

令和元年度厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）
（分担）研究報告書

小児用医薬品開発に係るアンケート調査

研究代表者 鹿野 真弓 東京理科大学薬学部薬学科・教授

研究要旨

製薬企業及び小児を対象とした診療・治験を実施する医療機関を対象に、それぞれアンケート調査を行った。製薬企業対象アンケート調査結果から、小児用医薬品開発が進まない理由として開発コストをカバーする収益が期待できないこと、小児対象治験が実施しにくいこと等が示唆された。欧米のような小児用医薬品開発を義務化する制度の導入については、対象の限定や課題解決等の条件付きを含めて小児用医薬品開発促進に効果的との回答が2/3を占めた。一方、小児用医薬品開発に効果的な制度として、薬価加算、特許期間の延長、再審査期間の延長拡大等の要望が多かった。医療機関対象のアンケート調査においても、小児用医薬品の開発が進まない理由として製薬企業の採算性を挙げる回答が最も多く、他に小児対象治験、特に国際共同治験の体制整備不足を含む小児対象試験の困難さが挙げられた。今後、産官学それぞれにおいて、これらの課題への対応が進むことが期待される。

A. 研究目的

本研究においては、小児用医薬品開発に関する現状の課題や開発促進に効果的な法制度等に関して、製薬業界及び小児の診療・治験に携わるアカデミアを対象とした、小児用医薬品開発関連制度に関するアンケート調査を実施した。

B. 研究方法

製薬業界対象アンケート内容は【資料1】、アカデミア対象アンケート内容は【資料2】に掲載した。アンケート調査はGoogleフォームを用いて行い、対象者にリンク情報及びGoogleフォームが使用できない場合に備えてwordファイルを添付してメールで送付した。Wordファイルでの回答はメールで返送された。アンケート調査は3月1日～3月13日に実施し、事前に申し出があった4企業からは遅れて回答が提出された。

製薬業界対象アンケートは、新薬開発を行う製薬企業が属する業界団体である日本製薬工業協会、PhRMA Japan（米国研究製薬工業協会）、EFPIA Japan（欧州製薬団体連合会）、主要なバイオベンチャー企業が属するバイオインダストリー協会の創薬ベンチャー企業会員に、各団体の窓口担当者から電子メールで送付して頂いた。

アカデミア対象アンケートは、日本小児総合医療施設協議会、日本小児科学会関連分科会代表、全国国立病院薬剤部科長会議、小児治験ネットワークの各医療機関に送付し、各医療機関内で小児対象治験や小児の診療に携わる医師、治験担当者に展開された。

（倫理面への配慮）

製薬企業対象アンケート調査では、万一、事後の確認が必要となった場合に備え、各企業の窓口担当者の連絡先の記載を求めた。この連絡先は個人情報に該当するため、研究担当者がアクセスできないよう第三者を個人情報管理者として設置した。

C. 研究結果及び考察

小児用医薬品開発の義務化について

企業対象アンケートにおいては、必要性が高い疾患に限定する、小児用医薬品開発に係る課題を解決する、等の条件付きを含め、肯定的な意見が2/3を占めた。外資系製薬企業は海外本社が開発の意志決定を行うが、日本支社に小児用医薬品開発の情報が共有されていない場合も多いと推察され、本邦での小児用医薬品義務化により早期に日本向けの開発計画が立案される可能性が期待される。

義務化に否定的な意見は10%程度だが、現在でもFDAとEMAの意見が異なる場合の調整の負荷が大きいことから規制当局間の連携（共同治験相談、共同審査等）を望む意見が見られた。

医療機関対象アンケートにおいても、小児用医薬品開発の義務化に肯定的な意見が多く見られた。

期待されるインセンティブ

企業対象アンケート調査では、小児を対象とした治験の実施や小児用製剤開発のみならず、小

児対象治験体制の整備等のコストがかかる一方で、小児用医薬品は成人より用量が少ないため単価が低くなり、コストを回収可能な収益が期待できないという意見が大半を占めた。従って、期待されるインセンティブは収益性の向上につながるものであった。上位のインセンティブへの期待は以下の通り。

