



アカデミア・日本小児科学会の取り組みと PMDA・行政・産業界への期待

公益社団法人 日本小児科学会

会長 滝田順子

医薬品開発推進に向けての小児科領域の活動

• 日本小児科学会薬事委員会

委員長：故大西鍾壽先生（香川大学名誉教授）⇒故松田一郎先生（熊本大学名誉教授）⇒香川大学
伊藤 進名誉教授⇒

～平成30年 京都きづ川病院 中川雅生病院長

平成30年～令和2年 東京慈恵会医科大学 勝沼俊雄教授

令和2年～ 中村秀文

- 2017年には「小児医薬品開発ネットワーク」設立

• AMED研究班

厚生労働科学研究 研究代表者：故大西鍾壽先生（香川大学名誉教授）⇒故松田一郎先生（熊本大学
名誉教授）⇒香川大学 伊藤 進名誉教授⇒平成25年から中村秀文が代表へ

- 平成25年度-27年度：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(H27年度から
AMED研究事業)
- 平成28年度-30年度：小児医薬品の実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究
- 平成31年度-令和3年：小児医薬品早期実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究
- 令和4年度-令和6年度：小児医薬品の早期実用化と国際連携に資するレギュラトリーサイエンス研究



日本小児科学会薬事委員会

小児に必要な医薬品を安心して使えるようにするため

1. 企業から相談いただき、供給停止予定品目に供給の継続が必要なものがないか検討
 2. 安定供給や適正使用のための要望書を厚生労働省に提出
 3. 日本小児科学会分科会や関連学会と小児医薬品開発ネットワークを組織し、企業の小児医薬品開発を支援
 4. 小児の薬に関するさまざまな問題解決に向け取り組む
 5. 社会保険委員会と連携し、55年通知に則った「審査情報提供事例」として、原則として保険上認められるべきと考えられる事例について、分科会の担当者と連携し要望書内容を確認・修正し、厚労省へ要望書を提出
 6. 社会保険委員会、予防接種・感染症対策委員会と連携し、抗菌薬等の安定供給の在り方等について、企業・厚労省等と、対策について綿密な意見交換
 7. 添付文書の安全性情報等の記載変更について、PMDAと事前に相談し意見を伝える
- ✓ 薬事委員会には、主要関連学会の薬事担当代表が参加。関連分科会の薬事委員会とも連携
 - ✓ 小児科医以外にPMDA関係者、薬剤師も参加
 - ✓ 令和6年の委員会は大幅増員し、分科会横断的に規制科学に関わる小児科医2名が新たに参加

薬事委員会の活動そのものも、医薬品開発・薬事に関わる小児科医のon the job trainingの場も兼ねている

AMED研究全体班会議開催の背景

- 学会薬事委員会内でいくら議論し、厚労省に一方向的に要望しても、状況は大きくは改善しない。
 - 学会員（の名門大学教授）からも「適応外使用の何が問題なのか？」等の発言がある。
 - その後、薬事委員会に厚労省の担当官などを非公式に招待し議論するなど、相互理解を深める。
- 各分科会が独自に適応外薬・未承認薬解決等に取り組んでも、横の連携がないと無駄が多い。分科会ごとの取り組みに格差が大きい。
- 平成14年に薬事委員長に各分科会の薬事代表との拡大薬事委員会的な会議の開催を提案
- 「（仮称）拡大薬事委員会」は、厚生科学研究の「全体班会議と関連学会代表委員との情報交換会」となり、その後毎年開催



各分科会で抱える問題点や、取り組み・成功事例などの情報を共有する、小児科学会関連学会
横断的ネットワークとして機能
小児科専門領域の規制科学の知識の底上げにも貢献

全体班会議・関連学会代表委員との情報交換会を毎年開催

令和5年のAMED研究班（令和6年1月31日10時30分-17時）の例

I. 研究開発分担者報告と討論

1. INCと連携した新生児診断基準・評価基準の標準化
2. 小児用製剤の国際調和に向けた医療現場の課題整備に関する検討

＜昼食時間に学会薬事委員会開催＞

II. 小児医薬品開発に係る行政の取り組み

1. 医薬品審査に係る小児関連の動向について
厚生労働省 医薬・生活衛生局 医薬品審査管理課
2. 小児医薬品開発推進に向けた取り組み
厚生労働省 医政局 研究開発政策課
3. 未承認薬・適応外薬検討会議、適応外通知、55年通知等の活用について
日本小児科学会薬事委員会・社会保険委員会合同作業部会

III. 小児医薬品に係る関連事業の取り組み

1. 日本小児科学会「小児医薬品開発ネットワーク」の進捗について
2. 厚生労働指定研究「小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究」について
 - ・小児希少難治性疾患領域
 - ・小児がん領域

IV. 製薬協 臨床評価委員会 臨床評価部会 小児医薬品タスクフォース（KT-7）の紹介

V. 小児関連学会の代表委員の先生方からの報告

各学会から質疑含め8分

- ・ 医師主導治験の実施・計画状況
- ・ 未承認薬・適応外薬への取り組み状況
- ・ 医療機器ニーズ検討会への取り組み状況
- ・ その他適応外使用への取り組み状況
- ・ 小児医薬品開発ネットワークへの取り組み状況 など

参加者の意見・情報交換、分科会横断的連携及び、参加者の啓発・教育に重要

日本小児臨床薬理学会推薦総説

本邦における小児医薬品開発推進のための提言

日本小児科学会雑誌 120巻10号 1453-1461 (2016年)

中川雅生、土田 尚、河田 興、佐藤淳子、崎山美知代、平野慎也、森 雅亮、中村秀文

「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」(平成25年度～平成27年度)の成果

1. 本邦における小児医薬品開発と適応外使用の現状
2. 欧州における小児医薬品開発推進のための法整備の効果 (情報収集を実施)
3. 本邦における小児薬品開発推進のための提言
 - (1)小児用医薬品開発の奨励と小児を対象とした臨床試験の要請 (義務化)
 - (2)組織改革 (PMDAに小児部門設置、小児に必要な医薬品を検討するための公的組織の設立)
 - (3)企業にとってのインセンティブ
 - (4)新生児を含むすべての年齢層への対応
 - (5)データベース作成に向けたレジストリー研究の推進とアーカイブの活用
 - (6)治験実施体制の整備
 - (7)人材育成
 - (8)国民への啓発及び患者と保護者の参画
4. 今後の課題と展望



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）

➤ 米国のBPCAやPREA、欧州のPRのような法制化が望ましい。

※BPCA（Best Pharmaceuticals for Children Act）：2002年

⇒製薬企業は小児領域のデータを調査し、添付文書に記載する

※PREA（Pediatric Research Equity Act）：2003年

⇒製薬企業に医薬品の小児領域での有効性・安全性の評価を義務化

※PR（Paediatric Regulation）：2007年

欧米では、成人の医薬品開発をする際に同医薬品の小児での開発計画提出を義務化

米国：Pediatric Study Plan（PSP）

欧州：Paediatric Investigational Plan（PIP）

➤ 医薬品製造販売における規制が欧米と異なる日本において、欧米の制度におけるインセンティブが本当に企業の必要とするインセンティブとなり得るかどうかは疑問。治験数が増えても実施できるのか？⇒まずは体制整備を！

