

医療用医薬品添付文書

作成または改訂年月日
 日本標準商品分類番号等
 薬効分類名、規制区分、名称
 警告、禁忌
 組成・性状
 効能・効果
 用法・用量
 使用上の注意（副作用、妊婦、産婦、授乳婦等への投与、小児等への投与）
 薬物動態、臨床試験、薬効薬理、有効成分に関する理化学的知見
 取り扱い上の注意
 承認条件
 包装、主要文献及び文献請求先、製造業者または輸入業者の氏名又は名称、住所

小児固有の治験の難しさ

両親の理解
 薬物動態（採血）
 コンプライアンスの確保
 服薬コンプライアンス（本人）
 観察コンプライアンス（保護者）
 受診コンプライアンス（医師＋看護婦等）

Violation と deviation

承認された小児用医薬品の申請区分

(2001年4月～2004年6月)

- ・ 国内で小児の治験/臨床試験が実施された 10品目
- 海外小児臨床試験を利用したもの 2品目
- 再審査期間中の通知（医薬審第107号） 1品目
- ・ 適応外使用の通知
 （医学薬学上の公知、研4号、医薬審第104号） . . . 10品目
- ・ テロ対策に伴う迅速審査 3品目
- ・ 稀少疾病用医薬品 4品目
- ・ 海外データに基づく（疾患が重篤で低頻度） 1品目

計 28品目

治験が実施された品目の割合 35.7%

承認された小児用医薬品の申請区分

(2004年7月～2006年4月)

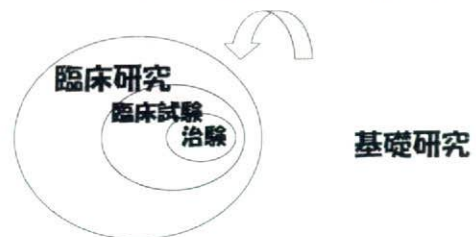
- ・ 国内で小児の治験/臨床試験が実施された 10品目
- 海外小児臨床試験を利用したもの 1品目
- 再審査期間中の通知（医薬審第107号） 0品目
- ・ 適応外使用の通知
 （医学薬学上の公知、研4号、医薬審第104号） . . . 3品目

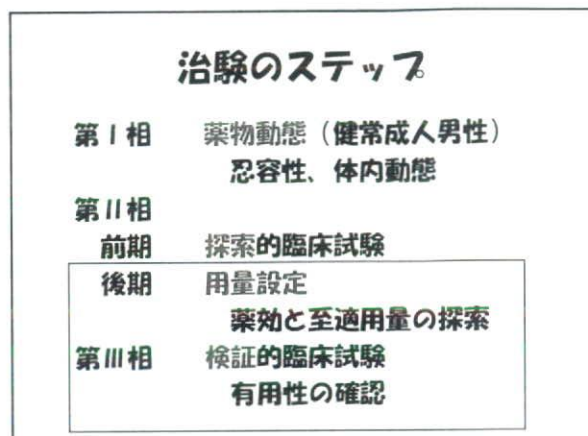
計 13品目

治験が実施された品目の割合 81.2%

医薬品の開発とは？

トランスレーショナルリサーチ





小児の治験の現状

日本

めだった活性化なし ← インセンティブがない

小児の治験の現状

米国

クリントン大統領の声明 (1997)

活性化 ← 特許権延長の法令化

Best Pharmaceuticals for Children Act (2002)
Pediatric Research Equity Act of 2003
(FDAによる治験の要請権)

Randomized Controlled Trial (無作為化比較試験)

RCT が実施可能な疾患と条件

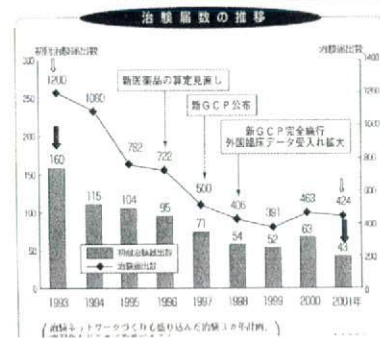
- よくある疾患 で 致死的でない
- 難治性 (前治療で効果なし)

プラセボ対照より実薬対照

循環器・腎疾患、悪性腫瘍

- 1) 患者数が少ない
⇒ 不採算
- 2) 適応外使用されている
⇒ 現場まかせ

治験の動向



治験の動向

治験の空洞化 (国内臨床試験の減少)

治験の活性化

⇒ 医師主導の治験の導入

治験3カ年計画

大規模治験ネットワーク
地域ネットワーク

医師主導の治験

(大規模治験ネットワーク)

