

(C) costs to consumers and private insurers as a result of any delay in the availability of lower cost generic equivalents of drugs tested and granted exclusivity under the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (21 U.S.C. 301 et seq.), and loss of revenue by the generic drug industry and retail pharmacies as a result of any such delay; and (D) the benefits to the government, to private insurers, and to consumers resulting from decreased health care costs, including—

(i) decreased hospitalizations and fewer medical errors, due to more appropriate and more effective use of medications in children as a result of testing and re-labeling because of the amendments made by this Act;

(ii) direct and indirect benefits associated with fewer physician visits not related to hospitalization;

(iii) benefits to children from missing less time at school and being less affected by chronic illnesses, thereby allowing a better quality of life;

(iv) benefits to consumers from lower health insurance premiums due to lower treatment costs and hospitalization rates; and

(v) benefits to employers from reduced need for employees to care for family members.

(3) The nature and type of studies in children for each drug granted exclusivity under the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (21 U.S.C. 301 et seq.), including—

(A) a description of the complexity of the studies;

(B) the number of study sites necessary to obtain appropriate data;

(C) the number of children involved in any clinical studies; and

(D) the estimated cost of each of the studies.

(4) Any recommendations for modifications to the programs established under section 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (21 U.S.C. 355a) and section 4091 of the Public Health Service Act (as added by section 3) that the Secretary determines to be appropriate, including a detailed rationale for each recommendation.

(5) The increased private and Government-funded pediatric research capability associated with this Act and the amendments made by this Act.

(6) The number of written requests and additional letters of recommendation that the Secretary issues.

(7) The prioritized list of off-patent drugs for which the Secretary issues written requests.

(8)(A) The efforts made by the Secretary to increase the number of studies conducted in the neonate population; and

(B) the results of those efforts, including efforts made to encourage the conduct of appropriate studies in neonates by companies with products that have sufficient safety and other information to make the conduct of studies ethical and safe.

SEC. 17. ADVERSE-EVENT REPORTING.

(a) TOLL-FREE NUMBER IN LABELING.—Not later than one year after the date of the enactment of this Act, the Secretary of Health and Human Services shall promulgate a final rule requiring that

the labeling of each drug for which an application is approved under section 505 of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (regardless of the date on which approved) include the toll-free number maintained by the Secretary for the purpose of receiving reports of adverse events regarding drugs and a statement that such number is to be used for reporting purposes only, not to receive medical advice. With respect to the final rule:

(1) The rule shall provide for the implementation of such labeling requirement in a manner that the Secretary considers to be most likely to reach the broadest consumer audience.

(2) In promulgating the rule, the Secretary shall seek to minimize the cost of the rule on the pharmacy profession.

(3) The rule shall take effect not later than 60 days after the date on which the rule is promulgated.

(b) DRUGS WITH PEDIATRIC MARKET EXCLUSIVITY.—

(1) IN GENERAL.—During the one year beginning on the date on which a drug receives a period of market exclusivity under 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act, any report of an adverse event regarding the drug that the Secretary of Health and Human Services receives shall be referred to the Office of Pediatric Therapeutics established under section 6 of this Act. In considering the report, the Director of such Office shall provide for the review of the report by the Pediatric Advisory Subcommittee of the Anti-Infective Drugs Advisory Committee, including obtaining any recommendations of such subcommittee regarding whether the Secretary should take action under the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act in response to the report.

(2) RULE OF CONSTRUCTION.—Paragraph (1) may not be construed as restricting the authority of the Secretary of Health and Human Services to continue carrying out the activities described in such paragraph regarding a drug after the one-year period described in such paragraph regarding the drug has expired.

SEC. 18. MINORITY CHILDREN AND PEDIATRIC-EXCLUSIVITY PROGRAM.

(a) PROTOCOLS FOR PEDIATRIC STUDIES.—Section 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (21 U.S.C. 355a) is amended in subsection (d)(2) by inserting after the first sentence the following: “In reaching an agreement regarding written protocols, the Secretary shall take into account adequate representation of children of ethnic and racial minorities.”

(b) STUDY BY GENERAL ACCOUNTING OFFICE.—

(1) IN GENERAL.—The Comptroller General of the United States shall conduct a study for the purpose of determining the following:

(A) The extent to which children of ethnic and racial minorities are adequately represented in studies under section 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act; and to the extent ethnic and racial minorities are not adequately represented, the reasons for such under representation and recommendations to increase such representation.

(B) Whether the Food and Drug Administration has appropriate management systems to monitor the representation of the children of ethnic and racial minorities in such studies.

(C) Whether drugs used to address diseases that disproportionately affect racial and ethnic minorities are being studied for their safety and effectiveness under section 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act.

(2) DATE CERTAIN FOR COMPLETING STUDY.—Not later than January 10, 2003, the Comptroller General shall complete the study required in paragraph (1) and submit to the Congress a report describing the findings of the study.

SEC. 19. TECHNICAL AND CONFORMING AMENDMENTS.

Section 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (21 U.S.C. 355a) (as amended by sections 2(1), 5(b)(2), 9, 10, 11, and 17) is amended—

(1)(A) by striking “(j)(4)(D)(ii)” each place it appears and inserting “(j)(5)(D)(ii)”;

(B) by striking “(j)(4)(D)” each place it appears and inserting “(j)(5)(D)”;

(C) by striking “505(j)(4)(D)” each place it appears and inserting “505(j)(5)(D)”;

(2) by redesignating subsections (a), (g), (h), (i), (j), (k), (l), (m), (n), and (o) as subsections (b), (a), (g), (h), (n), (m), (i), (j), (k), and (l) respectively;

(3) by moving the subsections so as to appear in alphabetical order;

(4) in paragraphs (1), (2), and (3) of subsection (d), subsection (e), and subsection (m) (as redesignated by paragraph (2)), by striking “subsection (a) or (c)” and inserting “subsection (b) or (c)”;

(5) in subsection (g) (as redesignated by paragraph (2)), by striking “subsection (a) or (b)” and inserting “subsection (b) or (c)”.