✓ 薬価の加算

現在の薬価の小児加算は限定的（規程上の上限は25%だがほとんど5%）でコストをカバーできないという意見が多かった。小児用医薬品の開発効果が高いと企業担当が考える方策の第一位は、成人適応への薬価上メリットの拡大であった。他に、小児加算の増額、他の加算との重複加算等の提案があった。

✓ 特許期間の延長

現状の5年を超える特許期間の延長は、小児用医薬品の開発効果が高いと企業担当が考える方策の第二位であった。

✓ 再審査期間延長の上限拡大

成人適応を含む再審査期間延長の10年を超える拡大は、小児用医薬品の開発効果が高いと企業担当が考える方策の第三位であった。一方で、特許期間の方が長いので再審査期間延長はさほど効果が無いという意見も見られた。

医療機関対象アンケート調査では、小児用医薬品の開発が進まない主な理由として、企業の採算性の問題を挙げた回答が最も多く、医療機関においても製薬企業の収益増につながるインセンティブが必要なことが広く認識されていた。一方、患者申出療養の強化の提案に対しては肯定的な意見が6割強にとどまり、申し込みが煩雑であると同時に手続きの難しさや時間を要することを問題として挙げる意見が多かった。小児用医薬品開発につながる現行制度についても、必要な改善を加えるとともに、情報発信して行くことが重要と考えられる。

治験実施体制の課題

企業対象アンケート調査では、小児対象試験の経験が豊富な企業は限られるためか、施設選定や症例確保に困難さを感じている意見があった。医療機関対象のアンケートでも小児対象治験が実施可能な施設は限定的である傾向が見られており、主要医療機関での小児対象治験実施体制を強化するとともに、効率的な基盤（例えば小児治験ネットワークや成育医療センターが窓口となり、関連学会と調整して施設を紹介する等）整備が望まれる。

他に、分散型臨床試験（DCT）や医師主導国際治験の強化の提案も検討に値すると思料する。

医療機関対象アンケートでは、小児用医薬品開発が進まない理由として企業の採算性に次いで、小児患者が少ない、小児対象治験の実施困難が挙げられていた。特に国際共同治験推進のためには、スタッフの充実化や事務手続きの効率化が必要とする意見が最も多かった。

D. 考察

以上の調査から、小児用医薬品の開発義務化の議論の前に、小児用医薬品開発の現実的な課題を解決する必要があることが示された。すなわち、企業の採算性に関するインセンティブの整備、PMDAと海外規制当局との連携や審査方針の明確化、小児対象治験に向けた医療機関の体制強化等が必要であることが確認された。また、製薬企業の多くは小児用医薬品開発の経験が限られることも、開発を躊躇する一因となっている可能性が考えられた。そこで、今後の小児用医薬品開発の参考となるよう、過去に承認された小児がんや小児の希少難治性疾患の治療薬について承認申請時の臨床データパッケージを調査して整理して示すことを検討している。

E. 結論

小児用医薬品開発促進に関して、製薬企業が課題と考える事項や改善に向けて検討すべき要件が確認された。

F. 研究発表

1. 論文発表

拝郷久満、松田健司、林憲一、鹿野真弓. 小児用医薬品の国内開発における課題と今後の展開 — 小児用の医薬品開発に関する企業へのアンケート調査より — レギュラトリーサイエンス学会誌 14, 5-24 (2024)

2. 学会発表

なし

G. 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

企業対象

小児用の医薬品開発に関するアンケート調査へのお願い

小児用医薬品は、市場規模が小さいことや、成人対象の治験と比べて小児を対象とした治験では特殊な配慮や手続き等が求められるなどのため、一般的に臨床開発が進みにくいことが知られています。さらに、欧米で小児に使用されている医薬品の多くが、本邦では小児への適応が得られていないという状況が生じています。一方で、これらの小児用医薬品を国内でも使用できるようにしてほしいという患者及びそのご家族、また臨床現場からの要望は大変強く、これを充足することは喫緊の課題となっています。

このような背景から、令和4年度厚生労働科学特別研究事業として「小児がん及び小児希少難治性疾患に係る医薬品開発の推進制度に資する調査研究」が実施されております。つきましては、当該研究の一環として実施するアンケート調査へのご協力を賜りたく、お願い申し上げます。