- 1) 医療機関 (医師・歯科医師) が、企業から未承認医薬品の提供を受け臨床研究できる
- 2) 医師主導で実施した臨床試験データを承認申請資料として活用できる

医師主導の治験のメリット

- 1) 医療機関が、企業から未承認医薬品の提供を受け臨床研究できる
- 2) 医師主導で実施した臨床試験データを医薬品承認申請資料として活用できる

医師主導の治験

イマチニブ	c-KIT/PDGFR陽性肉腫
アルガトロバン	ヘパリン起因性血小板減少
フェンタニル	小児麻酔
イリノテカン	小児固形腫瘍
フェノバル	新生児けいれん
リューフロレリン	球腎髄性筋萎縮症
タクロリムス	多発性筋炎・皮膚筋炎合併間質性肺炎
塩酸ベプリジル	持続性心房細動
L-アルギニン	MELAS
ティーエスワン	切除不能食道がん
新型インフルエンザワクチン	HSN1 (現在小児)
イマチニブ・ヒドロキシカルバミド	成人膠芽腫
リツキシマブ	小児難治性ネフローゼ症候群
タラボルフィンナトリウム	悪性脳腫瘍 (光線力学療法)
調整減菌タルク	悪性胸水

エビデンス収集による問題解決

抗がん剤併用療法に関する検討委員会

- ⇒ ドキソルビシン、イホスファミド、エトポシドの承認

厚生労働科学研究 松田班（旧大西班）

- ⇒ 104号通知による保険適応拡大への活動

抗がん剤適正使用に関するガイドライン策定（日本癌治療学会、日本小児がん学会）

- ⇒ 標準治療法の普及、適応外使用の条件

医学薬学上の公知

（平成11年2月1日、研第4号、医薬審第104号、
適応外使用に係る医療用医薬品の取り扱いについて）

臨床試験を新たに実施することなく、承認する道

- 1) 海外での承認と使用実績、海外での申請資料が入手可能
- 2) 海外での承認と使用実績、公表論文・総説の存在
- 3) 公的な研究事業の委託研究等による臨床試験成績の存在

医学薬学上公知

として承認された小児用医薬品

- 1) 急性期川崎病
ガンマグロブリン2g/kg単回投与
新用量医薬品
- 2) 動脈管依存性先天性心疾患に対する
PGE1 α -CD
新効能医薬品、新用量医薬品

適応外使用解決に向けた行政の取り組み

- 1) 適応外使用通知（医薬審第104号）
- 2) 再審査期間中の通知（医薬審第107号）
- 3) 厚生労働科学研究費補助金公募
（2004年10月28日、厚生労働省大臣官房厚生科学課）
小児への適応が未確立な医薬品に対する、安全性・有効性の確認、用法・用量の検討・確立等に関する研究
- 4) 厚生労働省未承認薬使用問題検討会議
Orphan drug、個人輸入、がん領域
- 5) 小児薬物療法根拠情報収集事業
5年間で100品目

小児薬物療法根拠情報収集事業

該当医薬品の進捗（2008.9.1）

1. 酢酸フレカイニド
2. メチルフェニテート
3. シフロフロキサシン
4. メトトレキサート
5. シクロフォスファミド
6. アセトアミノフェン
7. A型ボツリヌス毒素
8. アシクロビル

資料 6-1

臨床実習の学生諸君へお願い！

年 月 日

本日のレクチャーでお話したことに関する質問です。
小児用医薬品の現状について、以下の問いにお答えください。

1. 小児に使用されている医薬品の6～7割が保険診療において適応外（オフレABEL）であることを知っていましたか。（知っていた 知らなかった）

2. 小児用医薬品の開発が遅れている原因として、製薬会社の姿勢、小児の診療にかかわる医師の医薬品に関する無関心、社会的に適応外使用が黙認されている現状（患者様はそのことを知らない）があると思われます。各々、何が問題で、どういった解決法があると考えられますか。簡潔に記入してください。

	問題点	解決法
製薬会社		
医師		
社会		

3. 将来、医師として診療に従事するにあたり、治験を担当するなど医薬品開発に取り組んでみたいと考えますか？
(はい いいえ わからない)

