別紙１

研究報告書表紙レイアウト

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7 年度 総括・分担研究報告書

研究代表者 中村 秀文

令和 8（2026）年 5月

別紙２

研究報告書目次レイアウト

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・調総括研究報告
中村　秀文 ---------- 1

II．分担研究報告
１．小児がん領域の統括・調整 ---------- 6
荒川　歩　・　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---------- 12
河合　利尚

III．研究成果の刊行に関する一覧表 ----------15

別紙 3

厚生労働科学研究補助金
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7 年度 総括研究報告書

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

本研究ではAMED 医薬品等規制調和・評価研究事業「小児医薬品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」、厚生労働科学研究「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」、「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」等での研究結果を踏まえ、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った。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し、また新たに国内外の情報を収集、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した。令和6年度までに提言の骨格と盛り込むべき内容の大枠は整理され、令和7年度には9回の班会議とその後の修正を行い、提言に盛り込むべき類型・項、解決策についてより具体的かつ詳細な検討を進め、産官学の関係団体からの意見を聴取し、実現可能性を精査しつつ内容を確定した。さらに、2026年1月 - 3月には、患者団体を含む関係団体へのパブコメを募集し、その結果を踏まえて最終化した。提言に盛り込むことのできなかった内容も厚生労働省やPMDAの関係者も含む参加者と共有した。

本研究では、これまで合同で議論する機会が限られていた小児がん領域とその他の小児難治性疾患領域の関係者が、関係団体の意見も広く聴きながら幅広の意見交換を行い提言をまとめることが出来、また産官学患のすべてから意見を聴取することが出来た。この活動の枠組みは、今後の我が国における小児希少難治性疾患及び小児がん領域の開発推進及びさらなる産官学患連携にも活用可能であろうと考えている。製薬協等からの要請もあり、本提言確定後に必要に応じて、厚生労働省からの通知などの発出も行われる予定である。

本提言の内容を踏まえ、またこのような活動のさらなる進展により、新薬開発及び薬事承認が迅速に進み、製造販売後の体制がより効率化され、またそのための体制・インセンティブ・規制の枠組みなどが強化されることが期待される。

研究分担者：
国立がん研究センター： 荒川　歩
国立成育医療研究センター：
富澤大輔
河合利尚
研究協力者：
国立がん研究センター：小川千登世（昨年度まで研究分担者）、柴田大朗、中村健一、沖田南都子、内田恵理子、白川奈美
国立精神・神経医療研究センター：
中村治雅
国立成育医療研究センター：
赤羽三貴、齊藤順平、加藤祐太
大阪母子医療センター：平野慎也
藤田医科大学　：伊藤哲哉
東京理科大学　：鹿野真弓
京都府立医大　：林 憲一
東京都立小児総合医療センター
：森川和彦
明治薬科大学　：山谷明正
医薬品医療機器総合機構：
飯村康夫、佐藤淳子、崎山美知代

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った。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した。令和7年度には、令和6年度に作成した提言に盛り込むべき類型・項、解決策について具体的な検討を進め、産官学患の関係団体からの意見、パブコメ結果を踏まえて最終化した。

B．研究方法

小児希少難治性疾患分担班と小児がん分担班、また研究協力者がそれぞれの担当について並行して検討を進めた。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、研究協力者として連携した。また、令和４年度厚労科研の研究者である鹿野真弓、林憲一も研究協力者として参加し、過去の調査結果等を専門的見

地から提言に反映した。さらに厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課とも密に連携の上で実施され、日本製薬工業協会（製薬協）の関係部会、日本薬剤師会、日本病院薬剤師会、薬剤学会小児製剤フォーカスグループ等にも必要に応じて内容についての意見を求めた。鹿野らや製薬協にて取りまとめたデータパッケージの具体例についても反映した。令和7年度には、9回の班会議を行い、各項目について具体的かつ詳細な検討を進め、纏めた。これらの検討を踏まえ患者会、関係団体からのパブコメを募集し、これら内容を研究参加者と共有し、可能な限り提言に反映し、提言を確定した。