このアンケート調査は、日本で小児を対象とした医薬品の開発が進まない理由を確認するとともに、その開発を促進するための施策を検討することを目的としています。ご多忙の中とは存じますが、忌憚のないご意見を頂戴したく、是非、本調査にご協力いただけますようお願い申し上げます。

なお、アンケート結果については論文投稿、学会発表、厚生労働科学研究報告書として、各社の回答が特定されない形で公表させて頂くことをご承知おきください。

【ご回答にあたってのお願い】

- 専門的な質問も含まれておりますので、日本での医薬品開発の戦略を立案する部署や、薬価担当者及び臨床開発責任者等のご担当者に聴き取りなどをし、**各社・団体内のご意見をとりまとめてご回答を**いただけますようお願い致します。
- 事後的に回答内容の確認等のためにご連絡させて頂く可能性がございますので、御社の窓口の方のご氏名と連絡先メールアドレスの記入をお願いする箇所がございます。結果の公表に当たっては、回答者の所属医療機関が特定されないよう十分配慮いたしますので、ご協力をよろしくお願い申し上げます。
- 回答期限は**令和5年3月13日（月）**とさせていただきます。延長が必要な場合は下記問い合わせ先までご連絡下さい。

本アンケートに関するお問合せは以下にお願いいたします。

東京理科大学薬学部薬学科 鹿野真弓

メール宛先：shikano-m@rs.tus.ac.jp

(1)-1 本アンケート回答についてご連絡させて頂く場合の窓口ご担当者様のご所属部署、ご氏名を記載してください。

(1)-2 本アンケート回答についてご連絡させて頂く場合の窓口ご担当者様のご連絡先（メールアドレス、電話番号）を記載してください。

1. ご所属の企業・団体について

ご所属の組織についてお尋ねします。

(1) 所属する団体の種別をお答えください。

- 製薬企業
- バイオベンチャー企業
- その他

(2) 資本形態は次のどちらですか？

- 国内企業
- 外資系企業

(3) 日本国内の従業員数

- 50名未満
- 51～100名
- 101～1000名
- 1001名以上

(4) 過去10年間の新薬（新有効成分含有医薬品）の製造販売承認数

- 0～1品目
- 2～5品目
- 6～10品目
- 11～20品目
- 21品目以上

2. 小児適応未取得品目の有無について

小児適応未取得品目の有無についてお尋ねします。

(1) 御社が保有する医薬品の中で、2002年以降に欧州又は米国の何れかでは小児の適応を取得済み、又は現在開発中（海外の導入元、又は海外への導出先の会社が適応を取得、又は現在開発中の場合も含む）であるが、日本国内での小児の適応取得に向けた具体的な開発計画がない品目はありますか？

- なし（欧米の小児適応取得品はすべて国内小児適応取得済・開発中・開発計画中）
- あり → (2)、(3)、(4)、(5)へ
- 海外で小児適応を取得した医薬品はない
- わからない

(2) (1)で「あり」を選択した場合、その品目数をお答えください。

(3) (1)で「あり」を選択した場合、そのうちの小児がん治療薬の品目数をお答えください。

(4) (1)で「あり」を選択した場合、そのうちの小児希少難治性疾患の品目数をお答えください。

(5) (1)で「あり」を選択した場合、日本での開発を予定していないおもな理由を3つまで選択してください。

- 小児の適応取得は日本では義務でない
- 日本では治験の実施が困難 →(6)へ
- 採算が取れない →(7)へ
- 治験相談を行った結果、困難と判断した →(8)へ
- 国内の小児患者が少ない
- 国内での疾患背景や患者数などの情報が不足し、開発計画を立てにくい
- 日本専用の小児用製剤の開発が必要である
- 小児の適応を取得しなくとも使われている
- その他（自由記載） _____