理由を簡単に（1-2行で）書いてください。

資料 6-2

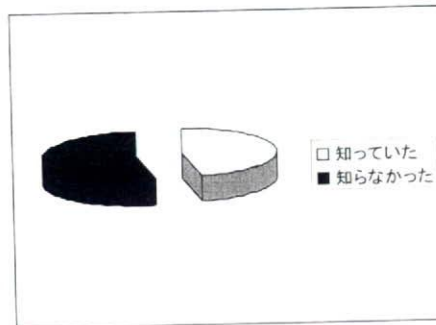
臨床実習の学生諸君へお願い！

年 月 日

本日のレクチャーでお話したことにに関する質問です。

小児用医薬品の現状について、以下の問いにお答えください。

1. 小児に使用されている医薬品の6～7割が保険診療において適応外（オフラベル）であることを知っていましたか。（知っていた 7 知らなかった 8）



2. 小児用医薬品の開発が遅れている原因として、製薬会社の姿勢、小児の診療にかかわる医師の医薬品に関する無関心、社会的に適応外使用が黙認されている現状（患者様はそのことを知らない）があると思われます。各々、何が問題で、どういった解決法があると考えられますか。簡潔に記入してください。

	問題点	解決法
製薬会社	採算性 8 小児を対象とした治験が困難 3 利益重視 4 小児治験の重要性に対する認識不足	国からの支援 6 協力依頼 国際共同開発 医療現場との協力による経費削減 必要な医薬品を提示 米国のような法制化 小児用医薬品開発に対する国からのインセンティブ 4 ジェネリックの値段をあげ、小児用医薬品の開発費用に当てる
医師	適応外使用の認識不足 9 治験に対する認識不足	医薬品開発・適応に関する医学生への講義 2

	<p>多忙性 2</p> <p>治験に積極的な医師の不足 2</p> <p>医薬品開発に対する知識不足</p> <p>治験は面倒と思っている</p>	<p>小児薬理学の徹底</p> <p>治験に対する知識の啓発</p> <p>添付文書の理解</p> <p>勤務医による努力</p> <p>薬剤開発に協力 2</p> <p>医薬品に対する知識を得る</p> <p>小児科医の適応外使用の認識 2</p> <p>医師主導治験の促進に必要な人材育成</p> <p>治験に割く時間的余裕</p> <p>適応の有無を処方時に表示</p> <p>開業医と連携した治験の構築</p>
社会	<p>治験に対する理解不足 4</p> <p>治験に対する誤った認識（人体実験） 2</p> <p>治験に非協力的 2</p> <p>すでにある医薬品による治療の希望</p> <p>現状を知らないことによる適応外使用に対する危機感の希薄 4</p> <p>治験に参加する人員不足</p> <p>小児薬物治療の問題点を知らないこと 2</p> <p>医薬品開発のシステムがない</p> <p>製薬会社へのインセンティブ欠如</p>	<p>医薬品に対する知識の提供 3</p> <p>未承認薬の現状の説明と開発の重要性を伝える 3</p> <p>治験に対する正しい知識 2</p> <p>新薬開発と治験の重要性の理解</p> <p>メディアで問題を取り上げる 4</p> <p>厚労省への支援</p> <p>治験実施の啓発 2</p> <p>国主導のシステム作り</p> <p>適応外使用の際には患者負担とし、その金額を新薬開発に当てる</p>

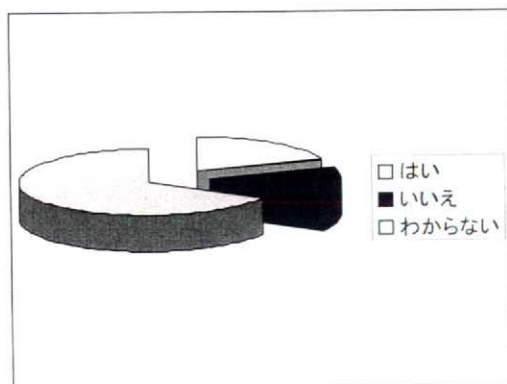
3. 小児の治療における適応外使用の現状を解決するにあたり、医学部教育や小児科医の活動で不足しているものは何とと思いますか？

- ・ 添付文書に対する認識 4
- ・ 臨床薬理の知識が断片的
- ・ 医薬品に対する基本的な知識不足 2
- ・ 耳学問が多い
- ・ 適応外の現状や実態の報道とそれによる理解の進め 3
- ・ 適応外使用の現状を医師や医学生に認識させる 4
- ・ 勉強の機会

- ・ 治験の実情を知ってもらう
- ・ 医学生に対する治験の知識を増やす
- ・ 無回答

4. 将来、医師として診療に従事するにあたり、治験を担当するなど医薬品開発に取り組んでみたいと考えますか？

(はい 3 いいえ 2 わからない 10)



理由を簡単に（1－2行で）書いてください。

はい

- ・ 患者にとって有効な医薬品開発に貢献したい
- ・ 自分自身が医薬品関係の仕事をしていたので、医薬品開発の問題の深刻性が理解でき興味がある。
- ・ 新薬の開発のため

