



独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

□ 44 □ ICH □ □ □ □ □
2021/12/22 Web開催

ICH E11A

Pediatric Extrapolation

小児用医薬品開発における外挿

医薬品医療機器総合機構（PMDA）

Topic Leader 木島慎一

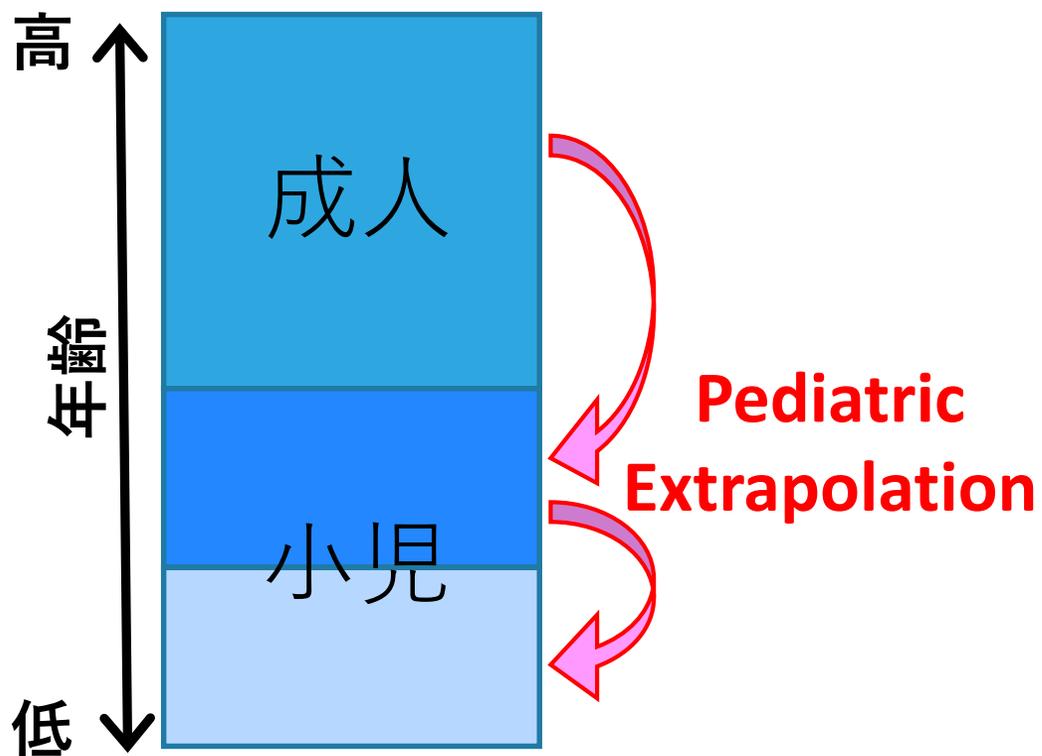
| 本日の内容

1. 背景
2. バンクローバー会合代替バーチャル会議までの状況
3. バンクローバー会合代替バーチャル会議の内容
4. 今後の予定

| 本日の内容

- ▶ 1. 背景
- 2. バンクローバー会合代替バーチャル会議までの状況
- 3. バンクローバー会合代替バーチャル会議の内容
- 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。

ICH E11(R1)：小児集団における医薬品開発の臨床試験に関するガイダンスの補遺

| E11 (R1) とE11A

- 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」に関しては概要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

| E11Aガイドラインの目的

- Pediatric Extrapolationに関する用語を整理し定義すること
- Pediatric Extrapolationを用いることをサポートするのに有用な様々な方法について情報提供すること
- Pediatric Extrapolationを用いるための体系的な方法について議論すること
- 試験デザイン、統計解析、Modeling & Simulation及びそれぞれの方法論について議論すること

| Expert Working Group

【規制当局】

US FDA (米国) : Rapporteur
MHLW/PMDA (日本)
EC (欧州)
ANVISA (ブラジル)
NMPA (中国)
Health Canada (カナダ)
MFDS (韓国)
TFDA (台湾)
TGA* (オーストラリア)
National Center* (カザフスタン)
WHO*

【業界団体】

PhRMA
JPMA
EFPIA
BIO
Global Self-Care Federation
IFPMA*

*: Observer

2021年11月末時点

| 活動経緯

2017年6月

モントリオール会合で新規トピックとして採択

2017年10月

Concept paper/Business planの合意

2017年11月

ジュネーブ会議、E11A 設立承認

2018年6月

神戸会合

2018年11月

シャーロット会合

2019年6月

アムステルダム会合

2019年11月

シンガポール会合

2020年5月

バンクーバー会合代替バーチャル会議

2020年11月

アテネ会合代替バーチャル会議

2021年5月

仁川会合代替バーチャル会議

| 本日の内容

1. 背景
- ▶ 2. バンクローバー会合代替バーチャル会議までの状況
3. バンクローバー会合代替バーチャル会議の内容
4. 今後の予定

| バンクオーバー会合代替バーチャル会議までの状況

- さまざまな領域の専門家（小児科、臨床薬理/ファーマコメトリクス、統計）が必要な複雑なトピック
 - ✓ サブグループによる技術的文書のドラフト作成
 - 疾患の類似性を評価する方法
 - Modelling & Simulation
 - 統計学的方法論
- 各サブグループの作成したセクションの統合と1stドラフト文書のLine by Lineレビュー
 - ✓ 隔週のEWGでの電話会議
 - ✓ 必要に応じたサブグループでの電話会議
- 対面会合のキャンセル等によるレビュー作業の遅れ
 - ✓ 時間の短い電話会議は、本トピックのような複雑なトピックについてコンセンサスを得るためには非効率的

| 本日の内容

1. 背景
2. バンクローバー会合代替バーチャル会議までの状況
- ▶ 3. バンクローバー会合代替バーチャル会議の内容
4. 今後の予定

バンクーバー会合代替バーチャル会議の内容

会議の概要

- 2021年11月16～18日の3日間、各日2時間のWeb会議

ドラフト文書のレビュー

- Day1～3: ドラフト文書のLine by Lineレビューの継続

作業計画の修正

- Step 1及びStep 2 sign-offに達するまでに約1年の遅延が発生
- 2022年1～2月にStep 1及びStep 2 sign-offを達成するための修正
 - ✓ pre-readを行う期間を省略
 - ✓ Annexでの例示をトレーニングマテリアルに置き換え
- パブリックコメント募集期間中にトレーニングマテリアルの作成作業を実施

| 本日の内容

1. 背景
2. バンクローバー会合代替バーチャル会議までの状況
3. バンクローバー会合代替バーチャル会議の内容
- ▶ 4. 今後の予定

| 今後の予定

時期	当初の予定
2020年11月	<ul style="list-style-type: none"> Step 1及びStep 2 sign-off → 遅延

時期	今後の予定（見込み）
2022年1月～2月	<ul style="list-style-type: none"> Step 1及びStep 2 sign-off
2022年2月～	<ul style="list-style-type: none"> パブリックコメントに向けた作業開始
2022年前半	<ul style="list-style-type: none"> パブリックコメント募集開始 トレーニングマテリアルの検討