(6) (5)で「日本では治験の実施が困難」を選択された方に質問です。具体的な理由を以下から選択してください。（複数選択可）

- 日本での小児患者の組入れが困難
- 国内外で診断基準や治療法が異なる
- 国内外で民族的要因が異なる
- その他（自由記載） _____

(7) (5)で「採算が取れない」を選択された方に質問です。最も大きな要因を以下から1つ選択してください。

- 臨床試験のコストが高い
- 患者数が少なく売上げが期待できない
- 採算が取れるだけの薬価が期待できない
- その他（自由記載） _____

(8) (5)で「治験相談を行った結果、困難と判断した」を選択された方に質問です。差支えない範囲で結構ですので、困難と判断した具体的な理由を教えてください。（自由記載）

3. 現行制度の効果について

以下に示した現行の各制度は、小児用医薬品の開発を促すために有効だと思いますか。

- (1) 成人適応の再審査期間中に小児適応の用法・用量設定を行う場合、10年を上限として再審査期間を延長（平成11年2月1日 医薬発第107号）

- 有効
- やや有効
- 効果を感じない →(2)へ
- 制度を知らない

- (2) (1)で「効果を感じない」を選択された場合、その理由をご記入ください。

- (3) 成人適用の承認までに小児対象の用法・用量設定の開発計画提出及び治験開始により10年を上限として再審査期間を延長（令和2年8月31日 薬食審査発0831第16号）

- 有効
- やや有効
- 効果を感じない →(4)へ
- 制度を知らない

- (4) (3)で「効果を感じない」を選択された場合、その理由をご記入ください。

- (5) 薬価制度におけるメリット（小児加算）

- 有効
- やや有効
- 効果を感じない →(6)へ
- 制度を知らない

- (6) (5)で「効果を感じない」を選択された場合、その理由をご記入ください。

- (7) 治験相談の優先制度

- 有効
- やや有効
- 効果を感じない
- 制度を知らない

- (8) (7)で「効果を感じない」を選択された場合、その理由をご記入ください。

(9) [優先審査](#)

【優先審査制度】新薬の承認審査において、一定の基準を満たす医薬品の審査を優先的に行う制度。

- 有効
- やや有効
- 効果を感じない
- 制度を知らない

(10) (9)で「効果を感じない」を選択された場合、その理由をご記入ください。

(11) 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議を経た[特定用途医薬品指定](#)

【特定用途医薬品指定制度】小児に対する用法・用量が設定されていないなど、医療上のニーズが著しく充足されていない医薬品の研究開発の促進を目的とする。学会、患者団体、製販業者等からの要望について、医療上の必要性が高い未承認薬・適応外資料約検討会議の評価を経て指定され、PMDAの優先相談、優先審査の対象となる。

- 有効
- やや有効
- 効果を感じない
- 制度を知らない

(12) (11)で「効果を感じない」を選択された場合、その理由をご記入ください。

(13) 「成人と合わせて評価可能な小児(10歳又は12歳以上の小児)の臨床評価の留意点について」(令和2年6月30日事務連絡)

- 有効・利用したことがある
- やや有効
- 効果を感じない
- 当該事務連絡を知らない

(14) (13)で「効果を感じない」を選択された場合、その理由をご記入ください。

4. 米国の PREA や RACE Act、欧州の PIP のような小児医薬品の開発推進制度の日本への導入の可能性について

[米国の PREA や RACE Act、欧州の PIP](#) のような小児医薬品の開発推進制度の日本への導入の可能性についてお尋ねします。

【米国の RACE Act.】希少疾病に指定されたがんの治療薬については、PREA の waiver (PREA 要件の免除) を廃止し、成人用の抗がん剤について小児用医薬品としての評価を義務付ける法。

(1) これらのような制度を日本に導入した場合、機能すると思いますか。

- 制度の導入により、小児用医薬品の開発が促進されると考える。
- 特に小児用医薬品の必要性が高い疾患に限定すれば、開発が促進されると考える。 →(2)へ
- 課題を解決すれば、小児用医薬品の開発が促進されると考える。
- 日本にこれらのような制度を導入しても、小児用医薬品の開発促進はあまり期待できない。 →(3)へ
- わからない。

(2) (1)で「課題を解決すれば、小児用医薬品の開発が促進されると考える。」を選択した方に質問です。どのような課題が考えられるか具体的に記載してください。

(3) (1)で「日本にこれらのような制度を導入しても、小児用医薬品の開発促進はあまり期待できない。」を選択した方に質問です。そのように考える理由を記載してください。(自由記載)

