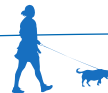


総合シンポジウム5「臨床・製薬企業・行政等に属する小児科医として小児医薬品開発に挑む！」

規制当局における小児科医の活動

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）
ワクチン等審査部 准スペシャリスト（臨床医学担当）
新薬審査第五部併任
ATC・二国間協力部併任
小児用医薬品ワーキンググループ
崎山 美知代



日本小児科学会 COI開示

発表者名： 崎山 美知代

日本小児科学会の定める利益相反に関する
開示事項はありません。

Take Home Message

- ✓ PMDAでは、個々の患者さんを診療しませんが、より良い医薬品・医療機器等を早く日本の子どもたちに届けたいという大きな視点で、小児科医として、日本の医療、患者さんに貢献しています
- ✓ 国内外の薬事行政・医薬品開発等の最新の動きを知ることができます
- ✓ 個別品目の承認審査・治験相談にとどまらず、国際業務等、活躍の場は多岐にわたります
- ✓ PMDAにおける経験や人脈は、ここでしか得られないものも多く、医師としての可能性を広げることができると思います

「小児科医は子どもの総合医である」

将来の小児科医に向けた8つのメッセージ

私たち小児科医は

1. いつでも、子どもたちの味方でいよう
2. 子どもたちそれぞれに個性があり、多様であることを尊重しよう
3. 子どもたちの現在、そして未来を育もう
4. 子どもたちを通して、家族や社会を応援しよう
5. 病院、診療所にとどまらず、外へも出て行こう
6. 社会における役割を考え、子どもたちに関わる全ての人たちと協働しよう
7. リサーチマインドを持って、小児科学、さらに広く学問を追求していこう
8. 子どもたちに関わる喜びを、広く社会に、そして次の世代に伝えよう

日本小児科学会将来の小児科医を考える委員会報告
将来の小児科医への提言2024 より



本日の内容

- PMDAの業務とPMDAで働く医師の業務について
- 小児科医として現在担っている役割
 - ✓ 小児用医薬品ワーキンググループ等
 - ✓ 国際業務
- その他の役割

本日の内容

- PMDAの業務とPMDAで働く医師の業務について
- 小児科医として現在担っている役割
 - ✓ 小児用医薬品ワーキンググループ等
 - ✓ 国際業務
- その他の役割