いいえ

- ・ 開発より現在の医薬品を使うことを模索する
- ・ 効能・効果が未確認のものを使用するのが不安

わからない

- ・ 治験について考えたことがなかった
- ・ 働く病院による
- ・ 治験による患者へのリスクを考えてしまう 2
- ・ イメージがわからない 2
- ・ 自分の進路を決めかねている

- ・ 治験を実施するために何をすればいいか、具体的にわからない。
- ・ 働き出してから余裕があるかどうかわからない

治験管理センター実習前の回答は「わからない」が多い

資料 6-3

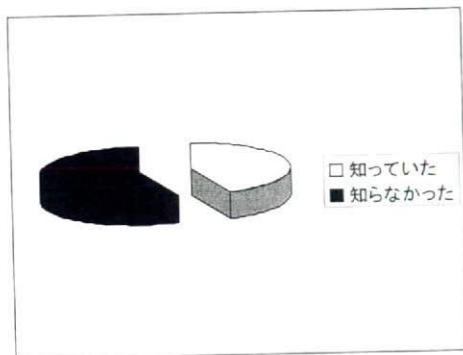
臨床実習の学生諸君へお願い！

年 月 日

本日のレクチャーでお話したことに関する質問です。

小児用医薬品の現状について、以下の問いにお答えください。

1. 小児に使用されている医薬品の6～7割が保険診療において適応外（オフラベル）であることを知っていましたか。（知っていた 24 知らなかった 31）



2. 小児用医薬品の開発が遅れている原因として、製薬会社の姿勢、小児の診療にかかわる医師の医薬品に関する無関心、社会的に適応外使用が黙認されている現状（患者様はそのことを知らない）があると思われます。各々、何が問題で、どういった解決法があると考えられますか。簡潔に記入してください。

	問題点	解決法
製薬会社	採算性が合わない 20 小児用医薬品開発に消極的 10 利益追求 17 治験の困難さ 5 患者数の多い疾患に偏る 2 小児適応のない医薬品の販売 2 小児の知識不足による開発困難 現場任せ モラルのなさ 適応外使用の危険性に目を向けない 医療を担っているという認識の欠如	国の支援と補助 19 金銭的な支援 5 複数の会社で共同開発 小児用開発へのインセンティブ 11 小児用医薬品開発に向けた法制化 13 小児適応のない医薬品販売に罰則を科す 興味・知識・技術開発の促進 実際の治療で安全性が確立されているものの承認 3 国によるシステム作り 2 病気の子どもに接し、苦しんでいる姿

	臨床現場の実情を知らない 5 小児医療に無関心 3 小児に対する研究がなされていない	をみせる 企業利益の患者への還元 エビデンス収集による医薬品開発 2 薬剤の使用状況を調査する 2 適応外使用されている医薬品の安全性に関する調査 臨床の場での必要性を知る 4 適応外使用の責任の一端を負わせる
医師	治験に裂く時間的・精神的余裕がない 15 医薬品開発を人任せにする 2 適応外使用の認識不足 33 治験に対する理解不足 11 やる気がない 2 現状に不便さを感じていない 面倒くさい 保険で査定されてないので問題意識が少ない 2 治験の成果がフィードバックされない 慣習的治療の継承 社会（患者）への情報提供不足 3 個人では対応が困難 小児用医薬品に対する知識不足 臨床研究に対する意識が希薄 問題解決への取り組み不足 医学教育の中で取り上げられていない 医薬品情報取得に積極的でない 医薬品開発に関する知識不足	治験に協力する体制を病院で構築 10 適応外使用の認識を高める 17 治験参加のインセンティブ 4 治験への参加 3 適応外使用の問題を社会に訴える 2 教育 10 添付文書を見る習慣とエビデンス収集 4 企業による開発への協力 3 世界規範の会社の設立 医薬品開発専門医育成 適応外使用の規制 2 製薬企業の医師への積極的な働きかけ 海外での治療法やエビデンス学習 患者への医薬品の情報提供 3 エビデンス収集による解決を図る 2 治験や開発に取り組むメリットの享受 適応外使用の勉強会と治験への参加 2 薬のエビデンスを作る 医師の活用 医学部での教育 新人医師への適応外使用の教育 薬学部との合同授業
社会	治験を人事と思っている 5	小児医療の現状と患者の声を伝える

