

③ドラッグラグ・ドラッグロス対策の進捗と現在の課題

国立がん研究センター中央病院小児腫瘍科
小川 千登世

第11回小児がん中央機関アドバイザリーボード会議 2025/3/4

開発促進への行政での動きのまとめ

- 「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」

https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-iyaku_128701_00006.html

での議論、報告書を経て各種通知発出

- PMDAに「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」設置

<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0073.pdf>

- 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」(2024/7/5)にて、国主導の開発要請スキーム(資料7)新設 [mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000198856_00033.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000198856_00033.html)

- 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」班(中村班)設置

「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

3. 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

(4) 検討会後の対応状況

検討会の議論を踏まえ、次の通知を発出した。

- ・「**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**」（令和6年1月12日医薬薬審発 0112 第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）
- ・「**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**」の一部改正について（令和6年3月29日医薬薬審発0329第1号厚生労働省 医薬局医薬品審査管理課長通知）
- ・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作成についての質疑応答集（Q&A）について（令和6年3月29日厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡）

また、令和6年度予算事業により**小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター**をPMDA内に設置し、小児用医薬品の開発に関する相談体制を強化する予定。開発優先度の明確化や、小児剤形の利用促進策について、検討会での議論も踏まえ、引き続き検討を進めていく。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf> 3

希少疾病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 (医薬薬審発1023第3号)(課長通知:令和6年10月23日) 青字は小川着色

2. 日本人患者を対象とした臨床試験成績なしに承認申請を行うことが可能な場合について

(1) 次の①～③のいずれにも該当する場合、日本人患者を対象とした臨床試験成績がなくとも承認申請を行うことが可能である場合がある。ただし、必ずしもこれらに限られるものではない。

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場合(中間解析において主たる評価が可能な場合は、当該中間解析が完了している場合を含む)

ただし、海外で臨床試験ではなく症例報告やリアルワールドエビデンス等に基づいて既に承認されている医薬品の場合は、海外で臨床試験が完了している必要はない。

②極めて患者数が少ないこと等により、追加の臨床試験を新たに実施することが困難な場合

なお、臨床試験の実施の困難性は、必ずしも患者数のみによって判断されるものではなく、重篤性等の適応疾患の特性、アンメットメディカルニーズの高さ等に基づいて総合的に判断する。例えば、致死的な疾患や、急速かつ不可逆的な進行性の疾患等では、追加の臨床試験を実施しないことによる不確実性を考慮してもなお追加の臨床試験を実施することにより承認までに時間を要する場合の患者の不利益が大きいことから、必ずしも患者数によらず臨床試験の実施が困難と判断される場合がある。

③得られている有効性・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場合

(2)ただし、医薬品の特性、類薬の状況等から、外国人と日本人との間で臨床的に意義のある民族差があることが具体的に示唆され、安全性や用量の適切性について追加の情報が必要と判断される場合には、日本人における臨床試験(臨床薬理試験を含む)が必要と判断される場合がある。

<https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T24102410020.pdf> 4

「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 (医薬薬審発1023第2号)(課長通知:令和6年10月23日)

改正による対象品目への
追記部分のみ抜粋

1. 対象品目

また、欧米等において、条件付き承認制度に準じる制度により承認を受けており、承認後に検証的試験(異なる治療ラインの場合を含む。)の実施が予定されている品目については、積極的に本制度の活用を検討するものであること。

③ 検証的臨床試験の実施が困難であるか、実施可能であっても患者数が少ないこと等により実施に相当の期間を要すると判断されること

なお、本要件への該当性は、日本人を対象とした追加データが必要となる場合にも検討対象となる。また、致死的な疾患や、急速かつ不可逆的に進行する疾患等において、日本人における有効性及び安全性が検証されていない不確実性を考慮してもなお臨床試験の実施により医薬品の承認に相当な時間を要することの患者への不利益の程度が大きい場合も本要件に該当する。

<https://www.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T241024I0010.pdf>

小川私見:

対象疾患にもよるが、欧米で迅速承認された薬剤は、日本人における有効性及び安全性が検証されていない不確実性を考慮してもなお臨床試験の実施により医薬品の承認に相当な時間を要することの患者への不利益の程度が大きい場合、検証的臨床試験以外の臨床試験の試験成績その他の情報(検証的臨床試験以外の臨床試験の試験成績等)により、一定の有効性、安全性が示されると判断される場合であれば、条件を付与した形で承認を与えることも?

