

小児がん領域の最近の薬剤開発

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
ワクチン等審査部・新薬審査第五部／小児医薬品WG
崎山美知代

COI開示

利益相反に関する開示事項はありません

- 本発表は、発表者の個人的見解に基づくものであり、PMDAの公式見解を示すものではありません。

本日の内容

- 抗悪性腫瘍薬領域における小児用医薬品開発の状況
- 最近の話題

本日の内容

- 抗悪性腫瘍薬領域における小児用医薬品開発の状況
- 最近の話題

治験計画届出件数の推移（薬効別分類）2002-2013年度

薬効分類名	平成14年度	平成15年度	平成16年度	平成17年度	平成18年度	平成19年度	平成20年度	平成21年度	平成22年度	平成23年度	平成24年度	平成25年度
1. 中枢神経用薬(2.を除く)[精神神経用剤]	33 [9]	38 [16]	42 [18]	44[15]	65[16]	56[17]	54[17]	72[22]	71[26]	71[35]	60[25]	52[14]
2. 解熱鎮痛消炎薬	16	14	9	9	9	7	0	7	4	7	7	2
3. 末梢神経用薬 [局所麻酔剤]	15 [7]	9 [5]	3 [3]	7[2]	3[1]	6[5]	10[8]	4[2]	2[0]	5[3]	3[0]	12[7]
4. 眼科・耳鼻科用薬	33	22	24	22	19	27	27	20	21	20	11	15
5. 抗アレルギー薬	27	19	16	14	8	14	8	11	21	11	18	18
6. 循環器官用薬 [血圧降下剤]	31 [11]	29 [8]	34 [10]	39[16]	59[23]	47[13]	45[16]	55[10]	68[29]	48[20]	45[11]	52[9]
7. 呼吸器官用薬	17	8	11	6	8	9	18	23	27	24	11	17
8. 消化器官用薬(9.を除く)	6	8	4	6	20	8	13	14	18	17	20	17
9. 消化性潰瘍用薬	8	13	20	23	3	12	6	7	3	18	4	3
10. ホルモン剤(抗ホルモン剤を含む)	22	22	25	11	21	11	17	16	24	27	21	21
11. 泌尿生殖器官及び肛門用薬	16	26	13	13	12	12	13	15	11	9	4	8
12. 外用薬	15	22	11	11	7	8	15	11	22	21	14	11
13. ビタミン・血液・体液用薬等代謝性医薬品	45	53	51	67	90	74	59	70	70	81	63	62
14. 抗悪性腫瘍薬	46	29	42	133	54	82	105	107	121	156	135	169
15. 放射性医薬品	0	0	1	0	2	0	2	3	6	5	4	7
16. 抗生物質	9	9	9	25	17	9	10	2	5	15	8	8
17. 化学療法剤(16.を除く) [合成抗菌剤]	21 [8]	10 [3]	18 [13]	14[7]	22[13]	19[3]	34[2]	23[1]	9[1]	37[6]	36[9]	29[7]
18. 生物学的製剤 [ワクチン類]	18 [4]	16 [1]	17 [3]	27[6]	18[7]	33[10]	27[6]	36[16]	40[14]	43[13]	40[17]	52[20]
19. 駆虫薬	0	0	0	0	0	0	0	2	1	1	0	0
20. X線造影剤・その他診断薬	7	2	3	1	1	3	4	1	3	4	4	5
21. その他 [糖尿病用剤]	37 [20]	33 [16]	53 [33]	60[34]	61[49]	71[45]	57[41]	61[45]	85[59]	69[48]	48[30]	41[18]
計	422	382	406	534	499	508	524	560	632	689	556	601

(注1)

「平成14年度」及び「平成15年度」については医薬品医療機器総合機構 創設を機に年度単位で再集計している。今後は年度単位での件数を集計・公表していく。

(注2)

[]内の数字は、代表的な薬剤の届出数を示している(例えば、平成16年度の糖尿病用剤に分類される届出数は33)。

[PMDAホームページ](#) > [審査関連業務](#) > [治験関連業務](#) > [治験計画届出制度](#) > [治験計画届出件数](#)

治験計画届出件数の推移（薬効別分類）2014-2017年度

薬効分類名	平成26年度	平成27年度	平成28年度	平成29年度
1. 中枢神経用薬(2.を除く)[精神神経用剤]	68[14]	49[7]	48[6]	64[15]
2. 解熱鎮痛消炎薬	7	4	5	4
3. 抗がん剤	4[1]	9[0]	6[0]	6[1]
4. 抗アレルギー薬	11	30	14	17
5. 抗糖尿病薬	21	12	4	7
6. 抗感染薬	18[9]	46[3]	49[12]	21[5]
7. 抗不安薬	16	25	14	12
8. 抗うつ薬	18	11	25	14
9. 抗てんかん薬	2	1	1	1
10. ホルモン剤(加齢)	18	27	35	29
11. 泌尿生殖器官及び肛門用薬	5	11	10	8
12. 外皮用薬	9	15	10	9
13. ビタミン・血液・体液用薬等代謝性医薬品	83	86	84	97
14. 抗悪性腫瘍薬	159	226	230	313
15. 放射性医薬品	4	5	7	5
16. 抗生物質	7	9	11	8
17. 化学療法剤(16.を除く)[合成抗菌剤]	27[9]	22[9]	21[1]	16[1]
18. 生物学的製剤[ワクチン類]	39[15]	24[10]	28[9]	28[5]
19. 駆虫薬	0	2	1	0
20. X線造影剤・その他診断薬				3
21. その他[糖尿病用剤]				1
計				

