

国内における小児医薬品の 法規制の現状及び今後の展望

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
小児医薬品ワーキンググループ／医薬品安全対策第一部
池田 喜久子

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

- ◆ PMDAの紹介
- ◆ 小児用医薬品開発を取り巻く環境
 - 小児用医薬品開発の現状
 - 海外での取り組み
 - 日本での取り組み
- ◆ 今後の展望

本日の内容

◆ PMDAの紹介

◆ 小児用医薬品開発を取り巻く環境

- 小児用医薬品開発の現状
- 海外での取り組み
- 日本での取り組み

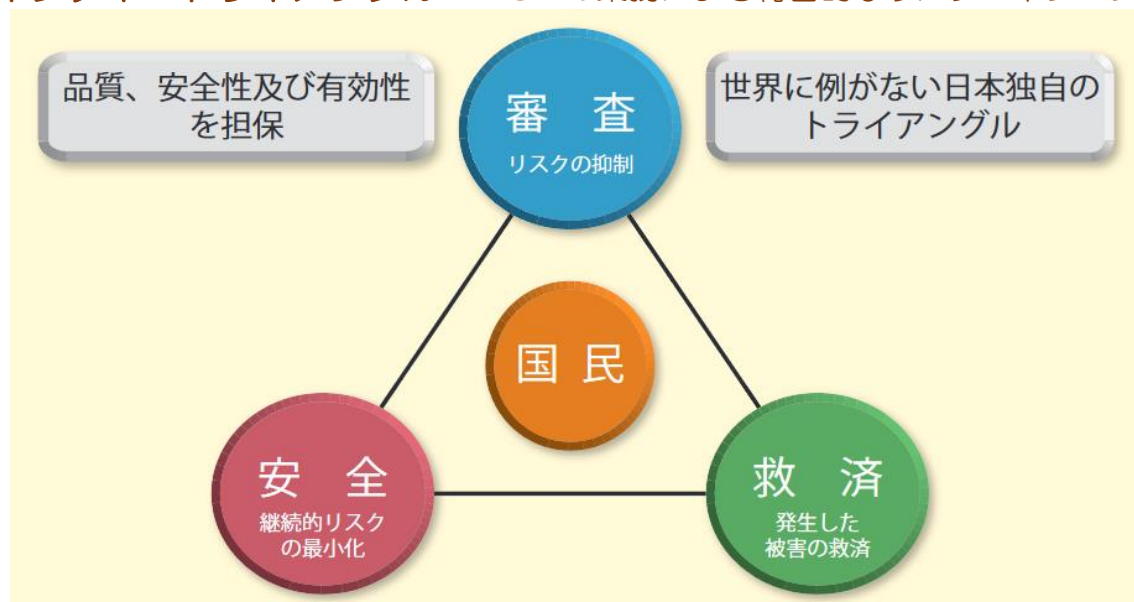
◆ 今後の展望

PMDA：独立行政法人医薬品医療機器総合機構

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

国民保健の向上に貢献することを目的として、3つの業務を行っている日本唯一の組織

セイフティ・トライアングル ～3つの業務による総合的なリスクマネジメント～



安全対策

市販後における安全性に関する情報の収集、分析、提供を実施

承認審査

医薬品や医療機器等の品質、有効性及び安全性について、治験前から承認までを一貫した体制で開発への助言や審査を実施

健康被害救済

医薬品の副作用や生物由来製剤を介した感染等による健康被害に対して、迅速な救済を実施

PMDAと厚生労働省

科学的な判断

- 医薬品等の審査・調査、治験相談
- 副作用報告の受理、情報収集・整理・調査・分析
- 副作用情報・適正使用情報等の提供
- 救済給付金の支給、拠出金の徴収



厚生労働省

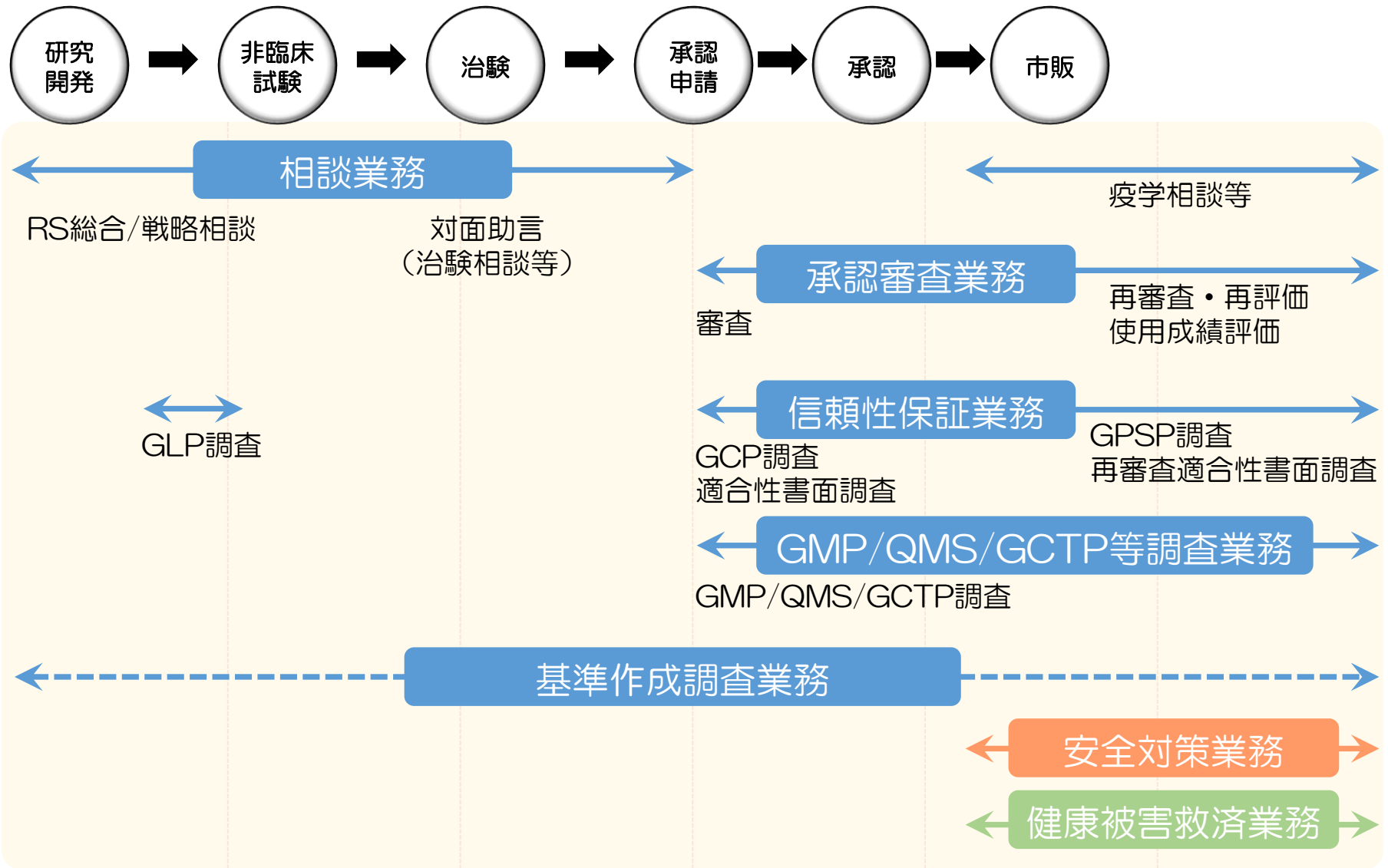


行政措置等の実施

- 審議会への付議、最終的な承認判断