Speaker of the House of Representatives.

*Vice President of the United States and
President of the Senate.*

BPCA

第 107 回米国連邦議会

第一部

2001 年 1 月 3 日水曜日開始及び閉會

於：ワシントン D.C.

法律

小児用医薬品の安全性有効性改善を目的とした米連邦食品医薬品化粧品法の改正。

議会に於いて、米国合衆国の上院並びに下院によって制定される。

第 1 項. 法律の略称

本法律は、「最適な小児用医薬品の法律」と引用することができる。

第 2 項. 市販済み薬剤の小児試験

米連邦食品医薬品化粧品法 (21 U.S.C.355a) セクション 505A を次のように改正する：

- (1) サブセクション(b)を削除する；また
- (2) サブセクション(c)では—

- (A) 「長官」の後に、以下を挿入する：「小児対象群に於ける承認済み薬剤の使用に関連した情報によって当該対象群に於ける健康上の利益を生み出すことを確認し」；また
- (B) 「サブセクション(b)で詳述されたリストに於いて同定された薬剤に関し」を削除する。

第 3 項. 薬剤の試験の為の研究基金

公衆衛生法 (42 U.S.C.284 et seq.) のタイトル IV パート B を次のように改正する—

- (1) 臨床研究 (42 U.S.C. 284k) に関連したセクション 409C をセクション 409G に変更する；
- (2) 奨励賞 (42 U.S.C. 284l) に関連したセクション 409D をセクション 409H に変更する；
- (3) 最終部分に次の文を追加する：

第 409I. 薬剤の小児試験プログラム

(a)小児試験が必要とされる薬剤のリスト—

- (1) 一般規定—長官は、本条項発効月日から一年以内に、米国国立保健研究所所長を通して、また食品医薬品行政官及び小児研究専門家と協議の上、次に該当する承認済み薬剤の年間リストを作成し、優先順位を付けて発効する：

- (A) (i) 米連邦食品医薬品化粧品法 (21 U.S.C.355(j)) のセクション 505(j)下で承認済みの申請が 1 件ある；
 - (ii) 米連邦食品医薬品化粧品法 (21 U.S.C.355(j)) のセクション 505(j)の等級下で提出されている申請が 1 件ある；
 - (iii) 米連邦食品医薬品化粧品法 (21 U.S.C. 301 et seq.) 下で、特許権保護或いは市場優先権保護が無い；或いは
 - (iv) 米連邦食品医薬品化粧品法 (21 U.S.C.355a(d)(4)(C)) のセクション 505A(d)(4)(C)下で、リストに含めるかどうかの照会が 1 件あった；そして、
 - (B) サブパラグラフ(A)(i)、(ii)、或いは(iii)で言及している薬剤の場合は、小児群での本薬剤使用に於ける安全性及び有効性を評価する為の追加試験が必要である。
- (2) 入手可能な情報の考慮—長官は、パラグラフ(1)下でリストを作成し、優先順位を付ける上で、リスト上の各薬剤について、次の点を考慮する—
- (A) 本薬剤の、小児群に於ける安全且つ有効な使用に関する情報の入手可能性；
 - (B) 追加情報の必要性；
 - (C) 本薬剤に関する新たな小児試験がもたらす小児群への健康上の利益の有無；
 - (D) 本薬剤の再処方必要性

(b) 小児試験の為の契約—長官は、小児臨床試験を実施する専門技術を有する事業体（適格な大学、病院、研究所、契約している研究施設(CRO)並びに、小児薬理研究施設のような国家基金プログラム、その他の公立或いは私立機関、或いは個人）に契約を授与することによって、その事業体が、サブセクション(a)で説明しているリストに於いて同定される一つかそれ以上の薬剤に関する小児試験を実施できるようにする。

(c) 契約及びラベリング変更の手順—

- (1) 排他性を欠く薬剤についての承認済み申請書保持者に対する書面によるリクエスト—食品医薬品行政官は、国立保健研究所所長との協議に際して、サブセクション(a)(1)(A)で説明しているリストに於いて同定される薬剤に関する小児試験について、米連邦食品医薬品化粧品法のセクション 505 に於けるその薬剤についての承認済み申請保持者すべてに対して、（同意書に関する交渉期限を含めた）書面によるリクエストを発行する可能性がある。こうした書面によるリクエストは、米連邦食品医薬品化粧品法のサブセクション 505A(a)或いは(b)の下で作成される書面によるリクエストの場合と同様の方法で作成され、そのリクエストに準拠して実施される小児試験から提供される情報を考慮する。
- (2) 契約提案のリクエスト—食品医薬品行政官が、パラグラフ(1)に於けるリクエスト発行から 30 日以内に書面によるリクエストへの回答を受領しない場合、或いはサブセクション(a)(1)(A)(iv)で説明している照会が為された場合は、長官は、国立保健研究所所長を通して、また食品医薬品行政官及び小児研究専門家と協議の上、書面によるリクエストで

説明されている小児試験を実施する為に、契約提案のリクエストを発行する。

- (3) 資格剥奪—最優先拒絶権を受領する保持者は、パラグラフ(2)で言及する契約提案のリクエストに応える資格は無い。
- (4) ガイダンス—本セクション制定日から 270 日以内に、食品医薬品行政官は、パラグラフ(1)の書面によるリクエストへの回答の提出に関するプロセスを確立する為のガイダンスを公表する。
- (5) 契約—本セクション下の契約は、本契約の提案が、本セクション遂行に必要と長官が判断する様な然るべき書式及び方式に則って長官に提出され、また然るべき同意書、保証書及び情報を含んでいる場合に限って授与される。

