

# 小児医薬品の開発推進における規制当局の取り組み

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）  
再生医療製品等審査部 審査専門員（臨床担当）  
ワクチン等審査部、新薬審査第4部併任

岡本 圭祐



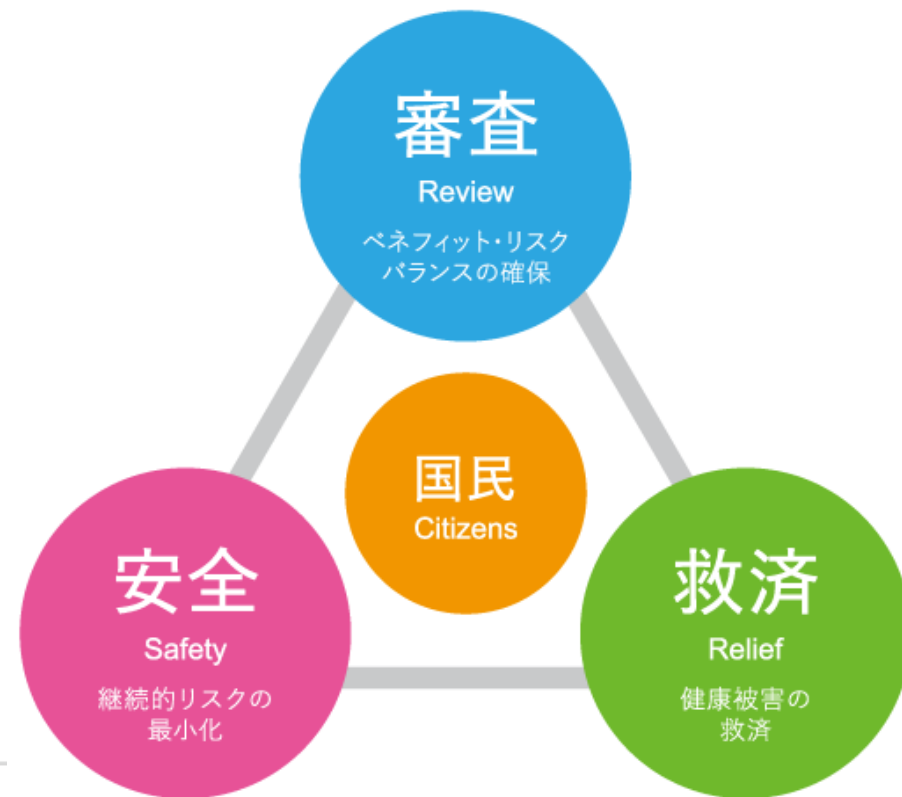
本発表は、発表者の個人的見解に基づくものであり、PMDAの公式見解を示すものではありません。

# PURPOSE

PMDAのパーパス

## 健やかに生きる世界を、ともに、明日へつなぐ

私たち PMDA は、科学と情報を駆使する「知」の技術と、世界と未来を見据え、寄り添い、調和させる「人」の力、審査・安全・救済の「セイフティ・トライアングル」で、誰もが安心でき、一人ひとりが健やかに生き生きと輝く、そんな日常を支える“ライフ・プラットフォーム”として、ともに、「明日のあたりまえ」をつくり続けていきます。



### PMDA Philosophy

PMDAの理念、パーパス&バリューズ、行動基準(倫理規範)をウェブサイトでご紹介しています。

<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/outline/0003.html>



<https://www.pmda.go.jp/files/000219906.pdf>

**PMDA**

健やかに生きる世界を、ともに

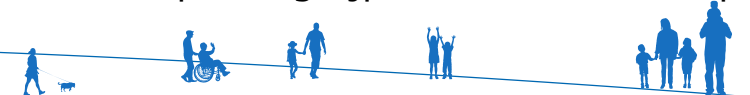
# 審査業務

## 審査の基本的な考え方

### 承認審査における6つのポイント

- ① 実施された試験や提出された資料の信頼性が担保されていること
- ② 適切に計画された臨床試験の結果から、有効性がプラセボよりも優れている等、客観的に有効性があると考えられること
- ③ 得られた臨床試験結果を踏まえて、医薬品等の臨床的意義があると判断できること
- ④ ベネフィットと比較して許容できないリスクが認められていないこと
- ⑤ 品質確保の観点から、一定の有効性および安全性を有する医薬品等を恒常的に供給可能であること
- ⑥ 市販後の安全対策として計画された内容が適切であること

<https://www.pmda.go.jp/files/000219906.pdf>

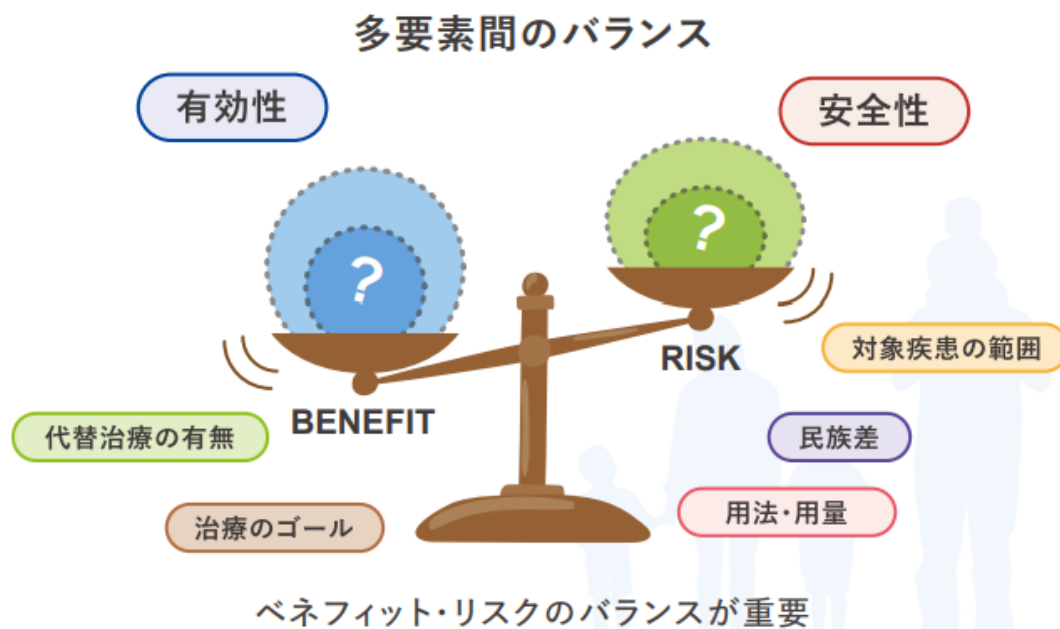


# 審査業務

## 審査の基本的な考え方

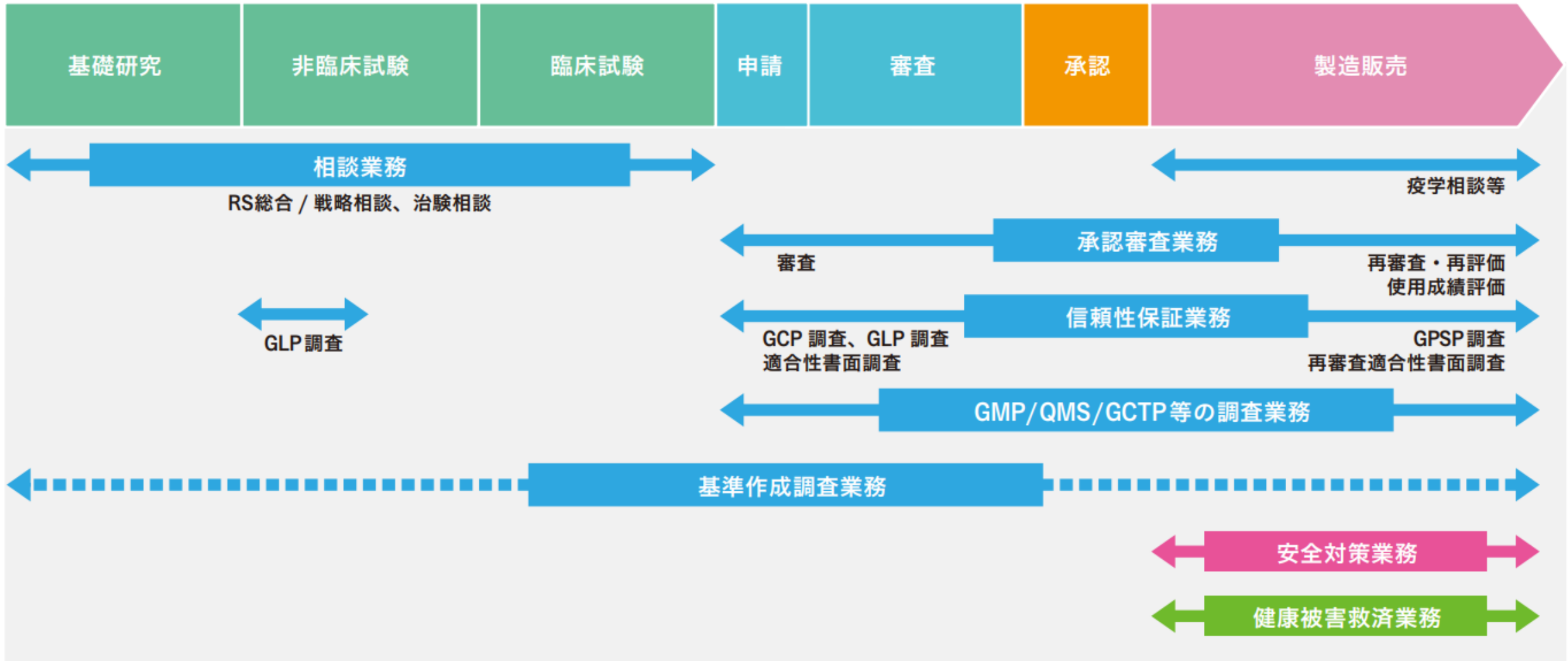
### 承認審査における6つのポイント

- ① 実施された試験や提出された資料の信頼性が担保されていること
- ② 適切に計画された臨床試験の結果から、有効性がプラセボよりも優れている等客観的に有効性があると考えられること
- ③ 得られた臨床試験結果を踏まえて、医薬品等の臨床的意義があると判断できる
- ④ ベネフィットと比較して許容できないリスクが認められていないこと
- ⑤ 品質確保の観点から、一定の有効性および安全性を有する医薬品等を恒常的に供給可能であること
- ⑥ 市販後の安全対策として計画された内容が適切であること