（倫理面への配慮）

本研究は、既存公開情報の収集と、関係者との意見・情報交換を踏まえた提言作成の研究であり、患者情報・個人情報を取り扱わず、特段の研究倫理面への配慮は行っていない。

C．研究結果

令和7年度には以下のように9回の全体会議を開催した（3年で19回の開催）。

第一回　令和7年5月1日
第二回　令和7年6月5日
第三回　令和7年7月14日
第四回　令和7年8月28日
第五回　令和7年10月3日
第六回　令和7年10月31日
第七回　令和7年12月18日
第八回　令和8年2月9日
第九回　令和8年2月27日

最終的な項建ては以下のようになった。

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・条件付き承認と承認後のデータ収集について
   1) 臨床試験への小児組み入れとデータ取得効率化
   2) 既存データの最大活用
   3) 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と、承認後の追加データ収集の在り方について
2. 小児剤形および添加物について
   1) 国外に向けた添加物に関する情報発信と情報公開促進のスキームの確立
   2) 日本国内における小児用製剤の受容性評価と日本に適した小児用製剤情報の発信
   3) 小児の医療現場に資する剤形加工情報の提供について
3. 添付文書及びインタビューフォームへの小児関連記載内容の充実について
   1) 剤形加工に関する情報提供について
   2) 薬物動態情報の開示について
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) PMDAの体制強化について
   2) PMDA、企業、アカデミアやhealth care professionalの関係の強化について
   3) アカデミア・現場の連携インフラと国際連携の強化
   4) 小児医薬品開発を推進するための試験実施体制の強化とノウハウの

蓄積の必要性
5) 治験及び製造販売後臨床試験の契約・審査・実施体制の見直し
6) 患者参画
7) 欧米のオーファン指定品目リストの公表
8) リスクシェアリング、ヘルスリテラシーの向上
9) 海外企業へのアウトリーチ活動について
10) 医療現場における薬剤師による剤形変更の現状と、それを踏まえた保険請求や収載単位の在り方について
11) 研究班で議論されたインセンティブやその他の事項について

また本提言案については、令和7年12月1日に開催された小児医薬品開発推進会議・関連分科会意見交換会で、製薬協、厚生労働省、PMDA、小児科関連学会の薬事代表委員に紹介し、また令和8年3月17日に開催された日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会主催の小児用医薬品開発シンポジウム「小児用医薬品開発の未来を描く~薬機法改正がもたらす新時代への挑戦~」において紹介した。
また、小児剤形および添加剤に関しては、担当した山谷より第6回小児製剤研究会において紹介された。
令和8年1月 - 3月には既に意見を求めた上記団体を含む関係団体、また患者団体にも広くパブコメを募集し、その内容を参加者全員で共有し、可能なものは提言に盛りこみ、最終化した。

海外視察については、研究分担者の河合と共に、NORD Rare Diseases & Orphan products Breakthrough Summit（米国希少疾病の横断的患者団体による年一回の会議）に参加し医学的対応の責任者（Chief Medical Officer）であるEdward Neilan医師から米国における希少難治性疾患開発の最新状況について情報収集し今後の連携の可能性について意見交換を行った。また、会議全体に参加し、米国の小児希少難治性疾患開発における患者参画、また患者団体に対するアカデミア・企業の働きかけの状況について情報収集を行った。この視察内容及び患者会からのパブコメを踏まえた内容を提言に盛り込んだ。

D．考察

最終的な提言には、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内容を盛り込むことが出来たと考えている。本研究では、これまで一緒に議論する機会が限られていた小児がん領域とその他の小児難治性疾患領域の関係者が、関係団体の意見も広く聴きながら幅広の意見交換を行い提言をまとめることが出来、また産官学患のすべてから意見を聴取することが出来た。この活動の枠組みは、今後の我が国における小児希少難治性疾患及び小児がん領域の開発推進及びさらなる産官学患連携にも活用可能であろうと感じている。製薬協等からの要請もあり、本提言確定後に必要に応じて、厚生労働省からの通知などの発出も行われる予定である。

