

厚生労働行政推進調査事業費補助金

医療品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業

小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した
新たな審査基準提言のための研究

(令和)6 年度 総括・分担研究報告書

研究代表者 中村 秀文

(令和) 7 (2025) 年 5月

研究報告書目次

目 次

I. 総括研究報告		
小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した 新たな審査基準提言のための研究：研究の統括・調整	-----	1
中村 秀文		
II. 分担研究報告		
1. 小児がん領域の統括・調整	-----	6
荒川 歩・小川千登世・富澤 大輔		
2. 小児希少難治性疾患の早期医薬品実用化に向けた研究	-----	14
河合 利尚		
III. 研究成果の刊行に関する一覧表	-----	17
IV. 倫理審査等報告書の写し	-----	18

(別紙3)

厚生労働行政推進調査事業費補助金
(医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業)
総括研究報告書

小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言の
ための研究：研究の統括・調整

研究代表者 中村 秀文 国立成育医療研究センター研究開発監理部 開発企画主幹

研究要旨

先行研究の結果を踏まえ、これまでに小児がん・小児希少難治性疾患を対象に国内で承認された医薬品（分子標的薬等）を対象に承認申請パッケージ・参考資料等の評価、類型化を行い、課題を整理・検討し、各類型・課題における新たな具体的開発・承認推進のためのスキームの検討を行った。国内外の取り組み・仕組み・最新の制度等の情報を整理し、本研究で検討すべき課題の洗い出しを行った。主に小児がん領域で検討した類型化と対応案を踏まえて、小児希少難治性疾患分担班も参加した全体での検討を進めており、提言の項目案より詳細な議論を重ね提言案の内容の肉付けを行いつつ、より踏み込んだ議論を進めると共に、一部の事項については日本薬剤学会や日本病院薬剤学会等の関係者とも意見交換を行い、どのように提言内容を確定していくかの検討をすすめた。提言の各項目の内容について箇条書き的な内容と主要な記載内容は決定しており、来年度前半に提言案を確定するよう、分担して提言のとりまとめ作業を進めている。

既に一部ステークホルダーからの意見交換は進めているが、来年度には産官患学のステークホルダーの意見を踏まえて提言を最終化する予定である。

研究分担者

国立がん研究センター 小川千登世
荒川 歩
国立成育医療研究センター
富澤大輔
河合利尚

査され、「特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における活用のための研究」において特定臨床研究の利活用に関するとりまとめが行われた。

そこで本研究ではこれら研究結果を踏まえ、これまでに小児がん・小児希少難治性疾患を対象に国内で承認された医薬品（分子標的薬等）を対象に承認申請パッケージ・参考資料等の評価、類型化を行い、課題を整理・検討し、各類型・課題における新たな具体的開発・承認推進のためのスキームの検討を行う。先行研究で得られた国内外での規制や開発の最新状況、開発ラグの実態、海外での取り組みについての情報収集を活用することで、日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・承認後の追加データの収集などの在り方、またこれらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組みなども含

A. 研究目的

AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業「小児医薬品等の早期実用化と国際連携に資するレギュラトリーサイエンス研究」では、新生児診断基準の標準化や小児製剤の国際調和についての検討が進められ、小児科関連学会の薬事担当者との連絡網が構築されている。また先行厚生労働科学研究の「小児がん及び小児希少難治性疾患の医薬品開発の推進制度に資する調査研究」では推進制度の現状が調

めて包括的な提言を作成することを目的とする。令和6年度には、提言に盛り込むべき類型・項目を確定し、解決策について具体的な検討を進めた。

B. 研究方法

検討は小児希少難治性疾患分担任と小児がん分担任で検討を進め、適宜、研究代表者である中村秀文が調整し全体会議で提言の個別の内容の議論を深めた。医薬品医療機器総合機構（PMDA）小児医薬品WGおよび、PMDA審査員は、研究協力者として研究協力体制を構築し連携している。また、令和4年度厚生労働省の研究者である鹿野真弓先生、林憲一先生も研究協力者として、連携している。さらに厚生労働省医薬局医薬品審査管理課とも密に連携の上で実施され、その他の関係団体についても必要に応じて連携が図れる体制にある。鹿野・林班と欧米の医薬品開発促進制度及びドラッグラグ状況についての情報共有・意見交換を行い、鹿野研究室及び製薬協で取りまとめ中のデータパッケージの具体例についても反映する予定である。令和6年度には、提言に盛り込むべき類型・項目を確定し、解決策について具体的な検討を進めた。それぞれの項目について箇条書き的に解決策・提言案を作成し、纏める作業を進めた。

C. 結果

昨年度の議論を踏まえて、コアメンバー会議を4月4日に行い、今後の方向性の整理を行った。小児希少難治性疾患については分担任会議を2回（6月11日、8月20日：8月20日は提言骨子の剤形部分についても検討）行った。特に昨年視察を行ったEUの状況を踏まえた、今後とるべきアクションや、提言にどのような内容を盛り込むべきかの検討を行い、その後の作業に反映させた。

4月15日には日本薬剤学会小児製剤FGと山谷研究協力者との意見交換を実施し、添加剤の情報共有の在り方についての意見・情報交換を行った。さらにその後、山谷研究協力者を中心に添加剤協

会や日本病院薬剤師会、またPMDAと日本薬剤学会小児製剤FGとの意見・情報交換を行い、どのように小児の添加剤情報を公開し、海外と共有するか、また剤形変更や薬物動態などの情報をどのようにインタビューフォーム等で情報提供していくべきかについての意見・情報交換も進めた。

全体班会議を5回（7月19日、9月9日、10月21日、12月23日、3月11日）開催し、研究代表者・研究分担者・研究協力者等と情報共有・意見交換を進めた。

7月19日全体班会議では以下について意見・情報交換を行った。

1. 提言骨子案について
2. EUの希少疾病開発関連情報と分担任としての今後のアクションについて
3. 開発優先順位について
4. データパッケージの検討結果について

9月9日班会議では以下について意見情報交換を行った。

1. 提言骨子案と関係者意見についての議論と作業分担
2. 提言骨子の剤形および添加剤部分について

3. Critical Path Institute 及び European Paediatric Formulation Initiative との打ち合わせについて

10月21日の全体班会議では以下について意見・情報交換を行った。

1. 提言骨子案の修正についての各研究者からの提案
2. 剤形および添加剤について
3. 海外視察・意見交換報告

12月23日の全体会議では以下について意見・情報交換を行った。

1. 提言骨子について
 - ・ 提言骨子案の修正とコメント
 - ・ エビデンス構築の基本的な方針
 - ・ 後ろ向き収集データの活用事例の資料案
 - ・ 小児データパッケージ資料

