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
小児がん及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
（23KC2010）

小児がん及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等についての提言

国立がん研究センター	小川千登世、荒川 歩、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
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
国立成育医療研究センター	富澤大輔、河合利尚、赤羽三貴、齊藤順平、加藤祐太、中村秀文

＜研究の目的＞

これまでに小児がん・小児希少難治性疾患を対象として国内で承認された医薬品（分子標的薬等）について、承認申請パッケージや参考資料等の評価及び類型化を行い、課題を整理・検討する。また、各類型や課題における新たな具体的な開発・承認推進のためのスキームを検討する。

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、海外での取組に関する情報を活用することで、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、製造販売後の追加データの収集等の在り方を整理する。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、規制の枠組み等も含め、包括的な提言を作成することを目的とする。

<検討方法>

小児の希少難治性疾患、成人の希少難治性疾患、小児がん領域及び小児剤形の専門家が研究協力者・分担者として参加した。また、欧米等における効果的な制度の在り方や日本における効果的な制度、運用等については、鹿野真弓及び林憲一から「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助言及び取りまとめ等で協力を得た。厚生労働省や医薬品医療機器総合機構（PMDA）からも協力をいただき、提案する提言内容がより実用的なものとなることを目指した。

患者関係者、製薬企業関係者、国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（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」の小児科領域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・整理を行った。その上で、新た

な審査基準・制度及びそれらを実行可能とするために必要な体制・インセンティブ等に関する提言をまとめた。

国際的連携としては、新生児領域の International Neonatal Consortium[1]（INC） 、希少疾患領域の International Rare Diseases Research Consortium[2]（IRDiRC)、小児がん領域の国際コンソーシアムである ACCELERATE[3]等の取組を参考とした。

小児がん分担班と小児難病分担班は、課題が異なる場合は独自に検討を行い、共通の課題については合同で検討を行い、全体として情報を共有しながら作業を進めた。取組としては小児がん領域が先行しているが、希少難治性疾患領域において疾患横断的にどのように取り組むべきかについても、海外の制度や国際的な取組も参考に検討した。

提言案の内容については、日本薬剤師会、日本病院薬剤師会、日本製薬工業協会の関係部門、日本薬剤学会小児製剤フォーカスグループ、日本小児科学会の関連分科会薬事委員、難病の子ども支援全国ネットワーク等、関係団体にも情報提供し、意見聴取の末に提言を最終化した。

<検討結果>

I. 薬事承認に資するエビデンス構築の基本方針

我が国で小児用医薬品の早期承認や国内外同時承認を実現するためには、国際共同治験への参画を目指すことが原則である。将来的には、欧米において Paediatric Investigation Plan(PIP)や Pediatric Study Plan(PSP)が策定される段階で、日本もプロトコール立案に参画し、日本の臨床実態に即したデータが取得できる環境を創出する必要がある。しかし、海外開発が先行している場合等では国際共同治験に参加できない事例も想定される。そのような場合には、国内外の成人及び小児に関する既存情報を踏まえ、国内で必要となるデータの内容を検討し、国内治験の実施を検討すべきである。特に、小児がんや小児希少難治性疾患においては、治験以外のデータ活用の可能性も含めて検討が必要となることが多い。国内承認に向けたエビデンス構築の基本的な方針を以下の図に示す。

[1] https://c-path.org/program/international-neonatal-consortium-inc/

[2] https://irdirc.org/

[3] https://www.accelerate-platform.org/

エビデンス構築の基本的な方針

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、又は結果的に組み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

この図を基に、それぞれのケースで必要となるデータについて個別検討することが重要である。以下に、その際に留意すべき点を述べる。

II. 提言

1. 日本に馴染む審査基準・承認申請データパッケージ・条件付き承認と製造販売後のデータ収集について

Ⅰに示した、国内での小児希少難治性疾患及び小児がん領域におけるエビデンス構築の基本的な考え方に基づき、試験実施、エビデンス収集及び審査時の考え方、並びに承認申請データパッケージの在り方について、以下のように提言する。

欧米では、成人を対象とした開発段階の早期から小児の開発を計画することが義務化されている。海外で小児を対象とした医薬品開発が開始される際には、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て臨床的エビデンスを創出していくことが望ましい。これまでは、海外での開発が完了、あるいは終盤に至ってから日本での開発が検討されることが多く、使用経験の取得のみを目的とした小規模な臨床試験が要求・実施されてきた。しかし、今後は欧米での開発開始時点から日本も当該開発に参加すべきである。

1） 臨床試験における小児の組入れとデータ取得効率化

海外未承認の医薬品の場合、小児の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」[4] に記載され

[4] 令和 2 年 6 月 30 日、厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課事務連絡.
https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc5175&dataType=1&pageNo=1

た「成人と合わせて評価可能な小児の疾患」を参考に、この通知で対象とされている疾患以外の疾患についても、疾患特性も考慮し、10－12 歳以上を含めた臨床試験の実施を検討するべきである。更に小児開発を円滑に進めるためには、成人やこれら年長小児を対象として実施中の試験において、その拡大（計画の一部変更等）による小児包含を許容し、可能な限り早く小児での評価を進めるべきである。9-11 歳の患者について、必ずしも別試験で評価する必要はなく、可能な限り同一試験内の小児コホートとして評価することが推奨される。また、抗がん剤の開発時等に見られるように、成人を対象としたカプセル剤や容量の大きい製剤しかない場合、体型が小さな年少の小児では内服困難である等の理由から組入れが困難な場合がある。小児用剤形の開発が検討されている場合には、新規の小児用剤形とこれまで開発した製剤（剤形）の同等性の評価、幼児や年少小児を対象とした当該小児用剤形を用いた臨床試験成績等を踏まえ、小児用剤形の安全性及び有効性を可能な限り早期に評価することが望ましい。

国際共同治験の結果を評価する際には、全体集団と日本人小児集団との間でベネフィット・リスク（B/R）に大きな差異が認められないこと（厳密な一貫性を求めるものではない）を確認することが重要となる。試験には日本人症例の組入れを前提とするが、結果として日本人症例の組み入れられなかった場合も、後述する海外小児の外挿を目的とする Modeling and Simulation（M&S）、Population Pharmacokinetics（PPK）解析等を活用し、日本人小児の有効性及び安全性プロファイルに対する予測・評価を行うべきである。なお、M&S や PPK 解析を活用することで、成人での民族差の評価結果や、日本人と非日本人の小児での成長曲線の異同等に基づいた日本人小児の曝露量等の予測が可能になる。

作用機序から複数の疾患に対して有効性が期待される医薬品（例：*NTRK* 融合遺伝子陽性の固形癌に対するトロポミオシン受容体キナーゼ阻害薬）の開発においては、同一疾患でなくても同一臨床試験で対象とすることも考慮する。複数の疾患を同一臨床試験に含める場合、エンドポイントが必ずしも同一である必要はなく、それぞれの疾患に適したエンドポイントを設定することを積極的に検討すべきである。

既に海外臨床試験において小児での B/R が確認されている場合、また当該データにより小児の承認が海外で得られている場合、「希少難治性疾患等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考え方について」[5)] に示されているとおり、海外小児の臨床試験成績等から日本人小児への外挿を検討すべきである。特段の民族差に関する懸念がなければ、日本人小児を対象とした新規治験を実施せず、国内外の成人の臨床試験結果及び海外小児の臨床試験結果により臨床データパッケージを構築することも一案である。日本人成人データがない場合は、疾患の希少性・重篤性、代替治療の有無、期待される効果等を踏まえ、日本人小児に対する当該医薬品の B/R を検討する。その際、M&S、PPK 解析等を積極的に活用して評価を行うことが重要である。このような場合では、臨床データパッケージに日本人小児のデータが含まれない、又は極めて少ないことが多いため、製造販売後の情報によるデータ補完を行う必要性が高くなる（1.3）参照）。

本提言案に対するパブリックコメントにおいて、患者会に登録していない希少疾患患者も多いこと、jRCT の内容は患者にとって非常に理解し難いこと等が指摘された。また、小児希少難治性疾患治療薬の臨床試験に関する分かりやすい情報の公開や、治験参加希望者を登録・支援するシステムがあれば、症例

---

[5] 令和 6 年 10 月 23 日、医薬薬審発 1023 第 3 号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知. https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8779&dataType=1&pageNo=1

の集積が進みやすくなるとの意見も寄せられた。

2) 既存データの最大活用

先進医療 B や患者申出療養等の特定臨床研究の試験成績は、医薬品の承認申請に利用可能であり、既に活用された前例も存在する。しかしながら、未だに承認申請には利用できないという誤解が多く見受けられる。実際には、「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」[6] で示されているように、当該研究の信頼性が担保されている場合には、その試験成績を承認申請に利用することが可能であり、先進医療 B の試験成績が評価資料として活用されている事例や、患者申出療養に基づく臨床研究の結果が参考資料として審査報告書に記載された事例がある（別添 1 参照）。したがって、先進医療 B や患者申出療養等の特定臨床研究の試験成績が活用可能であることを広く周知する必要がある。国内で治験（医師主導治験を含む）を実施することが困難な希少難治性疾患や小児に対する医薬品については、適応外薬の用法・用量や効能・効果の追加に向けた一変申請のみならず、国内未承認薬の新規申請においても、信頼性が担保された先進医療 B や患者申出療養等の特定臨床研究の試験成績を、PMDA の治験相談等を活用し利用可能性について検討した上で、積極的に利活用していくべきである。