	<p>適応外使用の現状を認識していない 27</p> <p>治験がどのように実施されているか知らない 2</p> <p>治験の重要性を知らない 2</p> <p>適応外使用問題について取り組みがない 3</p> <p>小児用医薬品開発の必要性を意識していない 6</p> <p>治験に対する正しい知識不足と不信感 5</p> <p>医薬品処方に対する理解が浅い 2</p> <p>医薬品に関する知識が乏しい 3</p> <p>野次馬が騒ぎすぎ</p> <p>治験自体を知らない 2</p> <p>保険診療や医療の現状に知識が乏しい</p> <p>小児治験の実施が困難</p> <p>小児用医薬品承認に時間がかかりすぎ</p> <p>批判が多く、進めべきものが進まない風潮</p>	<p>3</p> <p>治験参加へのインセンティブ 2</p> <p>適応外使用の現状と治験の重要性を理解してもらう 13</p> <p>小児用医薬品開発の環境整備 3</p> <p>治験の啓発活動を行う 6</p> <p>マスコミによる正しい現状の報道 14</p> <p>希少疾病だけでなく一般の医薬品でも未承認が多いことを湘南の風に訴えてもらう</p> <p>治験に対する意識の低さを調査する</p> <p>適応外であっても使用頻度の高いものは保険でカバーする 2</p> <p>社会全体の共通認識にする</p> <p>利点を強調する</p> <p>現状の客観的理解と批判する活動</p> <p>高校での教育</p> <p>有名人による啓発活動</p> <p>メディアによる薬品の認識普及 3</p> <p>治験に対する知識の普及を図る</p> <p>健康保険に対する理解を深める</p> <p>小児用医薬品に特化した新しい承認基準作成</p> <p>処方される医薬品への関心を高める</p> <p>世論の形成</p>
--	-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

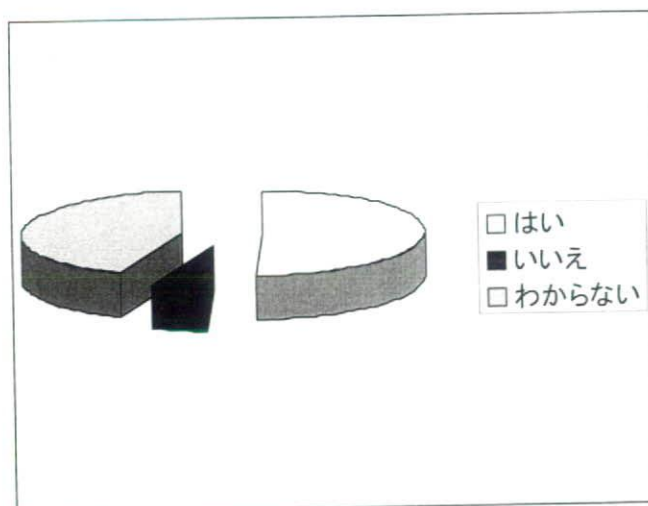
3. 小児の治療における適応外使用の現状を解決するにあたり、医学部教育や小児科医の活動で不足しているものは何としますか？

- ・ 国や小児科医が医薬品開発、承認の大変さや重要性を伝える努力をする 3
- ・ 適応外使用にあたるものを明確にする
- ・ 医学部教育における治験の重要性の講義 2
- ・ 社会に対する治験の重要性のアピール 2
- ・ 小児用医薬品開発の緊急性を理解してもらう
- ・ 医療費や保険について勉強不足
- ・ 適応外使用の自覚、薬事法、医師法に対する知識不足 5
- ・ 薬理学しか学ばず、医薬品についての知識が乏しい 2

- ・ 未承認薬が多い現状を知ってもらうこと、その解決策を講じること 2
- ・ 医学生には実際の現場での適応外使用の状況を知る機会がない 2
- ・ 両親への啓発や臨床試験参加への環境づくり
- ・ 薬剤に対する教育の実施 2
- ・ 医師や医学生みんなが問題意識を持つこと
- ・ 治験や医薬品開発の講義がない 5
- ・ 医学の知識・技術以外の講義を行なう 2
- ・ 小児薬物療法の現状を知る機会作りと意欲 3
- ・ 適応外使用の現状とそれが抱える問題を患者や家族に伝える 8
- ・ 治験専門医の育成
- ・ 適応外使用問題の教育（小学校、中学校、高校） 3
- ・ 薬物治療の現状を認識する機会がない
- ・ 海外での医薬品承認に基づき、国内での医薬品開発計画を立てる
- ・ 小児用医薬品に対する関心が少ない
- ・ 適応外の慣習的使用の再確認と必要度の再評価を行い国に働きかける
- ・ 適応外使用の現状の理解不足。小児用医薬品に関するトピックを取り上げる
- ・ エビデンス作成に積極的になるよう働きかける
- ・ 厚労省に現場の声を反映する人を送る
- ・ 医学教育で適応外使用問題が取り上げられていないし、詳しい専門家がない
- ・ 治験活動 2
- ・ 無回答 2