PMDAの業務

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

承認審査

医薬品等の品質・有効性・安全性について助言、承認審査



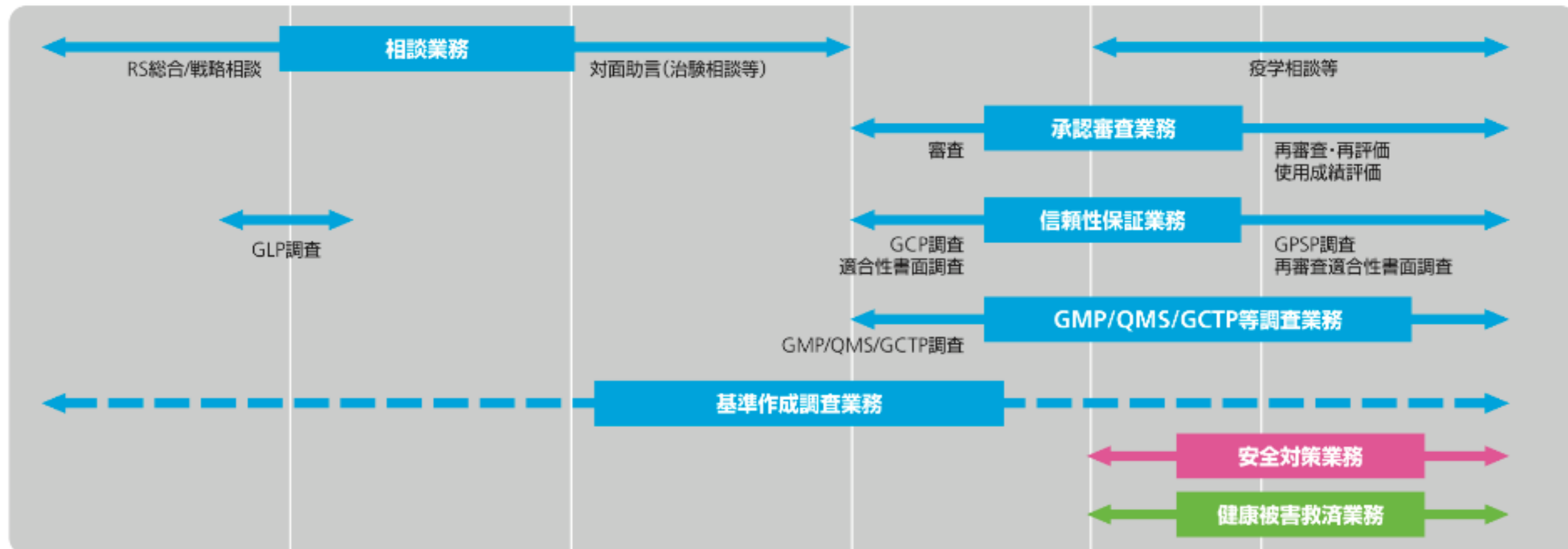
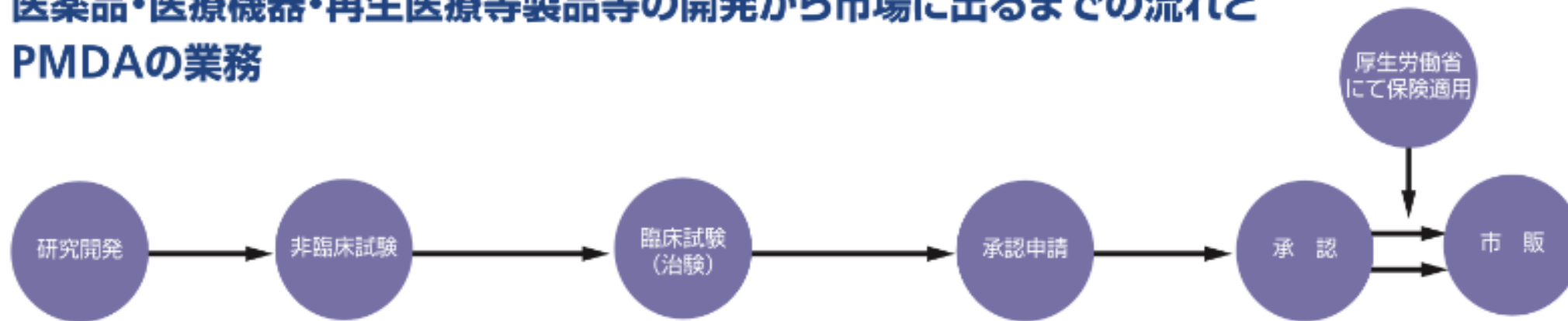
安全対策

