

(ii) by striking subparagraph (C) and inserting the following:

“(C) The ex officio members of the Board under subparagraph (B) shall appoint to the Board individuals from among a list of candidates to be provided by the National Academy of Science. Such appointed members shall include—

- “(i) representatives of the general biomedical field;
- “(ii) representatives of experts in pediatric medicine and research;
- “(iii) representatives of the general biobehavioral field, which may include experts in biomedical ethics; and
- “(iv) representatives of the general public, which may include representatives of affected industries.”; and

(B) in paragraph (2), by realigning the margin of subparagraph (B) to align with subparagraph (A);

(4) in subsection (k)(9)—

(A) by striking “The Foundation” and inserting the following:

“(A) IN GENERAL.—The Foundation”; and

(B) by adding at the end the following:

“(B) GIFTS, GRANTS, AND OTHER DONATIONS.—

“(i) IN GENERAL.—Gifts, grants, and other donations to the Foundation may be designated for pediatric research and studies on drugs, and funds so designated shall be used solely for grants for research and studies under subsection (c)(1)(C).

“(ii) OTHER GIFTS.—Other gifts, grants, or donations received by the Foundation and not described in clause (i) may also be used to support such pediatric research and studies.

“(iii) REPORT.—The recipient of a grant for research and studies shall agree to provide the Director of the National Institutes of Health and the Commissioner of Food and Drugs, at the conclusion of the research and studies—

“(I) a report describing the results of the research and studies; and

“(II) all data generated in connection with the research and studies.

“(iv) ACTION BY THE COMMISSIONER OF FOOD AND DRUGS.—The Commissioner of Food and Drugs shall take appropriate action in response to a report received under clause (iii) in accordance with paragraphs (7) through (12) of section 409I(c), including negotiating with the holders of approved applications for the drugs studied for any labeling changes that the Commissioner determines to be appropriate and requests the holders to make.

“(C) APPLICABILITY.—Subparagraph (A) does not apply to the program described in subsection (c)(1)(C).”;

(5) by redesignating subsections (f) through (m) as subsections (e) through (l), respectively;

(6) in subsection (h)(11) (as so redesignated), by striking “solicit” and inserting “solicit.”; and

(7) in paragraphs (1) and (2) of subsection (j) (as so redesignated), by striking "(including those developed under subsection (d)(2)(B)(i)(II))" each place it appears.

SEC. 14. PEDIATRIC PHARMACOLOGY ADVISORY COMMITTEE.

(a) **IN GENERAL.**—The Secretary of Health and Human Services shall, under section 222 of the Public Health Service Act (42 U.S.C. 217a), convene and consult an advisory committee on pediatric pharmacology (referred to in this section as the "advisory committee").

(b) **PURPOSE.**—

(1) **IN GENERAL.**—The advisory committee shall advise and make recommendations to the Secretary, through the Commissioner of Food and Drugs and in consultation with the Director of the National Institutes of Health, on matters relating to pediatric pharmacology.

(2) **MATTERS INCLUDED.**—The matters referred to in paragraph (1) include—

(A) pediatric research conducted under sections 351, 409I, and 499 of the Public Health Service Act and sections 501, 502, 505, and 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act;

(B) identification of research priorities related to pediatric pharmacology and the need for additional treatments of specific pediatric diseases or conditions; and

(C) the ethics, design, and analysis of clinical trials related to pediatric pharmacology.

(c) **COMPOSITION.**—The advisory committee shall include representatives of pediatric health organizations, pediatric researchers, relevant patient and patient-family organizations, and other experts selected by the Secretary.

SEC. 15. PEDIATRIC SUBCOMMITTEE OF THE ONCOLOGIC DRUGS ADVISORY COMMITTEE.

(a) **CLARIFICATION OF AUTHORITIES.**—

(1) **IN GENERAL.**—The Pediatric Subcommittee of the Oncologic Drugs Advisory Committee (referred to in this section as the "Subcommittee"), in carrying out the mission of reviewing and evaluating the data concerning the safety and effectiveness of marketed and investigational human drug products for use in the treatment of pediatric cancers, shall—

(A) evaluate and, to the extent practicable, prioritize new and emerging therapeutic alternatives available to treat pediatric cancer;

(B) provide recommendations and guidance to help ensure that children with cancer have timely access to the most promising new cancer therapies; and

(C) advise on ways to improve consistency in the availability of new therapeutic agents.

(2) **MEMBERSHIP.**—

(A) **IN GENERAL.**—The Secretary shall appoint not more than 11 voting members to the Pediatric Subcommittee from the membership of the Pediatric Pharmacology Advisory Committee and the Oncologic Drugs Advisory Committee.

(B) **REQUEST FOR PARTICIPATION.**—The Subcommittee shall request participation of the following members in

the scientific and ethical consideration of topics of pediatric cancer, as necessary:

(i) At least two pediatric oncology specialists from the National Cancer Institute.

(ii) At least four pediatric oncology specialists from—

(I) the Children's Oncology Group;

(II) other pediatric experts with an established history of conducting clinical trials in children; or

(III) consortia sponsored by the National Cancer Institute, such as the Pediatric Brain Tumor Consortium, the New Approaches to Neuroblastoma Therapy or other pediatric oncology consortia.

(iii) At least two representatives of the pediatric cancer patient and patient-family community.

(iv) One representative of the nursing community.

(v) At least one statistician.

(vi) At least one representative of the pharmaceutical industry.

(b) PRE-CLINICAL MODELS TO EVALUATE PROMISING PEDIATRIC CANCER THERAPIES.—Section 413 of the Public Health Service Act (42 U.S.C. 285a-2) is amended by adding at the end the following:

“(c) PRE-CLINICAL MODELS TO EVALUATE PROMISING PEDIATRIC CANCER THERAPIES.—

“(1) EXPANSION AND COORDINATION OF ACTIVITIES.—The Director of the National Cancer Institute shall expand, intensify, and coordinate the activities of the Institute with respect to research on the development of preclinical models to evaluate which therapies are likely to be effective for treating pediatric cancer.

“(2) COORDINATION WITH OTHER INSTITUTES.—The Director of the Institute shall coordinate the activities under paragraph (1) with similar activities conducted by other national research institutes and agencies of the National Institutes of Health to the extent that those Institutes and agencies have responsibilities that are related to pediatric cancer.”.