公知申請の仕組みにより、小児がん、感染症、腎疾患等の幅広い領域で、学会からの要望に基づいた医薬品の承認が進められ、小児患者に対する治療薬への早期アクセスが実現してきた。代表例として、イリノテカンは日本小児血液・がん学会の要望を受け、海外臨床試験の成績や国内での適応外使用実績を「公知情報」として活用することで、2013 年に小児悪性固形腫瘍への適応が承認された。また、テモゾロミドは、2014 年に日本小児・血液がん学会から要望書が提出され、海外臨床試験成績や 2017 年に日本小児がん研究グループ(JCCG)によって実施された使用実態調査の結果を「公知情報」として活用することで、再発又は難治性のユーイング肉腫に対する適応拡大が承認された。さらに、最近では MIBG-I 131 静注について 2023 年 9 月 12 日に日本小児血液・がん学会から要望書が提出され、「MIBG 集積陽性の神経芽腫」への適応拡大について公知申請を行うことが認められ、2025 年 4 月に保険適用となった。これらの事例は、国内での治験実施が困難な希少な小児がんにおいて、実臨床データと海外試験成績を柔軟に評価した好例といえる。今後は、分子標的薬や免疫療法にもこの仕組みを拡張し、レジストリデータや国際共同治験の成果を積極的に公知申請へ活用できる制度設計が求められる。

小児がん及び小児希少難治性疾患においては、治験という枠組みの中で取得できるデータ量に数的限界がある。このため、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 の事例に対して実施される研究、データ収集方法や解析方法を予め厳密に計画した上で実施するレトロスペクティブな調査等）の活用も推進すべきである。具体的には、以下の通知を踏まえるとともに、過去の具体例を念頭に置き、目的に応じて質が担保されたデータの活用を進めるべきである。

「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」[7]（R6 通知）では、「承認申請等におけるレジストリの活用に関する

---

[6] 令和 5 年 3 月 31 日、厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課事務連絡.
https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc7533&dataType=1&pageNo=1

[7] 令和 6 年 10 月 4 日、薬生薬審発 0323 第 1 号/薬生機審発 0323 第 1 号.

基本的考え方について」[8]（R3 通知）において言及されている、レジストリを臨床試験の補完又は代替として承認申請における有効性及び安全性の評価に用いる可能性について取り上げ、「臨床試験の実施が容易ではない希少難治性疾患や小児に係る効能・効果、用法・用量の追加等については、レジストリデータを活用した一変申請の可能性について、検討する意義は大きい。」としている。

R6 通知では、更に「診療記録等のデータを収集するデータベース等、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」と記載されており、R3 通知よりも踏み込んだ見解が示されている。ただし、そのような事例については広く共通認識が得られている訳ではないため、以下に一例の概略を提示するとともに、別添 2 にその他の事例及び海外の動向を示す。

がん領域で承認を取得していた PI3Kα阻害薬のアルペリシブは、PIK3CA 関連過成長症候群（PROS）に対して compassionate use されていたが、これらの患者の診療録をレトロスペクティブに調査した結果が主たるエビデンスとなり、当該効能の適応拡大が米国 FDA により承認された[9]。この事例は、従来から薬事利用の議論がなされていたレジストリやデータベース等の事前に情報が収集・蓄積されたデータを利活用するのではなく、薬事承認申請のためにレトロスペクティブにデータ収集がなされたもの（EPIK-P1 研究）である点が特徴的である。希少難治性疾患や小児領域では、個別疾患の患者数が少ないために治験等が実施困難であるに留まらず、治験等を行うための資金、人的資源、実施環境等の制約に対して、治療開発がなされるべき疾患の数が多いために開発が手つかずとなっている疾患が多数ある状況にある。このような背景から、上記の対応は、現状の環境下では莫大な資金投資が行われない限り回避できないドラッグラグ・ドラッグロスへの対策として、選択肢の一つとなり得るものである。

なお、R6 通知では「一変申請を目的として適応外投与を行うことを推奨するものではないことに十分留意すること」とされており、そのような目的では臨床試験を実施することが原則ではある。しかしながら、患者申出療養や先進医療等の適応外使用（場合によっては医療機関内の委員会で承認された compassionate use 的な使用）に関する情報を蓄積することや、少なくとも例示した EPIK-P1 研究のようにレトロスペクティブな研究が実施可能となるよう対象者の台帳を管理しておくことは、希少難治性疾患や小児領域における適応拡大や添付文書改訂に重要な役割を果たす可能性があること、米国や欧州ではそのような取組が既に広く実施されていること、本邦の R6 通知でもそのような取組を潜在的な選択肢として取り上げ、排除していないことについて広く周知する必要がある。

こうした多様な治験以外の臨床試験データ、非介入研究データ、リアルワールドデータ（RWD）の活用については、そのデータの信頼性やエビデンスレベルを踏まえた活用可否の議論が必要であることは言うまでもない。一方で、絶対的な水準としての信頼性・エビデンスレベルの達成目標が一律に存在するわけではなく、上述の事例のように、個別の疾患や医薬品の特徴等を考慮した水準に基づいて利用可否の議論がなされていることにも留意が必要である。例えば、米国では日本における治験に相当する臨床試験データに基づく薬事承認審査のコンテクストにおいて、RWD 活用の議論が始まる以前の 1990 年代

---

https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8763&dataType=1&pageNo=1

[8] 令和 3 年 3 月 23 日、薬生薬審発 0323 第 1 号／薬生機審発 0323 第 1 号.
https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc5763&dataType=1&pageNo=1

[9] Drug Approval Package: VIJOICE.
https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2022/215039Orig1s000TOC.cfm

後半から、企業主導の臨床試験とアカデミア主導の臨床試験では後者においてモニタリングが簡略化されていること等、質に差があることが事実として指摘されていた。それでもなお、後者のデータが薬事承認に活用され得るケースがあるとの見解が示されている [10]。そのような臨床試験の質の多様性の議論を前提として、それ以降の RWD 活用の議論が積み上げられてきたとの認識を持つことも重要である。

ICH E11A においても、小児用医薬品開発における外挿の議論が進んでいる。また、FDA はガイダンスにおいて、部分てんかん発作に対して成人で承認された医薬品の有効性を生後 1 ヶ月以上の小児に外挿可能としている [11]。これらを参考に、既存の国際連携の体制も活用し、他領域への適応可能性を積極的に検討していくことが重要である。ICH E11A で規定されている厳密な外挿ではないものの、何らかの外部データとの一致性や類似性の議論（広義の外挿）が行われた例は国内でも多く見られる。拝郷らは、2019 年 4 月～2024 年 2 月に日本で小児適応が承認された医薬品 171 品目について、臨床データパッケージ及び審査報告書の情報に基づき、承認に至った要素を検討した [12]。その結果、日本国内のみで小児対象の検証試験が行われたのは 10 品目のみであり、多くの品目では広義の外挿が検討されていた。これら広義の外挿について評価すると、93 品目は外国人小児からの外挿、100 品目は日本人成人及び／又はより年長の小児からの外挿が検討されていた。外挿に基づく審査では、民族的要因並びに曝露量、有効性及び安全性の一貫性が議論されたが、薬物動態パラメーターについては視覚的な類似性の評価が多く、PK/PD の類似性が議論された例は10%程度であった。また、171 品目のうち公知申請による承認は 19.3%、小児がん治療薬では 34.8%を占めた（別添 3）。さらに、中島らは、2019 年 1 月～2023 年 3 月に日本で承認された 95 品目の小児用医薬品の承認申請データパッケージを調査し、外挿が完全（参照集団と対象小児集団との間で、疾患と治療に対する反応が十分に類似するという仮説に基づく）、部分的（疾患と治療に対する期待される反応は類似しているが、参照集団と対象小児集団との類似性の程度に不確実性が残る）及び全く行われなかった医薬品は、それぞれ 43.2%、30.5%及び 26.3%であること、また、小児臨床試験の用量選択や小児集団への推奨投与レジメンの主要な根拠として、M&S が用いられた品目は 60.0%であることを示した。このように、外挿戦略を用いた既存データの活用は、小児用医薬品の承認に向けた柔軟かつ効率的なアプローチとなる可能性があるが、安全性プロファイルは年齢関連要因により異なる可能性から、将来的には小児の臓器成熟に影響すると考えられる当該治療薬物の安全性の説明要因を M&S に組み込む必要があるとされている [13]。このように、我が国において既に可能な限り広義の外

---

[10] FDA Guidance for Industry: Providing Clinical Evidence of Effectiveness for Human Drug and Biological Products, May 1998. https://www.fda.gov/media/71655/download

[11] FDA Guidance for Industry: Drugs for the Treatment of Partial Onset Seizures: Extrapolation of Efficacy from Adults to Pediatric Patients 1 Month of Age and Older | FDA. https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/drugs-treatment-partial-onset-seizures-extrapolation-efficacy-adults-pediatric-patients-1-month-age

[12] Haigo, H., Matsuda, K. and Shikano, M. Clinical data required for the approval of pediatric pharmaceuticals in Japan. *BMC Pediatrics* (2025)25: 289. https://doi.org/10.1186/s12887-025-05646-0