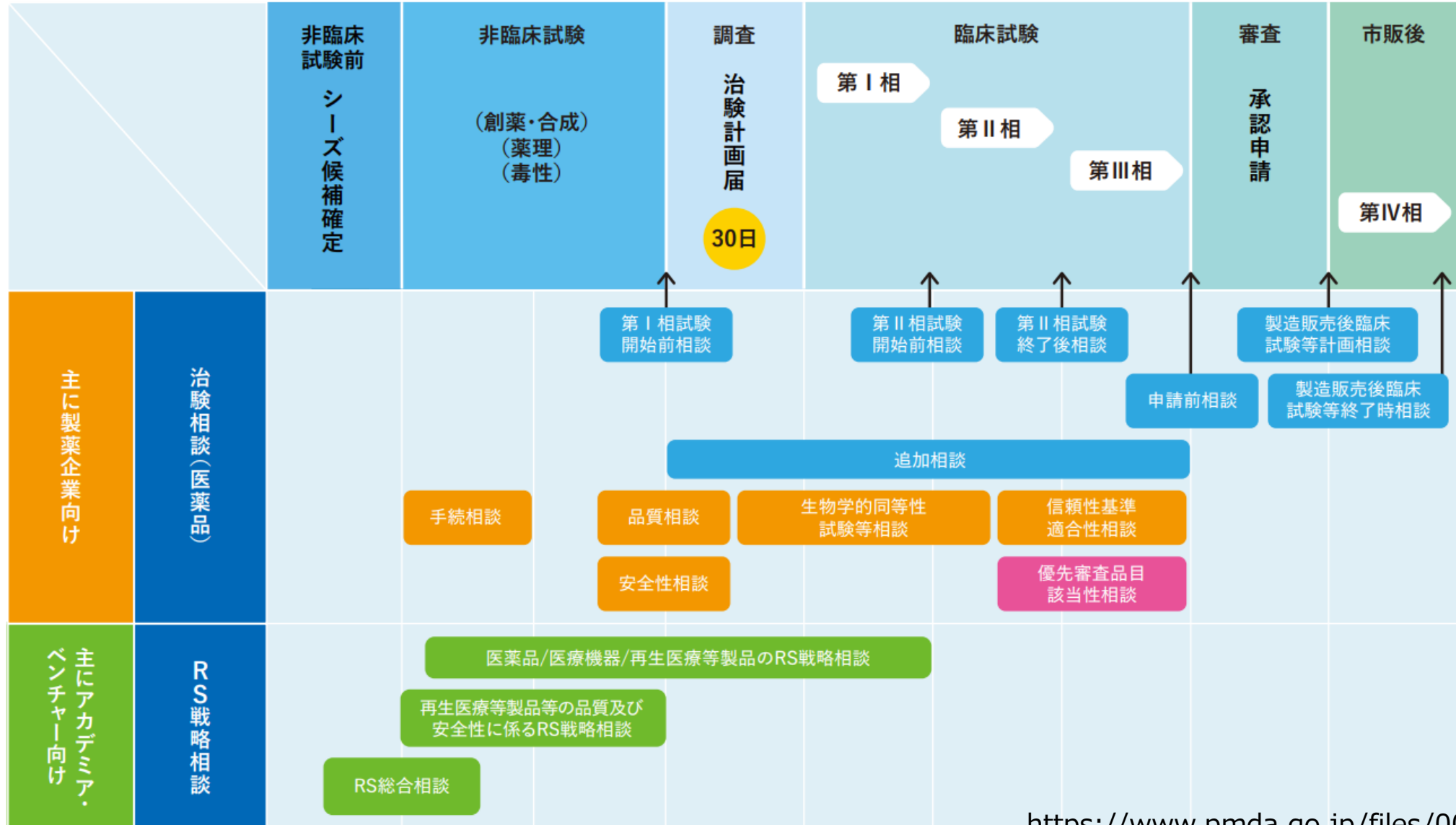


<https://www.pmda.go.jp/files/000219906.pdf>

# 医薬品等が開発から市場に出るまでの流れとPMDAの業務



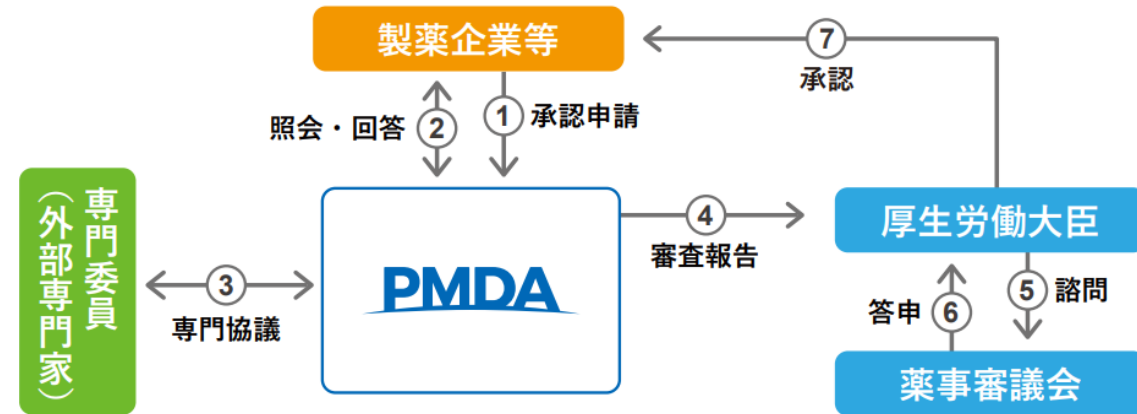
# PMDAが行う主な相談業務



<https://www.pmda.go.jp/files/000219906.pdf>

# 審査等業務におけるチーム体制及び承認の流れ

- ✓ 医薬品等の審査等業務では、薬学、工学、臨床医学、獣医学、理学、生物統計など専門知識を有する審査員で構成される審査チームにより審査を行います。
- ✓ 審査過程には外部専門家との意見交換（専門協議）があり、より専門性を高めています。
- ✓ PMDAは審査内容を取りまとめた審査報告書を作成し、厚生労働大臣に報告します。
- ✓ 厚生労働大臣は、PMDAからの報告を踏まえ、様々な分野の外部専門家で構成された薬事審議会に諮問し、承認の可否についての判断を行います。なお、作成した審査報告書は、透明性を確保する観点から、PMDAのウェブサイトで公開しています。



<https://www.pmda.go.jp/files/000219906.pdf>

# 本日の内容

- ✓ 小児の医薬品開発について
- ✓ 日本における小児用医薬品開発に関連する取組み
- ✓ MID-NET<sup>®</sup>について

# 本日の内容

- ✓ 小児の医薬品開発について
- ✓ 日本における小児用医薬品開発に関連する取組み
- ✓ MID-NET®について

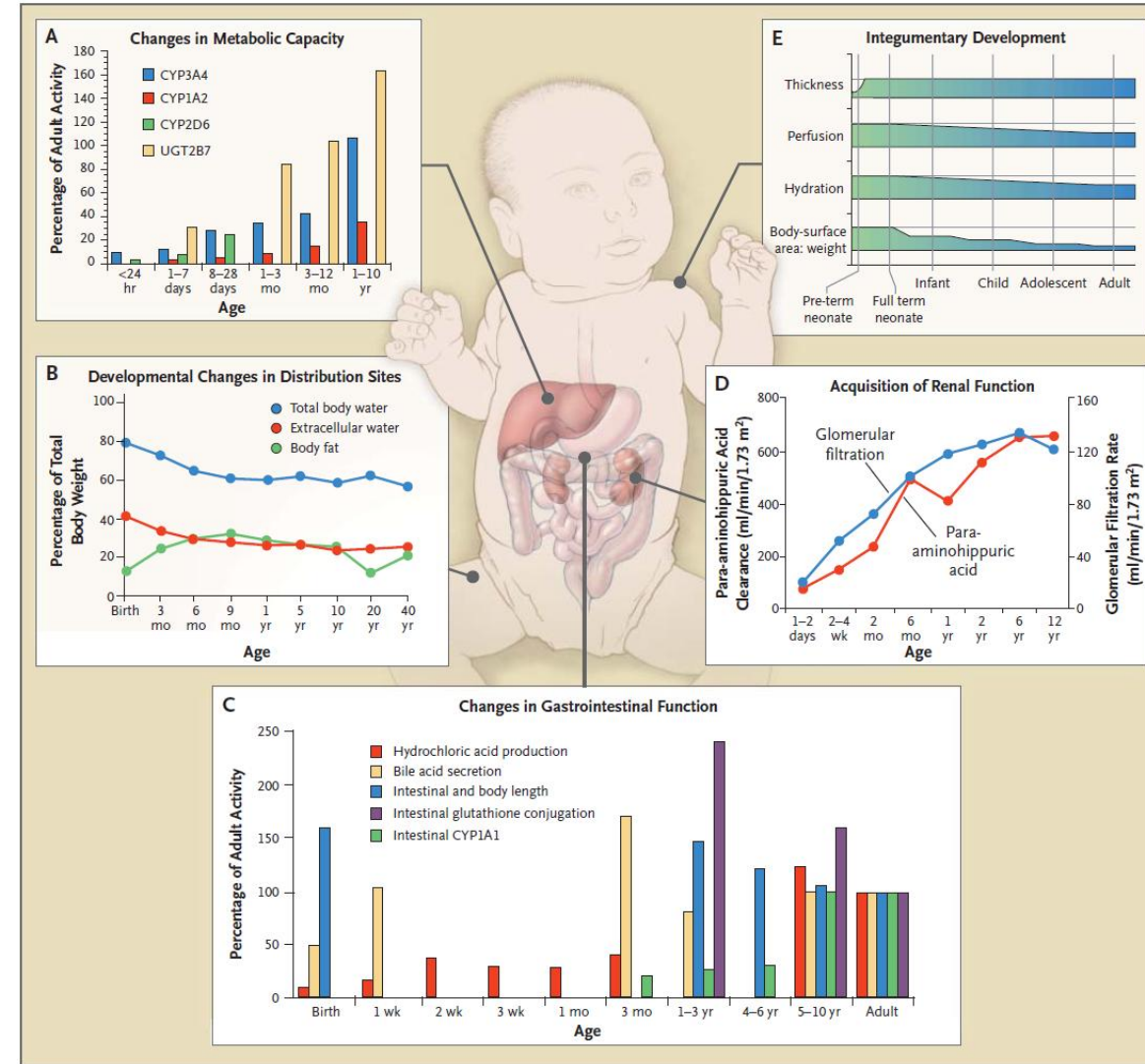


# Children Are Not Little Adults



## <小児医薬品開発の特徴>

- ✓ 年齢や体重、発達段階ごとに、薬物動態や薬力学が異なる可能性がある。
- ✓ 年齢や体重、発達段階に合った適切な剤形の開発が必要である。
- ✓ 臨床試験において、小児の理解度に応じたアセント取得等、細やかな倫理的配慮が必要となる。
- ✓ 対象患者が少ないことが多い。



N Engl J Med. 2003;349(12):1157-67

# ICH E11ガイドライン

## Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population

### 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

(2000年12月 医薬審第1334号通知)

小児用医薬品の臨床試験が適切に実施されることを意図して、小児適応開発のための臨床試験の基本的考え方を示したもの

#### 1. 背景

「現在、医薬品の小児患者のために適切に評価され小児患者に対する適応を持つ医薬品は限られている。小児への使用が想定される医薬品については、小児集団における使用経験の情報の集積を図ることが急務であり、成人適応の開発と並行して小児適応の開発を行うことが重要である。また、成人適応の承認申請中又は既承認の品目について、引き続き小児の用量設定等のための適切な臨床試験（治験、市販後臨床試験）の実施が望まれる。」

# ICH E11ガイドライン

Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population

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

(2000年12月 医薬審第1334号通知)

小児用医薬品の臨床試験が適切に実施されることを意図して、  
小児適応開発のための臨床試験 基本的考え方を示したもの

## 1. 背景

「現在、医薬品の  
つ医薬品は限られ

団における使用経験の情報の集積を図ることが急務であり、成人適応の開発と並行して小児適応の開発を行うことが重要である。また、成人適応の承認申請中又は既承認の品目について、引き続き小児の用量設定等のための適切な臨床試験（治験、市販後臨床試験）の実施が望まれる。」

## ICH E11補遺 (R1) の発出

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  
(2017年12月27日付け 薬生薬審発1227第5号)

