

小児用医薬品開発の促進を目指して ～PMDAが貢献していくこと～

医薬品医療機器総合機構
小児用医薬品ワーキンググループ
崎山美知代



厚労省もPMDAもこれまで様々な取組を行ってきたが

- 日本の小児に(用法・用量が設定された)必要な医薬品が届けられているか？
- PMDAがおこせるアクションはもっとあるのではないか？
 - ✓考え方の積極的な発信
 - ✓共に、医薬品を開発するという積極性

PMDA内で意見交換を実施(2025年6~7月 3回開催)

「私たちPMDAが小児用医薬品の開発促進のために貢献できることは？」

- 小児開発が進まない障壁は何か？
- 今後どのような検討が必要か？
- 今すぐ実行できることは何か？
- 日頃の業務に還元できることは何か？

原則論だけに
ならない

Acceptableな
提案をPMDA
からする

実施可能性も
ふまえ企業と
一緒に考える

小児剤形についても
PMDAが出来ること
を継続的に検討・実施

Pediatric
Extrapolation
の活用、M&Sの
活用、RWDの活用



EUのPIP、米国のPSPで
計画されている国際共同
治験に日本から参加しや
すくなる環境作り

成人開発時から市販後
の対応も含めた全体的
な開発ストラテジー、
小児開発の考え方の
PMDAからの発信

PMDAの支援体制の充実
・小児クラスターテレカンの
有効活用
・部横断的に検討できる人材
の配置



小児用医薬品開発促進にむけて

- ✓ 欧米等で計画されている国際共同治験に日本からも参加
- ✓ PMDAも小児用医薬品の開発促進のために貢献するステークホルダーの1つとして一緒に開発するというマインド
- ✓ 新たなドラッグ・ロス、ドラッグ・ラグを作らない

小児用医薬品開発促進にむけて

- ✓ 欧米等で計画されている国際共同治験に日本からも参加
 - 日本人小児を組入れるにあたり、事前の日本人成人データの取得を必須とはしない
 - 日本人が結果的に組入れられなかった場合の対応
 - 日本から参加できる環境作り
 - できるだけ早い段階、プロトコル作成段階から日本も参加

小児用医薬品開発促進にむけて

- ✓ PMDAも小児用医薬品の開発促進のために貢献するステークホルダーの1つとして一緒に開発するというマインド
 - 治験相談時に、積極的に代案を提案
 - PMDA内で横断的に小児の治験相談・審査に参加し、情報共有、審査チームに還元する人材の配置
→まずは小児科医の参加から

小児用医薬品開発促進にむけて

- ✓ 新たなドラッグ・ロス、ドラッグ・ラグを作らない
 - 世界の医薬品開発動向の把握、PIP/PSPの動向把握
 - 世界の動向を把握したうえで、日本で小児開発が必要なものの優先順位付け

小児用医薬品の開発動向をどのようにモニター？

欧州では…

- EMA(European Medicines Agency)はPaediatric Committee(PDCO)を月1回開催
- 提出されたPediatric Investigation Plan(PIP)について議論
 - 有効成分、対象疾患、開発企業名等を議事録として公表



Paediatric Committee (PDCO)

Minutes for the meeting on 20-23 May 2025

Opinions and discussions on procedures and products

Chair: Brian Aylward - Vice-Chair: Sylvie Benchetrit

*Cells with commercially confidential information are left blank

<https://www.ema.europa.eu/en/committees/paediatric-committee-pdco>

Process type	Committee action	Procedure	Substance(s)*	Applicant*
Compliance check	For adoption	EMA/PE/0000245370	Dolutegravir, Lamivudine	Viiv Healthcare UK Limited

医療現場におけるニーズは？

米国の事例

Research Health Grants & Contracts Clinical Research Newsroom About NICHD

About BPCA **Priorities** Pediatric Clinical Trials Research and Training Resources Archive

BPCA

Best Pharmaceuticals for Children Act

Home > Research > Supported Networks & Initiatives > Best Pharmaceuticals for Children Act (BPCA) > Priorities >

Share Print

Recent Priority Lists

The BPCA priority list consists of key therapeutic needs in the medical treatment of children and adolescents.

Priorities

Recent Priority Lists

BPCA Stakeholder Meeting



日本の医療現場のニーズは？

- 厚生科学研究 厚生省医薬安全総合研究事業
「小児薬物療法における医薬品の適正使用の問題点の把握及び対策に関する研究」等
(1998年～ (2015年度よりAMED研究))
- 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」
(2010年～)

など

Take Home Message

有効性及び安全性が適切に評価された医薬品を
必要な時に
欧米に遅れず or 欧米と同時に
日本の小児に届けるために
産官学それぞれがそれぞれの立場で
どのような貢献ができるか
一緒に考え、実行していきましょう

PMDA

健やかに生きる世界を、ともに



小児用医薬品シンポジウム「～充実した小児薬物療法を目指し、国内外の
Stakeholderと共に歩む～」

産業界としてPMDAへの期待

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会

委員長

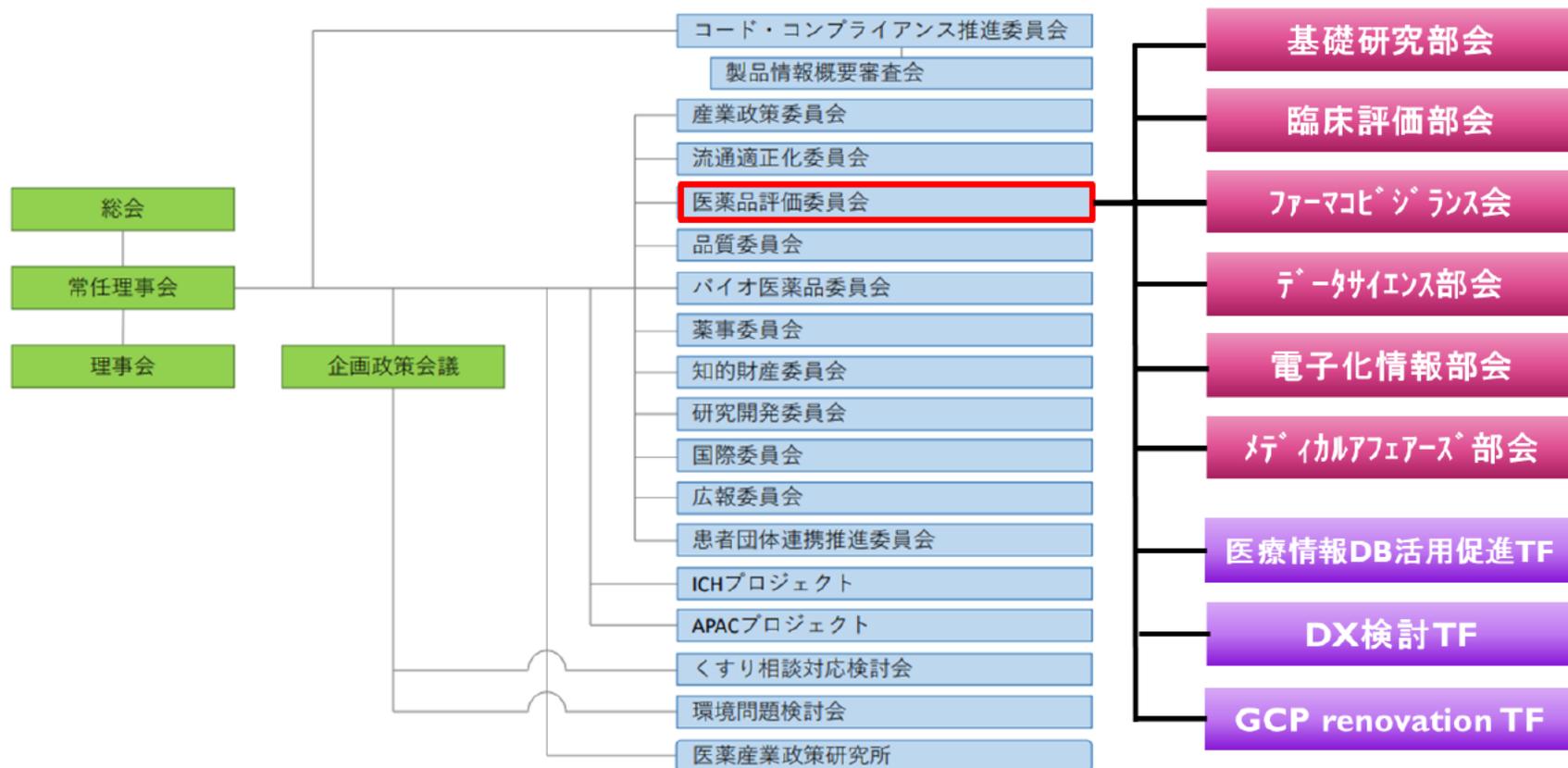
中路 茂

2025年8月27日

Agenda

1. 製薬協 医薬品評価委員会について
2. 日本における小児医薬品開発の現状
3. 小児医薬品開発の推進にむけて
4. 規制当局への期待と産・学・官・患協働への提案

製薬協 医薬品評価委員会について



<概要：HPより>

製薬協は、研究開発志向型の**製薬企業69社**が加盟する任意団体です（2025年4月18日現在）

1968年に設立された製薬協は、「患者参加型医療の実現」をモットーとして、**医療用医薬品を対象とした画期的な新薬の開発を通じて**、世界の医療に貢献してきました

製薬協では、**製薬産業に共通する諸問題の解決や医薬品に対する理解を深めるための活動、国際的な連携など多面的な事業を展開しています**。また、特に政策策定と提言活動の強化、国際化への対応、広報体制の強化を通じて、製薬産業の健全な発展に取り組んでいます

Agenda

1. 製薬協 医薬品評価委員会について
2. 日本における小児医薬品開発の現状
3. 小児医薬品開発の推進にむけて
4. 規制当局への期待と産・学・官・患協働への提案

ドラッグラグ・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
 - 未承認薬・適応外薬検討会議において、開発の必要性が特に高いとされた14品目（グループA）のうち、開発済み等の3品目を除いた11品目について、今後、開発要請・公募の見通し
- 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

日本国内未着手の品目内訳

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）		ベンチャー発	オーファン	小児
			開発中	未着手			
米国	136	7	3	4	56% (48品目)	47% (40品目)	37% (32品目 ^注)
欧州	86	57	26	31			
日本	0	143	57	86 (品目)			

注：オーファン24品目を含む

ドラッグロスの原因、背景

- 海外スタートアップ企業の新薬が増える中で日本への開発を躊躇
(日本で開発経験がない、開発インフラを持たない)
- 市場が小さい製品、開発が難しい製品
- 日本の医薬品市場の魅力低下
- 外資系企業の意見 「薬事制度が分かりにくい」、「商習慣、制度運用の違い」、「低薬価」