この数年で、我が国における小児のドラ

ッグラグ・ロス解決に向けての取り組みが進み、さらにAMED医薬品等規制調和・評価研究事業では「小児用医薬品の開発推進に関する研究開発」（研究開発代表者：PMDA 成川 衛）、「小児治験を推進する微量採血手法の実用化に関する研究」（研究開発代表者：国立医薬品食品衛生研究所 齊藤公亮）が新たに開始される。また厚生労働省による国際共同治験ワンストップ相談窓口事業（Ensemble x J）では小児領域への対応が始まり、また未承認薬等アクセス確保事業による国内外の希少疾病対象の再生医療・遺伝子治療などの国内導入に向けた調査も進められる。

本提言の内容を踏まえ、またこのような活動のさらなる進展により、新薬開発及び薬事承認が迅速に進み、製造販売後の体制がより効率化され、またそのための体制・インセンティブ・規制の枠組みなどが強化されることが期待される。

Ｅ．結論

国内外の情報収集、関係者との入念な検討と、関係団体からの意見聴取を踏まえて、「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」を最終化した。この提言の内容を踏まえて、新薬開発及び薬事承認迅速に進み、製造販売後の体制がより効率化され、またそのための体制・インセンティブ・規制の枠組みなどが強化されることが期待される。

Ｆ．研究発表

１．論文発表

なし

２．学会発表等

1) 山谷明正:医薬品・医療機器レギュラトリーサイエンス政策研究事業：中村班における小児剤形および添加物の議論から．日本薬剤学会小児製剤FG第6回小児製剤研究会．2026年2月12日、東京.

2) 中村秀文:厚生労働科学研究「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」の概要と提言．小児医薬品開発シンポジウム「小児用医薬品開発の未来を描く～薬機法改正がもたらす新時代への挑戦～」．2026年3月17日、ウェビナー形式.

Ｇ．知的財産権の出願・登録状況(予定を含む)

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科長
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。小児がん領域では令和 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、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、これらの方針案を踏まえて、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、提言案に記載する内容の検討を進めた。令和 7 年度は、令和 6 年度に作成した提言案の内容について、小児がん領域の各ステークホルダーからの意見をまとめ、提言の最終化を行った。また、小児がん領域の患者家族団体からパブリックコメントの募集を行った上で、提言の最終化を実施した。

小児がんを含む希少疾病においては、新規開発に際して国際共同での海外との同時開発が重要である。一方で、海外臨床試験が実施され、当該データで小児承認取得済の薬剤については、新たな日本人小児に対した治験を実施せずに条件付き承認へ進むことが可能か積極的に検討すべきである。国内での小児治験の実施が困難な場合は、患者申出療養や先進医療 B などの特定臨床研究のデータや、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で補完し、承認のために利活用することが重要と考える。

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、小児医薬品開発が義務化されているとはいえ、成人と小児とでがん種が異なる等の背景によりその開発義務が免除される事例が散見され、新薬開発が進まないという状況があった。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対して、がん種は異なっても分子機序を同一とする場合には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。また先行研究の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。

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（令和 6 年 9 月まで)、荒川 歩（令和 6 年 10 月以降)（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・内田恵理子（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、研究分担者として荒川歩（小児がん領域の統括・調整)、研究協力者として小川千登世（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） からも協力を得て、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し、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 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」として、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た。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、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 年度は提言に盛り込むべき類型・項目を確定し、各項目についての解決策・開発スキーム等について、産官学のステークホルダーと意見交換を行いながら、提言案に記載すべき内容をまとめた。

令和 7 年度には、小児がんや希少疾病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。特に、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について過去の実例を挙げながら明確化し、提言内に例示する。