の適応を持  
は、小児集

# ICH E11 (R1) ガイドライン 目次

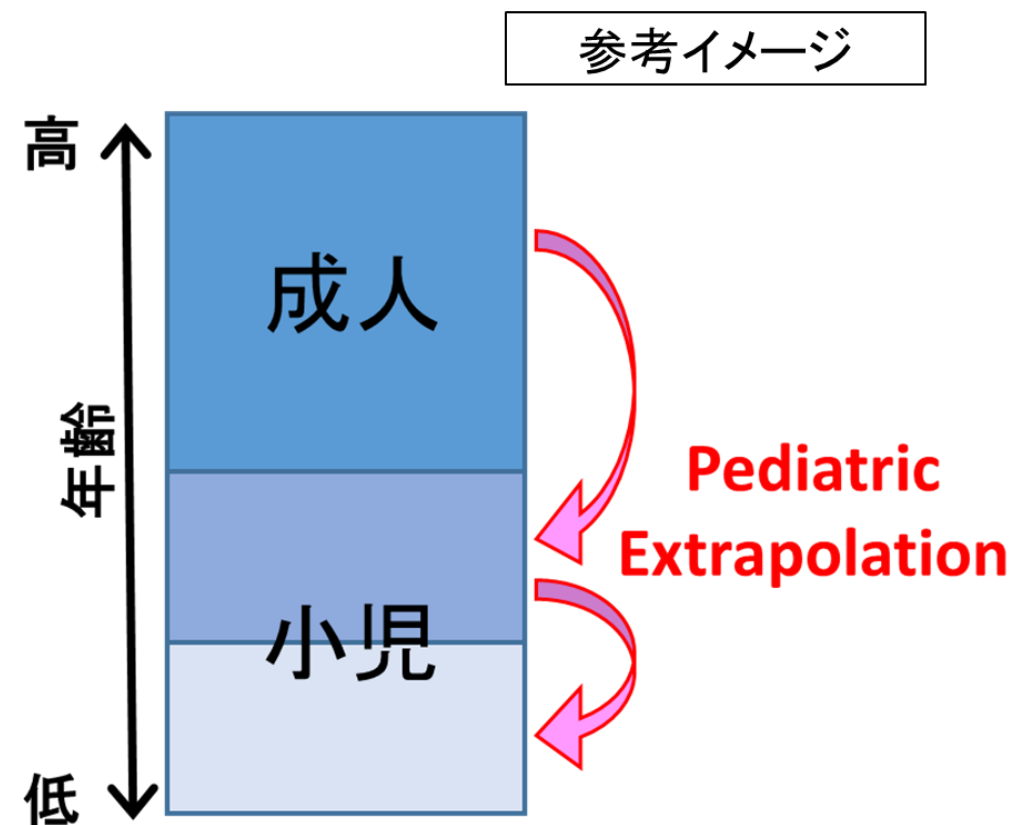
1. 諸言
    - 1.1. ICH E11補遺 (R1) の適用範囲と目的
  2. 倫理的配慮
  3. 小児用医薬品開発プログラムのための科学的アプローチの共通性
  4. 年齢区分と小児サブグループ (新生児を含む)
  5. 小児用医薬品開発最適化へのアプローチ
    - 5.1. 小児用医薬品開発における既存知識の活用
      - 5.1.1. 小児用医薬品開発における外挿の活用
      - 5.1.2. 小児用医薬品開発におけるモデリングとシミュレーションの活用
  6. 小児臨床試験のデザインと実施についての実践的側面
    - 6.1. 実施可能性
    - 6.2. アウトカム評価
    - 6.3. 長期的臨床側面
  7. 小児用製剤
    - 7.1. 投与量と投薬
    - 7.2. 添加剤
    - 7.3. 嗜好性と許容性
    - 7.4. 新生児
  8. 用語集
- 小児用医薬品開発に関する科学的及び倫理的な知識の進歩を考慮。
  - ICH E11の適用範囲を変えるものではない。
  - ICH E11の内容を補完し、かつ、小児医薬品開発に必要な新たな考え方を示すもの。



# 小児用医薬品開発における外挿

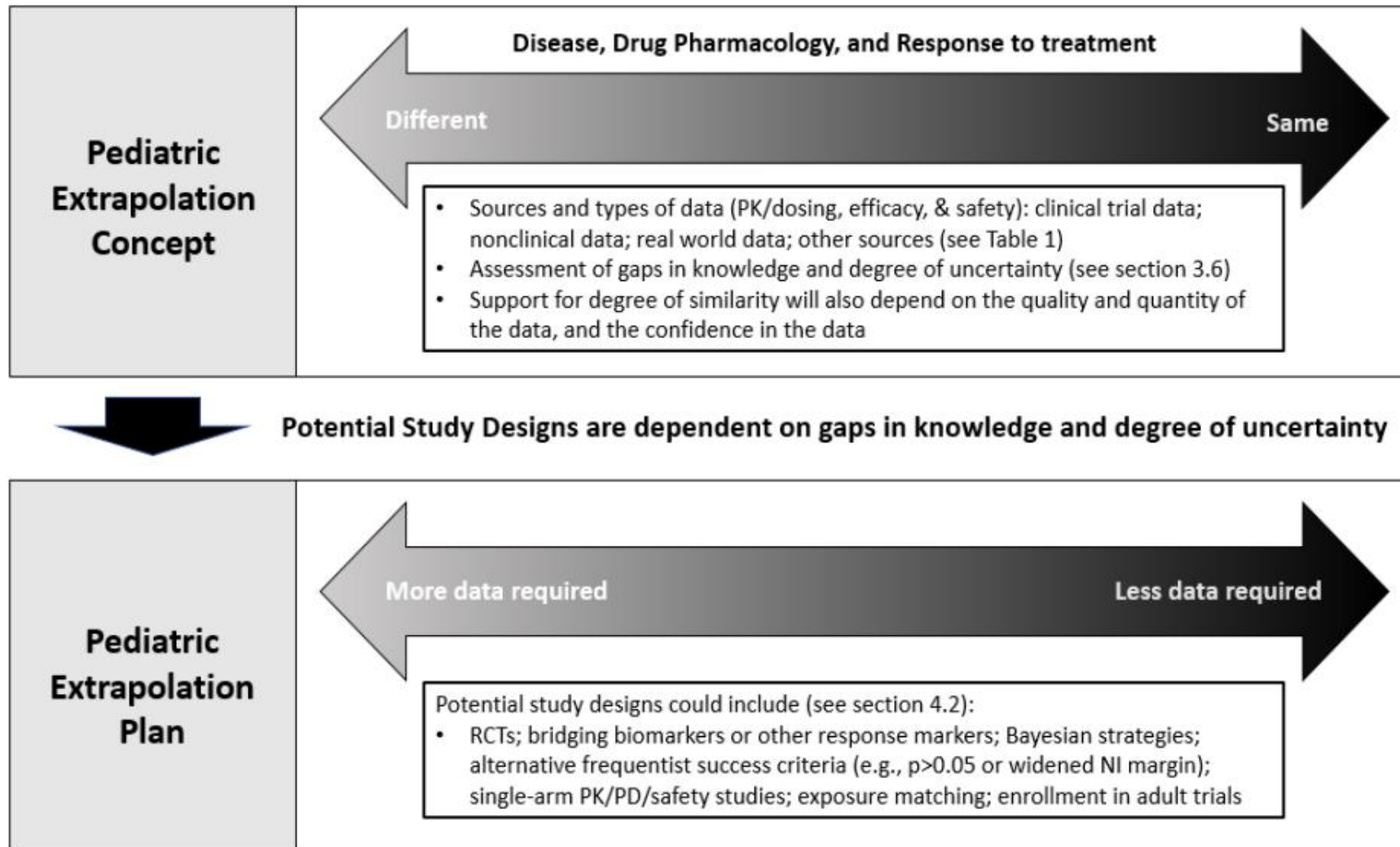
## 小児用医薬品開発における外挿とは？ (ICH E11 (R1) ガイドラインにおける定義)

「疾患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（成人又は他の小児集団）の間で十分に類似していると推定できる場合に、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。」

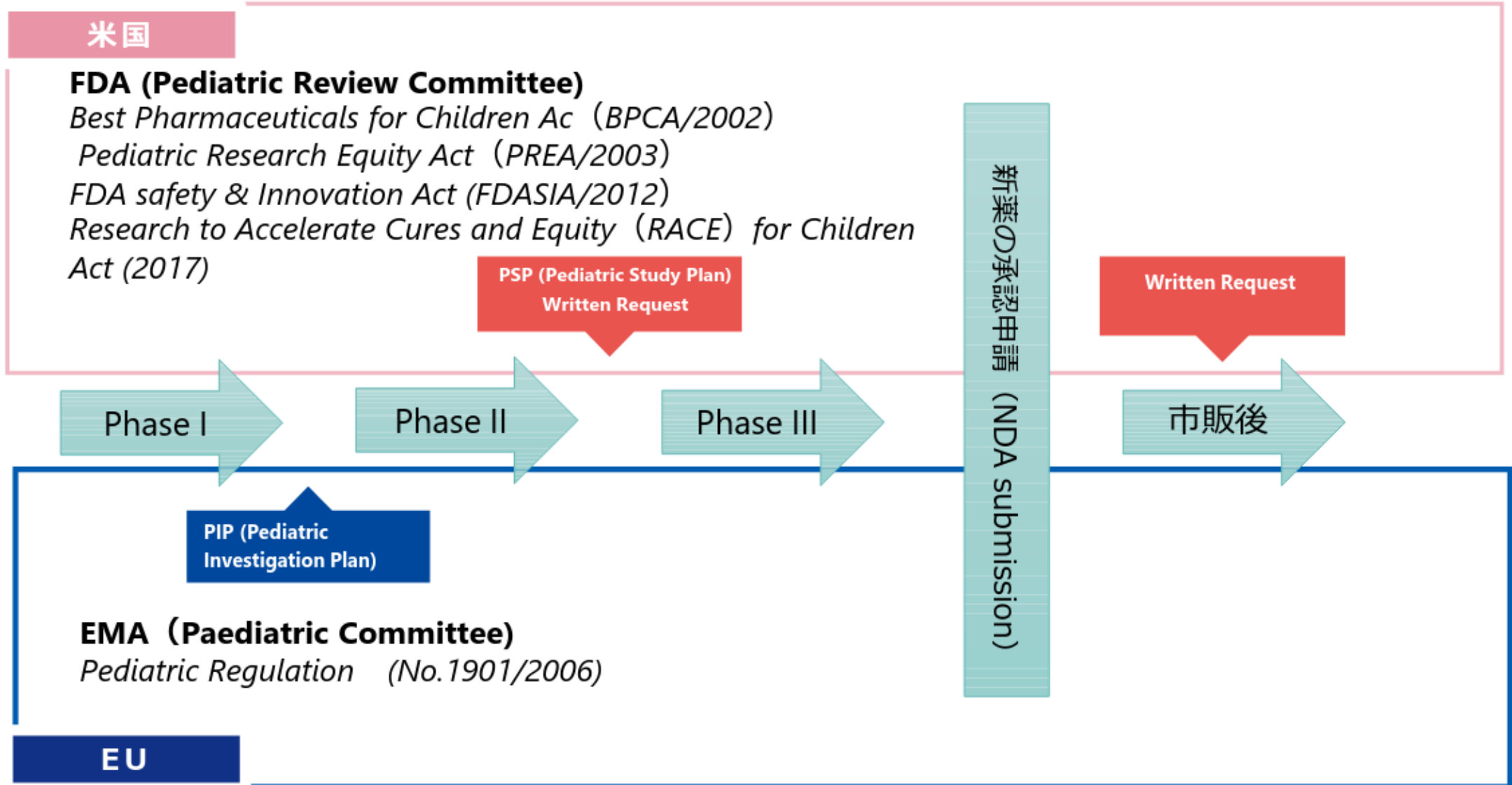


# ICH E11Aガイドライン

「小児用医薬品開発における外挿」の活用について、より包括的な枠組みを示す



# 米国及びEUにおける小児用医薬品開発



# 米国及びEUにおける小児用医薬品開発

- ✓ 米国では、BPCAとPREAの恒久法化以降、小児試験計画（iPSP）の数が大幅に増加
- ✓ EUでも、小児用の新薬/新効能の承認数は、Paediatric Regulationの施行前後で倍以上に増加