(6) 試験の報告—

(A) 一般規定—本セクション下で授与される契約に則った小児試験完了に際して、試験に関する報告書を、国立保健研究所所長及び食品医薬品行政官に提出する。報告書には、本試験との関連で生じた全てのデータを含む。

(B) 報告書の入手可能性—サブパラグラフ(A)の下で提出される各報告書は(米連邦食品医薬品化粧品法 (21 U.S.C.355a(d)(4)(D)のセクション 505A(d)(4)(D)に準拠して) 公有財産と見做され、食品医薬品行政官によって、案件整理番号を冠せられる。興味があれば、こうした小児試験に関する書面によるコメントを食品医薬品行政官に提出すれば、そうした書面によるコメントが、それぞれの薬剤についての案件ファイルに組み込まれる。

(C) 行政官の対処—食品医薬品行政官は、サブパラグラフ(A)に則って提出された報告書に対し、パラグラフ(7)に準拠して、適切に対処する。

(7) ラベリング変更のリクエスト—パラグラフ(6)(A)の下で提出された報告書の日付から 180 日間、食品医薬品行政官は：

- (A) 試験の対象である薬剤の小児群に於ける安全且つ効果的な使用に関する報告書及びその様なその他のデータを、それぞれ入手できる都度検討する；
- (B) 食品医薬品行政官が適切であると見做し、保持者に施行を請求したラベリング変更の為に治験が行なわれた薬剤の承認済み申請保持者と交渉する；そして
- (C) (i) 公的な案件ファイル中に、その報告書及び請求のあったラベリング変更それぞれのコピーを一部収める；そして(ii) 報告書の概要及び請求のあったラベリング変更のコピー一部を官報に於いて公表する。

(8) 紛争の解決—

(A) 抗感染症薬諮問委員会の小児諮問小委員会への照会—パラグラフ(7)で特定している 180 日間の終了前であれば、そのパラグラフ下で食品医薬品行政官によって請求されるラベリング変更、関連薬剤の承認済み申請書保持者が同意しない場合は、食品医薬品行政官は、抗感染症薬諮問委員会の小児諮問小委員会にその請求を照会することが出来る。

- (B) 抗感染症薬諮問委員会の小児諮問小委員会の行動—サブパラグラフ(A)の下で照会を受けてから 90 日以内に、抗感染症薬諮問委員会の小児諮問小委員会は：
- (i) このセクション下で提出された試験報告書を含め、小児群に於ける本薬剤の安全且つ効果的な使用についての入手可能な情報を検討する；そして
 - (ii) 適切なラベリング変更があれば、食品医薬品行政官に推奨する。
- (9) FDA の決定—或る薬剤に関し、パラグラフ(8)(B)(ii)の下で、抗感染症薬諮問委員会の小児諮問小委員会から勧告を受領してから 30 日以内に、食品医薬品行政官はその勧告を考慮し、食品医薬品行政官が適切であると考えるラベリング変更を実施する為、その薬剤の承認済み申請書保持者に請求を行なう。
- (10) 同意が得られない場合—パラグラフ(9)で述べたラベリング変更を行なう為の請求を受領してから 30 日以内に、薬剤の承認済み申請書保持者が、請求されたラベリング変更の実施に同意しない場合は、食品医薬品行政官は、米連邦食品医薬品化粧品法 (21 U.S.C. 301 et seq.) の下で、その薬剤が不正商標表示されたものと見做す可能性がある。
- (11) 当局への影響は無いこと—本サブセクションは、或る薬剤が適切な小児ラベリングを欠いている場合、米連邦食品医薬品化粧品法の下で米国当局の強制措置をなんら制限するものではない。何れの行動方針（抗感染症薬諮問委員会の小児諮問小委員会のプロセス或いは前文で言及した強制措置）も、妨げる、遅延させる或いは他方の行動方針を中止させる基盤として働くといったことはない。
- (12) 製剤変更勧告—公的契約の下で完了した小児試験が、製剤変更の必要性を示唆し、長官が同意した場合は、長官はそれぞれの承認済み申請書保持者に対し、その変更に関する拘束性のない勧告レターを送付する。
- (d) 経費の認可—
- (1) 一般規定—本セクション実施の為に認可される経費は：
 - (A) 2002 年度は\$200,000,000；また
 - (B) その後の 5 年度それぞれに必要な金額
 - (2) 入手可能性—パラグラフ(1)で認可される金額は、本セクション実施の為に全額支出されるまで継続的に使用可能である。

第 4 項 市場優先権を持つ医薬品の承認取得者に対する書面要請

食品医薬品化粧品法 Section 505A(d) (21 U.S.C. 355a(d)) を改訂し、最後に次の項目を追記する。

“(4) 市場優先権を持つ医薬品の承認取得者への書面要請—

“(A) 要請と回答—長官 (Secretary) が Section 505(b)(1)に基づく承認の取得者に対し、subsection(c)の下に小児 (必要に応じて新生児を含む) 試験の実施を書面で要請した場合、

承認取得者は要請を受けてから 180 日以内に、要請に対する意思を下記のいずれかを持って長官に回答すること。

“(i) 要請に同意する場合、小児試験の開始時期を表明する。

“(ii) 要請に同意しないことを表明する。

“(B) 要請の拒否

“(i) 照会－承認取得者が subparagraph (A) に示された期限内に書面要請に同意せず、長官が小児（必要に応じて新生児を含む）集団への医薬品の適応に関する情報が引き続き必要であると判断する場合、長官は当該小児試験の実施について、公衆衛生法（42 U.S.C. 290b）に基づき設立された国立衛生研究所（NIH）基金（本章では「基金」と表す）に付託する。