4. 将来、医師として診療に従事するにあたり、治験を担当するなど医薬品開発に取り組んでみたいと考えますか？

(はい 28 いいえ 3 わからない 24)



理由を簡単に（1－2行で）書いてください。

はい

- ・ それで助かる患者がいるならするべきだと思う
- ・ 金銭的にメリットがある
- ・ 新薬で救われる人がいるはずだから 2
- ・ 使える薬を世に出し患者や病院の負担を減らしたい 2
- ・ 医療の発展に貢献することができる 3
- ・ オフラベルの医薬品使用を避けたい
- ・ 医師としても親としても安心した医療を実践したい
- ・ 患者さんへの助けとなる
- ・ 医師にとっても患者にとってもトラブルなく治療するため 3
- ・ よりよい医療、安全な医療を行ううえで不可欠 3
- ・ 医薬品開発に興味がある 4
- ・ できる限りのことをしたい
- ・ オフラベルについて知識を増やしたい
- ・ 新薬の開発ができるので
- ・ 目の前の患者さんだけでなく多くの患者さんの役に立てるので
- ・ 治療法が確立していない難病に対し治験を行うことは意義深い

いいえ

無回答

- ・ 時間的に余裕がないと思う
- ・ インセンティブがない。自分でベンチャー企業を立ち上げてやってみたい。

わからない

- ・ 治験に協力したいが、その分を補える余裕があるかどうかわからない 9
- ・ 興味はあるが、取り組むかどうか決められない。機会があれば関わりたい 4
- ・ ほかのことをやってみたい 2
- ・ 将来の事が未定
- ・ 小児用医薬品で問題に遭遇しないとわからない
- ・ 適応外使用が深刻な問題だとわかったが、どう関わっていけばいいのかわからない
- ・ 研究より臨床現場で働きたい 2
- ・ 無回答 7

夏休み「医学生のための医療統計学セミナー」

下記のとおり、医学生を対象にした医療統計学セミナーを開催いたします。臨床医や研究に従事する医師にとって、論文のエビデンスを理解したり研究成果をまとめるうえで医療あるいは生物統計学は不可欠です。医学生の間に基礎的な知識を身につけておくことが大切です。

夏休みの1日を有効に利用して、医療統計学の基礎知識を身につけましょう。講義だけでなく、実際の教材を利用した実践的なセミナーです。奮ってご参加ください。基本的には5回生を対象としますが、それ以外の学生さんや研修医、医師の参加も歓迎します。

記

日時：平成20年8月20日(水曜日) 9:30am~17:00pm
(昼食とお茶は用意します。)

場所：一般教養講義室 (参加人数に基づき会場を決定します)

講師：京都大学大学院医学研究科 社会健康医学系専攻
健康解析学講座 医療統計学分野准教授
大森 崇 先生

申し込み締め切り：平成20年8月15日



参加希望者は、学生課教育支援係までご連絡ください。

研修医、医師で参加を希望される方は、治験管理センター 中川 までご連絡ください。

なお、このセミナーは、厚生労働科学研究費補助金 医療技術実用化総合研究事業臨床研究基盤整備研究「小児の臨床研究推進に必要な人材育成と環境整備のための教育プログラム作成」の一環として実施します。

資料 8

滋賀治験ネットワーク 小児の治験説明会 2008. 5.14

小児の治験を始めるにあたって

滋賀医科大学医学部附属病院
治験管理センター
中川雅生

適応外使用の現状

小児に処方された医薬品 234種類

うち 65%が適応外

(2003年 森田ら)

小児科病棟で処方された医薬品237種類

うち 64%が適応外

(2006年 藤田ら)

医薬品承認の現状

(審査報告書及び審議結果報告書ベース)

承認医薬品379品目中、
審議結果報告書開示分
371品目について

承認医薬品
371品目
小児用
61品目 = 16.4%

(2001年4月～2008年1月)

小児を対象とした治験

患者本人と家族

医療サイド (医師、CRC)

依頼者 (製薬企業)

みんな不安!

