

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

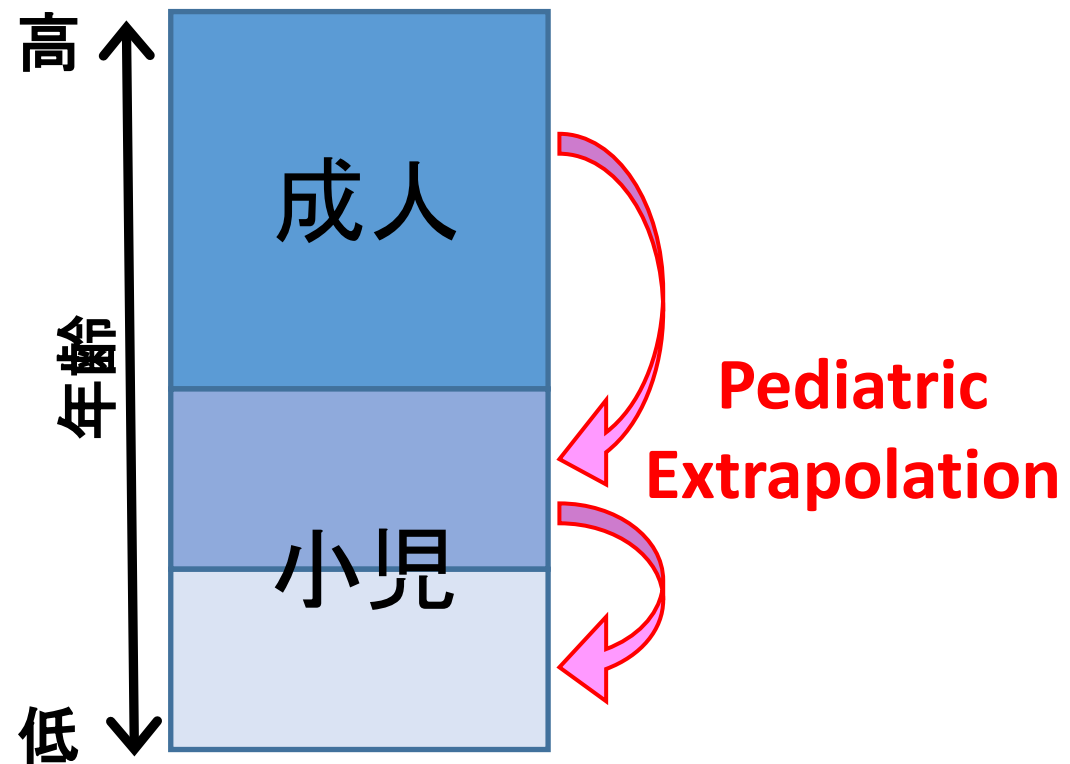
医薬品医療機器総合機構(PMDA)
Topic Leader 木島慎一

本日の内容

1. 背景
2. 活動経緯
3. ジュネーブ会議の成果
4. 今後の予定

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

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。



背景

- E11(R1)のconcept paperでは、「小児用医薬品開発における外挿」の利用を進めるために、より詳細なガイダンスを作成することを推奨。
- E11(R1)ガイドラインでは、「小児用医薬品開発における外挿」に関してはHigh Levelの記述に留まっている。



「小児用医薬品開発における外挿」をどのように利用するのかについて、より具体的なガイダンスを提供することが必要

活動経緯

2017年6月

モントリオール会議で新規トピックとして採択

2017年9月

Concept paper/Business planの検討開始

2017年10月

電話会議実施

Concept paper/Business planにおけるInformal Working Groupメンバーでの合意

2017年11月

ジュネーブ会議

Pediatric Extrapolation Informal Working Group

【規制当局】

US FDA : Rapporteur

MHLW/PMDA

EC

ANVISA

CFDA

Health Canada

Swissmedic

TFDA*

TGA*

National Center, Kazakhstan*

【業界団体】

PhRMA

JPMA

EFPIA

BIO

IFPMA*

*: Observer

ジュネーブ会議の成果

- Concept paper/Business planのManagement Committeeによる承認
→ CodeはE11Aに決定
- 既存の規制ガイドライン等、各局の状況の共有とレビュー
- Working planの作成・最終化
- 「小児用医薬品開発における外挿」に関するkey termsを確認

Concept paperについて

Issues to be Resolved

1. Address and align terminology related to pediatric extrapolation
2. Provide information on various approaches that can be utilized to support the use of pediatric extrapolation
3. Discuss a systematic approach to use of pediatric extrapolation
4. Discuss study designs, statistical analysis, M&S analyses and respective methods

<Concept paper>

http://www.ich.org/fileadmin/Public_Web_Site/ICH_Products/Guidelines/Efficacy/E11A/E11A_ConceptPaper_Final_2017_1017.pdf

今後の予定

2017年12月-2018年5月 毎月の電話会議

2018年6月神戸対面会議

- ✓ key termsの定義に関する合意
- ✓ 公表文献のレビューと議論
- ✓ 各極の小児外挿の事例の検討と考察
- ✓ E11Aガイドラインのアウトラインの作成

2020年11月を目処に技術ドキュメントの作成
(Step1 Sign off)を目指す