“(ii) 公示－長官は(i)で照会した医薬品名、製造者名および、予定される試験における適応症を公示しなければならない。

“(C) 資金の不足－subparagraph (B)(i)の照会に基づき、基金は当該試験実施への助成を提案する。ただし、ガイダンスに基づき適切であると長官が判断する期間内に Section 499(j)(9)(B)(i)に基づき、当該試験を実施する資金がないことを証明した場合を除く。基金がこのように証明した場合、長官は当該試験の実施に関し、公衆衛生法 Section 409I に基づき作成されるリストへの当該医薬品の収載について照会する。

“(D) SUBSECTION の効果－本 subsection の内容は本法 Section 301(j)、合衆国法典 title 5 の section 552、title 18 の section 1905 を変更または修正するものではない。

“(E) 要請の非要件性－本 subsection は、拒否された書面要請が全て基金に照会されなければならないと解釈されるものではない。

“(F) SUBSECTION (b)に基づく書面要請－書面要請が拒否された subsection (b)に基づく医薬品について、長官が小児（必要に応じて新生児を含む）患者への医薬品の適応に関する情報が引き続き必要であると判断する場合、長官は医薬品の承認日以降に subsection (c) に基づき書面要請を行う。

第 5 項 優先性が認められる医薬品の適時な承認事項の変更：薬剤費

(a) 小児適応に関する薬剤費免除の撤廃－食品医薬品化粧品法 Section 736(a)(1) (21 U.S.C. 379h(a)(1)) を改訂し、

(1) subparagraph (F)を削除する。

(2) subparagraph (G)を subparagraph (F)に変更する。

(b) 承認事項の変更－

(1) 優先的な適応追加の定義－食品医薬品化粧品法 Section 201 (21 U.S.C. 321) を改訂し、最後に次の項目を追記する。

“(kk) 優先的な適応追加－「優先的な適応追加」は 1997 年制定の医薬品食品行政近代化法 Section 101(4) (111 Stat. 2298) による医薬品承認申請を示す。

(2) 優先的な適応追加の取扱い—食品医薬品化粧品法 Section 505A (21 U.S.C. 355a) を改訂し、最後に次の項目を追記する。

“(1) 承認事項の追加—

“(1) 小児への適応追加の優先—Section 505 に基づく小児試験の報告により提案される承認事項申請の承認事項の変更は—

“(A) 優先的な適応追加と考慮される

“(B) 優先審査担当官 (Commissioner) の達成目標とされる

“(2) 異議の解決—

“(A) 承認事項変更要請および同意拒否—担当官が本 Section に基づいて行われた小児試験に関する申請が承認に値し、本申請の査定に際する未解決な問題は、申請医薬品の承認事項変更に関する申請者と担当官の間の合意のみであると判断する場合、申請日より 180 日以内に、

“(i) 担当官は適切だと判断した全ての承認事項変更を申請者に要請する

“(ii) 申請者が担当官に要請された承認事項変更に同意しない場合、担当長官は本件を抗感染症薬諮問委員会小児分科委員会に照会する。

“(B) 抗感染症薬諮問委員会小児分科委員会の責務—Subparagraph (A)(ii)に関する照会より 90 日以内に、抗感染症薬諮問委員会小児分科委員会は

“(i) 当該小児試験報告書を審査する

“(ii) 適切な承認事項変更に関する勧告がある場合、担当官に報告する

“(C) 勧告の検討—担当官は抗感染症薬諮問委員会小児分科委員会の勧告を検討し、適切であると考えられる場合、勧告を受けてから 30 日以内に、申請者に担当官が適切であると考えられる承認事項変更を要請する。

“(D) 不正表示—申請者が担当官の承認事項変更要請に同意しない場合、subparagraph (C) の要請を受けてから 30 日以内に、担当長官は当該医薬品が不正表示にあたりとみなすことがある。

“(E) 本 subsection の内容は、医薬品が適切な小児適応を欠いている場合に本法に基づきとられる米国当局の執行権限を制約するものではない。いずれの措置 (抗感染症薬諮問委員会小児分科委員会の手続き、または前文に従った執行業務) も他の措置を排除、遅滞、または延期するための根拠とされることは無い。

第 6 項 小児科治療局 (OFFICE OF PEDIATRIC THERAPEUTICS)

(b) 設立—保健・福祉サービス長官は、小児科治療局を食品医薬品局(FDA)内に設立する。

(c) 責務—小児科治療局は、食品医薬品局における小児集団または小児科への影響、および他の何らかの形で小児科に関連する可能性のある全ての業務の調整と促進に関与する。

- (d) 職員—小児科治療局の職員は、小児科治療領域を担当する保健・福祉サービス局の職員と協力する。また、
- (1) 小児集団の臨床試験の実施に伴う倫理的問題に関する専門知識をもつ 1 人以上の追加人員、および
 - (2) subsection (b)に示された活動の遂行に必要な小児科専門知識を持つ 1 人以上の追加人員を含む。

第 7 項 新生児

食品医薬品化粧品法 Section 505A(g) (21 U.S.C. 355a(g)) を改訂し、「小児年齢群」の後ろに「(必要に応じて新生児を含む)」を追記する。