(c) CLARIFICATION OF AVAILABILITY OF INVESTIGATIONAL NEW DRUGS FOR PEDIATRIC STUDY AND USE.—

(1) AMENDMENT OF THE FEDERAL FOOD, DRUG, AND COSMETIC ACT.—Section 505(i)(1) of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (21 U.S.C. 355(i)(1)) is amended—

(A) in subparagraph (B), by striking “and” at the end;

(B) in subparagraph (C), by striking the period at the end and inserting “; and”; and

(C) by adding at the end the following:

“(D) the submission to the Secretary by the manufacturer or the sponsor of the investigation of a new drug of a statement of intent regarding whether the manufacturer or sponsor has plans for assessing pediatric safety and efficacy.”.

(2) AMENDMENT OF THE PUBLIC HEALTH SERVICE ACT.—Section 402(j)(3)(A) of the Public Health Service Act (42 U.S.C. 282(j)(3)(A)) is amended in the first sentence—

(A) by striking “trial sites, and” and inserting “trial sites,”; and

(B) by striking "in the trial," and inserting "in the trial, and a description of whether, and through what procedure, the manufacturer or sponsor of the investigation of a new drug will respond to requests for protocol exception, with appropriate safeguards, for single-patient and expanded protocol use of the new drug, particularly in children,".

(d) REPORT.—Not later than January 31, 2003, the Secretary of Health and Human Services, acting through the Commissioner of Food and Drugs and in consultation with the Director of the National Institutes of Health, shall submit to the Committee on Health, Education, Labor, and Pensions of the Senate and the Committee on Energy and Commerce of the House of Representatives a report on patient access to new therapeutic agents for pediatric cancer, including access to single patient use of new therapeutic agents.

SEC. 16. REPORT ON PEDIATRIC EXCLUSIVITY PROGRAM.

Not later than October 1, 2006, the Comptroller General of the United States, in consultation with the Secretary of Health and Human Services, shall submit to Congress a report that addresses the following issues, using publicly available data or data otherwise available to the Government that may be used and disclosed under applicable law:

(1) The effectiveness of section 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act and section 409I of the Public Health Service Act (as added by this Act) in ensuring that medicines used by children are tested and properly labeled, including—

(A) the number and importance of drugs for children that are being tested as a result of this legislation and the importance for children, health care providers, parents, and others of labeling changes made as a result of such testing;

(B) the number and importance of drugs for children that are not being tested for their use notwithstanding the provisions of this legislation, and possible reasons for the lack of testing; and

(C) the number of drugs for which testing is being done, exclusivity granted, and labeling changes required, including the date pediatric exclusivity is granted and the date labeling changes are made and which labeling changes required the use of the dispute resolution process established pursuant to the amendments made by this Act, together with a description of the outcomes of such process, including a description of the disputes and the recommendations of the Pediatric Advisory Subcommittee of the Anti-Infective Drugs Advisory Committee.

(2) The economic impact of section 505A of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act and section 409I of the Public Health Service Act (as added by this Act), including an estimate of—

(A) the costs to taxpayers in the form of higher expenditures by medicaid and other Government programs;

(B) sales for each drug during the 6-month period for which exclusivity is granted, as attributable to such exclusivity;

(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 409I 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.*

制定法 1789

アメリカ合衆国第 107 連邦会議

第 1 会期

2001 年 1 月 3 日 (水) ワシントン市において開始・開催

小児用医薬品の安全性および有効性を改善するため FD&C Act (Food, Drug, and Cosmetic Act: 連邦食品医薬品化粧品法) を改正する法律

アメリカ合衆国連邦議会上院および下院により制定。

セクション 1 略称

この法律は、BPCA (Best Pharmaceuticals for Children: 「小児優良医薬品法」) としてこれを引用することができる。

セクション 2 既に市販されている医薬品の小児臨床試験

FD&C Act セクション 505A (21 U.S.C. 355a) は、次の通りこれを改正する。

- (1) サブセクション (b) を削除する。
- (2) サブセクション (c) において
 - (A) 「DHHS (Department of Health and Human Services) 長官は」の後に次を挿入する。「小児集団における承認医薬品の使用に関する情報が当該集団に健康上の利点を生じ得ると判断する、および」。
 - (B) 「サブセクション (b) に記載するリストに明記する医薬品に関する」を削除する。

セクション 3 医薬品の臨床試験用研究資金

公衆衛生法タイトル IV パート B (42 U.S.C. 284 以下) は、次の通りこれを改正する。

- (1) 臨床研究 (42 U.S.C. 284k) に関する第 2 セクション 409C をセクション 409G に変更する。
- (2) 促進助成金 (42 U.S.C. 284i) に関する第 2 セクション 409D をセクション 409H に変更する。
- (3) 末尾に次を追加する。

「セクション 409I 医薬品の小児臨床試験計画

(a) 小児臨床試験が必要な医薬品のリスト

- (1) 総則—このセクションの制定後少なくとも 1 年以内に、DHHS 長官は、NIH (National Institute of Health: 国立衛生研究所) 所長を介して、かつ FDA (Food & Drug Administration: 食品・医薬品管理局) 長官および小児研究の専門家と協議の上、次に掲げる承認医薬品の年次リストを作成し、優先順位を付け、それを公表するものとする。
 - (A)(i) FD&C Act セクション 505(j) (21 U.S.C. 355(j)) に基づいて承認された医薬品。
 - (ii) FD&C Act セクション 505(j) (21 U.S.C. 355(j)) の基準に基づいて承認されるであろう、申請済み医薬品。
 - (iii) FD&C Act (21 U.S.C. 301 以下) に基づく特許保護もしくは市場独占権保護のない医薬品。
 - (iv) FD&C Act セクション 505A(d)(4)(C) (21 U.S.C. 355a(d)(4)(C)) に基づきリストに含めるよう照会されている医薬品。