[13] Nakashima, A., Tsujimoto, A., Saito, M., Takeda, J., Natori, M. and Shoji, S. Recent Utilization of Pediatric Extrapolation and Modeling and Simulation Approaches in Pediatric Drug Development in Japan. (2025) J Clin Pharmacol (2025). https://doi.org/10.1002/jcph.70091

挿の考えが活用されている現状を踏まえ、今後の審査に向けて実用可能な外挿実例の更なる蓄積を行う必要がある。

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、製造販売後の追加データ収集の在り方について

R6年10月に発出された通知「希少難治性疾患等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考え方について」に記載されているように、①海外で既に主たる評価の対象となる臨床試験が適切に実施されていること、②極めて患者数が少ない等の理由により追加の臨床試験を新たに実施することが困難であること、③得られている有効性及び安全性に係る情報等から総合的に日本人におけるベネフィットがリスクを上回ると見込まれること、のいずれもが満たされる場合には、日本人データが存在しない状況であっても、条件を付した上で承認を検討し得る。検証的臨床試験の実施が困難な場合は、他の試験成績等を用いた理論構築を行う必要がある。検証的臨床試験以外の臨床試験の試験成績や、II．1．1）及び2)に示したその他の情報により、一定の有効性や安全性が示されると判断される場合は、条件付き承認の可否を判断するための材料として、それらの情報を利活用すべきである。特に、日本国内でのデータ収集が困難な小児がんや小児希少難治性疾患においては、条件付き承認を積極的に検討すべきである。

条件付き承認後のデータ収集については、「創薬力の強化・安定供給の確保のための薬事規制のあり方に関する検討会」においても議論されたように、目的を明確にして実施すべきである。開発段階での投与症例数が少ないという理由のみで製造販売後調査を行うべきではない（上記検討会報告書[14]、及び、「医療用医薬品の全例調査方式による使用成績調査に関するQ＆A」[15])。

また、RWDの活用や学会との連携等、従来の使用成績調査や特定使用成績調査にこだわらない効率性を重視したデータ収集を目指すべきである。そのためには、実際に当該領域の治療に携わるアカデミアの専門家とも十分な意見交換を行い、効率的かつ有効な情報収集を柔軟に行える体制が必要となる。特に、日本人データがない、あるいは少ない状況で条件付き承認となった医薬品の製造販売後のデータ収集については、製造販売企業への過度な負担を強いることなく、既存のレジストリの活用や関連学会の協力等、事例ごとに最適なデータ収集方法を検討するべきである。そのための一案として、製造販売当初は特定の医療機関や医師に使用を制限し、より厳密なデータ収集を行う体制も考えられる。

小児がん領域における新規医薬品の中には、有害事象の発生頻度が高い医薬品や、従来の古典的な殺細胞性抗がん剤とは異なる毒性プロファイルを有する医薬品が含まれる。日本人データがない、あるいは少ない医薬品を条件付き承認後に使用する場合には、当該医薬品を使用する施設間で安全性情報が共有され、毒性が非耐容であった場合に速やかに減量や中止が可能となる管理体制が必要となる。有害事象の頻度が高い、又は重篤な有害事象の発生が予想される医薬品については、当該医薬品の使用可能施設を新規医薬品の使用や治験の実施に習熟した施設に限定した上で、製造販売後臨床試験の形でのデータ

---

[14] 創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会　報告書の公表について. https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_39934.html

[15] 令和6年7月18日、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡.
https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8650&dataType=1&pageNo=1

収集を行うことも検討し得る。一方で、使用可能な施設や医師を限定することは、患者の新規医薬品へのアクセスの制限につながるため、有害事象の頻度が低く、安全に投与可能と推測される医薬品については、製造販売後調査の形で使用可能な施設を増やす、あるいは限定しない形でのデータ収集を行うことも検討し得る。医薬品ごとに最適なデータ収集体制をどのように整備していくかについては、今後の検討課題であり、規制当局・企業・アカデミアの密な連携が必要となる。

レジストリの活用も必要であると考えられるが、既存のアカデミアが主体のレジストリでは施設や研究ごとに登録情報（診断基準、評価指標、医薬品効果等）が統一されておらず、製造販売後調査に必要な情報をすべて収集することが困難な場合が多い。そのため、国内レジストリの標準化と質向上（医薬品の安全性や有効性評価にも活用可能なデータ収集及びモニタリング）を目指し、製造販売後調査にも対応できる体制整備を進めることを検討するべきである。また、レジストリの維持や継続性を踏まえると、登録者・保有者の負担の観点も重要である。小児のレジストリでは長期追跡が必要であり、登録情報が多くなるほど更新に際して登録者・保有者の負担が増える一方、登録者に直接的なインセンティブがないこと等、製造販売後のデータ収集に対してのアカデミアや企業として責務、資金面も含めた関わりの課題も挙げられる。

小児希少難治性疾患における既存 RWD の整理・活用も今後の課題である。各専門医療機関における日常診療下で生じる電子カルテ等に含まれる貴重な希少難治性疾患患者の情報に加え、小児慢性特定疾病の医療意見書や指定難病の臨床調査個人票等の既存の医療・介護に関連する医療情報プラットフォームの整理・連携を進めることで、レジストリの標準化・質向上、登録者の負担軽減等が期待される。レジストリの充実・製造販売後調査との役割の切り分けや統合、現状では国内において様々な制度、研究、実臨床等で収集されている希少難治性疾患における RWD のより効率的な収集、活用を進める体制についての更なる議論が必要である。また、これらは国内での議論に限らず、国際連携の観点から欧米やアジアの希少難治性疾患レジストリとの連携を想定し、その運用や登録項目共通化も検討することで、国内だけでなく海外とも協調して、希少難治性疾患の症例数を補完し得ると考えられる。

2. 小児剤形及び添加物について

1） 海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確立

日本国内では、添加物に関する情報入手は、添加物事典が主体となっている。しかし、添加物事典の改訂は 6〜7 年に 1 回と頻度が低く、これを補うために PMDA では承認申請時に各企業から了解の得られた添加物については使用前例リストを公開している [16]。これらはいずれも小児における安全性情報が記載されたものではないが、小児製剤開発においては、溶解性や矯味といった小児の服用性を向上させる目的として添加物が使用されることが多く、上記の資料は添加物を検討する上で重要な役割を果たしている。一方、海外では FDA が FDA Inactive Ingredients Database（FDA IID）という添加物のデータベースを作成し、EU では European Paediatric Formulation Initiative（EuPFI）が Safety and Toxicity of Excipient for Paediatrics（STEP）というデータベースを作成しており、多くの日本企業も参考としている。日本製薬工業協会加盟各社を対象として実施したアンケート調査では、65.8%が日本でもデータベー

[16] 医薬品添加剤. https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/pharmaceutical-excipients/0001.html

スが必要と回答している [17]。このため、グローバル企業の小児用製剤開発が容易に国内参入可能となるよう、添加物事典の使用前例情報を一体化し、電子化・英語化した情報基盤を整備すべきであると考える。

PMDA が公開している使用前例リストでは電子化された情報が公開されているが、添加物事典の使用前例情報は電子化されたものが公開されていない。添加物事典の使用前例の電子情報が入手できれば、一体化して公表することが可能となり、機械翻訳等を利用することで作業省力化も期待できる。また、化学物質を特定するための番号である CAS 番号を付記することで、EU や FDA のデータベースとの共有化が図れると考える。近年増加しているプレミックス（複数の添加物を合わせたもの）は、プレミックスとしての使用前例情報がない場合や、内容物の詳細情報入手が困難な場合もあり、他国との共有化にあたっては、これらの取扱い等についても今後議論が必要であろう。

PMDA が公開している添加物リストに関連しては、近年、タイムリーな情報公開を目指して「医薬品添加剤の使用前例データのタイムリーな公開について [18]」が発出され、データの提出を随時受付としている。しかし、製薬企業によるデータ提出が積極的に行われるとは限らない。スピーディーな情報公開を実施し小児用製剤開発を容易にするために、添加物の名称や許容量が特定の品目と結びつかないことを徹底した上で、データの提出を原則義務化することを提案する。

添加物に関して、EMA・FDA・PMDA での情報共有の場はないが、個別製品における添加物に関しては、Pediatric cluster（4.1）参照）と呼ばれる会議体で議論することが可能である。また、別に Generic Cluster という会議体があり、EU と FDA との間での情報・意見交換が行われているとのことである。国内外において添加物規制の相違、使用前例の有無、一日許容量の超過等、添加物に関する理由により小児用製剤開発が難渋したケースが存在しているとの報告 [14] があるが、個別製品として添加物が理由で他国の審査が難渋したケース等は、日本に申請している製品であれば PMDA に相談が可能である。また、日本薬局方に海外と異なる規格が設定されているために、海外の原薬提供元の変更が困難となり、医薬品の安定供給に支障を来した事例もあり、このような国内外の差異を解消する取組も進めるべきであろう。

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

古くから海外では液剤が、日本では散剤が好まれる傾向があるように、小児用剤形の受容性や嗜好性には国内外で相違が認められている。また、各国で保険償還の仕組みの違いや臨床現場における管理上の違いも存在している。小児用製剤は用量調整が可能であり、服用が可能な適度な含量設定で、かつ小児の嗜好性にあうように設計されることが望ましい。近年、欧米ではミニタブレットやスプリンクルカプセルといった新規剤形も開発されている。これら新しい小児用剤形では、用量調節や服用を容易にするデバイスをセットするケースも見受けられる。一方、日本国内では一包化（One Dose Package）することが多く、患者自身や保護者等は用量調節に不慣れであると考えられることから、このような新しいデバ

---

[17] Saito J, Nakamura H, Akabane M, Yamatani A. A questionnaire survey on the barriers regarding pharmaceutical excipients during pediatric drug development. Eur J Pharm Biopharm. 2025 Jun 6:114775. doi: 10.1016/j.ejpb.2025.114775.