★公益社団法人日本小児科学会（学会）が中心となり、分科会や関連学会と協同でネットワークを組織し、製薬企業が開発を目指す、或いはすでに治験（国際共同治験も含む）として開発中（開発計画中也含む）の医薬品について、その領域の専門家が本邦での小児の診療における重要度等を検討し開発優先度を評価するとともに、企業の治験実施の支援・協力を行う体制を構築することで、小児医薬品開発を推進する。



小児医薬品開発ネットワーク

https://www.jpeds.or.jp/modules/activity/index.php?content_id=348

公益社団法人
日本小児科学会
Japan Pediatric Society

ホーム 学会について **各種活動** 小児科専門医 ガイドライン・提言 刊行物

学術集会
各種委員会
インテンシブコース
小児診療初期対応コース
各種研修会・講習会など
予防接種・感染症
出生前コンサルト小児科医
国際学会関係
表彰関係
災害対策関係

重要なお知らせ

- 大規模災害対策情報システム公開
- 【更新】能登半島地震に被災した小児科医療機関の支援について
- 【更新】能登半島地震に被災した小児科医療機関の支援について
- 小児科用語集
- 東京オリンピック・パラリンピックコンソーシアム
- その他の情報

小児医薬品開発ネットワーク・医薬品供給相談

小児医薬品開発ネットワーク支援事業

(厚生労働省医政局 医療施設運営費等補助金及び中毒情報基盤整備事業費補助金)

目的と概要

本事業は、先行して実施された日本医療研究開発機構（AMED）研究事業（平成29年度～令和元年度）の体制を強化し、令和2年度より開始されました。日本小児科学会（以下、学会）が、小児科に関連する専門分科会、小児治験ネットワークと連携し、小児医薬品開発に取り組む製薬企業・治験国内管理人等に対して、開発の企画段階から治験実施、承認申請、及びその後の対応に至るまでの全てのプロセスにおいて、オールジャパン体制で助言・協力・支援します。「医薬品開発は、製薬企業・医療現場・学会が協同して実施する」という意識の浸透、世界同時開発への参画推進やドラッグ・ラグの解消、また小児医薬品開発に関わる人材の育成も目指します。

本事業では、小児医薬品開発のために以下のような活動をしています。

- 規制科学及び医学的見地のみならず、医療現場及び患者・保護者の視点も含めた助言
⇒小児医薬品開発支援チーム（以下、ワーキンググループ）を、相談内容（疾患領域）ごとに迅速に組織します。ワーキンググループには、対象疾患領域の専門医、小児医薬品開発に精通した規制科学・開発薬事専門家、臨床薬理専門家、小児治験の経験が豊富な臨床研究コーディネーターも参加し、多角的な視点から小児医薬品開発に関する助言を受けることができます。
- 小児治験実施のプラットフォームである小児治験ネットワークとの連携による円滑な小児治験の実施
⇒小児治験ネットワークを通じて、フィージビリティ調査、治験実施、中央治験審査委員会での一括審査等を行うことができます。
- 小児医療情報収集システム⁹の活用
⇒小児病院・クリニックの総症例数100万人を超える電子カルテ情報を活用した症例調査等を行うことができます。



小児医薬品開発ネットワーク JPeDNet

2017年度—2019年度AMED研究費

2020年度-厚生労働省小児医薬品開発支援事業

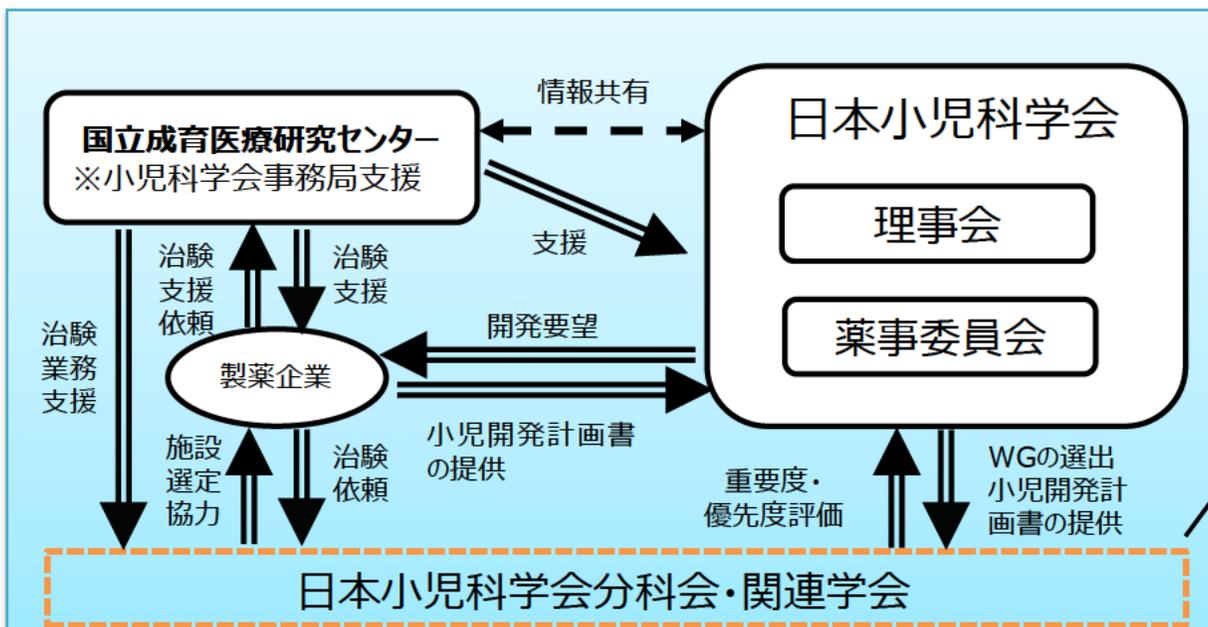
本事業は、日本小児科学会薬事委員会が中心となり、各小児科専門領域における医薬品開発に理解のある小児科医が協力し、オールジャパン体制で企業治験の実施に協力・参加する

専門領域によっては、治験の経験がほとんどない領域や、過去に治験の進捗が思わしくなかった領域も、

- 他の領域の経験のある小児科医や国立成育医療研究センター・小児治験ネットワークのノウハウを提供することにより、治験成功可能性を最大化させる
- また進捗が思わしくない場合には、その解決について最大限の助言と協力をする

日本小児科学会 - 小児医薬品開発ネットワーク -

▶製薬企業から情報提供（開発支援依頼）のあった医薬品について、当該領域の専門家からなるワーキング（WG）を設置し臨床における重要度・開発優先度の評価を実施
⇒日本小児科学会より企業への開発要望、治験実施（治験実施施設の選定、相談・助言など）の支援



ワーキンググループ設置済の分科会／関連学会

1	日本新生児成育医学会
2	日本小児循環器学会
3	日本小児神経学会
4	日本小児血液・がん学会
5	日本小児アレルギー学会
6	日本先天代謝異常学会
7	日本小児腎臓病学会
8	日本小児内分泌学会
9	日本小児感染症学会
10	日本小児呼吸器学会
11	日本小児栄養消化器肝臓学会
12	日本小児心身医学会
13	日本小児精神神経学会
14	日本小児東洋医学会
15	日本小児リウマチ学会
16	日本小児歯科学会
17	日本小児外科学会
18	日本小児麻酔学会

