

平成27年2月13日
厚生労働科学研究費補助金 医薬品・医療機器等
レギュラトリーサイエンス総合研究事業

「小児医薬品の早期実用化に資する レギュラトリーサイエンス研究」について

(H25-医薬-指定-013)

研究代表者
独立行政法人 国立成育医療研究センター
臨床研究開発センター 開発企画部
中村秀文

1

小児用医薬品の開発促進に向けた検討の流れ

研究班(平成25年度～27年度)

- 長年問題になっていた小児用医薬品を取りまく現状の整理と、具体的な方法論を作成するにあたっての、足場作りを目指す。
- 企業側の開発及び製造のコストと小児用医薬品の需要が釣り合わないことによる、小児用医薬品の開発の消極化を解消するためのインセンティブの模索と実現可能な検討を行う。
- 具体的な打開策を提言する。

具体的な検討内容

○企業側のインセンティブについての実現可能な検討を行う

○企業の自主的な開発を促す小児用
医薬品の対象の選定

○企業による小児剤形・用量等の開
発促進

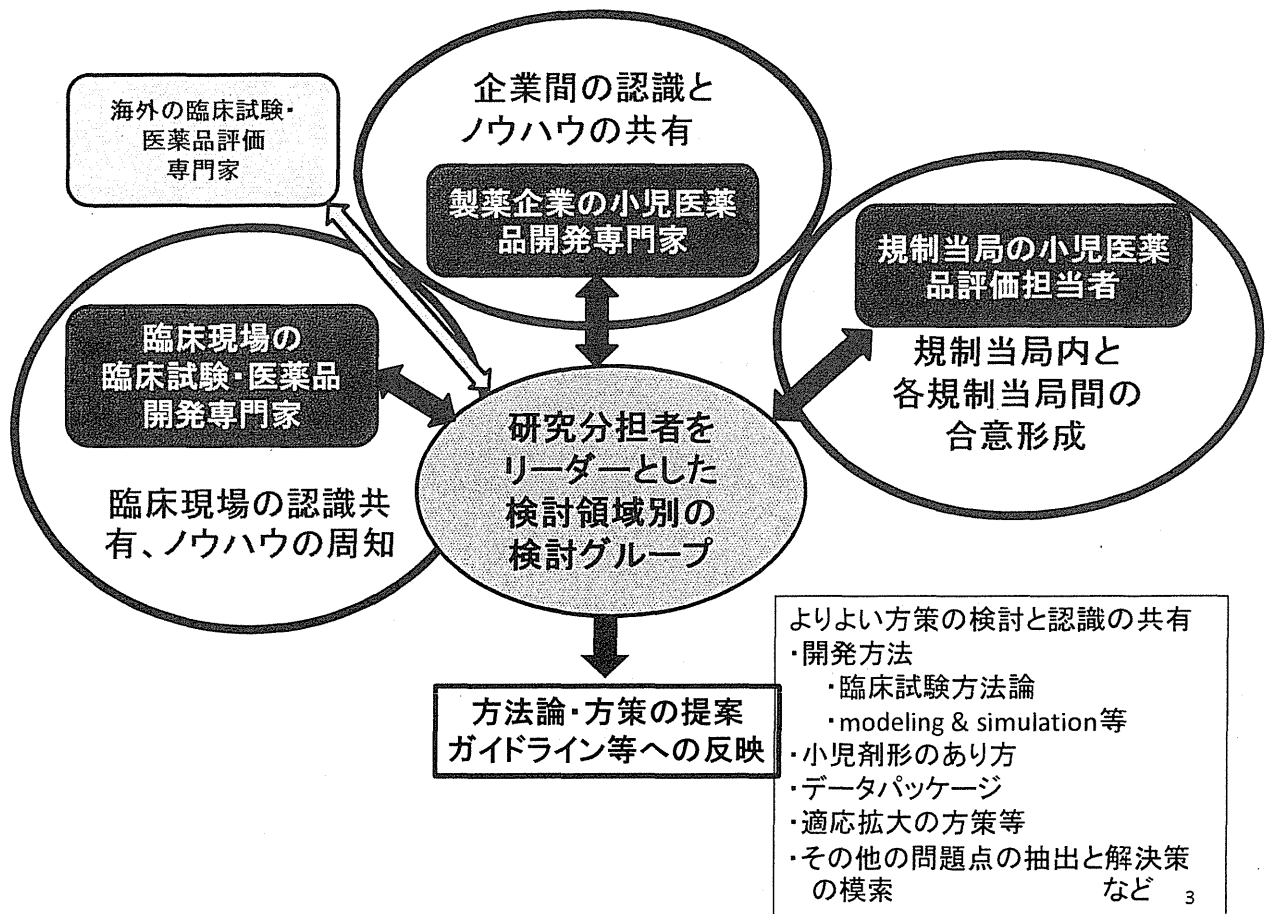
○治験デザインに関する方策

- ・先進的解析手法の利用
- ・データパッケージの考え方の整理
- 国内初の小児用医薬品の事例なども参考にする

○小児医薬品開発に係る倫理的配慮の検討

リフレクションペーパー

行政的な検討



年度別作業内容(計画提出時)