2. 剤形および添加剤について
3. 小児希少疾病の製造販売後データ収集について（議論中の実例を題材に）

4. 海外視察について（COG）

3月11日の全体会議では以下について意見・情報交換を行った。

1. 前回までの検討内容を参考に、提言骨子案修正案

- ・エビデンス構築の基本的な方針の図
- ・後ろ向き収集データの活用事例
- ・小児データパッケージ
- ・剤形および添加剤について、添加剤についての問題事例とM13について
- ・剤形変更医薬品と品質管理について
- ・小児希少疾病の製造販売後データ収集の在り方について：特定施設でしか使えないような制度を作れないか。小児希少難治性疾患にも応用できる議論

2. 海外連携について

これらの議論を踏まえて提言の文案作成が進んでおり、2025年度にかけて、以下の内容それぞれについて、提言の最終文案作成の作業を進めている。

1. 日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ

- 1) 既存データの最大活用とデータ取得効率化

- ・海外未承認の医薬品の場合、小児国際共同治験に遅滞なく日本から参加することが原則である。
- ・成人対象国内試験実施中の場合、その拡大（計画の一部変更等）による小児包含を許容し、小児医薬品開発を実施する。
- ・海外臨床試験にて、小児に対するB/Rが確認され、当該データにて海外にて小児承認取得ずみの場合、海外臨床試験成績等から日本人小児への外挿を検討することを検討する。
- ・先進医療Bや患者申出療養などの特

定臨床研究の試験成績を医薬品の承認申請に利用可能である事を、広く周知すべき

- ・非介入研究データ（レジストリ、データベース、適応外使用・compassionate useの事例に対してデータ収集方法や解析方法を予め厳密に計画して実施するレトロスペクティブな調査）の活用も推進するべきである。

- ・小児で検証試験を実施せねばならない適応症、あるいは実施しなくてよい適応症を例示（出来る場合）

- 2) 海外規制当局との議論等も踏まえて、有効性及び安全性を確認する臨床試験を実施せずともM&S等を活用することにより、小児用法・用量を設定可能な疾患領域の特定と拡大

- 3) 小児医薬品開発を行うべき対象医薬品について：「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」通知を踏まえて

- 4) 小児製剤、添加物について

- 5) 小児疾患領域における医薬品開発の関するガイダンスの行政からの発出

- 6) 日本人小児の安全性・有効性データがない、あるいは少ない場合の条件付き承認について

2. 承認後の追加データの収集などの在り方

- 1) 小児における使用情報を効率的かつ適切に収集する方法の検討

- 2) 従前のスタイルにとらわれることなく、効率的な情報収集方法を活用する。

- 3) 日本人データがない、あるいは少ない場合に条件付き承認となった薬剤の承認後のデータ収集

3. 小児の情報を添付文書・IF・その他公開情報にどのように掲載できるかの検討

- 1) 海外の承認関連データは反映する
- 2) アカデミアの臨床研究結果をどう反映できるか
- 3) RWDをどこまで活用可能か

4. これらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組み

- 1) EMA 及び FDA が行っている parallel advice に PMDA が積極的に参加することにより、早期から国際的な審査の協調を取ることは出来ないか。
- 2) PMDA に小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターが設立されたが、審査当局として小児開発推進のために何をすべきか
- 3) PMDA へのアカデミアや health care professional の関与をより密接にできないか
- 4) アカデミア・現場のネットワーク・インフラ
- 5) 患者参画
- 6) アカデミアへのインセンティブ
- 7) 国立保健医療科学院等による欧米のオーファン指定品目リストの公表
- 8) Risk sharing
- 9) Health Literacy の向上

以下については言及はしても良いが、厚労省・他の検討会等で議論され整理されるため簡単に触れるだけにとどめるか要検討

- 10) 小児医薬品開発のインセンティブ
- 11) 企業（海外 SME などと国内企業）へのインセンティブ・国内開発促進策
- 12) 企業の役割について

また河合、中村（治）と共に1月6日から11日に米国の iACT for Children、FDA、NICHDの視察を行い、米国での取り組みについての意見・情報交換を行った。さらにPMDAワシントン事務所の石黒事務所長らとも意見情報交換を行った。帰国後、3名で分担して、視察記録を作成、さらなる情報収集を行い、課題や日本で取り組むべき事項、提言に盛り込むべき事項を検討した。1月24日のAMED「小児医薬品等の早期実用化と国際連携に資するレギュラトリーサイエンス研究」全体班会議および小児関連学会代表委員との情報交換会でも検討内容を紹介し、意見情報交換を行った。

D. 考察

「創薬力の強化・安定供給の確保等の薬事規制のあり方に関する検討会」でも様々な議論がなされ、通知等での対応がとられたが、並行して具体的な審査基準を検討する幅広の検討作業が本研究班で進んでいる。検討では当初、やや焦点を絞れない議論もあったが、厚労省やPMDAからの参加者からのアドバイスもあり、特に4月のコアメンバー会議での検討を踏まえ、検討の方向性を固めてより踏み込んだ検討をすすめてきた。国際共同開発が重要であることは明らかであり、その推進が必須であると共に、使用経験のみを目的とするような少数症例の治験は回避し、risk sharing も進めつつ、早期承認を目指さねばならない。

モデリング&シミュレーションなど、最新の技法も活用し、また治験以外の臨床試験やリアルワールドデータの活用も積極的に進めて、小児における薬物治療に必要な情報が積極的に公開されるべきである。

今年度はかなり踏み込んだ検討を行うことが出来、提言案の内容を確定する作業を急ぎ進めている。令和7年夏をめどに案を確定し、関係者の意見聴取の上で内容を確定したい。

E. 結論

承認申請パッケージ・参考資料等の評価、類型化を行い、課題を整理・検討

し、各類型・課題における新たな具体的開発・承認推進のためのスキームの検討を進め、それぞれの検討項目について提言内容の検討を進め、一部ステークホルダーとの意見交換も開始した。令和7年夏をめどに案を確定し、関係者の意見聴取の上で内容を確定したい。

F. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

なし

G. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得

該当なし

2. 実用新案登録

該当なし

3. その他

該当なし

厚生労働行政推進調査事業費補助金
(医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業)
小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな
審査基準提言のための研究
分担研究報告書