①AMED事業（2017～2019年度）：13品目の開発支援要請

⇒13品目におけるワーキンググループに参加した専門家は、

17領域から60名（それぞれ延べ数）。

②厚生労働省事業（2020～2024年度）：23品目の開発支援要請

⇒23品目におけるワーキンググループに参加した専門家は、

27領域から148名（それぞれ延べ数）

★厚生労働省事業よりWGには小児CRCも参画し、医師と共に医学的な助言のみでなく治験実施面での具体的なアドバイスも実施（延べ参加人数：59名）

開発支援リストの作成・更新、企業への開発要望、治験実施のサポートを進める



産官学連携による
小児医薬品開発の
さらなる促進へ



日本小児科学会小児医薬品開発ネットワーク ー小児医薬品開発のためのオールジャパンネットワークー

- ▶ 企業からの応募を受けて、薬事委員会は小児医薬品開発支援チーム（以下、WG）リーダーを指名し、リーダーは関連学会から専門家を選抜しWGを組織
- ▶ 必要に応じて、複数の関連学会から専門家を選抜（例：新生児、感染症と呼吸器）
- ▶ WGには、薬事委員会の担当者、対象疾患領域の専門医（複数）、小児医薬品開発に精通した規制科学・開発薬事専門家、臨床薬理専門家、小児治験の経験が豊富な小児治験ネットワーク小児CRC部会のCRC（複数）も参加し、多角的な視点から小児医薬品開発に関する助言を実施
- ▶ 企業の開発担当者からの説明とそれに対する助言（1回2時間、複数回の開催可能）
- ▶ 医学的な助言のみでなく治験実施面での具体的なアドバイス、施設選定支援など、幅広く支援。

参加する医師、CRCに対する規制科学のon the job training的な側面を持つ
関連学会と小児CRCの規制科学知識・技能の底上げも目指す



製薬企業の治験の円滑実施を支援

<相談内容>

- 治験国内管理人・海外企業に対する国内開発の可能性・治験実施体制についての助言
- 開発企画段階での実施可能性やプロトコル骨子案についての助言（開発のgo, no goを決めるためのご相談も可能）
- 国際共同治験やグローバル開発チームとの連携についての助言（英語対応可能）（例：日本の臨床現場の具体的状況、ニーズや計画の改善点の提案など）
- 医学専門家候補の紹介、対象疾患に関する臨床的知見の提供
- 治験実施計画書、試験デザインに関する助言
- 小児治験ネットワークを通じた実施可能性調査、治験実施施設選定の調査協力、候補施設の提案、中央治験審査委員会事務局の紹介（一括審査は有料）

<相談内容>

- 小児医療情報収集システムを活用した、医療機関の該当症例数や、検査値等の診療情報の調査
- 症例登録推進のための助言（遅延の解決策の検討等）、症例検索の協力（学会や小児治験ネットワークを通じた症例調査等）
- PMDAとの対面助言への協力、規制当局からの要望・指摘への対応について協力
- 治験実施中の各種問題に対する具体的助言
- 治験実施体制や安全管理策についての助言
- 承認申請後の規制当局からの照会事項に対する対応・回答についての助言
- 適正使用マニュアル等、医薬品の適正使用に関する助言

質が高く迅速で、多角的なアドバイスが必要

- WGでの助言を反映して、治験が円滑に進行した事例もある。
- リピーターとなった企業もある。
- 助言がなかなか反映されないことが多い。
 - グローバルですでにプロトコルが決まっている
 - 既に治験が開始されている 等、理由は様々
- より早期に相談いただく必要がある：国内外のベンチャー企業の相談にも迅速に対応する必要性（CROにもベンチャー企業からの小児開発の相談が増えていると聞いている）
 - ⇒簡易相談、シーズ・早期開発相談、実施可能性相談等の実施準備中
 - ⇒英文ホームページ準備中
 - ⇒海外ベンチャー・グローバル企業本社への助言が可能な支援体制準備中



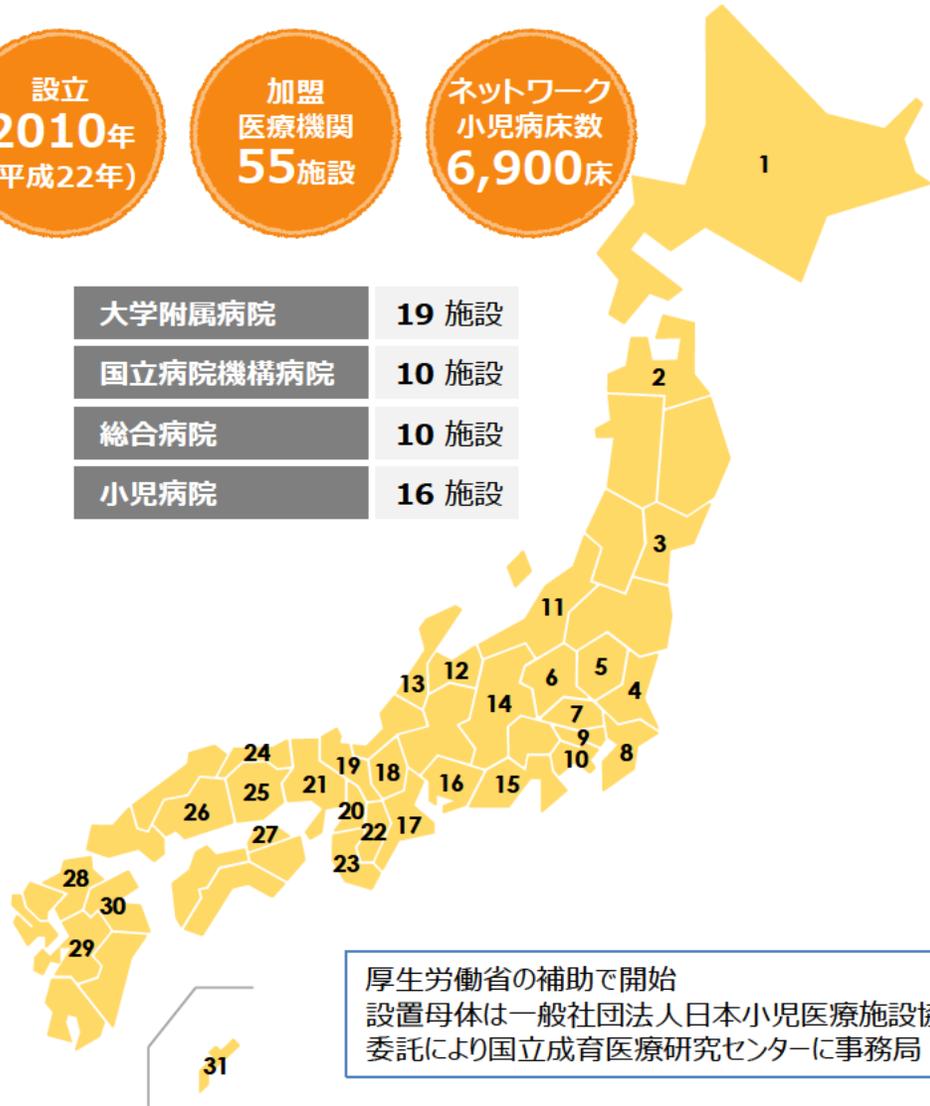
小児治験ネットワークの組織・体制 - 加盟施設の状況 (2025.3時点) -

設立
2010年
(平成22年)

