

申請電子データを活用した解析により得られた結果の概要

2026年6月1日

解析の名称	小児臨床試験に関する申請電子データを活用した行政的取組に係る情報分析
解析の対象品目	<p>令和3～6年度に承認された品目（538品目）のうち、以下の条件に基づき段階的に集計対象を特定した。</p> <p>(1)小児の用法・用量がある、又は用法・用量等から小児にも使用可能な品目（173品目）</p> <p>(2)当該品目のうち小児の被験者を対象とした治験を実施した品目（137品目）</p> <p>(3)さらに承認申請時に申請電子データの提出が確認できた品目（120品目）</p> <p>加えて、CDISC標準非準拠データのみが提出されていた3品目を除外し、最終的に117品目を集計対象とした。</p> <p>集計対象117品目に含まれる小児被験者を対象とした評価資料の治験は265試験であり、このうちCDISC標準準拠データが提出された247試験を、申請電子データに基づく集計・解析の主対象とした。</p>
解析の目的	小児領域の承認品目において、承認された品目及び臨床データパッケージに含まれる治験の特徴を定量的に把握することを目的とした。
解析の概略	<p>【解析用データセットの作成】</p> <p>申請電子データから治験計画及び治験実施状況に関する情報を抽出し、解析用データセットを作成した。</p> <p>また、申請電子データに含まれない申請・承認情報については、PMDAが保有する情報（承認年月日、オーファン指定の有無等）を解析データセットに統合した。</p> <p>【主な集計】</p> <p>1) 小児被験者を含む臨床試験の実施地域 国内のみ／海外のみ／国際共同試験の試験数をATC解剖学的大分類別に集計した</p> <p>2) 小児被験者を組み入れた国際共同治験における、全医療機関と国内医療機関での最初の同意取得日のタイミング差の分布を集計した。</p> <p>2) 「成人と合わせて評価可能な小児（10歳又は12歳以上）」に関する通知（令和2年6月）の発出による影響を評価するため、同一治験に12歳以上の小児と成人の被験者を含む治験数（及び割合）を年度別に集計した。</p> <p>3) オーファン指定品目を対象に、臨床データパッケージにRandomized Controlled Trial (RCT) が含まれるか否かを、ATC分類（第1レベル）別に集計した。</p>

解析結果の概略

【結果 1：小児被験者を含む臨床試験の実施地域】

小児臨床試験を実施地域と ATC 分類で整理したところ、国際共同試験では「抗腫瘍薬・免疫調節薬」が最多であり、その内訳は抗腫瘍薬が 5 試験、免疫抑制薬が 19 試験であった。一方、日本のみの試験では「全身用抗感染薬」が 20 試験で最多、次いで「皮膚科用薬」が 19 試験であった。

【結果 2：国際共同試験における国内同意取得のタイミング】

区分別の試験数は、半年以内 44 試験、半年より大きく 1 年以内は 12 試験、一年より大きく一年半以内は 6 試験、一年半より大きく二年以内は 7 試験、二年より大きい試験は 2 試験であった。

このうち、国内医療機関における最初の同意取得日が試験全体の最初の同意取得日から 1 年以上遅れている試験は合計 15 試験であった。

【結果 3：「成人と合わせて評価可能な小児」を含む試験の推移】

通知発出の影響を評価するため、同一試験に 12 歳以上の小児と成人の被験者を含む試験数（割合）を令和 3 年度以降の経時変化を検討した。、令和 3 年度 (n=49) 30 試験 (61.2%)、令和 4 年度 (n=51) 28 試験 (54.9%)、令和 5 年度 (n=98) 55 試験 (56.1%)、令和 6 年度 (n=49) 35 試験 (71.4%) で、当該割合は、令和 3～6 年度で横ばいの傾向であった。

【結果 4：オーファン指定品目における RCT の有無（ATC 分類別）】

オーファン指定品目では、RCT を含まない臨床データパッケージで承認されている品目（27 品目）が、非指定品目（25 品目）と比較して多い状況が示された。

ATC 分類（第 1 レベル）別では、「抗悪性腫瘍薬、免疫調節薬」のグループにおいて RCT を含まない品目が最多であり（RCT あり 5 品目、RCT なし 11 品目）、そのうち 7 品目が抗悪性腫瘍薬であった。