「小児がん領域の統括・調整」

研究分担者

荒川 歩 ・ 国立がん研究センター中央病院小児腫瘍科医長
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
富澤大輔 ・ 国立成育医療研究センター小児がんセンター血液腫瘍科診療部長

研究要旨

ゲノム医療の進歩に伴い、日本においても効率的な医薬品開発のための新たな評価法や承認のスキームの検討は急務である。小児がん領域において、令和 5 年度に既承認薬の承認申請時の評価資料および参考資料等の評価と類型化を行い、その結果をもとに推奨されるエビデンス構築方針案と、既に海外で薬事承認となり、ドラッグラグが生じている小児がん特有の医薬品への対応方針案を作成した。

令和 6 年度は、これらの調査結果や方針案を明確化するために提示する提言案の検討を進めた。①小児がんや小児希少難治性疾患においては、海外で開発が終了しており、日本人小児患者に対する治験が実施困難な薬剤については、日本人小児のデータなし、あるいはデータが少なくても、承認を積極的に検討していくべきと考えること。②その場合、個々の医薬品の背景情報を踏まえた上で、MS や PPK 解析の活用、患者申出療養や先進医療 B を含む特定臨床研究データや非介入研究データなど利用しうる様々なデータによる補完が重要となると考えること。③治験以外のデータは、厚労省の事務連絡や通知において個別の検討が必要としつつ、薬事承認申請に活用できることが言及されているものであることを踏まえて、その利活用を推進すべきと考えること。等を提言案に盛り込むことについて、小児がん領域より提案を行った。

次年度は、令和 6 年度に提言案に反映した内容を踏まえ、提言の最終化に向けて小児がん領域に関連する記載を進める。

A. 研究目的

小児科領域における医薬品開発は、成人開発と同時に開発することが義務化されている米国・欧州に比べて本邦では遅れている。特に希少疾病である小児がん・小児希少難治性疾患では、海外承認薬の日本への導入が遅れる、あるいは導入されないという問題がある。また新薬の国内開発も困難である。

小児がんについては、欧米においても、小児医薬品開発を義務化しているとはいえ、がん等の一部の疾患に関してはその開発義務が免除されていたことから小児がんの新薬開発が進まないという現状があった。そこで、米国では 2017 年にがんに対する分子標的治療を開発する企業に小児用医薬品の開発を義務付ける法律 **the Research to Accelerate Cures and Equity (RACE) for Children Act** が制定された。また、欧州でも小児規制の開発免除の要件の見直しがなされた。

近年のゲノム医療の進歩と分子標的薬等の開発の加速に伴い、成人に発生するがんとは異なる小児特有のがんにおいてもその作用機序や非臨床での情報から成人のがん同様の有効性が期待される新規医薬品が増加している。欧米の考え方を応用し、また日本の開発環境も踏まえて、日本においても効率的な医薬品開発を目指した新たな評価法や承認のスキームの検討は急務である。各々の医薬品が保有する非臨床および国内外の臨床情報に応じた新たな評価法や承認のスキームが求められている。

小児希少難治性疾患については、海外で承認された医薬品について国内への導入が特に困難を極め、さらに国内開発も進まない等の問題を抱えている。小児がんとは共通した障壁に加え、小児がんとは異なる課題があるが、開発推進が急務である。

AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業「小児医薬品等の早期実用化と国際連携に資するレギュラトリーサイエンス

研究」では、新生児診断基準の標準化や小児製剤の国際調和についての検討が進められ、小児科関連学会の薬事担当者との連絡網が構築されている。また先行厚生労働科学研究の「小児がん及び小児希少難治性疾患の医薬品開発の推進制度に資する調査研究」では推進制度の現状が調査され、「特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における活用のための研究」において特定臨床研究の利活用に関するとりまとめが行われた。

そこで本研究ではこれら研究結果を踏まえ、これまでに小児がん・小児希少難治性疾患を対象に国内で承認された医薬品（分子標的薬等）を対象に承認申請パッケージ・参考資料等の評価、類型化を行い、課題を整理・検討し、各類型・課題における新たな具体的開発・承認推進のためのスキームの検討を行う。先行研究で得られた国内外での規制や開発の最新状況、開発ラグの実態、海外での取り組みについての情報収集を活用することで、日本に馴染む新たな審査基準・承認申請データパッケージ・承認後の追加データの収集などの在り方、またこれらスキームに実効性を持たせるための体制・インセンティブ・規制の枠組みなども含めて包括的な提言を作成することを目的とする。

令和 5 年度には、既承認薬の承認申請パッケージおよび参考資料等の評価、類型化を行うとともに、国内外の取り組み・仕組み・最新の制度等の情報を整理し、本研究で検討すべき課題の洗い出しを行う。また、令和 4 年度に実施された先行研究を活用し日本の課題と比較検討を行う。令和 6 年度には、提言に盛り込むべき類型・項目を確定し、解決策について具体的な検討をすすめ、年度末までに案をまとめる。小児難病分担任と小児がん分担任との内容のすり合わせを行い、共通項目については共同で、また個別の項目については、個別に提言案をまとめる。令和 7 年度には、産官患

学のステークホルダーからの意見を踏まえて提言を最終化する。

B. 研究方法

小児がんについては国立がん研究センターの小川千登世（小児がん領域の統括・調整）、国立成育医療研究センターから富澤大輔（小児造血器腫瘍領域の国際連携）を研究分担者とし、研究協力者として中村健一（がん臨床研究方法論）、沖田南都子（がんの臨床開発）、柴田大朗（がんの臨床研究方法論・薬事規制・生物統計）、荒川歩（小児固形腫瘍の国際連携）、白川奈美（小児がんの臨床開発）が参加する。令和6年11月より研究分担者を小川より荒川へ変更し、研究分担者に荒川歩（小児がん領域の統括・調整）、研究協力者に小川千登世（小児がん領域の統括補佐）と役割を変更した。

本研究班の提言における欧米等における効果的な制度のあり方や日本における効果的な制度、運用等については、鹿野真弓（東京理科大学：教授）、林憲一（京都府立医大：教授）による先行研究である、「小児がん及び小児希少難治性疾患の医薬品開発の推進制度に資する調査研究」の研究成果をもとに、両名より助言およびとりまとめ時等に協力を得る。また、鹿野班においても研究協力者として参加していた医薬品医療機器総合機構（PMDA）からも協力をいただき、提案する申請パッケージの実施可能性、審査面におけるサポートを得ることで提言がより実用的なものとなることを目指す。