Best Pharmaceuticals for Children Act  
and  
Pediatric Research Equity Act

July 2016  
Status Report to Congress



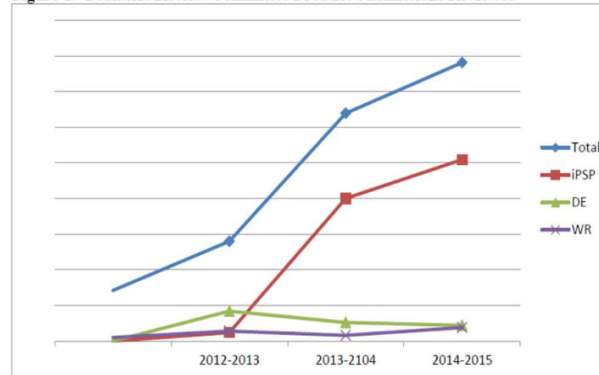
Best Pharmaceuticals for Children Act  
and  
Pediatric Research Equity Act

Status Report to Congress  
July 1, 2015 – June 30, 2020

小児審査委員会で審査  
した件数の推移

FDASIA : FDA Safety and Innovation Act  
BPCA : Best Pharmaceuticals for Children Act  
PREA : Pediatric Research Equity Act

Figure 1: Pediatric Review Committee Product Submissions Reviewed



15 August 2017  
EMA/231225/2015  
Human Medicines Research and Development Support Division

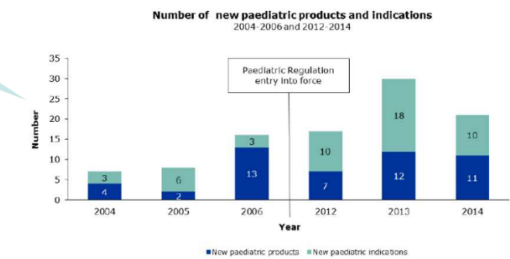
10-year Report to the European Commission  
General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation<sup>1</sup>

Prepared by the European Medicines Agency and its Paediatric Committee

Note: The report covers in principle the period from January 2007 to December 2015. This version of the report is an update to the one provided to the European Commission in 2016. The scope of the update was to include data from 2016 into key analyses such as the number of paediatric medicine authorisations and paediatric clinical trials; the reporting periods are indicated in the respective analyses.

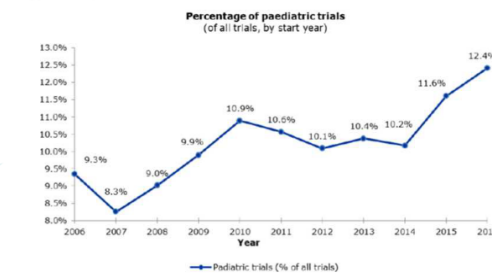
小児用の新薬及び新  
効能の承認数の推移

Figure 1. Number of centrally authorised medicines for children in 2004-2006 and 2012-2014 (new initial marketing authorisations, new paediatric indications)



Source: EMA databases (SIAMED, DREAM).

Figure 2. Proportion of clinical trials that include children



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

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001359208.pdf>

# 本日の内容

- ✓ 小児の医薬品開発について
- ✓ 日本における小児用医薬品開発に関連する取組み
- ✓ MID-NET®について

# 日本における従前の主な取り組み

## インセンティブ等

- 薬価加算（小児加算5～20%）
- 再審査期間の延長

## 小児医薬品開発の検討、効率化等

- 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
- 成人と合わせて評価可能な小児（10歳又は12歳以上の小児）の臨床評価の留意点について

## 承認審査の取扱い

- 特定用途医薬品等指定制度

## 研究開発の支援・環境整備等

- 小児治験ネットワーク
- 小児医薬品開発ネットワーク事業



# 薬価加算（小児加算5～20%）

□補正加算（画期性加算、有用性加算（Ⅰ）、有用性加算（Ⅱ）、市場性加算（Ⅰ）、市場性加算（Ⅱ）、特定用途加算、小児加算及び先駆加算）の一つ。

## 小児加算（5～20%）

次の要件を全て満たす新規収載品（市場性加算（Ⅰ）又は特定用途加算の対象となるもの及び国内で小児効能に係る臨床試験を実施しておらず、かつ小児用製剤など小児に対して臨床使用上適切な製剤が供給されていないものを除く）に対する別表2に定める算式により算定される額の加算をいう。

- イ当該新規収載品の主たる効能及び効果又は当該効能及び効果に係る用法及び用量に小児（幼児、乳児、新生児及び低出生体重児を含む）に係るものが明示的に含まれる
- 当該新規収載品の比較薬が特定用途加算又は小児加算の適用を受けていない。

旧通知：「薬価算定の基準について」保発0215第2号（令和5年2月15日付け）



# 薬価加算（小児加算5～20%）

- 小児加算は5～20%の範囲で適用されるが、大半の品目では5%が適用されており、それを超える加算率が適用されることは稀である。

## <収載時の加算（小児加算）>（A=5～20%）

※ 令和5年度は8月収載分まで

年度	H27	H28	H29	H30	R1	R2	R3	R4	R5
	1成分 (1品目)	1成分 (1品目)	1成分 (2品目)	5成分 (7品目)	5成分 (6品目)	2成分 (2品目)	5成分 (10品目)	5成分 (8品目)	2成分 (2品目)
A=5%	1成分	1成分	1成分	5成分	5成分	1成分	5成分	4成分	2成分
A=10%	-	-	-	-	-	1成分	-	1成分	-
A=15～20%	-	-	-	-	-	-	-	-	-

## <薬価改定時の加算（小児適応）>（A=5～30%）

年度	H22	H24	H26	H28	H30	R2	R4
	3成分 (7品目)	7成分 (18品目)	7成分 (21品目)	8成分 (18品目)	7成分 (27品目)	6成分 (13品目)	10成分 (29品目)
A=5%	3成分	7成分	7成分	8成分	7成分	4成分	9成分
A=7.5%	-	-	-	-	-	2成分	1成分
A=10～30%	-	-	-	-	-	-	-

※ 改定時の加算においては、薬価に対する補正加算率（ $\alpha$ ）は上記のAの値を元に市場規模を踏まえて算出する。

# 再審査期間の延長

## 小児開発

後から開発  
する場合

### 特定用途医薬品（小児）

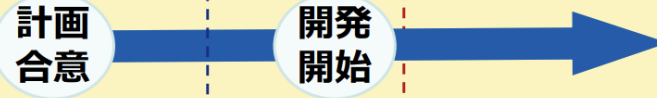
- ・成人効能：8年（影響なし）
- ・小児用量（新用量）：4年以上6年未満の期間で指定



申請 (成人効能)    承認 (成人効能)    再審査期間満了 (成人効能)

## 成人開発

早期に開発  
する場合



- ・成人効能：8年 + 最大2年
- ・小児用量（新用量）：4年  
（又は成人の残余期間）

成人用の審査期間中に開発計画が提出され、  
その後、遅滞なく臨床試験が開始された場合

# 特定用途医薬品等指定制度

## 特定用途医薬品の考え方

- 制度の対象となる要件
  - ・ 当該用途に係る医薬品に対する需要が著しく充足されていないもの。
  - ・ 製造販売承認されれば、その用途に関し、特に優れた使用価値を有するもの。

- ・ 特定用途医薬品指定制度は、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
- ・ 「需要が著しく充足されていない用途」を省令で指定し、その領域の医薬品について研究開発を促進

➡ 省令で以下の用途を指定

①小児用

②薬剤耐性菌（AMR）用

## 特定用途医薬品の運用

- ・ 薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定
  - － 医療上の必要性に基づき判断
- ・ 優先審査の対象
- ・ 4年以上6年未満の再審査期間の付与
- ・ その用途の対象者が5万人未満の医薬品の開発については、研究開発費の助成と税制優遇の対象

対象に想定される医薬品のイメージ

○含む	×含まない
<ul style="list-style-type: none"><li>・ 患者数が多い医薬品の小児用法・用量の追加</li><li>・ 既存の医薬品の剤形の追加で特に必要なもの</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 新薬開発における小児用法・用量の検討</li><li>・ 希少疾病用医薬品の対象となり得るもの（対象とする必要がない）</li></ul>

既承認品目の小児開発が対象

令和4年度より、補正加算の一つとして特定用途加算（5～20%）も新設。

# 特定用途医薬品等指定制度

## 小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とする医薬品の場合

### 1. 開発対象・対象疾患

対象とする用途に関して以下のいずれかの開発を行うものであること

- ① 用法又は用量の変更
- ② 剤形の追加

### 2. 対象とする用途への需要の充足性が著しく充足していないこと

以下のいずれかに該当するものであること

- ① 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの（既存の治療法、予防法又は診断法が医薬品を用いるものみの場合であって、治療法、予防法又は診断法に用いる医薬品として対象とする小児に対する用法及び用量が設定された医薬品がない場合を含む）
- ② 小児にとっての有効性、安全性若しくは肉体的・精神的な患者又は介護者負担の観点から、既存の治療法等より医療上の有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの

### 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること

以下の①及び②の両方を満たすものであること

- ① 適応疾患が重篤である、又は重篤な疾患に対して支持的に用いるもの
- ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

出典：「特定用途医薬品の指定に関する取扱いについて」（令和2年8月31日薬生薬審発0831第5号）

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001131778.pdf>

Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

# 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日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は**143品目**。
- 未承認薬143品目中、**国内開発未着手の医薬品は86品目（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	<b>143</b>	57	<b>86</b> (品目)

## 日本国内未着手の品目内訳

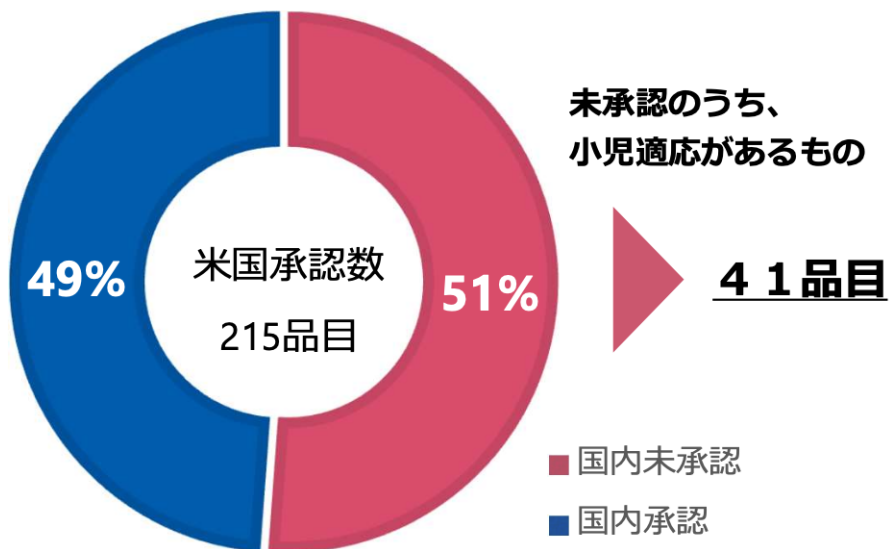
ベンチャー発	希少疾病用医薬品 (オーファン)	小児用医薬品
<b>56%</b> (48品目)	<b>47%</b> (40品目)	<b>37%</b> (32品目)

※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は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