- (B)サブパラグラフ(A)の条項(i)、(ii)または(iii)に該当する医薬品の場合は、小児集団における当該医薬品使用時の安全性および有効性を評価するために追加試験が必要な医薬品。
- (2)入手可能な情報の検討—DHHS 長官は、パラグラフ(1)のリストの作成と優先順位付けにあたって、リスト上の各医薬品について、次の各事項を検討するものとする。
- (A)小児集団における当該医薬品の安全かつ有効な使用に関する情報の入手の可能性。
- (B)追加情報の必要性。
- (C)当該医薬品に関する新規の小児臨床試験による、小児集団への健康上の利点の有無。
- (D)当該医薬品の製剤変更の必要性。
- (b)小児臨床試験の契約—DHHS 長官は、小児臨床試験を実施するための専門知識を有する事業者（小児薬理学研究施設やその他、公的・私的研究所、もしくは個人など、資格を有する大学、病院、研究所、CROを含む）に対して、サブセクション(a)に記載するリストに明記する1つまたはそれ以上の医薬品に関する小児臨床試験を当該事業者が実施できるよう、契約を与えるものとする。
- (c)契約手順および製品情報の変更
- (1)市場独占権を欠く医薬品の承認保持者に対する要請書（written request）—FDA 長官は、NIH 所長と協議の上、サブセクション(a)(1)(A)（条項(iv)を除く）に記載するリストに明記する医薬品に関する小児臨床試験の要請書（合意のための交渉のスケジュールを含む）を、FD&C Act セクション 505 に基づく医薬品の承認保持者全員に対して、交付することができる。前記の要請書は、当該要請書に従い実施されるべき小児臨床試験に関する情報が含まれ、FD&C Act セクション 505A の(a)または(b)に基づき要請書が交付される方法と同等の方法によってこれを行うものとする。
- (2)契約申込みの要請—FDA 長官がパラグラフ(1)に基づき交付された要請書への回答を交付日から30日以内に受領しないとき、またはサブセクション(a)(1)(A)(iv)に記載する照会が行われるときは、DHHS 長官は、NIH 所長を介して、かつ FDA 長官と協議の上、当該要請書に記載する小児臨床試験を行う契約申込みの要請を公表するものとする。
- (3)失格—第1拒否権を受けた保持者は、パラグラフ(2)に基づく契約申込みの要請に応じる権利を持たないものとする。
- (4)指針—このセクションの制定後少なくとも270日以内に、FDA 長官は、パラグラフ(1)に基づく要請書に対する回答の提出方法を確立する指針を公布するものとする。
- (5)契約—DHHS 長官がこのセクションの実施に必要なと認める形式および方法で契約申込みが DHHS 長官に提出され、かつ DHHS 長官が必要と認める合意、保証および情報が含まれているときに限り、このセクションに基づき契約が与えられる。
- (6)臨床試験の報告
- (A)総則—このセクションに基づいて与えられる契約に従った小児臨床試験の完了時に、当該試験に関する報告を NIH 所長および FDA 長官に提出するものとする。この報告には、試験に関連して生じるすべてのデータを含めるものとする。
- (B)報告書の利用可能性—サブパラグラフ(A)に基づいて提出される各報告は公知であるものとみなし（FD&C Act セクション 505A(d)(4)(D)(21 U.S.C. 355a(d)(4)(D))に従って）、FDA 長官がこれに公文書番号を割り当てるものとする。関係者は前記の小児臨床試験に関する意見書を提出することができ、この意見書は各医薬品に関する公文書ファイルの一部となるものとする。

(C)FDA 長官の措置—FDA 長官は、サブパラグラフ(A)に基づいて提出される報告書に応じて、パラグラフ(7)に従って適切な措置を講じるものとする。

(7)製品情報変更の要請—パラグラフ(6)(A)に基づいて報告書が提出された日より 180 日以内に、FDA 長官は次の事項を行うものとする。

(A)当該医薬品の安全かつ有効な使用に関する入手可能な報告書、もしくはその他のデータの審査を実施する。

(B)FDA 長官が適切と認め、かつ当該保持者に要請される製品情報変更に関して当該医薬品の承認保持者と交渉を行う。

(C)(i)報告書および要請される製品情報変更の写しを公文書ファイルへ保管し、また

(ii)報告の要約および要請される製品情報変更の写しを FR(Federal Register:連邦広報)で公表する。

(8)紛争の解決

(A)抗感染症薬諮問委員会小児諮問小委員会 (Pediatric Advisory Subcommittee of the Anti-Infective Drugs Advisory Committee)への照会—遅くともパラグラフ(7)に記載する 180 日間の終了までに、当該医薬品の承認保持者が同パラグラフに基づき FDA 長官が要請する製品情報変更に同意しないときは、FDA 長官は、当該要請を抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会に照会するものとする。

(B)抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会の措置—サブパラグラフ(A)に基づく照会の受領後遅くとも 90 日以内に、抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会は、次の事項を行うものとする。

(i)小児集団における当該医薬品の安全かつ有効な使用に関する利用可能な情報（このセクションに基づいて提出される臨床試験報告書を含む）の検討。

(ii)適切な製品情報変更（該当する場合）に関する、FDA 長官への勧告。

(9)FDA の判断—医薬品に関するパラグラフ(8)(B)(ii)に基づく抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会からの勧告の受領後遅くとも 30 日以内に、FDA 長官は当該勧告を検討し、適切なときは、当該医薬品の承認保持者に対して、FDA 長官が適切と判断するラベルリング変更を行うよう要請するものとする。

(10)同意の無い場合—医薬品の承認保持者が、パラグラフ(9)に基づく製品情報変更の要請の受領後 30 日以内に要請された製品情報変更に同意しないときは、FDA 長官は当該医薬品が FD&C Act (21 U.S.C. 301 以下)に基づき「不当表示 (misbranded)」されているとみなすことができる。

(11)権限に対する影響がないこと—このサブセクションの如何なる文言も、医薬品が小児における適切な製品情報を欠く場合に、FD&C Act に基づき強制執行を取る合衆国の権限を制限するものではない。またいかなる措置（抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会の処置または前文で言及した強制執行）も、他の措置を妨げ、遅延させまたは延期する根拠としてはならないものとする。

(12)製剤変更の勧告—公的契約に基づき完了した小児臨床試験の結果、製剤変更が必要であることが示され、かつ DHHS 長官が同意するときは、DHHS 長官は当該変更に関する拘束力のない勧告書を各承認保持者に送付するものとする。

“(d)歳出予算の許可

(1)総則—このセクションの実施のため、次の歳出予算が許可されている。

(A)2002 会計年度につき 2 億ドル。

(B)その後の 5 っ年会計年度の各年度につき必要な額。

- (2)利用可能性—パラグラフ(1)に基づき充当される金額は、支出されるまでこのセクションの実施のため入手可能であるものとする。]