患者さんにも医療者にも一定の覚悟が必要か?

5

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」(中村班)

研究全体の目的:

- これまでに小児がん・小児希少難病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等の評価、類型化を行い、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
- 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・規制の枠組み等も含めて包括的な提言を作成する

使用経験のみを目的とするような2-3例を集めるだけの臨床試験は実施しない

エビデンス構築の基本的な方針（研究班*にて検討中の案）

評価資料としての治験データが重要であることは議論の余地がないため、推奨されるエビデンス構築方針は以下の順

A：国際共同治験に参加（評価資料に国内小児例あり）

A'：国際共同治験に参加（評価資料に国内小児登録なし）

結果として国内小児の登録がなかった場合、MS・少なくともPPK解析による確認、
その他Cのデータによる補完

B1：国内単独治験実施-成人と同時の試験（小児例あり）

成人のみで開始した治験の変更届による小児への拡張（適格規準の拡大、用法・用量の追加）を含む

B1'：国内単独治験実施-成人と同時の試験（小児登録なし）

結果として小児の登録がなかった場合、MS・少なくともPPK解析による確認、
その他Cのデータによる補完

B2：国内単独治験実施-主に小児の試験

C：治験の実施が困難な場合、治験以外のデータで補完

- 公知申請
- 先進医療・患者申出療養・その他の特定臨床研究
- 非介入研究データを根拠とした承認（レジストリ・DB・厳密に計画して実施するカルテ調べ）

いずれの場合も
国内小児例の情報が少なく、
結果として該当例が
登録されない場合もあるため、
全てのケースでCのデータの
併用を念頭に置いて計画

※下に行くほど
必要度は高い

*「小児がんおよび小児希少難治性疾患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」班⁷

既にラグが生じている小児がん特有の医薬品への対応（提案）

（研究班**にて検討中）

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

- 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
（*欧米等：米・英・独・仏・加・豪6か国）
- 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*のいずれかにて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

**「小児がんおよび小児希少難治性疾患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」班⁸

現在の課題

発出された各種通知等に基づき社会全体が協力して必要な医薬品を必要な患者さんに迅速に届けられるようにすること

たとえば、海外で小児がんに対して薬事承認されている医薬品が国内で臨床試験を実施することが困難である等の理由により「条件付き承認」となる可能性がある場合

- どのような条件であれば受け入れ可能か
- 必要な情報を収集するためにどのような協力が可能か

以下参考資料

開発促進への行政での動き

➤ 「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」

https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-iyaku_128701_00006.html

での議論、報告書を経て各種通知発出

➤ PMDAに「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」設置

<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0073.pdf>

➤ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」(2024/7/5)にて、国主導の開発要請スキーム(資料7)新設 [mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000198856_00033.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi2/0000198856_00033.html)

➤ 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」(中村班)設置

11

検討事項の概要

「第1回 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」資料1

開発促進

■ 希少疾病用医薬品の指定のあり方

- 日本の希少疾病用医薬品の指定時期が欧米よりも遅く、指定数が少ない現状を踏まえ、開発の早期段階で広範に指定できるよう、運用の見直しを検討

■ 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

- 製薬企業に小児用医薬品の開発を促すため、成人用を開発する段階で、製薬企業に小児用医薬品の開発計画の策定を促すための方策を検討

臨床試験

■ 我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理

- 海外で早期の臨床試験が実施された薬剤について、第3相試験等の国際共同治験の段階から日本が参加する場合における日本人の安全性の確認の考え方を整理（第1相試験の要否を含む。）
- 希少疾患等に用いる薬剤であって、外国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薬事承認の考え方を整理