第 8 項 優先期間の満了

食品医薬品化粧品法第 505A 条 (21 U.S.C. 355a) を改訂し、subsection (j)を削除し、次の項目を追記する。

“(j) 優先期間の満了—subsection (a)または(c)は、一医薬品に対し 6 ヶ月以上適応されない。ただし、以下の場合を除く—

“(1) 2007 年 10 月 1 日、またはそれ以前に長官が当該医薬品の小児試験について書面要請を行った場合。

“(2) 2007 年 10 月 1 日、またはそれ以前に Section 505(b)に基づく申請が承認された場合、および

“(3) 本 section の全ての項目が満たされた場合。

第 9 項 小児情報公開

食品医薬品化粧品法 Section 505A (21 U.S.C. 355a) (section 5(b)(2)で改訂済み) を改訂し、次の項目を追記する。

“(m) 小児情報公開—

“(1) 概要—本 section に基づく小児試験の報告書提出から 180 日以内に、担当長官は本適応追加のために実施された小児試験の医療的および臨床薬理学的審査結果を公示し、官報に掲載する。

“(2) SUBSECTION の効果—本 subsection の内容は本法 301(j)、合衆国法典 title 5 の section 552、title 18 の section 1905 を変更または修正するものではない。

第 10 項 食品医薬品化粧品法 Section 505A に基づく小児優先審査、および Section 505(j) に基づく承認申請の 180 日優先審査期間の相互作用について

食品医薬品化粧品法 Section 505A (21 U.S.C. 355a) (section 9 で改訂済み) を改訂し、次の項目を追記する。

“(n) 本 SECTION における市場優先性と、SECTION 505(j) に基づく承認申請者へ付与された市場優先性の相互作用について—Section 505(j)(5)(B)(iv) に基づく 180 日優先審査期間と本 section の 6 ヶ月優先審査期間が重複した場合、180 日優先審査期間を受けた Section 505(j) に基づく承認申請者は、当該医薬品に与えられた 180 日優先審査期間の一部を失うため、180 日優先審査期間は下記のとおり延長される—

“(1) 本 subsection の申請のため、6 ヶ月間の優先期間後に 180 日優先期間が満了した場合、180 日間の優先期間が終了する日から優先期間が重複した日数

“(2) 本 subsection の申請によって 6 ヶ月間の優先期間中に 180 日優先期間が満了した場合、6 ヶ月間の優先期間が満了した日から優先期間が重複した日数

第 11 項 505(j) 項の下での迅速承認：小児情報が表示に追加される場合

(a) 概要—食品医薬品化粧品法第 505A 条 (21 U.S.C. 355a) (第 10 項で改訂) を改訂し、最後に次の項目を追加する。

(o) 505(j) 項の下での迅速承認：小児情報が表示に追加される場合—

(1) 一般原則—申請が 505 (j) 項の下で提出済または承認済の薬剤の場合には、当該薬剤の表示に小児への適応または小児使用に関するその他の表示項目が記載されていない場合であっても、当該項目が 505(j)(5)(D) 項(iii) または(iv) 節の下での特許または独占権により保護されている場合には、505 (j) 項の下での承認には該当せず、502 項に基づき不当表示には当たらない。

(2) 表示—505(j)(5)(D) 項(iii) または(iv) 節にかかわらず、505(j) 項の下で承認された薬剤の表示に、小児への適応または小児使用に関するその他の表示項目 (パラグラフ(1) で説明) が記載されていない場合には、保健福祉長官は表示に次の記載を要求することができる。

(A) 製造者の独占販売権のため—(i) 当該薬剤が小児への適応に関して表示していない旨の表記。パラグラフ(1) に記載された以外に小児に対する適応がある薬剤の場合には、(ii) 当該薬剤がパラグラフ(1) に基づき小児使用を表示していない旨の表記。

(B) 保健福祉長官が表示の必要ありと判断した小児特有のあらゆる禁忌、警告または注意の表記

(3) 小児使用に関する独占権およびその他の条項の維持—本項は次の項目に影響を及ぼさない—

(A) 本項の下での独占権の有効性またはその範囲

(B) 小児用製剤に関する 505 項の下での独占権の有効性またはその範囲

(C) 505(j)(5)(D) 項(iii) または(iv) 節に基づき独占権を付与される他の承認条件が記載されていない申請の 505(j) 項の下での承認適格性に関する問題

ただし、

(D) 505 項の施行に関するパラグラフ(1)および(2)に明記されている場合を除く

(b) 発効日— (a)項による改訂は本法制定日に発効する。食品医薬品化粧品法 (21 U.S.C. 355(j)) 505(j)項に基づく申請のうち、同発効日に承認される、あるいは同発効日時点で申請中のものには本改訂が適用される。

第 12 項 小児を対象とする研究に関する検討

(a) 医学研究所との契約—保健福祉長官は医学研究所との間で、次の項目に関して契約を締結するものとする。

(1) (b)項に基づく次の審査の実施

(A) 本法制定日に施行されている連邦規制のうち、小児を対象とする研究に関連するもの

(B) 連邦政府が作成または支援する報告のうち、小児を対象とする研究に関するもの

(C) 連邦政府が支援する科学的根拠に基づく研究 (evidence-based research) のうち、小児を対象とするもの

(2) パラグラフ(1)の下で実施された審査 (小児を対象とする研究のベストプラクティスに関する勧告を含む) に関する報告書の上院健康・教育・労働・年金委員会および下院エネルギー商業委員会への本法制定日から2年以内の提出

(b) 審査領域—(a)(1)項の下で審査を実施する際には、医学研究所は次の事項を検討するものとする。

(1) 治験参加小児、ならびに両親、保護者および法的な資格を有する治験参加小児の代理人 (連邦規則集標題45の第46条A条に定義) からの「同意」、「許可」および「インフォームドコンセント」の書面および口頭での取得および定義

(2) 当該小児が研究に参加することにより生じる直接的な利益とリスク (特に研究と既存の治療との比較) に対する治験参加小児、ならびに両親、保護者および法的な資格を有する治験参加小児の代理人の期待および理解