セクション4 市場独占権を有する医薬品の承認保持者に対する要請書

FD&C Act セクション 505A(d)(21 U.S.C. 355a(d))は、末尾に次を追加してこれを改正する。

[(4)市場独占権を有する医薬品の承認保持者に対する要請書

(A)要請および回答—DHHS 長官がセクション 505(b)(1)に基づく申請承認保持者に対し、サブセクション(c)に基づく小児臨床試験(生児を含む場合もある)の要請書が交付された場合は、当該承認保持者は要請書の受領後遅くとも180日以内に、要請に対する保持者の意向に関して次のようにDHHS長官に回答するものとする。

- (i)承認保持者が要請に同意するときは、小児臨床試験が開始される時期、または
(ii)承認保持者が要請に同意しない。

(B)要請に対する不同意

(i)照会—保持者がサブパラグラフ(A)に記載する期間内に要請に同意しないとき、かつ小児集団(必要に応じて新生児を含む)における医薬品の使用に関する情報を継続的に得る必要があると判断するときは、DHHS 長官は、要請書に記載する小児臨床試験の実施のため、当該医薬品を公衆衛生法セクション 499(42 U.S.C. 290b)に基づき設立される NIH 基金(この号において「基金」という)に照会するものとする。

(ii)公示—DHHS 長官は、条項(i)に基づく照会の対象となった医薬品の名称、製造者の名称および試験する効能の公示を行う。

(C)資金の欠如—試験実施のための資金(セクション 499(j)(9)(B)(i)に基づき入手可能)が基金にないことをDHHS 長官に証明するときを除いて、サブパラグラフ(B)(i)に基づく医薬品の照会があるときは、DHHS 長官が指針により適切であると判断する時間枠内に、基金は要請した試験を実施する補助金を与える提案を発表するものとする。基金が前記の証明をするときは、DHHS 長官は試験の実施のため、公衆衛生法セクション 409Iに基づき作成されるリストに含めるよう、当該医薬品を照会するものとする。

(D)このサブセクションの効力—このサブセクションの如何なる文言も(基金に対するDHHS 長官からの照会に関するものを含む)、この法律のセクション 301(j)または合衆国法律集タイトル5セクション 552もしくはタイトル18のセクション 1905を変更する、もしくは改正するものではない。

(E)照会の要件がないこと—このサブセクションの如何なる文言も、拒否された要請書がすべて基金に照会されるよう命じるものとこれを解釈してはならない。

(F)サブセクション(b)に基づく要請書—要請書が受諾されなかった、サブセクション(b)に基づく医薬品について、小児集団(場合に応じて新生児を含む)における当該医薬品の使用に関する情報の継続的必要があるとDHHS 長官が判断するときは、DHHS 長官は、当該医薬品の承認日以後にサブセクション(c)に基づく要請書を交付するものとする。]

セクション5 市場独占権を与えられた医薬品情報の適時変更ならびに申請費用

- (a)小児に関する承認内容一部変更申請(Pediatric supplement)ユーザーフィー免除の削除—FD&C Act セク

ション 736(a)(1)(21 U.S.C. 379h(a)(1))は、次の通りこれを改正する。

- (1)サブパラグラフ(F)を削除する。
- (2)サブパラグラフ(G)をサブパラグラフ(F)に変更する。

(b)製品情報変更

(1)優先審査の対象となる承認内容一部変更申請 (priority supplement)の定義—FD&C Act セクション 201(21 U.S.C. 321)は、末尾に次を追加してこれを改正する。

「(kk) 優先審査の対象となる承認内容一部変更申請 — 「優先審査の対象となる承認内容一部変更申請 (priority supplement)」とは、1997 年 FDAMA(FDA Modernization Act:食品医薬品局近代化法)(111 Stat. 2298) セクション 101(4)で言及された医薬品の申請をいう。」

(2)優先審査対象としての取り扱い—FD&C Act セクション 505A(21 U.S.C. 355a)は、末尾に次を追加してこれを改正する。

「(1)製品情報に関する一部変更申請

(1) 小児に関する承認内容一部変更申請の優先的地位—このセクションに基づく小児臨床試験の報告書により製品情報変更を提案する、セクション 505 による承認内容一部変更申請は、

- (A) 優先審査の対象となる承認内容一部変更申請 (priority review)とみなす、および
- (B)優先医薬品について FDA 長官が設定した遂行目標に従う。

(2)紛争の解決

(A)製品情報変更の要請および不同意—このセクションに基づき行われる小児臨床試験に関する申請が承認可能であるが、当該申請の最終措置における唯一の未解決問題が、当該医薬品の製品情報の適切な変更に関しスポンサーと FDA 長官とが合意に達することであると FDA 長官が判断するときは、当該申請の提出の日から遅くとも 180 日以内に、FDA 長官は以下を行う。

- (i)FDA 長官は、FDA 長官が適切と判断する製品情報の変更を行うよう、スポンサーに要請する。
- (ii)スポンサーが FDA 長官の要請する製品情報変更を行うことに同意しないときは、FDA 長官は、抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会にこの問題を照会するものとする。

(B)抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会の措置—サブパラグラフ(A)(ii)に基づく照会の受領後遅くとも 90 日以内に、抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会は次の事項を行うものとする。

- (i)小児臨床試験報告書の審査を行う。
- (ii)製品情報の適切な変更（該当する場合）に関して、FDA 長官に勧告を行う。

(C)勧告の検討—FDA 長官は、抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会の勧告を検討し、かつ必要に応じて、勧告の受領後遅くとも 30 日以内に、FDA 長官が適切と判断した製品情報変更を行うよう、スポンサーに要請するものとする。

(D)不当表示 (Misbranding)—サブパラグラフ(C)に基づく要請の受領後 30 日以内に、FDA 長官が適切と判断要請した製品情報変更の実施にスポンサーが同意しないときは、申請対象の医薬品が不当表示されている (misbranded)と FDA 長官はみなすことができる。

(E)権限に対する影響がないこと—このサブセクションの如何なる文言も、医薬品が適切な小児用製品情報を欠く場合にこの法律に基づき強制執行を取る合衆国の権限を制限するものではない。またいかなる措置 (抗感染症薬諮問委員会小児科諮問小委員会の処置または前文で言及した強制執行) も、他の措置を妨げ、遅延させまたは延期する根拠としてはならない。