国内外における成人・小児の既存情報、外挿のためのバイオマーカーの有無などにより、審査基準は異なるため、これらも

念頭に類型化を行う。PMDA、患者関係者、製薬企業関係者、AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業「小児医薬品等の早期実用化と国際連携に資するレギュラトリーサイエンス研究」の小児科の薬事関係者からも意見を求め、国内外の状況について情報収集・整理し、新たな審査基準・制度及びこれらを実行可能とするのに必要な体制・インセンティブ等についての提言をまとめる。国際的連携としては新生児における International Neonatal Consortium や国際希少難病コンソーシアム（IRDiRC：中村治雅が成人領域で関与・連携）等の取り組みを参考とする。小児がん分担班と小児難病分担班について課題が異なる場合は独自に検討を行い、また共通の課題については合同で検討を行い、全体で情報共有を行いながら作業を進める。小児がんにおいては米国の RACE 法等も参考に我が国での方向性を検討する。希少難病では特に疾患横断的に超希少疾病についてどのように取り組むべきかを、海外の制度や国際的な取り組みを参考に進める。

令和6年度は提言に盛り込むべき類型・項目を確定し、解決策について具体的な検討をすすめる。各項目についての解決策・開発スキーム等について PMDA、患者代表、日本製薬工業協会（製薬協）の代表等との意見交換を行い、年度末までに案をまとめる。検討の過程で追加すべき項目が明らかとなった場合には、その内容についても同様に、現状の整理、既存の取り組み・仕組み・最新の海外の制度等について情報を収集し、それを踏まえた解決策の検討を行う。小児がん及び小児希少難治性疾患それぞれについて

1 名ずつ、海外での連携会議に実際に参加する。小児難病分担班と小児がん分担班との内容のすり合わせを行い、共通項目については共同で、また個別の項目については、個別に提言案をまとめる。

令和 5 年度に小児がん領域においては「既承認薬の小児開発における特徴調査による類型化」の調査を実施した。小児用法・用量が記載された、あるいは小児用法・用量を含めて承認された医薬品の審査報告書を調査し、各品目の小児開発における特徴を検討し、これらの既承認薬の評価資料の検討結果から、推奨されるエビデンス構築方針案を作成した。また、既に海外で薬事承認となり、ラグが生じている小児がん特有の医薬品への対応方針案を作成した。

これらの調査結果や方針案の内容を踏まえ、令和 6 年度には、小児がん領域における国内外の開発や規制関連の最近の動向を考慮した上で、提言に盛り込むべき類型や項目、解決策について、論点を整理する。また、国内で小児の治験を実施することなく承認可能なケースの明確化を検討する。小児がん分担班として提言案に記載すべき内容を提案する。

C. 研究結果

小児がん領域では、令和 7 年 2 月の欧州の ACCELERATE の期間中の意見交換の場および、全 5 回の全体班会議での意見交を通じて、研究代表者・研究分担者・研究協力者間で適宜情報共有を行いながら、検討を進めてきた。また、PMDA の小児 WG 及び審査部から協力

を得ており、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課担当者とも密接に連携している。鹿野・林班と、欧米の医薬品開発促進制度及びドラッグラグ状況についての情報共有・意見交換を行い、鹿野研究室及び製薬協で取りまとめ中のデータパッケージの具体例についても共有いただき、検討を進める上での材料とした。

令和 5 年度に作成した上述のエビデンス構築方針案と対応方針案を踏まえた上で、令和 6 年度は、提言案内に記載すべき内容の検討を進めた。班会議内で小児難病分担班、PMDA と厚生労働省の担当者と議論の上で、下記の点を提言案に反映した。

- ・ 海外において小児を対象とした医薬品開発を開始する際には、日本も当該開発に参加し、欧米等とともに臨床試験を実施し、臨床的エビデンスを創出していくことが望ましいこと
- ・ 海外臨床試験が実施され、当該データで海外において小児承認取得済の薬剤については、特段な人種差などへの懸念がない限り、新たな日本人小児を対象とした治験を実施せずに承認を検討すること（成人国内データがない場合の承認の可否は個々の医薬品の背景情報を踏まえて検討が必要）
- ・ 国際共同治験に日本人症例が組み入れられなかった薬剤については M&S、PPK 解析や治験以外のデータを踏まえて国内小児の評価を行うこと
- ・ 成人を対象とした治験に、成人における対象疾患以外の疾患であって

も、疾患特性を考慮して10-12歳以上程度の小児を含めての評価を検討すること。9-11歳以下の年齢の患者についても、別試験で評価する必要は必ずしもなく、可能な限り同一の試験内で小児コホートとして評価することを推奨すること

- ・ 同一疾患でなくとも作用機序から有効性が期待される薬剤の開発については、広く同一臨床試験の対象とすること

また、エビデンス構築方針案では、国内小児に対する治験の実施が困難な場合、公知申請、先進医療や患者申出療養を含む特定臨床研究のデータ、非介入研究データ（レジストリ・DB・厳密に計画して実施するレトロスペクティブな診療録調査等）で補完することで承認を検討することを提案している。特定臨床研究データおよび非介入研究データを承認申請に利活用した具体例をまとめるとともに、これらのデータによる補完についてどのように提言に反映するか検討を進めた。

先進医療 B や患者申出療養などの特定臨床研究の試験成績への承認申請への利用については、「特定臨床研究で得られた試験成績を医薬品の承認申請に利用する場合の留意点・考え方」（令和5年3月31日事務連絡（医薬・生活衛生局医薬品審査管理課））において示されたように、当該研究の信頼性が担保されている場合、その試験成績を承認申請に係る資料として利用することが可能であり、提言を通じて、その考え方を周知する必要があると

考えた。先進医療 B や患者申出療養の試験成績が評価資料や参考資料として活用されている事例を例示するとともに、提言案へ記載を反映した。

レジストリ、DB、適応外使用・compassionate use の事例に対するレトロスペクティブな調査などの非介入研究データの活用については、欧米における Expanded Access Program データの薬事申請への活用実態について調査を行い、具体例を例示した。米国においては、PI3K α 阻害薬 alpelisib が PIK3CA 関連過成長症候群（PROS）に対して compassionate use されていた患者の診療録をレトロスペクティブに調査した結果を主たるエビデンスとしての適応拡大が、2022年にFDAから承認されていた。本邦においても、「医療用医薬品の承認事項一部変更承認申請又は電子化された添付文書改訂においてレジストリデータを活用する際の留意点について」（令和6年10月4日 厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長、安全対策課長通知）で「本通知は、基本的考え方通知に示された考え方を踏まえ、適応拡大に係る開発や電子添付文書の改訂等に際して、レジストリデータを用いる場合の留意点を示すものであるが、診療記録等のデータを収集するデータベースなど、その他の RWD についても、データの特性等を鑑みた上で、本通知の内容に準じることが可能である。」と示されていることを踏まえ、米国事例の例示とともに、薬事承認に非介入研究データの活用を推進すべきと提言に記載することを提案した。