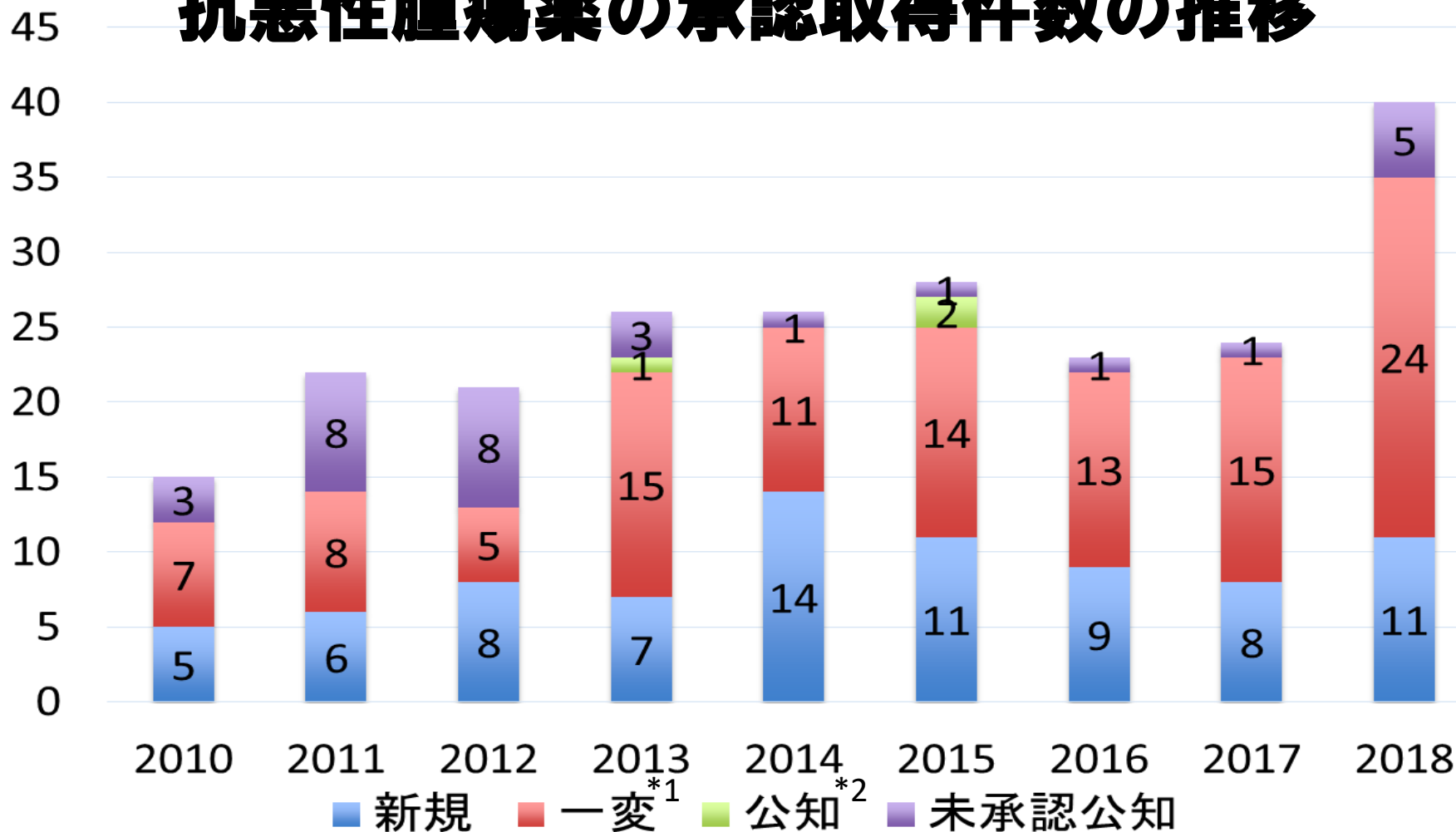
抗悪性腫瘍薬は、ここ数年は他分野に比べ圧倒的に多い

でも小児は少ない...

(注1)[]内の数字は、代表的な薬剤の届出数

[PMDAホームページ](#) > [審査関連業務](#) > [治験関連業務](#) > [治験計画届出制度](#) > [治験計画届出件数](#)

抗悪性腫瘍薬の承認取得件数の推移



PMDAホームページで公開されている新医薬品の承認品目一覧より、2010年度から2018年度について、抗悪性腫瘍薬における承認品目を抽出(225件)

*1: 承認事項一部変更承認申請による承認

*2: 科学的根拠に基づいて医学薬学上公知と認められ、全部もしくは一部の試験が省略されて申請されたもの

小児用法・用量が承認された抗悪性腫瘍薬 (2010-2017年度)

承認年度	販売名	承認形態等	効能・効果
2011	イホマイド*1	新効能・新用量	悪性リンパ腫
2012	アフィニトール	新効能・新用量	結節性硬化症に伴う腎血管性筋脂肪腫及び結節性硬化症に伴う上衣下巨細胞性星細胞腫
2012	アフィニトール分散錠	新効能・新用量、剤形追加	結節性硬化症に伴う上衣下巨細胞性星細胞腫
2012	エボルトラ	新有効成分	再発又は難治性の急性リンパ性白血病
2012	ロイナーゼ*1	新投与経路(筋注)	急性白血病、悪性リンパ腫
2012	カンプト、トポテシン、イリノテカン*1	新効能・新用量	小児悪性固形腫瘍
2013	ハイカムチン*1	新効能・新用量	小児悪性固形腫瘍
2013	リツキサン*1	新効能・新用量	免疫抑制状態下のCD20陽性のB細胞性リンパ増殖性疾患
2014	キロサイド*2	新投与経路(髄注)	急性白血病
2016	アーウィナーゼ	新有効成分	急性白血病(慢性白血病の急性転化例を含む)、悪性リンパ腫 ただし、L-アスパラギナーゼ製剤に過敏症を示した場合に限る
2017	タシグナ	新用量	慢性期又は移行期の慢性骨髄性白血病

* 1: 未承認薬適応外薬検討会議において要望され、医療上の必要性あり、かつ公知に該当するとされたもの

* 2: 公知申請

小児用法・用量が承認された抗悪性腫瘍薬（2018年度）

承認年度	販売名	承認形態等	効能・効果
2018	ビーリンサイト	新有効成分	再発又は難治性のB細胞性急性リンパ性白血病
2018	テモダール*1	新効能・新用量	再発又は難治性のユーイング肉腫
2018	リサイオ	新有効成分	小児悪性固形腫瘍における自家造血幹細胞移植の前治療
2018	エトポシド★		腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置
2018	フルダラビンリン酸エステル★		腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置
2018	シタラビン★		腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置
2018	シクロホスファミド水和物★		腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置

「再生医療等製品の処置薬に係る承認事項一部変更承認申請の取り扱いについて」(平成30年8月27日付け事務連絡)に基づく承認

再生医療製品「チサゲンレクルユーセル(販売名:キムリア点滴静注)」(効能、効果又は性能:再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病)

* 1: 未承認薬適応外薬検討会議において要望され、医療上の必要性あり、かつ公知に該当するとされたもの

★: 一般名で記載

小児用法・用量が承認された抗悪性腫瘍薬は225件中18件
(2010-2018年度)

2010-2018年度に米国で小児に承認された血液・腫瘍領域の 医薬品①

成分名	効能・効果	米国承認日	国内小児
Everolimus	patients with subependymal giant cell astrocytoma associated with tuberous sclerosis who require therapy but are not candidates for surgical resection	2010.10.29	2012.11月承認
Asparaginase <i>Erwinia chrysanthemi</i>	a component of a multi-agent chemotherapeutic regimen for the treatment of patients with acute lymphoblastic leukemia (ALL) who have developed hypersensitivity to <i>E. coli</i> -derived asparaginase	2011.11.18	2016.12月承認
Glucarpidase	the treatment of toxic plasma methotrexate concentrations (> 1 µmol/L) in patients with delayed methotrexate clearance due to impaired renal function	2012.1.17	
Dinutuximab	in combination with granulocyte-macrophage colony-stimulating factor (GM-CSF), interleukin-2 (IL-2), and 13-cis-retinoic acid (RA), for the treatment of pediatric patients with high-risk neuroblastoma who achieve at least a partial response to prior first-line multiagent, multimodality therapy	2015.3.10	
Pembrolizumab	adult and pediatric patients with refractory cHL, or who have relapsed after 3 or more prior lines of therapy.	2017.3.15	(2017.11月成人用法・用量承認)
Avelumab	patients 12 years and older with metastatic Merkel cell carcinoma	2017.3.23	(2017.9月成人用法・用量承認)