セクション6 小児治療部 (Office of Pediatric Therapeutics)

- (a) 設立—DHHS 長官は、FDA 内に小児治療部 (Office of Pediatric Therapeutics) を設置する。
- (b) 任務—小児治療部は、小児集団もしくは小児医療に影響を与える、あるいはその他の形で小児に関連する可能性のある FDA のすべての業務の調整と促進の責任を負う。
- (c) 職員—小児治療部の職員は、小児治療に関する業務を担当する DHHS の職員と協働する。小児治療部の職員には次に掲げる職員が含まれるものとする。
 - (1) 小児集団の臨床試験の実施に関連した倫理問題について専門知識を有する 1 名以上の職員の追加。
 - (2) サブセクション(b)に記載する業務の実施に必要な、小児科学の専門知識を有する 1 名以上の職員の追加。

セクション7 新生児

FD&C Act セクション 505A(g)(21 U.S.C. 355a(g))は、「小児年齢群」の後に「(必要に応じて新生児を含む)」を挿入して、これを改正する。

セクション8 サンセット

FD&C Act セクション 505A(21 U.S.C. 355a)は、サブセクション(j)を削除し、次を挿入してこれを改正する。

「(j) サンセット—医薬品は、次に掲げる場合を除いて、サブセクション(a)または(c)に基づく 6 ヶ月の (独占) 期間を与えられない。

- (1) 2007 年 10 月 1 日以前に DHHS 長官が要請書を交付した場合。
- (2) 2007 年 10 月 1 日以前に医薬品の販売承認申請がセクション 505(b)に基づき受領した場合。
- (3) このセクションの要件がすべて満たされた場合。」

セクション9 小児情報の普及

FD&C Act セクション 505A(21 U.S.C. 355a) (セクション 5(b)(2)における改正を含む) は、末尾に次を追加してこれを改正する。

「(m) 小児情報の普及

- (1) 総則—このセクションに基づく小児臨床試験報告の提出の日から遅くとも 180 日以内に、FDA 長官は、承認内容一部変更のため行われた小児臨床試験の、医学・臨床薬理学審査の要約を、Federal Register で公表を含めて、一般に提供するものとする。
- (2) このサブセクションの効力—このサブセクションの如何なる文言も、この法律セクション 301(j)または合衆国法律集タイトル 5 セクション 552 もしくはタイトル 18 セクション 1905 を変更、および改正するものではない。」

セクション10 FD&C Act セクション 505A に基づく小児独占権 (pediatric exclusivity) と同法セクション 505(j) * に基づく医薬品の承認申請者に与えられる 180 日市場独占権との相互関係の明確化

* 訳注： 先発品の特許を無効として最初に提出される ANDA 申請のスポンサーに対しては、ANDA 承認後 180 日は他の後発品の参入を防ぐことができる (180 日の後発品市場独占権が与えられる) 規定

FD&C Act セクション 505A(21 U.S.C. 355a) (セクション 9 における改正を含む) は、末尾に次を追加してこれを改正する。

「(n)このセクションに基づく市場独占権とセクション 505(j)に基づく医薬品の承認申請者に与えられる市場独占権との相互関係の明確化—セクション 505(j)(5)(B)(iv)に基づく 180 日の期間が、このセクションに基づく 6 ヶ月の市場独占権期間と重複し、その結果、同セクションに基づく 180 日の期間の権利を有しており、かつセクション 505(j)に基づく医薬品の承認申請者が、当該医薬品について権利を有する 180 日の期間の一部を失うときは、当該 180 日の期間は次のいずれかの通り延長されるものとする。

- (1)当該 180 日の期間が、このサブセクションの適用がなければ当該 6 ヶ月の期間終了後に満了するであろうときは、当該 180 日の期間が満了したであろう日から重複日数のみ延長。
- (2)当該 180 日の期間がこのサブセクションの適用がなければ当該 6 ヶ月の期間中に満了するであろうときは、当該 6 ヶ月の市場独占権期間が満了したであろう日から重複日数のみ延長。」

セクション 11 小児情報が製品情報に追加される場合の、セクション 505(j)に基づく医薬品の迅速な承認

(a)総則—FD&C Act セクション 505A(21 U.S.C. 355a) (セクション 10 による改正を含む) は、末尾に次を追加してこれを改正する。

「(o)小児情報が製品情報に追加される場合のセクション 505(j)に基づく医薬品の迅速な承認

- (1)総則—申請がセクション 505(j)に基づき提出または承認された医薬品は、当該医薬品のラベリングが小児効能または小児用法に関するその他の製品情報項目を省略しており、当該省略された効能またはその他の事項が特許によってまたはセクション 505(j)(5)(D)の条項(iii)または(iv)に基づく市場独占権によって保護されている場合は、当該省略を根拠として同セクションに基づく承認に不適格であるまたはセクション 502 に基づき不当表示されているとみなしてはならない。
 - (2)ラベリング—セクション 505(j)(5)(D)の条項(iii)および(iv)にかかわらず、DHHS 長官は、パラグラフ(1)に記載する小児効能またはその他の製品情報項目を省略したセクション 505(j)に基づき承認された医薬品の製品情報に次の項目を含めるよう要求することができる。
 - (A)製造者に対する市場独占権を理由として、次のいずれかの記述を必要とする。
 - (i)当該医薬品の製品情報に小児用法に関する記載がない旨の記載。
 - (ii)パラグラフ(1)に言及されていない他の小児用法がある医薬品の場合は、当該医薬品がパラグラフ(1)に基づく小児用法について製品情報への記載がない旨の記載。
 - (B)DHHS 長官が必要とみなす適切な小児禁忌、警告または使用上の注意の記載。
 - (3)小児市場独占権およびその他の規定の保存—このサブセクションは、次のものには影響しない。
 - (A)このセクションに基づく市場独占権の利用可能性もしくは範囲。
 - (B)小児用製剤に関するセクション 505 に基づく市場独占権の利用可能性もしくは範囲。
 - (C)セクション 505(j)(5)(D)の条項(iii)または(iv)に基づく市場独占権の権利のある承認の他の条件を省略したセクション 505(j)に基づく販売承認申請の承認の妥当性の問題。
 - (D)パラグラフ(1)および(2)に明示的に規定する場合を除き、セクション 505 の適用。
- (b)施行期日—サブセクション(a)による改正は、この法律の制定の日に、同日において承認されるまたは未決定の FD&C Act セクション 505(j)(21 U.S.C. 355(j))に基づく申請に関する場合を含め、効力を発する。