第6回班会議（令和6年7月19日）

では、症例数が少ない疾病に対して、作用機序が類似した開発候補薬剤が複数ある場合の、「開発を急ぐべき新規薬剤の開発の優先順位の決定方法」を議論した。欧州の ACCELERATE Pediatric Strategy Forum において産官学民の multi stake holder によって議論された 2 薬剤の具体例を例示した。Forum 内で複数ある開発候補薬剤の中から 1 薬剤の開発を優先する議論を行った好事例として超希少がん種である NUT carcinoma に対する BET 阻害剤を例示した。一方で急性骨髄性白血病に対する、FLT3 阻害剤については、2 剤の小児に対する臨床試験が同時進行で実施され、開発が共倒れになった経験をもとに、今後アカデミアや患者団体なども議論に加わることで効率よい開発につなげようという議論が Forum 内で行われた。欧州では、希少がん種に複数の薬剤の開発が行われていることで、小児がんに対する開発が停滞しそうな薬剤について、開発を実施している当該企業を含めた議論を行い開発の優先順位について提案が行われている。一方で、国内においては、希少がん・難治性疾患に対して薬剤の開発自体が十分に行われていない現状を踏まえて、他の同効類薬（海外で開発中の薬剤など）が出揃うまで待つて優先順位を検討するのではなく、現在国内開発が着手されている薬剤の開発を推進すべきと班会議内で結論付けた。

厚生労働省により発出された「希少疾病に用いる医薬品について海外においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における日本人データに係る基本的

な考え方について」（令和 6 年 10 月 23 日課長通知（医薬局医薬品審査管理課））と、「「医薬品の条件付き承認の取扱いについて」の一部改正について」

（令和 6 年 10 月 23 日課長通知（医薬局医薬品審査管理課））の 2 つの通知の発出を受けて、第 9 回（令和 6 年 12 月 23 日）と第 10 回（令和 7 年 3 月 11 日）の 2 回の班会議においては、日本人小児の安全性・有効性データがない、あるいは少ない場合の条件付き承認、また条件付き承認後のデータ収集のありかたについて、小児がん領域と小児希少難治性疾患領域を交えて提言への反映の方針について議論を行った。欧米で承認されており、日本で治験が実施できないことによりドラッグラグが生じている小児がんや小児希少疾病に対する薬剤については、日本人小児のデータなし、あるいはデータが少なくても原則、条件付き承認を積極的に検討すべきと結論付けた。一方で、条件付き承認された薬剤については、製造販売後試験・調査などを通じて承認後のデータ収集が必要となるが、その具体的な方法や施設限定などの進め方については、現在、各学会や研究グループと PMDA との間で意見交換が行われているテーマであり、次年度に検討を継続した上で、提言における記載内容を決定する方針となった。

令和 7 年 2 月 6-7 日にブリュッセルで行われた産官学民の multi stakeholder が集まり、小児がんに対する医薬品開発加速化の方策を話し合う ACCELERATE annual meeting に分担研究者の荒川と富澤が参加した。この会議には他に

PMDA から 3 名、日本のアカデミアから 2 名、日本の患者団体から 3 名が現地参加した。日本から、PMDA と患者団体を含めて **meeting** に継続的に複数名が現地参加していることにより、欧米日で連携して医薬品開発を加速化していくための方策を話し合う議論に、より主体的に参加することが可能となっている。本年度は、“承認申請にむけたアカデミア主導の臨床試験のあり方”や、昨年度に続き、“実用化を急ぐべき新規薬剤の開発の優先順位の決定方法”が議題として取り上げられ、議論を行った。

医薬品の早期実用化に向けた産官学民の海外の取り組みについて情報を収集するとともに、小児がん領域で欧州と国際共同試験の推進に向けた連携について欧州のアカデミアの研究者と具体的に議論した。これらの情報を踏まえて、新たな審査基準の提言を作成するための議論を PMDA からの参加者と実施した。日本での薬剤開発を検討中の海外企業と、PMDA からの参加者、患者団体のメンバーと議論を行い、患者団体から日本国内において、いくつかの薬剤でドラッグラグが生じており、新規薬剤開発のニーズが大きいことを伝えるとともに、最近の国内の規制の動向を踏まえて、新規抗がん剤の開発の進め方への助言を行った。

D. 考察

患者数が非常に少ない小児がん領域においては、新規開発に際しては国際共同での海外との同時開発が重要であることは言うまでもない。令和 6 年度に新たに

厚生労働省から発出された通知に示された考え方を踏まえ、希少疾病における日本人データがない場合の条件付き承認の活用については、成人を含め各学会や研究グループにおいて PMDA を交えて意見交換が行われている。小児がんや小児難治疾患においては、海外で承認されていて、日本患者に対する治験が実施困難な薬剤については、日本人小児のデータなし、あるいはデータが少なくても、原則条件付き承認を積極的に検討していくべきと班会議内で結論付けた。その場合、個々の医薬品の背景情報を踏まえた上で、MS や PPK 解析の活用、患者申出療養や先進医療 B を含む特定臨床研究データや非介入研究データなど利用する様々なデータによる補完と、製販後試験・調査などによる承認後のデータ収集の両方が重要となる。

治験以外のデータは、厚労省の事務連絡や通知において個別の検討が必要とはされつつ、薬事承認申請に活用できることが言及されているものであることを踏まえて、その利活用を推進すべきであり、アカデミアによる一定の質の担保された情報の蓄積と収集も重要となる。

次年度は、令和 6 年度に提言案に反映した内容を踏まえ、小児提言の最終化に向けて小児がん領域に関連する記載を進める。

E. 結論

令和 5 年度に作成した既承認薬の承認申請時の評価資料および参考資料等の評価、類型化の調査結果とエビデンス構築方針案を踏まえ、令和 6 年度は提言に記

載すべき項目について検討を進め、提言案に反映した。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

荒川 歩. 小児がん領域におけるドラッグラグ・ドラッグロスの解消と開発推進に向けての取り組み. The 21st DIA Japan Annual Meeting 2024 2024 年 10 月 28 日、東京

