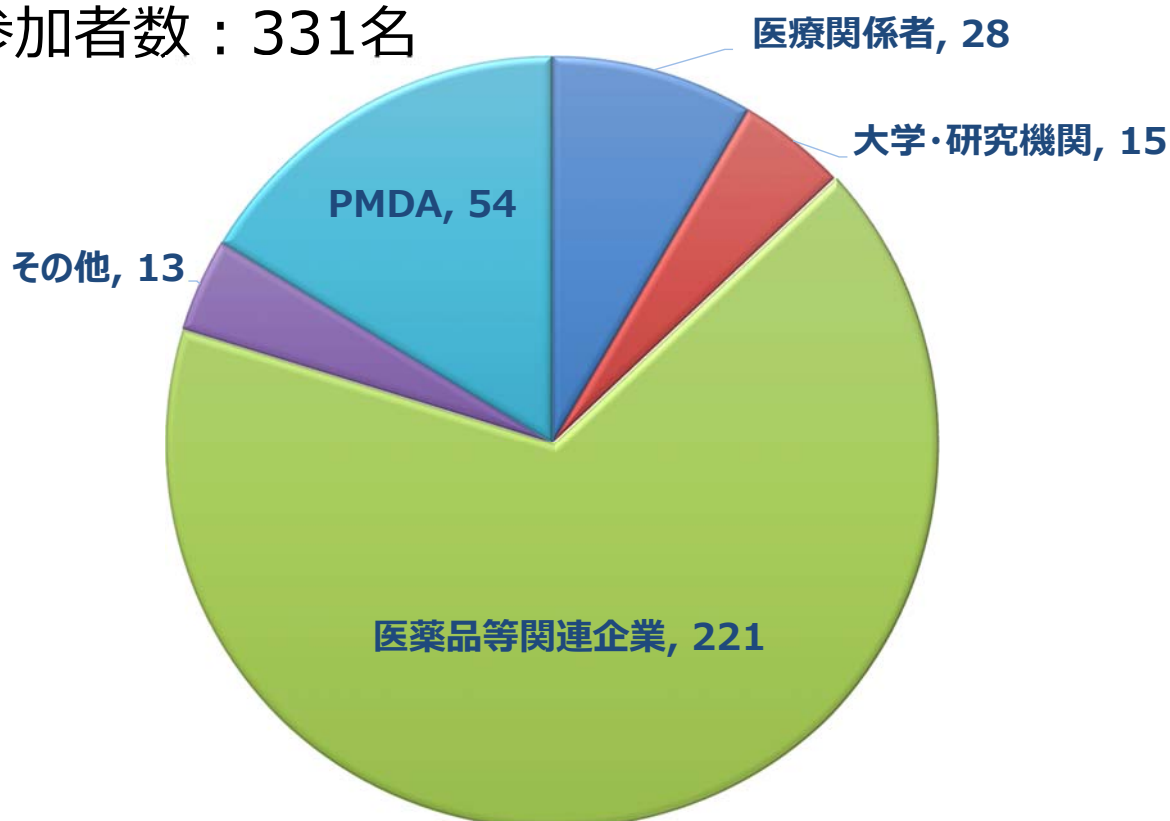


PMDAワークショップ 小児医薬品の開発促進を目指して ～子供の未来のために今できること～

アンケート結果

(参考) ワークショップ参加者背景

□参加者数：331名



アンケート概要

□ アンケート実施期間

2016年12月1日～12月12日

□ 回答数

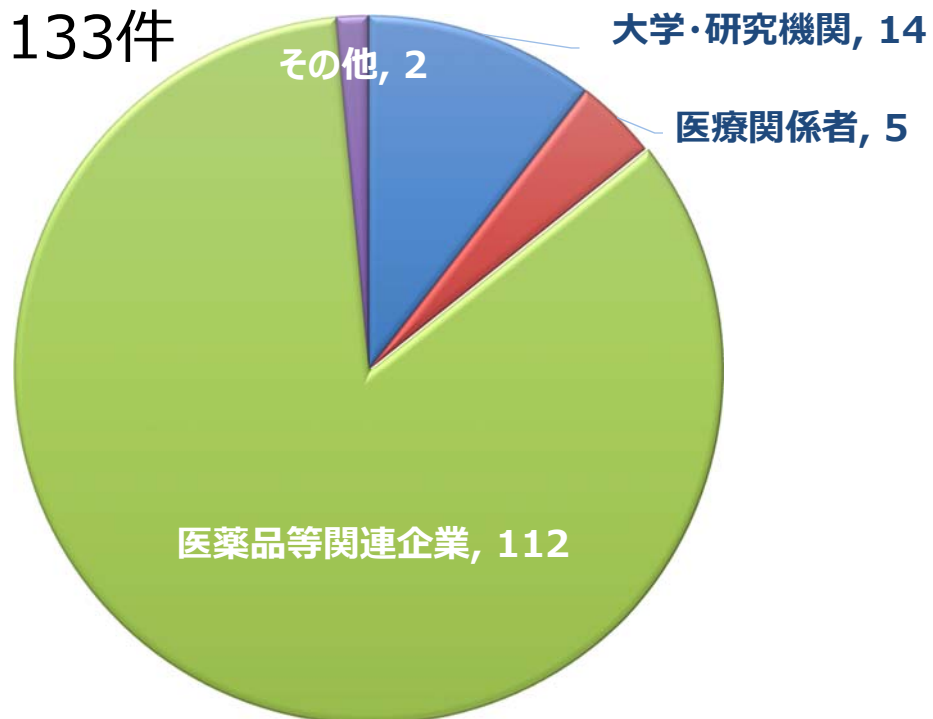
133名/267名※

※ワークショップ総参加者331名中、PMDA参加者、演者・座長・その他ワークショップ運営関係者を除く一般参加者267名にアンケートを送付

※運営に関する設問（Q6及びQ7）に対する回答は除いて集計

Q1. アンケート回答者のご所属区分

□ 回答数：133件



※ワークショップ総参加者331名中、PMDA参加者、演者・座長・その他ワークショップ運営関係者を除く一般参加者276名にアンケートを送付

Q2. 今回のワークショップは有益でしたか



Q3. Q2の選択理由

□「有益ではなかった」を選択した理由（5件）

- ICH E11との関連、臨床試験の進め方の議論を期待していた。
- 小児の臨床開発時期をどこに設定すべきか、症例集積性に難のある小児治験を実現するための施策について、具体的な意見が出てこなかったため。
- そもそも小児開発が義務付けられている欧米と、そうでない日本では状況が異なり、いくら承認に必要なストラテジーを論じてもという思いが会場の白けた雰囲気を作り出していたのではないのでしょうか。