5. 小児用医薬品開発促進に向けた施策（案）について

以下のような施策は小児用医薬品の開発促進に対して有効と思いますか

(1)-1 疾患背景等の研究や、疾患レジストリーの構築／運営に対する研究助成により調査を促進させる。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(1)-2 「疾患背景等の研究や、疾患レジストリーの構築／運営に対する研究助成により調査を促進させる」方策について、ご意見があればご記入ください。

(2)-1 小児を対象とした国際共同治験を促進する施策を設ける。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(2)-2 「そう思う」「ややそう思う」を選択された場合、具体的な施策の案をご記入ください。

(2)-3 「小児を対象とした国際共同治験を促進する施策を設ける」方策について、ご意見があればご記入ください。

(3)-1 成人適応も含めた再審査期間延長（10年を上限として2年延長）の上限を拡張する。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(3)-2 「成人適応も含めた再審査期間延長（10年を上限として2年延長）の上限を拡張する」方策について、ご意見があればご記入ください。

(4)-1 特許期間の延長（5年を上限）の上限を拡張する。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(4)-2 「特許期間の延長（5年を上限）の上限を拡張する」方策について、ご意見があればご記入ください。

(5)-1 [条件付き早期承認制度](#)の適用を受けやすくする。

【条件付き早期承認制度】治療法が乏しく患者数が少ない重篤な疾患の医薬品で、我が国での治験実施が困難・長時間を要する場合に、承認申請時に検証的臨床試験以外の臨床試験等で一定程度の有効性・安全性を確認し、製販後に有効性・安全性の再確認等に必要の調査等を実施すること等を条件として承認する制度。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(5)-2 (5)-1で「そう思う」又は「ややそう思う」を選択された場合、[FDAのAA \(accelerated approval program\)](#)や[EMAのPRIME \(priority medicines\)](#)と比べメリットは大きいと思いますか。

【FDAのAA】アンメットメディカルニーズを満たす重篤な疾患の治療薬を代替エンドポイントに基づき早期承認するプログラム。その後、検証的試験で臨床的ベネフィットを示すことで正式な承認が得られるが、示せない場合は早期承認が取り消される。

【EMAのPRIME】アンメットメディカルニーズを対象とした医薬品開発のサポートを強化しより早く患者に医薬品を届けるプログラム。初期の臨床データに基づいて有望な医薬品を指定し、早期から開発者とEMA専門家グループや医療技術評価機関との対話により開発計画最適化、審査の迅速化を行う。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(5)-3 「条件付き早期承認制度の適用を受けやすくする」方策について、ご意見があればご記入ください。

(6)-1 [先駆け審査指定制度](#)の適用を受けやすくする。

【先駆け審査指定制度】世界に先駆けて日本で申請を目指す画期的な新薬、医療機器、再生医療等製品、体外診断用医薬品を承認審査で優遇する制度。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(6)-2 (6)-1で「そう思う」又は「ややそう思う」を選択された場合、[FDAのAA \(accelerated approval program\)](#)や[EMAのPRIME \(priority medicines\)](#)と比べメリットは大きいと思いますか。

【FDAのAA、EMAのPRIMEの説明は(5)-2参照。】

- そう思う
- ややそう思う

- 思わない
- わからない

(6)-3 「先駆け審査指定制度の適用を受けやすくする」方策について、ご意見があればご記入ください。

(7)-1 優先審査の適用を受けやすくする。

【優先審査制度】新薬の承認審査において、一定の基準を満たす医薬品の審査を優先的に行う制度。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(7)-2 「優先審査の適用を受けやすくする」方策について、ご意見があればご記入ください。

(8)-1 小児適応開発についての治験相談の無料化する。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(8)-2 「小児適応開発についての治験相談の無料化する」方策について、ご意見があればご記入ください。