平成25年度

研究協力者を選定し、検討内容の詳細を決定した上で、国内外の現状について情報収集を開始し、特に新しい取り組み・方法論とそのメリットや限界などについて検討する。

平成26年度

これらの情報・検討を基に、具体的な方法論・方策の検討を進め、関連学会・業界との意見聴取・調整などを行う。方法論・方策・ガイドラインなどの案をまとめる。

平成27年度

2年間の検討を踏まえて、具体的報告や提案(可能な限り方策・ガイドライン)を纏め、また残された課題についてのとりにまとめも行う。

作業の流れのイメージ

◆チームごとに作業メンバーと作業目標を決定

◆作業分担のイメージ

✓研究代表者

取り纏め。必要に応じてチームの作業支援、調整と方針の決定

✓研究分担者=チームリーダー

作業取り纏めと報告書作成

✓チームメンバー

専門領域の資料・情報の提供、リーダーと相談の上で分担作業、資料作成など

5

今年度の作業

1. 各研究分担班(チーム)ごとに検討、情報収集、リフレクションペーパー案作成
2. 平成26年10月Duke大学及びUCSD視察(矢野、福田、庄司、中村): Pediatric Trial Network
3. 平成27年1月30日全分担班会議
4. 平成27年2月13日全体班会議・情報交換会
5. 平成27年3月FDA, NICHD, Tufts大学視察(平野、秋山、中村): 新生児医薬品開発
6. 平成27年度に、リフレクションペーパー案を関連学会専門委員へ提示
7. 平成27年度末までに、リフレクションペーパー完成(投稿、出来るだけ発刊までたどりつく)