- 安全対策の企画・立案
- 安全対策措置の実施（回収・緊急安全性情報発出指示等）
- 救済給付判定

<PMDA支部>
関西支部（大阪）
北陸支部（富山）

医薬品等の開発とPMDAの業務



本日の内容

◆ PMDAの紹介

◆ 小児用医薬品開発を取り巻く環境

- 小児用医薬品開発の現状
- 海外での取り組み
- 日本での取り組み

◆ 今後の展望

小児での医薬品使用の現状

- ✓ 安全性及び有効性に関する十分なデータがない。
- ✓ 添付文書に小児の用法・用量が明記されていない。
- ✓ 臨床現場の必要性に迫られ、使用されている。



なぜ小児用医薬品の開発がなかなか進まないのか？

- 新生児から思春期まで多様で、医薬品の剤形や薬物動態等、各年代に応じた対応や検討が要求される。
- 臨床試験の計画や同意取得等に小児特有の配慮を要する。
- 対象患者数が少なく、一人当たりの投与量も少ない。

小児での医薬品使用の現状

なぜ小児用医薬品の開発がなかなか進まないのか？

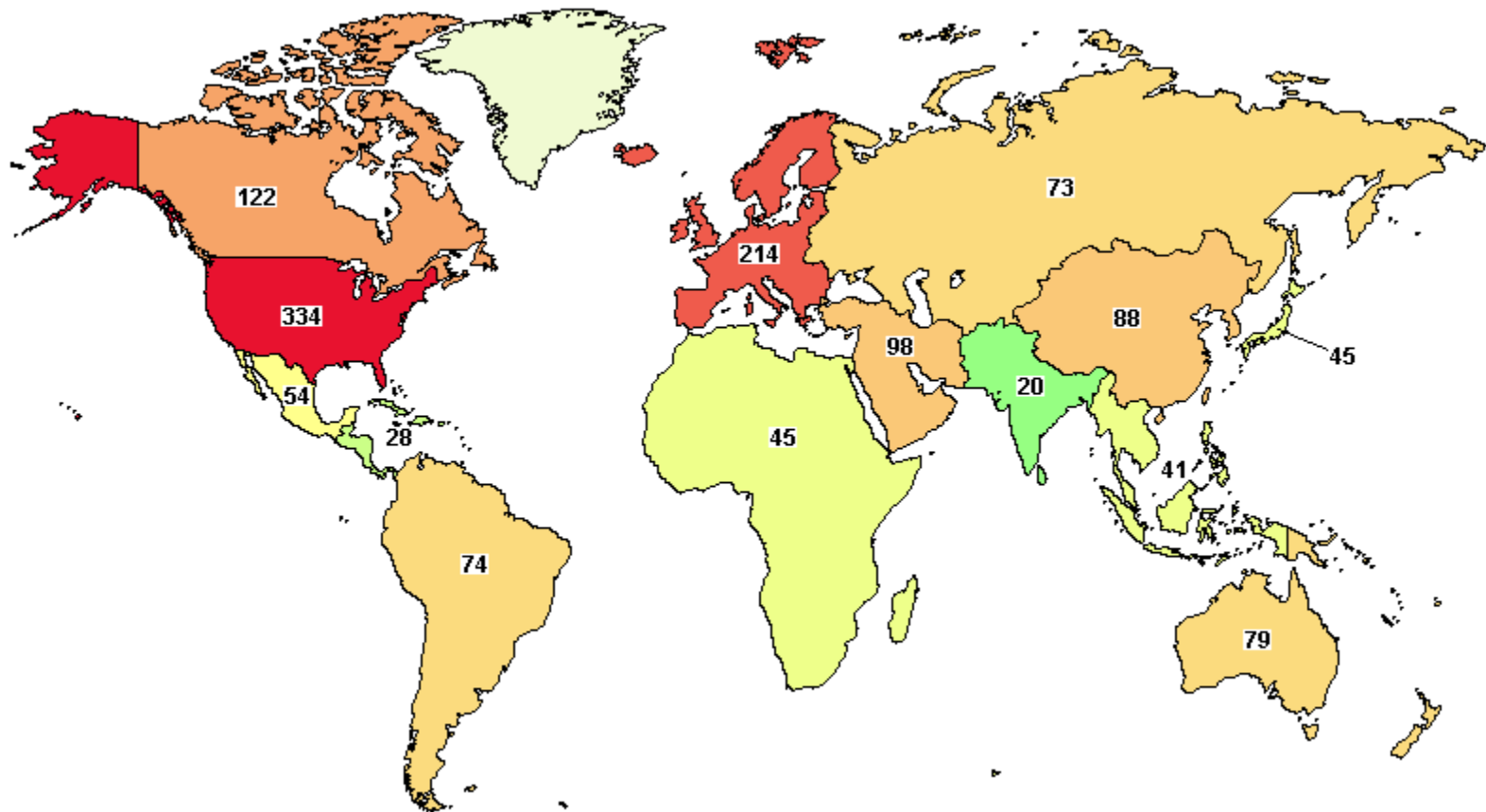
日本だけの特別な問題で
はなく世界共通の課題

製薬企業にとっては
採算性が低く、開発
の困難性が高い。

- 新生児から思春期まで多様で、医薬品の剤形や薬物動態等、各年代に応じた対応や検討が要求される。
- 臨床試験の計画や同意取得等に小児特有の配慮を要する。
- 対象患者数が少なく、一人当たりの投与量も少ない。

小児対象の臨床試験の実施状況

進行中の小児対象の臨床試験（2019年7月14日時点）



Source: <https://ClinicalTrials.gov>

403 Studies found for: pediatric | Recruiting Studies | Interventional Studies | Phase Early Phase 1, 1, 2, 3 | Industry
2019/7/14