[18] 令和 5 年 12 月 1 日、薬機審マ発第 83 号独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査マネジメント部長. https://www.pmda.go.jp/files/000265689.pdf

イスが導入される場合、臨床現場における受容性の検討を進める必要がある。日本薬剤学会は 2024 年から EuPFI に正式参加し、添加剤及び小児に適した剤形に関する検討グループにも参加しているが、このような海外との情報・意見交換を更に進める必要がある。また、個別製品の小児製剤設計においては、小児用剤形、包装、容器等について、可能な限り早めに日本を含む世界での受容性等を企業が検討するべきである。一方、各企業におけるこのような取組を容易にするためには、日本における小児用製剤開発がビジネスとして成り立つ必要があり、薬価制度上のインセンティブを検討する等、今後更なる議論が必要であろう。

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

新生児や乳児といった年少小児、また小児がん、希少難治性疾患等の患者においては、固形内用製剤の嚥下が困難な場合があり、錠剤粉砕等の剤形加工や経管チューブを介した投与が行われることも多い。本来であれば、このような状況にも対応できる剤形が商業的に入手可能であることが望まれる。しかし、採算性等の観点から現実には容易ではなく、医療現場での剤形加工に依存せざるを得ない状況にある。したがって、これらの患者集団が対象となる場合においては、剤形加工による投与が可能か否かを裏付ける情報の提供が必要である。医療現場における剤形加工時において、小児が服用しやすい嵩への変更や複数回投与による均一性を向上させるために乳糖等の賦形剤を用いることが多いが、混合後の安定性に関する情報は少ない。FDA では、剤形加工（compounding）の規模、実施施設、目的等に応じた規制があり、EMA ではガイドラインが存在している [19]。その他各国でも compounding の品質担保のための資料が作成されているが、日本には剤形加工に関する規制はなく、調剤又は製剤業務の一部として現場の薬剤師の判断に委ねられており、今後ルール化の検討を進めるべきである。いずれにしても、薬剤師が適切に判断できるよう必要な情報開示が求められる。日本では一包化することが多いことから、患者保存条件下に近いセロハンポリエチレンラミネート紙内における一定条件の安定性情報は最低限必要であると考える。また、経管チューブの通過性がしばしば問題となることがあるが、小児が使用する細いチューブにおける検討が行われていないケースが多い。より臨床現場の使用実態に即した剤形加工情報の提供が必要と考えられる。

国立成育医療研究センターでは、独自に剤形加工による安定性を検討し、原著論文とした後に、その検討結果をホームページにて公表している [20]。このようなアカデミアによる剤形加工に関する研究を活用する、あるいは共同研究を行い情報発信することで、企業の負担を軽減しつつ情報の充足を図ることができる可能性がある。

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

これまで添付文書には、安全性に懸念がある場合の情報提供は積極的に行われてきたようである。広義

---

[19] 令和 3 年度日本医療研究開発機構研究費医薬品等規制調和・評価研究事業 小児医薬品の早期実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究：小児用製剤の国際調和に向けた医療現場の課題整備に関する検討：臨床薬学の立場から.

[20] 小児用院内製剤の安定性試験結果について（国立開発研究法人成育医療研究センター）.
https://www.ncchd.go.jp/hospital/about/section/medicine/anteisei/

の適応外使用（承認された効能効果以外での使用、禁忌に対する使用、用法・用量を外れた使用以外に、臨床試験は実施されていない旨が記載された年齢層での使用等を含む）が行われている現実があり、アカデミアからは、これら広義の適応外使用例、特に安全性が確立されていないとされた年齢群や、対象年齢に対する用法・用量が不明瞭である症例について、小児の安全性情報や薬物動態に関する情報が論文公表されている医薬品も多く存在する。このような事例においては、得られている安全性、薬物動態等の情報へ容易にアクセスできる環境を創出することが重要である。安全性情報は可能な限り添付文書等で公開すべきであり、また臨床現場で必要とされる剤形加工や薬物動態の情報についても参考情報としてインタビューフォーム等に積極的に公開し、小児の適正使用に資するべきであると考える。また、アカデミアではそのような RWD を積極的に収集すべきである。2.3）に示した剤形加工情報や、アカデミア等で行われている RWD を活用した薬物動態解析、それを踏まえた至適用量の検討結果等は、小児の用法・用量を現場で決定する際に貴重な情報である。

「医療用医薬品の販売情報提供活動に関するガイドライン[21]」において、一定の条件のもとで、未承認薬・適応外薬及び国内では認められていない用法・用量に関する情報について、医療関係者から求めがあった場合には、当該情報を提供することは差し支えないとされている。その条件には、「情報提供する内容は、要求内容に沿ったものに限定するとともに、情報提供先は要求者に限定すること。」とあり、問い合わせ等に対する受動的な情報提供を想定しているものと考えられる。情報提供内容に関しては、「医療用医薬品の販売情報提供活動に関するガイドラインに関するＱ＆Ａについて（その２）」[22]において、未承認薬・適応外薬等に関する情報提供については、「治療ガイドラインや査読付き原著論文、FDA・EMA 等の海外の行政機関が公表している審査報告書や副作用情報、海外の添付文書は、学会、海外の行政機関等により一定の評価が行われていることから、科学的・客観的根拠に基づき正確なものかどうかを判断する目安となり得る。」と示されている。小児等への投与に関する情報も同様とされている。さらに、剤形加工に関する情報については、「医療用医薬品の販売情報提供活動に関するガイドラインに関するＱ＆Ａについて（その３）[23]」において、情報提供先は要求者に限定することとされているものの、「嚥下困難者及び小児に対する投薬治療に際し、これまで医療現場の判断で簡易懸濁、粉砕等が行われてきた実態があることに鑑み、製造販売業者が、簡易懸濁、粉砕等を行った際の医薬品の安定性等に関する情報を、インタビューフォームに記載の上、情報提供することについては、ガイドライン上の医療関係者からの求めがあった場合として整理することで差し支えない。」とされている。これを受けて日本病院薬剤師会は、日本製薬工業協会医薬品評価委員会ファーマコビジランス部会と協議の上、令和元年 12 月に「インタビューフォーム記載要領 2018（2019 年更新版）」[24]を策定した。具体的には、「XIII. 備考」欄に「調

---

[21] 平成 30 年 9 月 25 日、薬 生 発 0925 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局長.
https://www.mhlw.go.jp/content/000359881.pdf

[22] 平成 31 年 3 月 29 日、厚生労働省医薬・生活衛生局監視指導・麻薬対策課事務連絡.
https://www.mhlw.go.jp/content/000496707.pdf

[23] 令和元年 9 月 6 日、厚生労働省医薬・生活衛生局監視指導・麻薬対策課事務連絡.
https://www.mhlw.go.jp/content/001213725.pdf

[24] 令和元年 12 月 26 日、一般社団法人日本病院薬剤師会　医薬情報委員会.
https://www.jshp.or.jp/activity/interview/20191226.html

剤・服薬支援に際して臨床判断を行うにあたっての参考情報」を設け、承認を受けていない品質に関する情報が含まれる旨等の注釈を記載した上で、（1）粉砕、（2）崩壊・懸濁性及び経管投与チューブの透過性の項を新設した。これに対応し、日本製薬工業協会医薬品評価委員会ファーマコビジランス部会 継続課題対応チーム4は「インタビューフォーム作成の手引き 令和2年5月改訂（暫定版）」[25]を作成し、インタビューフォームの記載要領が整理された。このように、前項において述べた情報についてはインタビューフォームに記載ができる環境が整っており、今後、積極的な情報提供を進めるべきである。

1） 剤形加工に関する情報提供について

前述のように、新生児、乳児等の低年齢小児及び小児がん・小児希少難治性疾患等の特定の疾患においては、固形内用製剤の嚥下が困難な場合があり、剤形加工の可否、安定性、流動性等に関する情報が切望されている状況にある。製造販売企業は、剤形加工に資する情報を収集し、インタビューフォームでの情報開示を積極的に行うべきである。NDB（レセプト情報・特定健診等情報データベース）オープンデータ[26]を用いた調査では、錠剤を服用できない年齢の小児に対して、院内・院外を問わずハイリスク薬の錠剤も調剤されていることが明らかになっており[27]、適切な剤形加工に関する情報開示の必要性は非常に高いと考えられる。「インタビューフォーム作成の手引き」では、作成企業の方針により「個別に照会すること」と記載しても良いこととなっているが、情報を保有していない場合や、個別照会を行っても情報を持っていない、あるいは開示しないといった記載要領とは異なる対応を行っている企業が存在するのが現状である。今後は、これら情報開示を強く推奨するとともに、医療機関・薬局においては、これらの情報の有無を採用基準の一つとすることによって、自ずと情報開示が推進されるものと考える。