市販後の安全性情報の
収集、分析、提供

健康被害救済

医薬品等による健康被害の
迅速な救済

医薬品・医療機器・再生医療等製品等の開発から市場に出るまでの流れと PMDAの業務



PMDAで働く医師

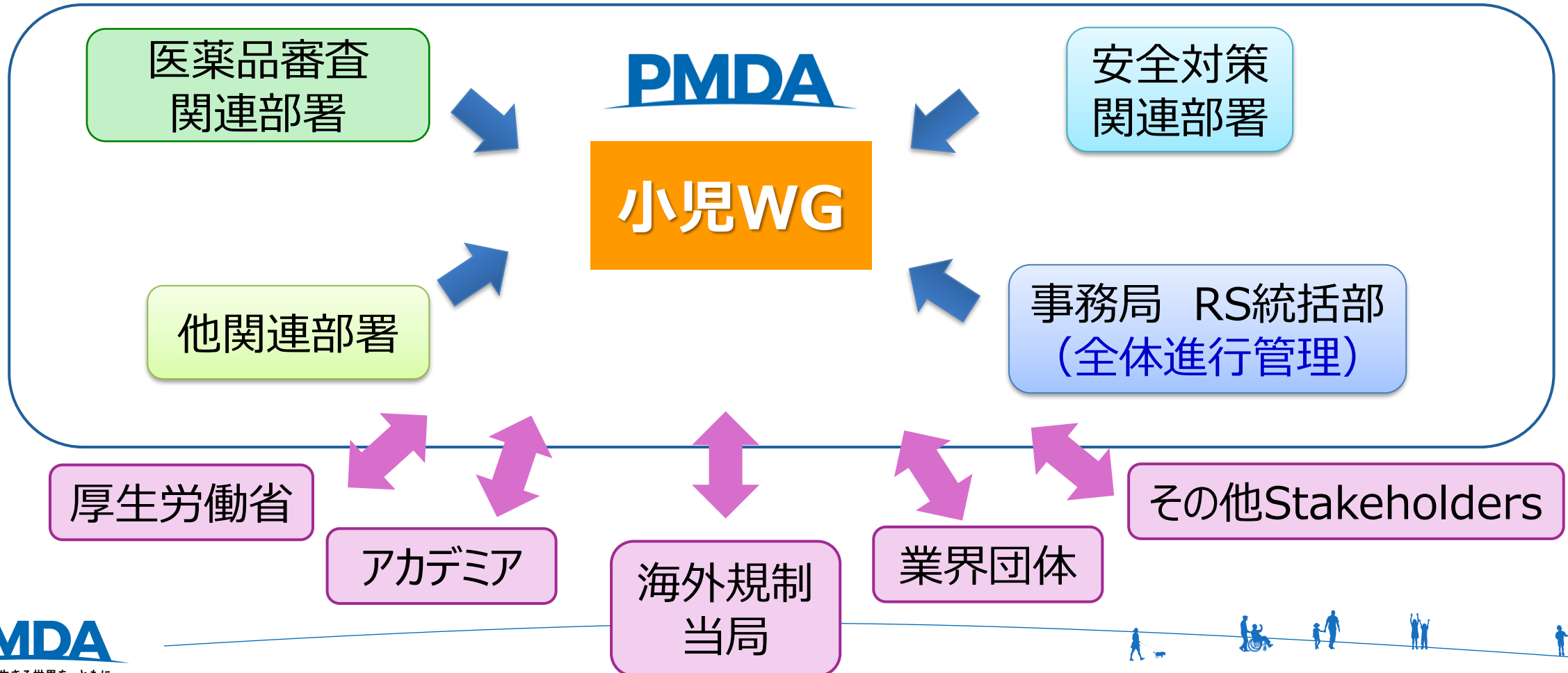
- ✓ 約50～55名程度の医師、歯科医師が常時勤務
- ✓ 承認審査、安全対策、副作用被害救済等の業務において薬学、統計、毒性などの多様な専門性を有するチームの一員として、臨床試験の有効性や安全性の評価方法、データの解釈、実臨床への適用や情報提供の方法などを、臨床経験に裏打ちされた最新の知見に基づいて検討する役割を担う

本日の内容

- PMDAの業務とPMDAで働く医師の業務について
- 小児科医として現在担っている役割
 - ✓ 小児用医薬品ワーキンググループ等
 - ✓ 国際業務
- その他の役割

小児用医薬品ワーキンググループ

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



国内活動の例

- 過去の審査・相談事例の調査・整理
- 学会等における講演、学術雑誌への寄稿を通じて行政としての取組みの紹介やアカデミアとの意見交換
- PMDA内での小児用医薬品開発に関する意見聴取、問題意識の共有
 - 「小児医薬品について考える会」の開催、考え方の標準化
- PMDAワークショップ等の開催
- 国内のステークホルダーとの連携・意見交換
 - 小児医薬品開発に関連する厚労科研／AMED研究班への協力
 - 厚生労働省、アカデミア、業界団体等との意見交換