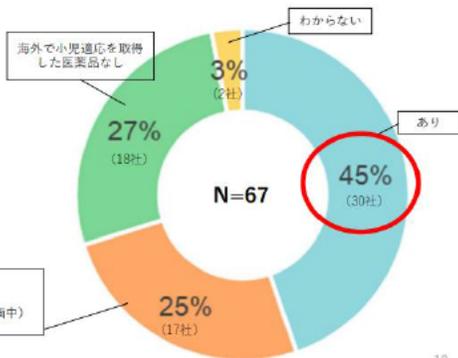
⇒日本の市場の魅力度向上とともに、非効率な薬事制度やプロセスを見直し、海外に発信する必要

2023年実施の製薬企業アンケート調査

製薬企業等を対象としたアンケート調査（概要）

対象
 日本製薬工業協会、
 PhRMA Japan（米国研究製薬工業協会）、
 EFPIA Japan（欧州製薬団体連合）の重複を除く86社
 バイオインダストリー協会創薬ベンチャー会員47社
回答された企業背景
 回収率：67/133社（50.4%）
 内訳：製薬企業61/86社（70.9%）
 バイオベンチャー企業6/47社（12.8%）

Q. 御社が保有する医薬品で、2002年以降に欧州又は米国で小児の適応を取得済み・開発中であるが、日本国内での小児の適応取得に向けた具体的な開発計画がない品目はありますか？



製薬企業アンケート調査結果

国内で小児用医薬品を開発しない理由

Q. 「あり」を選択した場合、日本での開発を予定していないおもな理由を3つまで選択してください。

対象：前問で「あり」と回答した30社

- 第1位 採算が取れない (N=17)
- 第2位 日本では治験の実施が困難 (N=14)
- 第3位 国内の小児患者が少ない (N=9)
- 第4位 小児適応取得は日本では義務ではない (N=8)
- 第5位 疾患や患者数などの情報不足で開発計画を立てにくい (N=4)
- 第5位 日本専用の小児用製剤の開発が求められる (N=4)

以下について、検討

- ① 収益性
- ② 治験実施体制
- ③ PMDAの審査・相談
- ④ 欧米のような義務化

第1回 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（2023年7月10日）
 資料3-1：小児がん及び小児希少難治性疾患に係る医薬品開発の推進制度に資する調査研究 研究代表 鹿野真弓・分担研究 林憲一

2023年小児用医薬品の開発を促進する仕組みについて ～対応の方向性（案）～

■ 成人と同時に小児用の開発計画策定を促す仕組みの導入

- 新有効成分、新効能の医薬品については、成人用の開発時に、企業判断で小児用の開発計画を策定し、PMDAが確認する仕組みを設けてはどうか
- 確認された計画について、必要な準備を進めた上で、治験届を提出することとしてはどうか
- 企業による開発計画策定を促すインセンティブについても別途検討

■ 開発優先度の明確化

- 小児用の開発の優先度については、企業判断によるほか、専門学会等の要望や評価を踏まえ、優先度に関する検討を行い、結果を公表してはどうか

■ 承認申請パッケージの柔軟性

- 以下のような取組により、小児の治験実施の要否に関する考え方を整理し、明確化してはどうか
 - 国際的に用いられているモデル&シミュレーション（M&S）の活用や、海外データ、文献情報等により有効性・安全性が説明できる場合を整理し、明確化する
 - 新有効成分や新効能医薬品については、少なくとも10-12歳以上の小児においては、一定の条件を満たせば、成人の承認申請時に併せて評価可能な場合があることを周知する
- 上記に関する相談への対応を含め、PMDAに小児用医薬品に特化した相談枠を新設してはどうか

■ 小児剤形の利用促進策

- 例えば、地域において中心的に小児剤形に対応する薬局を設置するなど、小児剤形を利用しやすくなる仕組みを検討してはどうか

希少疾病や小児用の薬の開発支援

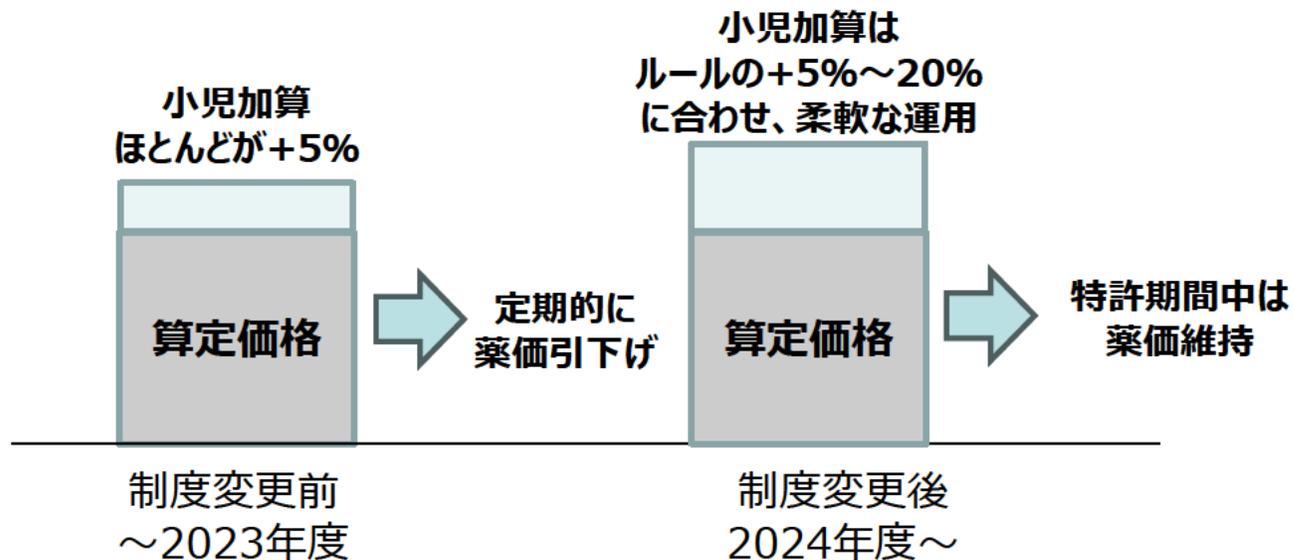
- 希少疾病を対象とする医薬品がより多く恩恵を受けられるよう、薬事面の運用を見直す
- 承認審査の際に、日本での治験を省略できるものは省略できるようにする
- 小児用医薬品の計画策定を努力義務とする一方、小児用医薬品の薬価的な評価を充実する

薬事面の改革

- 希少疾病用医薬品の指定の増加
(PMDAの審査能力増強とセット)
- 承認審査における日本人データの必要性の整理（開発の負担の軽減）
- 医薬品の承認申請時に、小児用医薬品の計画策定を努力義務化

薬価面の改革

- 小児加算の加算率の柔軟な判断
- 小児加算の適用品の薬価維持

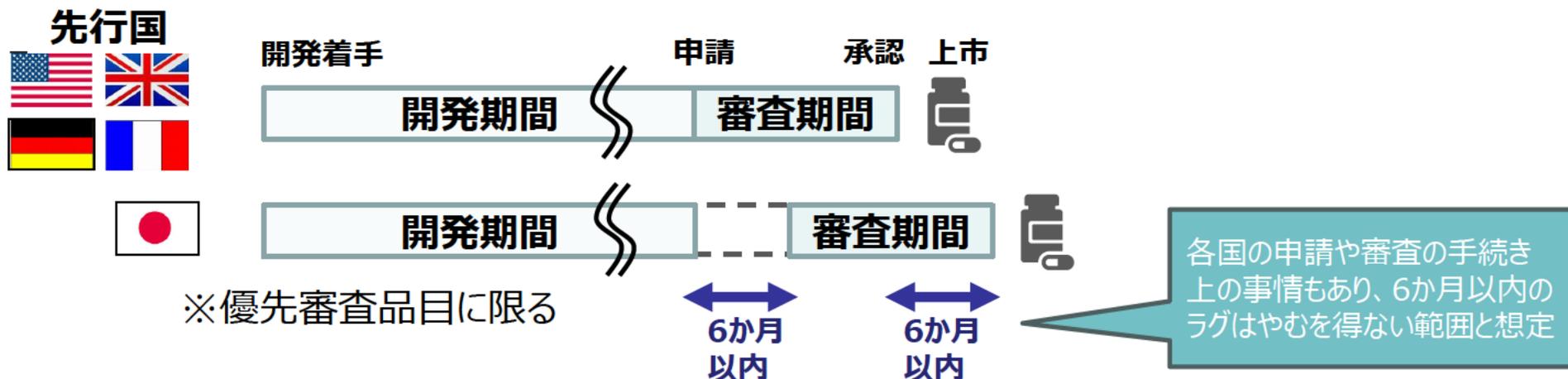


日本への迅速な導入支援

- 海外企業に速やかに日本に製品を導入してもらう（内資企業との提携を含む）
- 国際共同治験に日本を加え、申請ラグを半年以下にした品目に対し、薬価の加算を付与する

薬価面の改革

- 既存の先駆加算の要件が厳しかったため、より取得しやすい「迅速導入加算」を新設した
- ラグ期間が6か月以内の場合に、薬価に5~10%を加算する

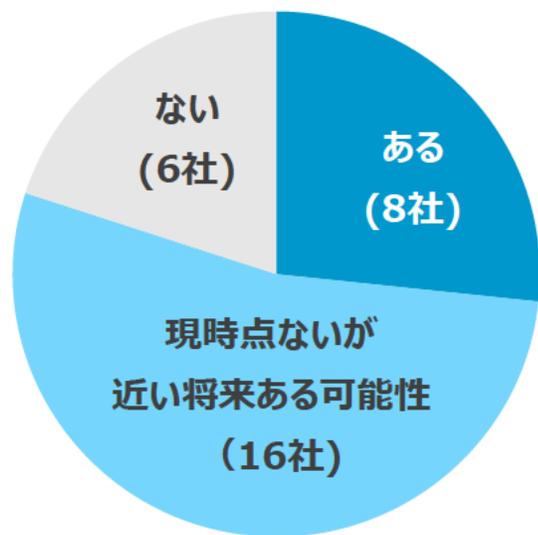


2024年度制度改革による開発計画の変更

2024年度の制度改革により、国内開発計画を前向きに変更する動きが進んでいる

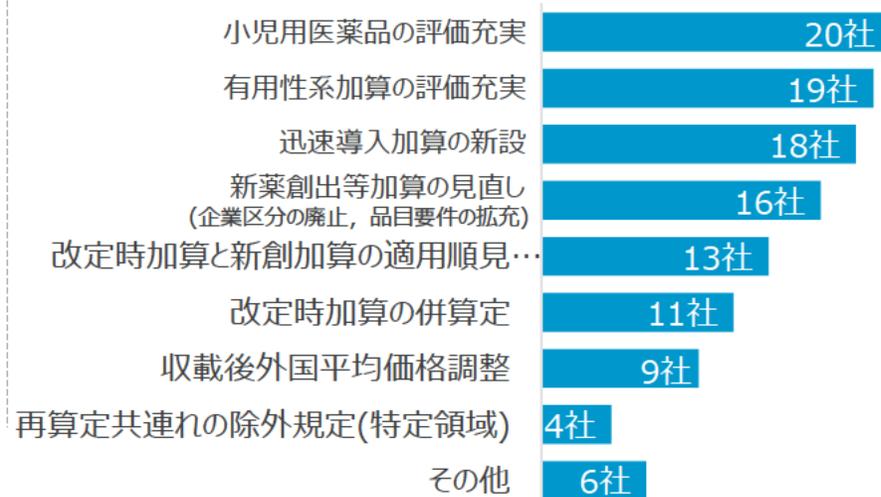
Q7. 2024年度改革が直接間接に影響し国内開発計画を前向きに変更(*)したものの有無
 (* 再検討に着手したものを含む)