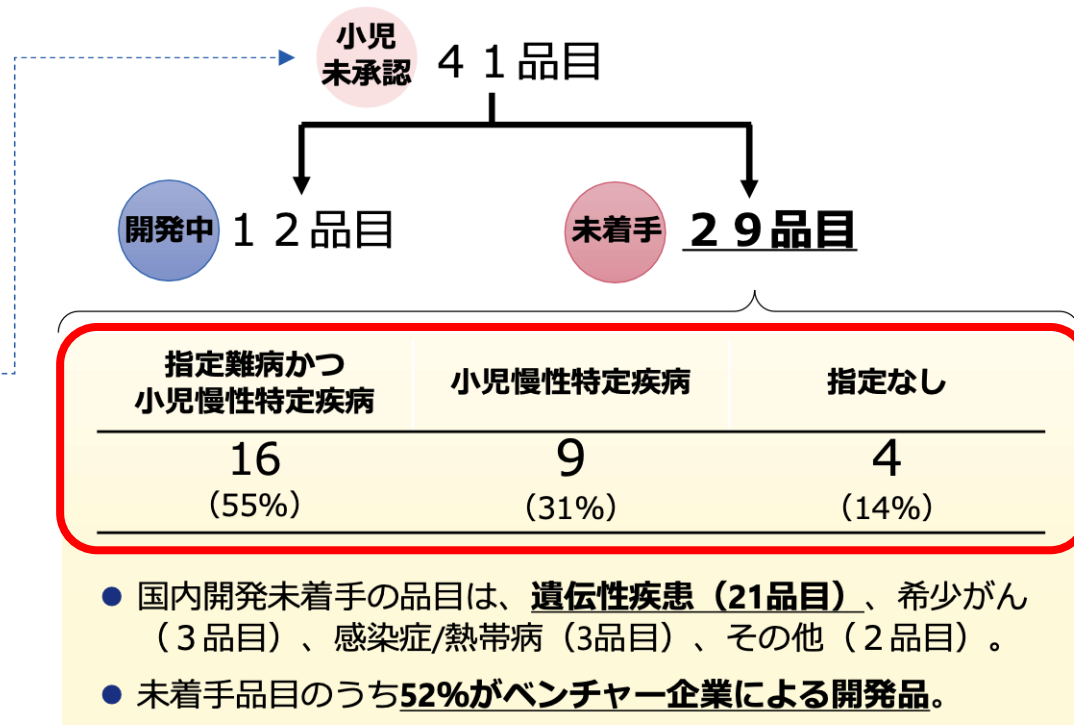
# ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

## 米国で承認済みの希少疾病用医薬品の国内承認状況



※出典：PMDA、FDA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  
 ※2010年から2021年に米国でオーファンドラッグ指定を受けて承認された品目を対象とし、2022年8月時点で開発状況が明確となっていないものを未着手とした。  
 ※開発中止等が確認された9品目を含む。  
 ※国内開発中品目について、国内開発における年齢の情報は公開されていない。  
 ※米国でも小児開発がされていない品目は、感染症/熱帯病、がん、診断薬等であった。

## 未承認品目（小児適応あり）の国内開発状況



✓ 希少疾病用医薬品指定制度による開発促進に加え、成人効能の開発と同時に小児用の開発計画策定を促進

※開発の優先度を考慮

※インセンティブについても平行して検討

✓ 承認申請パッケージの柔軟化

✓ 海外のベンチャー企業等による日本での開発促進（別途検討）

## 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（ポイント）③

### ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスの解消

#### 【主な課題】

欧米では承認されている143品目が日本で未承認。うち、国内開発未着手のものが86品目あり、**ドラッグ・ロス**が懸念される。開発未着手品目は、ベンチャー企業発、希少疾患用医薬品、小児用医薬品の割合が多い。

#### 【対策の方向性】

##### 革新的医薬品の迅速導入に向けた環境の整備

- ・国際共同治験への対応の強化。特に、国際共同治験に参加するための日本人データの要否等、**薬事承認における日本人データの必要性を整理**
- ・**希少疾病用医薬品指定制度**について、**早期段階から指定**できるよう制度を見直し
- ・**小児用医薬品の開発計画策定の促進や、新たなインセンティブを検討**
- ・海外ベンチャー等に対し、**日本の制度を伝達**

##### 現に発生しているドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスへの対応強化

- ・AMED研究事業による支援により、**先進医療・患者申出療養等**による**治療の早期実施が可能な体制の構築**

##### 日本市場の魅力向上させる薬価制度

- ・**新規モダリティ**などの革新的医薬品についての**新たな評価方法**を検討
  - ・医療上特に必要な**革新的医薬品の迅速導入**に向けた**新たなインセンティブ**を検討
  - ・ベンチャー発品目の新薬創出等加算における**適切な評価の在り方**を検討
  - ・医療上特に必要な革新的医薬品について、特許期間中の**薬価維持の仕組みの強化**を検討
  - ・**市場拡大再算定**について、再算定の対象となる**類似品の考え方**の見直しを検討
  - ・医療保険財政への影響を考慮しメリハリをつけた対応などを検討
- ※上記の薬価上の措置は創薬力に係る対策の方向性も兼ねている

# 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～2024年4月）

薬事検討会（令和6年4月24日報告書とりまとめ）を踏まえた検討状況		
検討テーマ	検討状況	
開発促進	希少疾病用医薬品の指定のあり方について	①いわゆる「輪切り」の要件に当たらない場合の明確化、②医療上の必要性が認められる範囲の明確化、③指定時期を非臨床段階まで早期化することなどが了承された。1月16日に改正通知を発出した。
	小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方について	成人用の医薬品の開発時に、任意で、小児用の開発計画の策定し、PMDAの確認を受けられる仕組みを導入することなどが了承された。令和6年1月12日及び3月29日に関連通知等を発出した。
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について	海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第I相試験については、原則不要とすることが了承された。令和5年12月25日に通知・QAを発出した。 極めて患者数の少ない疾患に用いる薬剤であって、外国において検証的な臨床試験が完了しているなどの要件を満たす場合に日本人での臨床試験を不要とすることや、条件付き承認制度の活用を促進するため要件を明確化することなどが了承された。通知の発出に向けて現在検討中。
	治験の更なる効率化（エコシステム）について	中央IRBの活用が望ましいとする考え方の文書化、治験費用の算定方法の合理化、治験運用の更なる合理化について、今後、医療関係者の意見を聴いて行政・業界において検討を進めることとなった。
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について	製造販売後調査のあり方について、リサーチクエストに応じた適切な調査等を計画・実施すべきであって、単に治験の症例数が少ないこと等のみでは使用成績調査や全例調査を実施する根拠にはならないこと、調査等の実施計画については承認前ではなく市販後の適切な時期に検討できる場合があることなどが了承された。通知の発出に向けて現在検討中。
	リアルワールドデータの活用のあり方について	
品質	医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方について	令和5年10月13日検討会において、欧米と同様に、中リスクの変更カテゴリや年次報告の仕組みを試行的に導入することなどが了承された。具体的な運用について、現在検討中。
		令和5年11月15日検討会において、医薬品製造業者等による不正事案への対応として、行政による薬事監視について議論し立入調査・検査の強化の方向性について了承された。
情報発信	我が国の薬事制度に関する海外への情報発信について	令和5年11月15日検討会において、我が国の薬事制度についてPMDAの米国事務所の設置などを通じて積極的・能動的に海外に情報発信していくことが重要であることなどが議論された。 <sup>13</sup>

# 成人の開発期間中に小児用医薬品の開発計画策定を促す取組み

- 欧米の制度を参考にしつつ、我が国の状況も踏まえながら、小児用医薬品開発を成人用と同時に進めるための仕組みや、その実効性を高めるための対応について、令和5年7月10日の創薬力の強化・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において検討を行い、その結果を踏まえ関連通知・QAを発出した。

- ・「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」（令和6年1月12日医薬業審発 0112 第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）
- ・「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日医薬業審発0329第1号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）
- ・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作成についての質疑応答集（Q&A）について（令和6年3月29日厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡）

## ■ 通知の内容

### 本通知の対象となる小児用医薬品の開発

- ・ 医療上の必要性に基づき、以下の（1）から（3）のいずれか又は複数に該当する開発を行う場合を指す。
  - （1） 効能・効果において成人と小児が区別される医薬品において効能・効果の対象に小児を含めるために行う開発
  - （2） 小児における適切な用法・用量を設定するために行う開発
  - （3） 成人用とは異なる小児用の剤形の開発

### 基本的な考え方

- ・ 成人を対象とした医薬品の開発を行う場合は、当該開発の対象となる効能・効果に係る小児用医薬品の開発計画を策定し、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでに、PMDAの確認を受けるとともに、遅滞なく当該開発計画に基づいて開発を進めることが望ましい。
- ・ 成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでにPMDAの確認を受けることが困難である場合は、当該承認申請に対する審査終了までの間にPMDAの確認を受けるとともに、遅滞なく当該開発計画に基づいて開発を進めることが望ましい。

### その他

- ・ 小児における適切な用法・用量を設定するための開発計画については、日本人小児を対象とした治験の実施を検討するだけでなく、成人のデータや海外の小児のデータ、リアルワールドデータ、モデリング&シミュレーションの活用等も検討した上で、PMDAの確認を受けること。
- ・ 成人用とは異なる小児用の剤形の開発について、開発に長期間を要することが想定されることから、その点も考慮した開発計画について、PMDAの確認を受けること。

## ■ 薬価上の取扱い

- ・ PMDAの確認を受けた開発計画に基づき開発を進めた結果、小児の適応が承認された場合には、薬価収載時、薬価改定時及び市場拡大再算定適応時における小児加算率をより高く評価する。

# 小児用医薬品に関する薬価 (令和6年度薬価制度改革、令和6年3月5日版)

## 薬価制度改革の骨子

### ①小児用医薬品の評価充実

- 新規収載時、薬価改定時及び市場拡大再算定適用時における、小児用の医薬品に関する加算の加算率について、**最近の医薬品の開発状況や、症例数等による治験の実施の困難さ等を踏まえ、現在規定されている範囲内で、加算率を柔軟に判断**することとする。【運用上の対応】
- 小児の効能効果、用法用量が明確であり、小児加算による評価の対象となり得る品目は、**新薬創出等加算の品目要件に追加**することとする。【基準改正】

### ②成人と小児の同時開発に係る評価【基準改正】

- 薬事制度において、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も同時に策定し**、審査当局である独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が確認する仕組みを設けることとされていることを踏まえ、PMDAの確認を受けた開発計画に基づき開発を進めた結果、**小児の適応が承認された場合には、薬価収載時、薬価改定時及び市場拡大再算定適用時における小児加算の加算率をより高く評価**することとする。

### ③小児開発に取り組んでいる企業の評価【基準改正】

- 小児開発は開発が困難であり、採算があわないことが指摘されていることから、**②における成人と小児の同時開発品目について市場拡大再算定が適用される場合**（類似薬としての再算定を含む。）、**開発中の段階であっても市場拡大再算定の補正加算と同様の評価を行い引下げ率を緩和**することとする。