平成20年度厚生労働科研費補助金 医療技術実用化総合研究事業

小児の臨床研究推進に必要な人材育成と
環境整備のための教育プログラム作成

主任研究者：中川雅生

分担研究者：竹内義博 大野雅樹

土田 尚 大森 崇

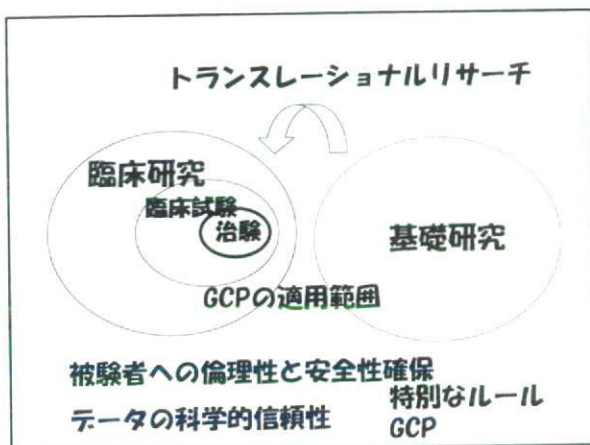
医療者側から見た 治験参加のモチベーション

第34回日本小児臨床薬理学会 (2007年11月、熊本)

京都女子大学 発達教育学部 児童学科
大野 雅樹・原 純子

滋賀医科大学附属病院治験管理センター
中川 雅生

滋賀医科大学 小児科
竹内義博



小児治験で重要なこと

Recruit

治験参加へのモチベーション

- ① 子どもと家族の参加モチベーション
 - ・ 喚起・維持・向上
 - ・ アドヒアランス
- ② 医療者の参加モチベーション

目的

医療者の治験遂行に対する意識・考え方を明らかにする

- ① 治験参加のモチベーション促進要因
- ② 治験参加のモチベーションを妨げる要因

方法

小児治験に対する医療者の意識調査

— 郵送による無記名式質問紙調査 —

調査対象
日本小児科学会滋賀地方会員 227名

調査期間
2007年2月1日～28日（1ヶ月間）

回収数
142件（回収率：62.5%）

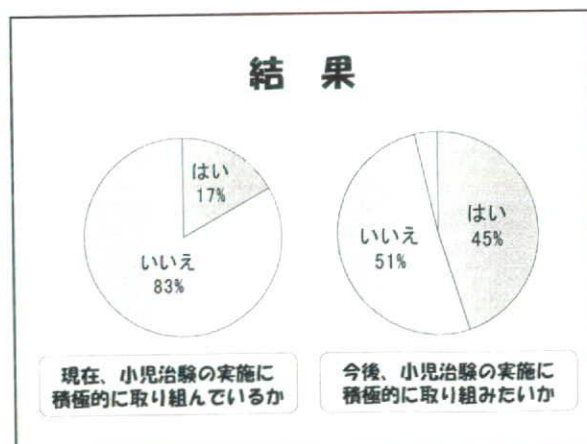
調査内容

<回答者属性>

- ・ 所属機関 ・ 診療科 ・ 専門領域
- ・ 臨床経験年数 ・ 卒後年数 ・ 所属学会

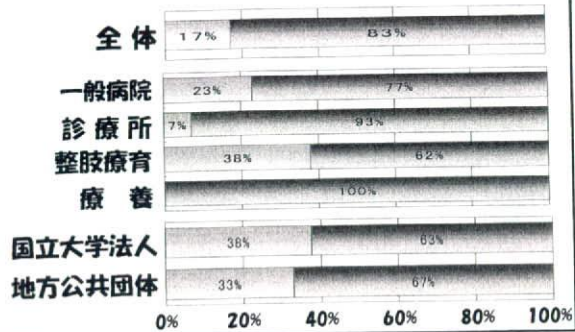
<質問項目>

1. 所属先の医療機関は小児治験に対して積極的であるか
2. 所属先の医療機関で小児治験に対する認識促進の機会はあるか
3. 現在、小児治験の実施に積極的に取り組んでいるか
4. 今後、小児治験の実施に積極的に取り組みたいか
「はい」の理由 「いいえ」の理由
5. 小児治験の当面の課題はどんなことであると思うか
6. 小児治験に関する自由記述



現在、小児治験の実施に積極的に取り組んでいるか

はい
いいえ



「積極的に取り組みたい」理由

既存薬品の小児への拡大

- 適応外使用への不安
- 必要と思われる薬剤が使用できない矛盾
- 稀少疾患治療薬品の選択拡大

新薬の開発

- 小児科医としての義務・使命
- 自身の学問的モチベーション

「積極的に取り組まない」理由

治験体制の未整備

- 時間、人員、設備の不足
- リスクマネジメントへの不安
- ⇒ 治験実施環境として不適切である
研究機関などでの実施が望ましい

本人・保護者の同意取得が困難

- 説明にかける十分な時間が取れない
- 開業医の立場では同意を取りにくい
- 対象が小児故の難しさ

「積極的に取り組まない」理由

症例数を集めることが困難

- 治験に費やす労力が負担
- 小児を対象とした治験への抵抗感
- 小児治験への医師の知識・興味不足

小児治験に関する当面の課題

インフォームド・コンセント

- 時間的制約
- 小児対象であるため保護者の同意取得が困難

⇒ 社会への啓蒙

- 小児用医薬品の多くが適応外使用であること
- 適応外使用の改善のための治験の必要性
- 成人中心で小児治験が放置されている実態
- 製薬会社の小児治験に対する消極的な姿勢