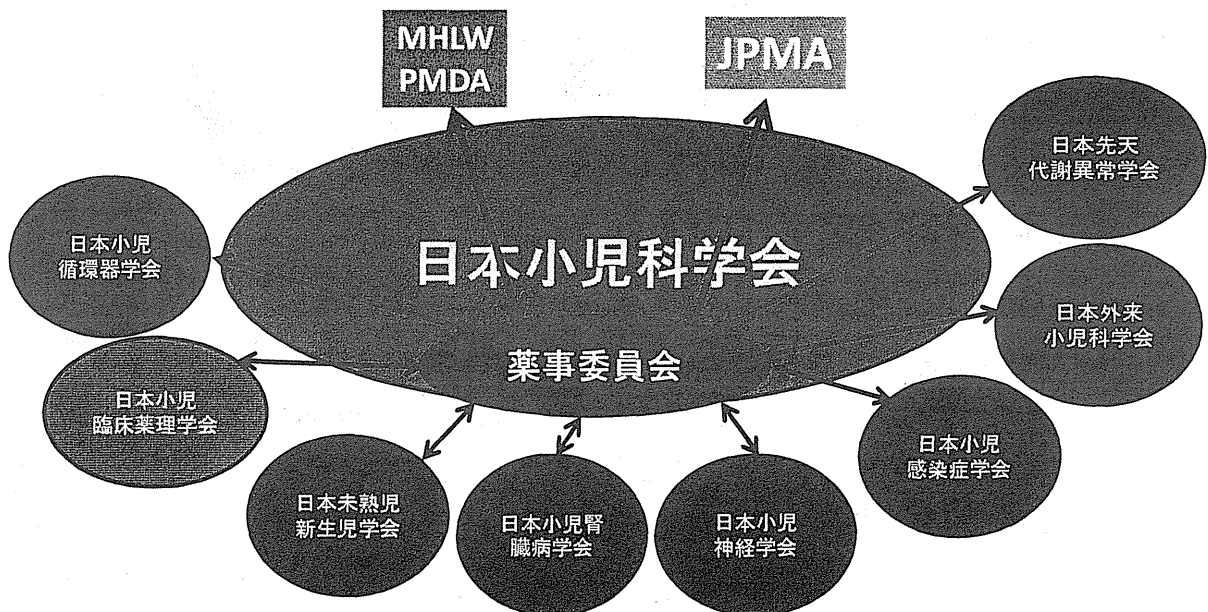
6

日本小児科学会薬事委員会 アクションプラン

- ◆ 適応外使用解決と小児治験推進を学会のミッションのひとつとし各方面に働きかける
- ◆ 適応外使用医薬品全体の類型分け、優先順位付けとそれぞれの解決策を模索
- ◆ 試薬、化学合成医薬品、剤形変更、輸入医薬品の問題解決の枠組みづくり
- ◆ 小児治験の体制整備への働きかけ
 - 医師主導治験への積極的取り組み
- ◆ 製薬企業へのインセンティブや小児治験要請権(義務化)の法令化についての働きかけ
- ◆ 市販後調査・使用実態調査を活用した情報収集の枠組みづくり
- ◆ 妊娠及び授乳中の医薬品投与の安全性情報充実に向けての活動
- ◆ 一般社会への啓発

7

日本小児科学会 関連学会の取り組み



日本小児科学会関連21分科会 & 外科系学会

厚生労働科学研究班の活動として、毎年全体会議(意見交換会)を実施

8

小児関連学会代表委員との情報交換

それぞれの関連学会での取り組みの情報やノウハウを共有して、小児医薬品評価・開発を加速させる。必要であれば、リフレクションペーパーへ反映させる。

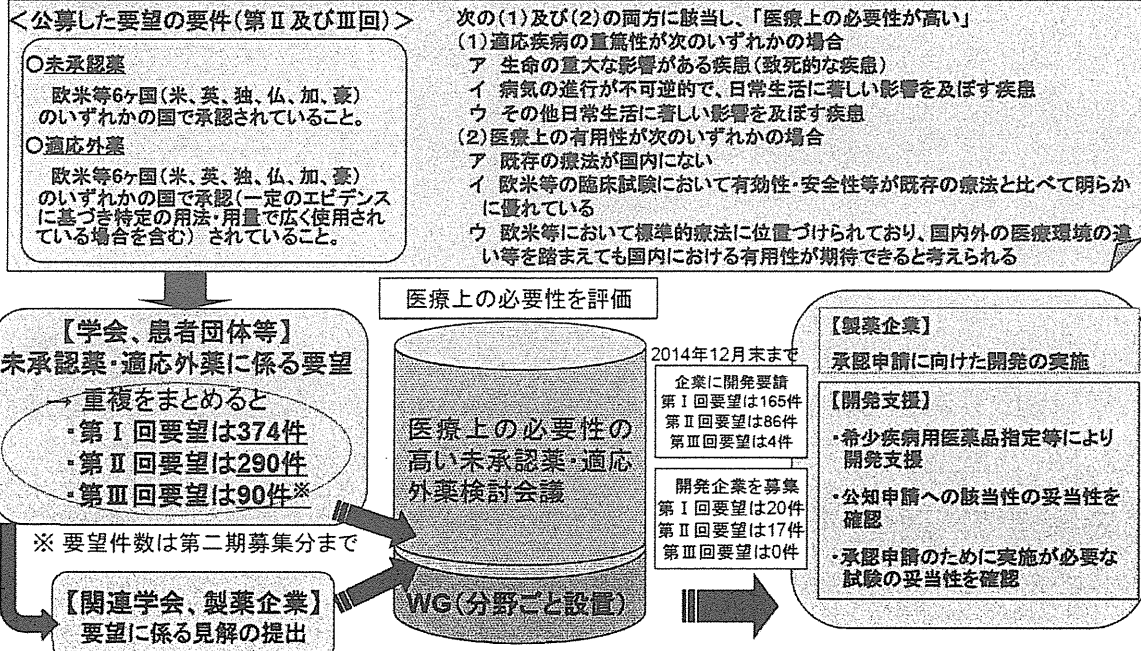
1. 小児医薬品および医療機器を対象とした臨床試験・治験への取り組みと立案・実施等での障害や疑問
2. コンパッショネートユース(国内で市販されていないで独自に輸入している)医薬品および医療機器のリスト、これらの国内導入の取り組みの進捗と障害・問題点
3. 各分科会が関連するガイドラインに記載のある適応外医薬品および医療機器のリスト及び、適応外使用解決に向けての取り組み
4. 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に提出した医薬品のその後の経緯と、その後の要望提出状況
5. 研究班へのご意見、ご要望

資料1

検討会議における検討の進め方

欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医療上必要な医薬品や適応(未承認薬等)を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。

未承認薬・適応外薬に係る要望を公募。募集期間は第Ⅰ回は2009年6月18日から8月17日まで、第Ⅱ回は2011年8月2日から9月30日まで。第Ⅲ回は随時募集であり、第一期募集は2013年8月1日から12月27日、第二期募集を2014年6月30日、第三期募集を2014年12月31日までとしてとりまとめた。第四期は2015年6月末までとしてとりまとめる予定。