# 小児用医薬品に関する薬価 (令和6年度薬価制度改革、令和6年3月5日版)

## 制度の位置づけ

革新的新薬の創出、ドラッグ・ラグ/ロスの解消を促進するため、新薬の市場実勢価格に基づく薬価の引下げを猶予

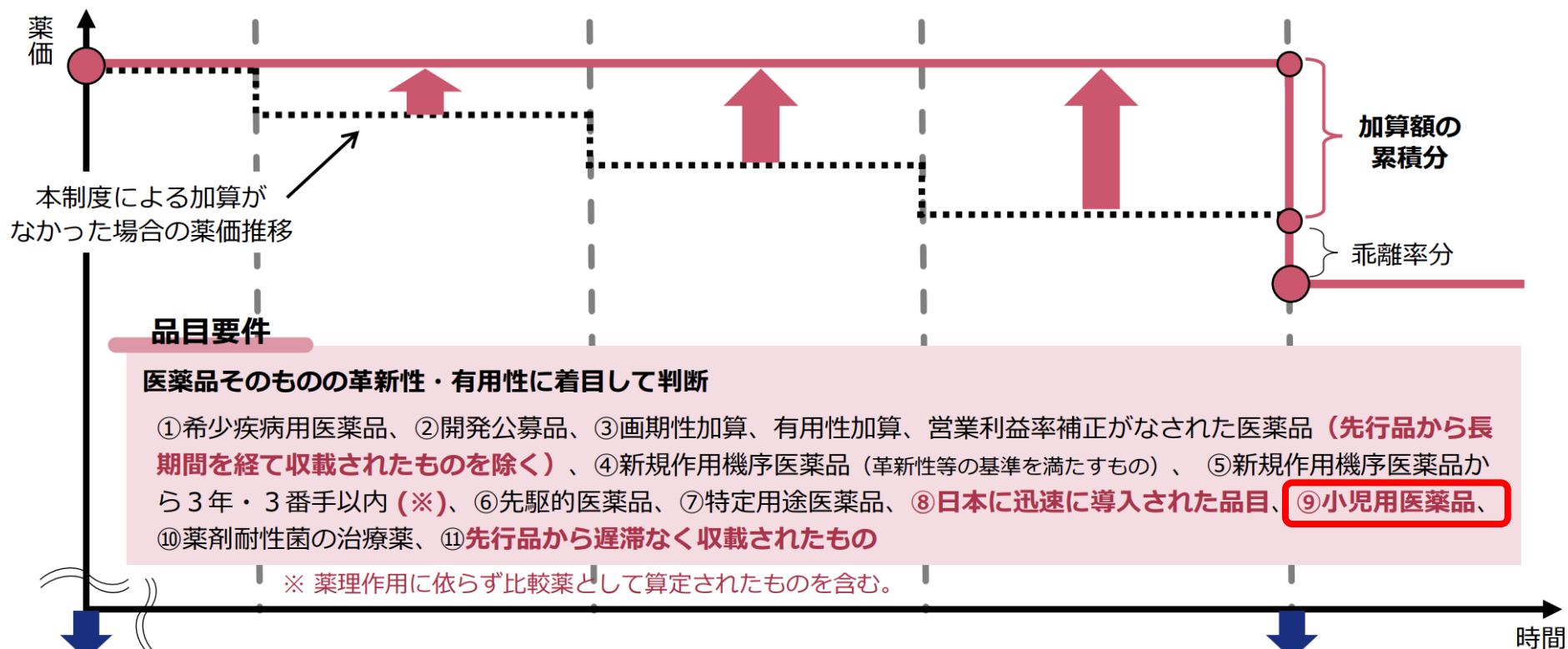
## 加算額

(赤字：見直し部分)

- 改定前薬価を維持する額を加算
- ただし、平均乖離率を超える品目は加算しない

## 企業要件

- 厚生労働省の開発要請に適切に対応すること
- 過去5年間に、国内試験の実施や新薬の収載等の新薬開発の実績を有すること



## 品目要件

医薬品そのものの革新性・有用性に着目して判断

- ① 希少疾病用医薬品、② 開発公募品、③ 画期性加算、有用性加算、営業利益率補正がなされた医薬品 (先行品から長期間を経て収載されたものを除く)、④ 新規作用機序医薬品 (革新性等の基準を満たすもの)、⑤ 新規作用機序医薬品から3年・3番手以内 (※)、⑥ 先駆的医薬品、⑦ 特定用途医薬品、⑧ 日本に迅速に導入された品目、⑨ 小児用医薬品、⑩ 薬剤耐性菌の治療薬、⑪ 先行品から遅滞なく収載されたもの

※ 薬理作用に依らず比較薬として算定されたものを含む。

# 創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議（2022年12月～）

2023年6月  
中間とりまとめ

<b>課題認識</b>	ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロス問題、我が国の医薬品産業の国際競争力の低下、産学官を含めた総合的・全体的な戦略・実行体制の欠如	
	医薬品産業・医療産業全体を我が国の科学技術力を活かせる重要な成長産業と捉え、政策を力強く推進していくべき	
<b>戦略目標</b>	治療法を求めている全ての患者の期待に応えて最新の医薬品を速やかに届ける  我が国が世界有数の創薬の地となる  投資とイノベーションの循環が持続する社会システムを構築する	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 現在生じているドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスの解消</li> <li>● 現時点で治療法のない疾患に対する研究開発を官民で推進</li> <li>● 豊かな基礎研究の蓄積と応用研究の進展</li> <li>● 国内外の投資と人材の積極的な呼び込み</li> <li>● アカデミアの人材育成や研究開発環境の整備、医薬品産業構造の改革</li> <li>● スター・サイエンティストの育成、投資環境の整備、イノベーションとセルフケアの推進</li> </ul>
	<b>1. 我が国の創薬力の強化</b>	<b>2. 国民に最新の医薬品を迅速に届ける</b>
	<p>創薬は基礎から実用化に至るまでの幅広い研究開発能力とともに、社会制度や規制等の総合力が求められる。創薬エコシステムを構成する人材、関連産業、臨床機能などすべての充実と発展に向け、国際的な視点を踏まえながら、我が国にふさわしい総合的かつ現実的な対策を講じていくことが必要である。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 多様なプレイヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材                         <ul style="list-style-type: none"> <li>● 海外の実用化ノウハウを有する人材や資金の積極的な呼び込み・活用</li> <li>● 外資系企業・VCも含む官民協議会の設置（政府・企業が政策や日本での活動にコミット）</li> <li>● 国内外のアカデミア・スタートアップと製薬企業・VCとのマッチングイベントの開催</li> </ul> </li> <li>○ 国際水準の臨床試験実施体制                         <ul style="list-style-type: none"> <li>● ファースト・イン・ヒューマン（FIH）試験実施体制の整備</li> <li>● 臨床研究中核病院の創薬への貢献促進</li> <li>● 国際共同治験・臨床試験の推進</li> <li>● 治験業務に従事する人材の育成支援・キャリアトラックの整備</li> <li>● 海外企業の国内治験実施の支援</li> <li>● Single IRBの原則化・DCTの推進・情報公開と国民の理解促進</li> </ul> </li> <li>○ 新規モダリティ医薬品の国内製造体制                         <ul style="list-style-type: none"> <li>● CDMOに対する支援強化とバイオ製造人材の育成・海外からの呼び込み</li> <li>● 国際レベルのCDMOとFIH試験実施拠点の融合や海外拠点との連携</li> </ul> </li> <li>○ アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成                         <ul style="list-style-type: none"> <li>● アカデミア・スタートアップの研究開発支援の充実、知財・ビジネス戦略の確立</li> <li>● 持続可能な創薬力の維持・向上のための基礎研究振興</li> <li>● AIやロボティクス×創薬や分野融合、再生・細胞医療・遺伝子治療等</li> <li>● 医療DX、大学病院等の研究開発力の向上に向けた環境整備</li> </ul> </li> </ul>	<p>治療薬の開発を待ち望む患者・家族の期待に応えるためには、新薬が開発されにくい分野や原因を把握しつつ、薬事規制の見直しや運用の改善、国際的な企業への働きかけも含め、積極的な施策を講じていくことが求められる。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○ 薬事規制の見直し                         <ul style="list-style-type: none"> <li>● 国際共同治験を踏まえた薬事規制の見直しと海外への発信</li> </ul> </li> <li>○ 小児・難病希少疾病医薬品の開発促進                         <ul style="list-style-type: none"> <li>● 採算性の乏しい難病・希少疾病医薬品の開発の促進</li> </ul> </li> <li>○ PMDAの相談・審査体制                         <ul style="list-style-type: none"> <li>● 新規モダリティの実用化推進の観点からの相談・支援</li> <li>● 各種英語対応や国際共同審査枠組みへの参加等の国際化推進</li> <li>● 国際的に開かれた薬事規制であることの発信</li> </ul> </li> </ul>
	<b>3. 投資とイノベーションの循環が持続する社会システムの構築</b>	
	<p>患者に最新の医薬品を届けるためには、患者のニーズの多様化や新しい技術の導入などに対応し、広義の医療市場全体を活性化するとともに、医薬品市場が経済・財政と調和を保ち、システム全体が持続可能なものとなることが重要である。中長期的な視点から議論が継続して行われる必要がある。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>● 革新的医薬品の価値に応じた評価</li> <li>● 長期収載品依存からの脱却</li> <li>● バイオシミラーの使用促進</li> <li>● スイッチOTC化の推進等によるセルフケア・セルフメディケーションの推進</li> <li>● 新しい技術について公的保険に加えた民間保険の活用</li> <li>● ヘルスケア分野のスタートアップへの支援強化</li> </ul>	
	中長期的に全体戦略を堅持しつつ、常に最新の情報を基に継続的に推進状況をフォローアップしていくことが重要	



# 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置

## <施策の目的>

- ✓ 小児用医薬品や難病・希少疾病用医薬品は、医療ニーズが高いにもかかわらず、市場規模が小さいこと等によりドラッグ・ロスが生じやすい。
- ✓ 企業による開発を促すため、薬事規制当局においても積極的な支援が必要。

## 成果指標・KPI

<現状>  
ドラッグロスを生じている医薬品：86品目（R5）



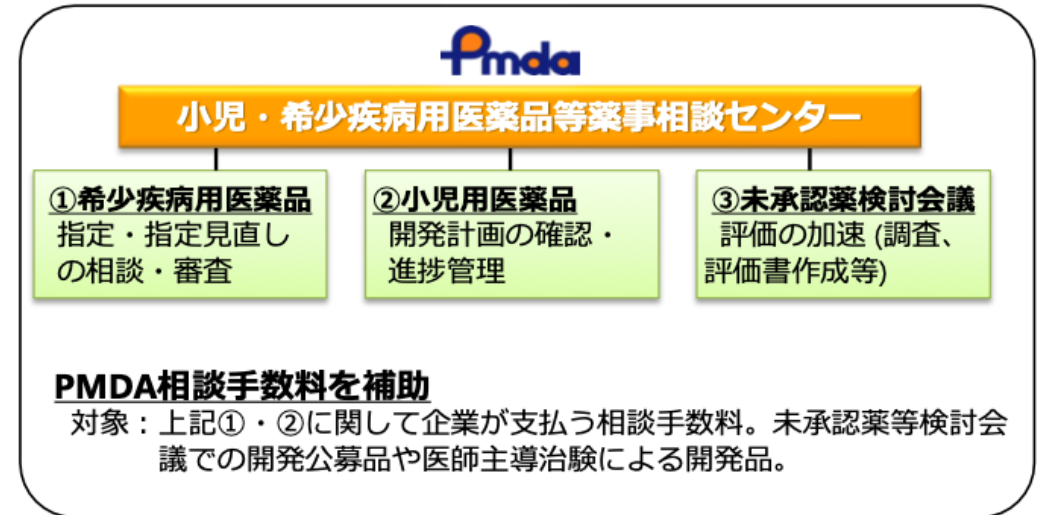
<目標>  
左記品目のうち必要な医薬品について開発着手（R8まで）

## <施策の内容>

### 採算性の乏しい小児用医薬品・難病・希少疾病用医薬品の開発の促進

- PMDAに小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターを令和6年度に設置し、以下の取組を進める。
  - ✓ 企業が成人を対象とした医薬品の開発を行う場合、併せて小児用医薬品の開発計画を策定し、PMDAの確認を受ける仕組みを導入・運用。
  - ✓ すでに決定した希少疾病用医薬品の指定の早期化について、その確実な運用。
  - ✓ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における評価、開発要請等の加速化。

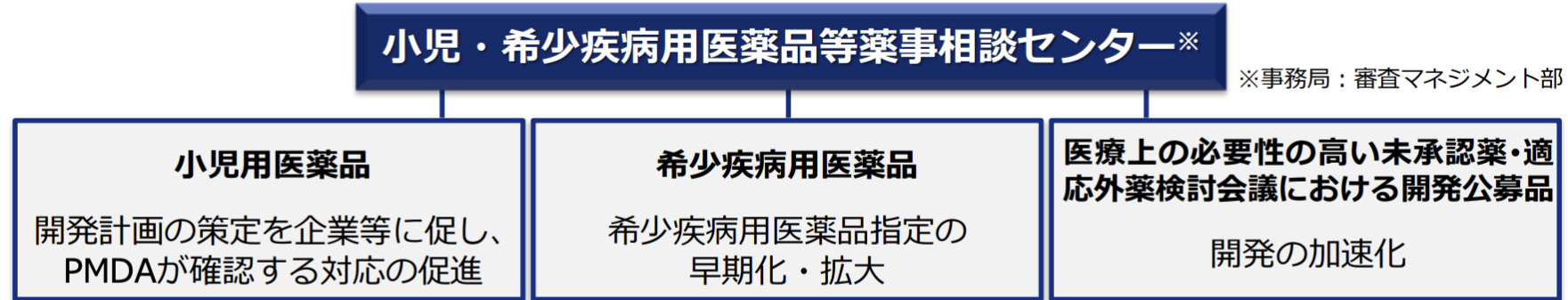
## 参考資料



2023年7月1日付け設置

# 小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置 (2023年7月1日付け)

- 小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために、「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置する。