■ 治験の更なる効率化（エコシステム）の導入

- 日本での治験実施が高コストである現状を踏まえ、GCPの観点から更なる効率化に寄与する運用の見直しを検討

市販後安全対策

■ 製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方

- 新薬の製造販売後に行われる安全性監視活動として、多くの場合、使用成績調査（全例調査を含む。）が行われているが、製薬企業の実施負担が大きいとの指摘も踏まえ、製造販売後の情報収集のあり方について検討

■ 薬事制度におけるリアルワールドデータの活用のあり方

- リアルワールドデータの利活用に向けた環境整備が進みつつある現状を踏まえ、その薬事制度における活用のあり方について検討

品質

■ 医薬品の製造方法に係る薬事審査等のあり方

- 医薬品の承認書における製造方法の記載や変更管理のあり方について、国際整合性も考慮しつつ検討

情報発信

■ 我が国の薬事制度に関する海外への情報発信

- 海外ベンチャー企業が日本での開発を行わない背景の一つとして、日本の薬事制度に関する理解不足や誤解がある背景を踏まえ、海外への情報発信のあり方について検討

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001118997.pdf>¹²

「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

3. 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

(1) 背景

小児用医薬品の開発は、日本だけでなく国際的にも、市場規模が小さいことや治験実施の困難さ（症例集積性、コスト）等の理由から、一般的に開発が進みにくいことが指摘されている。近年拡大が懸念されている「ドラッグ・ロス」の問題においても、特に、希少疾病用とともに、小児用のドラッグ・ロスが課題となっている。これまで、我が国では、特定用途医薬品指定制度の創設、再審査期間の運用見直し等（小児に対応した治験環境の整備や薬価上の措置を含む。）の対応を進めてきたが、更なる取組による小児用医薬品の開発促進が求められている。

欧米では、その対策の一つとして、成人の医薬品開発時に小児用医薬品の開発計画策定を義務づける等の取組を行っている。欧米の制度を参考にしつつ、我が国の状況も踏まえながら、小児用医薬品開発を成人用と同時に進めるための仕組みや、その実効性を高めるための対応を検討した。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>

13

「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

3. 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

(2) 検討会における議論

検討会では、従来行われていた小児用医薬品の開発を促進するための施策として、特定用途医薬品指定制度（図3、4）や、再審査期間の運用（図5）について紹介された。このほか資料3に基づいて議論が行われた。

また、参考人として出席した令和4年度厚生労働科学特別研究「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」の研究代表者（東京理科大学薬学部薬学科・鹿野真弓教授）から、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に資する調査研究の結果（海外制度の調査や国内関係者へのアンケート調査の結果）について報告された⁴。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>

14

特定用途医薬品指定制度

「第2回 創業力の強化・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」資料3

令和元年の薬機法改正に伴い新設（薬機法第77条の2第3項。令和2年9月施行）

特定用途医薬品の考え方

- 制度の対象となる要件
 - ・ 当該用途に係る医薬品に対する需要が著しく充足されていないもの。
 - ・ 製造販売承認されれば、その用途に関し、特に優れた使用価値を有するもの。
- ・ 特定用途医薬品指定制度は、医療上のニーズが著しく充足されていない用途の医薬品に注目した承認制度
- ・ 「需要が著しく充足されていない用途」を省令で指定し、その領域の医薬品について研究開発を促進

➡ 省令で以下の用途を指定

- ① 小児用
- ② 薬剤耐性菌（AMR）用

特定用途医薬品の運用

- ・ 薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定
 - － 医療上の必要性に基づき判断
- ・ **優先審査の対象**
- ・ **4年以上6年未満の再審査期間の付与**
- ・ **その用途の対象者が5万人未満の医薬品の開発については、研究開発費の助成と税制優遇の対象**

対象に想定される医薬品のイメージ

○含む	×含まない
・ 患者数が多い医薬品の小児用法・用量の追加 ・ 既存の医薬品の剤形の追加で特に必要なもの	・ 新薬開発における小児用法・用量の検討 ・ 希少疾病用医薬品の対象となり得るもの（対象とする必要がない）