小川 千登世. 日本における小児がん医薬品開発の現状と取り組み. 第 51 回日本小児臨床薬理学会 2024 年 11 月 10 日、東京

小川 千登世. 小児がん領域の開発の現状とための展望. 第 45 回日本臨床薬理学会、2024 年 12 月 13 日、東京

H. 知的財産権の出願・登録状況

(予定を含む)

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし

小児希少難治性疾患の早期医薬品実用化に向けた研究

研究分担者 河合 利尚 国立成育医療研究センター免疫科

研究要旨

本邦の小児希少疾病医薬品開発における課題を検討するために、2025年1月に渡米し開発者側である小児先進臨床試験研究所（IACT4C）と米国国立衛生研究所（NIH）小児健康・人間発達研究部門（NICHD）、規制当局側として食品医薬品局（FDA）を視察し、意見交換を行なった。海外の規制当局とPMDAの連携強化、国内での情報共有のインフラ整備、小児臨床試験ネットワークのグローバル化など協力関係の強化が課題の一つと考えられた。また、医療保険制度や法制度の違いから、米国の制度をそのまま本邦で導入することは困難だが、小児臨床試験や希少疾病の医薬品開発を行いやすい法整備の必要性も示唆された。

A. 研究目的

米国において、医薬品開発者側として小児先進臨床試験研究所（Institute for Advanced Clinical Trials for Children; IACT4C）と米国国立衛生研究所（National Institutes of Health; NIH）小児健康・人間発達研究部門（National Institute of Child Health and Human Development; NICHD）、および規制当局側として食品医薬品局（Food and Drug Administration; FDA）の双方を視察・意見交換を行い、医薬品開発における本邦の課題について検討した。

B. 研究方法

以下の施設について視察・意見交換を行った。

1. Institute for Advanced Clinical Trials for Children (IACT4C)

日程：2025年1月7日

場所：ウェスティンDCダウントウン

参加者：河合利尚、中村秀文（NCCHD）、
ビビアナ・グスマン、AJ・アレン、ローラ・ロペス（IACT4C）

2. Food and Drug Administration (FDA)

日程：2025年1月8日

場所：FDAホワイトオーク・キャンパス

参加者：リン・ヤオ、サラ・ザハディ、
ギルバート・ブルカート、ダイアナ・グリーン、スザンヌ・モリー、スーザン・
アブデル＝ラーマン、ジョン・アレクサンダー・
ジョン・アレクサンダー（FDA）、
中村治雅（NCNP）、河合利尚、中村秀文（NCCHD）

3. National Institute of Child Health and Human Development (NICHD), National Institutes of Health (NIH)

日程：2025年1月9日

場所：NIH, Bethesda

参加者：河合利尚、中村英文（NCCHD）、
Perdita Taylor-Zapta（NICHD）

C. 研究結果

1. IACT4C訪問

IACT4Cは、小児医薬品開発の改善と促進に向けた革新を推進するために設立された501(c)3非営利団体である。専門家、アカデミア、規制当局、医薬品開発者、そして患者擁護団体のネットワークが形成されている。本組織は、安全で効果的な小児用医薬品開発における多くの課題の解決策を見出すことを目的としている。

米国の医薬品開発を進める上で、産業とアカデミアを含むネットワークと、それを管理する組織体制の実情について情報を収集した。また、日本における小児臨床試験ネットワークの構築とグローバルな協力関係について意見交換を行った。

1) IACT4Cについて

- 米國小児科学会（American Academy of Pediatrics）が結集した小児医薬品開発における多様なステークホルダーのリーダーたちによって2017年に設立された。
- 小児が安全で効果的な小児用医薬品、生物製剤、医療機器を必要するため、

効率的かつ効果的な小児臨床試験を実施するために必要なリソースを提供することで、これらのニーズに応えらるゝと考えられた。

- 非営利団体であり、バイオ医薬品企業からの助成金、会員資格、そして慈善事業によって運営される。

2) IACT4Cのネットワーク

- 米国において、議会が設立した非営利団体のC-PATHは、FDAと関連する。同様の非営利団体にレーガン・ユードル財団があり、小児科医だけでなく、薬剤師や医療関係者にもこの活動を支援してもらうためFDAとも関連する。
- ネットワークの運用において、管理業務、システム構築、経理担当、法務担当などが必要だが、国際的なネットワークでも窓口を一本化することで全ての関連部門を一つにまとめることで効率化を図れる。

3) ネットワークにおける課題

- 現在6,000もの希少疾患があり、50～75パーセントが小児科疾患であることは大きな課題である。しかし6,000、あるいは4,500の専門家ネットワークを構築することは現実的ではないため、こういった疾患をいくつかまとめて、専門医や専門的な研究を行うセンターの活用を進めている。
- 日本と同様に、米国でも多くの小児科の専門家が小児医薬品開発に精通している訳ではない。本ネットワークは小児科医のための教育プロセスの役割も担っている。

2. FDA訪問

FDAは連邦規制機関であり、子どもたちが安全で効果的な医薬品を利用できるように、小児科の公衆衛生を推進するための活動も行っている。今回の訪問では、小児部門や希少疾病などFDAの異なる各部門がどのように役割を果たしているのか情報交換を行なった。

1) 部門の特徴

- 今回、小児治療学部門、臨床薬理学部門、母性健康小児科部門、希少疾患・医学遺伝学部門の代表者が参加したが、それぞれは異なる機能をもっておりFDA全ての部門と協力体制にある。

- このようなFDAの構造的特徴は、小児医薬品開発において重要である。

2) FDAで小児希少疾患についてより協力的な環境を整備できた要因

- 法律の整備。医薬品開発者に小児臨床試験を実施し、インセンティブを与えることを義務付ける法律を整備が整備されている。
- NIHがFDAと協力することが法的に義務づけられており、実際には、それ以上にあらゆる種類の協力関係が生み出された
- 希少疾病の医薬品開発は、母集団が小さく、新薬の開発が困難である。そのため、FDAが希少疾病の部門間や、部門間で連携するための専用リソースを支援している。