C. 研究結果

PMDA からは小児 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を受け、検討材料とした。小児がん領域では、全体班会議における意見交換や研究期間内に実施された ACCELERATE annual meeting（後述）期間内の出席者間での議論を含めて、研究代表者・研究分担者・研究協力者、と情報共有・意見交換を進めながら検討を進めた。

令和 5 年度には、全体班会議で議論を行いながら小児がん領域において前述の「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。

類型化にむけて実施した小児がん領域における既承認薬の評価資料について、主たる試験で分類を行った結果は以下のとおりであった。

A　国際共同治験への参加のみで国内単独治験なし：　ニロチニブ、ラロトレクチニブ
A’　国際共同治験に参加したが評価資料に国内小児例なし：　エヌトレクチニブ*、セルペルカチニブ、ダブラフェニブ*、トラメチニブ*（*は成人のみの国際共同試験および海外小児試験）
B1　国内単独治験実施（成人と同時の国内試験）：　ブリナツモマブ、チオテパ、アレクチニブ、グルカルピダーゼ
B2　国内単独治験実施（主に小児の試験）：
クリサンタスパーゼ、ブレンツキシマブ ベドチン、ジヌツキシマブ、ニボルマブ、ペグアスパルガーゼ

この分類を踏まえた上で、評価資料としての治験データが重要である事は議論の余地がなく、推奨されるエビデンス構築方針案を班会議内で案を作成し、修正を加えた上で令和 6 年度に以下のような最終案で固定した。

A：国際共同治験に参加*1

B：国内単独の治験を実施
B1：成人と同一の国内単独治験に小児を組み入れる*2
成人のみで開始した治験の変更届による小児への拡張（適格基準の拡大、用法・用量の追加）を含む
B2：主に小児を対象とした国内単独治験を実施

C：治験以外のデータ
公知申請
先進医療・患者申出療養・その他の特定臨床研究
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カルテ調べ）

① まずは国際共同治験への参加を検討する（A）
・PIP/PSP 等で計画されている場合は、計画されている国際共同治験への参加を検討する
・PIP/PSP 等で計画されていない場合は、国際

共同治験（アジア治験を含む）の実施可能性を検討する

② 国際共同治験への参加を行わない場合、国内での治験実施について検討する（B）

③ 治験の実施が困難な場合、C の可能性を検討する

なお、A 及び B の場合も、日本人小児の情報が少ない、又は結果的に組入れられなかった場合も想定されるため、A 及び B の場合でも C のデータの併用を念頭において計画する

*1：結果として日本人小児の登録が無かった場合、M&S や PPK 解析等による確認、C のデータによる補完を行う
*2：結果として小児の登録が無かった場合、M&S や PPK 解析等による確認、C のデータによる補完を行う

また、令和 5 年度に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。

以下に該当する医薬品では条件付き承認等による承認、承認後に臨床情報を収集する等の検討も必要であると考える。

1) きわめて希少かつ生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）である
2) 既存の療法がない、または、欧米等**の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
3) 以下のいずれかを満たす
① 欧米等**のいずれかにて当該疾病・小児に対して薬事承認されている
② 欧米等**のいずれかのなんらかの薬事承認を取得しており、診療ガイドライン等で当該疾病・小児に対して推奨されている
4) 海外データの日本人への外挿が可能であると考えられる
① 既承認薬と作用機序が類似している、または作用機序が明らかであり、日本人の有効性や安全性が類推できる
② 薬物動態において人種間で大きな差異がないと想定できる
③ 安全性についての人種間で大きな差異がないと想定できる
**欧米等：米・英・独・仏・加・豪 6 か国

作成したエビデンス構築方針と対応方針案で示したように、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り、評価資料として治験データが重要であることは議論の余地がなかった。一方で、海外で既に開発が終了している医薬品における国内の小児単独の治験実施の必要性には個々の医薬品の背景情報を踏まえた議論が必要であり、その実施は可能な限り回避できることが望ましいと考えられた。患者数の極めて少ない小児がん領域では、海外で既に開発が終了している医薬品や、国際共同治験に参加しつつも結果として国内小児の登録がなかった場合においては、M&S・少なくとも PPK 解析による確認、また、治験以外の臨床試験や実臨床のレジストリや様々な DB、診療情報等まで含め、利用しうる補完データの活用も重要であると考えた。