小児治験に関する当面の課題

⇒ 具体的な治験デザインの提示
判りやすい治験デザインのオープン化

- 時間・人員の確保
- 治験に付随するリスク対応策

- ⇒ 専門的な人材育成
- ⇒ データの厳格性の確保

小児治験に関する自由記述

治験体制の整備

時間、環境、人材、設備

治験情報の開示・周知

- ⇒ 治験実施者である医師の意欲不足
- ⇒ 治験実施者と被験者の良好な関係性
- ⇒ 実施者への評価の必要性

考 察

医療者側から見た治験参加を妨げる要因

① 治験実施体制・環境の不備

時間の問題

人員の問題

リスクマネジメントの問題

個人単位、診療所単位では対応困難

→基幹病院を中心としたネットワークの構築

考 察

医療者側から見た治験参加を妨げる要因

② 治験に関する情報不足

治験・治験ネットワークの情報の開示

考 察

医療者側から見た治験参加を妨げる要因

③ 同意取得の困難

保護者への インフォームド・コンセント

子ども本人への インフォームド・アセント

何か参加へのモチベーションを阻害するのか？
年齢相応の理解をどうして得るのか？ 誰が？

考 察

医療者側から見た治験参加を妨げる要因

④ 一般の治験に対する知識不足

インフォームドコンセント取得困難の一因
社会的啓発の促進

⑤ 医師側の意欲の不足

必要性の認識 誰かやってくれるだろう・・・
医師主導の小児治験を

結 論

医師へのアンケート調査を通して考えられた 小児治験推進のための重要課題

基幹病院が中心となった治験システムの構築

子ども・保護者への介入方法の検討

一般への啓発活動

医師の認識を変える

小児治験に専門的に関わる人材の育成

子どもと家族側から見た 治験参加のモチベーション

研究方法 質問紙調査

調査対象

- <医療機関> 外来・病棟 (6件) 患児・保護者
- <教育機関> 小学校 (2件) 児童・保護者
- 中学校 (2件) 生徒・保護者
- 高等学校 (1件) 生徒・保護者

調査期間

- <医療機関> 平成19年5月～8月 (4ヶ月間)
- <教育機関> 平成19年6月～7月 (2ヶ月間)

アンケート回収結果

	医療機関		教育機関			合計
	外来	入院	小学校	中学校	高校	
子ども	252	29	103	489	543	1,416
保護者	1,055	137	101	307	169	1,769
小計	1,307	166	204	796	712	3,185
合計	1,473		1,712			

治験の認知度と参加意思の間に関連
低年齢ほど低い

低年齢の小児と保護者に対する啓発とアイテム開発が必要

子どもの治験があることを知っていますか

対象者	調査機関	知っていたか		合計
		はい	いいえ	
子ども	医療機関	29	244	273
		10.6%	89.4%	100.0%
	教育機関*	177	955	1132
合計		206	1199	1405
		14.7%	85.3%	100.0%
	保護者	医療機関	181	996
15.4%			84.6%	100.0%
教育機関**		126	450	576
合計		307	1446	1753
		17.5%	82.5%	100.0%

* $p < 0.05$

** $p < 0.01$

治験に参加しますか・させますか

対象者	調査機関	参加するか		合計
		はい	いいえ	
子ども	医療機関	56	199	255
		22.0%	78.0%	100.0%
	教育機関*	184	943	1127
		16.3%	83.7%	100.0%
保護者	医療機関	240	1142	1382
		17.4%	82.6%	100.0%
	教育機関*	230	817	1047
		22.0%	78.0%	100.0%
合計	医療機関	92	447	539
		17.1%	82.9%	100.0%
	教育機関*	322	1264	1586
		20.3%	79.7%	100.0%

* $p < 0.05$

認知度と参加のモチベーション

対象者	調査機関	参加するか		合計
		はい	いいえ	
子ども	知っていた	59	141	200
		29.5%	70.5%	100.0%
	知らなかった**	181	999	1180
合計		240	1140	1380
		17.4%	82.6%	100.0%
	保護者	知っていた	110	159
40.9%			59.1%	100.0%
知らなかった**		211	1101	1312
合計		321	1260	1581
		20.3%	79.7%	100.0%

** $p < 0.01$