30社中24社が2024年改革によって国内開発計画が前向きに変更された/変更され得ると回答



Q8. 2024年度改革のどの項目が開発計画の前向きな変更に影響を与えたか
 (Q7で「ある」「現時点ないが近い将来ある可能性」と回答した24社の回答内容。複数選択)

小児用医薬品の評価充実、有用性系加算の評価充実、迅速導入加算などが、開発計画を前向きな変更を後押ししている



Agenda

1. 製薬協 医薬品評価委員会について
2. 日本における小児医薬品開発の現状
3. 小児医薬品開発の推進にむけて
4. 規制当局への期待と産・学・官・患協働への提案

小児医薬品開発におけるマインドセットの転換

● 小児に最適な開発戦略の構築

- 成人の医薬品開発の延長ではなく、小児特有の生理・疾患・医療実態・治療ニーズ・患者数等を考慮した合理的な開発戦略・治験デザインの検討が必要
- 「世界の子どもたちに医薬品を早く届ける」視点で、開発戦略・治験デザインを構築する

● 全ステークホルダーによる連携と協業

- 小児医薬品開発は産業界だけでなく、医療現場・患者/患者家族・アカデミア・行政の相互理解と連携が不可欠
- ステークホルダー間で知識と経験を共有し、ナレッジの蓄積・強化を図ることで、将来の開発促進につなげる

● 長期的視点に立った投資と評価

- 小児医薬品開発は医療ニーズに応える「社会的インフラ整備」であり、短期的な収益性だけでなく、持続可能性と公共性の観点から評価されるべき
- 医療機関・患者団体・アカデミア・企業による継続的な取り組みを社会全体で支援する文化の醸成と仕組みが必要

グローバル小児医薬品開発への早期参画と日本の貢献

● グローバル開発への貢献

- 成人医薬品開発の初期段階から小児開発計画を日本を含めて検討する（例：欧米のPIP/PSP作成段階から日本も参加する）
- 日本の小児領域の専門家を巻き込み、グローバル開発における日本のプレゼンスを高める
- 日本の治験実績や品質、活用できる制度やインセンティブ等を海外に発信し、日本を開発に含める意義を示す

● 患者が参加しやすい治験の推進

- 小児治験における課題や障壁を明確にし、課題解決に取り組む
- 患者/患者家族の負担を軽減するための方策に向け、産・学・官・患で協力する（例：採血量の低減、DCT導入など）

● 日本の強みを活かした貢献

- 高品質かつ迅速な治験実施体制、症例集積力など、日本の強みを活かし、グローバル試験でプレゼンスを向上させる
- 小児医薬品開発ネットワーク支援事業などを活用し、産・学・官連携を促進することで、日本からの貢献を拡大する

小児医薬品の情報創出/上市に向けた仕組み

● “柔軟な申請パッケージ”の導入推進

- 小児用医薬品の申請パッケージの考え方を産・学・官で整理（例：既存データ/小児外挿/モデリング & シミュレーション等から有効性・安全性の一部を説明）
- 小児用医薬品に特化した技術的な課題（例：試験デザインの妥当性、RWD、M&Sの活用）に関するPMDA相談枠の新設を希望

● リアルワールドデータ（RWD）の有効活用

- **既存データの統合と公開**：申請電子データや小児医療情報DB等を活用し、小児医薬品開発に役立つ情報を統合・公開（例：小児患者の背景情報等の要約をM&Sに活用可能な形で提供）
- **疾患類似性の整理**：小児と成人の疾患や治療反応の類似性を整理・公開（例：POS治療のFDAガイダンスにおける成人と小児の曝露-反応関係の類似性評価）
POS: Partial Onset Seizures
- **実臨床データの活用**：実臨床データを基に、治験で得られなかった集団の情報を創出（例：治験と年齢や病態の異なる集団のPK・有効性・安全性を承認後に評価）

以上の検討から得られた知見を、産・学・官で連携し集約ウェブサイト等を通じて情報を公開し、企業やアカデミアが活用できる仕組みを構築

Agenda

1. 製薬協 医薬品評価委員会について
2. 日本における小児医薬品開発の現状
3. 小児医薬品開発の推進にむけて
4. 規制当局への期待と産・学・官・患協働への提案

規制当局への期待と産・学・官・患 協働への提案

- **小児医薬品開発を支える薬事支援と国際連携の強化**
 - 小児医薬品開発に特化した相談枠を新設し、技術的・戦略的アドバイスを提供
 - 小児医薬品開発で活用可能な制度やインセンティブ、日本の治験実績等の情報を国内外へ発信し、開発促進につなげる
 - FDA・EMA等、諸外国の規制当局と連携し、三極の評価指針のハーモナイズを推進
 - アンメットメディカルニーズに基づき優先順位を明確化し、社会的インパクトの高い医薬品の開発を支援
- **産・学・官・患の協働による開発体制の強化**
 - 小児医薬品開発における患者・患者家族参画の推進
 - 小児医薬品開発ネットワーク支援事業などの枠組みを活用し、企業・アカデミア・規制当局の三者連携を促進
- **小児医薬品の承認審査に必要なエビデンスに関する当局のスタンス共有**
 - 柔軟な申請パッケージに関する規制当局の考え方を、Early considerationなどを通じて、明確かつ具体的に発信
 - 小児適応承認を取得した医薬品に対するPMDAの審査の重要な判断ポイントを整理し、業界全体で活用できる仕組みを構築（例：小児医薬品開発ワークショップの開催）



カプセル君

製薬協 医薬品評価委員会

@iyakuhinhyouka

フォローする

PMDA 小児用医薬品シンポジウム: 米国バイオ医薬品企業の立場からの見解

2025年8月27日

Adam Levy M.D.: Executive Director, Head, Pediatric Center of Excellence

Angela Davies M.D.: Senior Managing Executive Officer, Vice President, R&D Head, Japan

ブリistol マイヤーズ スクイブについて

私たちは、伝統ある大手製薬企業としての事業規模とバイオテクノロジー企業としての敏捷性を兼ね備えた、世界をリードするバイオファーマ企業です。世界中の42カ国に展開し、3万人を超える社員が共通の使命のもとに結集しています。

ミッション 深刻な病気を抱える患者さんを助けるための革新的な医薬品を開発し、提供する

ビジョン 世界のリーディングバイオファーマ企業となり、サイエンスを通じて患者さんの人生に違いをもたらす

会社概要

ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社

- 会社名：ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社
- 代表取締役社長：勝間 英仁
- 設立年月：1960年6月1日
- 本社：東京都千代田区大手町
- 拠点：愛知工場
- 事業内容：医薬品の輸入、製造、販売

ブリistol マイヤーズ スクイブ 米国本社

- 最高経営責任者：クリス・バーナー（Chris Boerner, PhD）
- 本社：ニュージャージー州プリンストン
- 事業内容：バイオファーマ

戦略的重点領域



固形がん



血液疾患



心血管系疾患



免疫系疾患



神経系疾患

リサーチ・プラットフォーム

細胞治療

タンパク質
分解誘導

放射性
医薬品療法

抗体薬物
複合体

生物製剤

ミラモレキュール

ドラッグデリバ
リー技術

本日の発表内容

発表者：Adam Levy

1. はじめに～小児開発の基本方針
2. グローバルにおける小児開発要件とインセンティブ
 - 規制文書が開発に与える影響
3. 最近のFDA動向の小児用医薬品開発への影響
4. BMSグローバル小児開発チームの体制と現行アプローチ

発表者：Angela Davies

5. 日本における小児開発の障壁と課題
6. これらの障壁や課題に対するBMS Japanの取り組み
7. 複雑さ・障壁・課題の解消に向けたPMDA・厚生労働省への期待

小児開発の一般原則

医薬品規制調和国際会議（ICH）による小児集団における医薬品の臨床試験ガイダンス

- 小児患者には、小児のために適切に評価された医薬品が用いられるべきである
- 小児での使用が見込まれる場合、小児集団を医薬品の開発計画に組み入れるべきである
- 小児開発は成人試験や成人薬剤の供給を遅らせてはならない
- 製薬企業、規制当局、医療専門家、社会全体が共同で責任を担う
- ❖ **効率的な小児用医薬品開発と小児への安全で有効な薬の迅速な提供には、共通の科学的アプローチが不可欠（E11補遺R1）**
- ❖ **不要な小児試験を減らし、小児用医薬品へのグローバルな早期アクセスを推進（E11A 小児外挿）**

グローバルにおける小児開発の規制とインセンティブ： -規制関連文書が開発に与える影響

アプローチ A

規制

インセンティブ

別々だが並行した規制プロセスおよび個別の書類

アプローチ B

規制
&
インセンティブ

同じ規制プロセスおよび同一書類
で実施

両方のアプローチに共通して重要なのは、成果ではなく「**研究開発そのもの**」が評価され**インセンティブの対象となる**点であり、試験結果が良好でなくても、または新たな適応症の取得に至らなくても、インセンティブを得ることが可能

PSP (Pediatric Study Plan) とPIP (Pediatric Investigation Plan) の違いから生じる課題と機会

課題

- PIPとPSPの文書は、記載量や詳細さのレベル感に違いがありうる
 - 多くのセクションがほぼ同一にもかかわらず、規定文書に違いがあり、煩わしい
- **地域間で小児開発計画を調整・統一**するには数か月から場合によっては数年かかり、開発が大幅に遅延する恐れがある