2） 薬物動態情報の開示について

薬物動態情報は、小児に対する薬物治療において重要な情報である。新生児を含む小児では、用法・用量が明確に記載されていないものがある一方で、臨床現場では、治療ガイドラインや（日本人・非日本人を含む）臨床試験の結果、薬物動態解析に関する学術論文等を参考にしながら、用法・用量を決定することも多い。用法・用量の決定に際して重要な情報の一つが小児における薬物動態情報である。国内の適応承認の有無にかかわらず、以下の①から④のいずれかに該当する小児薬物動態情報については、「医療用医薬品の販売情報提供活動に関するガイドライン」における「第1 基本的考え方 3（3）③の『厚生労働省や PMDA から要求された事項（副作用の発生率の調査等）に関する情報の提供』」として整理し、企業は情報の信頼性を精査した上で、科学的・客観的根拠に基づく情報をインタビューフォーム等で積極的に公開すべきである。また、①から④に該当しているものの企業が開示しておらず、臨床現場で必要と考えられる情報については、小児の専門性を有する関連学会から要望し、関係者間で適切に議論されることが適当であろう。

---

[25] （2020 年 5 月、日本製薬工業協会　医薬品評価委員）ファーマコビジランス部会　継続課題対応チーム）https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/medicine_interview_form.html

[26] NDB オープンデータ: https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000177182.html

[27] 「小児医療にかかる薬剤師の専門性の発揮・有用性に関する調査業務」報告書. 令和 7 年 3 月 公益財団法人日本薬剤師研修センター：https://www.jpec.or.jp/archive/document/document.html.

① 国内外の治療ガイドラインに、小児の治療法や薬物動態情報が記載されている場合
② 海外で承認された添付文書、又は学術論文中で小児に対する用法・用量が明示されている場合
③ 国内外を問わず、小児を対象とした薬物動態試験が実施されている場合
④ 臨床現場における小児薬物動態解析や、企業等の既存情報を活用した小児薬物動態解析の結果が原著論文として提示されている場合

添付文書の「9.7 小児等」の項に「・・・を対象とした臨床試験は実施していない」とされる年齢／体重群の薬物動態情報も、臨床的に必要な年齢／体重群については医療現場で重要である。また、適応外事例の薬物動態情報であっても、臨床現場における用法・用量の決定に寄与する貴重な情報であり、企業は特段の理由がない限り情報を開示すべきである。

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

日本には、欧州における PIP や米国における PSP のような制度がないため、日本における小児用医薬品開発は欧米に遅れて開始されることが多い実情にある。PMDA も、製薬企業において欧米と同時に国内小児用医薬品開発を進める上で、どのような要因が障壁となっているのかを明確にし、その解決に向けた取組を行うべく、産業界との議論を始めている。また、成人の医薬品開発に関する治験相談が申し込まれた企業に対して、小児開発への声掛け等を実施している[28]。

PMDA は小児用医薬品領域において、2009 年から EMA と FDA が参加する Pediatric Cluster に参加している。この会議体では、日米欧における小児用医薬品開発等に関する情報交換が行われているが、欧米にて治験プロトコールの議論が行われる段階において、日本では小児開発どころか成人開発にも着手されていない事例も多く、積極的な議論参加が難しい状況にある。

EMA 及び FDA への視察・情報収集の結果、EMA においても FDA においても、小児及び希少難治性疾患の部門が有機的に連携し、小児希少難治性疾患についての臨床試験の方法論、倫理面、審査の方向性等について当局全体で情報共有していることが明らかとなった。一方、PMDA には小児用医薬品ワーキンググループや希少疾病用医薬品ワーキンググループがあり、令和 6 年には新たに小児・希少難治性疾患用医薬品等薬事相談センターが設立されたものの、当局全体の審査の方針等について、部門の垣根を越えた連携体制の構築は今後の課題と考えられる。また、EMA と FDA との間で行われている希少疾患の cluster にも PMDA から積極的に関与する等、希少難治性疾患全体について欧米との連携をより深める必要もあろう。FDA 等の取組を参考に、小児希少難治性疾患に関わる全領域において、審査や安全対策等について組織横断的に連携を進める体制構築が期待される。EMA 及び FDA が Pediatric Cluster を活用して実施している parallel advice に PMDA が参加することは、現状では日本での開発が遅れていることもあり限定的であるが、今後、国際共同開発が進む際には、この仕組みを活用すべきである。また、現時点では、企業側の Pediatric Cluster に対する認知度は低く、情報共有されていることを知らない企業

[28] 「小児用医薬品の開発促進に向けた取組について」令和 7 年 3 月 21 日、薬機審長発第 1618 号　薬機 RS 長発第 15 号　独立行政法人医薬品医療機器総合機構　審査センター長　RS センター長. https://www.pmda.go.jp/files/000274421.pdf

もある。PMDA は Pediatric Cluster に議題の提案が可能であり、欧米と同時期に PMDA に治験相談がなされた場合、Pediatric Cluster において直接欧米の規制当局と議論し、PMDA として治験相談へのアドバイスを行うことも可能であることを各企業に周知する必要がある。

2） PMDA、企業、アカデミアや health care professional の関係の強化について

欧米においては、十分な臨床経験を有する者が行政機関で数年間勤務した後、企業にて勤務する事例が少なからずある。一方、国内においては、このような立場を跨ぐ異動を行う人材はまだ限られている。そのため、臨床感覚のない行政担当者や開発者等が医薬品開発・審査に携わるケースもあり、臨床ニーズに十分応えられない事例も存在することが否めない。また、アカデミアにおいては、日々対面する患者のニーズに応えようと製品開発に取り組もうとする医師等も出てきているが、薬事規制に関する十分な知識を有しないため、その情報収集に難渋している事例も多い。このような問題を解決するためには、関係者が一堂に会し、忌憚なく意見交換を行いながら製品開発に協力できる環境を創出すべきであり、また人材交流も促進されるべきであろう。

3） アカデミア・現場の連携インフラと国際連携の強化

小児がん領域では、欧州において 2015 年に ACCELERATE[3] が設立された。これは、産官学患が連携しながら小児がんに対する医薬品開発を推進するためのプラットフォームであり、医薬品開発の障壁を解決し、小児がんに対する医薬品開発を加速することを目的としている。運営委員会はアカデミア、製薬企業、FDA・EMA の代表者、患者家族団体の代表者から構成されている。ACCELERATE の特徴として、患者・家族の声を医薬品開発に反映することを大きな目的としており、2025 年からは患者家族団体の代表が ACCELERATE の代表を務めている。作用機序に基づく医薬品開発や、小児がん患者の新規医薬品へのアクセス改善を推進するための政策提言や環境整備、似たような機序を有する抗がん剤の開発の優先順位付けを目的とした Paediatric Strategy Forum の開催等、医薬品開発を加速するための幅広い活動を行っている。

また、欧州では Innovative Therapies for Children and Adolescents with Cancer(ITCC)[29]が 17 か国・60 施設以上から構成される医薬品開発のネットワークとして、公的な資金によるサポートを受けながら、多数の医師主導治験の実施、新規医薬品の臨床開発につなげるための大規模な前臨床プラットフォームの構築、企業の臨床開発への助言、企業主導の臨床研究の ITCC のネットワークを利用した症例集積のサポート等を行っている。2024 年 6 月には ITCC が実施している小児急性骨髄性白血病を対象とした医師主導国際共同試験（ITCC-101/APAL2020D）に国立成育医療研究センターを中心として日本の参画が実現し、2025 年 5 月には ITCC と国立がん研究センター中央病院がパートナーシップ契約を締結した。今後、このように国際連携体制が更に強化されることにより、小児がん領域における新規医薬品開発の更なる進展が期待される。

希少難治性疾患領域では、2011 年に欧州委員会と米国国立衛生研究所（National Institute of Health、NIH）により IRDiRC[2] が設立された。その目的は、特定の疾患や製品によらない、希少疾患全般に関連

[29] https://www.itcc-consortium.org/#:~:text=The%20Innovative%20Therapies%20for%20Children%20and%20Adolescents

する様々な課題について、重要な問題を特定した上で、ガイドライン、推奨事項等を策定し、世界中のステークホルダーと共有することで、希少疾患領域の研究・開発を促進することである。世界各国から希少疾患領域で一定額以上の研究費助成を行う資金配分機関（Funding agency）、製薬企業及び幅広い希少疾患患者を束ねられる患者団体等、60 以上の団体が参加しており、参加医師の過半数は小児科医とのことである。グローバルな視点で希少疾患研究・開発に参加する上で、IRDiRC は重要なプラットフォームである。現在、日本では AMED が取りまとめ役として、個別専門家が様々な委員会やタスクフォースに参加してきたものの、関係者間の情報共有、課題等を取りまとめた上での活動、IRDiRC からの成果物の国内周知については不十分であると考えられる。国内連携を強化するためには、AMED 等が取りまとめ機能を持ち、関係者間の連携促進、日本国内への周知、日本からの IRDiRC への積極的参加を推進する体制が必要であろう。さらに、European Rare Diseases Research Alliance（ERDERA）[30]のような、希少難治性疾患横断的な研究開発の連携体制も日本には存在していない。小児希少難治性疾患は疾患ごとに症例数が極めて少ないため、それらの研究者や患者が疾患横断的に連携できるような体制が必要であり、国際的な連携体制への積極的な参加も推進すべきである。そのためには、国内でのこのような活動に対する公的資金による支援も不可欠であり、国際的・国内的な連携を推進し、関係者間で情報を共有しつつ、具体的な取組に繋げるような体制を整備すべきであろう。