## 【相談体制の整備】

### 小児用医薬品開発計画確認相談

- ✓ 成人を対象とした医薬品の開発期間中に、小児を対象とした医薬品の開発計画を確認するもの。当該確認は薬価上の加算等に繋がる。

### 希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

- ✓ 開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価するもの。

### 医薬品申請データパッケージ相談 (医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品/医師主導治験による開発品)

- ✓ 主たる治験の試験デザイン等について指導及び助言を行うもの。
- ✓ 承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について主たる治験の結果等に基づき指導及び助言を行うもの。

<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0073.pdf>

# 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

- ・医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。
- ・未承認薬・適応外薬に係る要望を公募（第Ⅰ回 2009.6.18～8.17、第Ⅱ回 2011.8.2～9.30、第Ⅲ回（第一期 2013.8.1～12.27、第二期 2013.12.28～2014.6.1、第三期 2014.6.2～2014.12.31、第四期 2015.1.1～2015.6.30））
- ・現在は、随時募集で要望を募集している（第Ⅳ回 2015.7.1～）。

**○未承認薬**  
欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認されている医薬品。

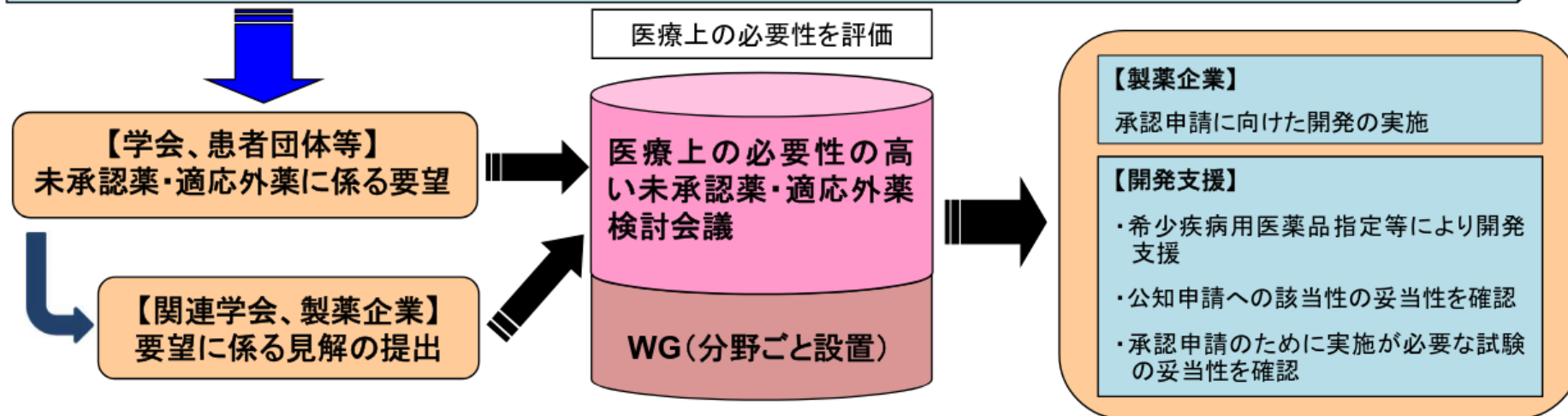
**○適応外薬**  
欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されている医薬品。

**○未承認薬迅速実用化スキーム対象品目**  
欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれの国でも未承認であるが、一定の要件を満たしている医薬品。

**医療上の必要性の評価基準**  
次の(1)及び(2)の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

(1) 適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合  
ア 生命の重大な影響がある疾患（致死的な疾患）  
イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患  
ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

(2) 医療上の有用性が次のいずれかの場合  
**<未承認薬、適応外薬>**  
ア 既存の療法が国内にない  
イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている  
ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる  
**<未承認薬迅速実用化スキーム対象品目>**  
ア 既存の療法が国内にない  
イ 国内外の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている



<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001568899.pdf>



# 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

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。

学会・患者会等からの  
未承認薬・適応外薬の要望

従来のルート



国内開発未着手の医薬品について、国が情報を整理

新規ルート



※令和6年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」において、医薬品のデータ整理、関連学会へヒアリング調査、市場性調査、開発の優先順位付け等を実施

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議 (医療上の必要性を判断)

企業に対して開発要請

開発企業を公募

【市場性がない場合】

開発企業の公募を行いつつ、アカデミア主導での開発を支援し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し  
※実施に当たってはAMEDによる開発支援、PMDAの薬事戦略相談等も活用

企業による治験の実施等

薬事承認申請



# 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

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日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は143品目。
- 未承認薬143品目中、国内開発未着手の医薬品は86品目（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				日本国内未着手の品目内訳	
	承認済	未承認合計	未承認の内訳（品目数）		ベンチャー発 オーファン 小児薬
			開発中	未着手	
米国	136	7	3	4	
欧州	86	57	26	31	
日本	0	143	57	86	

※出典：PMDA、FDA、EMAの各公開情報、朝日新聞（株式会社テクノミック）  
 ※1：2015-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年半時点まで日本では承認されていない品目を国内開発未着手として集計  
 ※2：2023年3月時点で開発情報がない品目を国内開発未着手として集計  
 ※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高が5億米ドル未満  
 ※4：欧米にてオーファンドラッグ発症を承認済までに受けた品目をオーファンと集計  
 ※5：2022年半時点で欧米で小児薬の承認品目を小児として集計

## 【特別研究班による分類結果】

- グループA「開発の必要性が特に高い医薬品」：14品目
- グループB「開発の必要性が高い医薬品」：41品目
- グループC「開発の必要性が低い医薬品」：11品目
- グループD「開発の必要性がない医薬品」：12品目

その他「既にドラッグ・ロスが解消されている医薬品」：8品目

# 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

## グループA「開発の必要性が特に高い医薬品」:14品目

(国内に類薬や標準的治療法がないなど、臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品と判断されたもの)

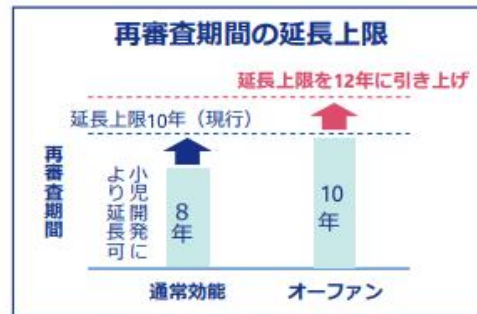
品目 番号	販売名	成分名(一般名)	効能・効果
1	OXLUMO	ルマシランナトリウム	原発性高シュウ酸尿症 I 型
2	DETECTNET	銅-64ドータテート	神経内分泌腫瘍の診断における陽電子放射断層撮影(PET)
3	DOJOLVI	トリヘプタノイン	長鎖脂肪酸酸化障害
4	ARTESUNATE	アルテスネイト	成人および小児の重症マラリアの治療
5	AYVAKIT	アバプリチニブ	成人の切除不能または転移性の消化管間質腫瘍(GIST)で、血小板由来増殖因子受容体 $\alpha$ (PDGFRA)エクソン18に特定の変異(D842V)を有する症例
6	AKLIEF	トリファロテン	顔や体幹の尋常性ざ瘡
7	GA-68-DOTATOC	ガリウム-68エドトレオチド	陽電子放射断層撮影(PET)によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影
8	XENLETA	レファムリン酢酸塩	細菌性の市中肺炎(CABP)の治療
9	PRETOMANID	プレトマニド	多剤耐性結核
10	ZULRESSO**	ブレキサノロン	産後うつ病(PPD)
11	NUZYRA	オマダサイクリントシル酸塩	細菌性肺炎、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症
12	OMEGAVEN	精製魚油	非経口栄養関連胆汁うっ滞
13	NETSPOT	ガリウム-68ドータテート	陽電子放射断層撮影(PET)によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影
14	ANTHIM	オビルトキサキシマブ	吸入炭疽の治療

# 厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会とりまとめ（2025年1月）

## 検討の方向性（案）

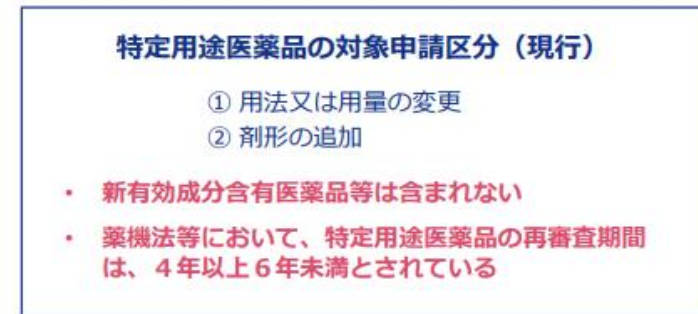
### 小児用医薬品開発の計画策定の努力義務化

- 医療用医薬品の承認申請時に、小児用医薬品の開発計画を策定することを努力義務化してはどうか。ただし、小児に関する需要がない又は充足している場合は例外としてはどうか。
- 小児用医薬品の開発計画が策定された医薬品の再審査期間について、すでに10年が設定されている場合は延長の余地がない現状を踏まえ、再審査期間延長に係る上限を12年に引き上げてはどうか。



### 特定用途医薬品に係る制度の見直し

- 小児用医薬品等の開発の支援を行う特定用途医薬品指定制度の対象について、用量追加や剤形追加の申請区分のみならず、新有効成分等の申請区分も対象にすることとしてはどうか（省令事項）。
- あわせて、再審査期間についても、現在は効能追加や剤形追加を前提として4年以上6年未満となっていることから、申請区分に応じて再審査期間が設定されるよう見直すこととしてはどうか。



# 医薬品医療機器等法の一部を改正する法律（2026年5月施行）

## 改正の趣旨

不正事案の発生等に伴う医薬品の供給不足や創薬環境の変化等の状況に対応し、引き続き品質の確保された医薬品等を国民に迅速かつ適正に提供していくため、医薬品等の品質及び安全性の確保の強化、医療用医薬品等の安定供給体制の強化等、より活発な創薬が行われる環境の整備、国民への医薬品の適正な提供のための薬局機能の強化等の必要な措置を講ずる。

## 改正の概要

### 1. 医薬品等の品質及び安全性の確保の強化【医薬品医療機器等法】

- ① 製造販売業者における医薬品品質保証責任者及び医薬品安全管理責任者の設置を法定化する。
- ② 指定する医薬品の製造販売業者に対して、副作用に係る情報収集等に関する計画の作成、実施を義務付ける。
- ③ 法令違反等があった場合に、製造販売業者等の薬事に関する業務に責任を有する役員の変更命令を可能とする。

### 2. 医療用医薬品等の安定供給体制の強化等【医薬品医療機器等法、医薬基盤・健康・栄養研究所法、麻向法、医療法】

- ① 医療用医薬品の供給体制管理責任者の設置、出荷停止時の届出義務付け、供給不足時の増産等の必要な協力の要請等を法定化する。  
また、電子処方箋管理サービスのデータを活用し、需給状況のモニタリングを行う。
- ② 製造販売承認を一部変更する場合の手続について、変更が中程度である場合の類型等を設ける。
- ③ 品質の確保された後発医薬品の安定供給の確保のための基金を設置する。