令和 5 年度に作成した上述のエビデンス構築案と対応方針案、得られた考察を踏まえた上で、令和 6 年度は、提言案として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、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。
- 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、令和 6 年から 7 年度にかけて、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に向けて検討を進めた。具体的には、エビデンス構築方針案に記載された、「C：治験の実施が困難な場合、治験以外のデータで補完」に挙げられた各項目について、具体的な提言案への記載内容や、具体例の提示について検討を進めた。

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。

まず、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。また、国内実臨床データと海外試験成績を「公知情報」として小児がんに対する適応拡大が承認された好事例として、イリノテカンとテモゾロミド、MIBG-I131 静注について提言内に例示した。

また、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。

さらに、米国においては、PI3Kα 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当該効能の適応拡大が 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。

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・生活衛生局医薬品審査管理課））と、「「医薬品の条件付き承認の取り扱いについて」の一部改正にについて」（令和 6 年 10 月 23 日課長通知（医薬・生活衛生局医薬品審査管理課））の 2 つの通知を踏まえ、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難治性疾患領域で、それぞれ学会や研究グループなどと PMDA との間で行われた議論の論点を共有した。班会議内では、欧米で承認されており、日本で治験が実施できず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条件付き承認が可能か積極的に検討するべきと議論を行い、提言内に記載が反映された。

研究期間内、毎年 2 月にブリュッセルで行われている産官学民の 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が 3 回、富澤が 1 回参加した。この会議には他に PMDA、日本のアカデミア、患者団体から毎年数名が現地参加した。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、小児がん領域で欧州と国際共同試験の推進に向けて連携を深めていくことを欧州のアカデミアの研究者と確認するとともに、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考えているが、具体的な進め方が分からない海外企業と、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、日本国内における新規薬剤開発の要望が強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。

議論を通じ、近年、厚生労働省や PMDA が小児薬剤開発を推進するために講じている様々な施策はグローバル企業など海外から一定の評価を受けていることを認識した。ACCELERATE annual meeting での議論の重要性を踏まえ、提言内に「アカデミアによる現場の連携インフラと国際連携の強化」について、記載を追記し

た。

令和 7 年度最後に、提言案について小児がん領域では、小児脳腫瘍の会の馬上祐子氏、日本小児グリオーマネットワークの大門恭平氏、九州大学 ARO 次世代医療センターの鈴木麻也氏からコメント・意見を聴取し、その意見を提言内へ反映し、提言の最終化を行った。

D. 考察

令和 5 年度の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・類型化と、エビデンス構築方針案の作成を踏まえ、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。令和 7 年度は、治験以外のデータの利活用について提言内および別添資料に具体例を提示した。

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。一方で、海外臨床試験が実施され、当該データで小児承認取得済の薬剤については、個々の医薬品の背景情報などを踏まえた個別検討が必要だが、新たな日本人小児に対した治験を実施せずに条件付き承認へ進むことが可能か積極的に検討すべきである。国際共同治験に日本人患者が組み入れられなかった場合、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、国内成人を対象とした治験において可能な限り同一の試験内で小児を組み入れ、小児の評価を行うことなどにより、小児がんに対する薬剤については、なるべく新たな日本人小児単独の治験を行わずに、承認を検討することが望ましいと考える。

国内での小児の治験の実施が困難な場合は、患者申出療養や先進医療 B などの特定臨床研究のデータや、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で補完して、承認のための利活用が可能かを検討する。これら治験以外のデータは厚生労働省の事務連絡や通知において個別の検討が必要とされているものの薬事承認申請に活用できることが言及されている。小児希少疾患や小児がんなど患者数が少ない領域においては、これらのデータが利活用できる可能性を踏まえ、一定の質の担保された情報の蓄積と収集が必要かつ重要であると考える。