<https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/hematologyoncology-cancer-approvals-safety-notifications>

2010-2018年度に米国で小児に承認された血液・腫瘍領域の医薬品②

成分名	効能・効果	米国承認日	国内小児
Pembrolizumab	adult and pediatric patients with unresectable or metastatic, microsatellite instability-high (MSI-H) or mismatch repair deficient (dMMR) solid tumors that have progressed following prior treatment and who have no satisfactory alternative treatment options or with MSI-H or dMMR colorectal cancer that has progressed following treatment with a fluoropyrimidine, oxaliplatin, and irinotecan	2017.5.23	(2017.12月成人用法・用量承認)
Blinatumomab	relapsed or refractory B-cell precursor acute lymphoblastic leukemia (ALL) in adults and children	2017.7.11	2018.9月承認
Nivolumab	patients 12 years and older with mismatch repair deficient (dMMR) and microsatellite instability high (MSI-H) metastatic colorectal cancer that has progressed following treatment with a fluoropyrimidine, oxaliplatin, and irinotecan	2017.8.1	
Tisagenlecleucel	patients up to age 25 years with B-cell precursor acute lymphoblastic leukemia (ALL) that is refractory or in second or later relapse	2017.8.30	2019.3月承認
Gemtuzumab ozogamicin	newly-diagnosed CD33-positive acute myeloid leukemia (AML) in adults and for treatment of relapsed or refractory CD33-positive AML in adults and in pediatric patients 2 years and older	2017.9.1	(未治療AMLは成人も未承認)

2010-2018年度に米国で小児に承認された血液・腫瘍領域の 医薬品③

成分名	効能・効果	米国承認日	国内小児
Dasatinib	pediatric patients with Philadelphia chromosome-positive (Ph+) chronic myeloid leukemia (CML) in the chronic phase	2017.11.9	
Emicizumab-kxwh	routine prophylaxis to prevent or reduce the frequency of bleeding episodes in adult and pediatric patients with hemophilia A (congenital factor VIII deficiency) with factor VIII inhibitors	2017.11.16	2018.3月承認
Nilotinib	pediatric patients 1 year of age or older with newly diagnosed Philadelphia chromosome positive chronic myeloid leukemia in chronic phase (Ph+ CML-CP) or Ph+ CML-CP resistant or intolerant to prior tyrosine-kinase inhibitor (TKI) therapy	2018.3.22	2017.12月承認
Blinatumomab	adult and pediatric patients with B-cell precursor acute lymphoblastic leukemia (ALL) in first or second complete remission with minimal residual disease (MRD) greater than or equal to 0.1%	2018.3.29	
Everolimus	the adjunctive treatment of adult and pediatric patients aged 2 years and older with tuberous sclerosis complex (TSC)-associated partial-onset seizures	2018.4.10	
Methoxy polyethylene glycol-epoetin beta	pediatric patients 5 to 17 years of age on hemodialysis who are converting from another ESA after their hemoglobin level was stabilized with an ESA	2018.6.7	

<https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/hematologyoncology-cancer-approvals-safety-notifications>

2010-2018年度に米国で小児に承認された血液・腫瘍領域の 医薬品④

成分名	効能・効果	米国承認日	国内小児
Pembrolizumab	adult and pediatric patients with refractory primary mediastinal large B-cell lymphoma (PMBCL), or who have relapsed after two or more prior lines of therapy	2018.6.13	
Ipilimumab (in combination with nivolumab)	patients 12 years of age and older with microsatellite instability-high (MSI-H) or mismatch repair deficient (dMMR) metastatic colorectal cancer (mCRC) that has progressed following treatment with a fluoropyrimidine, oxaliplatin, and irinotecan	2018.7.10	
Lobenguane I 131	adult and pediatric patients (12 years and older) with iobenguane scan-positive, unresectable, locally advanced or metastatic pheochromocytoma or paraganglioma (PPGL) who require systemic anticancer therapy	2018.7.30	
Emicizumab-kxwh	prophylaxis to prevent or reduce the frequency of bleeding episodes in adult and pediatric patients (ages newborn and older) with hemophilia A (congenital factor VIII deficiency) with or without factor VIII (FVIII) inhibitor	2018.10.4	2018.12月承認 (インヒビター保有 なし 効能追加)
Emapalumab	adult and pediatric (newborn and older) patients with primary hemophagocytic lymphohistiocytosis (HLH) with refractory, recurrent or progressive disease or intolerance with conventional HLH therapy	2018.11.20	