セクション12 小児研究に関する調査

(a)医学研究所との契約—DHHS 長官は、次の目的で医学研究所との契約を締結する。

(1)サブセクション(b)に従った次の事項の検討を実施すること。

(A)小児研究に関する、当該法の制定日に施行されている連邦規則。

(B)小児研究に関する、連邦が準備あるいは支援する報告。

(C)連邦が支援するエビデンスに基づく小児研究。

(2)小児研究に関する最良の実施方法の勧告を含む、パラグラフ(1)に基づき行われる検討に関する報告を、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、この法律の制定の日から遅くとも2年以内に提出する。

(b)検討分野—サブセクション(a)(1)に基づく検討を行うにあたって、医学研究所は、次の事項を考慮するものとする。

(1)小児臨床研究参加者ならびにその両親、後見人および当該小児の法律で認められた代表者を務めることができる者（CFR (Code of Federal Regulations) タイトル45 パート46 サブパートAで定義する）に関して、「同意 (assent)」、「許可 (permission)」および「インフォームド・コンセント (informed consent)」を取得し定義する、書面および口頭による過程。

(2)小児臨床研究参加者ならびにその両親、後見人および当該小児の法律で認められた代表者の、小児の研究への参加の直接の利点およびリスク（とくに「研究」と「治療」とのバランスについて）に関する期待および理解。

(3)健康児または病気の小児に関する「最低リスク」の定義。

(4)異なる年齢および成熟度の小児に適用される規則（法的地位に関する規則を含む）の妥当性。

(5)小児の研究参加に対して小児またはその親、後見人もしくは法律で認められた代表者に対して支払い（金銭的その他の）が行われるか否か、および行われるときは行われる支払いの額および種類。

(6)サブセクション(a)(1)(A)に言及する規則の遵守、当該遵守の監視（治験審査委員会の役割を含む）および当該規則の違反に対して行われる強制執行。

(7)小児が関わる研究の審査における治験審査委員会の独自の役割および責任（治験審査委員会の委員の構成を含む）。

(c)専門知識の要件—医学研究所は、サブセクション(a)(1)に基づく審査を行い、かつ小児医学、小児研究、および小児が関わる研究の倫理管理の専門家と協力してサブセクション(a)(2)に基づく勧告を行うものとする。

セクション13 NIHに関する基金

公衆衛生法セクション499(42 U.S.C. 290b)は、次の通りこれを改正する。

(1)サブセクション(b)において、「任務」の後に「(小児薬理学研究の資金の募集を含む)」を挿入する。

(2)サブセクション(c)(1)において、

(A)サブパラグラフ(C)をサブパラグラフ(D)に変更する。および

(B)サブパラグラフ (B) の後に次を挿入する。

「(C)この法律セクション409I(a)(1)(A)に従ってDHHS長官がリストを作成し、FD&C Act セクション505A(d)(4)(C)(21 U.S.C. 355a(d)(4)(C))に言及する小児薬理学研究・試験の資金を募集する計画。」。

(3)サブセクション(d)において、

- (A)パラグラフ(1)において、
- (i)サブパラグラフ(B)において、
 - (I)条項(ii)において、末尾の「および」を削除する。
 - (II)条項(iii)において、終止符を削除し「、および」を挿入する。
 - (III)末尾に次を追加する。
「(iv)FDA 長官。」
 - (ii)サブパラグラフ(C)を削除し次を挿入する。
「(C)サブパラグラフ(B)に基づく委員会の職権上の委員は、全米科学アカデミーが提供する候補者リストから人を委員会に指名するものとする。同指名する委員には、次の者を含む。
 - (i)一般生物医学分野の代表者。
 - (ii)小児医学および小児研究の専門家の代表者。
 - (iii)一般生物行動科学分野の代表者（生物医学倫理の専門家を含めてもよい）。ならびに
 - (iv)一般国民の代表者（関係する業界の代表者を含めてもよい）。」。
- (B)パラグラフ(2)において、サブパラグラフ(B)の左端をサブパラグラフ(A)と揃うよう再調節する。
- (4)サブセクション(k)(9)において、
- (A)「基金」を削除し次を挿入する。
「(A)総則—基金 (は)」
 - (B)末尾に次を追加する。
「(B)贈与、補助金その他の寄付
 - (i)総則—基金に対する贈与、補助金その他の寄付は、医薬品に関する小児研究・試験用に指定することができ、当該用に指定された資金は、サブセクション(c)(1)(C)に基づく研究・試験用の補助金のために限ってこれを使用するものとする。
 - (ii)その他の贈与—基金が受領するその他の贈与、補助金または寄付であって条項(i)に記載しないものも、前記の小児研究・試験を支援するために用いることができる。
 - (iii)報告—研究・試験の補助金の受取人は、研究・試験の終了時に、NIH 所長および FDA 長官に対して次のものを提出することに同意するものとする。
 - (I)研究・試験の結果を記載した報告。
 - (II)研究・試験に関連して取得されたすべてのデータ。
 - (iv)FDA 長官による措置—FDA 長官は、条項(iii)に基づき受領する報告に応じて、セクション 409I(c)のパラグラフ(7)から(12)までに従って、FDA 長官が適正と判断し、かつ試験を行った医薬品の承認保持者に要請する、表示変更に関する、同保持者との交渉を含む、適切な措置を講じる。
- (C)適用性—サブパラグラフ(A)は、サブセクション(c)(1)(C)に記載する計画にはこれを適用しない。」。
- (5)サブセクション(f)から(m)までをサブセクション(e)から(i)までにそれぞれ変更する。
- (6)サブセクション(h)(11) (変更後の) において、「請願する」を削除し「請願する、」を挿入する。
- (7)サブセクション(j) (変更後の) パラグラフ(1)および(2)において、「(サブセクション(d)(2)(B)(i)(II)に基づき開発されるものを含む)」をすべて削除する。

セクション14 小児薬理諮問委員会 (Pediatric Pharmacology Advisory Committee)