(3) 健常小児または小児患者における「最低限のリスク」の定義

(4) さまざまな年齢および成熟程度の小児に適用される規則 (法的資格に関する規則など) の妥当性

(5) 小児の治験参加に対して当該小児、ならびに両親、保護者および法的な資格を有する小児の代理人に対して報酬 (金銭またはその他の方法) が支払われるか否か。支払われる場合には、その金額および種類。

(6) (a)(1)(A)項で言及された規則の遵守状況、遵守状況（施設内治験審査委員会の役割を含む）のモニタリングおよびこれらの規則違反に対して執行される措置

(7) 小児を対象とする治験を審査する際の施設内治験審査委員会の特別な役割および責任（施設内治験審査委員会のメンバー構成を含む）

(c) 専門知識に関する要件—医学研究所は小児科学、小児科領域の研究および小児を対象とする治験の倫理的実施に関する専門家と協力して、(a)(1)項の下での審査を実施し、(a)(2)項の下での勧告を行うものとする。

第 13 項 国立衛生研究所財団

公衆衛生法（42 U.S.C. 290）499 項を次のように改訂する。

(1) (b)項の「使命」の後に「（小児を対象とする薬理研究の資金収集を含む）」という文言を挿入する。

(2) (c)(1)項—

(A) サブパラグラフ(C)をサブパラグラフ(D)に変更する。

(B) サブパラグラフ(B)の後に次の文言を追加する：(C) 本法409I(a)(1)(A)項に従って保健福祉長官がリストアップした、ならびに食品医薬品化粧品法505A(d)(4)(C)項（21 U.S.C. 355a(d)(4)(C)）の下で言及された小児薬理研究および試験の資金収集を目的としたプログラム。

(3) (d)項—パラグラフ(1)の(A) —

(i) サブパラグラフ(B)—

(I) (ii)節の最後に「および」と記載。

(II) (iii)節にピリオドを打ち、「および」を挿入。

(III) 最後に次の文言を追加：「(iv)食品医薬品局長」

(ii) サブパラグラフ(C)とタイプし、次の文言を追加：

サブパラグラフ(B)に基づく職権委員（ex officio member）は、国立科学アカデミーが提供する候補者リストから委員を任命するものとする。このように任命される委員には次の者が含まれる。

(i) 生物医学領域全般の代表者

(ii) 小児科学専門家および小児を対象とした研究専門家の代表者

(iii) 生物行動学領域全般の代表者（生物医学的倫理学の専門家も可）

(iv) 一般社会の代表者（影響を受ける産業の代表者も可）

パラグラフ(2)の(B)では、サブパラグラフ(B)の余白を再編成し、サブパラグラフ(A)の余白と揃える。

(4) (k)(9)項—

(A) 「財団」と記載し、次の文言を挿入する：

「(A) 概要—財団」；

(B) の後に次の文言を挿入する：

(B) 贈与金、助成金およびその他の寄付金—

(i) 概要—財団への贈与金、助成金およびその他の寄付金は、小児を対象とする薬剤の研究および試験に使用するよう指定される場合があり、そのような資金は(c)(1)(C)項に基づく研究および試験のみに使用すべきである。

(ii) その他の贈与金—財団が受領したその他の贈与金、助成金または寄付金のうち(i)節に記載されていないものも、小児を対象とする薬剤の研究および試験の支援に使用することができる。

(iii) 報告書—研究および試験助成金を受けた者は、当該研究および試験の終了時に国立衛生研究所長に次のものを提供することに同意するものとする—

(I) 当該研究および試験の結果報告書

(II) 当該研究および試験に関連して作成された全データ

(iv) 食品医薬品局長が講じる措置—食品医薬品局長は(iii)節に基づき受領した報告書を受けて、409I(c)項のパラグラフ(7)~(12)に準拠して適切な措置を講じるものとする。このような措置には、食品医薬品局長が適切と判断し、被験薬剤に関する承認の申請保有者に表示変更を求める場合の申請保有者との協議などが含まれる。

(C) 適用範囲—サブパラグラフ(A)は(c)(1)(C)項に記載されたプログラムには適用されない。

(5) (f)~(m)項をそれぞれ(e)~(l)項に修正する。

(6) (h)(11)項（修正後）には、「募集 (solicit)」と記載し、「募集 (solicit)」という文言を追加する。

(7) (j) 項のパラグラフ(1)および(2)（修正後）には、それぞれ「((d)(2)(B)(i)(II)項に基づき開発されたものを含む)」という文言を追加する。

第 14 項 小児薬理に関する諮問委員会

(a) 概要—保健福祉長官は公衆衛生法 222 項 (42 U.S.C. 217a) の下、小児薬理に関する諮問委員会（本項では以下、「諮問委員会」）を召集し、同委員会から意見を聞くものとする。

(b) 目的—

- (1) 概要—諮問委員会は小児薬理に関連する案件に関して、国立衛生研究所長との協議の上、食品医薬品局長を通して保健福祉長官に助言および勧告を行うものとする。
- (2) 諮問委員会で検討される案件—パラグラフ(1)で言及される案件には次のものが含まれる—

- (A.) 公衆衛生法351、409Iおよび499項、ならびに食品医薬品化粧品法501、502、508および505Aに基づき小児を対象として実施される研究
- (B) 小児薬理に関連する研究の優先順位および小児科領域の特定疾患または状態に対する追加治療の必要性の決定
- (C) 小児薬理に関連する治験の倫理的妥当性、デザインおよび解析。

(c) 構成—諮問委員会は小児科医療機関の代表者、小児科の研究者、関連する患者および患者家族組織、保健福祉長官が選定したその他の専門家などをメンバーとするものとする。

第 15 項. 悪性腫瘍剤アドバイサリー委員会下における小児小委員会

(a) 当委員会は小児がん治療のための既承認薬および治験薬の安全性と友好性を審査、評価する。その目的は

- (A) 小児がんの治療を目的とする新規および緊急的代替治療法の評価を行う
- (B) 最良の新規治療法が適切に受けられることを担保する勧告とガイダンスを提供する
- (C) 新しい治療法の有効性が一貫して提供できる方法を提示する