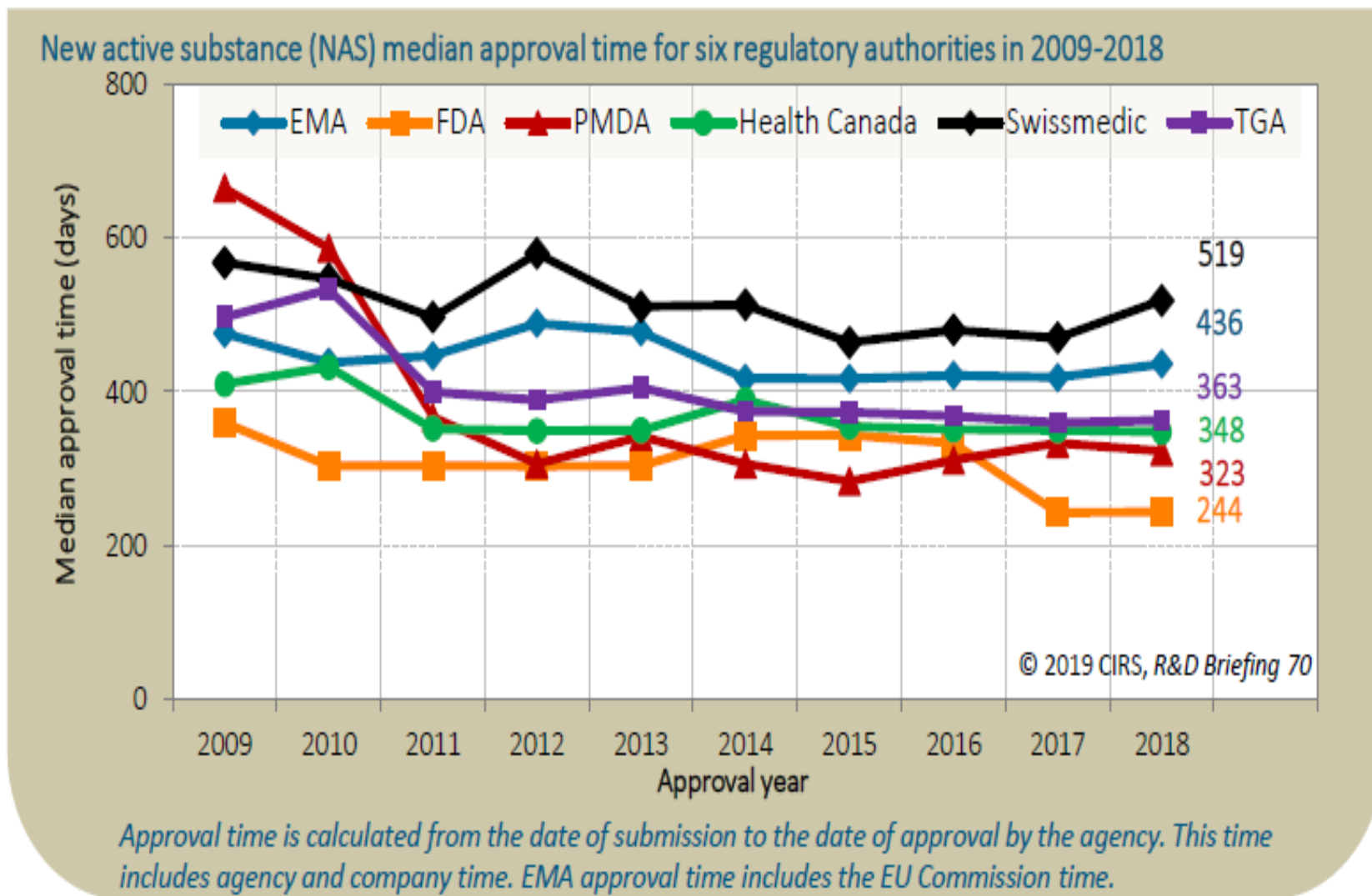
<https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/hematologyoncology-cancer-approvals-safety-notifications>

2010-2018年度に米国で小児に承認された血液・腫瘍領域の医薬品⑤

成分名	効能・効果	米国承認日	国内小児
Larotrectinib	adult and pediatric patients with solid tumors that have a neurotrophic receptor tyrosine kinase (NTRK) gene fusion without a known acquired resistance mutation, that are either metastatic or where surgical resection is likely to result in severe morbidity, and who have no satisfactory alternative treatments or whose cancer has progressed following treatment	2018.11.26	
Romiplostim	pediatric patients 1 year of age and older with immune thrombocytopenia (ITP) for at least 6 months who have had an insufficient response to corticosteroids, immunoglobulins, or splenectomy	2018.12.14	
Pembrolizumab	adult and pediatric patients with recurrent locally advanced or metastatic Merkel cell carcinoma (MCC).	2018.12.19	
Calaspargase pegol-mknl	as a component of a multi-agent chemotherapeutic regimen for acute lymphoblastic leukemia (ALL) in pediatric and young adult patients age 1 month to 21 years. This new product provides for a longer interval between doses compared to other available pegaspargase products	2018.12.20	
Tagraxofusp-erzs	blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasm (BPDCN) in adults and in pediatric patients 2 years and older.	2018.12.21	

<https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/hematologyoncology-cancer-approvals-safety-notifications>

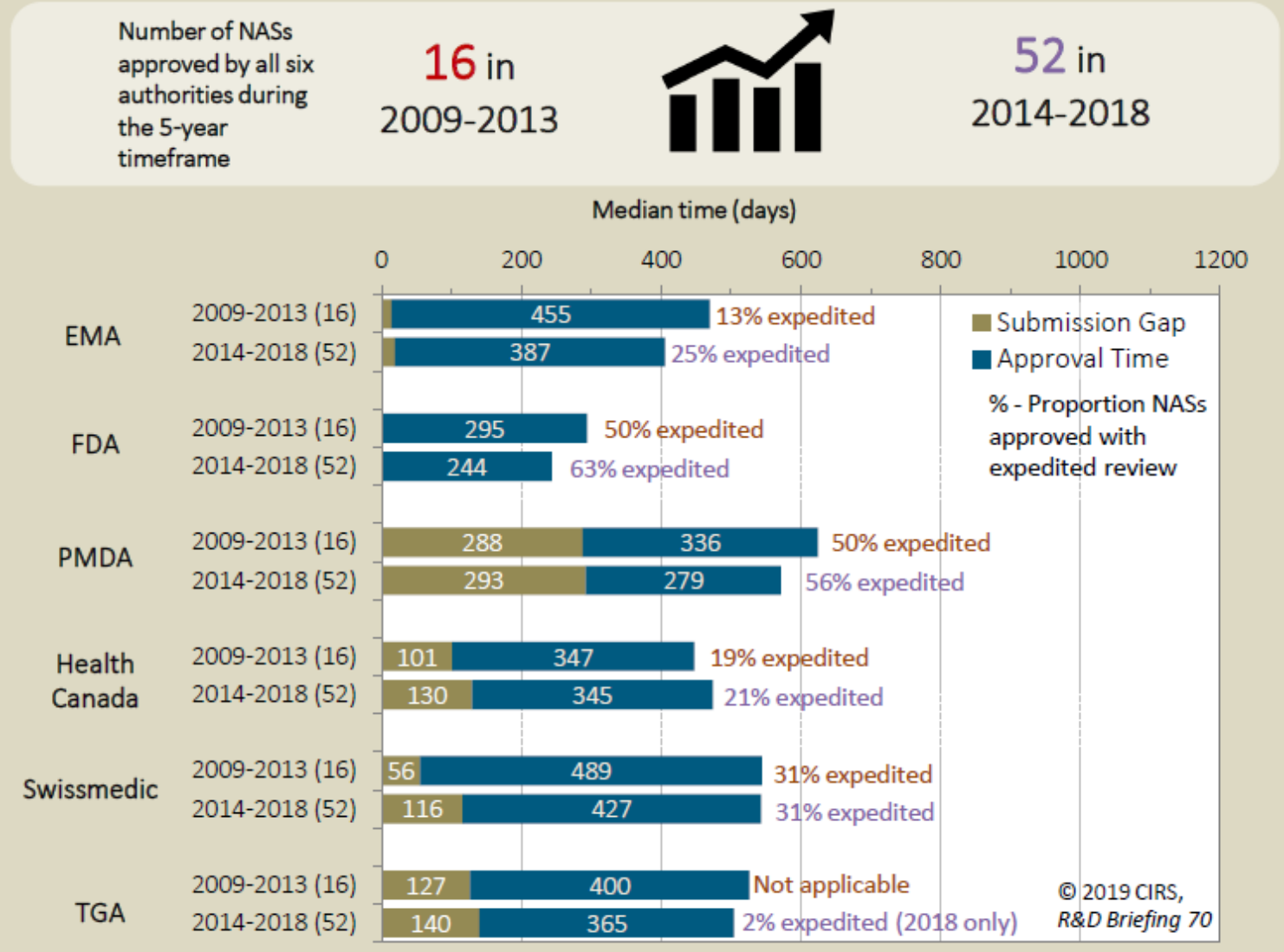
ICH主要6ヶ国における新有効成分の審査期間（中央値）の比較



Centre for Innovation in Regulatory Science (CIRS) , May 2019, R&D Briefing 70

ICH主要6ヶ国における申請ギャップ（中央値）と審査期間（中央値）の比較

Figure 11: Median submission gap and median approval time for NASs approved by all six authorities in 2009-2013 (16) compared with 2014-2018 (52) as well as the proportion of NASs approved as expedited



