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、産官学患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、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。

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：
小川千登世（令和６年９月まで）
荒川　歩（令和６年10月以降）
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：
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

以下のように3年で19回全体会議を開催した。

第一回　令和5年8月10日
第二回　令和5年10月3日
第三回　令和5年11月30日
第四回　令和6年1月22日
第五回　令和6年3月18日
第六回　令和6年7月19日
第七回　令和6年9月9日
第八回　令和6年10月21日
第九回　令和6年12月23日
第十回　令和7年3月11日
第十一回 令和7年5月1日
第十二回 令和7年6月5日
第十三回 令和7年7月14日
第十四回 令和7年8月28日
第十五回 令和7年10月3日
第十六回 令和7年10月31日
第十七回 令和7年12月18日
第十八回 令和8年2月9日
第十九回 令和8年2月27日

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、本研究で検討するべき課題の洗い出しを行った。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、確定した項目ごとに、提言案をまとめる作業を進めた。令和7年度にはさらに追加の情報収集を踏まえて詳細についての検討・加筆を行い、日本薬剤師会、日本製薬工業協会の関係者、日本薬剤学会小児製剤フォーカスグループの関係者、ＰＭＤＡ関係者等と意見交換を行い、提言案を作成した。

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

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。

中村と河合は海外視察については、以下で情報収集・意見交換を行いその内容を提言に反映した。

令和6年1月13日－21日

- IRDiRC, EJP-RD and ERDERA （パリ）世界及び欧州の希少難治性疾患医薬品開発に関連するネットワーク、コンソーシアム
- C4C portfolio team （ナイメーヘン）汎欧州小児医薬品開発ネットワークのポートフォリオ（企画）チーム
- C4C advice team（ネイメーヘン）汎欧州小児医薬品開発ネットワークのアドバイスチーム
- National Hubs（ナイメーヘン）オランダ小児医薬品開発ネットワークの本部
- European Rare Disease Research Coordination and Support Action（アム

ステルダム）欧州の希少難治性疾患ネットワークの研究調整・支援機構

・ European Medicines Agency（アムステルダム）欧州医薬品庁

小児希少疾病の欧州における開発環境・コンソーシアム、研究開発体制、方法論、規制の検討等に関して、意見交換・情報交換を行った。提言に盛り込むべき項目、産学において必要な体制整備などについて整理した。

令和7年1月6日-16日

・ i-ACT for Children意見情報交換（ワシントンDC、アメリカ）
FDA（米国医薬品庁）小児及び希少疾病チームとの意見情報交換（メリーランド州ホワイトオーク、アメリカ）

・ PMDA（医薬品医療機器総合機構）ワシントンDC事務所（ワシントンDC、アメリカ）
米国国立衛生研究所（NIH）国立小児保健発達研究所（NICHD）（メリーランド州ベテスダ、アメリカ）

小児希少疾病の米国における開発環境・方法論・規制等に関して、意見情報交換を行った。提言に盛り込むべき項目、産学において必要な体制整備について整理した。また、令和6年12月に新たにワシントンDCに開設されたPMDAの事務所のメンバーと情報共有し、今後の米国との連携強化の在り方についての意見交換も行った。

令和7年10月18日-23日

・ NORD Rare Diseases&Orphan products Breakthrough Summit（米国希少疾病の患者団体を取りまとめる団体による年一回の会議）（ワシントンDCアメリカ）

NORDの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。

また荒川は各年度ACCELERATE Paediatric Oncology Conferenceアクセレレイト小児腫瘍カンファレンスに参加し、収集した海外の開発動向や開発ラグ解消に向けた各国の取組、国際共同試験推進に関する情報および意見交換を踏まえ、審査基準提言の参考情報とするとともにその進捗情報を関係者と共有した。

これら視察内容は、海外を参考とした国内の体制整備や国際連携の推進に重要であり、提言に反映した。

令和7年12月に確定した提言案に対して、令和8年1月から3月にかけて広く関係団体からパブコメを募集し、その内容を第十八回及び第十九回班会議での議論を踏まえて、可能な限り提言に盛り込んだ。またパブコメで頂いた意見はすべて研究参加者、厚労省、PMDAの関係者と共有された。

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.

3) 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.

4) Tomizawa D. Japan's Involve

ment 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.

5) 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.

6) 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.

G．知的財産権の出願・登録状況(予定を含む

該当なし