- 既に論点として挙げられているものに留まり、新しいものがなかったこと、論点であるにも関わらずまとめがなかったこと等により、有益であったとは言えない。
- 外挿の話は、外挿という手法が用いられ始めた当時とデータパッケージの構築の考え方において大きな差（進歩）がないという印象を受けた。小児医薬品開発時期についても現状通り、ケース・バイ・ケースの域を出ず、確認にとどまった感がある。

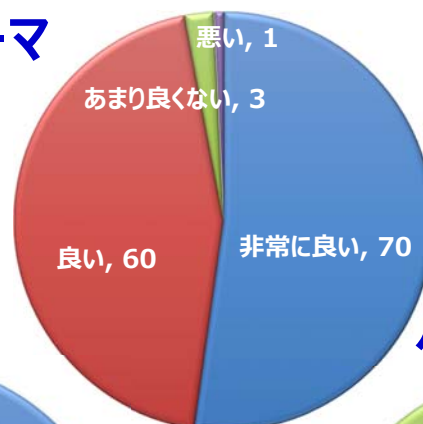
Q3. Q2の選択理由

□「有益だった」を選択した理由（101件の中から一部抜粋）

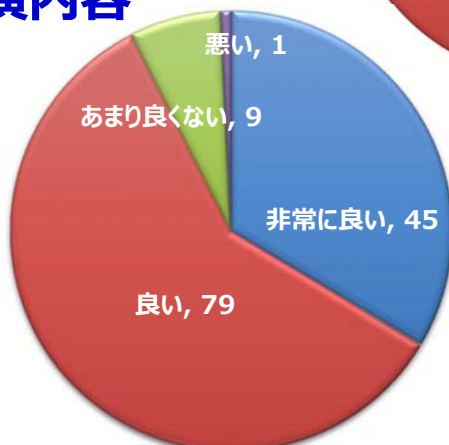
- 小児開発における海外及び国内の状況，また国内で開発していく上での現状や課題点について把握することができた。
- 小児用医薬品の開発促進が求められる中で，当局，アカデミア，企業のそれぞれの立場からの具体的な考え方，課題や提案を理解できる機会として有益だった。
- 小児の治験の必要症例数等の算定に必要な考え方が理解できた。日本において，小児のデータが求められる理由が理解できた。
- 小児適応に対する開発の方策を検討する上で，審査側の考え方や現状を知ることが出来た
- 外挿にあたってのポイント、効率的な開発手法、経験に基づく開発時期の考え方や、PMDAのスタンス（たとえ結果的に成人のあとになっても最初に小児開発計画を検討することが必要であること、効率的な開発に対し基本的に理解があること、効率的な開発手法に対し慎重ではあるものの相談制度で積極的に応じたいとのこと）を理解でき、PMDA小児WGの今までの発表以上に得るものがあり、またE11(R1)案のポイントが理解できたので。