機会

- 複数の小児関連フォーラムで示唆されているように、**各地域での小児研究開発計画をより良く調和**することは大きな機会となる
- 計画の提出、審査、修正のタイムラインを地域間で同じように進められるようにすることも重要

沈黙を打ち破る視点：小児用医薬品開発における課題と機会

Pediatric RESEARCH

- 小児用医薬品開発は、資金不足、倫理的懸念、**複雑な規制の枠組み**など、重大な課題に直面している
- 特に重要な課題としては、十分な啓発活動の不足、**規制上の障壁、経済的なインセンティブ不足**が挙げられる
- これらに対する解決策としては、**革新的な試験デザインの活用**、リアルワールドデータの利用、官民連携の推進などが考えられる



Source: Singh, K., Franson, T., McCune, S. *et al.* Breaking the silence: challenges and opportunities in pediatric drug development. *Pediatr Res* (2025). <https://doi.org/10.1038/s41390-025-03923-3>

最近のFDA動向が小児用医薬品開発へ及ぼす影響

- **行政とリーダーシップの変更に伴い想定される影響**
 - その影響がどのようなものであるか、また広範な変更となるのか、または特定の患者集団や治療に限定されるのかは不明
 - 審査における申請担当部門間での一貫性と、それぞれの申請案件間での一貫性が非常に重要
- **FDAに関する他の考慮事項：**
 - 「Written Request（書面による要請）」 – PREA (Pediatric Research Equity Act) 対象のみの試験にも発行されるかどうか
 - 合意した「Written Request」の要件が時間経過とともに変更される可能性があることへの懸念
 - これによって、小児における薬剤について製薬企業が示すべき内容が変わる可能性
 - その結果、本来は「Written Request」をもとに試験を計画・実施すれば、インセンティブを得られるはずが、途中で条件が変わることで、結果的にインセンティブを得られなくなる場合がある
- FDAの問題ではないが、NIHによる米国外施設との共同研究に関するルールは重要な検討事項

BMSグローバルにおける小児開発組織構成

Pediatric Global Regulatory Team (PGRT)

PGRTは、BMSが小児患者のニーズをよりの確に満たし、BMSのビジネス目標を達成し、小児に関する規制上の義務の遂行を支援する

PGRTはBMSの全ポートフォリオにわたり、以下の方法で規制および開発のリーダーシップを発揮

- 小児医薬品に関する規制の知識を深め、共有すること
- 多部門と協力し、小児領域の意思決定を方向付け、実現し、さらに向上させること

Pediatric Center of Excellence (PedCoE)

ミッション:

小児領域をBMS医薬品の創薬・開発・提供に組み込み、すべての患者が重篤な疾患を克服できるよう支援すること

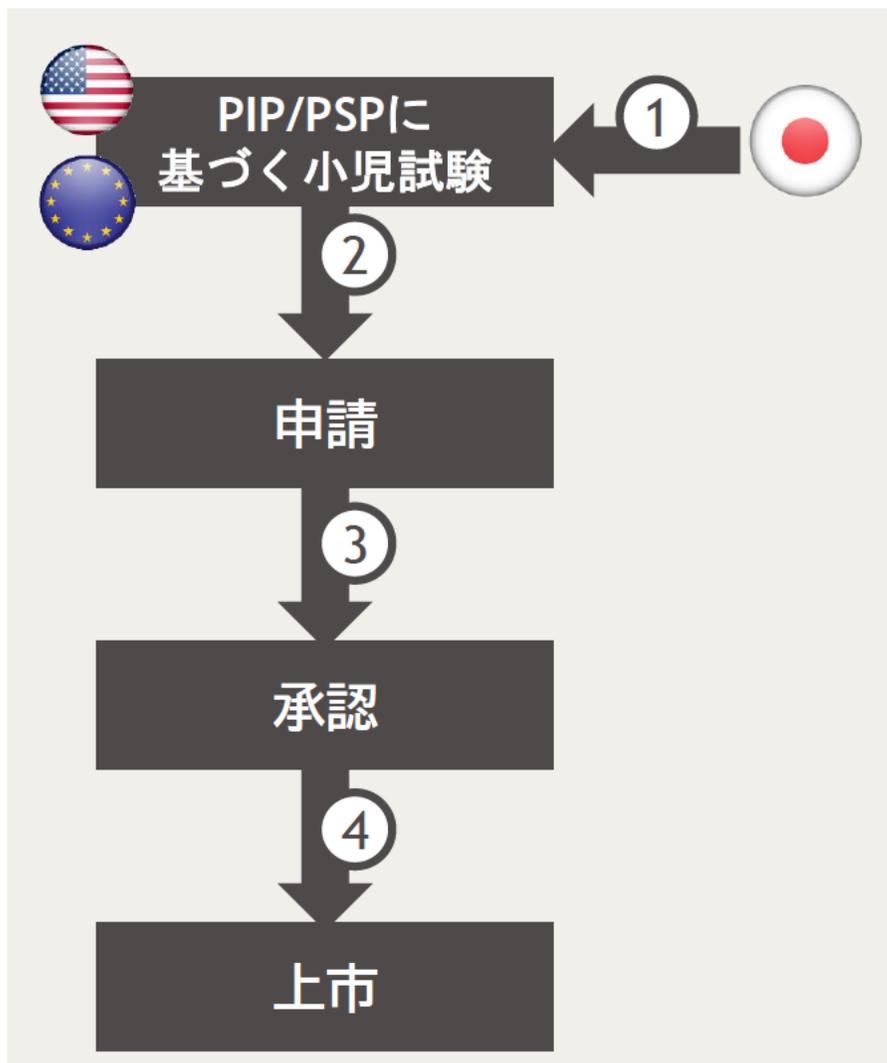
成果:

- 各開発品の小児担当のサブチームを共同でリードし、グローバル開発に小児領域を組み込む
- 規制当局向け文書、開発コンセプト、プロトコルに小児専門知識を提供する
- 小児関係の外部関係者との連携を行う

小児開発におけるBMSグローバル戦略のポイント

- 対象となる疾患／適応は小児にも存在するか？
 - 作用機序は小児疾患に対して有効性や意義が期待できるか？
 - 対象となる患者層は？小児計画が適用できない特定の年齢サブグループはあるか？
 - 成人用製剤は小児にも適しているか？小児用製剤の開発は必要か？
 - 小児の一部を成人の臨床試験に組み入れることは可能か？年長児から順に段階的に実施する必要があるか？
 - 一部の臨床エビデンスを成人から小児へ外挿できるか？
- 規制当局の要件は統一的なアプローチで対応可能か？特定の地域ごとの追加対応が必要な事項はあるか？
 - PIP/PSP要件はBMS主導試験で対応すべきか、それともISR（医師主導試験）とすべきか？
（例：当社の多くのPIP/PSP要件に基づく小児がん試験はISRである）

医薬品開発環境の変化によりBMS Japanの小児領域での取り組みが推進される一方、重要な課題が明らかに



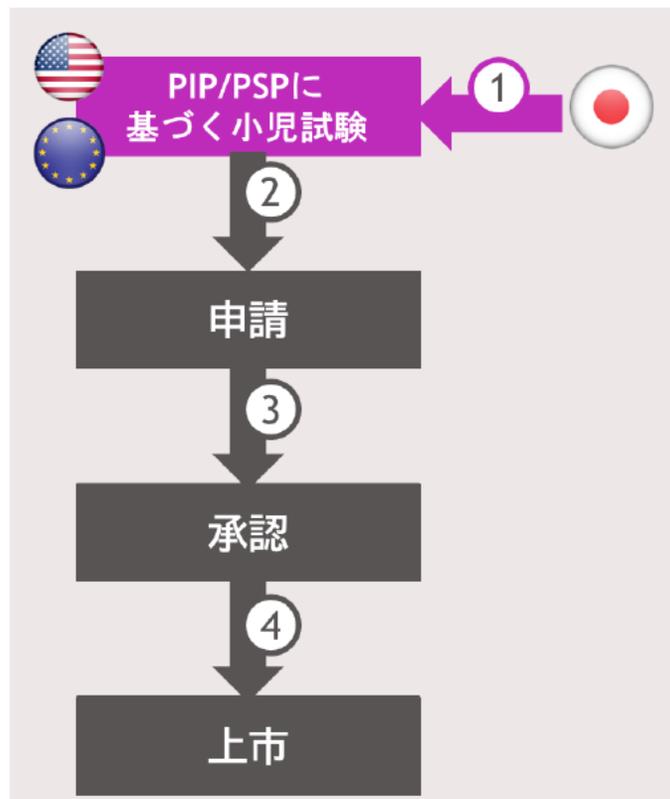
- 環境変化がBMS Japanの小児医薬品開発を後押ししている。例えば：

- 社内での戦略的な議論や、グローバル小児計画への日本からの早期参加
- 一部プロジェクトでの日本申請に向けたPMDAとの前向きな協議

- このような進展はあるものの、**以下4つの重要な課題**が左図のそれぞれの段階に依然として残っている

- ① 試験参加 ② 試験実施 ③ 審査 ④ インセンティブ

① PIP/PSPに基づく小児試験への参加における障壁



・ 日本からの医師主導治験 (ISRs*) 参加における障壁

- グローバルの医師主導研究組織と日本の医療機関との連携枠組みが十分に確立されていない
- 現行の体制では、日本のISRへの参加は個別研究者ベースに限定される
- ISRsは実臨床での適用性を重視する一方、日本では薬事申請・申請にたえる品質での企業スポンサー発のエビデンスが求められる
- ISRsでは本邦における未承認薬や適応外薬の併用が多く含まれており、日本で同一レジメンの使用が制限される
- 日本をグローバルISRに組み込むには追加のリソースが必要

・ 企業主導のPIP/PSPに基づく試験への参加決断の障壁

- 企業主導型PIP/PSPに基づく試験への参加障壁は比較的少ない
- ただし、PIP/PSPが確定するまで実現可能性、費用、およびインセンティブが不確定なため、事業判断が難しい