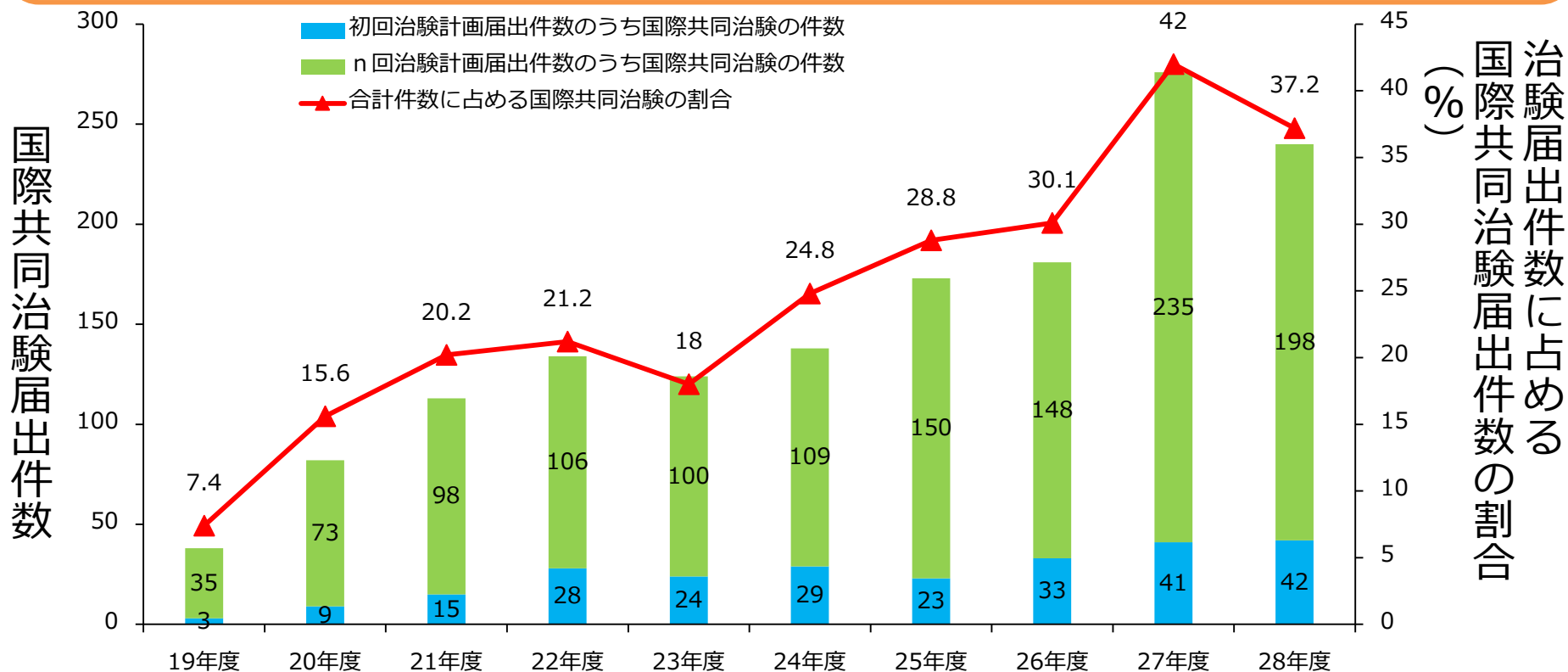
国際共同治験の推進

- 国際共同治験に関する基本的考え方について
(2007年9月)
- 国際共同治験に関する基本的考え方(参考事例)」について
(2012年9月)
- 国際共同治験開始前の日本人での第 I 相試験の実施に関する基本的考え方について
(2014年10月)
- ICH-E17 国際共同治験の計画及びデザインに関する一般原則(2018年6月)

国際共同治験の届出推移

現状

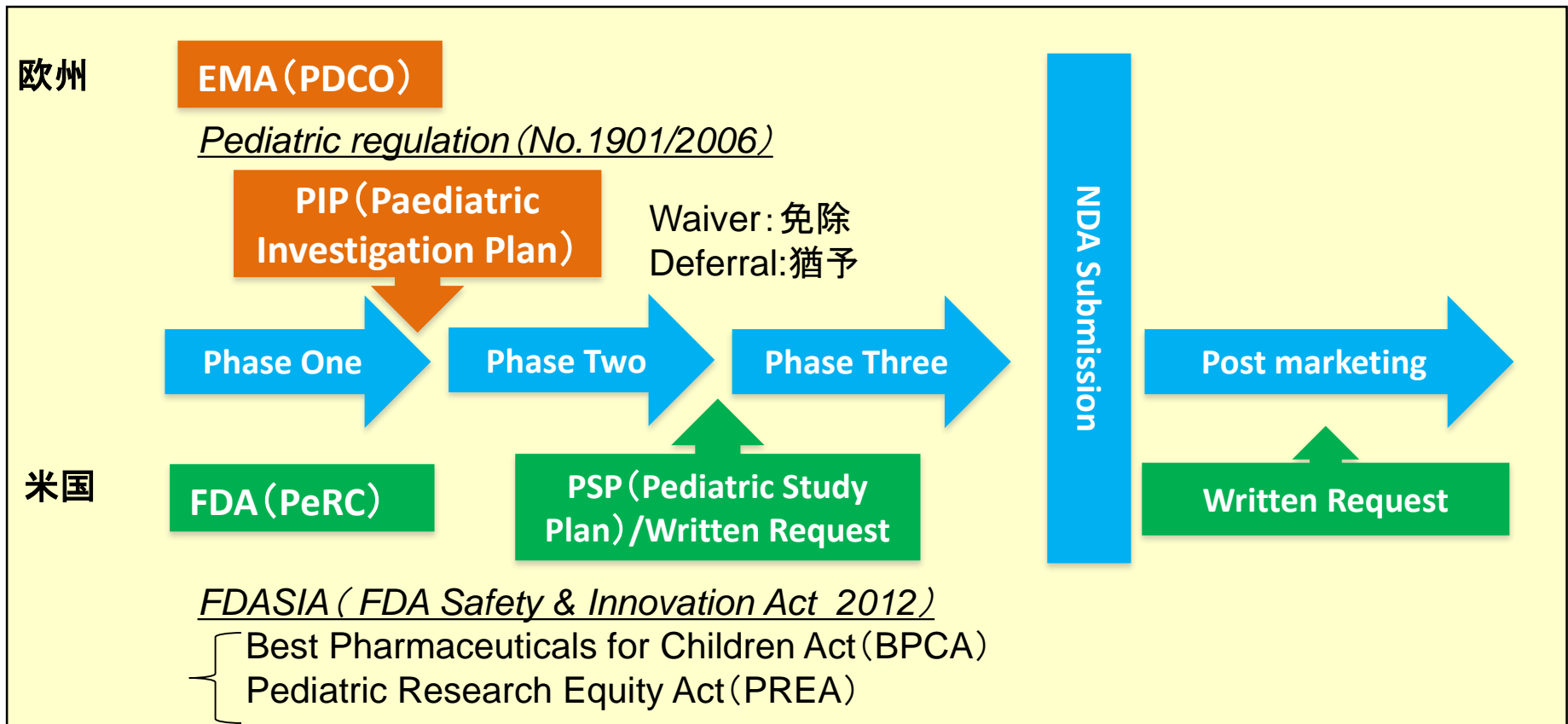
- 近年は国際共同治験の実施件数が増加し、治験届出件数に占める国際共同治験届出件数は、平成19年度で10%程度であったものが、平成28年度には40%前後にまで増加した。