(9)-1 海外で使用している英語資料を用いた治験相談を導入する（日本語資料作成不要）。

- そう思う → (9)-2 へ
- ややそう思う → (9)-2 へ
- 思わない
- わからない

(9)-2 (9)-1 で「そう思う」「ややそう思う」を選択した場合、どの段階（第 I 相試験開始前相談、承認申請前相談 等）で特に必要性が高いと思われますか。

(9)-3 「海外で使用している英語資料を用いた治験相談を導入する」方策について、ご意見があればご記入ください。

(10)-1 抗エイズ薬と同様に、小児用医薬品の承認申請資料として海外当局への英文申請資料を提出可能

とする。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(10)-2 「小児用医薬品の承認申請資料として海外当局への英文申請資料を提出可能とする」方策について、ご意見があればご記入ください。

(11)-1 小児の適応を取得した品目の成人への適応にも薬価上のメリットを拡張できる。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(11)-2 「小児の適応を取得した品目の成人への適応にも薬価上のメリットを拡張できる」方策について、ご意見があればご記入ください。

(12)-1 他品目の薬価にもメリットを拡張できる。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(12)-2 「他品目の薬価にもメリットを拡張できる」方策についてご意見があればご記入ください。

(13)-1 バウチャー制度（他の品目に優先審査等のメリットを移管できる権利。他社への販売もできる。）を導入する。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(13)-2 「バウチャー制度を導入する」方策についてご意見があればご記入ください。

(14)-1 小児適応の開発に失敗しても成人の適応や他の品目でメリットを享受できる。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(14)-2 「小児適応の開発に失敗しても成人の適応や他の品目でメリットを享受できる」方策についてご意見があればご記入ください。

(15)-1 小児の適応取得に貢献した会社の社会的認知度が高まるような広報活動が許可される。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

(15)-2 「小児の適応取得に貢献した会社の社会的認知度が高まるような広報活動が許可される」方策についてご意見があればご記入ください。

(16) 上記(1)～(15)の施策のうち、特に小児用医薬品開発促進効果が高いと考えられるものを3つ選択してください。

(17) 上記(1)～(15)の他に有効と思われる施策の案がありましたらご記入ください。

(18) 小児用医薬品開発促進全般について、ご意見があればご記入ください。

以上でアンケートは終了です。
ご協力ありがとうございました。

医療機関対象

小児用の医薬品開発に関するアンケート調査へのご協力をお願い

小児用医薬品は、市場規模が小さいことや、成人対象の治験と比べて小児を対象とした治験では特殊な配慮や手続き等が求められるなどのため、一般的に臨床開発が進みにくいことが知られています。さらに、欧米で小児に使用されている医薬品の多くが、本邦では小児への適応が得られていないという状況が生じています。一方で、これらの小児用医薬品を国内でも使用できるようにしてほしいという患者及びそのご家族、また臨床現場からの要望は大変強く、これを充足することは喫緊の課題となっています。

このような背景から、令和4年度厚生労働科学特別研究事業として「小児がん及び小児希少難治性疾患に係る医薬品開発の推進制度に資する調査研究」が実施されております。つきましては、当該研究の一環として実施するアンケート調査へのご協力を賜りたく、お願い申し上げます。

このアンケート調査は、日本で小児を対象とした医薬品の開発が進まない理由を確認するとともに、その開発を促進するための施策を検討することを目的としています。ご多忙の中とは存じますが、忌憚のないご意見を頂戴したく、是非、本調査にご協力いただけますようお願い申し上げます。

なお、アンケート結果については、論文投稿、学会発表、厚生労働科学研究報告書として、回答頂いた方の所属医療機関が特定されない形で公表させて頂くことをご承知おきください。

本アンケートに関するお問合せ先：

東京理科大学薬学部薬学科 鹿野真弓

メール宛先：shikano-m@rs.tus.ac.jp

【ご回答に当たってのお願い】

以下の双方の方にご回答頂きたくお願いいたします。回答はご所属医療機関の公式見解ではなく、ご回答者様の所感で結構でございます。

- 小児がんのご担当及び小児希少難治性疾患のご担当を含む小児疾患の診療を担当される医師の方
- 治験事務局のご担当者様
- CRCの方

医療機関ごとの回答数の差異により結果の評価が難しくなる場合が考えられますので、可能な限りご所属の医療機関名をご記入ください。結果の公表に当たっては、個別回答者の所属医療機関が特定されないよう十分配慮いたします。