② 日本における試験実施の課題



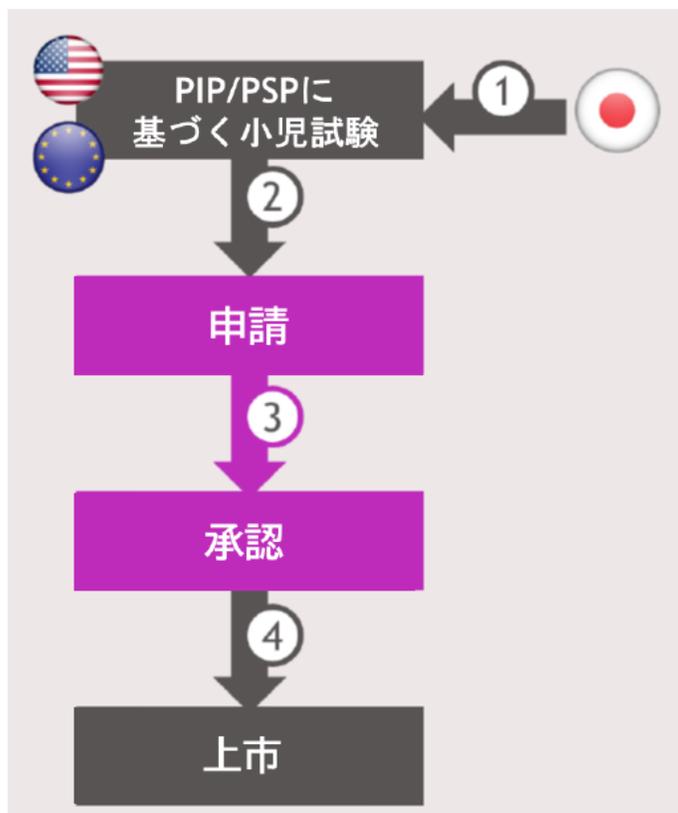
- “成人申請前”という、早期での参加決定は難しい場合が多く、インセンティブの確保が妨げられる

- 日本の参加可否は米国プロトコル確定後に判断される（成人承認時にPMRとしてコミット、承認後にプロトコル提出）
- 低年齢小児コホートは年齢ごとに段階的に開発が進められるため、計画策定が遅れる（EUは成人申請前、米国は成人承認後に計画）

- 患者組み入れ時の障壁

- 日本における全ての年齢層、特に新生児や乳児の小児症例の組み入れは、重大な障壁となり得る

③小児JNDAにおける未解決の課題／論点



• 規制当局の受け入れ可否の予測性の低さが小児開発の意思決定に影響

- 著しく組み入れ困難な希少疾患やアンメットニーズが高い集団に対する規制上の柔軟性の検討
 - 予定する日本人症例数を達成できなかった場合、規制当局はどのように対処するのか？
 - 日本人小児症例が0～1例のみの場合でも申請は認められるのか？
 - 日本人小児データが全くない場合でも、重大なアンメットニーズのあるケースでは申請が考慮できる可能性はあるか？
 - PMDAが新設した「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」とのより深い科学的対話により、小児医薬品開発の成功確度、予見性、スピードの向上が期待できるか？

④投資判断に不可欠なインセンティブの明確化



- **ISRでのインセンティブ適用の可否**

- ISRを用いた申請の場合、再審査期間は延長されるのか？

- **適応ごとのインセンティブの扱い**

- 成人と異なる適応症（がん腫など）で開発した場合のインセンティブ（薬価の小児加算や再審査期間延長など）の取り扱いが明確ではない

日本における小児開発推進に向けたBMS Japanの取り組み

BMSグローバルとBMS Japan間の社内連携の強化

- 日本の薬価制度の変化とグローバルバリューへの貢献についての発信
- 成人EOP2前からのグローバル小児開発計画への日本の早期参画
- プログラム横断的なグローバル内の小児医薬品開発専門組織（PedCoE*）との連携推進

アカデミアや外部組織との協業の拡大

- 治験実施可能な施設のマッピング
- 優先事項に沿った研究目的の共同策定
- 「小児医薬品開発ネットワーク支援事業」との連携

小児開発

BMS Japanの社内取り組みを加速

- 小児用医薬品の薬事規制・薬価セミナー開催
- 小児試験実現可能性評価ツールキットの作成・運用
- 小児外挿事例についての勉強会

PMDA/厚労省との戦略的パートナーシップ推進

- 本フォーラムを通じた相互理解の促進（次スライド参照）

複雑性・障壁・課題解決のためにPMDAおよび厚労省に期待すること

日本の規制要件とPIP/PSPのハーモナイゼーションにより複雑化を解消し、日本における小児開発推進を目指して

インセンティブの適格要件の 明確化

- グローバル組織に対し、日本がPIP/PSPに基づく試験へ参加する合理性を説明するため、インセンティブ取得に必要な条件を明確化し、投資判断の予見性向上を可能とすること

治験アクセスギャップの解消： 日本におけるISR導入の推進

- 日本独自の治験フレームワークにより、ISRの場合、特にオンコロジー領域でアクセス遅延が生じていることがそもそもの課題であることへの理解
- グローバルな医師主導小児試験のインフラ構築と、日本からの試験参加支援
- グローバル事例を参考に、日本においても薬事承認なしでもISRによるガイドライン推奨治療が利用可能となる道筋の構築

小児臨床データパッケージの 柔軟性促進

- 医療上の必要性が高い小児疾患において、日本人データなし申請も含め、小児用医薬品のより早期の実用化を可能とする申請データパッケージの柔軟性促進

ありがとうございました
Thank you

PMDA Pediatric Drug Development Symposium:

US-based biopharmaceutical company Perspectives

Aug. 27th , 2025

Adam Levy M.D.: Executive Director, Head, Pediatric Center of Excellence

Angela Davies M.D.: Senior Managing Executive Officer, Vice President, R&D Head, Japan

Agenda



Presented by Adam Levy

1. Introduction and Guiding Principles
2. Pediatric Requirements and Incentives at Global level
 - How regulatory documents impact development
3. Have recent FDA changes impacted pediatric drug development?
4. BMS Global Pediatric Development structure and current approach



Presented by Angela Davies

5. Barriers and issues in pediatric development in Japan
6. BMSKK Actions to Advance Pediatric Development in Japan?
7. Opportunities for PMDA and MHLW to address complexities, barriers and issues

Pediatric Research General Principles

International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use (ICH) guideline on clinical investigation of medicinal products in the pediatric population

- Pediatric patients should be given medicines that have been properly evaluated for their use in the intended population
- Product development programs should include pediatric studies when pediatric use is anticipated
- Pediatric development should not delay adult studies nor adult drug availability
- Shared responsibility among companies, regulatory authorities, health professionals and society as a whole
- ❖ *A common scientific approach* is at the cornerstone of efficient pediatric drug development and timely delivery of safe and effective medicines for children (E11 addendum R1)
- ❖ Reduced exposure of pediatric populations to unnecessary clinical trials and more timely access to pediatric medicines globally (E11a on pediatric extrapolation)

Pediatric Requirements and Incentives at Global level: How regulatory documents impact development

Approach A

Requirement

Incentive

Separate but parallel regulatory processes with separate documents

Approach B

Requirement
&
Incentive

Unified in same regulatory process with same document

Importantly in both approaches **it is the research that is rewarded** not the outcome, meaning studies to do not have to be positive or lead to a new indication, to benefit from an incentive

Challenges and Opportunities Arising from Pediatric Study Plan (PSP) and Paediatric Investigation Plan (PIP) Differences

Challenges

- Quantitative content and level of detail of PIP vs PSP documents may be different
 - Document differences are cumbersome, but many sections are largely identical.
- Time to align across regions can be months-years, significantly delaying development

Opportunities

- As suggested at multiple pediatric forums, **better align development and research plans** across regions
- Better synchronize timelines for submissions, reviews and modifications across regions

Breaking the Silence: Challenges and Opportunities in Pediatric Drug Development

Pediatric RESEARCH

- Pediatric drug development faces significant challenges, including underfunding, ethical concerns, and **complex regulatory frameworks**.
- Most important issues include the absence of robust advocacy, **regulatory hurdles**, and **economic disincentives**.
- Potential solutions involve leveraging **innovative trial designs**, the use of real-world data, and public-private partnerships.



Source: Singh, K., Franson, T., McCune, S. *et al.* Breaking the silence: challenges and opportunities in pediatric drug development. *Pediatr Res* (2025).
<https://doi.org/10.1038/s41390-025-03923-3>

Have recent FDA changes impacted pediatric drug development?

- Changes in administration and leadership are expected to have impact
 - Unclear what impact will be and if this will be broad changes or more focused on specific patient populations and treatments
 - Consistency in reviews among teams and across submissions is vital
- Other FDA considerations:
 - “Written Requests” - whether they will be issued for PREA-only studies
 - Possible concern that agreed “Written Request” requirements may evolve over time
 - Thereby changing what industry sponsors must demonstrate for a drug in children
 - Creates challenges for planning studies, and unintentionally create a disincentive to pursue a “Written Request”
- While not an FDA issue, NIH rules about ex-US sites collaboration are important considerations

BMS Global Pediatric Development: Structure

Pediatric Global Regulatory Team (PGRT)

PGRT enables BMS to better meet the needs of pediatric patients, address BMS' business objectives, and fulfill our pediatric regulatory obligations.

PGRT Deliverables across the BMS:

- Maintaining, expanding, and communicating pediatric regulatory knowledge.
- Partnering to guide, enable, and improve asset team pediatric decision-making.

Pediatric Center of Excellence (PedCoE)

Our Mission:

To embed pediatrics into the discovery, development and delivery of BMS medicines to help all patients prevail over serious disease.