加盟
医療機関
55施設

ネットワーク
小児病床数
6,900床

大学附属病院	19 施設
国立病院機構病院	10 施設
総合病院	10 施設
小児病院	16 施設



厚生労働省の補助で開始
設置母体は一般社団法人日本小児医療施設協議会
委託により国立成育医療研究センターに事務局

1	● 北海道立子ども総合医療・療育センター
2	● NHO 弘前総合医療センター
3	● 宮城県立こども病院 ◎ 東北大学病院
4	● 茨城県立こども病院
5	● 獨協医科大学病院 ● 自治医科大学附属病院
6	● 群馬県立小児医療センター
7	● 埼玉県立小児医療センター
8	● 千葉県こども病院 ◎ 東京女子医科大学附属八千代医療センター
9	● 国立成育医療研究センター
	● 東京都立小児総合医療センター
	◎ 東京大学医学部附属病院
	◎ 東京科学大学病院
◎ 順天堂大学医学部附属順天堂医院	
● 神奈川県立こども医療センター	
◎ 横浜市立大学附属病院	
10	● NHO 相模原病院
	◎ 東海大学医学部附属病院
	◎ 北里大学病院
11	◎ 新潟大学医学部総合病院
12	◎ 富山大学附属病院
13	◎ 金沢医科大学病院
	● NHO 金沢医療センター
14	● 長野県立こども病院
15	● 静岡県立こども病院

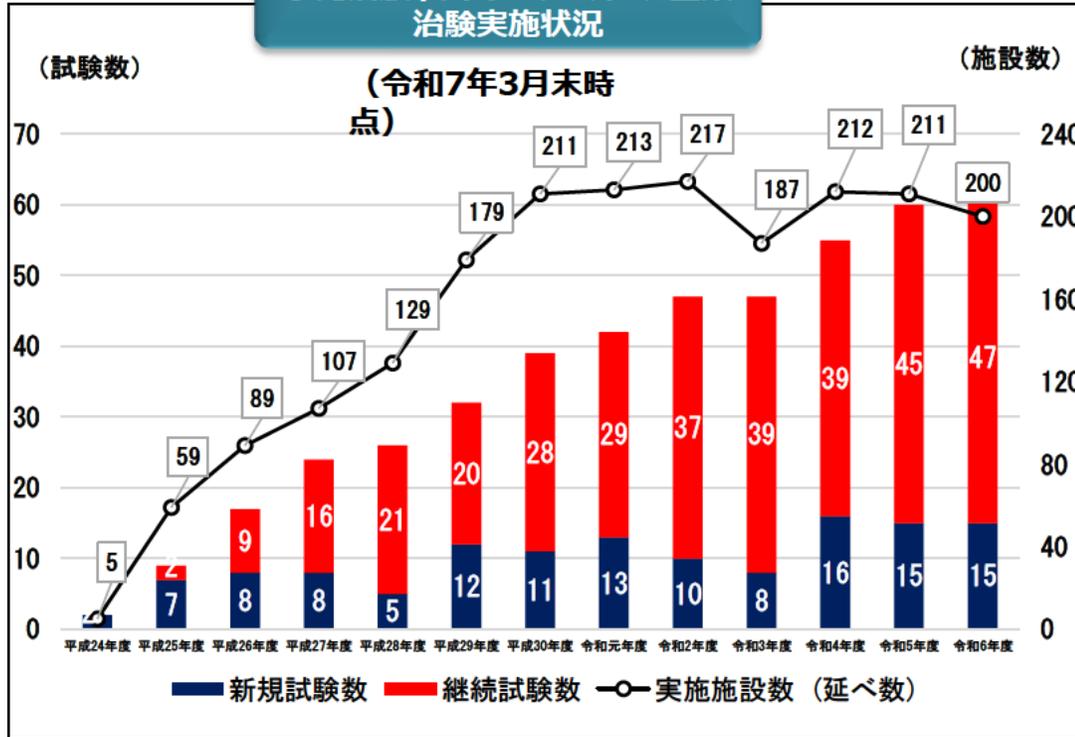
16	◎ 日本赤十字社愛知医療センター名古屋第一病院
	● あいち小児保健医療総合センター ● 愛知県医療療育総合センター中央病院
17	◎ NHO 三重病院
18	● 滋賀県立総合病院
19	◎ 京都府立医科大学附属病院
	◎ NHO 京都府立総合医療センター
20	● 大阪母子医療センター
	◎ 大阪市立総合医療センター
	● 高槻病院 ● 大阪はびきの医療センター
21	● 兵庫県立こども病院
	◎ 神戸大学医学部附属病院
22	◎ 奈良県総合医療センター
23	◎ 和歌山県立医科大学附属病院
24	◎ 鳥取大学医学部附属病院
25	● NHO 岡山医療センター
	◎ 川崎医科大学附属病院
26	● 県立広島病院
	◎ NHO 福山医療センター
	● 福山市民病院 ◎ 広島大学病院
27	● NHO 四国こどもとおとなの医療センター
28	● 福岡市立こども病院 ◎ 九州病院
29	◎ NHO 熊本医療センター
30	◎ NHO 別府医療センター
31	● 沖縄県立南部医療センター・こども医療センター

● **会員 (29施設)** とは、統一手順書等を遵守し、中央IRBの一括審査が可能な施設
 ◎ **準会員 (9施設)** とは、一部を除く統一手順書等を遵守し、中央IRBの一括審査が可能な施設
 ◎ **協力施設 (17施設)** とは、実施可能性調査のみ対応可能な施設



小児治験ネットワークの活動 - 治験実施状況 (2012~2024) -

小児治験ネットワークを介した企業
治験実施状況



施設別受託課題数 (企業治験)
2012年度~2025年3月時点

課題数	施設名 (略称)	課題数	施設名 (略称)
①	成育	⑤	都立小児
②	埼玉小児	⑥	兵庫こども
③	大阪母子	⑦	あいち小児
④	福岡こども	⑧	神奈川こども
10課題以上	宮城こども、静岡こども、大阪市立総合医療センター、自治医大、千葉こども、NHO四国、京都府立、NHO岡山		

診療科別治験数



承認等の進捗状況 (R7.3)
-小児治験NWを介した治験-

承認取得	43	治験終了	75
開発中止	10	治験実施中	50

主な対象疾患

成長ホルモン分泌不全	鎮静	静脈血栓症
てんかん	アトピー性皮膚炎	潰瘍性大腸炎
小児がん	未熟児網膜症	ムコ多糖症
若年性特発性関節炎	高血圧	重症喘息
血友病	心不全	先天性心疾患