Critical Path Institute の活動の一つである前述の INC[1] は、新生児に特化した国際コンソーシアムであり、産官学患が連携して新生児領域における開発推進のための議論を行い、マスタープロトコルの作成、評価指標、基準値の策定等に取り組んでいる。このような国際コンソーシアムは INC 以外の小児希少難治性疾患にも存在しているが、日本からの参加は限定的である。このようなコンソーシアムには、希少難治性疾患に対する治療開発に取り組む海外のスタートアップ企業の開発関係者も多数参加しており、日本の開発体制をアピールするためにも、積極的に参加すべきである。

これら活動への患者参画のためには環境整備が必須であり、伴走した支援が行われ、段階的な教育・対話支援・ファシリテーション体制整備と人材育成が行われることが必要である。

小児に対する医薬品開発において国際連携を強化するにあたり、海外の研究者が主導する臨床研究に日本から参加するための課題は多い。研究者主導の未承認薬・適応外薬を含む臨床研究において、海外では必ずしも承認申請を目標とせず、実臨床上でのエビデンス構築や臨床ガイドラインへの反映を目的としていることも多い。一方、国内においては、承認申請に耐え得る品質でのエビデンスが求められるため、海外の研究者主導臨床研究に参加する場合、追加のデータ収集が必要となることもある。たとえ海外で承認申請を目標とした研究者主導の臨床研究であっても、国内外で承認申請に必要となるデータ要件が異なる場合があり得る。さらに、欧州や米国で実施される臨床研究に日本が参加するにあたり、日本とスポンサー間で締結する契約には、欧州内・米国内とは異なるフォーマットが必要となる等、スポンサー側に追加のリソースが必要となり、日本が国際共同試験に参加する上での障壁となっている。また、米国では施設間で構築されたネットワーク、欧州では各国の研究グループ間で構築されたネットワークを基盤として新規医薬品の開発が進められている。一方、日本では、例えば小児がん領域においては新規医薬品開発に特化した施設間ネットワークの構築が十分ではなく、欧米で実施されている国際共同試験に日本の施設が参加する場合、個別の施設ごとに契約が必要となることも多い。資金面でも、日本の施設が国

[30] https://erdera.org/

際共同試験に参加するためには個別の試験ごとに競争的公的資金の獲得が必要となり、その手続きに時間を要するため、試験の参加が遅れる、あるいは参加できない可能性がある。

このような課題を解決するためには、国内で速やかに国際共同試験に参加できるよう、Academic Research Organization（ARO）機能やファンディング機能を伴った恒常的なネットワークを構築する必要があろう。 ARO 機能を有することにより、国内外の臨床試験における実施方法の違いに関するノウハウや、薬事規制当局との調整経験を蓄積していくことができる。また、ARO 機能を有する恒常的なネットワークとして組織化されれば、契約等の集約化ができる可能性もある。成人領域の例ではあるものの、国立がん研究センター中央病院が主導しているアジア地域の多施設共同臨床研究組織である ATLAS プロジェクト[31]では、各国の臨床試験関連規制、薬事、保険制度等のノウハウを蓄積するとともに、企業と各国・各医療機関の契約の取りまとめ窓口の役割を担い、国際共同試験を行う上で必要な調整・実務を一括して行うことが可能となっている。さらに、ARO 機能を備えた恒常的ネットワークの形態をとることで、課題ごとにプロジェクトを立ち上げる組織形態では不可能な、外部資金獲得のためのノウハウ蓄積や戦略立案も可能となり、独自のファンディング機能を補うための選択肢を増やすことができる。なお、海外での臨床試験実施状況は多様であり、臨床試験のスポンサーの在り方一つを取り上げても、米国の SWOG Cancer Research Network[32]のように法人格を有さない研究組織がスポンサーとなっているケースもある。具体的には、①FDA の規制下では臨床試験のスポンサーが必ずしも法人である必要はなく、治験開始、FDA への IND（Investigational New Drug）や IDE（Investigational Device Exemptions）の申請、FDA とのコミュニケーション等を担っている、②契約や補償に関する条項を含む文書は研究組織と関連のある非営利法人を通して行い、製薬企業とも非営利法人及び非法人の研究組織という形で対応されている等といったケースもある。日本において全く同じ対応ができないとしても、ARO 機能を備えた恒常的ネットワークを構築することでノウハウを蓄積し、このような海外の多様な臨床試験体制の実態を踏まえた解決策の提案や実装に繋がる可能性もある。

4） 小児用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

EU には、疾患別臨床研究ネットワークや各国の臨床試験ネットワークを横断的・一元的に機能させる汎欧州小児臨床試験ネットワーク Connect 4 Children Stichting[33]がある。このネットワークでは、企業治験、アカデミア主導の臨床試験の双方に対し、事務局がワンストップショップとして機能し、欧州の数百名の専門家が助言する体制が整備されている。開発の入り口から出口までを支援し、臨床試験の実施、進捗管理、教育等も行っており、世界的にも最も機能している小児臨床試験実施ネットワークである。2024 年からは NPO 化されたが、それ以前の 7 年間は年間数億円規模の半官・半民の財源で構築されたネットワークである。また、米国 NIH の National Institute of Child Health and Human Development（NICHD）の支援で構築された適応外薬の適応拡大のための臨床試験実施ネットワーク Pediatric Trials Network (PTN)[34]には、公費によりデータセンター・コーディネーティングセンターが整備されているとのことで

---

[31] https://atlas.ncc.go.jp/

[32] https://www.swog.org/

[33] https://conect4children.eu/#services%20_blank

[34] https://pediatrictrials.org/

ある。また、NIH の National Center for Advancing Translational Sciences（NCAT）の支援により Rare Diseases Clinical Research Network (RDCRN)[35]が、複数の希少疾患を対象とした多施設臨床研究、データマネジメント・コーディネーティングセンターによる標準化、患者団体との連携等を通じて、レジストリの整備や小児希少難治性疾患における臨床試験の基盤強化に大きく貢献してきた。小児がん領域では、国際的には前述の ITCC があり、それ以外にも各国・地域に臨床試験ネットワークが存在している。これらのネットワークが公費で整備されている背景として、企業治験や公費で行われた臨床試験で臨床試験体制が整備されても、試験終了とともにインフラも消滅してしまうことが問題視されたからであると聞いている。

一方、日本では、厚生労働省の補助により小児治験の実施ネットワークである小児治験ネットワーク [36] が 2010 年に設立され、2025 年 8 月時点で 55 施設が参加し、そのうち 38 施設では中央倫理審査委員会による審議が可能である。また、2017 年度から 2019 年度に AMED 研究事業として開始された日本小児科学会の小児医薬品開発ネットワーク [37]は、2020 年度以降、厚生労働省の補助金による支援を受け、日本小児科学会関係分科会の専門家や小児治験ネットワークと連携し、製薬企業の計画・実施する治験に対して専門的見地から助言する体制を確立している。

小児がん領域では、ゲノム医療提供体制を有する小児がん拠点病院や連携病院等のうち 5 施設を中心として、小児がんに対する新規医薬品の早期開発に特化したネットワーク構築が進んでいる。2023 年には国立がん研究センター中央病院内に「小児がん治療開発コンソーシアム（仮）」の調整事務局が設置された。ネットワークとなる施設の質を担保するため、医薬品開発に携わる人材育成、トレーニングの実施、治験・臨床試験実施施設への再発・難治小児がん患者の集約化等、基盤強化に必要な取組が行われている。また、国際共同治験や海外のベンチャー企業による日本での医薬品開発を呼びこみ、国内企業の医薬品開発においても連携強化ができるようなネットワークを構築するために、ネットワークの体制整備を進めている。

これらのネットワークの体制を一層強化し、国内における小児領域の医薬品開発をより進めやすい環境を整備する必要がある。2025 年 2 月 26 日に開催した厚生科学審議会臨床研究部会において中村秀文が参考人として説明したように [38]、小児希少難治性疾患や小児がんはいずれも症例数が少なく、その開発にはオールジャパン体制での取組と国際連携が不可欠である。特に、7000 を超えるとされている希少難治性疾患（そのうち 3 分の 2 は 2 歳未満で発症）においては、少数の医療機関ですべての疾患に対応することは困難であり、開発の中心となる医療機関は疾患によって異なる可能性が高い。そのため、共通して必要となる方法論の助言・支援や共通基盤としての連携体制等について、フレキシブルに対応できる支援体制を構築する必要がある。しかし、現在の臨床研究中核病院に必ずしもそのような小児に特化した開発のノウハウが十分にあるとは言い難く、これらノウハウを持つナショナルセンターや小児医療施設等、小児難治性疾患開発のコアとなるべき医療機関にも体制整備を進め、それらが臨床研究中核病

---

35 https://ncats.nih.gov/research/research-activities/rdcrn

36 https://pctn-portal.ctdms.ncchd.go.jp/

37 小児医薬品開発ネットワーク支援事業（厚生労働省医政局　医療施設運営費等補助金及び中毒情報基盤整備事業費補助金）. https://www.jpeds.or.jp/modules/activity/index.php?content_id=348

38 第 40 回厚生科学審議会臨床研究部会. https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_52767.html