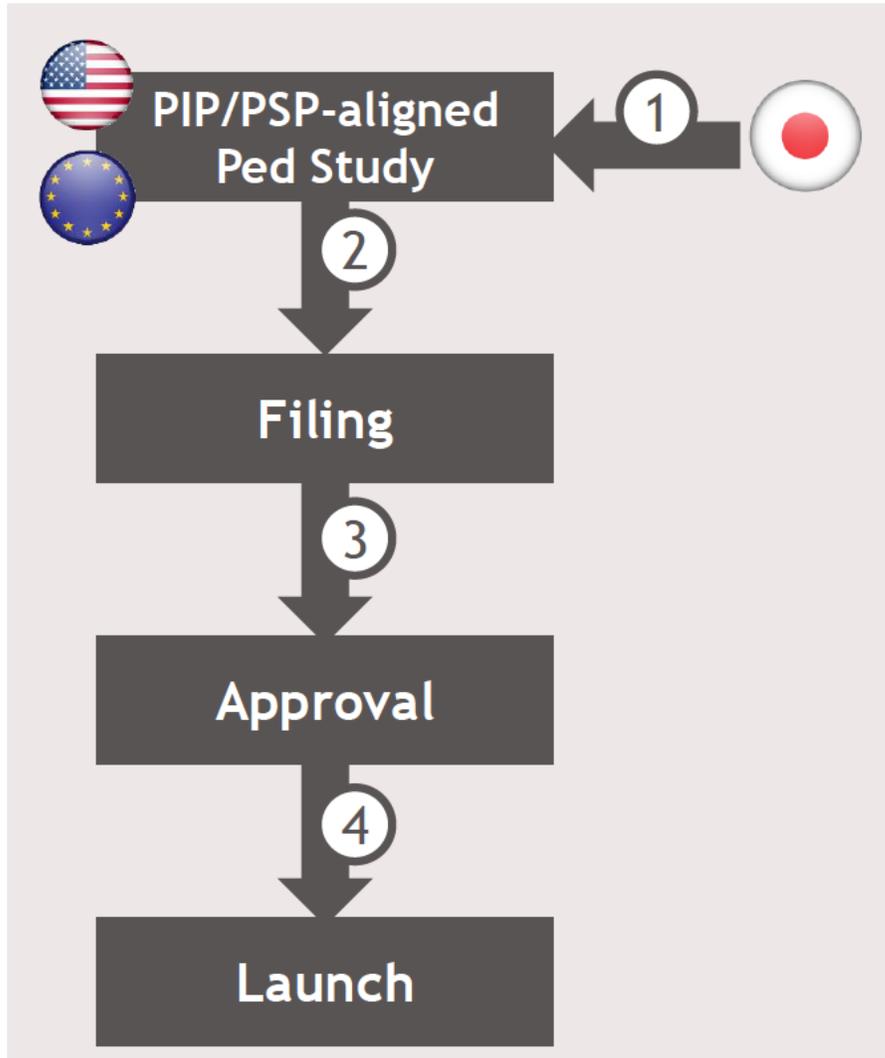
PedCoE Deliverables:

- Co-lead pediatric sub-teams for each asset to embed pediatrics into global development
- Provide pediatric expertise for health authority documents, concepts, and protocols.
- External engagement with pediatric stakeholders.

BMS Global Pediatric Development: Considerations

- Does the indication/adult condition **exist in children**?
- Is the **Mechanism of Action** relevant to pediatric disease?
- **What is the target population**? Are there specific age subgroups where a pediatric plan is not applicable?
- Is the adult formulation appropriate for pediatrics? **Is a pediatric formulation to be developed**?
- Can part of the pediatric population **be included in adult clinical trials**? Is there a need to stagger clinical investigation (e.g. older age groups first)?
- Can part of the clinical evidence be **extrapolated from adults**?
- Can health authority requirements be met with a **unified approach**? What aspects need to be catered to a specific region?
- Should PIP/PSP requirement be fulfilled with a **BMS-sponsored study or an ISR**? (for example, most of our PIP/PSP required pediatric oncology studies are ISRs).

Evolving drug development landscape has accelerated BMSKK's pediatric initiatives and revealed key challenges

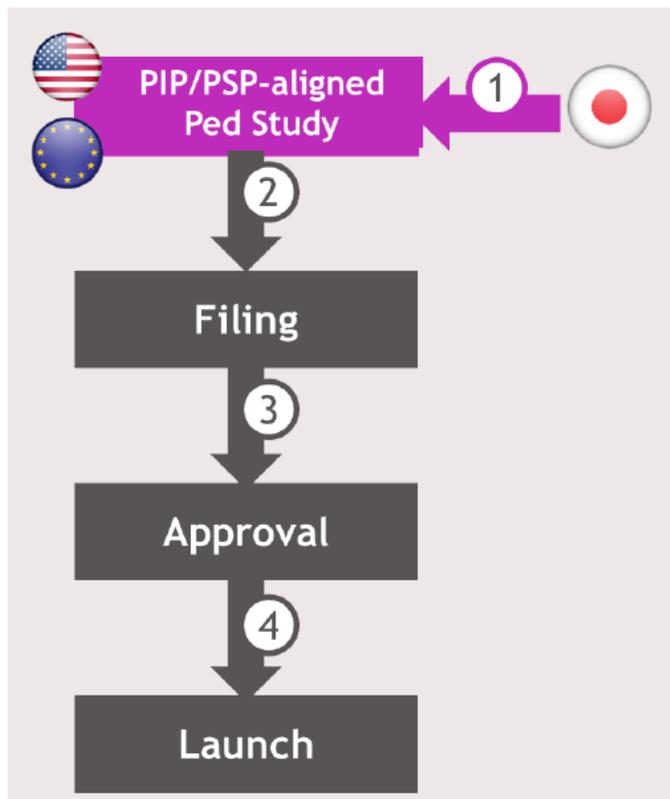


- **BMSKK Pediatric Development progress driven by environment shifts**
 - Internal strategy discussions and earlier Japanese participation in global pediatric planning
 - Proactive PMDA engagement toward Japan submissions underway in some projects

- **Despite this momentum, challenges remain across **four critical phases****

① Participation ② Execution ③ Review ④ Incentive

① Barriers to Participation in PIP/PSP-aligned Study



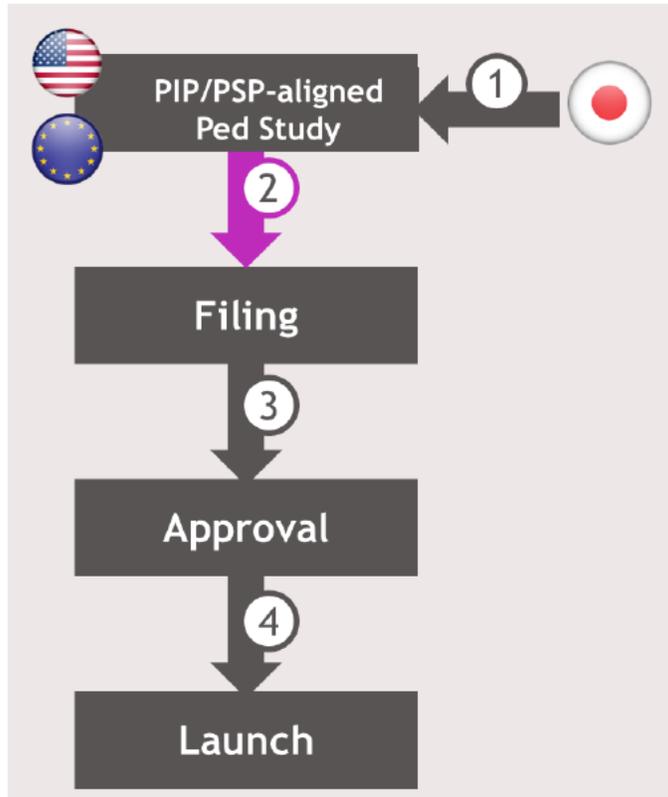
• Barriers for Japan to participate in ISRs*

- Limited established collaboration frameworks between global investigator-led research organizations and Japanese sites
- Japanese engagement in ISRs is restricted to individual investigators participation under current framework
- While ISRs focus on real-world applicability, Japan requires sponsor-generated evidence to meet regulatory thresholds
- ISRs often include unapproved or off-label agents in combination, restricting the same regimen use in Japan
- Additional resources needed to include Japan in Global ISR

• Decision challenges in joining company-led PIP/PSP aligned studies

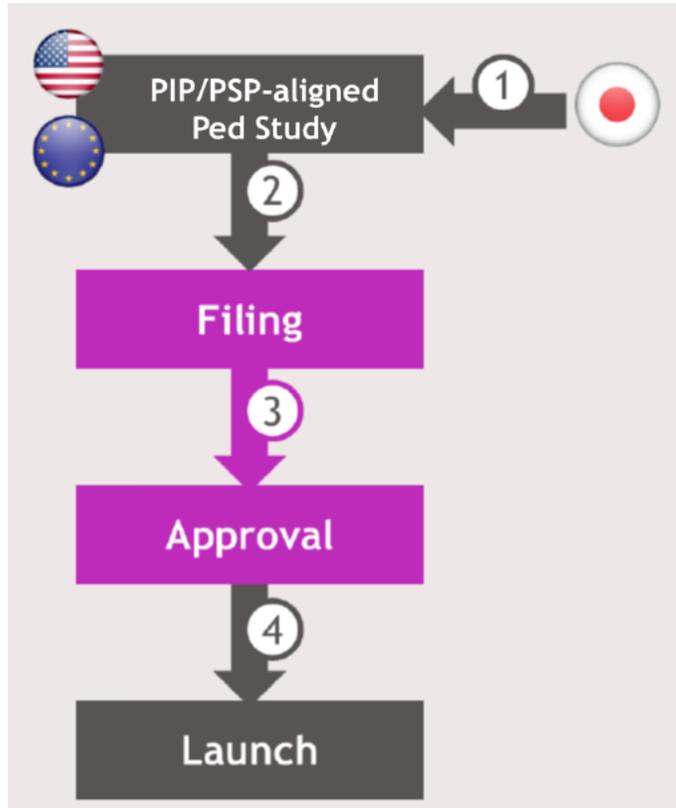
- Fewer barriers to participation in company-led PIP/PSP studies
- However, business assessment is difficult because feasibility, costs and possible incentives remain unpredictable until PIP/PSP is finalized

② Challenges for Japan in Study Execution



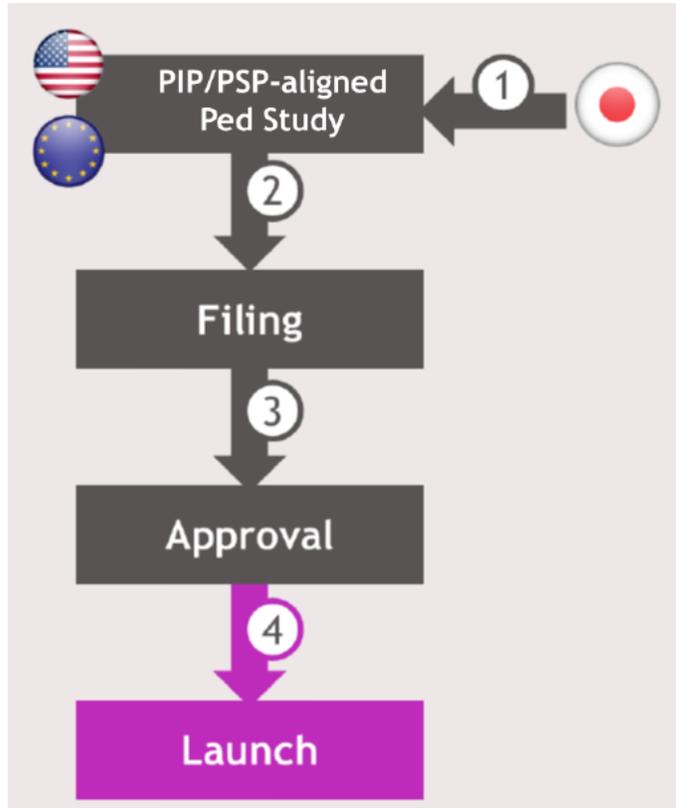
- **Early commitment (prior to adult submission) often unfeasible, hindering incentive access**
 - Japan’s participation eligibility determined after US protocol finalization (Commit at adult approval as PMRs; submit protocol after approval)
 - Younger pediatric cohorts face delayed planning due to age-staggered development (EU: pre-adult filing, US: post-adult approval)
- **Challenges in Recruitment**
 - The requirement for Japanese pediatric cases across all age groups, particularly neonates/infants could become a critical barrier

③ Unsolved Questions/Issues in Pediatric JNDA



- **The unpredictability of HA acceptance may impact decision-making for pediatric development in Japan**
- Exploring regulatory flexibility for rare and high unmet-need populations facing severe recruitment constraints
 - How will regulators handle situations where the targeted number of Japanese cases is not achieved?
 - Is it acceptable to submit an application with only 0 or 1 Japanese pediatric patient?
 - Would applications with no Japanese patient data be considered in cases of critical unmet need?
 - Can in-depth scientific discussions with PMDA through the new “Pediatric Drug Consultation Center” improve success, predictability, and speed in pediatric drug development?