E. 結論

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、類型化とエビデンス構築方針案の作成を踏まえ、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

1) 荒川 歩. 今が行動の時～小児がんのドラッグ・ラグ/ロス解消のために私たちは何をすべきか～. こどものがん治療薬開発シンポジウム, 2026/1/31, 世田谷.
2) Tomizawa D. Japan's Involvement in the PedAL/EuPAL Project: Current Activities and Future Engagement. KPHOG Symposium -Global Networking and International Cooperation for Pediatric Leukemia, 2026/1/10, ソウル.
3) 荒川 歩. 小児がん領域の臨床試験における最近の取り組み. 第 46 回日本臨床薬理学会学術総会, 2025/12/6, 千代田.
4) 荒川 歩. 小児がんのドラッグ・ラグとドラッグ・ロスの解消に向けた取り組み. 第 64 回日本癌治療学会学術集会, 2025/10/18, 横浜.

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

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）
分担研究報告書

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
希少疾病患者団体の連合組織であるNORD（National Organization for Rare Disorders）が主催する“NORD Rare Disease & Orphan Products, Breakthrough Summit 2025”に参加し、米国における患者団体、製薬企業、アカデミア、規制当局の連携と医療制度の実情について情報収集し、国内における小児希少難治性疾患の早期医薬品実用化を推進するための方策について検討した。現在、国内にはNORDのような組織はないが、行政が主体となりNORDに準じた体制を支援することで、持続可能な産官学患連携が促進され、小児希少難治性疾患の早期医薬品実用化の一助になり得ると考え、小児医薬品の審査に関する提言へ反映した。

A．研究目的

NORD Rare Disease & Orphan Products, Breakthrough Summit 2025は、米国のオーファンドラッグの開発に関係する様々なステイクホルダーが一堂に参集し、希少疾病の医療に関する情報共有や議論を行う場として、米国で開催された。今回、国内における小児希少難治性疾患の早期医薬品実用化に向けた提言を作成のため、患者団体であるNORDが主催する本会議に参加し、患者視点での米国医療制度や体制について情報収集することで、患者を中心とした提言の作成を目指した。

B．研究方法

“NORD Rare Disease & Orphan Products, Breakthrough Summit 2025”
開催: Grand Hyatt in Washington, D.C.
開催: 2025年10月20-21日
参加者: 河合利尚、中村秀文

本会議に参加し、米国におけるオーファンドラッグ開発に関連する様々な課題や対策について情報収集した。本会議は、NORD（National Organization for Rare Disorders）が主催し、患者・家族、患者団体、製薬企業、アカデミア、食品医薬品局（Food and Drug Administration; FDA）が参加し、情報共有や議論が行われた。患者を中心に、開発者側（アカデミア、企業）と規制当局側（FDA）が話し合うため、米国と日本に共通する患者ニーズや医療制度の課題について情報が収集された。

これらの情報を参考に、国内の医療制度を考慮して、本提言に反映した。

C．研究結果

本会では22セッションが行われ、代表的なセッションは以下のとおりであった。

1. 小児希少難病患者の活動

希少疾病の診断と治療の進歩は、希少疾病を抱える若者にとって特に重要となる。若者が抱える課題を自らの体験を交えて紹介し、将来的な展望が共有された。

このセッションでは、ヘルマンスキー・パドラック症候群、Barth症候群など希少疾病をもつ若年患者が自分の体験を自ら話し、日常生活の支障などが語られた。同時に、Barth症候群では、患者支援団体が医薬品開発や臨床試験の設計支援を要請したことで、2014年に取り組みが開始された実現したことが紹介された。