※「国際共同治験」とは、新薬の世界的規模での開発・承認を目指して企画される治験であって、1つの治験に複数の国の医療機関が参加し、共通の治験実施計画書に基づき、同時並行的に進行する治験をいう。

海外における小児用医薬品の開発

欧米では小児用医薬品の開発が法制化されており、成人の開発過程で小児の開発が検討される。



本日の内容

- 抗悪性腫瘍薬領域における小児用医薬品開発の状況
- 最近の話題

全ては無理なので、関連しそうなものをいくつか紹介します

ICH E11 (R1) 目次

Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population

1. 諸言

1.1. ICH E11補遺(R1) 適用範囲と目的

ICH E11補遺(R1)の発出

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の補遺
(平成29年12月27日付け 薬生薬審発1227第5号)

5.1.1. 小児用医薬品開発における外押の活用

5.1.2. 小児用医薬品開発におけるモデリングとシミュレーションの活用

6. 小児臨床試験のデザインと実施についての実践的側面

6.1. 実施可能性

6.2. アウトカム評価

6.3. 長期的臨床側面

7. 小児用製剤

7.1. 投与量と投薬

7.2. 添加剤

7.3. 嗜好性と許容性

7.4. 新生児

8. 用語集

- 小児用医薬品開発に関する科学的及び倫理的な知識の進歩を考慮。
- ICH E11の適用範囲を変えるものではない。
- ICH E11の内容を補完し、かつ、小児医薬品開発に必要な新たな考え方を示すもの。

ICH E11 (R1) 目次

Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population

1. 諸言
 - 1.1. ICH E11補遺(R1)の適用範囲と目的
2. 倫理的配慮
3. 小児用医薬品開発プログラムのための科学的アプローチの共通性
4. 年齢区分と小児サブグループ(新生児を含む)
5. 小児用医薬品開発最適化へのアプローチ
 - 5.1. 小児用医薬品開発における既存知識の活用
 - 5.1.1. 小児用医薬品開発における外挿の活用
 - 5.1.2. 小児用医薬品開発におけるモデリングとシミュレーションの活用
6. 小児臨床試験のデザインと実施についての実践的側面
 - 6.1. 実施可能性
 - 6.2. アウトカム評価
 - 6.3. 長期的臨床側面
7. 小児用製剤
 - 7.1. 投与量と投薬
 - 7.2. 添加剤
 - 7.3. 嗜好性と許容性
 - 7.4. 新生児
8. 用語集

- 小児用医薬品開発に関する科学的及び倫理的な知識の進歩を考慮。
- ICH E11の適用範囲を変えるものではない。
- ICH E11の内容を補完し、かつ、小児医薬品開発に必要な新たな考え方を示すもの。

ICH E11 (R1) 目次

Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population

1. 諸言

1.1. ICH E11補遺(R1)の適用範囲と

今後、**ICH E11A**として、
より詳細なガイダンスを作成予定

2. 倫理的配慮

3. 小児用医薬品開発プログラムのための科学的アプローチ

4. 年齢区分と小児サブグループ(新生児を含む)

5. 小児用医薬品開発最適化へのアプローチ

5.1. 小児用医薬品開発における既存知識の活用

5.1.1. 小児用医薬品開発における外挿の活用

5.1.2. 小児用医薬品開発におけるモデリングとシミュレーションの活用

6. 小児臨床試験のデザインと実施についての実践的側面

6.1. 実施可能性

6.2. アウトカム評価

6.3. 長期的臨床側面

7. 小児用製剤

7.1. 投与量と投薬

7.2. 添加剤

7.3. 嗜好性と許容性

7.4. 新生児

8. 用語集

- 小児用医薬品開発に関する科学的及び倫理的な知識の進歩を考慮。
- ICH E11の適用範囲を変えるものではない。
- ICH E11の内容を補完し、かつ、小児医薬品開発に必要な新たな考え方を示すもの。

小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法 に関するガイダンス（平成27年9月 薬食審査発0930第1号）

「抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン」の改訂について」（平成17年11月薬食審査発第1101011号）及び「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について」（平成12年12月医薬審第1334号）を補完するもの

＜抜粋＞

病態が成人悪性腫瘍と同様の小児悪性腫瘍

病態が成人と類似していること等を踏まえ、先行又は同時に実施された成人を対象として開発予定薬剤の有効性及び安全性の検討を目的とした臨床試験成績が利用可能であることを前提として、小児に対する用法・用量並びに忍容性及び安全性の検討を目的とした臨床試験を実施した上で、当該試験成績に基づき小児に対する有効性及び安全性を検討することができる