④ Clarifying Incentive is Required for Investment Decisions



- **Incentive applicability with ISR**

- Ambiguity in re-examination period extension incentives when filing via ISR

- **Indication-Specific Incentives**

- Lack of defined linkage between pediatric development incentives (such as Pediatric Drug Price Premium and Extended re-examination period for adult indication) and their application to different adult indications

BMSKK Efforts to Advance Pediatric Development in Japan

Strengthen Internal Partnership Between BMS Global and BMSKK

- Showcase Japan's Pricing Reform & Global Value
- Early Japan engagement in Global Pediatric Planning (Pre-Adult EOP2)
- Advancing collaboration with cross-program pediatric drug development organization (PedCoE)*

Expand Academic & External Partnerships

- Map Japan's Pediatric Trial Capacity & Needs
- Co-create Priority-aligned research objectives
- Building collaboration with Japan Paediatric Society Paediatric Drug Development Network

Pediatric Development

Accelerate BMSKK Internal Initiatives

- Regulatory & Pricing Seminars
- Standardized Pediatric Feasibility Toolkit
- Pediatric Extrapolation Case Studies

Advancing Strategic Partnerships with PMDA/MHLW

- Foster mutual understanding through this forum (Opportunities are indicated in the next slide)



Opportunities for PMDA and MHLW to address complexities, barriers and issues

Harmonization of Japan HA requirements with agreed PIP/PSPs will help resolve complexities and facilitate pediatric development in Japan

Clarifying incentive qualification parameters

- Providing investment predictability to justify Japan participation in PIP/PSP-aligned study to Global Organization

Bridging Access Gaps: Leveraging ISRs Adoption in Japan

- Recognize access delays due to Japan's regulatory requirements for ISR-derived therapies especially in oncology
- Build Global Investigator-Initiated Pediatric Trial Infrastructure and provide support to enable participation in those trials
- Build a pathway for guideline-recommended treatments to be available through ISRs without regulatory approval, aligning Japan with global best practices

Promote flexibility in pediatric clinical data packages

- Awaiting for “New Regulatory Review Standards” to propose new review standards to enable earlier practical use of pediatric medicines, including “No-Japanese-Data” submissions for High-Unmet-Need Pediatric Indications



小児用医薬品シンポジウム

「～充実した小児薬物療法を目指し、
国内外のStakeholderと共に歩む～」

患者会の声から考える 小児がん薬剤開発の未来

2025年8月27日(水)

馬上 祐子(もうえ ゆうこ)

小児脳腫瘍の会
小児がん患者会ネットワーク
(一社)日本希少がん患者会ネットワーク

お問合せ info1@pbtn.jp

◆年間約2,500人の子どもが小児がんと診断
 ◆病気による死亡原因の第1位は小児がん

表1 年齢別子どもの死亡原因

	1位	2位	3位	4位	5位
0歳	先天奇形、変異 及び染色体異常	周産期に特異的 な呼吸器障害等	不慮の事故	乳幼児突然死 症候群	胎児及び新生児 の出血性障害等
1-4歳	先天奇形、変異 及び染色体異常	不慮の事故	悪性新生物	心疾患	肺炎
5-9歳	悪性新生物	不慮の事故	先天奇形、変異 及び染色体異常	心疾患	その他の新生物
10-14歳	自殺	悪性新生物	不慮の事故	先天奇形、変異 及び染色体異常	心疾患
全人口	悪性新生物	心疾患	脳出血疾患	老衰	肺炎

厚生労働省政策統括官「平成29年人口動態統計（2018年）」より作成

小児がんに対する臨床試験数（2020年7月から5年間）

世界：1202試験 → 日本：75 試験

脳腫瘍：世界 55試験 → 日本 4 試験

情報元：GlobalData

検索条件：がん領域、年齢1歳以上18歳以下、Ph1以降（進行中・完了含む）

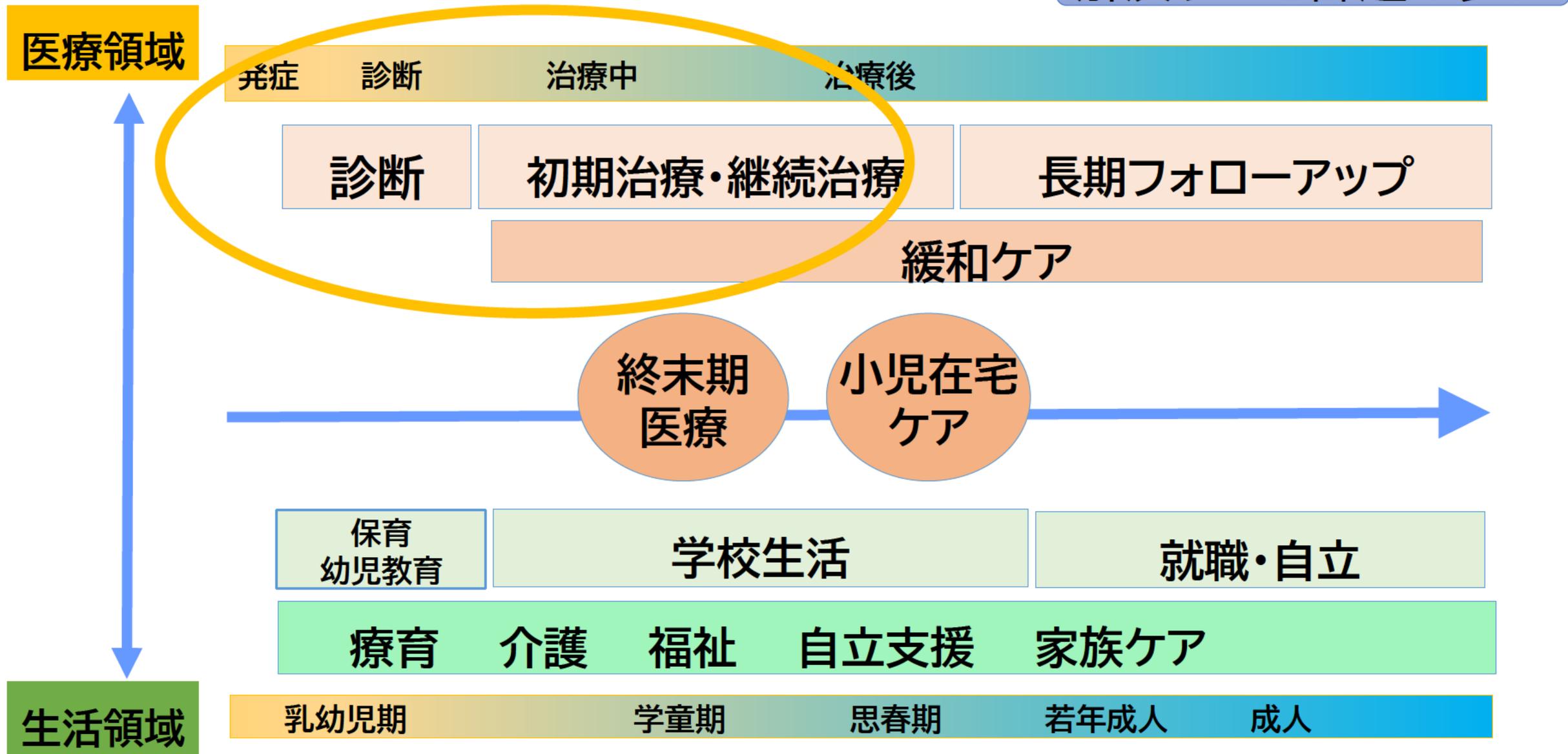
～娘の発症～

- ・ 1997年12月～ 1歳になったばかりの頃
- ・ 吐く、ふらつくなどの症状
当初風邪といわれ診断がなかなかつかず
- ・ 1998年1歳5カ月 MRI上4cmの腫瘍
緊急術後、小脳虫部髄芽腫グレードIVの診断
当時5年生存率は20%との説明
3歳以下の放射線治療は、副作用が大きいため、
大量化学療法等集学的治療を受ける
合併症複数あり



小児がん課題領域

解決すべき課題は多い



小児がん患者会ネットワーク加入57団体



院内親の会24団体

患者家族が、小児がんの治療を行っている病院内で主に活動している親の会です。

地域別親の会12団体

患者家族が、近隣の地域を対象に活動している会です。

疾病別患者会12団体

患者家族が、全国を対象に疾患ごとに活動している会です。

経験者の会2団体

がんを経験した当事者の会です。

遺族会1団体

お子さんを亡くされた親の会です。

その他6団体

小児がん経験者・家族支援のNPO
法人等

がん対策

○2011年～現在 がん対策推進協議会小児がん専門委員会委員 1名
がん対策推進協議会委員5名（ほぼ毎期）

○第4期がん対策推進基本計画 「**小児がん領域における薬剤アクセスの改善**に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討するとともに、小児がん中央機関、小児がん拠点病院等、関係学会及び企業等と連携した**研究開発を推進**する。」

薬剤関連陳情

○2011年12月 ドラッグ・ラグの 解消に向けた制度改革等を求める要望書

○2016年、2022年 薬剤開発、ドラッグロス、ラグについての大臣要望書手交

○その他薬剤関連要望書多数 （次ページに例）



厚生労働大臣への要望・陳情



小児がん治療薬剤の開発促進および、ドラッグ・ラグの解決を求める要望書を38904筆(後程4万筆以上達成)ほどの署名とともに加藤勝信厚生労働大臣(当時)に手交

(小児がん患者会ネットワーク)