(注) 日本国内における治験については全てを網羅していない可能性があります

本日の内容

◆ PMDAの紹介

◆ 小児用医薬品開発を取り巻く環境

- 小児用医薬品開発の現状
- 海外での取り組み
- 日本での取り組み

◆ 今後の展望

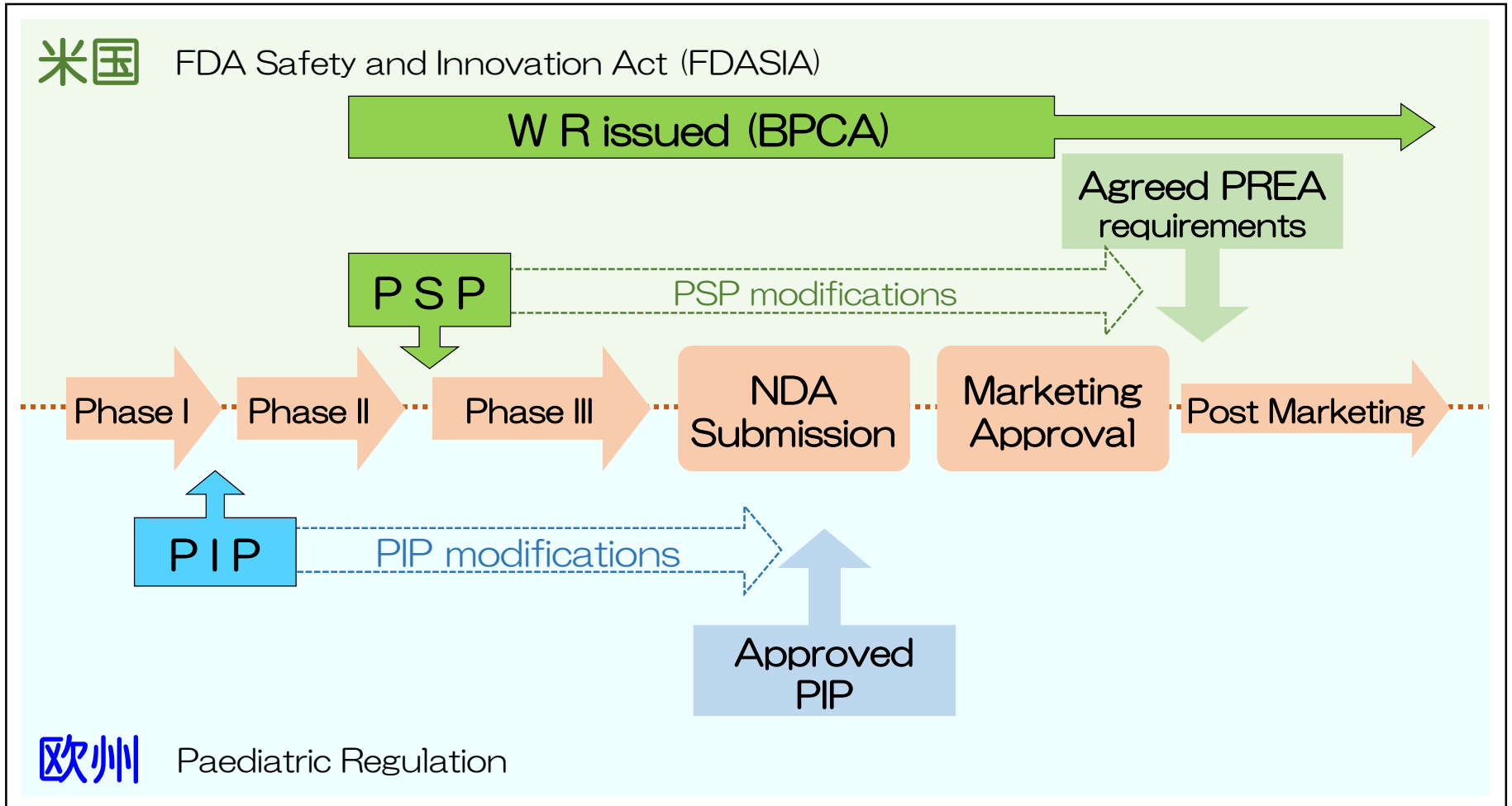
欧米における取り組み

欧米では、成人対象の開発過程における小児開発に関する検討は**義務**（免除・猶予の規定あり）

欧米における小児用医薬品開発に係る規制

	米 国	欧 州
規制	<p>BPCA（2002年）：Best Pharmaceuticals for Children Act</p> <p>PREA（2003年）：Pediatric Research Equity Act Pediatric Priority</p> <p>FDASIA（2012年）：FDA Safety and Innovation Act</p>	<p>Paediatric Regulation（2007年）(Regulation (EC) 1901/2006)</p>
小児開発の検討	<ul style="list-style-type: none">成人対象の第Ⅱ相試験終了までに小児臨床試験計画（Pediatric Study Plan：PSP）提出（義務）（PREA）FDAの臨床試験実施要請（Written Request：WR）に応じた小児用医薬品開発（任意）（BPCA）	<ul style="list-style-type: none">成人対象の第Ⅰ相試験終了までに小児開発計画（Paediatric Investigation Plan：PIP）の提出（義務）
インセンティブ	<ul style="list-style-type: none">6カ月間の販売独占権（BPCA）	<ul style="list-style-type: none">新薬／特許期間中の医薬品：6カ月の特許補完証明期間延長オーファン指定医薬品：2年間の市場独占期間追加特許切れの既承認医薬品：Paediatric-Use Marketing Authorisationsによる8年間の小児開発データ保護及び10年間の販売独占権

欧米における小児医薬品開発のタイミング



PSP : Pediatric Study Plan
WR : Written Request
PIP : Paediatric Investigation Plan

米国での小児医薬品開発状況

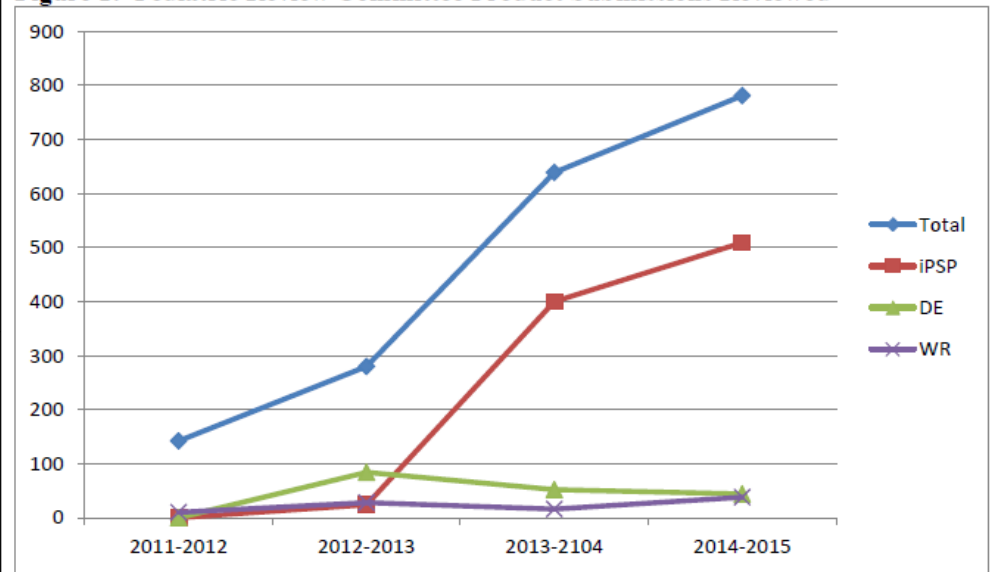
Best Pharmaceuticals for Children Act and Pediatric Research Equity Act

July 2016
Status Report to Congress

Department of Health and Human Services
Food and Drug Administration

BPCA及びPREA施行後、600以上の添付文書に小児情報が記載され、FDASIAにより149の添付文書の改定が行われた。

Figure 1: Pediatric Review Committee Product Submissions Reviewed



欧州での小児医薬品開発状況

27 October 2016
EMA/231225/2015
Human Medicines Research and Development Support Division

10-year Report to the European Commission

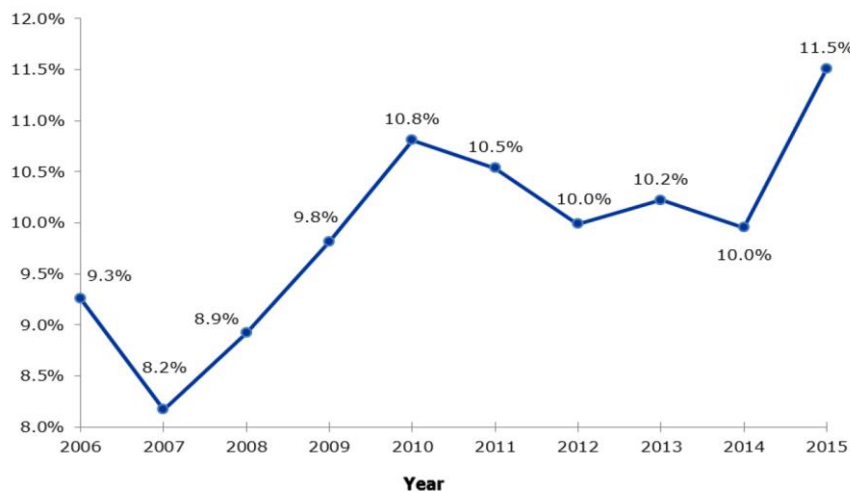
General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation¹

Prepared by the European Medicines Agency and its Paediatric Committee



Figure 2. Proportion of clinical trials that include children

Percentage of paediatric trials (of all trials, by start year)



Note: A paediatric trial is a trial that includes at least one participant below 18 years of age.