リアルワールドデータ(RWD)活用に向けて

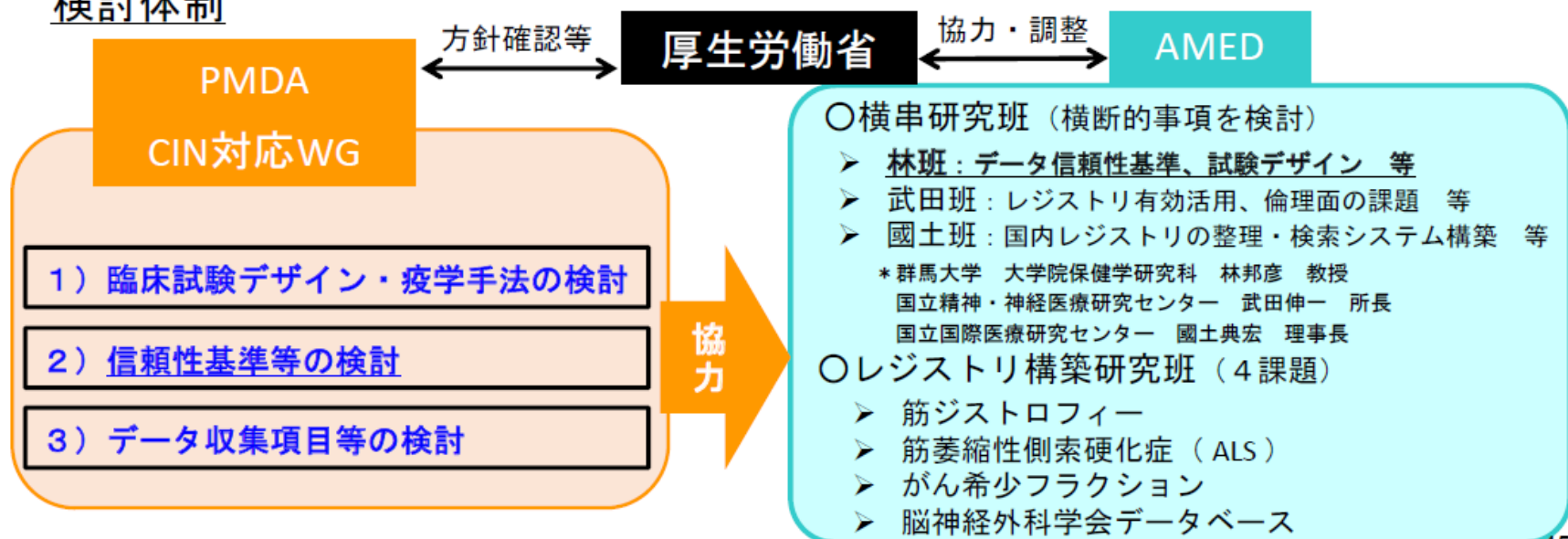
国際的な動向 ～規制判断へのRWD活用の方向性～

- 21 st Century Cures Act（米国）
- ICH GCP Renovation
 - E8「臨床試験の一般指針」の近代化
 - E6「医薬品の臨床試験の実施の基準(GCP)」の包括的見直し

患者レジストリ・データの活用(目指す将来像)

- ランダム化比較試験が困難な場合の対照群データ等 → 承認申請の評価資料
- 製造販売後調査 → 再審査申請の評価資料

検討体制



45

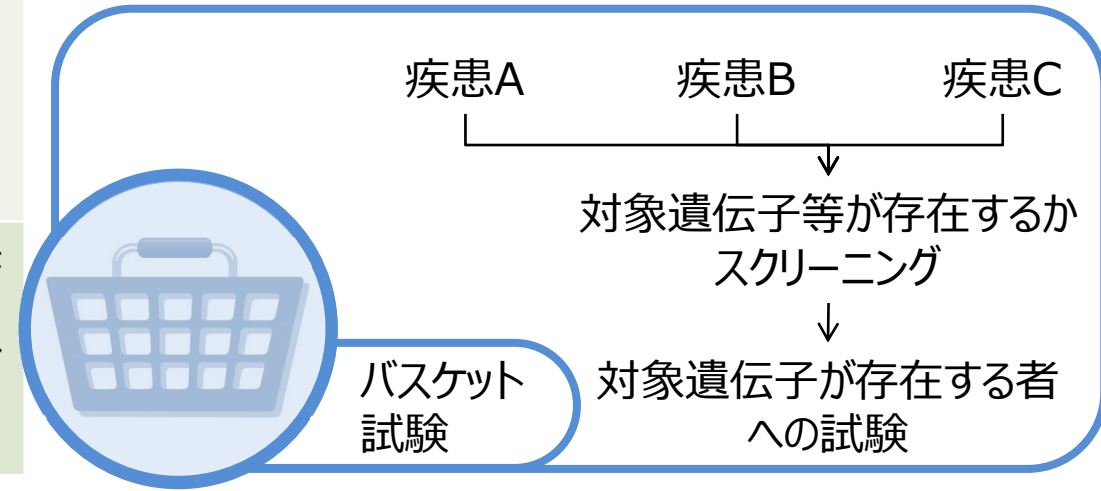
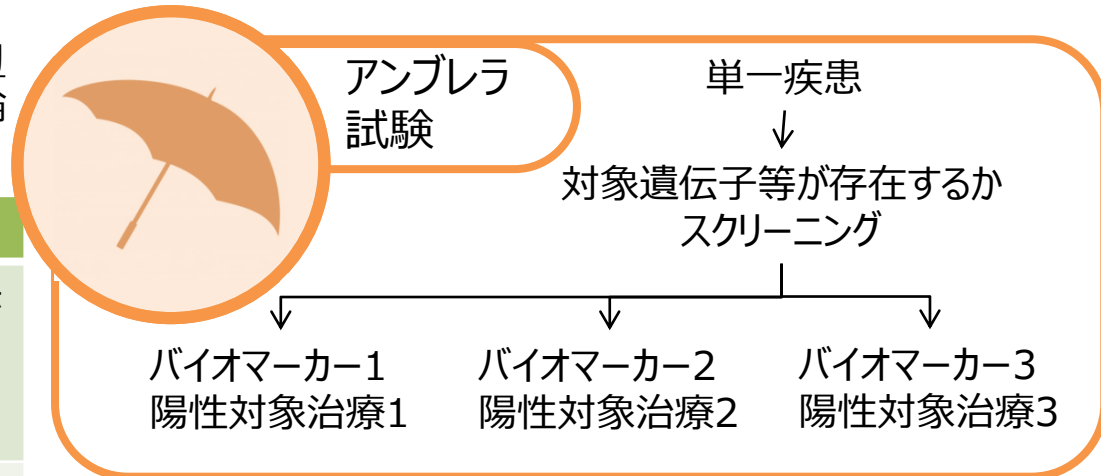
PMDA HP「平成29年度のこれまでの事業実績と今後の取り組みについて」より

開発手法の工夫（マスタープロトコルの活用）

- 特に抗がん剤領域における医薬品の効率的な開発のため、複雑な設計で、幅広い患者が参加する治験が提案されており、これまで以上に国際的な患者の組み入れが進むと予想される。

複数の臨床的な質問に回答できる1つの包括的なプロトコル（マスタープロトコル）をFDAが論文誌で紹介。治験の効率化について論じた。

タイプ	目的
アンブレラ	単一の疾患に対する複数の治療法を対象とした試験 (例: 肺癌をバイオマーカー別に治療する治験)
バスケット	単一の治療法を用いた複数の疾患を対象とした試験 (例: ある分子標的型抗がん剤について、臓器横断的な効果を検証する試験)
プラットフォーム	単一の疾患に対する複数の治療法を対象とした継続的な試験で、アルゴリズムに基づき治療法への参加、当該プラットフォームからの退出が決まるもの