2. 小児研究開発の課題への取り組み

希少疾病患者の３分の２は小児であるにもかかわらず、小児科領域の研究開発が成人患者と比べて遅れていることが課題として挙げられた。ここでは、小児の希少疾病に関する研究を推進するための取り組みについて、製薬企業の開発部門責任者、臨床イニシアチブ担当責任者、臨床業務責任者、FDAの小児・母子保険部門長が登壇し、道徳的責務について議論された。

3. NORDの活動を支える次世代の育成

希少疾病の医療改革を進める活動を続ける上で、次世代の育成も重要な課題として挙げられた。ここでは、学生 4 人（理系大学、医学部、理学修士生）が希少疾病に興味を持ったきっかけを紹介した。

希少疾病患者が家族や周囲にいたことで意識し始めた、患者の多様性、生きづらさ（治療法がない）を知り、治療に興味を持った、患者支援やポリシーに興味をもってNORDへ参加したなどの経緯が実体験とともに紹介された。

また、若者は、希少疾病の医療を支援する方法として、患者の話を良く聞く機会を増やす、患者のメンタルヘルスサポートを推進する、大学などでシステマティックな教育体制を構築し多くの若者が希少疾病の情報を得る機会を増やすなどが提案された。

4. 行政における希少疾病支援の推進

連邦議会や州議会において、医薬品の価格を国際的に引き下げることを目的に、現政権は薬価を引き下げるための最恵国待遇（MFN）政策が打ち出されたが、これは希少疾患薬を含む医薬品価格全体に影響を及ぼす可能性が指摘されている。つまり、希少疾病治療薬は、開発費が高額であるにもかかわらず、患者数が少ないため、薬価引き下げが研究開発への投資意欲を低下させるという懸念がある。そこで、政府として、患者・家族、患者コミュニティを支援するより良い方法を、連邦議会や州議会は模索を続けていることが紹介された。

5. 患者団体と製薬企業のコラボレーション

製薬企業と患者・家族、患者団体の共同作業として３つの実例（成功例）が紹介された。

A) 鎌状赤血球症臨床試験と啓発キャンペーンにおける患者中心の取り組み

鎌状赤血球症プログラムは、患者アドバイザーと臨床試験デザイン･啓発キャンペーンを共同で進めたことで成功した。

臨床試験を準備する初期段階から患者の声を取り入れて、患者中心の視点で臨床試験計画が作成された。その結果、第2相試験は予定通り登録達成、第3相試験では1年強で200名以上の患者登録を迅速に達成した。

臨床試験を企画する前に行われたヒアリングで、患者は難病に苦しむことよりも、「病と向き合う自身の強さ」を強調したメッセージを望んでいることが判明した。そこで、そのコンセプトに基づき、臨床試験キャンペーンも実施された結果であった。

B) 全国MPS協会が推進する「Crossing Paths」プログラム

製薬企業が地方も含めて幅広く調査し、支援が得られていない（患者が、利用できる支援があることを認識していない）患者を発見して、支援する取り組みが行われた。

この活動を通じて、利用できる支援の存在を知らない家族が多く潜在していることが明らかになった。

C) 包括的支援のための全米乾癬財団共同キャンペーン

本活動の主な目標は、特定の乾癬性疾患（「GDP」と呼ばれる）に対する認知度を向上することであった。 キャンペーンは、自身の経験を共有する意思のある患者を特定することから始まり、これらの体験談は動画やその他のコンテンツで公開された。これにより、本疾患の認知度や理解が進み、医療制度の課題が議論された。

6. FDAにおける患者視点での医薬品・医療機器の開発推進

FDAの審査官（Patient-Focused Drug Development部門（部長）、希少疾患・遺伝医学部門（医療担当官）、臨床アウトカムアセスメント部門（部長））が登壇し、FDAの取り組みを紹介した。

FDAでは、2012年以降、患者の実体験や希望を取り入れた医薬品・医療機器開発を行うための取り組みを行ってきた。2012年から2018年にかけて開催された公開会議では、疾患と治療経験に関する患者･家族からの意見が集約された（グローバル調査）。