Q4. ワークショップの内容について

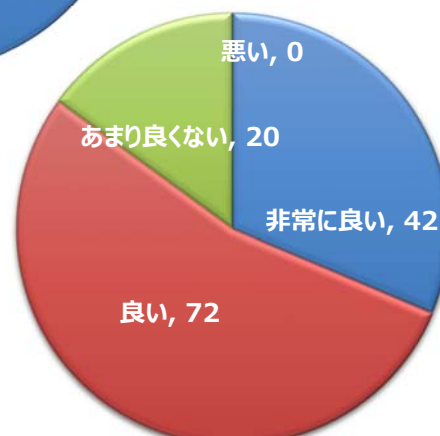
講演テーマ



講演内容



パネルディスカッション



Q5. ワークショップの内容に関するコメント

□ 57件の中から一部抜粋

- 具体的にどの様な場合には、小児へ外挿できるか、どの様な試験が計画できるか、などの意見も伺いたかった。
- ワークショップであるので何らかの方向性や結論を示すべきだと思うのだが、それがなかったのが残念である。
- 年齢区分に応じた議論ができると良かった。予想より小児の開発があったかのようであったが、本来開発してもらいたい年齢区分の議論もしてもらいたい。
- ケースバイケースで判断されることはよく理解しているつもりであるし異論はないが、例えば「PMDAとして今後は条件を満たす限り積極的に外挿を認める方針である」など、PMDAの立場をより明確にして発表したほうがよいのではないかと。|PMDA内でICH E11 R1を踏まえてPMDAで検討が行われたことは理解したが、それが今後の審査方針等にどうつながっていくか（生かされていくか）が、あまり明確でなかった。|外挿に関しては、欧米では何年も前から議論されている話題であり、欧米の後追いになっている感は否めない。

Q5. ワークショップの内容に関するコメント

□ 57件の中から一部抜粋（続き）

- 小児医薬品開発について、外挿や臨床試験の早期実施など、前向きな議論が多く、良かったと思います。
- 国内や海外の臨床データを小児開発に外挿する際の留意点を知ることができ、非常に参考になりました。
- 講演テーマの課題設定が大変良かったと思います。また、パネルディスカッションでは、小児開発に絡む様々な問題の一端が見られ、これらを今後1つずつ先ず議論を重ねていくことが重要だと思いました。
- ディスカッションするテーマが絞られていて、理解しやすかった。問題点については理解できたが、その具体的な解決策についてはもっと議論が欲しかった。
- パネルディスカッションにおいて、パネラーの選択が良かったのかコメントのなかで興味深いものがあり、また両座長とも進行の方向性を適切にガイドしていると思われました。
- テーマを2つにしぼっていたので、議論が変な方向に拡散せずまとまりがあった。パネルディスカッションは慌ただしい印象を持ったので、時間をもう少し長めにとってもよいのではと感じた。今後、小児の抗癌剤開発状況と展望についての講演があれば勉強になる。

Q8. PMDA小児WGの活動へのコメント

□ 48件の中から一部抜粋

- 今回のようなワークショップを開催する際にPMDAの該当ワーキンググループの活動の概略を紹介（例えば紙資料1枚程度にまとめて配布とか）してはいかがでしょうか？関係者以外にはあまり知られていないような気がします。
- 審査側の考え方を示すような、公開の場を増やしてほしい。全身投与薬だけでなく、局所投与の薬剤の小児適応についても検討する場を作ってほしい。
- 今後も定期的に情報交換の場を提供していただきたいです。
- 外挿や小児医薬品開発について、インセンティブを含んだ指針や法制化を進めていただければと思います。
- グローバルで開発している企業は小児医薬品の開発もしやすいと思うが、国内の中堅企業では小児医薬品の開発が義務化されるのは厳しいと感じています。この点も考慮して頂きたいと思います。
- 開発段階での小児への外挿だけでなく、市販後調査や使用経験等による小児への適用拡大についても検討が必要と感じた。
- 小児医薬品開発促進に向けた取り組みは引き続きリードしていただきたい。|国内での小児医薬品開発事例をお示しいただきたい。特に、PMDA相談活用例や、早期から開発を進めた事例など、今後の参考になる情報・成功事例を発信して欲しい。