

総括研究報告書

1. 研究開発課題名：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

2. 研究開発代表者： 氏名 国立成育医療研究センター臨床研究開発センター

開発企画主幹 中村秀文

3. 研究開発の成果

小児医薬品の早期実用化を進める際の障害や、国内外における早期実用化の取り組みについての検討を踏まえて、リフレクションペーパー・ガイドライン作成を行った。アカデミアの医師・薬剤師、日本製薬工業協会の関係部会の代表を迎え、また規制当局からも研究協力者もしくはオブザーバーが参加した。

平成 25 年度

研究協力者を選定し、検討内容の詳細を決定した上で、情報収集を開始し、特に新しい取り組み・方法論とそのメリットや限界などについて検討した。

平成 26 年度

具体的な方法論・方策の検討を進め、関連学会・業界との意見聴取・調整などを行い、方法論・方策・ガイドラインなどの案の取りまとめを進めた。

平成 27 年度

2年間の検討を踏まえて、具体的報告や提案をリフレクションペーパー（一部は分担研究開発報告）として最終化し、また残された課題についての取りまとめも行った。

研究開発分担者が作業を取りまとめ、研究協力者は、資料・情報を提供するとともに分担して検討や資料作成などを行った。研究開発代表者は、主な検討の作業と、全リフレクションペーパーの取りまとめに参加した。またこの活動には、関連学会の代表専門委員等も参加した。

中川は、実施可能性のある開発方法論の検討を行い、リフレクションペーパー「本邦における小児医薬品開発推進のための提言」をまとめた。小児医薬品開発のためのインセンティブと義務化、検討と審査の体制改革など、我が国に必要な体制整備について網羅的な提言を行っている。

石川は、最新の知見も踏まえ適切な小児剤形についての検討の取りまとめを行った。成果物は以下：

1) 「小児用製剤開発に向け早期に検討すべき課題と打開策」、2) 分担研究開発報告「小児剤形・用量等の検討」、3) 「EMAによる小児用医薬品の製剤開発に関するガイドライン」(邦訳版)。

矢野は、これまでの研究成果も踏まえて、新しい薬物動態学的手法の小児臨床試験への応用について検討し、「小児領域の医薬品開発におけるファーマコメトリクスの活用」との題で、以下についてまとめた：1) 医薬品開発とファーマコメトリクス、2) 小児臨床試験計画における PK の外挿、3) 小児医薬品開発におけるファーマコメトリクス活用の具体例、4) ファーマコメトリクスに関する現状、5) 今後の課題と展望。

森は、小児におけるバイオ医薬品等の開発の現状について調査し、さらに推進していくための方法論・方策の検討を行った。小児医薬品開発が進んでいる小児リウマチ領域での開発の現状と成功要因等を分析し、他の領域におけるインフラの強化に資するための提言を作成した。

米国及び EU においては、新生児領域における医薬品開発をどう進めていくかにフォーカスが移りつつある。そこで平野は、新生児集中治療を提供する医療施設（総合周産期母子医療センター100施設）の現状調査と、最近行われた薬剤開発、臨床試験などの現状調査を行った上で、新生児領域における医薬品開発推進の方策等について、考察及び提言を行った。

松井は、小児医薬品開発における倫理的配慮についての検討を行い、小児臨床研究の倫理をめぐる世界的議論を踏まえつつ、『小児を対象とする臨床研究において求められる倫理的配慮の原則』を作成し

た。この『原則』は、小児を対象とする臨床研究において求められるべき倫理的配慮の原則的な在り方と考え方（フィロソフィー）について明文化することを目的としており、我が国で初めてとなる小児臨床研究の倫理ガイドラインである。

製薬協からは、尾崎、秋山、佐藤等が参画し、「製薬企業としての小児医薬品開発推進のための方策の検討」を行い、特に1) **FDA Decision Tree** の有用性についてと、2) 小児用医薬品の開発に対する製薬企業のインセンティブについてまとめた。