小児治験ネットワークの活動

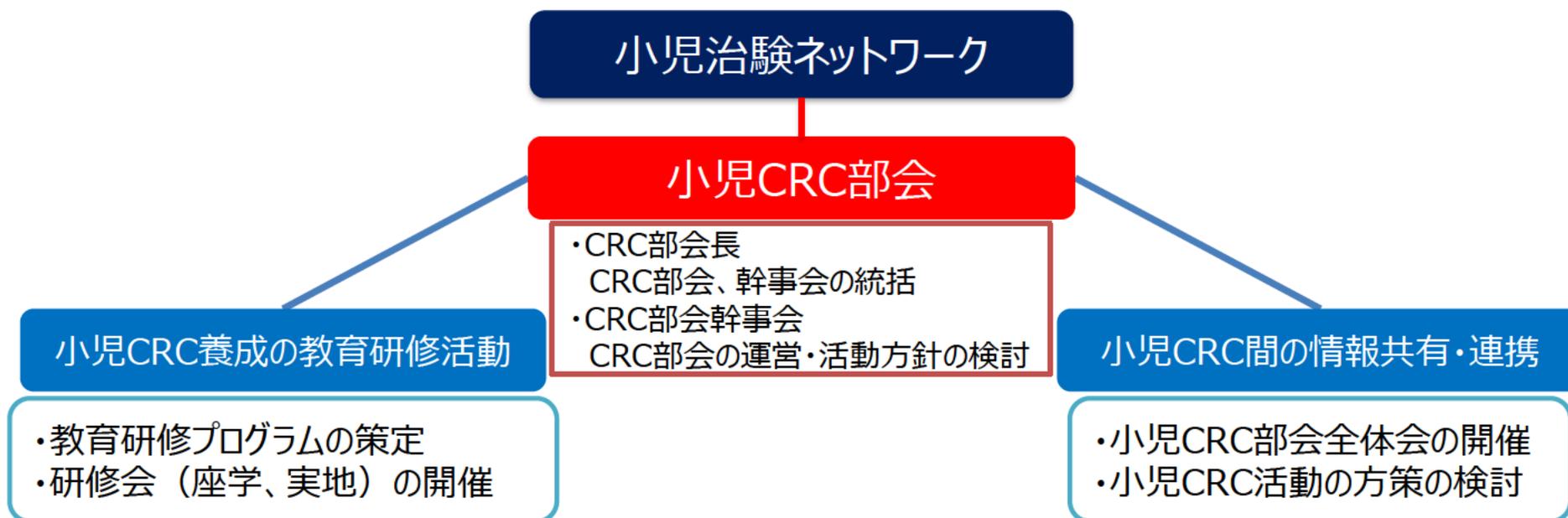
－小児CRCの養成（小児CRC部会の設置）－

■ CRC部会設立（H29.4～）

小児の専門性を兼ね備えたCRCと小児治験経験の少ないCRCが会合する機会を持ち、小児の専門性を兼ね備えたCRCの養成を継続して実施。

■ CRC部会長

・友常 雅子（東京都立小児総合医療センター）





小児医薬品開発ネットワーク 小児治験ネットワークとの連携

- **小児治験ネットワーク**は、一般社団法人日本小児総合医療施設協議会加盟施設を中心に全国の小児病院等55施設が加盟し活動(加盟施設の小児病床数：6,800床)。本事業の運営に連携。
- **小児CRC部会**は、小児治験ネットワークの下部組織として設置され、小児CRCの養成・人材育成を実施。(会員数約180名) 令和2年度から本事業への協力を開始。



小児開発について専門的助言を担う**小児医薬品開発ネットワーク**と治験実施フィールドである**小児治験ネットワーク**並びに**小児CRC部会**の連携

小児医薬品開発ネットワーク、小児治験ネットワーク及び小児CRC部会の共催による
小児医薬品開発推進のためのシンポジウム開催

アカデミア（日本小児科学会）、行政（厚労省、PMDA）の職員や製薬企業団体関係者による講演・パネルディスカッションを通して最新情報など発信

2024年12月7日開催「パネルディスカッション：小児医薬品開発の推進に向けて」、
「Allometric scaling をめぐる混乱ー小児薬物治療の臨床と医薬品開発への応用」など



小児医療現場では、未承認薬・適応外薬の使用が常態化

- 臨床現場の医師は治療に際して必要性に迫られそれらの未承認薬・適応外薬を小児患者へ使用しているが、それらの使用実態は十分に明らかになっていない。
- つまり、小児科領域の医薬品使用環境は日常的にリスクにさらされている状態である。

小児医療情報収集システム（医療情報データベース）構築

- 医療情報：病名、医薬品処方、検体検査
 - 患者情報：性別、生年月日
- の情報を収集し、解析・評価するためのデータベースを構築

小児医薬品の使用実態を明らかにする活動

- 小児医薬品（未承認薬・適応外薬）の使用実態調査
- 小児医薬品（未承認薬・適応外薬）のリスク評価
- 小児医薬品開発の推進

子どもたちへより安心・安全な医療の提供

小児病院

11施設

小児科クリニック

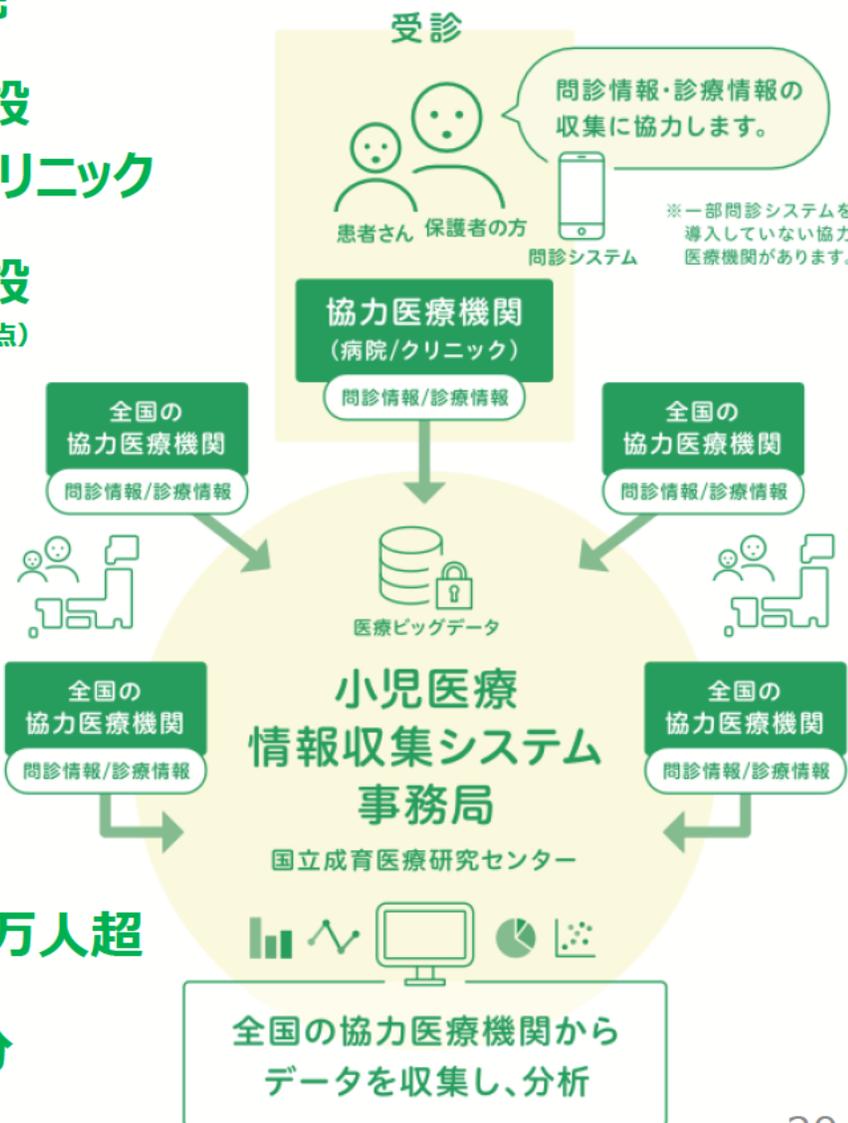
32施設

(2024年9月時点)

