

# こどものがん治療薬開発シンポジウム

明日の治療を創る～小児がん治療薬開発の挑戦～

日時

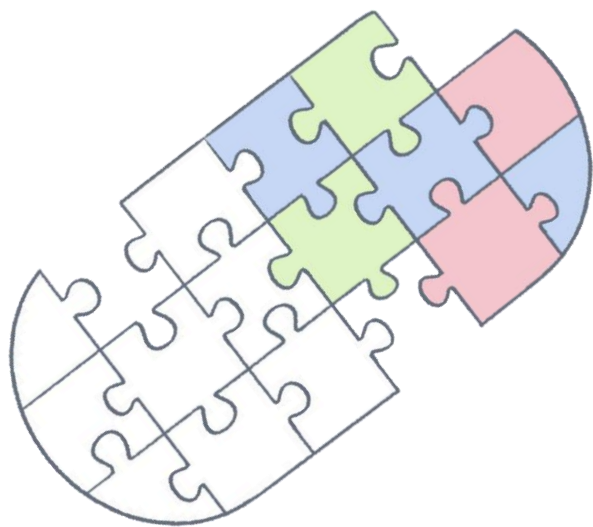
2026年1月31日(土) 14:00～17:00

開催形式

国立成育医療研究センターセミナールーム  
およびWeb配信 (WebEX)



- 【共催】 独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
一般社団法人日本小児血液・がん学会  
国立研究開発法人国立成育医療研究センター  
国立研究開発法人国立がん研究センター  
日本製薬工業協会  
欧州製薬団体連合会  
米国研究製薬工業協会
- 【後援】 公益社団法人日本小児科学会



# 若手のためのTips①



## ① ドラッグラグ・ドラッグロス

- ・ドラッグラグ：海外で承認された薬が、日本で承認されるまでに時間差が生じること
- ・ドラッグロス：海外で承認された薬のうち、日本では現時点で承認を目指した開発がされていない状態

ドラッグロスになっている薬剤には、海外ベンチャー発の医薬品やオーファンドラッグ(希少疾患への医薬品)、小児用医薬品の割合が高いことがわかっている。

(「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会 報告書 参考資料 (令和5年6月9日)」

<https://www.mhlw.go.jp/content/10807000/001106013.pdf>



## ② 小児の薬剤開発の難しさ

- ・小児は臓器機能が未成熟で、成人開発が先行した場合には、小児に適した用法・用量の再設定が必要
- ・小児に適した剤型開発が必要となる場合がある
- ・患者数が少ない

こうした事情により、開発コストに対して採算性を確保しにくい点が開発の大きな障壁となっている。

## ③ 欧米で薬剤開発が先行しやすい理由

欧米では成人医薬品開発時に小児用医薬品開発計画を提出することが法律によって義務化されている。さらに、日本に比べて医師主導治験に公的資金や財団による助成を受けやすいうえに、アカデミア基盤が強い。ベンチャー企業(EBP: Emerging BioPharma)が創薬から早期相試験までを行い、有望な結果が得られた薬剤を大手製薬企業が買収する、あるいはEBPが承認申請を行う、という形式で薬剤が開発される傾向にある。なお、EBPは欧米を中心に広がっており、特に小児がんなどの希少疾患に対する薬剤開発に親和性が高い。こういった要因から欧米で医薬品開発が先行しやすい。

## ④ 承認申請に必要な臨床データ

日本において医薬品の承認申請を行う際には、原則として日本人小児に対する有効性・安全性データや薬物動態データなどが必要である。なお、海外小児のデータや日本人成人のデータを参考に審査が行われることがある。

PMDAのホームページから審査報告書を検索することで、それぞれの薬剤の承認申請の際に、どのようなデータが用いられたかを調べることができる。



または

薬剤名 審査報告書

検索



## 若手のためのTips②

### ⑤条件付き承認制度

重篤な疾患であって有効な治療法が乏しいものの、患者数が少ないために検証的な試験が困難または相当の時間を要する場合などで、市販後に必要な調査や検査等を実施することを条件として、承認が行われることがある。2024年10月に、より積極的に制度を活用できるように通知が発出された。

（「医薬品の条件付き承認の取扱いについて」の一部改正について）（令和6年10月23 日薬生薬審発1023 第2号）



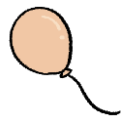
### ⑥特定用途医薬品等指定制度

医療上のニーズが著しく充足されていない用途の医薬品に注目した承認制度であり、「需要が著しく充足されていない用途」を省令で指定（①小児用、②薬剤耐性菌（AMR）用）し、その領域の医薬品について研究開発を促進することを目的とされている。



### ⑦治験エコシステム導入推進事業

日本の治験環境について、実施しにくい側面がある状況のため、産・官・学・患などのステークホルダーが協力し、国内で治験を効率的に実施するための仕組み（治験エコシステム）を早期に導入するために、令和6年度から治験エコシステム導入推進事業が始まった。治験の効率化のための課題と解決策、その優先度などが議論されている。



### ⑧小児用医薬品開発の計画策定の努力義務化（2025年薬機法改正）

小児用医薬品の開発が成人用医薬品に遅れて開発されることが多いため、成人用医薬品の開発する段階で、小児用の開発計画の策定をするよう製薬企業に努力義務が課された。

なお、米国やEUにおいては、成人用医薬品開発時に、それぞれPSP (Pediatric Study Plan)、PIP (Pediatric Investigation Plan)の提出が義務付けられ、遵守すると、販売独占権の延長などのインセンティブが付与される制度がある。

（「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」の一部改正について）（令和6年3月29日付け医薬薬審発0329第1号）

### ⑨PMDAによる小児用医薬品に関連する通知・ガイドラインの情報発信

関連通知・ガイドラインをPMDAウェブサイト上で確認することができる。

<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/standards-development/guidance-guideline/0006.html>