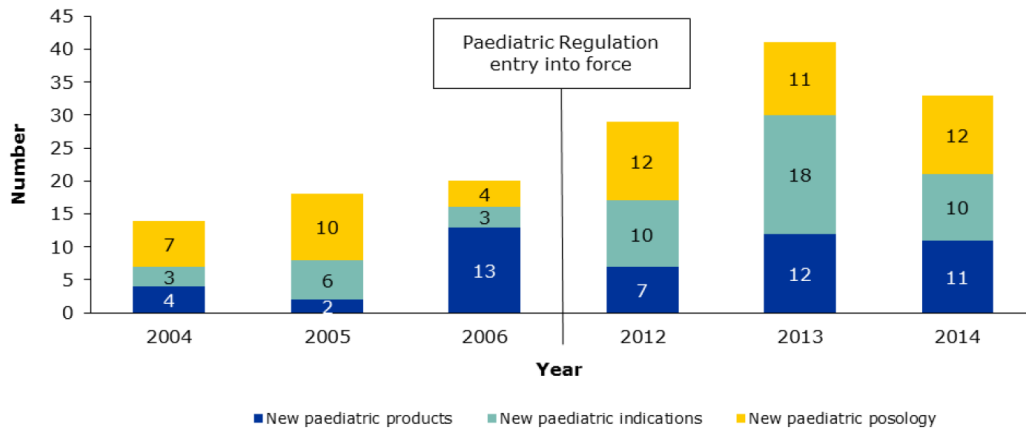
Source: EudraCT database

小児対象試験の
割合の推移

欧州での小児医薬品開発状況 (続き)

Figure 3. Number of centrally authorised products (CAPs) becoming available for children in 2004-2006 and 2012-2014 (new initial marketing authorisations, new paediatric indications (SmPC Section 4.1) or new posology information (SmPC Section 4.2) for already authorised products).

Number of new paediatric products, indications and posology
2004-2006 and 2012-2014



Source: EMA database (SIAMED)

SmPCにおける小児に関する記載状況

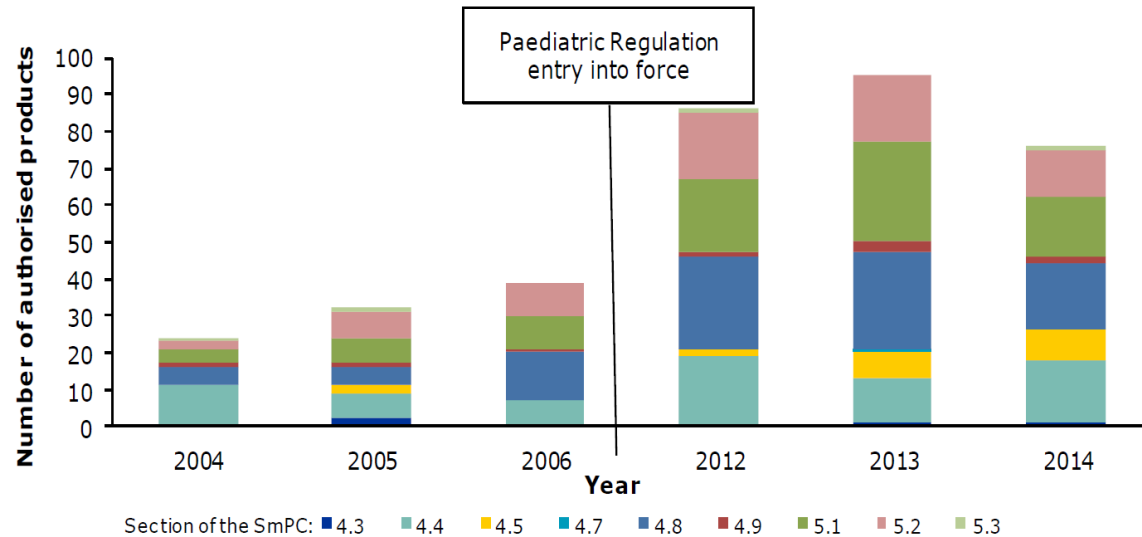


小児用法用量の承認数等の推移



Figure 4. Number of centrally authorised products (CAPs) with paediatric information updates in SmPC sections other than new indication or posology in 2004-2006 and 2012-2014

Paediatric changes to SmPC sections for CAPs
(type II variations)



2019年7月17日現在
1,866件のPIPが登録されている。

https://www.ema.europa.eu/en/medicines/ema_group_types/ema_pip

本日の内容

◆ PMDAの紹介

◆ 小児用医薬品開発を取り巻く環境

- 小児用医薬品開発の現状
- 海外での取り組み
- 日本での取り組み

◆ 今後の展望

日本における取り組み

欧米とは異なり、小児用医薬品開発を義務付ける法規制はない

日本における小児用医薬品開発に係る インセンティブ制度や取り組み

- 再審査期間の延長
- 薬価加算（5～20%）
- 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
- 特定領域治験等連携基盤整備事業（小児治験ネットワーク）

日本における取り組み

■ 再審査期間の延長

- 開発時の臨床試験では小児に関する情報は限られていることから、従前より、再審査期間中に適切な市販後調査を実施し、これらの患者に医薬品をより適正に使用するための情報を収集すること

(平成11年2月1日付け医薬審第107号より)

- 小児への使用が想定される医薬品について、承認申請中又は承認後引き続き、小児の用量設定等のための臨床試験を計画する場合にあっては、再審査期間中に行う特別調査等及び臨床試験を勘案し、再審査期間を10年を超えない範囲で一定期間延長する

(平成12年12月27日付け医薬発第1324号より)

日本における取り組み

■ 薬価算定における小児加算（5～20%）

- 小児に係る効能効果／用法・用量が含まれ、比較薬が小児加算適用されていない新規収載品（国内で小児効能・効果に係る臨床試験を実施していない場合を除く）を補正加算の対象として規定。

（平成28年2月10日付け保発0210第1号より）

■ 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

- 未承認薬使用問題検討会議・小児薬物療法検討会議を発展的に改組して設置
- 目的：欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応について、その開発を促進し、日本の医療現場で早期に使用できるようにすること