(2) 委員会

- (A) 事務局は小児薬理アドバイサリー委員および抗がん剤アドバイサリー委員会の委員のうち採択権を持つ 11 名を超えない範囲を小児小委員会に指名しなければならない
- (B) 参加要件
- (C) 小委員会は小児がんに対し科学的倫理的配慮をなすため以下の条件を満たした委員の参加を求めなければならない。
- (i) NCI から少なくとも 2 名の小児がんの専門家
- (ii) 以下の要件を満たす少なくとも 4 名の小児がんの専門家
- (I) 小児がんグループ
- (II) 適切な小児治療を経験している他領域の小児の専門家
- (III) 小児脳腫瘍、神経腫瘍に対する新しい試みまたは他の小児がんコンソーシアムなど NCI によって運営されるグループに属するメンバー
- (iii) 少なくとも 2 名の小児がん患者、患者家族団体の代表者
- (iv) 患者団体の代表者

- (v) 少なくとも 2 名の統計家
- (vi) 少なくとも 1 名の製薬企業の代表者

(b) 可能性のある小児がん治療を評価するための前臨床モデル—Public Health Service Act Sec.413 は下記のとおり追加修正される—

“(c)可能性のある小児がん治療を評価するための前臨床モデル

- “(1) 活動の拡大と協力
- “(2) NCI のダイレクターはどの治療法が小児がんに有効であるかを評価する。前臨床モデルの研究に関し当組織の活動を拡大、協力するため下記の調整を図らねばならない
 - (1) 他の組織との調整
当組織のディレクターは下記の対応について調整を図らなければならない
 - (2) 小児がんに関する責務を有する各組織が同様の活動を行うこと

(c) 小児臨床試験のための治験薬とその使用に関する妥当性の定義

- (1) Food Drug and Cosmetic Act の修正 Sec.505 (i) (1) の修正
 - (A) サブパラグラフ (B) 中の (A) の終わりを”and”で削除
 - (B) サブパラグラフ (B) 中の (A) の終わりのピリオドを削除し
 - (C) ”and”とし次の文を追加する。「”D”小児の安全性と有効性を評価する計画を有しているかどうかについて製造業者あるいは試験依頼者の意思表示の文書を事務局に提出すること」
- (2) Public Health Service Act の修正 Sec.402(i)(3)(A)の冒頭を変更する
 - (A) 「試験施設および」を削除し「試験施設」とする
 - (B) 「試験中」を削除し「試験中、製造業者あるいは治験依頼者は被験者、特に小児に対する適切な安全措置を確保した上で一人の患者への治験薬使用のためプロトコル上の例外や拡大を明確にする」

(d) 報告

2003 年 1 月 31 日までは、HHS 長官は Food Drug のコミッショナーを通じ NIH のディレクターと協議の上、議会の健康・教育・労働・年金委員会およびエネルギー委員会に、一人の患者への新規治療薬投与も含めた小児がん患者に対する新しい治療薬の評価に関する報告書を提出しなければならない。

第 16 項. 小児先発権プログラムに関する報告

2006 年 10 月 1 日までに米国会計検査院長は HHS 長官と協議の上、公的に有用な成績あるいは、ある規制下で使用され公表された他のデータを用いたことを示す下記の事項を議会へ報告しなければならない。

- (1) 小児用医薬品が試験され、且つ適切な表示ができることの確認を目的として定められた Federal Food Drug and Cosmetic Act Sec.505 および A Public Health Service Act Sec.409I の効用。

ここには以下の情報を含むこと。

- (A) この法案に従い小児へ投与された医薬品の数とその重要性、および試験結果により表示が変更されたことで小児、保険会社、両親等に対する有用性
- (B) この法案を講じたにも係わらず小児試験が行われなかった医薬品の数と効用および試験が実施されなかった理由
- (C) 実施すべき試験、先発権の妥当性、求められる表示。ここには小児先発権が認められる目的、この修正案に従い決定された解決手順に基づき要求される表示内容が含まれる。同時に感染症薬アドバイザー委員会下の小児アドバイザー委員会での論点や推奨策を含んだ当手順の結果についての記述も付記すること。

- (2) Federal Food, Drug and Cosmetic Act Sec.505A および Public Health Service Act 409I の経済的影響力。ここには以下の推定情報を含むこと。

- (A) メディケイドおよび他の政策によって高額支出を負う納税者の費用
 - (B) 先発権が延長される 6 ヶ月間での各薬剤の売上
 - (C) 低価格後発品の参入遅延のため発生する消費者と個人保険会社が負う増大費用
 - (D) 健康保険会社の支出額の減少により生じる国、個人保険者、消費者への便益。
- これには以下の情報を含む。

- (i) 当法案に従い実施された試験結果および表示変更により小児に対し薬物治療より適切かつより有効に施されることで入院率と医療エラーの低下をもたらすことが出来る便益性。
- (ii) 入院率が低下するため医師への受診も軽減することで生じる直接的間接的便益
- (iii) 学校への欠席率の低下、慢性疾患による影響の減少など QOL の改善により小児が得る便益
- (iv) 低額の治療費と入院率の低下により消費者が支払う健康保険料も減額される便益
- (v) 子供を看病しなければならない仕事も持つ家族小児患者に対し雇用者の配慮が軽減することで得る雇用者の便益

- (3) Federal Food, Drug and Cosmetic Act Sec.5 による先発権延長が認められた医薬品を対象とした試験の特徴と種類は以下の情報を含むこと