Woodcock J et al., Master Protocols to Study Multiple Therapies, Multiple Diseases, or Both, N Engl J Med 2017;377:62-70. より。表はTable 1より日本語訳。当該論文の著者であるWoodcock博士は、FDAの医薬品評価研究センター長。

厚労省による新たな取り組み 小児医薬品開発ネットワーク



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

※1 AMED「医療研究開発革新基盤創成事業」(CICLE)

調査研究補助

本取り組みにより我が国における小児科領域の薬剤開発を促進する！

※1

開発費を貸付補助

伴走型支援

小児医薬品研究開発研究班

Priority list

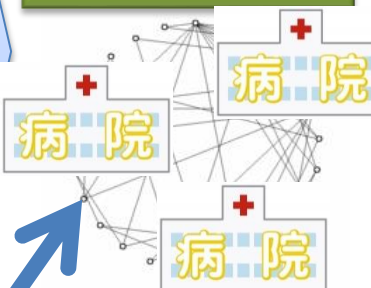
日本小児科学会

※2

国際共同研究支援事務局(仮称)

必要に応じ連携

海外小児治験ネットワーク

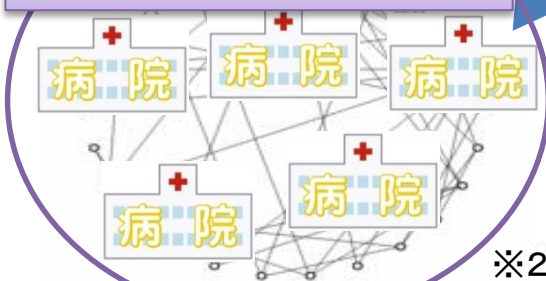


各診療分野での小児効能・小児用量等(小児希少疾病も含む)の開発が必要な優先順位リスト(Priority list)の作成

国内小児治験ネットワーク

依頼品目の開発に協力

国際共同研究・国際共同治験



事業終了後に原則年賦返済(無利子)

※1

PIP
PSP

開発依頼

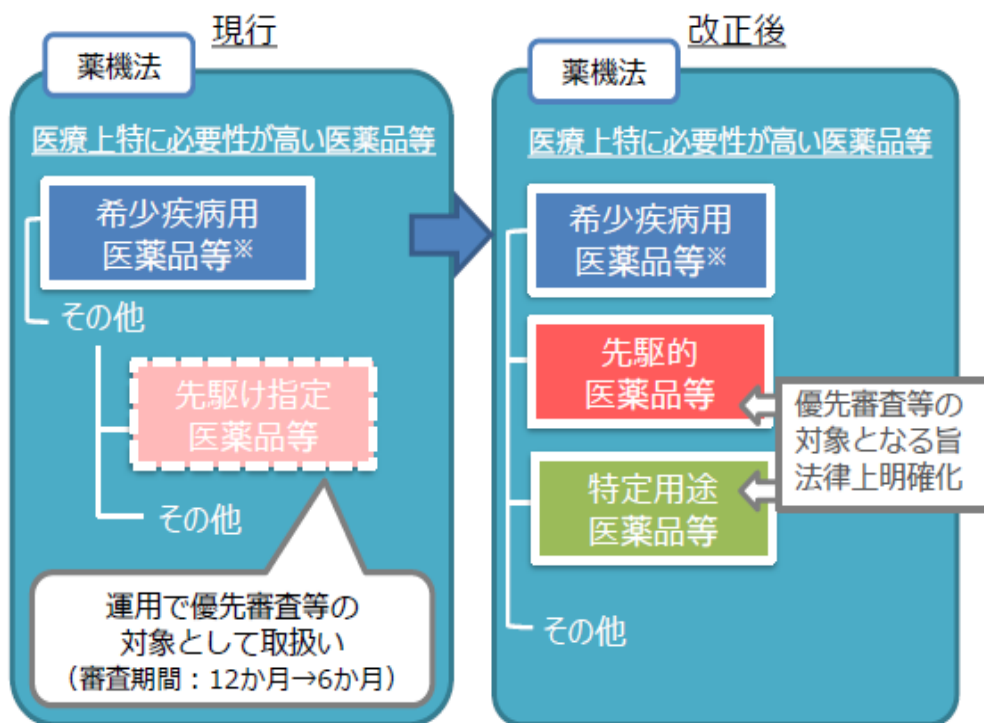
各企業

承認取得

※2 国立成育医療研究センター

「先駆け審査指定制度」の法制化等

- 日本・外国で承認を与えられている医薬品等と作用機序が明らかに異なる医薬品・医療機器・再生医療等製品を「先駆的医薬品」等として指定する制度を法制化する。指定を受けた場合は優先審査等の対象となることを法律上明確化する。
- 小児用法用量が設定されていない医薬品など、医療上のニーズが著しく充足されていない医薬品等について、「特定用途医薬品」等として指定する制度を法制化する。指定を受けた場合は優先審査等の対象となることを法律上明確化する。
- 特定用途医薬品等については、現行の希少疾病用医薬品等と同様、試験研究を促進するための必要な資金の確保及び税制上の措置を講じる（その特定の用途に係る患者数が少ないものに限る）ことを法律に規定する。
（※）税制優遇措置については、平成31年税制改正の大綱に既に位置づけられている。



（※）本邦における対象患者が5万人未満又は指定難病

指定の要件

先駆的 医薬品等	①日本・外国で承認を与えられている製品と作用機序等が明らかに異なる ②その用途に関し、特に優れた使用価値を有する ➤ 現在の「先駆け審査指定制度」と同様の対象を想定。
特定用途 医薬品等	①その用途が特定の区分（※）に属する疾病の治療等である [※・小児の疾病であって、当該医薬品の小児用法用量が設定されていないもの ・薬剤耐性菌等による感染症 等] ②当該用途に係る医薬品等に対するニーズが著しく充足されていない ③その用途に関し、特に優れた使用価値を有する

20

Take Home Message

小児用医薬品開発を推進していくために

- 既存の知見(海外小児試験結果、成人試験結果等)の効果的な利用
 - Pediatric Extrapolation
 - Modeling & Simulation 等
- 国際共同治験への参加を促進

欧米では小児規制により成人における開発の早期段階から小児での開発が検討される

小児は1カ国のみでエビデンスレベルの高い試験を実施することが困難な場合も多い

欧米の状況も参考にしつつ、日本に適した小児医薬品開発を

- 情報の活用
 - データベース(疾患レジストリ等)の活用によるエビデンスの強化 等
- 開発手法の工夫
 - マスタープロトコール 等

ご清聴ありがとうございました