日本における取り組み

■ 特定領域治験等連携基盤整備事業（平成22年度～24年度）

小児治験ネットワーク

- 全国の小児医療専門機関等により構成
- 事業採択機関：国立成育医療研究センター
- 治験を実施しやすい環境整備

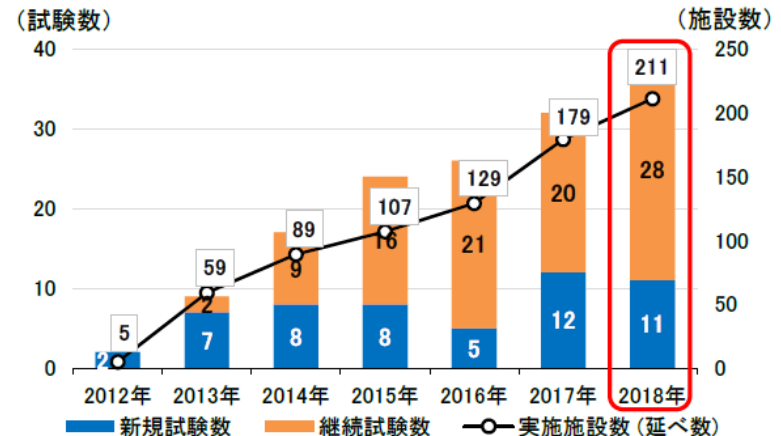
登録施設数：45施設
(小児病床数 6,200床以上)
2019年4月現在

✓ 治験受託状況（企業治験）

新規治験数：11件

継続試験数：28件

延べ施設数：211施設



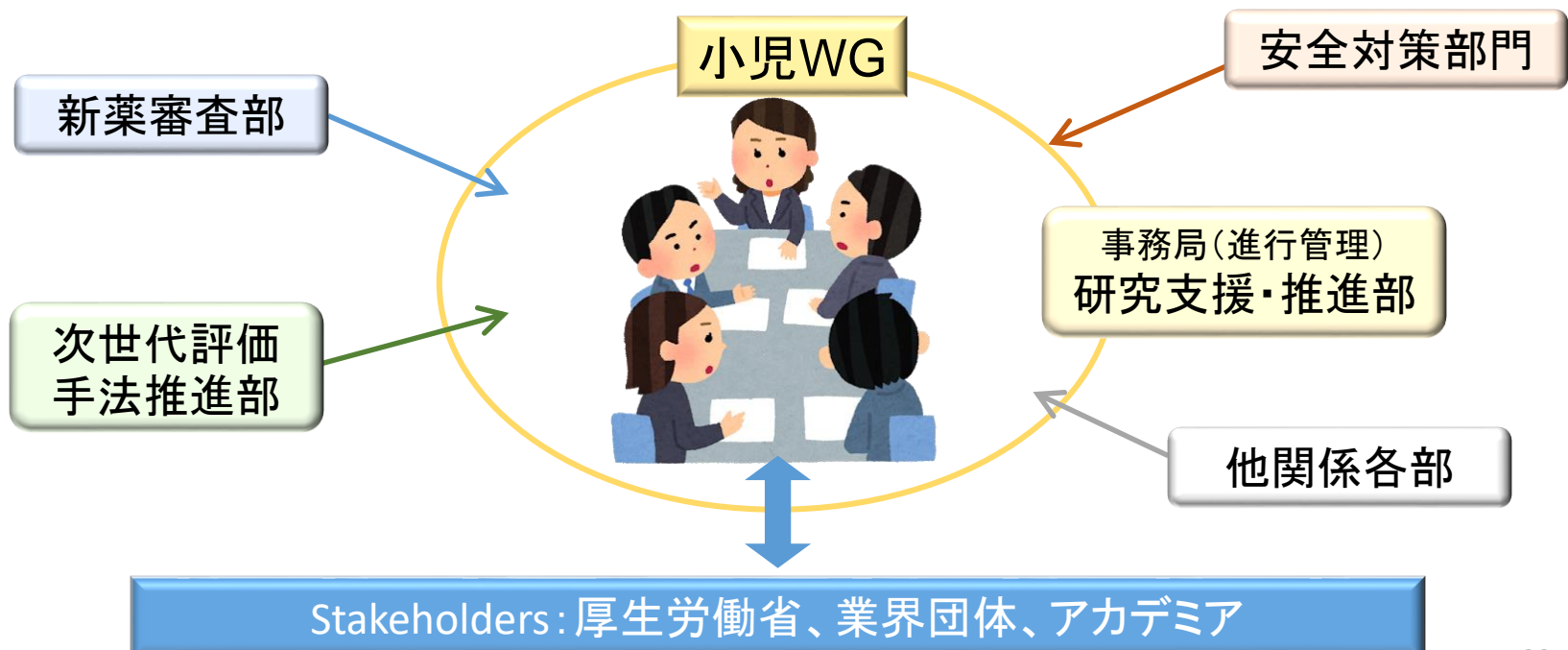
小児治験ネットワークホームページより

22

PMDAの取り組み～小児WG～

■ 小児医薬品ワーキンググループ

- 小児医薬品をめぐる問題点を整理し、海外との情報交換等を通じて、審査迅速化及び開発促進の方策のための調査等を行う。
- 平成23年11月に設置



PMDAの取り組み～小児WG～

<小児WGの主な活動>

- 過去の審査・相談事例の調査・整理
- 学会等における講演、学術雑誌への寄稿を通じて行政としての取り組みの紹介やアカデミアとの意見交換
- PMDA内での小児医薬品開発に関する意見聴取、問題意識の共有
- PMDAワークショップの開催（2016年11月・2019年7月）
- 国内のステークホルダーとの連携・意見交換
 - 小児医薬品開発に関連する厚労科研／AMED研究班への協力
 - 医療機関や業界団体との意見交換
- 海外規制当局との連携
 - EMA、FDA、HC、TGAとの小児薬物療法に関する電話会議への参加
 - EMA、FDA主催のワークショップ等、サイドミーティングへの参加 等
- 国際協力
 - FDAとアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターとの合同で小児医薬品の審査に関するセミナーを開催（2018年6月・2019年7月）：
→ 各国当局（アジア以外の諸国も含む）とPMDA/FDAの個別ミーティングも実施
- ICHに関する対応

PMDAの取り組み～RS戦略相談～

- レギュラトリーサイエンス戦略相談（RS戦略相談）
 - 日本発の革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品の創出のために、有望性の高いシーズの実用化に向けて設置（平成23年7月1日（旧薬事戦略相談）～）
 - 医薬品等候補選定の最終段階から開発初期に至るまでに必要な品質・非臨床試験及び治験の計画、開発相談に関する指導・助言を実施する。
 - 主な対象：有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業

対面助言の主な対象となる優先分野

再生医療等製品

がん分野の製品

難病、希少疾病分野の製品

小児分野の製品

上記以外でも特に革新的な技術を利用した製品

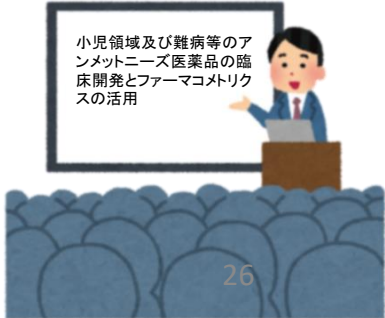
PMDAの取り組み～RS研究～

■ レギュラトリーサイエンス研究

医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正、的確、迅速に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献することを目的に実施されている研究活動

＜小児医薬品開発に関連する研究課題＞

- 「小児用法・用量設定のためのPK-PD及びModeling & Simulation (M&S)の活用に関する検討」 (2012～2015年度)
- 「小児医薬品及び難病等アンメットニーズ医薬品を含む臨床開発等におけるM&Sの活用に関連する指針等の作成に関する研究」 (AMED委託研究開発事業) (2014～2016年度)
- 「小児及び難病等アンメットニーズ医薬品開発におけるファーマコメトリクスの利活用に関する研究」 (2017～2020年度)