2022.10.17

塩崎厚生労働大臣(当時)におよそ2万筆以上をもって治療開発、QOL向上を陳情
(小児脳幹部グリオーマの会・トルコキキョウの会・小児脳幹部グリオーマシンポジウム実行委員会)

2016.10.27



小児がん関連患者会からの要望書等 2023年～2024年

- ・2023年「Naxitamab」未承認薬・適応外薬に要望(神経芽腫の会)
- ・2023年 分子標的薬(BRAF阻害剤およびMEK阻害剤)の難治性組織球症への適応を求める陳情書
(ランゲルハンス細胞組織球症患者会 厚労省/製薬会社宛)
- ・2023年組織球症を「がん遺伝子パネル検査」の対象疾患に加えていただくよう求める要望書
(ランゲルハン細胞組織球症患者会 厚労省宛)
- ・2024年「イリノテカン塩酸塩水和物」未承認薬・適応外薬に要望
(神経芽腫の会と日本小児血液・がん学会/JCCG神経芽腫委員会と協働)
- ・2024年「ジヌツキシマブ・テモゾロミド・イリノテカンの併用療法」の要望書 厚労省に提出(神経芽腫の会)
- ・2024年「拡大治験の制度見直し」と「2016 年要望書実現」に関する提言書
(小児脳幹部グリオーマの会、一般社団法人トルコキキョウの会、DIPG患者家族一同 衆議院議員あて)
- ・2024年 臓器横断的治療薬の迅速な承認への要望
(一般社団法人日本希少がん患者会ネットワーク、小児がん患者会ネットワーク有志 厚労省に提出)

神経芽腫の会

○現在の制度改革中にどのようにすれば一番早く薬剤開発につながるかという情報が必要ー

これまで、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に要望していたが、使えるまでに5, 6年もかかっている。昨今の制度改革の流れを踏まえると、この仕組みを利用することが最適なのか。要望をどこに、どのような形で届ければ、迅速に開発・承認につながるのか。

要望後の進捗状況についても、公表されるのを待つしかない。治療手段の限られた疾患においては、治療計画を立てるうえでも開発や進捗情報は知りたい。

○OPMDAの小児疾病の相談窓口を患者にも広げてほしい。ー患者家族が治験に関して疑問に思えることを相談する場所が必要

○治験の設計に関して患者の意見を取り入れてほしい。ー治験に関しては、これまでプラセボなしだったが、臓器横断的となったときに、プラセボの問題が小児に入ってきてしまうのではと懸念される。小児については、レジストリデータや、既に海外で承認されているデータを活用し、品目ごと柔軟に導入できる仕組みを希望する。

○国際共同治験の参加のタイミングの確保ー世界的に「治験情報を共有できる仕組みはないのか？」小児がんの開発の課題は世界共通と思うと、国際共同治験の機会の確保が重要と考える。これまで日本は国際共同治験に乗り遅れることが多かった。小児がんに関して、FDA EMA PMDAが連携し、治験情報を共有できるような国際的な取組みがあれば、促進につながるのではないか。

LCH(ランゲルハンス細胞組織球症)患者会

ダブラフェニブ、トラメチニブ併用療法の要望(保険適用)についてLCH患者会と先生方と一緒に2023年4月提出。2023年11月大人承認。2024年に入って小児も承認された。それ以前の要望、ベムラフェニブは無理だった。LCH成人とともに動いた。同じ機序 大人の方が難治も多い。先生方も危機感を持っており成人と小児科の先生と患者会で協働で要望した。

○情報を入手したい

BRAF変異陽性患者、LCHなどの組織球症全体以外の同じ遺伝子変異が見られた疾病の方々の同じ治療が可能になっている。

↓

・遺伝子変異共通の治験の情報をいち早く入手したい
・薬剤がどういう疾病にきくのかという情報が知りたい。多くの病気で同じ治療がきくということがわかると、一緒につかえるように患者会も協働することもできる。同じ変異の薬剤効能が有効なものの情報がほしい。

○剤形について成人・小児の同時開発で配慮してほしいードライシロップ、粉にするなど、薬剤を子ども用にするステップがあり、少し大人から遅れての承認となった。砕くことでの抗がん剤への薬剤師の曝露の問題もあった。

○血液疾患と固形腫瘍の壁を取ってほしい -血液疾患だったので固形腫瘍に認められていたBRAF変異のお薬の承認がむずかしかった

○子どもの開発が後になることが問題ー成人との同時開発努力義務を推進してほしい、

小児脳幹部グリオーマの会

○小児がん各疾患の個別状況をしっかり把握してから治験の計画を立ててほしい

小児脳幹部グリオーマに関連した試験の条件である、人間の生命維持に不可欠な多くの機能をつかさどる重要な部位である脳幹の生検の条件が患者、家族の負担となっている。小児脳幹部グリオーマは非常に厳しい疾患であり、脳幹部の生検のダメージが非常に大きく、後遺障害も多い。残された時間の生活の質が著しく低下する。生検は命がけなのに条件になっている。個別事情に即した計画を立ててほしい。条件について柔軟に対応できるよう、患者の声を聴いてもらえるシステムがほしい。

○実験的な新規治療についても患者の意見を聞いてほしい。

特に生存率が低い疾患においては、患者家族にとって一縷の望みが治験である。重篤な疾患については、あらゆる可能性をPMDAにて考慮してほしい。治験を推進するか否について、当事者である患者家族の意見を企画段階から聞いてほしい。

ユーイング肉腫家族の会

○小児がんの治療薬のみならず、副作用を抑える薬の承認をお願いしたい

ユーイング肉腫にとってのエースの薬にアドリアマイシン。副作用に心臓に与えるダメージが大きい。アドリアマイシン心筋症は累積投与量依存性に発現頻度が高くなり、最終投与後から約1年における心機能低下・心不全発症頻度3～26%、心機能低下から心不全を発症した場合に70日以内に50%以上が死亡するとも報告されている。

横紋筋肉腫 家族の会

横紋筋肉腫の8割ほどが使用するキードラッグのアクチノマイシンDの安定供給が危ぶまれている。輸入元が国内にあるが、製造をヨーロッパの企業に委託、そこから再委託の企業があり、そこが売らないとなると全く入ってこないという状況。ほかのキードラッグでも潜在的な課題あり。薬価の問題がからむ。安定供給の問題が露呈してから、患者が要望を出しており、安定供給に危機感を抱いている。

○薬価の課題

米国で何万円として売られている薬が、日本では数百円。企業としてももうからないということでストップさせたと考えられるが、こうしたことへの対策が求められる。

○厚生労働省のモニタリング制度

患者数は少ないが、重要な薬剤に、モニタリング制度を行っているが、アクチノマイシンはCで厚労省では介入しないものとなっている。11月に見直しにて、ランクをあげてもらおう要望をしている。ランクのモニタリングの部署が、危機感をもって世界の薬剤提供状況を把握し、薬がなくなる予想を把握し、対策してほしい。

○海外のジェネリック

日本には入ってこない。世界各国から一番いいジェネリックを探してこなければならぬ。品質がもともとに近いものをテストしている。時間がかかる。

小児がん患者家族から要望 まとめ

- ・有効性・安全性の高い新薬開発の推進
- ・海外既承認薬剤の国内承認の迅速化
- ・治験計画段階からの患者意見の取り入れ
- ・治験、薬剤供給に関する情報提供
- ・必要な薬剤の供給停止・不足（輸入依存のリスク）の解消
- ・企業へのインセンティブ

PMDA・厚労省に期待すること

- ・海外承認薬の柔軟な国内早期承認
- ・治験の企画段階からの患者意見を取り入れる仕組み（患者相談窓口等）
- ・患者家族への最新かつ平易な治験情報提供（国際共同治験含む）
- ・企業へのインセンティブ強化と支援
- ・遺伝子パネル検査の適切な時期と回数の実現
- ・薬事・規制改革の実効性の見える化（患者側には効果がわからない）
- ・患者申し出療養制度の申請資料の利活用
- ・必須薬剤の確保

業界団体に期待すること

- 患者会との対話を進め、小児がんに対する理解を深めてほしい。
- 社内で小児用薬剤開発の提案を受け入れる環境・風土を構築してほしい。
- 成人での開発に遅れることなく小児への開発を進めてほしい。
- グローバル企業は日本を素通りせず、日本を必ず開発対象国に。
- 拡大治験やマスターキープロジェクト、患者申し出療養制度への協力を。
- 薬剤の安定供給の環境を整えてほしい。

医療現場に期待すること

- 患者家族への適切な治験情報提供（全国で公平に届く仕組みの強化）
- 迅速適切な診断の推進（パネル検査の時期、回数なども）
- DCTによる地域格差解消（特に小さなお子さんがある家庭は移動が容易ではない）
- 患者、きょうだい、家族への心理社会的支援
- 国際共同治験に参加するための日本国内のプラットフォーム強化
- 市販後安全性情報の収集協力
- 患者レジストリーデータの構築

患者家族として取り組めること

- 薬事制度のしくみを理解する。
- 説明と同意を含め、治験の構造、治験とは、実験的なものであること等理解し患者・家族・医療者・行政との認識の共有 (expectation alignment)を図る。
- 上記を理解した上で治験の企画段階から患者側の意見を述べる
- 治験の患者リクルートに協力する。
- 治験情報について必要な患者家族に届くよう協働する
- 海外の患者団体との連携を深めて情報共有する
- 国へ要望を伝える
- 必要な資金を集める



例 THE CURESTARTS NOW JAPAN <https://stage.thecurestartsnow.jp/>

データ活用（院内登録とレセプトの連携）への期待

患者数が極端に少ない小児がん等の疾病に対し、院内がん登録データをもとに、レセプト情報と紐付けて治療歴や診療状況を詳細に解析。→ 治験の選択基準に合致した早期患者登録



治験薬の効果評価にあたり、治療患者群を外部対照データとして使用。



新薬の承認申請資料としての対照データとして活用のみならず、適応外使用の公知申請資料としての利用

産官学患者連携による治療開発推進加速化のために

- ・ 厚生労働省・PMDA・企業・医療関係者・患者、その他ステークホルダーによる意見交流の場の創設
- ・ 治療開発に関する協働勉強会開催等

ご清聴ありがとうございました。

小児脳腫瘍の会

<https://www.pbtn.jp/>



小児脳腫瘍のネットワーク

<https://pbtnjapan.com/pbtn>



小児がん患者会ネットワーク

<https://ssj-gan.net/>