(a)総則—DHHS 長官は、公衆衛生法セクション222(42 U.S.C. 217a)に基づき、小児薬理学に関する諮問委員会（このセクションにおいて「諮問委員会 (advisory committee)」という）を招集し、これに助言を求めるものとする。

(b)目的

(1)総則—諮問委員会は、FDA 長官を介し、かつ NIH 所長の協議の上、小児薬理学に関する事項について DHHS 長官に助言しかつ勧告するものとする。

(2)含まれる事項—パラグラフ(1)に言及する事項には、次の事項を含む。

(A)公衆衛生法セクション351、409I および499ならびにFD&C Act セクション501、502、505 および505A に基づき行われる小児研究。

(B)小児薬理学に関する研究の優先順位の確定および特定の小児疾病または病状の治療法の追加の必要性。

(C)小児薬理学に関する臨床試験の倫理、デザイン、および分析。

(c)構成—諮問委員会は、小児保健機関、小児研究者、関連する患者・患者家族団体およびその他 DHHS 長官が選択する専門家の代表者を含むものとする。

セクション15 抗腫瘍剤諮問委員会小児小委員会 (Pediatric Subcommittee of the Oncologic Drugs Advisory Committee)

(a)権限の明確化

(1)総則—抗腫瘍剤諮問委員会小児小委員会（このセクションにおいて「小委員会 (subcommittee)」という）は、小児癌の治療に用いる市販および治験中のヒト用医薬品の安全性および有効性に関するデータを検討しかつ評価する任務の履行に際して、次の事項を行うものとする。

(A)小児癌の治療に利用可能な新規および新興の治療方法を評価し、かつ可能な限り優先順位を付ける。

(B)癌に罹患した小児が最も可能性ある癌治療方法を適時に利用できるよう、勧告および指導を提供する。

(C)新規治療薬の利用に関して一貫性を向上させる方法について助言する。

(2)委員

(A)総則—DHHS 長官は、小児薬理学諮問委員会および抗腫瘍剤諮問委員会の委員の中から11名またはそれ以下の委員を小児小委員会に指名するものとする。

(B)参加の要請—小委員会は、必要に応じて、次の専門家に小児癌の問題の科学的小児癌治療への参加を要請するものとする。

(i) NCI(National Cancer Institute:国立癌研究所)から少なくとも2名の小児腫瘍専門家。

(ii)次の中から少なくとも4名の小児腫瘍専門家。

(I)小児腫瘍グループ。

(II)小児の臨床試験実施に確固たる経歴を有するその他の小児専門家。

(III)小児脳腫瘍協会、神経芽細胞腫治療への新たな取組(New Approaches to Neuroblastoma Therapy)もしくは他の小児腫瘍協会など、NCIが後援する協会。

(iii)小児癌患者および患者・家族コミュニティより少なくとも2名の代表者。

- (iv)看護師会からの1名の代表者。
 - (v)少なくとも1名の統計専門家。
 - (vi)医薬品産業からの少なくとも1名の代表者。
- (b)有望な小児癌治療法評価のための非臨床モデル—公衆衛生法セクション 413(42 U.S.C. 285a-2)は、末尾に次を追加してこれを改正する。

〔c) 有望な小児癌治療法の評価のための非臨床モデル

- (1)活動の拡大および調整—NCI 所長は、どの治療法が小児癌の治療に効果がある可能性が高いかを評価するための非臨床モデルの開発の研究に関し研究所の活動を拡大、強化、かつ調整するものとする。
- (2)他の研究機関との調整—NCI 所長は、他の国立研究機関および NIH の部局が小児癌に関する責任を持つ限りにおいて、パラグラフ(1)に基づく活動とこれらの研究機関および部局が行う類似の活動との調整を行う。〕。

(c)小児臨床試験用治験薬の利用可能性と使用の明確化

- (1)FD&C Act の改正—FD&C Act セクション 505(i)(1) (21 U.S.C. 355(i)(1)) は、次の通りこれを改正する。
 - (A)サブパラグラフ(B)において、末尾の「および」を削除する。
 - (B)サブパラグラフ(C)において、末尾の終止符を削除し「および」を挿入する。
 - (C)末尾に次を追加する。
- 〔(D)新薬の製造者または臨床試験依頼者による、当該製造者または臨床試験依頼者が小児の安全性および有効性を評価する計画を有するか否かに関する意思表示の、DHHS 長官への提出。〕。
- (2)公衆衛生法の改正—公衆衛生法セクション 402(j)(3)(A)(42 U.S.C. 282(j)(3)(A))は、第1段を次の通り改正する。

- (A)「臨床試験実施施設および」を削除し「臨床試験実施施設、」を挿入する。
- (B)「臨床試験において」を削除し「臨床試験において、および新薬の製造者またはその臨床試験の依頼者が、新薬の、とくに小児における単独患者での使用 (single patient use)および実施計画書の拡大使用(expanded protocol use)に関する、適切な保護措置を伴う臨床試験プロトコル外の要請に応じるか否か、またその方法の記述、〕。

- (d)報告—遅くとも 2003 年 1 月 31 日までに、DHHS 長官は、FDA 長官を介し、かつ NIH 所長と協議の上、新規治療薬の単独患者使用へのアクセスを含む、小児癌の新規治療薬への患者アクセスに関する報告を上院保健教育労働年金委員会および下院エネルギー・商業委員会に提出するものとする。

セクション 16 小児独占販売権(Pediatric exclusivity)プログラムに関する報告

遅くとも 2006 年 10 月 1 日までに、合衆国会計検査院長は、DHHS 長官と協議の上、一般に利用できるデータまたは準拠法に基づき使用および開示できる政府が別途に利用できるデータを用いて、次の問題を扱う報告書を議会に提出するものとする。

- (1)小児が使用する医薬品の臨床試験および適切な製品情報整備を図る際の FD&C Act セクション 505A および公衆衛生法セクション 409I (この法律により追加) の効力。この内容には次の事項を含む。
 - (A)この制定法の結果試験が実施される、小児用医薬品の数および重要性、ならびに前記試験の結果としての製品情報変更の小児、医療提供者、両親および他の者にとっての重要性。
 - (B)当該法の規定にもかかわらず、小児使用に関する臨床試験が実施されない小児用医薬品の数とその

