PMDA ワークショップ
「炎症性腸疾患治療薬の臨床開発の展望－国際開発が進む中での日本の臨床評価－第 2 回」

４．新たな開発戦略の工夫（国際共同試験、小児開発など）

■ 臨床現場からの意見

国立成育医療研究センター 器官病態系内科部消化器科　　新井　勝大

炎症性腸疾患（IBD）の臨床現場においては、効果があると思われる薬について、速やかに効果と安全性を評価し、実用に向けての開発を進めることが求められている。
小児期に発症する IBD 患者の治療においても、成人と同様の薬が用いられているが、多くの IBD 治療薬が、成人患者でのみ承認されており、小児での使用が、適応外使用となる現状は、子ども達が、エビデンスに則った質の高い治療をうける機会を奪うだけでなく、適応外として薬を投与する医師と病院にも大きな負担を負わせている。
近年、FDA や EMA でも、薬剤開発にあたり、当初より小児適応取得への取り組みを行うことを推奨しており、今後、本邦においても、小児適応の取得を含めた治療薬の臨床開発が求められてくることが予想される。
特に小児 IBD をはじめとする稀少疾患の治療薬の開発においては、国際共同治験を推進することで、より多くの患者を対象とした臨床試験が可能となり、速やかかつ、複数の国での同時承認が行われる可能性もある。
本講演では、小児領域における、国際共同治験を含めた薬剤開発における問題点と課題、そして対策について検討したい。