院や既存のネットワークと連携して開発を推進できる仕組みを構築すべきである。

日本では、小児希少難治性疾患の拠点となる病院が各地にあるものの、近隣の医療機関との連携は限定的であり、医療機関との物理的距離が問題となるケースもある。また、医療機関内においても十分な診療連携が不足している、医療や医療連携等の質に地域差がある等の患者団体からの指摘もある。また、臨床試験への組み入れが可能な患者数は多いが、臨床試験を実施するための体制が十分ではない、あるいは臨床試験に関する情報が十分に届いていない医療機関が少なからず存在しているという指摘もある。臨床試験情報の共有体制を強化し、DCT（Decentralized Clinical Trial、分散型治験）や遠隔医療連携等も活用し、患者かかりつけ医や地域拠点病院と「コアとなる医療機関」との柔軟な連携体制も構築する必要があろう。なお、これらの課題は小児領域に限らず、成人の希少難治性疾患でも同様である。疾患群ごとには、厚労省難治性疾患政策研究事業等による研究者のネットワークが存在し、また AMED の競争的資金等によって臨床開発体制も形成されている。しかし、疾患横断的な開発ノウハウの共有については、臨床研究中核病院やナショナルセンターとの連携も含め、積極的に進める必要がある。

米国では、希少疾患の患者団体が共同で活動する連合団体である National Organization for Rare Disorders（NORD）[39]が組織されており、産官学患の連携を推進するとともに、開発のノウハウの共有や小児難治性疾患のレジストリの充実にも大きく貢献している。一方、国内にも希少難治性疾患の患者団体は多数あるが、臨床試験実施体制との連携や、それに伴うノウハウの蓄積への寄与は限定的である。日本では NORD のような団体を新たに立ち上げることが難しい可能性があるため、行政等が公的にがん類似の中核病院・拠点医療機関等の連携体制を整備するとともに、それらと患者及び患者団体との連携強化を支援し、更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を整えることができると考える。医療連携及び医療と患者の連携が進み、レジストリが整備されることにより小児難治性疾患における医薬品開発実施の可能性も高まると考える。

本提言案に対するパブリックコメントでは、日本においては研究者単位・プロジェクト単位でデータを保有する傾向が強く、データ共有に慎重な風土が残っており、標準化された枠組みのもとで安心してデータを共有し、その対価として研究支援や解析支援を受けることが可能となる仕組みを拡充していく重要性があるとの指摘があった。また、臨床研究を推進するための人的資源や研究支援体制が依然として十分とは言えず、臨床研究を継続的に支える財政的・組織的基盤も整備されていないことから、試験ごとの資金調達や人件費の確保が困難であるとの意見も寄せられた。

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

超希少難治性疾患では、1 医療機関あたり 1 症例のみという事例も多いと想定される。従来のように、事前に各施設と個別契約を結んだ上で実施する治験・製造販売後臨床試験の形式では、契約施設数が増加し、企業及び医療機関の双方に大きな負担がかかる可能性がある。このため、例えば中央倫理審査方式を導入し、ネットワーク単位で臨床試験実施契約を締結した上で、症例が把握され次第、該当患者の治療を担当する医療機関で試験を実施可能とするような、新しい枠組みも検討すべきであろう。特に、小児希少がん等のように迅速な試験開始が求められる領域では、このようなより柔軟性の高い実施体制の整備が今後必須である。

---

[39] https://nordsummit.org/

6） 患者参画

多くの製品開発では、ユーザーのニーズを把握した上で、ニーズに即した開発が進めることが一般的である。一方、医薬品開発においては、本邦では開発計画段階から承認審査、医薬品のライフサイクルを通して、ユーザーである患者のニーズが十分に把握されないことも多いのが現状である。欧米では、企業が医薬品開発を進める際に患者ニーズを聴取する仕組みが整っており、また医薬品の承認審査に係る議論を行う会合に患者やその家族が参加している環境にあるが、日本ではこのような環境は十分に整備されていない。医療の中心は患者であり、医療従事者、アカデミア、製薬企業及び行政機関は患者を支援する立場にあるという考え方が重要であり、日本においても欧米のような環境を速やかに整えるべきである。前述のとおり、米国には希少疾患の患者団体が共同で活動する連合団体 NORD が組織されており、FDA は NORD と守秘義務契約を結んだ上で、患者の意見を訊く場を設けているとのことである。国内にも希少難治性疾患の患者団体は多数存在するものの、NORD のような希少疾患横断的な研究参画、研究支援はほとんど行われていない。したがって、行政等が公的に患者団体の連携を支援し、アカデミア、企業、規制当局等の希少疾病用医薬品開発に関わる全てのステークホルダーが継続的に対話する環境を創出する必要がある。産官学患連携が強化されれば、開発に関するノウハウや知見も共有されるものと考えられる。欧米で試みられているように、患者データやニーズを倫理面に配慮して共有していく取組が重要であると考えられる。

国内においても、がん領域等を中心に患者参画を進めるべく、教育資材の開発、提供等が進められているが、小児を対象としたものは少ない。学校教育においても医薬品に関する教育等が実施されている状況ではあるが、教育の担い手が不足しており、指導する教員側に疾患や医薬品に関する十分な知識がないといった課題もあり、指導する側への研修も重要であるとの患者団体からの指摘がある。海外では、小児による治験同意説明文書のレビュー等が実施されている国もあり、こうした先行事例を参考に、日本においても小児患者やその家族を交えた医薬品開発等が進められるよう、関係者が尽力すべきである。

また、製薬企業に関する各種ガイドラインや企業行動規範は、患者・医療現場との建設的な協働を抑制している側面があるとの指摘がある。このような日本の状況を改善し、患者団体と製薬企業の透明性を確保した積極的かつ適切な連携を促進するためには、規制当局や行政機関が、協力可能な内容や禁止される行為を具体的に示し、周知することが期待される。

4.3）にも示したように、患者参画のためには環境整備が必須であり、伴走した支援が行われ、段階的な教育・対話支援・ファシリテーション体制整備と人材育成が行われることが必要である。

7） 欧米のオーファン指定品目リストの公表

本邦の希少疾病用医薬品指定品目については、国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所のホームページにて情報が公開されている。しかし、欧米における希少疾病用医薬品の指定状況については、各規制当局のホームページ等を個別に検索する必要があり、どの製品がどこで希少疾病用医薬品に指定されているかを把握することは容易ではない。疾患分布には国・地域による違いが見られるものの、一国で希少難治性疾患に該当する疾病は、他国でも同様に希少難治性疾患とされる場合が多い。希少難治性疾患では症例数が極めて限られているため、臨床試験の実施は困難性が高く、国・地域を超えた協力が必要

である。したがって、欧米における希少疾病用医薬品の指定状況[40,41]を一覧できるようなリストが公表されれば、指定された医薬品の開発に際して各国が協力体制を構築する上でも大いに資することができると考える。

8) リスクシェアリング、ヘルスリテラシーの向上

小児用医薬品については、先天代謝異常疾患に代表されるように希少難治性疾患に該当する疾病も少なくない。現状においてアンメットメディカルニーズとなっている領域では、特に患者数は限られてくることであろう。このような疾患領域では、臨床試験を実施したとしても統計学的な検証が困難な場合が多い。疾患によっては、国内の患者数が一桁の疾患もあり、このような領域においては、患者におけるごく限られた使用経験による臨床試験成績や非臨床試験の結果を基に薬効評価を行い、承認審査を実施しなくてはならない。数百、数千例を登録して臨床試験を実施した医薬品に比べると得られる情報は極めて限られるため、製造販売後に新たな副作用が発現する可能性はより高くなるであろう。このような領域の医薬品開発を円滑に進めるためには、医師の適切な説明を受け、何がどこまで分かっているのか、分かっていないのかを患者やその家族が十分理解し、そのリスクを正しく理解し納得した上で、使用の是非を判断できる環境を整備することが重要となろう。そのためには、患者やその家族が当該医薬品について正しく理解できるよう、ヘルスリテラシーの向上も併せて進めていく必要がある。患者団体からは、国・専門家・関係団体による透明で分かりやすい情報発信が必要であり、現状の課題と具体的アクションプランを、当事者家族にも理解できる形で発信し、情報の非対称性を是正し、社会全体で小児の治療開発を支える環境を醸成すべきであると指摘されている。1.1）にも示したようにパブリックコメントでは、jRCT の内容は患者にとって非常に理解し難いこと等も指摘されており、小児希少難治性疾患治療薬の臨床試験に関する分かりやすい情報の公開や、治験参加希望者を登録・支援するシステムがあれば、症例の集積が進みやすくなるとの意見も寄せられた。既存の枠組み等も活用しつつ、小児用医薬品に関わる者がヘルスリテラシー向上と情報公開の活動に積極的に貢献していくことが重要となろう。なお、ヘルスリテラシーは医薬品に関する知識のみならず、疾患理解・生活管理能力を含む包括的な概念であり、これらすべての向上が必要と考えられる。

9) 海外企業へのアウトリーチ活動について

2014 年 3 月 10 日、EMA において EMA/FDA/MHLW-PMDA Orphan Product Designation Workshop が開催され、日本からは厚生労働省、PMDA 及び医薬基盤研究所が参加した。当該会合では、まず各国の希少難治性疾患用医薬品に関する薬事規制の情報共有が行われ、その後、各国規制当局担当者による事前に申し込みのあった企業との個別面談が実施された。企業は自社が開発を予定している品目の詳細を提示した上で、必要な手続きや得られるインセンティブ等について各国規制当局者と直接確認することができた。日本の担当者が対応した企業の中には、本邦の希少難治性疾患用医薬品に関する薬事規制