100万人超

約8年分

(2016年4月～)



全国の協力医療機関からデータを収集し、分析

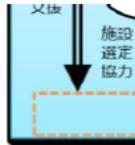
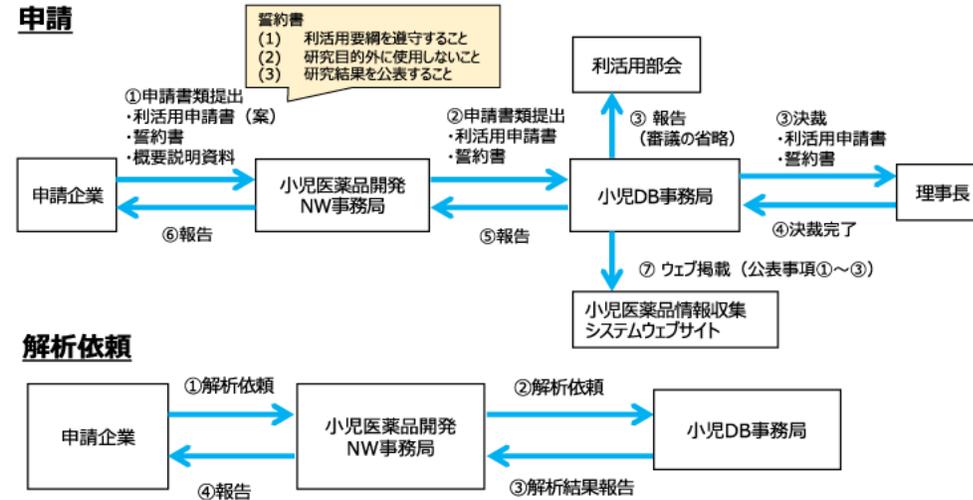
治験実施の効率化・開発期間の短縮



小児医療情報収集システム

－ 試行的利活用：製薬企業利活用案件一覧－

製薬企業利活用スキーム



製薬企業利活用案件

No.	課題名	対象疾患名	実績/進捗	ステータス
1	■■■■小児医薬品開発の実施可能性の検討に伴う日本国内の小児感染者数の調査	■■■■感染症	解析終了 公表済	終了
2	■■■■の青少年患者に関する実態調査	■■■■	解析終了 公表済	終了
3	■■■■の小児開発における実施可能性の検討に伴う小児患者の調査	■■■■	解析終了 公表済	終了
4	■■■■の小児開発における実施可能性の検討に伴う小児■■■■患者の調査	■■■■	解析終了 公表済	終了
5	■■■■の小児開発計画の検討を目的とした小児■■■■患者の調査	■■■■	解析終了 公表済	終了
6	■■■■の小児開発における実施可能性の検討に伴う■■■■患者の調査	■■■■	解析終了 公表済	終了
7	■■■■の小児開発の実施可能性検討に関する■■■■患者の実態調査	■■■■(感染症)	解析中	実施中

創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会議 検討事項の概要

開発促進

■ 希少疾病用医薬品の指定のあり方

- 日本の希少疾病用医薬品の指定時期が欧米よりも遅く、指定数が少ない現状を踏まえ、開発の早期段階で広範に指定できるよう、運用の見直しを検討

■ 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

- 製薬企業に小児用医薬品の開発を促すため、成人用を開発する段階で、製薬企業に小児用医薬品の開発計画の策定を促すための方策を検討

臨床試験

■ 我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理

- 海外で早期の臨床試験が実施された薬剤について、第3相試験等の国際共同治験の段階から日本が参加する場合における日本人の安全性の確認の考え方を整理（第I相試験の可否を含む。）
- 希少疾患等に用いる薬剤であって、外国においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における薬事承認の考え方を整理

■ 治験の更なる効率化（エコシステム）

- 日本での治験実施が高コストである現状を踏まえ、GCPの観点から更なる効率化に寄与する運用の見直しを検討

市販後安全対策

■ 製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方

- 新薬の製造販売後に行われる安全性監視活動として、多くの場合、使用成績調査（全例調査を含む。）が行われているが、製薬企業の実施負担が大きいとの指摘も踏まえ、製造販売後の情報収集のあり方について検討

■ リアルワールドデータの活用のあり方

- リアルワールドデータの利活用に向けた環境整備が進みつつある現状を踏まえ、その薬事制度における活用のあり方について検討

品質

■ 医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方

- 医薬品の承認書における製造方法等の記載や変更管理のあり方について、国際整合性も考慮しつつ検討

情報発信

■ 我が国の薬事制度に関する海外への情報発信

- 海外ベンチャー企業が日本での開発を行わない背景の一つとして、日本の薬事制度に関する理解不足や誤解がある背景を踏まえ、海外への情報発信のあり方について検討

開発の受け皿の強化も必要

小児のRWD収集体制

海外ベンチャー企業が気軽に相談できる体制

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

- 2023年3月時点において、欧米では承認されているが国内開発未着手の医薬品は86品目（未承認薬のうち60.1%）あり、そもそも承認申請がなされない（＝企業が開発しない）というドラッグラグ・ロスが発生していると指摘されている。
- 国内開発状況が未着手の86品目について傾向を分析したところ、ベンチャー発の医薬品や、オーファン、小児の割合が比較的大きいことが分かった。

日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）	
			開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	143	57	86 (品目)

日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	オーファン	小児
56 % (48品目)	47 % (40品目)	37 % (32品目)