重要性、ならびに臨床試験が実施されない理由として考えられるもの。ならびに

(C)臨床試験が実施中であり、小児独占権の付与、および製品情報変更が命じられた医薬品の数。小児独占権付与の日付、製品情報変更の日付、および、当該法による改正に従い定められる紛争解決方法を必要とした製品情報の変更も含まれる。また、紛争および抗感染症薬諮問委員会小児諮問小委員会の勧告の詳細についても併せて報告する。)

(2) FD&C Act セクション 505A および公衆衛生法セクション 409I (この法律で追加) の経済的影響。これには次の推計を含む。

(A) メディケイドおよび他の政府制度の支出増加としての各医薬品の納税者コスト。

(B) 6 ヶ月の市場独占期間中の、独占権による各医薬品の売上高。

(C) FD&C Act (21 U.S.C. 301 以下) に基づき試験が実施され、独占権を与えられることにより、低価格のジェネリック同等製品の利用が遅延する結果、消費者および民間保険会社に生じるコスト、ならびに遅延の結果生じるジェネリック医薬品産業および小売薬局の収益の喪失。

(D) 医療コストの減少の結果生じる、政府、民間保険会社および消費者の利益。この内容には以下が含まれる。

(i) 当該法による改正により、臨床試験の実施と製品情報の変更が行われる結果、小児の薬物治療がより適切、かつ効果的に利用されることによる、入院回数の減少および医療過誤の減少。

(ii) 入院に関係のない往診回数の減少に伴う、直接および間接の利益。

(iii) 学校への欠席時間の減少および慢性疾病の影響の減少、その結果生活の質が改善することによる、小児に対する利益。

(iv) 治療コストおよび入院料金の減少による健康保険料の減少による、消費者への利益。

(v) 従業員による家族の世話の必要性の軽減による、雇用者の利益。

(3) FD&C Act (21 U.S.C. 301 以下) に基づき独占権が与えられる各医薬品で実施される、小児臨床試験の特徴および種類。これには次の事項を含む。

(A) 臨床試験の複雑さの説明。

(B) 適切なデータを得るに必要な試験実施施設の数。

(C) 臨床試験に組み入れる小児例数。

(D) 各臨床試験の推計コスト。

(4) FD&C Act セクション 505A(21 U.S.C. 355a) および公衆衛生法セクション 409I (セクション 3 により追加) に基づき設定されたプログラムの変更勧告のうち、DHHS 長官が適切であると判断するもの (各勧告の詳細な根拠を含む)。

(5) 当該法およびこの法律による改正に伴う、民間および政府資金による小児臨床試験のキャパシティの拡充。

(6) DHHS 長官が交付する要請書およびその他の勧告書の件数。

(7) DHHS 長官が要請書を交付する、特許期限切れ医薬品の優先リスト。

(8)(A) 新生児集団での試験件数を増加させるため、DHHS 長官に必要な努力。

(B) 上記の努力の成果。安全性ならびにその他の情報を十分に有する製品を持つ企業により、新生児において安全かつ倫理的な臨床試験が実施されることを奨励する努力も含まれる。

セクション 17 有害事象の報告

- (a)製品情報に記載するフリーダイアル番号—この法律の制定日より遅くとも1年以内に、DHHS 長官は、FD&C Act セクション 505 に基づき承認される（承認の日付を問わない）各医薬品の製品情報には、医薬品に関する有害事象の報告を受領する目的としたフリーダイアル番号（DHHS 長官が保持）を必要とする最終規則を公布する。なお、このフリーダイアル番号は医療上の助言の提供を目的としたものではなく、有害事象報告に限り使用されるべきという記載も含まなければならない。前記の最終規則に関して、
- (1) 最も広範に消費者に伝達される可能性があるとして DHHS 長官が認める方法により、製品情報に関する要件の実施が規定されるものとする。
 - (2) 最終規則の公布にあたり、規則の実行に関し薬局のコストを最小限とするよう、DHHS 長官は努力する。
 - (3) 最終規則は、公布日より遅くとも 60 日以内に効力を発する。
- (b)小児市場独占権を有する医薬品
- (1) 総則—医薬品が FD&C Act セクション 505A に基づき市場独占権期間の開始より1年間は、DHHS 長官が受領する当該医薬品に関する有害事象報告を小児治療部（この法律セクション 6 に基づき設立される）に照会するものとする。前記報告の検討にあたり小児治療部部長は、当該報告により FD&C Act に基づく DHHS 長官による措置が必要であるかも含め、抗感染症薬諮問委員会小児諮問小委員会からの勧告の取得などを調整する。
 - (2) 規則の解釈—パラグラフ(1)は、1年の期間経過後にも、当該医薬品に関する活動実施を継続する、DHHS 長官の権限を制限するものとしてこれを解釈してはならない。

セクション 18 少数民族の小児および小児独占販売プログラム

- (a)小児臨床試験の実施計画—FD&C Act セクション 505A(21 U.S.C. 355a)は、第1段の後に次を挿入して、サブセクション(d)(2)を改正する。「実施計画書に関する合意に達するにあたって、DHHS 長官は、少数民族・人種の小児が十分に代表されていることを考慮するものとする。」。
- (b)会計検査院 (General Accounting Office: GAO)による調査
- (1) 総則—合衆国会計検査院長は、次の事項を判断する目的の調査を実施する。
 - (A) FD&C Act のセクション 505A(21 U.S.C. 355a)に基づく臨床試験において、少数民族・人種の小児の参加の程度に関する調査。少数民族・人種の参加が充分ではないときは、その理由および割合を増やすための勧告。
 - (B) FDA による、前記小児臨床試験における少数民族・人種の小児の代表割合を監視する適切な管理制度の有無。
 - (C) 少数人種・民族への影響が不均衡な疾病への対応に用いられる医薬品が、FD&C Act セクション 505A に基づきその安全性および有効性について検討されているか否か。
 - (2) 研究完了の確定日—遅くとも 2003 年 1 月 10 日までに、会計検査院長は、パラグラフ(1)で命じられた臨床試験を完了し、当該試験結果を記載した報告書を議会に提出する。

セクション 19 技術的改正および適合改正

FD&C Act セクション 505A(21 U.S.C. 355a) (セクション 2(1)、5(b)(2)、9、10、11 および 17 による改正を含む) は、次の通りこれを改正する。