また、FDAは、エンドポイントの整合性を確保して臨床データの価値を高めるために、治験前および第2相試験終了時の検討会など重要な節目で、あらかじめ主要試験を開始する前に、患者データを早期から体系的に組み込むことが重要と位置付けている。 そのため、早期からFDAと連携し、臨床試験における臨床医の視点、自然歴に基づいた患者目線のエンドポイント設定、バイアスの最小化、記録の透明性、参加者の多様性について議論されていた。また、患者へのフィードバックによるプロトコール調整（実施可能性）も推進されていた。

D．考察

小児希少難治性疾患の早期医薬品実用化に向けた提言を行うために、“NORD Rare Disease & Orphan Products, Breakthrough Summit 2025”へ参加して情報を収集し、意見交換を行った。

従来、希少疾病の患者団体は、それぞれが個別に活動を行っていた。一部で協力し合う団体もあるものの、疾患の希少性からその影響力は限定的であった。NORDは、米国でOrphan Drug Act（1983年）が成立した時、希少疾病患者の団体を取りまとめて活動する連合として設立された。現在では、米国政府や州議会にも発言力のある組織となった。本会議の参加者はオーファンドラッグ開発に関わる全てのステイクホルダーが一堂に会する。実際に、研究者や患者、製薬企業が同じテーブルについて話し合うため、当事者の声を直接聞くことができる場となっていた。本会議は600人以上が参加

するが、基本的に米国中心のため、日本人の参加者は2-3名であった。海外の患者と話すことで、日米の違いを認識する機会にもなるため、国際学会だけでなく本会議のような多様な職種（ステイクホルダー）が参集する会議の重要性を認識した。

現在、国内ではNORDのような希少疾病の患者団体がまとまった連合はなく、患者、アカデミア、製薬企業、規制当局の関係者が対面で情報を得られる場はない。今後、国内でも本会議のような多方面のステイクホルダーが参集する機会を設け、そのような取り組みを継続するスキームが求められると考える。本提言では、関係者が一堂に介し、忌憚のない意見交換、製品開発に協力して行ける環境を創出すべきであることに言及した。

また、NORDは患者、製薬企業、アカデミア、規制当局との連携を進めるとともに、医薬品の開発段階から情報を共有する活動を行っている。さらに、小児難治性疾患のレジストリ推進にも貢献している点は非常に注目された。国内では、NORDのような患者団体を、民間が主体的に組織することは難しいかもしれない。そのため、がん領域と同様に、希少難病でも行政等が公的に中核病院・拠点医療機関等の連携体制を整備するとともに、それらと患者団体の連携強化を支援し、さらにその連携体制をレジストリ構築にも活用できれば、医薬品開発の持続可能な体制整備につながる可能性がある。医療施設間での連携及び医療従事者と患者の連携が進みレジストリが整備されることで、小児難治性疾患に対する医薬品のスムーズな開発にもつながると考える。

E．結論

今回の“NORD Rare Disease & Orphan Products, Breakthrough Summit 2025”で米国の現状と課題について情報収集することで、患者の立場からも、日本と米国における医療環境の違いが再認識された。米国の政策や制度をそのまま導入しても、国内の課題は解決されないかもしれないが、持続可能な産官学患連携を促進することが、小児希少難治性疾患の早期医薬品実用化に貢献し得ると考え、小児医薬品の審査に関する提言へ反映した。

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

研究成果の刊行に関する一覧表レイアウト

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					

別紙５

「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　8　年　4　月　　1　日

厚生労働大臣　殿

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　7　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）	□　■	□		□
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。

別紙４

別紙５

「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　8　年　4　月　　1　日

厚生労働大臣　殿

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　7　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）中央病院小児腫瘍科・科長

（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）	□　■	□		□
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。

別紙５

「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　8　年　4　月　　1　日

厚生労働大臣　殿

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　7　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）	□　■	□		□
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。

別紙５

「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　8　年　4　月　　1　日

厚生労働大臣　殿

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　7　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）	□　■	□		□
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。