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

※出典：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計

※2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計

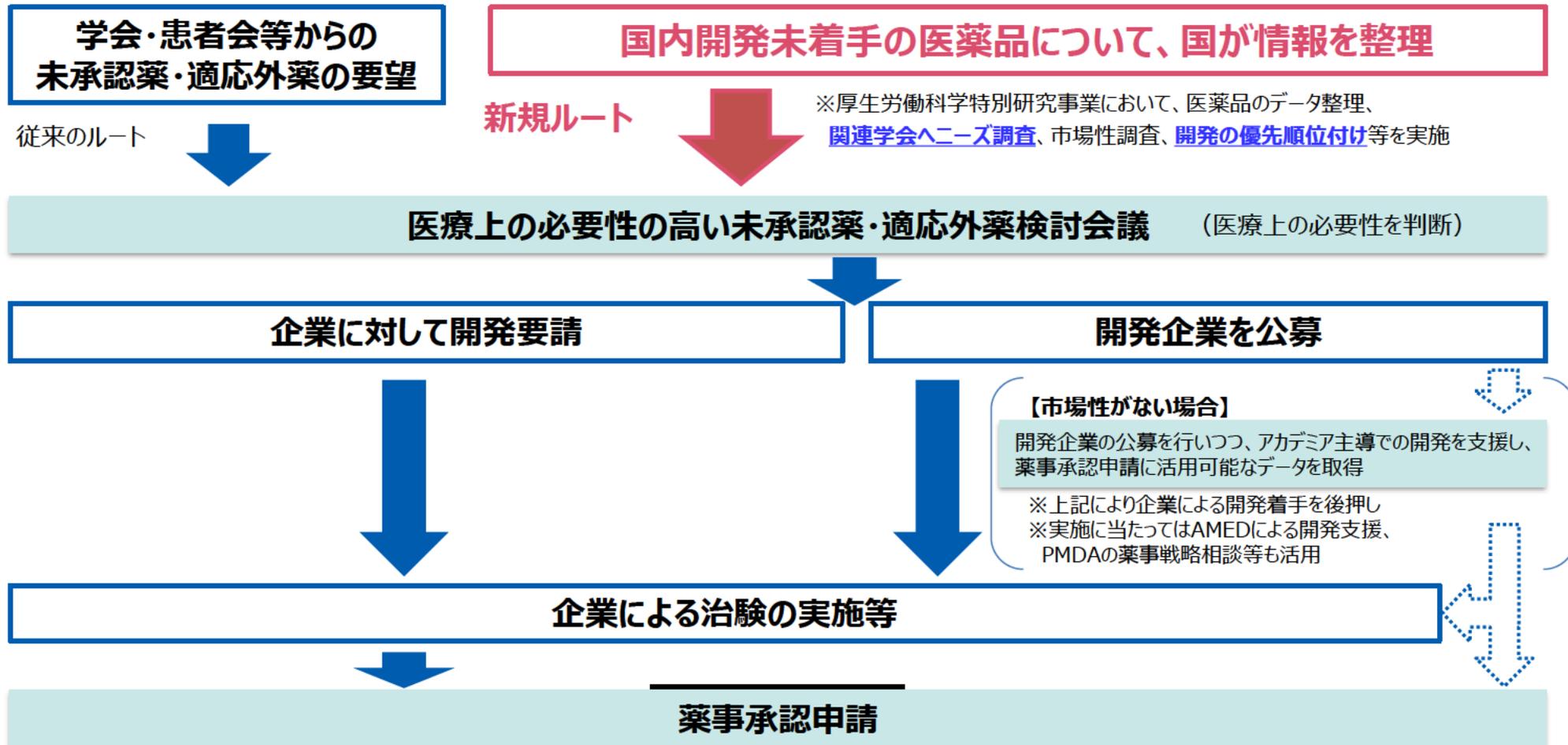
※3：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計

※4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までに受けた品目をオーファンとして集計

※5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

ドラッグロス解消に向けた取組について 厚生労働省

欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品のうち、**国内開発未着手の医薬品86品目について、学会等からの要望を待つことなく、国が能動的に、未承認薬・適応外薬検討会議における医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行う**ことで、未承認薬・適応外薬検討会議における評価、開発要請等の加速化を図る。



① 施策の目的

我が国では承認されていない「未承認薬」について、未承認薬・適応外薬検討会議における医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行い、評価・開発要請等の加速化を図ることで、ドラッグ・ロスの解消に向けて取り組む。

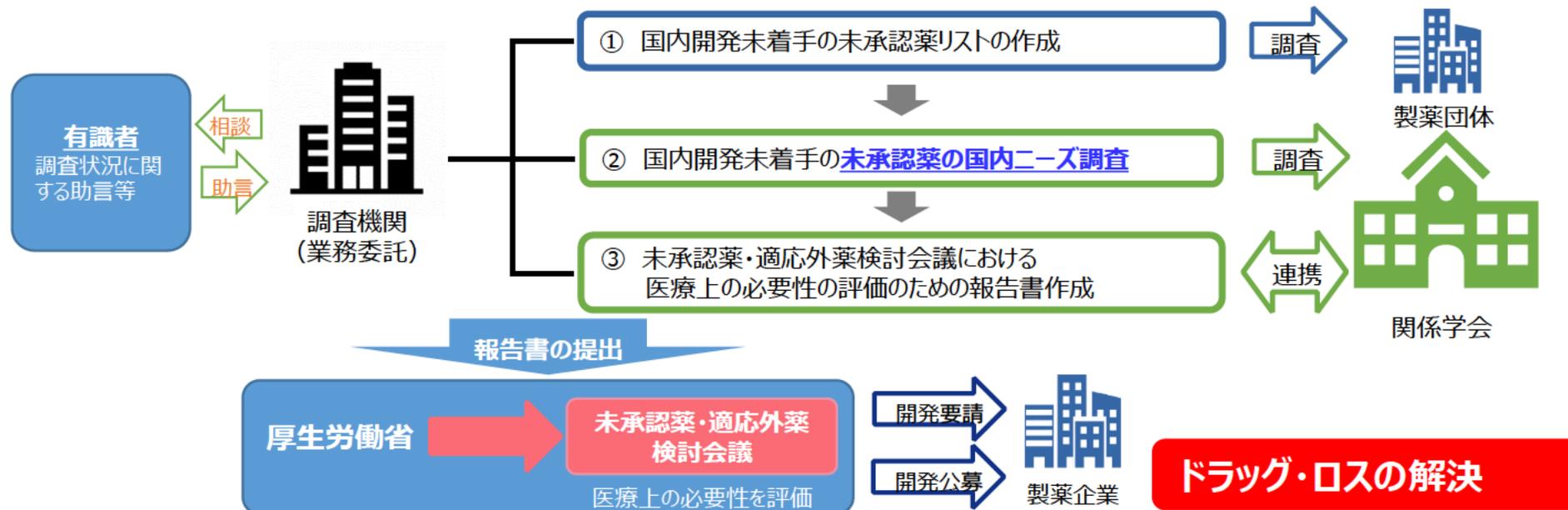
② 対策の柱との関係

I	II	III
	○	

③ 施策の概要

ドラッグ・ロス品目について、製薬団体への調査を行い、国内での開発の有無を、関係学会に調査を行い、国内の医療現場でのニーズの確認を行う。関係学会にニーズがある品目について、海外の承認状況、有効性・安全性に係るデータ等の情報収集を行い、未承認薬検討会議で医療上の必要性を評価するための報告書資料の作成を行う。

④ 施策のスキーム図、実施要件（対象、補助率等）等



⑤ 成果イメージ（経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む）

現在生じているドラッグ・ロスのうち、我が国で当該疾患の既存薬がない薬剤等について2026年度までに開発に要請・公募。

希少疾患の多くは小児期に発症

- 7000を超える希少疾患
(<https://www.science.org/content/webinar/7000-challenges-basis-and-burden-rare-diseases>)
- 米国民の2500万-3000万人（世界では推定3億5千万人）が希少疾患を患う
- 全ての小児悪性疾患は希少疾患
- <10% にFDAで承認された治療薬
(<https://rarediseases.org/understanding-rare-disease/rare-disease-facts-and-statistics/>)
- 80% は遺伝性疾患(WHO Department of Essential Drugs and Medicines Policy (2004) Priority Medicines for Europe and the World Background Paper.)
- ~65% は重篤で完治する可能性は低い(French Government (2004) French National Plan for Rare Diseases 2005-2008.)
- 2/3 は2 歳未満で発症(French Government (2004) French National Plan for Rare Diseases 2005-2008.)
- 1/2は生命予後が悪い(French Government (2004) French National Plan for Rare Diseases 2005-2008.)
 - 35 % が1 歳未満で死亡
 - 10 % が1～5 歳で死亡
 - 12 % が5～15 歳で死亡