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001131778.pdf>

特定用途医薬品等指定制度（小児用医薬品の指定要件）

「第2回 創業力の強化・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」資料3

小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とする医薬品の場合

1. 開発対象・対象疾患

対象とする用途に関して以下のいずれかの開発を行うものであること

- ① 用法又は用量の変更
- ② 剤形の追加

2. 対象とする用途への需要の充足性が著しく充足していないこと

以下のいずれかに該当するものであること

- ① 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの（既存の治療法、予防法又は診断法が医薬品を用いるもののみの場合であって、治療法、予防法又は診断法に用いる医薬品として対象とする小児に対する用法及び用量が設定された医薬品がない場合を含む）
- ② 小児にとっての有効性、安全性若しくは肉体的・精神的な患者又は介護者負担の観点から、既存の治療法等より医療上の有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの

3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること

以下の①及び②の両方を満たすものであること

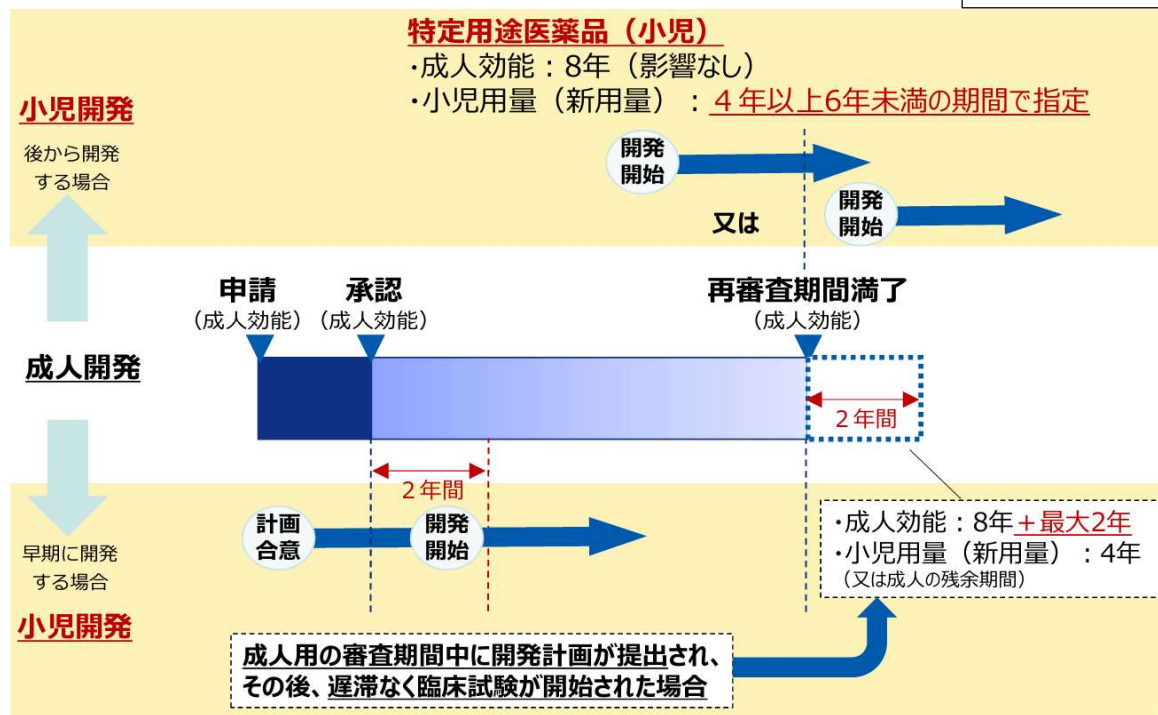
- ① 適応疾患が重篤である、又は重篤な疾患に対して支持的に用いるもの
- ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