所属医療機関名

件数をご回答いただく質問の場合、過去経緯等の確認が難しい場合は概数でも結構です。

3. ご所属の医療機関について

- 1) 1) ご所属の医療機関の種別をお選びください。
 - 大学病院
 - 国立高度専門医療研究センター
 - 国立病院
 - その他
- 2) あなたの所属部署・業務を選択してください
 - 小児科／小児科医
 - 治験事務局
 - その他（自由記載）
- 3) あなたが所属する医療機関において、昨年1年間（2022年1～12月）に実施された16歳未満の小児を対象に含む治験の実施件数をお答えください。
（組み入れ症例数が0の場合でも件数に加えてください）
企業主導治験
 - 0-2件
 - 3-5件
 - 6-10件
 - 11件以上医師主導治験
 - 0-2件
 - 3-5件
 - 6件以上
- 4) あなたが所属する医療機関において、コロナ禍直前1年間（2019年1～12月）に実施された16歳未満の小児を対象に含む治験の実施件数をお答えください。
（組み入れ症例数が0の場合でも件数に加えてください）

企業主導治験

- 0-2 件
- 3-5 件
- 6-10 件
- 11 件以上

医師主導治験

- 0-2 件
- 3-5 件
- 6 件以上

4. 適応未取得品目について

小児がん（固形がん及び血液がん）や希少疾病の治療薬を念頭に置いてご回答ください。

(2) 小児がんの治療薬の開発が、日本で活発に行われない理由に該当すると考えられるものを選択してください。（複数回答可）

- 小児の適応取得は日本では義務でない
- 日本では治験の実施が困難
- 企業にとって採算性がない
- 小児患者自体が少ない
- 疾患背景や患者数などの情報が不足している
- 日本専用の小児用製剤の開発が必要である
- 小児の適応を取得しなくとも使われている
- その他（自由記載）

(3) (1)で「日本では治験の実施が困難」を選択した方に質問します。

どのような困難さがあると思われますか？（複数回答可）

- 日本での小児患者の組入れが困難
- 国内外で診断基準や治療法が異なる
- 国内外で民族的要因が異なる
- 小児治験を実施する体制が整っている医療機関に限られる（手順書等の整備不十分、人員が確保できない など）
- その他（自由記載）

(4) 小児希少難治性疾患の治療薬の開発が、日本で活発に行われない理由に該当すると考えられるものを選択してください。（複数回答可）

- 小児の適応取得は日本では義務でない
- 日本では治験の実施が困難
- 企業にとって採算性がない
- 小児患者自体が少ない
- 疾患背景や患者数などの情報が不足している
- 日本専用の小児用製剤の開発が必要である

- 小児の適応を取得しなくとも使われている
- その他（自由記載）

(5) (3)で「日本では治験の実施が困難」を選択した方に質問します。

どのような困難さがあると思われますか？（複数回答可）

- 日本での小児患者の組入れが困難
- 国内外で診断基準や治療法が異なる
- 国内外で民族的要因が異なる
- 小児治験を実施する体制が整っている医療機関が限られる（手順書等の整備不十分、人員が確保できない など）
- その他（自由記載）

5. 以下のような施策は小児用医薬品開発の促進に対して有効と思われますか

1) 疾患背景等の研究や、疾患レジストリーの構築／運営に対する研究助成により調査を促進させる

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

「思わない」を選択された場合はその理由をご記入ください。

5) 国際共同治験の実施を推進するための施策を講じる

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

「そう思う」「ややそう思う」を選択された場合、具体的な施策の案があればご記入下さい。

「思わない」を選択された場合はその理由をご記入ください。

6) 国内の小児適応取得が間に合わない場合、患者申し出療養による海外承認薬を使いやすくする。

- そう思う
- ややそう思う
- 思わない
- わからない

7) 6)で「そう思う」「ややそう思う」を選択された場合、使いにくい理由をご記入ください。

8) その他に、有効と思われる施策のご提案があればご記入ください。

アンケートは以上で終了です。
ご協力ありがとうございました。