### 3. より活発な創薬が行われる環境の整備【医薬品医療機器等法、医薬基盤・健康・栄養研究所法】

- ① 条件付き承認制度を見直し、臨床的有効性が合理的に予測可能である場合等の承認を可能とする。
- ② 医薬品の製造販売業者に対して、小児用医薬品開発の計画策定を努力義務化する。
- ③ 革新的な新薬の実用化を支援するための基金を設置する。

### 4. 国民への医薬品の適正な提供のための薬局機能の強化等【医薬品医療機器等法、薬剤師法】

- ① 薬局の所在地の都道府県知事等の許可により、調剤業務の一部の外部委託を可能とする。
- ② 濫用のおそれのある医薬品の販売について、販売方法を見直し、若年者に対しては適正量に限って販売すること等を義務付ける。
- ③ 薬剤師等による遠隔での管理の下で、薬剤師等が常駐しない店舗における一般用医薬品の販売を可能とする。 等

## 施行期日

公布後6月以内に政令で定める日（ただし、3①②及び4②は公布後1年以内に政令で定める日、1①②③、2①の一部及び4①③は公布後2年以内に政令で定める日、2②は公布後3年以内に政令で定める日）

# 成人と合わせて評価可能な小児（10歳又は12歳以上の小児）の臨床評価の留意点について

## 【目的】

- 小児を対象とした医薬品の臨床開発の効率化、適正化を図ることを目的とし、**成人と合わせて評価可能な小児の年齢層及び疾患について、臨床評価の留意点**をとりまとめた。
- 対象とした疾患に用いられる薬剤すべてで成人と小児を合わせて評価することを求めるものではない。

## 【対象疾患】

- **2型糖尿病、家族性高コレステロール血症、アレルギー疾患、抗菌・抗ウイルス薬、造血器悪性腫瘍**をとりあげた。

## 【対象となる試験】

- 原則として、探索的試験において、成人に対する有効性、安全性について評価され、用法・用量が確定された後の試験を想定。

事務連絡  
令和2年6月30日

各都道府県衛生主管部（局） 御中

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

成人と合わせて評価可能な小児（10歳又は12歳以上の小児）  
の臨床評価の留意点について

今般、小児を対象とした医薬品の臨床開発の一層の効率化、適正化を図ることを目的として、成人と合わせて評価可能な小児の年齢層及び疾患について、臨床評価の留意点を別添のとおり取りまとめましたので、貴管下関係事業者に対し周知願います。

なお、本留意点は、現時点での原則的な考え方をまとめたものであり、個別事例によっては、必ずしもここに示された考え方が当てはまらない場合もあり得ることを申し添えます。

年齢・理解度に則したインフォームドアセントを実施する必要があることは言うまでもない

# PMDA横断プロジェクトチーム「小児開発状況に係る照会事項対応検討PT」

## 「小児用医薬品の開発促進に向けた取組について」

薬機審長発第1618号 薬機RS長発第15号 令和7年3月21日

<https://www.pmda.go.jp/files/000274421.pdf>

PMDAの考えを  
発信

- 成人対象の第Ⅱ相試験（POC試験）以降の治験相談時
  - 国内外の小児医薬品開発計画の有無を企業は相談資料に記載
    - ✓ 記載がない場合には、PMDAは企業に照会

POC : Proof of Concept

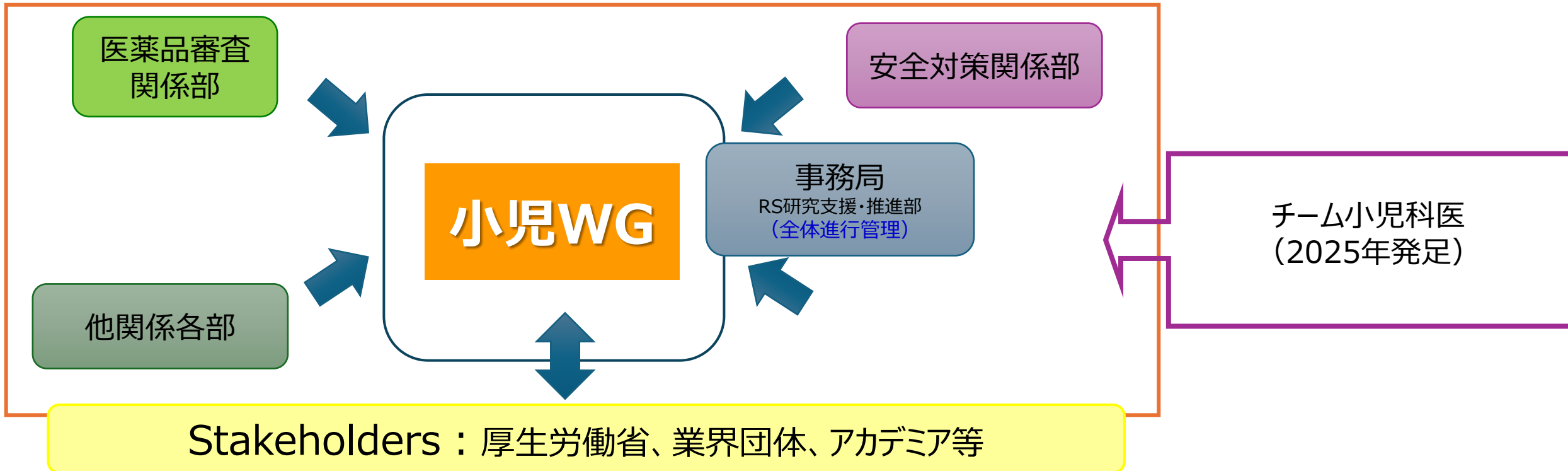


- 下記の場合、PMDAは開発企業に国内開発の検討を依頼
  - 国内の小児開発計画がない
  - 国内の小児開発計画が未定
- 相談記録にも記載

成人での開発段階から小児開発をみすえて検討を開始してもらいたい

# PMDA小児医薬品ワーキンググループ（WG）

- 小児用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



<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/cross-sectional-project/0007.html>

# PMDA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・ガイドラインのPMDAウェブサイトでのまとまった情報提供

レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方

## 小児・希少疾病用医薬品

Click here for English Pages →

小児・希少疾病用（オーファン）医薬品に関連する主なガイダンス・ガイドラインを掲載しています。

### 小児用医薬品

- [小児用医薬品の開発促進に向けた取組について \[203KB\]](#) / [English Version \[229KB\]](#)   
(2025年3月21日薬機審長発第1618号・薬機RS長発第15号)
- 「[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 [195KB] / [English Version \[102KB\]](#)   
(2024年3月29日 医薬審発0329第1号)
- [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質疑応答集（Q&A）について \[196KB\]](#) / [English Version \[140KB\]](#)   
(2024年3月29日 事務連絡)

- ◆ 海外発信等を目的に、英訳の作成及びウェブサイト掲載

Reviews and Related Services

## Pediatric and Orphan Drugs

Add this page to favorites

[日本語ページはこちら →](#)

Links to major regulatory information of pediatric and orphan drugs.

### 1. Regulations and Notifications

#### Pediatric Drugs

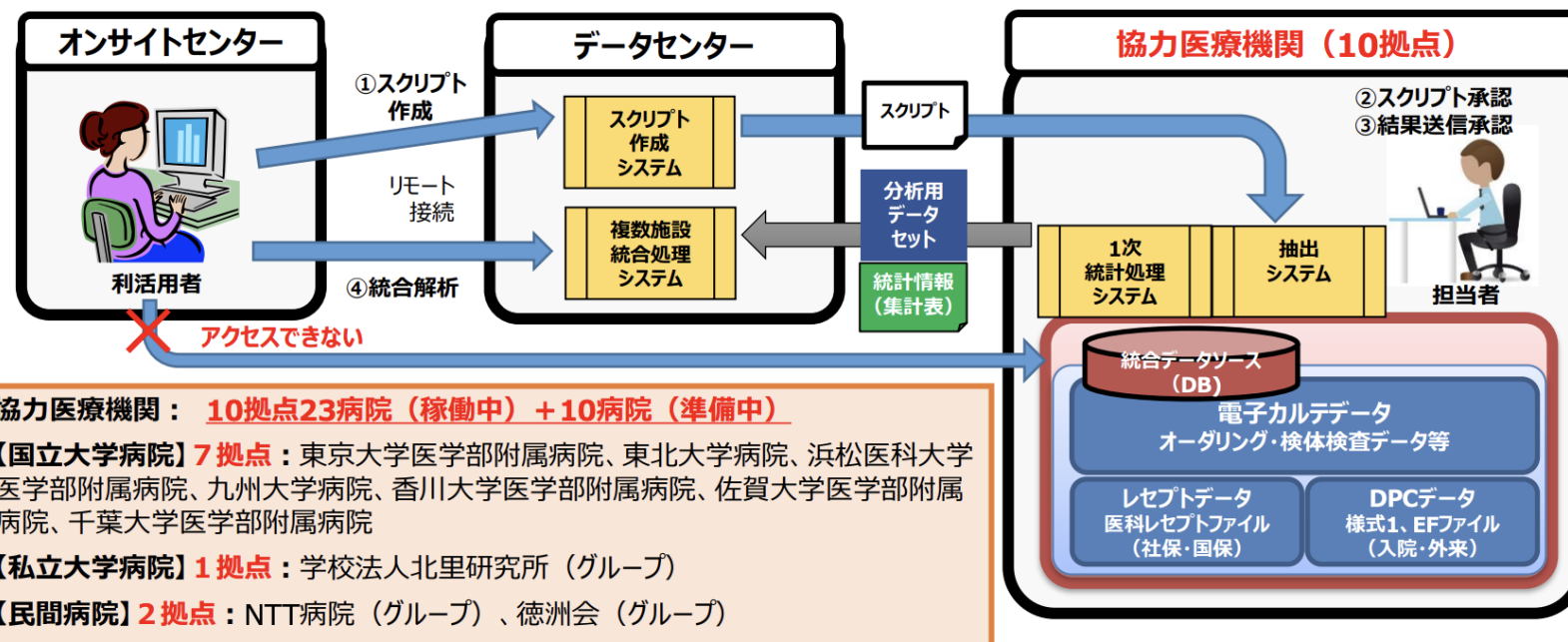
- [Initiatives to Promote Pediatric Drug Development \[229KB\]](#)   
March 21, 2025 PMDA/CPE Notification No. 1618 • PMDA/CRS Notification No. 15
- [Partial revision of "Planning of the Pediatric Drug Development Program during Development of Drugs for Adults" \[102KB\]](#)   
March 29, 2024 PSB/PED Notification No. 0329-1

# 本日の内容

- ✓ 小児の医薬品開発について
- ✓ 日本における小児用医薬品開発に関連する取組み
- ✓ MID-NET®について

# MID-NET®の概要

- 薬剤疫学的手法による医薬品等の安全対策を推進するためのデータベース。  
医薬品医療機器総合機構（PMDA）がPMDA法に基づく業務の一貫として協力医療機関の協力を得ながら管理・運営を実施。
- 2011年に構築を開始。2018年4月に本格稼働（利活用の受付開始）。  
**製造販売後データベース調査も利用可能。**
- 協力医療機関（10拠点）に統合データソース（データベース）を設置している。  
利活用者は、オンサイトセンターからデータセンターにリモート接続し利活用に伴う作業を行う。



**協力医療機関： 10拠点23病院（稼働中）+10病院（準備中）**

**【国立大学病院】7拠点：** 東京大学医学部附属病院、東北大学病院、浜松医科大学医学部附属病院、九州大学病院、香川大学医学部附属病院、佐賀大学医学部附属病院、千葉大学医学部附属病院

**【私立大学病院】1拠点：** 学校法人北里研究所（グループ）

**【民間病院】2拠点：** NTT病院（グループ）、徳洲会（グループ）



# おわりに

承認審査関連業務

PMDA 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」の開催について

2025年8月27日開催

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  
産官患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