3) アカデミアとの協力関係の構築

- 数年前から、小児科CTSA (Clinical Translational Science Awards) を通じてプログラムを始めた。小児科のサブスペシャリティで訓練を受けた若い医師をFDAに招き、フェロシップを体験してもらう
- 参加者に、規制当局がアカデミアの臨床研究とどのように関わっているのか、その重要性を理解してもらうことが目的。

4) EMAとFDAの製薬企業との並行協議

- 小児クラスターや希少疾患クラスターがあり、規制当局が定期的に集まって問題を議論している。
- 構想段階だが、産業界がFDAとEMAの両方と同時に会合できるようなインフラ整備を試みている。これにより、審査における誤解を減らし、ある地域の当局の助言が他方の当局と違う助言をするという行き違いを無くすようにする。

3. NICHD訪問

小児医療、臨床試験、規制の枠組み、国際的な協力に関連する取り組みを議論し、米国における小児医薬品開発の現状について情報交換を行なった。小児用医薬品開発を推進し、規制上の課題に対応し、アカデミア・企業・規制当局間が協力しネットワークや様々な機関を活用する事の重要性を確認した。さらに、資金調達、臨床試験モデルの改善などについて、米国 (NIH) の情報を得た。

1) NICHDについて

- 主に特許切れ (off-patent) 薬剤領域に焦点を当て、承認後の薬物動態 (PK)・安全性評価試験 (市販後臨床試験) が行われた。
 - NICHDは「小児健康・人間発達研究部門」であるが、大半の小児医療研究は他の研究部門 (NCIやNIAIDなど) と連携して実施している。
 - 研究対象は、母体の健康および小児医療にまたがっており、研究資金の約50%ずつがそれぞれに配分されているが、近年は母体健康研究が重点化されている。
 - NICHDでは、Real-worldデータ (RWD) や実用的試験 (pragmatic trials) を導入して、小児対象におけるエビデンス収集の強化を図っている
- 2) 試験モデルの改変とFDAとの連携
- 治験開始前にPre-IND meetings (IND前会議) を行う事で、初期段階からFDAが関与し、試験デザインに対する助言が得られるようになった。
 - Clinical & data coordinating centers (臨床およびデータ調整センター) の体制は、FDA提出・添付文書改訂における厳格な規制基準に対応するために必要不可欠である
- 3) 米国と日本の制度を比較
- 日本の制度では、アカデミア (医学・薬学・臨床研究の専門家) が政策策定に関与するが、米国では非科学者 (法律・行政職など) が政策文書を起草することが多い。
 - 米国では、C4C (Connect4Children) の様に臨床試験の立案から実施、完了までを一括で担うワンストップ型の臨床試験支援体制が整備されている。
 - 日本では、適応外薬に対する臨床試験の実施が資金面の制約などにより実施することが困難である。安全性上の重大な懸念がある場合を除き、主に新規治療法またはドラッグリポジショニングに焦点が当てられている。
- 4) 企業との連携
- 5) NICHD での小児臨床試験における課題

D. 考察

小児医薬品の審査に関する提言を行うために、海外の小児医薬品開発に関わる開発側と規制当局側の双方を視察し、意見交換を行った。今年度は、米国のIACF4C、FDA、NICHD/NIHにおいて、小児医薬品開発で中心的役割を担う担当者と米国内の現状や課題について情報を交換した。

欧州では、「Orphan Regulation」に基づき (2000年施行)、希少疾病用医薬品の指定と開発が推進され、市場独占権 (10年間) や研究支援が提供されているが、米国でも「Orphan Drug Act」

により、希少疾病用医薬品 (オーファンドラッグ) の開発が促進され、税制優遇や市場独占権 (7年間) などのインセンティブが提供されている。本邦と欧米では、保険制度や社会的背景が異なるため、同様の制度をそのまま導入することは限定的な効果に留まると言われている。しかし、今回の視察でFDA担当者が実例を挙げながら説明した通り、医薬品開発者が小児臨床試験を実施や希少疾病の医薬品開発を行いやすい環境を整えるための法整備の必要性を感じた。それは規制当局内の横断的な連携を促進するだけでなく、日本ではPMDAとAMED間のあらゆる部門での協力体制につながる可能性が示唆された。

また、PMDAは海外の規制当局との小児クラスターに参加しているが、EMAとFDAには希少疾病クラスターもあるため、今後、PMDAが定期的に関連のクラスターへ参加することで、海外規制当局と更なる連携の可能性がある。情報の伝達の視点では、IRDIRCの活動 (国際希少疾病コンソーシアム活動) などを介して海外の情報を得る機会があるものの、日本国内で情報を共有するインフラが整備されていないことは課題と考える。

医薬品の開発者と患者団体の協力も重要であり、米国ではNational Organization for Rare Disorders (NORD) が代表的な患者団体である。今回、意見交換を行なったNIHのNICHDはアカデミアや非営利団体による臨床試験の支援を行い、NORDなど患者団体の声を政策や研究に反映させる役割も担っている。米国と同様に、本邦でも小児医療ネットワークの重要性は高く、更なる発展が期待される。

E. 結論

日本と欧米では医療を取り巻く環境が異なるため、欧米の政策を直接的に導入することは困難な点も多い。しかし、小児医薬品開発の分野で先行する欧米の開発者や規制当局の担当者と意見交換することで、日本における課題が明確になりつつある。今後、これらの課題を検証し、小児医薬品の審査に関する提言へ反映する。

F. 研究発表

該当なし

G. 知的財産権の出願・登録状況 (予定を含む)

該当なし

別紙 4

研究成果の刊行に関する一覧表レイアウト（参考）

書籍

著者氏名	論文タイトル名	書籍全体の 編集者名	書 籍 名	出版社名	出版地	出版年	ページ
なし							

雑誌

発表者氏名	論文タイトル名	発表誌名	巻号	ページ	出版年
なし					

「厚生労働科学研究費における倫理審査及び利益相反の管理の状況に関する報告について
(平成26年4月14日科発0414第5号)」の別紙に定める様式(参考)

令和7年 4 月 1 日

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長)— 殿
—(国立保健医療科学院長)—

機関名 国立成育医療研究センター

所属研究機関長 職 名 理事長

氏 名 五十風 隆

次の職員の(令和)6年度厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業
2. 研究課題名 小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 研究開発監理部 開発企画主幹
(氏名・フリガナ) 中村 秀文 ナカムラ ヒデフミ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無 有 無	左記で該当がある場合のみ記入(※1)		
		審査済み	審査した機関	未審査(※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針(※3)	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称：)	☐ 有 ☒ 無	☐		☐

