思っている対応が、まだまだ伸びしろがあるんじゃないか？ その気づきが、グローバルへの提案にもつながるのではないのでしょうか。

友常先生：小児の治験に携わっている CRC はみんな、採血の逸脱が起こらないよう注意を払って対応しています。また、子どもたちやご家族の負担を減らしたいと常に考えています。企業の皆さんと協働しながら、より良い解決策を一緒に考えていければと思います。

清水氏：先ほどもコメントした通り、小児治験で採血を無くすことはできないものの、採血による負担は何らかの形で改善し、少しでもゼロに近づけるのではないかと考えています。今回のシンポジウムを聴いてくださったことで、今後、小児治験をデザインする中で、採血の課題やその対応策に気付くきっかけになれば非常にうれしいです。ありがとうございました。

座長（實部会長）：皆さんにお話しいただいた小児採血については私から追加してコメントすることはありません。今日、私がシンポジウムの一部、二部を通じて心に残っているのは、厚労省の紀平先生がおっしゃったように、我々は国民に対して一丸となって、意見を交わしながら最善策を探していくことがシナジーを生むんだと感じ、理解も進みました。今日、冒頭に申し上げた通り、企業にとっては採算性の問題はあります。しかし、聴講いただいている企業の方々に言いたいのは、皆さん一人一人ができることは少ないですけど、小児用の医薬品開発は必要だということを、皆さんの機関で、企業で話をしてもらうことで、国民がそれを知り、機運が高まれば、小児治験の推進に繋がるということです。ですから、どんどんこういった話を議論して、仲間を増やしていくとよろしいかと思っております。今日は、ありがとうございました。

座長（中村先生）：本日の議論を通じて、参加された皆さん一人ひとりが、それぞれの立場で何か一つずつ変えていくことが、将来の小児医薬品開発につながると願っています。本日はありがとうございました。