小児用医薬品開発に関する治験相談についての Q&A

PMDA 小児用医薬品ワーキンググループ

令和 8 年 10 月 23 日

Q1：小児用医薬品開発に関連して、モデリング＆シミュレーション（以下、「M&S」）、小児外挿等を利用した開発戦略について、その可否や妥当性の判断は対面助言での議論になるものの、まず機構と情報共有し、意見交換を実施したい場合、どのような相談が利用可能でしょうか。

A1：事前面談（個別品目に対する開発戦略）及び医薬品開発パイプライン面談（個別品目によらない意見交換）において情報共有や意見交換が可能です。なお、当該面談を踏まえて、詳細なデータに基づいた議論を希望される場合には対面助言での議論が必要となりますので、適切な対面助言の相談枠の選定について、引き続き、事前面談でご相談ください。

Q2：小児用医薬品開発に関する M&S 計画を立案し、対面助言を実施する予定です。対面助言での議論の結果、小児用医薬品開発に関して国内外を問わず小児を対象とした臨床試験を実施しない開発計画を機構と合意した場合においても、PMDA における「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（令和 6 年 1 月 12 日付け医薬薬審発 0112 第 3 号、令和 8 年 2 月 27 日最終改正）」（以下、「R6 年通知」）に基づく確認を受けることは可能でしょうか。

A2：R6 年通知及び同通知に関する Q&A に記載のとおり、当該対面助言において、M&S 計画により国内外を問わず小児臨床試験を実施しない臨床データパッケージについて合意された場合には、相談者からの希望に応じて、当該内容に関して R6 年通知に基づく確認を実施した旨を当該対面助言の相談記録に記載することは可能です。

Q3：「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）の改正について（令和 8 年 2 月 27 日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡）」の QA14 において、PMDA の確認後に小児用医薬品開発計画に大幅な変更が生じた場合の対応について解説されており、改めての確認は必須ではないものの、PMDA の確認を受けることもできる旨が回答されています。変更後の計画について技術的・戦略的なアドバイスを求める際にはどの相談枠を利用すればよいでしょうか。

A3：開発計画の変更に関して技術的・戦略的な議論を希望される場合は、「小児用医薬品開発計画確認相談」ではなく、開発相に応じた治験相談での相談になりますが、まずは事前面談で情報共有いただくことも可能です。適切な相談枠が不明の場合にも事前面談でご相談ください。なお、既に対面助言（医薬品第Ⅱ相試験終了後相談等）を実施している場合は、「医薬品追加相談」の枠が利用可能な場合がありますので Q6 も参照ください。

Q4：小児用医薬品開発の開発戦略全体について初期段階から助言を得たい場合や、利用可能な薬事上の支援制度（例：優先審査）の該当性に関してはどのように相談すればよいでしょうか。

A4：小児用医薬品開発の開発戦略全体の助言を希望される場合は、相談内容を明確にした上で PMDA での対面助言をご利用ください。適切な相談枠が不明の場合は事前面談でご相談ください。

また、各種指定制度（主なものとして、希少疾病用医薬品、特定用途医薬品等）において、小児用医薬品開発に係る優先相談／優先審査やその他の開発支援が受けられます。各種指定制度の指定要件を確認の上、希少疾病用医薬品や特定用途医薬品の指定制度への該当性については、相談窓口である厚生労働省医薬局医薬品審査管理課へお問合せください。なお、PMDA が専用の相談枠を設定している、その他の指定制度については、当該相談枠の利用方法や適切な相談の進め方について事前面談を利用してご相談ください。

Q5：成人と小児の疾患／病態が同一、又は類似する場合において、成人と小児それぞれ別の臨床試験の実施を計画し、同時に対面助言を申込む場合には、それぞれ 1 件ずつの対面助言の申込みが必要となるのでしょうか。横断的に一括して 1 件の対面助言として相談することは可能でしょうか。

A5：対面助言については、相談内容（成人と小児で臨床試験デザインや主な論点が類似している場合等）によっては、横断的に一括して 1 件の対面助言として相談できる場合があります。ただし、成人と小児で臨床試験デザインや主な論点が大きく異なる場合には、論点が多岐に渡る可能性があり、また限られた時間の範囲で十分な議論を行うことが困難となる可能性があることから、1 件の対面助言として対応することが困難な場合もあります。必ず事前面談を申込み、成人及び小児の開発計画を提示して、一括して対面助言の相談事項とすることが可能か相談してください。

Q6：小児の年齢層（例：12 歳以上、6～12 歳未満等）ごとに段階的に臨床試験を実施する場合、臨床試験計画を立案するタイミングが異なります。小児用医薬品開発計画の全体像についてすでに R6 年通知に基づく確認を受けていることを前提として、年齢層が異なっても、連続する一連の小児用医薬品開発として、後日実施する対面助言において「医薬品追加相談」の相談枠を利用することは可能でしょうか。

A6：特定の年齢層（例：12 歳以上）に係る小児に関する開発の対面助言が実施されており、当該対面助言において後から立案される年齢層（例：6～12 歳未満）での小児用医薬品開発の意向が示されている場合であって、かつ小児用医薬品開発の全体像について R6 年通知に基づく PMDA の確認がすでに実施されている（相談記録、審査報告書等が発出されている）品目については、後日実施する年齢層の小児に係る臨床試験計画に関する対面助言として「医薬品追加相談」が利用できる場合があります。

さらに、試行的かつ時限的な取組みとして、成人に対する開発に関して検証的試験に係る対面助言が実施されており、当該対面助言において成人での開発対象となる効能・効果に係る小児用医薬品開発の意向が示されている場合であって、かつ小児用医薬品開発計画

についてR6年通知に基づく確認がすでに実施されている品目については、当該確認を受けた小児に係る臨床試験計画に関する対面助言として、「医薬品追加相談」が利用できる場合があります。

ただし、年齢層ごとに臨床試験デザイン（M&S を利用した開発戦略など）、疾患の特徴、論点等が大きく異なる場合には「医薬品追加相談」で対応できない場合も想定されますので、「医薬品追加相談」での対応可否については、必ず事前面談を利用してご相談ください。また、当該追加相談に係る対面助言の日程調整依頼書には、相談区分の欄に「もとの相談の受付番号及び区分」を記載することに加えて、備考欄において、「医薬品追加相談」として実施することを相談した事前面談の実施日を記載してください。

以上