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他(特記事項)

- (※2) 未審査の場合は、その理由を記載すること。
- (※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ☒ 未受講 ☐
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 ☒ 無 ☐ (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 ☒ 無 ☐ (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 ☒ 無 ☐ (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 ☐ 無 ☒ (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和 7 年 4 月 1 日

厚生労働大臣
—(国立医薬品食品衛生研究所長)— 殿
—(国立保健医療科学院長)—

機関名 国立研究開発法人国立がん研究センター
所属研究機関長 職 名 理事長
氏 名 間野 博行

次の職員の（令和）6 年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業
2. 研究課題名 小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した
新たな審査基準提言のための研究
3. 研究者名 （所属部署・職名） 中央病院小児腫瘍科・医長
（氏名・フリガナ） 荒川 歩・アラカワ アユム

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無 有 無	左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
		審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
その他、該当する倫理指針があれば記入すること （指針の名称： ）	☐ 有 ☒ 無	☐		☐

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査に場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ☒ 未受講 ☐
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関における C O I の管理に関する規定の策定	有 ☒ 無 ☐ （無の場合はその理由： ）
当研究機関における C O I 委員会設置の有無	有 ☒ 無 ☐ （無の場合は委託先機関： ）
当研究に係る C O I についての報告・審査の有無	有 ☒ 無 ☐ （無の場合はその理由： ）
当研究に係る C O I についての指導・管理の有無	有 ☐ 無 ☒ （有の場合はその内容： ）

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

令和 7 年 4 月 1 日

厚生労働大臣
~~（国立医薬品食品衛生研究所長） 殿~~
~~（国立保健医療科学院長）~~

機関名 国立研究開発法人国立がん研究センター
所属研究機関長 職 名 理事長
氏 名 間野 博行

次の職員の（令和）6 年度厚生労働行政推進調査事業費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業
2. 研究課題名 小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した
新たな審査基準提言のための研究
3. 研究者名 （所属部署・職名） 中央病院小児腫瘍科・科長
（氏名・フリガナ） 小川 千登世・オガワ チトセ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無 有 無	左記で該当がある場合のみ記入（※1）		
		審査済み	審査した機関	未審査（※2）
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（※3）	☐ ☒	☐		☐
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	☐ ☒	☐		☐
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	☐ ☒	☐		☐
その他、該当する倫理指針があれば記入すること （指針の名称： ）	☐ ☒	☐		☐

（※1）当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他（特記事項）

（※2）未審査に場合は、その理由を記載すること。
（※3）廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ☒ 未受講 ☐
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関における C O I の管理に関する規定の策定	有 ☒ 無 ☐ （無の場合はその理由： ）
当研究機関における C O I 委員会設置の有無	有 ☒ 無 ☐ （無の場合は委託先機関： ）
当研究に係る C O I についての報告・審査の有無	有 ☒ 無 ☐ （無の場合はその理由： ）
当研究に係る C O I についての指導・管理の有無	有 ☐ 無 ☒ （有の場合はその内容： ）

（留意事項） ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

「厚生労働科学研究費における倫理審査及び利益相反の管理の状況に関する報告について
(平成26年4月14日科発0414第5号)」の別紙に定める様式(参考)

令和7年 4月 1 日

厚生労働大臣
(国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
(国立保健医療科学院長)

機関名 国立成育医療研究センター

所属研究機関長 職 名 理事長

氏 名 五十風 隆

次の職員の(令和)6年度厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業
2. 研究課題名 小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 小児がんセンター 血液腫瘍科 診療部長
(氏名・フリガナ) 富澤 大輔 トミザワ ダイスケ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無 有 無	左記で該当がある場合のみ記入(※1)		
		審査済み	審査した機関	未審査(※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針(※3)	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	☐ 有 ☒ 無	☐		☐

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他(特記事項)

- (※2) 未審査の場合は、その理由を記載すること。
- (※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ☒ 未受講 ☐
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 ☒ 無 ☐ (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 ☒ 無 ☐ (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 ☒ 無 ☐ (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 ☐ 無 ☒ (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。

「厚生労働科学研究費における倫理審査及び利益相反の管理の状況に関する報告について
(平成26年4月14日科発0414第5号)」の別紙に定める様式(参考)

令和7年 4月 1 日

厚生労働大臣
(国立医薬品食品衛生研究所長) 殿
(国立保健医療科学院長)

機関名 国立成育医療研究センター

所属研究機関長 職 名 理事長

氏 名 五十風 隆

次の職員の(令和)6年度厚生労働科学研究費の調査研究における、倫理審査状況及び利益相反等の管理については以下のとおりです。

1. 研究事業名 医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業
2. 研究課題名 小児がんおよび小児希少難治性疾患の医薬品の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究
3. 研究者名 (所属部署・職名) 免疫科 診療部長
(氏名・フリガナ) 河合 利尚 カワイ トシナオ

4. 倫理審査の状況

	該当性の有無 有 無	左記で該当がある場合のみ記入(※1)		
		審査済み	審査した機関	未審査(※2)
人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針(※3)	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
遺伝子治療等臨床研究に関する指針	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針	☐ 有 ☒ 無	☐		☐
その他、該当する倫理指針があれば記入すること (指針の名称:)	☐ 有 ☒ 無	☐		☐

(※1) 当該研究者が当該研究を実施するに当たり遵守すべき倫理指針に関する倫理委員会の審査が済んでいる場合は、「審査済み」にチェックし一部若しくは全部の審査が完了していない場合は、「未審査」にチェックすること。

その他(特記事項)

- (※2) 未審査の場合は、その理由を記載すること。
- (※3) 廃止前の「疫学研究に関する倫理指針」、「臨床研究に関する倫理指針」、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に準拠する場合は、当該項目に記入すること。

5. 厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応について

研究倫理教育の受講状況	受講 ☒ 未受講 ☐
-------------	---

6. 利益相反の管理

当研究機関におけるCOIの管理に関する規定の策定	有 ☒ 無 ☐ (無の場合はその理由:)
当研究機関におけるCOI委員会設置の有無	有 ☒ 無 ☐ (無の場合は委託先機関:)
当研究に係るCOIについての報告・審査の有無	有 ☒ 無 ☐ (無の場合はその理由:)
当研究に係るCOIについての指導・管理の有無	有 ☐ 無 ☒ (有の場合はその内容:)

(留意事項) ・該当する□にチェックを入れること。
・分担研究者の所属する機関の長も作成すること。