

ICH E11-Addendum (R1)

**Clinical Investigation of Medicinal Products in
the Pediatric Population**

**小児集団における医薬品の臨床試験に関する
ガイダンス（補遺）**

Montreal 2017 EWG会議の報告

崎山美知代

E11 副トピックリーダー

(独) 医薬品医療機器総合機構ワクチン等審査部

本日の内容

- ◆ **背景**
- ◆ **これまでの経緯**
- ◆ **E11補遺の主な内容**
- ◆ **今後の予定**

背景

「小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンス」(ICH E11)が定められてから10年以上が経過し、小児用医薬品開発に関する科学的及び倫理的な知識や見解が変化してきているため、現行ガイダンスのupdateが必要

経緯① 2014年11月リスボン会合まで

- 2014年1月 : Concept Paper作成のためのInformal EWG 発足
- 2014年8月 Concept PaperがSteering Committee により承認
→正式EWG発足

* なお、各国・地域の法規制が異なる状況を踏まえ、各国・地域の事情を考慮した形でStep1 documentを作成することについては、2014年のリスボン対面会合前に合意に至っている

補遺に記載すべきとされた7項目

Final Concept Paperより

- Commonality of Content
- Age Classification and Pediatric Subsets Including Neonates
- Ethical Considerations in Pediatric Studies
- Types of Studies and Methodology of Clinical Trials
- Formulation Challenges in Pediatric Drug Development
- Extrapolation for Data
- MID3 / Modelling & Simulation

経緯② 2014年11月リスボン会議での合意事項等

- E11ガイドラインのUpdateは、全面改訂ではなくAddendumを作成することを、改めて確認
- 7項目のうち、Extrapolation of Data、MID3/Modelling & Simulation、Pediatric Formulationの3項目については、各国・地域で専門家集団も含めたワーキンググループ等で検討中の事項でもあり、今回のAddendumでは総論的(high level)な記載に留めることとされた

経緯③ 2017年モンリオール会議まで①

- 2015年6月 福岡対面会合
- 2016年4月 Pre-Release Step1 Technical Documentを作成
 - EWG参加パーティ内でそれぞれPre-Release Step1 Technical Documentを回覧し、計316のコメントが寄せられた
- 2016年6月 リスボン対面会合
 - 各パーティから寄せられたコメントに対応しつつStep1 Technical Documentをほぼ完成させた
- 2016年8月25日 Step1 document完成→各パーティの代表者によるSign Off
- 2016年10月 Step2a→Step2b 承認

経緯④ 2017年モンリオール会議まで②

- Step2b Documentについて、各国・地域でパブコメを実施
 - ICH: Oct 13, 2016 - Apr 13, 2016
 - EC: Oct 13, 2016 - Apr 13, 2016
 - Health Canada: Nov 4, 2016 - 4 Feb, 2017
 - FDA: Nov 21, 2016 – Feb 21, 2017
 - Japan: Nov 10, 2016 - Dec 9, 2016
 - Swiss medic: referring input to the EC consultation
 - ANVISA asked the stakeholders for comments in 2017
 - 計165のコメントが寄せられた(日本語訳特有のコメントを除く)
- モンリオール会合に向け、テレカン、メールを通じ、各国・地域から寄せられたコメントへの対応について各項目ごとに予備的に検討した

モンリオール会合では、コメントに対応しつつStep3 Technical Documentの完成を目指した

E11 (R1) の内容

1. Introduction

1.1 Scope and Objectives of the Addendum

2. Ethical Considerations

3. Commonality of Scientific Approach For Pediatric Drug Development Programs *

4. Age Classification and Pediatric Subgroups, Including Neonates

5. Approaches to Optimize Pediatric Drug Development *

5.1 The Use of Existing Knowledge in Pediatric Drug Development

5.1.1 The Use of Extrapolation in Pediatric Drug Development

5.1.2 The Use of Modeling & Simulation (M&S) in Pediatric Drug Development

6. Practicalities in the Design and Execution of Pediatric Clinical Trials *

6.1 Feasibility

6.2 Outcome Assessments

6.3 Long-term Clinical Aspects, Including Safety

7. Pediatric Formulations

7.1 Dosage and Administration

7.2 Excipients

7.3 Palatability and Acceptability

7.4 Neonates

8. Glossary *

* : *New in E11(R1)*

今後

- 2017年7月中 Step3 Technical documentについて誤字修正、文章修正等の最終調整を行う
- 2017年8月1日までに EWG規制当局メンバーによるStep3文書サインオフ
- 2017年中にStep4としてICH Assemblyによる採択