出典：「特定用途医薬品の指定に関する取扱いについて」（令和2年8月31日薬生薬審発0831第5号）

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001131778.pdf>

小児用医薬品にかかる再審査期間の運用

「第2回 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」資料3



<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001131778.pdf>

17

(3) 対応の方向性

「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」報告書より抜粋。青字は小川着色。

欧米同様に小児用医薬品の開発を義務付けるべきではないかという意見がある一方、義務化することで成人を含めて我が国での医薬品開発が滞る可能性も考えられる。義務化されている欧米においても、実際には、免除や猶予の規定があり、その適用を求めて企業と審査当局との間で多くの折衝が行われており、また、小児剤形について同時開発は必ずしも達成できていない、という意見もある。

このため、**新有効成分**、**新効能**の医薬品については、成人用の開発時に、企業判断で小児用の開発計画を策定し、PMDAが確認する仕組みを設ける必要があることとした。この際、必ずしも成人と小児において適応症が同一とは限らず、例えば、がんを対象とした分子標的薬の場合、成人と小児でがんの種類が異なっているとしても、その分子標的または作用機序に共通性があれば、確認の対象となり得るとした。また、企業による開発計画策定を促すインセンティブについても別途検討が必要とした。既承認医薬品については、特定用途医薬品指定制度を引き続き活用しつつ、更なる活用に向けた制度のあり方を検討することとした。

さらに、小児用の**開発の優先度**については、企業の判断によるほか、専門学会等の要望や評価を踏まえ、優先度に関する検討を行い、結果を公表することにより、企業の開発計画に示唆を与え、優先度の高い品目の開発に関して産官学で協力がしやすくなることが期待される。

また、小児用医薬品の開発にはコストを要するものの、成人に比べて市場規模は小さく、コストの回収が困難である。開発コストの低減に資するため、国内で小児の治験を実施することなく承認申請可能なケースを整理し、明確化すべきと考えられた。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>

18

(3) 対応の方向性(続き)

このため、以下のような取組により、小児の治験実施の要否に関する考え方を整理し、明確化すべきとした。

- 国際的に用いられているモデリング&シミュレーション(M&S)の活用や、海外データ、文献情報等により有効性・安全性が説明できる場合を整理し、明確化する。
- 新有効成分や新効能医薬品については、少なくとも 10-12 歳以上の小児においては、一定の条件を満たせば、成人の承認申請時に併せて評価可能な場合があること(「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日厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課事務連絡))を周知する。

上記に関する相談への対応を含め、PMDAに小児用医薬品に特化した相談枠を新設すべきとされた。加えて、企業が小児に特化した剤形を開発した場合でも、対象患者数が少ない等により医療機関や薬局が当該剤形を採用せず、実際の利用が進まないという指摘があることから、小児剤形を利用しやすくなる仕組みを検討すべきこととした。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>

19

「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

3. 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

(4) 検討会後の対応状況

検討会の議論を踏まえ、次の通知を発出した。

- ・ 「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」(令和6年1月12日医薬薬審発 0112 第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知)
- ・ 「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」の一部改正について(令和6年3月29日医薬薬審発0329第1号厚生労働省 医薬局医薬品審査管理課長通知)
- ・ 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作成についての質疑応答集(Q&A)について(令和6年3月29日厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡)

また、令和6年度予算事業により小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターをPMDA内に設置し、小児用医薬品の開発に関する相談体制を強化する予定。開発優先度の明確化や、小児剤形の利用促進策について、検討会での議論も踏まえ、引き続き検討を進めていく。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001248959.pdf>

20

小児用医薬品の開発を促進する仕組みについて

「第1回 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」資料3-2

主な課題

■ 小児用医薬品の開発を促す方策

- 欧米同様に小児用の開発を義務付けるべきではないかという意見がある一方、義務化することで成人を含めて我が国での医薬品開発が滞る可能性も考えられる。
- もともと少ない小児患者に対して、義務づけにより、治験参加者の募集や上市後において、競合による非効率が生じるのではないか。
- 義務化されている欧米においても、実際には、免除や猶予の規定があり、その適用を求めて企業と審査当局との間で多くの折衝が行われており、また、小児剤形について同時開発は必ずしも達成できていない、という意見もある。