平成27年1月23日 第22回医療上の必要性の高い未承認薬適応外薬検討会議 公開資料より

研究構成員名簿

厚生労働科学研究費補助金 医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス総合研究事業
 (医薬品等規制調和・評価研究事業)
 平成26年度研究構成員名簿

「小児医薬品の早期実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究」
 (H25-医薬-指定-013)

研究代表者

研究代表者	所属	
	所属	職名
中村秀文	国立成育医療研究センター 臨床研究開発センター 開発企画部	開発企画主幹

研究分担者

研究分担者	所属	
	所属	職名
中川 雅生	医療法人 啓信会 京都きづ川病院	病院長
石川 洋一	国立成育医療研究センター 薬剤部	薬剤部長
矢野 育子	京都大学大学院 薬学研究科	准教授
森 雅亮	横浜市立大学 市民総合医療センター 小児科	准教授
平野 慎也	大阪府立母子保健総合医療センター 新生児科	副部長
松井 健志	国立循環器病研究センター 研究開発基盤センター	医学倫理研究室長
尾崎 雅弘	ユーシービージャパン (株) 開発本部 薬事部 日本製薬工業協会	アソシエート・ディレクター
秋山 裕一	協和発酵キリン (株) 営業本部 マーケティング部 腎領域グループ	マネージャー

アドバイザー

アドバイザー	所属	
	所属	職名
伊藤 進	香川大学 医学部小児科学講座	名誉教授
板橋 家頭夫	昭和大学医学部 小児科	教授
佐地 勉	東邦大学医療センター大森病院 小児科	教授

小児関連学会 代表委員

学会名	代表委員	所属
1. 日本未熟児新生児学会	板橋 家頭夫	昭和大学医学部 小児科 教授
2. 日本小児循環器学会	賀藤 均	国立成育医療研究センター 病院長
3. 日本小児神経学会	小国 弘量	東京女子医科大学病院 小児科 教授
4. 日本小児血液・がん学会	小川 千登世	国立がん研究センター 中央病院 小児腫瘍科 科長
5. 日本小児アレルギー学会	勝沼 俊雄	東京慈恵会医科大学附属第三病院 小児科 診療部長
6. 日本先天代謝異常学会	大浦 敏博	仙台市立病院 小児科 科部長 東北大学病院 小児科 非常勤講師
7. 日本小児腎臓病学会	伊藤 秀一	横浜市立大学附属病院 小児科 診療科部長/主任教授
8. 日本小児内分泌学会	有阪 治	獨協医科大学医学部 小児科 教授
9. 日本小児感染症学会	佐藤 吉壮	富士重工業健康保険組合 太田記念病院 病院長
10. 日本小児呼吸器学会	井上 壽茂	住友病院 院長補佐 兼 小児科診療主任部長
11. 日本小児栄養消化器肝臓学会	永田 智	東京女子医科大学病院 小児科 主任教授
12. 日本小児心身医学会	石崎 優子	関西医科大学 小児科学 准教授
13. 日本小児臨床薬理学会	中村 秀文	国立成育医療研究センター 臨床研究開発センター 開発企画部 開発企画主幹
14. 日本小児遺伝学会	大橋 博文	埼玉小児医療センター 遺伝科 科長兼部長
15. 日本小児精神神経学会	宮地 泰士	名古屋市中央療育センター 小児科 主幹
16. 日本外来小児科学会	関口 進一郎	慶應義塾大学医学部 小児科 助教
17. 日本小児東洋医学会	宮川 三平	聖徳大学 児童学部 児童学科 教授
18. 日本小児運動スポーツ研究会	村田 光範	和洋女子大学 保健室
19. 日本小児救急医学会	中川 聡	国立成育医療研究センター 手術・集中治療部 集中治療科 医長
20. 日本小児リウマチ学会	森 雅亮	横浜市立大学 市民総合医療センター 小児科 准教授
21. 日本小児歯科学会	井上 美津子	昭和大学歯科病院 小児歯科 診療科長 教授 昭和大学歯学部 小児成育歯科学教室 主任教授
22. 日本小児麻酔学会	鈴木 康之	国立成育医療研究センター 手術・集中治療部 部長
23. 日本小児皮膚科学会	高森 健二	順天堂大学医学部皮膚科学 名誉教授 特任教授
24. 日本小児外科学会	吉田 英生	千葉大学医学部附属病院 小児外科 科長 教授