小児領域及び難病等のアンメットニーズ医薬品の臨床開発とファーマコメトリクスの活用

PMDAの取り組み～RS研究～

■ レギュラトリーサイエンス研究

医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正、的確、迅速に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献することを目的に実施されている研究活動

<小児医薬品開発に関連する研究課題>

- 「小児用法・用量設定のためのPK-PD及びModeling & Simulation (M&S)の活用に関する検討」(2012～2015年度)
- 「小児医薬品及び難病等アンメットニーズ医薬品を含む臨床開発等におけるM&Sの活用に関連する指針等の作成に関する研究」(AMED研究開発事業)(2014～2016年度)

- 母集団薬物動態・薬力学解析ガイドライン
- 曝露-反応解析ガイドライン
- PBPKモデルに関するガイドライン
- PMDAワークショップの開催

「小児領域及び難病等アンメットニーズ医薬品の臨床開発とファーマコメトリクスの活用」(平成29年1月27日・令和元年7月3日開催)

臨床開発におけるファーマ

(2020年度)

小児領域及び難病等のアンメットニーズ医薬品の臨床開発とファーマコメトリクスの活用

PMDAの取り組み～次世代審査体制～

■ 次世代審査体制の整備（申請電子データの提出）

承認申請時

電子データの提出

- ◆非臨床試験及び臨床試験データの電子データの提出

電子データの専用サーバへの保管とデータベースへの登録



データ閲覧ソフトの支援によるデータの視覚化、解析

承認審査

電子データの利用

- ◆視覚化された電子データに各審査員がアクセス可能
- ◆個別症例データ等の容易な確認、データの掘り下げ
- ◆内部解析(*)の実施
* 当面は部分集団解析等の簡易なもの



内部解析結果に基づく科学的議論・意思決定

蓄積されたデータの利用

品目横断的な情報の統合

- ◆薬効群毎の網羅的な情報の審査・相談への活用
- ◆特定テーマの内部での検討
例) M&Sの積極的利用
 - ー小児用量の検討
 - ー疾患モデルの作成
 - ー評価指標の開発、等
- ◆ガイドライン作成への利用



全ての品目の情報入手できる審査当局だからできることも

審査・相談、GL作成による開発効率化への貢献

PMDAの取り組み～次世代審査体制～

<次世代審査体制の整備>

● Modeling & Simulation (M&S) 検討プロジェクトチーム

M&Sに関する知識及び経験の利用／共有体制の強化
(領域・審査チームを超えて議論可能な体制)

- 臨床薬理・薬物動態、臨床医学、その他
- 部横断的な共有が可能な体制
- PMDA内の他のプロジェクトと協力



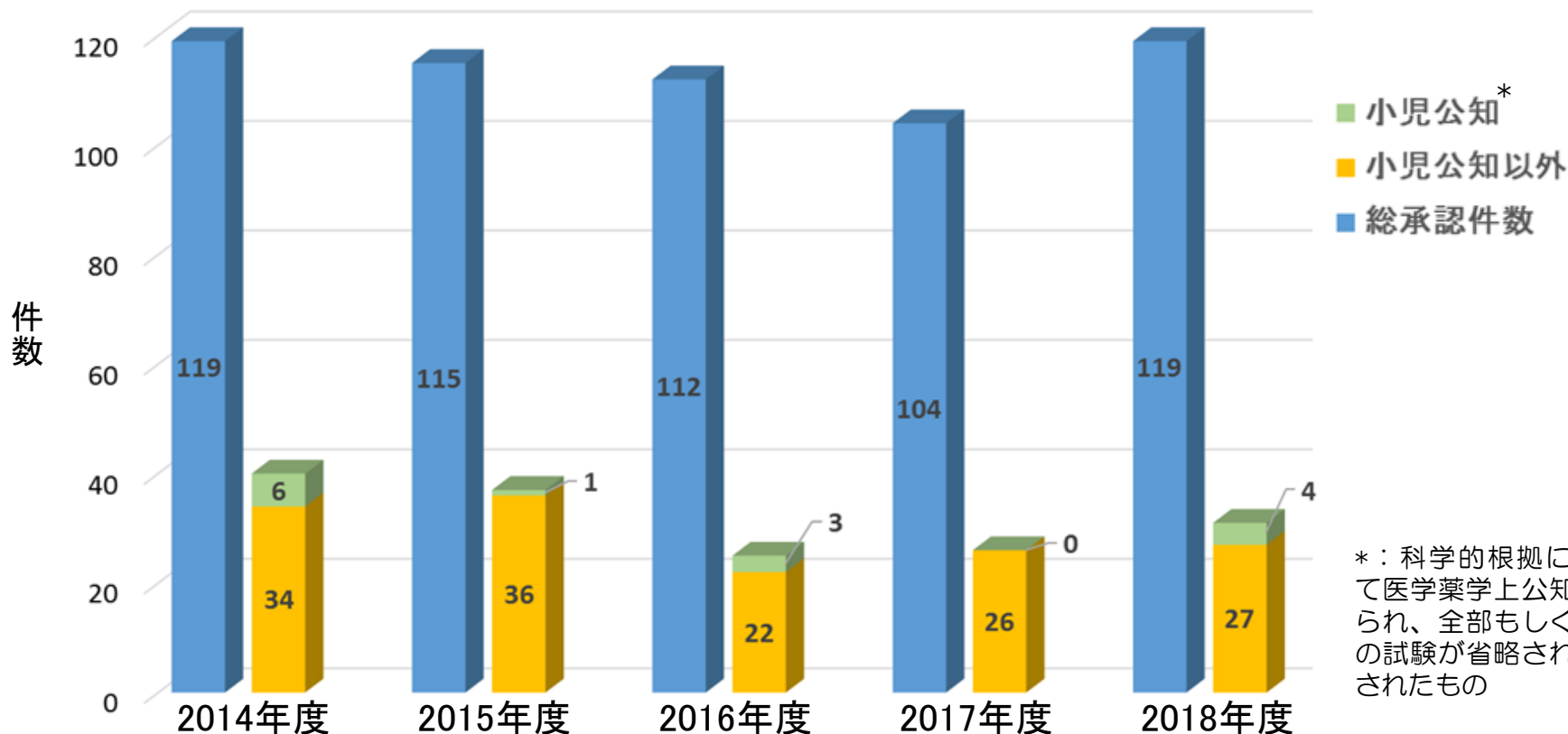
小児領域での活用も
期待される
用量-反応モデルの構築と適
切な用法・用量の予測

個別品目のM&S関連事項の科学的評価・方針決定
知識と経験の内部での共有、外部への発信
海外当局との協力

小児用法・用量承認取得件数の推移

PMDAホームページの新医薬品の承認品目一覧より、2014～2018年度に小児用法・用量を取得した医療用医薬品を調査した。

<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0010.html>



「小児用法・用量を取得した」の定義は以下のとおりとした

- 用法・用量に「通常、小児には…」等の記載があり、明らかに小児の用法・用量が設定されてることがわかるもの
- 用法・用量に「通常、小児には…」等の記載はないが、審査報告書等から小児を含む臨床試験が確認できるもの、あるいは小児への投与を想定した議論がなされ小児での投与が許容されていることがわかるもの