対応の方向性（案）

■ 成人と同時に小児用の開発計画策定を促す仕組みの導入

- 新有効成分、新効能の医薬品については、成人用の開発時に、企業判断で小児用の開発計画を策定し、PMDAが確認する仕組みを設けてはどうか。
- 確認された計画について、必要な準備を進めた上で、治験届を提出することとしてはどうか。
- ※ 必ずしも成人と小児において適応症が同一とは限らない。例えば、がんを対象とした分子標的薬の場合、成人と小児でがんの種類が異なっている、その分子標的または作用機序に共通性があれば対象となり得るのではないか。
- ※ 企業による開発計画策定を促すインセンティブについても別途検討
- 既承認医薬品については、特定用途医薬品指定制度を引き続き活用しつつ、更なる活用に向けた制度のあり方を検討することとしてはどうか。

■ 開発優先度の明確化

- 小児用の開発の優先度については、企業の判断によるほか、専門学会等の要望や評価を踏まえ、優先度に関する検討を行い、結果を公表してはどうか。
- これにより、企業の開発計画に示唆を与えたり、優先度の高い品目の開発に関して産官学で協力がしやすくなるのではないか。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001118959.pdf>

6

小児用医薬品の開発を促進する仕組みについて（続）

主な課題

■ 開発コストの低減

- 小児用医薬品の開発にはコストを要するものの、成人に比べて市場規模は小さく、コストの回収が困難。
- 開発コストの低減に資するため、国内で小児の治験を実施することなく承認申請可能なケースを整理し、明確化すべきではないか。

■ 小児剤形の利用促進

- 企業が小児に特化した剤形を開発した場合でも、対象患者が少ないため医療機関や薬局が必ずしも当該剤形を採用せず、実際の利用が進まない、という指摘がある。

対応の方向性（案）

■ 承認申請パッケージの柔軟性

- 以下のような取組により、小児の治験実施の要否に関する考え方を整理し、明確化してはどうか。
 - 国際的に用いられているモデル&シミュレーション（M&S）の活用や、海外データ、文献情報等により有効性・安全性が説明できる場合を整理し、明確化する。
 - 新有効成分や新効能医薬品については、少なくとも10-12歳以上の小児においては、一定の条件を満たせば、成人の承認申請時に併せて評価可能な場合があること（※）を周知する。
- ※令和2年6月30日事務連絡 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
- 上記に関する相談への対応を含め、PMDAに小児用医薬品に特化した相談枠を新設してはどうか

■ 小児剤形の利用促進策

- 例えば、地域において中心的に小児剤形に対応する薬局を設置するなど、小児剤形を利用しやすくなる仕組みを検討してはどうか。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001118959.pdf>

厚生労働省医薬・生活衛生局実施「第1回 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」
資料3-2:「小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方について」より

7

(1) 小児用医薬品のドラッグロス解消に向けた制度的対応

厚生科学審議会
医薬品医療機器制度部会
令和6年6月6日 資料1

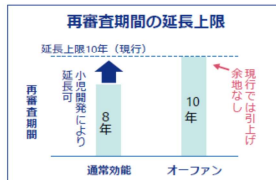
背景・課題

- 小児用医薬品の開発は、国際的に、症例集積性が低く治験実施が困難であることや、開発後の市場規模が小さいこと等から、開発が進みにくいことが指摘されている。
- 欧米では、その対策の一つとして、成人の医薬品開発時に小児用医薬品の開発計画策定を義務付ける等の取組みが行われている。
- これまで、我が国では、特定用途医薬品指定制度の創設、再審査期間の延長等の対応により、小児用医薬品の開発環境の整備に取り組んできた。加えて、「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」における検討の結果を踏まえ、成人用の医薬品の開発時に、任意で、小児用の開発計画を策定し、PMDAの確認を受けられる仕組みを導入した。