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

- ✓ 欧米では成人を対象とした医薬品の開発段階で小児用医薬品の開発計画が策定される
- ✓ 日本における小児用医薬品の開発を海外に遅れることなく進めるためにPMDAが
 - 成人を対象とした医薬品開発のより早期の段階から小児用医薬品の開発を含めた医薬品開発計画の全体像を把握
 - 必要に応じて、製薬企業等に対して日本での小児用医薬品開発を促す

国際活動の例

- 海外規制当局との連携
 - EMA（欧州）、FDA（米国）、HC（カナダ）、TGA（オーストラリア）との小児薬物療法に関するオンライン会議への参加（毎月）
 - EMA、FDA等が主催するワークショップ・セミナー等への参加、共同で論文執筆・投稿
 - WHOが主催するセミナーへの参加・講演 等
- PMDA ATC (-U.S.FDA) Pediatric Seminarの開催
- ICH対応

欧米を含む薬事規制の国際調和会議でガイドライン作成に関与

PMDA ATC (& U.S. FDA) Pediatric Review Seminar

- 2018年からU.S. FDAと合同で開催
- アジアを中心とした海外規制当局の職員30名程度
- 講師による小児用医薬品開発に関連する講義とグループに分かれたケーススタディを実施
- 希望する国/地域には、U.S.FDA、PMDAとの三者面談も実施
- EMAにも講師を依頼

◆世界的な小児用医薬品開発の促進

◆アジア等諸国における小児用医薬品開発に関連する協力関係の構築

◆セミナーを通じてアジア等の規制当局の人材育成に貢献

ICH 医薬品規制調和国際会議

- 医薬品規制当局と製薬業界の代表者が協働して、医薬品規制に関するガイドラインを科学的・技術的な観点から作成する国際会議
- 医薬品の品質・有効性・安全性の各分野のトピックごとに、各メンバーを代表する専門家が専門作業部会で協議し、ガイドライン（科学的・倫理的に適切と考えられる指針）の作成等を行っている

Quality **S**afety **E**fficacy **M**ultidisciplinary

E11(R1)（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）及びE11A（小児用医薬品開発における外挿）の作業部会に、PMDA/MHLW（厚生労働省）を代表するメンバーの一員として参加



本日の内容

- PMDAの業務とPMDAで働く医師の業務について
- 小児科医として現在担っている役割
 - ✓ 小児用医薬品ワーキンググループ等
 - ✓ 国際業務
- その他の役割

その他の役割の例

- ✓ GCP実地調査（治験実施医療機関等に調査に行く）
 - 治験実施にあたり、被験者の人権等への配慮がなされたか
 - 治験実施計画書を遵守して治験が実施されたか
 - 科学的な質と成績の信頼性が確保されているか 等
- ✓ 実施中の治験から報告された副作用の情報整理、対応検討
- ✓ 市販後の安全対策にかかわる業務
 - 副作用報告等の情報整理、安全対策の要否の検討
 - 添付文書改訂 等
- ✓ 医薬品等の副作用による小児の健康被害救済にかかわる案件対応
- ✓ 小児用医療機器の治験相談・審査に関する対応
- ✓ 一般薬審査部門からの小児関連問合せ対応 など

Take Home Message

- ✓ PMDAでは、個々の患者さんを診療しませんが、より良い医薬品・医療機器等を早く日本の子どもたちに届けたいという大きな視点で、小児科医として、日本の医療、患者さんに貢献しています
- ✓ 国内外の薬事行政・医薬品開発等の最新の動きを知ることができます
- ✓ 個別品目の承認審査・治験相談にとどまらず、国際業務等、活躍の場は多岐にわたります
- ✓ PMDAにおける経験や人脈は、ここでしか得られないものも多く、医師としての可能性を広げることができると思います

PMDA

健やかに生きる世界を、ともに