- (A) 試験の複雑性に関する記述
- (B) 適切なデータを集積するために必要な施設数
- (C) 試験に組み込まれる小児被験者数

(D) 各試験に要する推定費用

- (4) Federal Food, Drug and Cosmetic Act Sec.505A および Public Health Service Act に基づき確立された当プログラムを修正するための勧告。また長官は各勧告が妥当であることの詳細を示すべきである。
- (5) 当法案および修正案に関連し、今後増大する個人研究および公的研究の限界点。
- (6) Written request 文書と追加文書の数
- (7) Written request 文書が発行されるするための特許切れ医薬品の優先順位
- (8) (A) 新生児を対象とした試験数を増やすことを目的とした長官の努力義務
(B) 他の努力事項

企業によって実施される新生児を対象とした試験が倫理的で安全であることを示す十分な安全性情報や他の情報を有する医薬品を対象とすること

第 17 項. 副作用報告

表示に示す Toll Free Number

この法案の施行 1 年以内に、HHS 長官は各医薬品の表示を求める最終規則を公布しなければならない。医薬品が Federal Food, Drug and Cosmetic Act Sec.5 承認されたことを示すため、表示には医薬品に関する副作用報告を受け付ける目的で長官によって整備された Toll Free Number を含むこと。およびその番号は副作用報告のみに用いられ、医療上の助言を行う目的としないことを記載すること。

最終規則に関しては以下のとおりとする。

- (1) 多くの消費者に表示情報が行き届かせるような方法を長官は考慮しなければならない。
- (2) 当規則により長官は医薬品の専門家に対し負担が最小限になるような方策を講じること
- (3) 当規則は公布後 60 日以内に施行される。

b) 小児先発権を有する医薬品

- (1) 一般に、Federal Food, Drug and Cosmetic Act Sec.5 に基づき先発権を受理した日から 1 年の間、HHS 長官が受け取った副作用報告は同法 Sec.6 で規定された Pediatric Therapeutic Office に照会される。この報告を検討する中で同オフィスのディレクターは、感染症薬アドバイザー委員会の小児委員会による副作用報告に関する照会に対し回答すること。小児委員会からは当該副作用について長官が何らかの対策を講じるべきかどうかの勧告も出される。

(2) 規則の構成

パラグラフ (1) は医薬品の有効期限が切れる 1 年後、予定されている対応を長官が継続して実行することまで言及していない。

第 18 項 マイノリティーの小児および小児先発権プログラム

(a) 小児試験のための試験実施計画書

Section 505A は以下の文書をサブセクション (d) (2) の最初の段落に続いてに入れることで修正される。

「試験計画書の合意について、長官は民族的人種的にマイノリティーの小児を適切に組み入れることを示さなければならない」

(b) 一般会計局による試験

(1) 一般に、米国会計検査院長は以下の事項を決定する目的の試験を実施すること

(A) Federal Food, Drug, and Cosmetic 法 505A の基で民族的人種的にマイノリティーの小児がどの程度組み入れられているか、あるいは組み入れられていないかについて理由とともに示さなければならない。また適切なマイノリティーを組み入れるための提案も求められる。

(B) 民族的人種的にマイノリティーの小児が適切に組みれられていることを規制当局が確認できるよう適切な運用体制が敷かれているかどうか。

(C) 民族的人種的にマイノリティーな小児に対してのみ影響を与える疾患が対象となる場合、その医薬品の安全性、有効性を評価できる試験であるか。

(2) 試験の完了時期

2003 年 1 月 10 日までに、米国会計検査委員長はパラグラフ (1) で示した試験を終了し、試験結果の報告書を議会に提出しなければならない。

第 19 項 技術的および規則に従った修正

(タイトル番号、項目番号の変更を記載した項のため訳省略)

S. 650

One Hundred Eighth Congress
of the
United States of America

AT THE FIRST SESSION

*Began and held at the City of Washington on Tuesday,
the seventh day of January, two thousand and three*

An Act

To amend the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act to authorize the Food and Drug Administration to require certain research into drugs used in pediatric patients.

Be it enacted by the Senate and House of Representatives of the United States of America in Congress assembled,

SECTION 1. SHORT TITLE.

This Act may be cited as the “Pediatric Research Equity Act of 2003”.

SEC. 2. RESEARCH INTO PEDIATRIC USES FOR DRUGS AND BIOLOGICAL PRODUCTS.

(a) **IN GENERAL.**—Subchapter A of chapter V of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (21 U.S.C. 351 et seq.) is amended by inserting after section 505A the following:

“SEC. 505B. RESEARCH INTO PEDIATRIC USES FOR DRUGS AND BIOLOGICAL PRODUCTS.

“(a) NEW DRUGS AND BIOLOGICAL PRODUCTS.—

“(1) IN GENERAL.—A person that submits an application (or supplement to an application)—

“(A) under section 505 for a new active ingredient, new indication, new dosage form, new dosing regimen, or new route of administration; or

“(B) under section 351 of the Public Health Service Act (42 U.S.C. 262) for a new active ingredient, new indication, new dosage form, new dosing regimen, or new route of administration;

shall submit with the application the assessments described in paragraph (2).

“(2) ASSESSMENTS.—

“(A) IN GENERAL.—The assessments referred to in paragraph (1) shall contain data, gathered using appropriate formulations for each age group for which the assessment is required, that are adequate—

“(i) to assess the safety and effectiveness of the drug or the biological product for the claimed indications in all relevant pediatric subpopulations; and

“(ii) to support dosing and administration for each pediatric subpopulation for which the drug or the biological product is safe and effective.

“(B) SIMILAR COURSE OF DISEASE OR SIMILAR EFFECT OF DRUG OR BIOLOGICAL PRODUCT.—

“(i) IN GENERAL.—If the course of the disease and the effects of the drug are sufficiently similar in adults