検討の方向性（案）

小児用医薬品開発の計画策定の努力義務化

- 成人の医薬品開発時に、小児用医薬品の開発計画を策定することについて、例えば、法令上、努力義務として位置づけるなど、更なる開発促進の規定を設けることについて、どう考えるか。
- 小児用医薬品の開発計画が策定された医薬品の再審査期間について、すでに10年が設定されている場合は延長の余地がない現状を踏まえ、上限を引き上げることとしてはどうか。



特定用途医薬品に係る制度の見直し

- 小児用医薬品等の開発の支援を行う特定用途医薬品指定制度の対象について、用量追加や剤形追加の申請区分のみならず、新有効成分等の申請区分も対象にすることとしてはどうか。
- あわせて、再審査期間についても、現在は効能追加や剤形追加を前提として4年以上6年未満となっていることから、申請区分に応じて再審査期間が設定されるよう見直すこととしてはどうか。

特定用途医薬品の対象申請区分（現行）

- 用法又は用量の変更
 - 剤形の追加
- 新有効成分含有医薬品等は含まれない
 - 薬機法等において、特定用途医薬品の再審査期間は、4年以上6年未満とされている

3

23

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置（令和6年7月1日付）

- 小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために、「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置する。

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター※

※事務局：審査マネジメント部

小児用医薬品 開発計画の策定を企業等に促し、PMDAが確認する対応の促進	希少疾病用医薬品 希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大	医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品 開発の加速化
--	--------------------------------------	---

【相談体制の整備】

小児用医薬品開発計画確認相談

- ✓ 成人を対象とした医薬品の開発期間中に、小児を対象とした医薬品の開発計画を確認するもの。当該確認は薬価上の加算等に繋がる。

希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

- ✓ 開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価するもの。

医薬品申請データパッケージ相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品／医師主導治験による開発品）

- ✓ 主たる治験の試験デザイン等について指導及び助言を行うもの。
- ✓ 承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめ方、資料の十分性等について主たる治験の結果等に基づき指導及び助言を行うもの。

PMDA令和6年7月1日付
プレスリリースより

<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0073.pdf>

24

PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター における業務開始について (相談枠の新設と相談手数料の補助)

PMDA令和6年7月1日付
プレスリリースより
青字は小川着色

今般、小児・希少疾病等の医療上必要な医薬品の開発・導入を促進する観点から、PMDAの既存の体制を強化するとともに、小児・希少疾病等の医薬品の薬事開発上必要な相談環境を整備するため、次の相談を開始します。

- 小児用医薬品開発計画確認相談
- 希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談
- 医薬品申請データパッケージ相談(医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品)
- 医薬品申請データパッケージ相談(医師主導治験による開発品)

また、「令和6年度小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」の一環として、これら相談の相談手数料の一部又は全部を国庫補助により助成します(※)。

こうした取組により、

- 小児用医薬品の開発計画の策定を企業等に促し、PMDAが確認する対応の促進
- 希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大
- 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における開発公募品の開発の加速化

<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0073.pdf>

を図ります。

25

ドラッグロス解消に向けた取組について

第59回 医療上の必要性の高い
未承認薬・適応外薬検討会議
(令和6年7月5日) 資料7

欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品のうち、**国内開発未着手の医薬品86品目について、学会等からの要望を待つことなく、国が能動的に、未承認薬・適応外薬検討会議における医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行う**ことで、未承認薬・適応外薬検討会議における評価、開発要請等の加速化を図る。

学会・患者会等からの
未承認薬・適応外薬の要望

国内開発未着手の医薬品について、国が情報を整理

従来のルート

新規ルート

※厚生労働科学特別研究事業において、医薬品のデータ整理、
関連学会へヒアリング調査、市場性調査、開発の優先順位付け等を実施予定

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議 (医療上の必要性を判断)

企業に対して開発要請

開発企業を公募

【市場性がない場合】

開発企業の公募を行いつつ、アカデミア主導での開発を支援し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し
※実施に当たってはAMEDによる開発支援、
PMDAの薬事戦略相談等も活用

企業による治験の実施等

薬事承認申請

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001273100.pdf>

26