本日の内容

- ◆ PMDAの紹介
- ◆ 小児用医薬品開発を取り巻く環境
 - 小児用医薬品開発の現状
 - 海外での取り組み
 - 日本での取り組み
- ◆ 今後の展望

今後の展望

小児医薬品開発の推進のために…

- 国際共同治験への参加促進
- 既存の知見の効果的な利用
 - Pediatric Extrapolation
 - Modeling & Simulation
- 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
- 新たな技術の開発と応用
 - 新たな解析方法（M&S等）
 - 高感度分析法（より少ない採血量で解析等）

先駆け審査指定制度の法制化

＜検討中の法改正（現状：閉会中審査）＞

■ 特定用途医薬品等の指定

優先審査

研究資金の確保
及び税制上の措置

＜指定要件＞

- 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
 - 薬剤耐性菌等による感染症
- 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
- その用途に関し、特に優れた使用価値を有する

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律案

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等 の一部を改正する法律案の概要

改正の趣旨

国民のニーズに応える優れた医薬品、医療機器等をより安全・迅速・効率的に提供するとともに、住み慣れた地域で患者が安心して医薬品を使うことができる環境を整備するため、制度の見直しを行う。

改正の概要

1. 医薬品、医療機器等をより安全・迅速・効率的に提供するための開発から市販後までの制度改善

- (1) 「先駆け審査指定制度[※]」の法制化、小児の用法用量設定といった特定用途医薬品等への優先審査等
※先駆け審査指定制度 … 世界に先駆けて開発され早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、優先審査等の対象とする仕組み
- (2) 「条件付き早期承認制度[※]」の法制化
※条件付き早期承認制度 … 患者数が少ない等により治験に長期間を要する医薬品等を、一定の有効性・安全性を前提に、条件付きで早期に承認する仕組み
- (3) 最終的な製品の有効性、安全性に影響を及ぼさない医薬品等の製造方法等の変更について、事前に厚生労働大臣が確認した計画に沿って変更する場合に、承認制から届出制に見直し
- (4) 継続的な改善・改良が行われる医療機器の特性やAI等による技術革新等に適切に対応する医療機器の承認制度の導入
- (5) 適正使用の最新情報を医療現場に速やかに提供するため、添付文書の電子的な方法による提供の原則化
- (6) トレーサビリティ向上のため、医薬品等の包装等へのバーコード等の表示の義務付け 等

2. 住み慣れた地域で患者

- (1) 薬剤師が、調剤時に限らず薬局薬剤師が、患者の薬
- (2) 患者自身が自分に適した
※①入退院時や在宅医療に
②がん等の専門的な薬学
- (3) 服薬指導について、対面

小児の用法・用量が設定されていない医薬品等を「特定用途医薬品」として指定し、優先審査等の対象とすることを法律上明確化

3. 信頼確保のための法

- (1) 許可等業者に対する法令
- (2) 虚偽・誇大広告による医薬
- (3) 国内未承認の医薬品等の輸入に係る確認制度（薬監証明制度）の法制化、麻薬取締官等による捜査対象化
- (4) 医薬品として用いる覚せい剤原料について、医薬品として用いる麻薬と同様、自己の治療目的の携行輸入等の許可制度を導入 等

4. その他

- (1) 医薬品等の安全性の確保や危害の発生防止等に関する施策の実施状況を評価・監視する医薬品等行政評価・監視委員会の設置
- (2) 科学技術の発展等を踏まえた採血の制限の緩和 等

施行期日

公布の日から起算して1年を超えない範囲内において政令で定める日（ただし、1.(3)(5)、2.(2)及び3.(1)(2)については公布の日から起算して2年を超えない範囲内において政令で定める日、1.(6)については公布の日から起算して3年を超えない範囲内において政令で定める日）

「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。

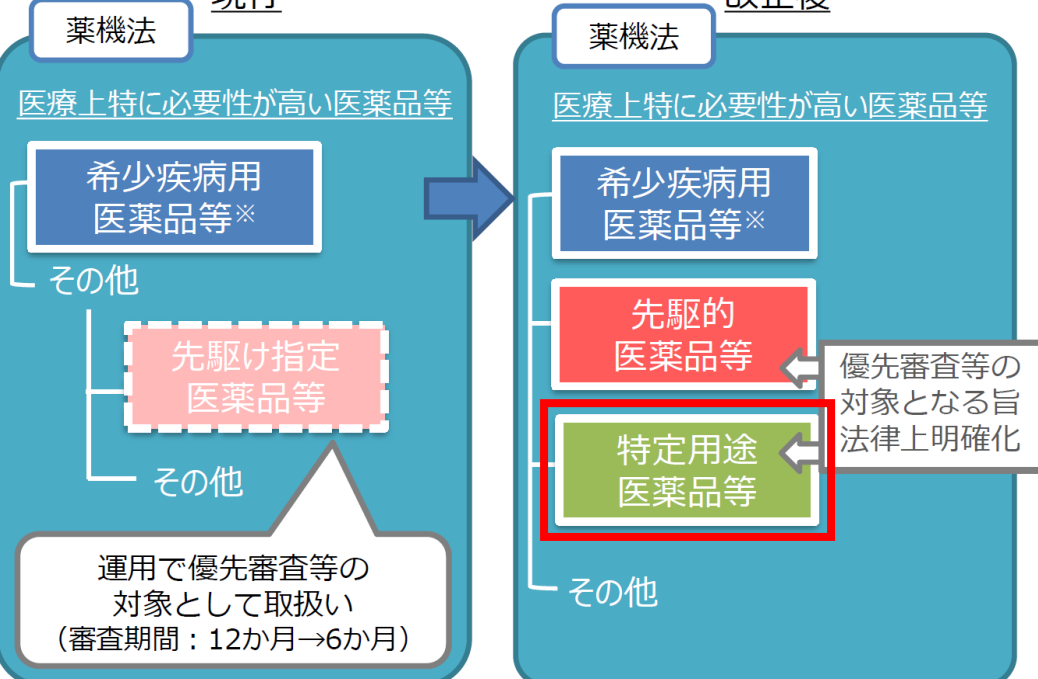
○特定用途医薬品等については、現行の希少疾病用医薬品等と同様、試験研究を促進するための必要な資金の確保及び税制上の措置を講じる（その特定の用途に係る患者数が少ないものに限る）ことを法律に規定する。