---

[40] US Food and Drug Administration. Search Orphan Drug Designations and Approvals：
https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/

[41] EU Community Register of Orphan Medicinal Products：
https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg_od_act.htm?sort=a

について十分な知識を有していない企業も多く、規制当局者と直接相談できたことで比較的満足度も高かったと聞いている。このような会合は、希少難治性疾患用医薬品の開発を計画している企業が必要な情報を迅速に得られるのみならず、グローバルな開発を考える一助にもなると考えられ、日本における希少難治性疾患用医薬品開発の促進に繋がるものであり、継続的に実施されることが望まれる。

さらに、小児がん治療薬や小児希少難治性疾患治療薬の早期実用化を図るためには、海外企業へのアウトリーチを強化し、日本の規制、医療提供体制、臨床試験推進体制を的確に周知することが重要である。その一例として、国立がん研究センターでは ACCELERATE を通じた国際共同治験への参加を契機に、試験準備や倫理審査の迅速化、患者集約型の登録促進体制を整備し、短期間で目標数の症例を登録する等、アジアの実施国として国際共同治験の完遂に貢献した事例が報告されている [42]。このような成功例を踏まえ、日本の強みや取組を戦略的に海外企業へ発信することで、国際共同試験への参加機会を拡大することができる。小児がん領域に限らず、国際コンソーシアムの会議で日本の規制当局の取組や日本における開発推進への取組について紹介すると、企業関係者から問い合わせを受けることも多い。最近では PMDA も国際的な受け入れ態勢が変わってきたという評価も聞かれるようになった。PMDA は、2024 年 11 月 1 日にワシントン D.C.事務所を設立し、米国 FDA を含む米国行政機関との現地での薬事規制協力を強化するとともに、規制情報の情報交換を推進している。在米のスタートアップ・ベンチャー企業に対しては、日本の薬事制度の特徴を紹介する無料の薬事一般相談を英語で実施する等の取組を行っている。

また、令和 7 年度に開始された、厚生労働省の「国際共同治験ワンストップ相談窓口事業」ENSEMBLE x J[43]は、PMDA とも連携し、産官学一体となったドラッグラグ・ロス解決のための体制整備を進めている。パイロット的に国立がん研究センターによるがん領域での取組が進んでおり、令和 8 年度以降、小児を含む他の領域にも活動が拡大される予定である。この事業と 4. 4)で紹介した小児医薬品開発ネットワーク等が連携することにより、海外企業に対する市場性評価、開発薬事支援、国内企業とのマッチング、国際共同治験参加支援等を行うことが可能となり、国際連携の強化が進むことが期待される。

これらの取組に加え、今後も規制当局・アカデミアを含む産官学患が連携して国際的な情報発信を行い、海外の治験誘致を促進し、国内における医薬品アクセスの改善を目指すことが重要である。

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

本提言の作成にあたり、日本薬剤師会から以下の意見をいただいている。

「小児がん及び小児希少難治性疾患の治療現場では、既存の成人用製剤等を薬剤師が剤形加工（粉砕、混合、懸濁等）して用いる対応が、調剤実務として深く定着している。このため、仮に国際的に開発され

---

[42] Nakajima M, Arakawa A, Ogawa C. Japan's contribution to an ongoing global pediatric cancer clinical trial: The experience of the National Cancer Center Hospital (NCCH) in Tokyo. EJC Paediatric Oncology. 2024 Jun 3. 100157. https://doi.org/10.1016/j.ejcped.2024.100157

[43] https://www.ncc.go.jp/jp/ncch/division/international_development/ensemblexj/20260115140247.html

た製剤が、散剤での提供を基本とする我が国の小児薬物療法の慣習にそぐわない形状で供給された場合であっても、薬剤師の介入により、個々の患者ニーズに合わせた剤形加工を行うことで、臨床現場における投与の安全担保と至適化が図られる体制を有している。このように、薬剤師の高度な調剤技術は製剤上の物理的制約を機能的に補完し、円滑な薬物治療を支える極めて重要な役割を担うものである。したがって、製造販売企業による剤形加工に資する情報（安定性、流動性、添加剤の影響等）の開示を促進し、薬剤師がその職能を遺憾なく発揮できる環境を整備することが肝要である。加えて、当該領域における更なる高度専門薬剤師の養成に資する取組みを継続していくことが強く望まれる。

一方で、現状として、国際的な製剤の多くは液剤で開発され、瓶単位での交付を前提としているが、これを国内のレセプト請求制度上の慣習に合わせて分割調剤する場合、調剤時における薬剤師の曝露リスクや、溶解調製後の液剤特有の保存性といった安全上の課題が顕在化している。特に、小児がんや小児希少疾患で頻用されるハイリスク薬やハザーダスドラッグでは、臨床現場の実態に即した安全かつ正確な薬物療法を担保するため、瓶単位での払い出しを含めた柔軟な保険請求や収載単位の在り方について、早急に議論がなされるべきである。これにより、医療情報としての正確性を維持しつつ、患者及び医療従事者双方の安全が確保された薬物療法の実現が期待される。」

日本薬剤師会の意見に関連し、海外との保険償還の違いから、新規小児用製剤が発売されても医療機関において採用に至らず、従来の剤形加工による提供が続けられている実態も確認している[44]。薬剤師の職能を活かすための制度や、関係する診療報酬制度の見直しが必要であると考える。

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

本研究は「審査基準提言のための研究」であり、各種インセンティブの在り方についての検討は、本来の中心的な検討課題ではない。しかしながら、本研究の検討の中でも、各種インセンティブの必要性については度々議論が行われた。その中には、アカデミア及び研究者に対するインセンティブ、小児用医薬品開発を行う企業に対するインセンティブ、国内開発推進策等が挙げられた。現状、日本では小児用医薬品開発は義務化されていないため、アカデミアや企業が開発に積極的に取り組むためのインセンティブについては更なる検討が進められる必要がある。また、本研究の検討過程では、小児用医薬品開発の推進は企業にとっても社会的義務であることを明示すべきである、小児疾患領域における医薬品開発に関するガイダンスを EMA や FDA に倣い、行政からより積極的に発出すべきである、といった意見も出された。このような取組が進められることも小児用医薬品開発の推進に寄与するものと考える。

また、新規に小児用医薬品が発売されたとしても、期待される売上げが十分に見込めなければ、次なる小児用医薬品開発の成長ドライバーとはなり得ない。10）で示した日本薬剤師会からの指摘に加え、この点においても小児用医薬品の保険償還について見直しを図るべきであろう。

5. 最後に

小児がん及び小児希少難治性疾患の医薬品を早期に実用化するための新たな審査基準等について、本

---

[44] Saito J, Nakamura H, Yamatani A. Issues on Powder Forms for Oral Solution and Suspension for Pediatric Patients in Japan: A Questionnaire-Based Observational Survey to Pediatric Pharmacists. Ther Innov Regul Sci. 2022;56(2):301-312. doi:10.1007/s43441-021-00361-1

提言としてまとめた。本検討では、審査基準、承認申請データパッケージ、製造販売後の追加データ収集の在り方に加え、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・規制の枠組み等を含めて可能な限り包括的な議論を試みた。本提言の最終案に対しては、関係者の皆様から様々なご意見をいただいている。提言として反映されていないご意見についても、厚生労働省及びＰＭＤＡ等の関係者とは情報共有させていただいたことをここに付記する。

近年、小児がん及び小児希少難治性疾患に対する医薬品の早期実用化に向け、国を挙げた議論が急速に進んでいる。今後、本提言の内容が関係者の取組の参考となり、更なる早期実用化の推進に繋がることを期待する。

6. 謝辞

本研究には、研究分担者、研究協力者をはじめ、多くの皆様にご協力いただいた。厚生労働省医薬局医薬品審査管理課、ＰＭＤＡ小児ワーキンググループ及び関連部門の皆様には検討の場にも参加いただき、日本製薬工業協会の医薬品評価委員会の関連部会・タスクフォース、日本病院薬剤師会等とも適宜意見交換を行った。また、最終提言案については、日本小児科学会薬事委員会及び関連分科会薬事担当委員、日本病院薬剤師会、日本薬剤師会、小児治験ネットワークＣＲＣ部会、日本製薬工業協会の医薬品評価委員会関連部会・タスクフォース、難病のこども支援全国ネットワーク「親の会連絡会」を通して関連患者会にも意見を求めた。

パブコメにてコメント・意見を頂いた、小児がん患者会ネットワークの馬上祐子様、日本小児グリオーマネットワークの大門恭平様、ひだまりたんぽぽの柏木明子様、エンジェルの会の山本紀子様、京都きづ川病院の中川雅生様、大阪母子医療センターの山崎美智子様、東京慈恵会医科大学小児科学講座教授の大石公彦様、九州大学 ARO 次世大医療センターの鈴木麻也様、自治医科大学附属病院臨床研究センターの小児 CRC 部会員の皆様、日本製薬工業協会の関連部会・検討グループの皆様、日本薬剤師会理事の皆様にこの場を借りて深謝いたします。