希少疾病治療開発にはオールジャパン体制と
国際連携が必須

欧米では希少疾病医薬品開発を促進する活動が急速に進展

- IRDiRC
- ACCELERATE
- EU
 - European Rare Disease Research Coordination and Support Action (ERICA) 等
 - 小児開発では、全EUネットワークのconnect4children : 2024年に独立法人化 (EU Innovative Health Initiativeによる研究費からの移行)
 - ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer)
- 米国
 - National Organization for Rare Diseases (NORD)
 - Rare Disease Clinical Research Network (RDCRN)

など



IRDIRC

INTERNATIONAL
RARE DISEASES RESEARCH
CONSORTIUM

International Rare Diseases Research Consortium (国際難病コンソーシアム)

設立：2011年にヨーロッパ委員会（Commission）とアメリカNIHが共同で設立した世界的な団体

目的：研究を通じて希少疾患に取り組み、希少疾病患者が治療を受けられるようにする

構成：世界各国から60団体(アカデミア、資金提供者、企業、患者支援団体)

活動：希少疾病研究におけるギャップと重要な問題を特定し、ガイドライン、推奨事項、リソースを作成する。参加者の70%は小児科医とのこと。

→ 各国の背景が異なるため、概要をIRDIRCが作成し、各国で詳細な部分を議論して、最終的に方針を決定する。

<https://irdirc.org/who-we-are-2/>

日本からもAMED、PMDA等から参加しているが、国内での関係者との情報共有は必ずしも十分ではなく、連携・活動に反映されていない面もある。



European Rare Disease Research Coordination and Support Action

(欧州希少疾病研究調整支援コンソーシアム)

設立：全ヨーロッパの医療提供者が関与するネットワークで、24のEuropean Reference Networks (ERNs)で構成される国際的研究グループ

目的：以下のために知識の共有し、希少疾患関係者のネットワークや様々な保健分野で活動する

- ERN内および各ERN間による新しい希少疾患ネットワークの形成
- 効果的なデータ収集戦略
- 患者がより参加しやすい環境
- 臨床試験の質と効果の向上
- ERNのイノベーションの可能性に対する認識を高める

活動：ERICAは、ERN研究活動の統合、ヨーロッパ研究インフラの展開、開発イノベーションによって、研究と開発能力を強化している。

※ ERICA→European Rare Diseases Research Alliance (ERDERA)へ移行

<https://erica-rd.eu/>

我が国では、このような希少疾患横断的な連携体制がほぼ皆無。

設立：全ての小児の新薬やその他の治療法の開発促進を目的とした
全欧州のネットワーク

目的：小児と家族が必要とする国際共同小児臨床試験の実施を目指す。

構成：アカデミアと企業等が協力した組織であり、36のアカデミア団体、10の企業、500の
提携パートナーが参加協力：EUの、国のネットワーク、疾患領域ネットワーク（例：
嚢胞性線維症）等を登録。

活動：医薬品開発プロセスのあらゆる条件および段階で、高品質の小児臨床試験
を効率的かつ迅速に実施するための、持続可能な統合プラットフォームを
提供する

<https://conect4children.org/about/>

2024年からは法人化して活動

このような本格的なネットワークは米国にもあるが、予算規模は数億-10億円/年 規模

小児の疾患領域臨床研究ネットワーク

例1：小児がん領域

- 小児がん中央機関2施設、小児がん拠点病院等の連携、日本小児がん研究グループでの標準治療開発

例2：小児腎領域

- 小児腎臓病研究グループ（JSKDC）は、異なる適応についてAMED研究費を取り続けている。
- 薬事承認に繋がる質の高い医師主導治験、特定臨床研究を実施。

他にも、臨床研究中核病院等を中心として医師主導治験、特定臨床研究が進行。国際研究ネットワークへ参加して研究実施している研究者も（小児リウマチなど）

研究費や特定の企業治験が終了した段階で、構築したネットワークが消滅することも多い
対応策としてconnect4childrenなどが公費で整備

- 小児医療施設等でも、まだ十分なCRCは確保されていない：SMOからの支援を可能とする体制・予算も含め、試験実施の拠点施設の体制強化も必要
- ノウハウは小児病院棟に蓄積されつつある。臨床研究中核病院だけでは小児希少疾病開発体制は不十分
- IRDiRCやERICAなどのように、希少難病横断的にノウハウを共有・連携できるような体制も必要

厚生労働省・PMDAに期待すること

• パートナーシップの強化

アカデミア、産業界、厚労省、PMDAの協力を深め、小児医薬品開発の課題に効率的に対応
厚労省から企業へのインセンティブの強化

• プロセスの適正化・効率化

厚労省・PMDAと連携し、必須の小医薬品への迅速なアクセスを可能にする規制経路の最適化
小児WGがバーチャルな組織となっている現状では、審査チーム間で温度感の違いが見られることがある

• 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター機能の強化

- EMAやFDAのように、組織横断的に審査チーム等に助言をし、ガイダンス等の作成
- FDA・EMA等との定期ウェブ会議であるPediatric Clusterへの積極的な参画

• 相互理解の促進

厚労省、PMDAと臨床現場との継続的な対話による効率的に臨床試験体制の構築

製薬企業への期待

- **小児領域での医薬品開発の積極的推進**

希少疾患・小児特有の疾患に対する医薬品開発の強化により、ドラッグロス・ラグの解消に貢献

実施
欧米の法制度(Paediatric Regulation PAGE8)に倣い、小児での安全性・有効性の評価を成人と同時に実施

小児患者に対する適応拡大の積極的な検討

日本での小児医薬品開発を積極的に考えて頂きたい

- **小児治験の実施とプロトコルの最適化**

開発初期段階からアカデミアと連携し、小児患者向けプロトコルの開発(成人用プロトコルでは実施困難)

グローバル開発チームと連携し、日本の臨床現場の状況やニーズを反映した開発の推進

- **データ収集と情報提供**

小児領域での未承認・適応外医薬品の使用実態を調査し、添付文書に安全性情報を適切に記載

製造販売後の治験対象外小児の薬物動態研究への協力

- **社会的責任の認識とインセンティブの活用**

小児に最良の医薬品を提供することは製薬企業の責任と使命

アカデミアと一緒に開発に取り組みましょう

最後に、産・官・学・患連携に期待すること

- NHKスペシャル「命を診る、心を診る～小児集中治療室の日々～」(2025年7月13日放送)を観た製薬企業関係者からは、以下のような声が上がったと聞く
 - 小児医療の現場があんなに大変だとは思わなかった
 - あんな中で治験をすることがどれだけ大変なことかと気づかされた
 - あのような子どもたちを救うためには、製薬企業は小児の治験をやらないなんて言えない 等
 - 国内製薬企業の小児科医・小児外科医などからも、より小児で実施しやすい治験プロトコル作成の必要性、小児への配慮の必要性などについて声上がり始めている
- 小児医薬品開発は他人事ではない。こどもはこの国の未来であり、最良の薬を届けるのは我々皆の責務であることを再度共通認識としてほしい
1. 小児医薬品開発について産・官・学・官で議論するコンソーシウムを日本でも立ち上げては如何か。
 2. 規制当局・企業と小児医療機関との人材交流をより進めて、小児医療の現場、小児治験・臨床試験の計画・立案・実施の様子を実際に体験して頂いては如何か。