（※）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。

現行

改正後

指定の要件



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

（※）本邦における対象患者が5万人未満又は指定難病

クリニカル・イノベーション・ネットワーク 推進プロジェクト

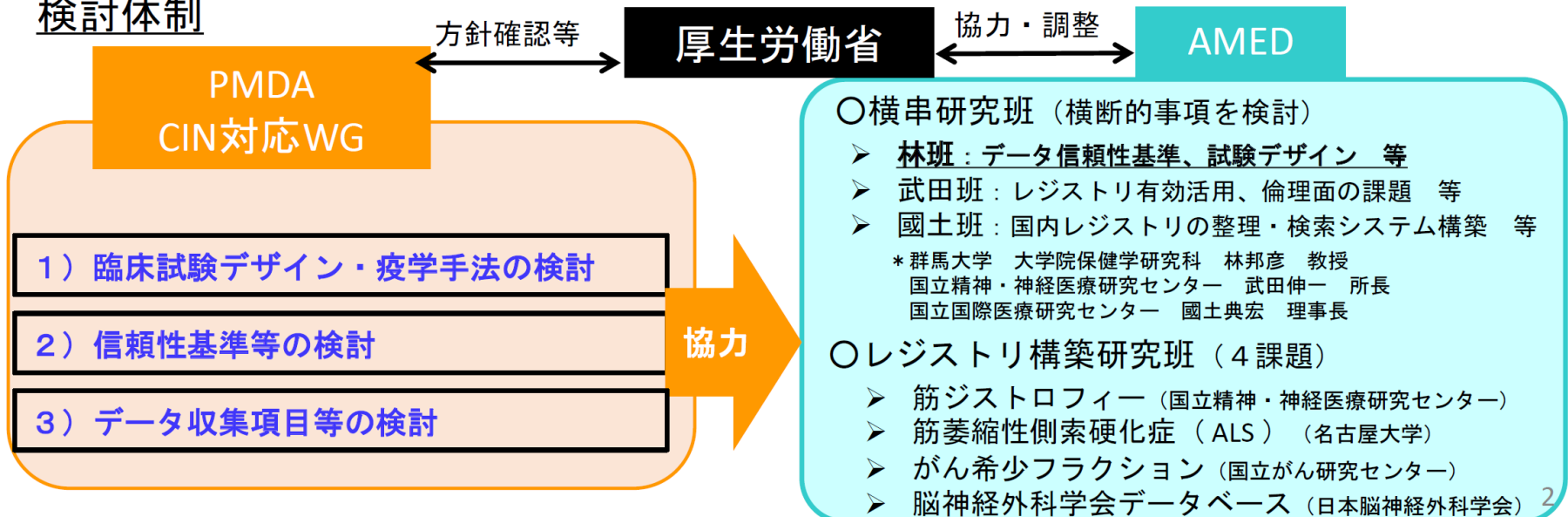
国際的な動向 ～規制判断へのリアルワールドデータ活用の方向性～

- リアルワールドエビデンスプログラム(米国FDA)
- 患者疾患レジストリ利用に関するディスカッションペーパー(欧州EMA)
- ICH GCP Renovation: 臨床試験の一般指針(E8)の近代化、ICH GCP(E6)の包括的見直し
- 患者レジストリから生成されたデータの利用に関する医療機器規制当局向けガイダンス(IMDRF)

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



小児医薬品開発に関連したICHトピック

<検討中のICHガイドライン～小児医薬品開発関連～>

■ ICH E11A : Pediatric Extrapolation

ICH E11補遺 (R1)で示された「Pediatric Extrapolation : 小児用医薬品開発における外挿」の利用を進めるために、より具体的なガイダンスの提供が必要

ICH E11補遺 (R1) 5.1.1. 小児用医薬品開発における外挿の活用

疾患の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（成人又は小児集団）の間で十分に類似していると推測できる場合に、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

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）

■ ICH S11 : 小児医薬品開発のための非臨床安全性試験

小児用医薬品開発において、幼弱動物試験の実施を考慮すべき要件や試験デザインに関するガイダンスが必要

産官学での意見交換

産官学で課題の共有や議論

PMDA主催
小児用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～
2016年11月28日開催

関連学会からの提言



小児医薬品開発の推進に向けた提言

中川他: 日本小児科学会誌120巻10号1453-1461 (2016年)

AMED小児医薬品の早期実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究事業(H25-H28)の検討成果として作成

- 1 行政への法制化の提案
- 2 小児への必要性を検討する組織の提案
- 3 PMDAに新たな「小児部門」組織化の要望
- 4 企業にとってのインセンティブの明確化
- 5 新生児を含むすべての年齢層での開発にむけた提案
- 6 レジストリー研究の推進とアーカイブの活用
- 7 治験実施体制の整備
- 8 臨床研究教育と人材育成
- 9 国民への啓発

第12回臨床研究部会 (2019年5月6日開催) 資料より

日本製薬工業協会主催 小児医薬品開発ワークショップ 2019年7月12日開催

小児医薬品開発ワークショップ プログラム

総合司会: 日本製薬工業協会 臨床評価部会小児医薬品開発チーム 佐藤且章

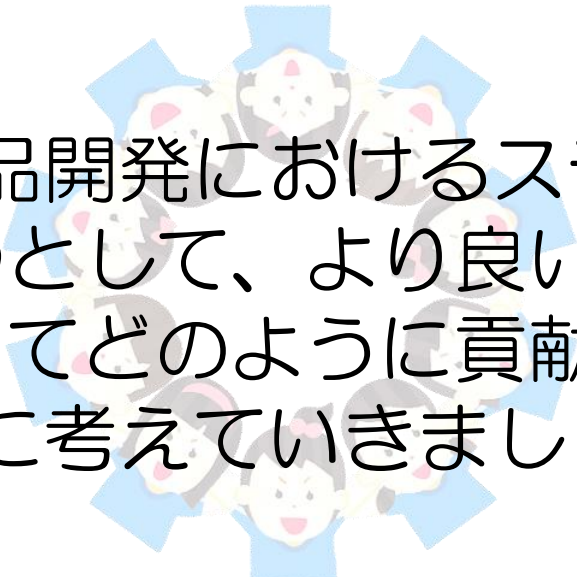
1. 開会の言葉 日本小児科学会会長 高橋孝雄先生
2. 基調講演: 小児抗がん剤開発のための BMS の取り組み
ブリistol・マイヤーズスクイブ株式会社
専務執行役員 日本・韓国・台湾 研究開発部門長 橋上聖
3. 小児がんの医薬品開発 司会: 医薬品医療機器総合機構 新薬審査第五部長 清原宏真
・小児がんでの薬剤開発戦略について 国立がん研究センター 小川千登世
・小児がん領域の最近の薬剤開発について
医薬品医療機器総合機構 ワクチン等審査部/新薬審査第五部併任 崎山美知代
・Adolescents を成人試験に入れるときの考え方、FDA ガイダンス関連 (仮)
Office of Pediatric Therapeutics, Office of Clinical Policy and Programs, Office of the Commissioner,
Food and Drug Administration
Donna L. Snyder MD
4. Pediatric Extrapolation 司会: 日本製薬工業協会 臨床評価部会副部長 今井康彦
・ICH E11R1 の概説及び現在検討中の ICH E11A について (仮)
PMDA 次世代評価手法推進部 木島慎一
・企業見地による Pediatric Extrapolation (仮)
日本製薬工業協会 臨床評価部会小児医薬品開発チーム 齊藤正子
休憩
5. パネルディスカッション 司会: 日本製薬工業協会 臨床評価部会部長 近藤充弘
医薬品医療機器総合機構 国際部部长 佐藤淳子
6. 閉会の言葉 医薬品医療機器総合機構 新薬審査等担当上席審議役 宇津忍

最後に

- 本邦において小児医薬品開発を義務づける法制度はないが、これまでの様々な取り組みから、少しずつ小児医薬品が開発が進んできた。
- 小児医薬品開発の必要性は広く認識されていると考えられる。
- 法改正も含め、更なる推進策を講じることにより、小児医薬品開発が加速することが期待される。



- 小児医薬品開発における課題の分析
- 企業、規制当局、医療従事者及び社会全体がそれぞれの立場で果たすべき役割の認識と実行



小児医薬品開発におけるステークホルダーの一つとして、より良い小児医薬品開発においてどのように貢献できるかを一緒に考えていきましょう。

ご清聴ありがとうございました