

薬機審長発第1618号  
薬機RS長発第15号  
令和7年3月21日

(別記) 殿

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  
( 公 印 省 略 )

### 小児用医薬品の開発促進に向けた取組について

近年、欧米で承認された医薬品が日本で開発が行われていない状態（以下「ドラッグ・ロス」という。）の拡大が懸念され、特に小児を対象とした医薬品（以下「小児用医薬品」という。）や希少疾病用医薬品において課題となっています。独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）は、令和6年7月に小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターを設置し、小児用医薬品開発計画確認相談の受付を開始しました。また、PMDAはこれまでもレギュラトリーサイエンスに係る分野横断的な活動として、小児用医薬品開発に関する課題を整理し、成人を対象とした医薬品開発の段階から小児用医薬品の開発を促すための方策等の検討を行ってきたところです。

今般、レギュラトリーサイエンスに係る横断プロジェクト「小児開発状況に係る照会事項対応検討プロジェクトチーム」を中心に検討を行い、小児用医薬品開発促進のための取組の一環として、PMDAが実施する治験相談等において、小児用医薬品の開発計画を含めた医薬品開発計画の全体像を把握した上で必要な助言・指導を行うこととしました。別添のとおり、小児用医薬品の開発に関する基本的な考え方や留意事項等をまとめましたので、貴管内関係業者等に対して周知方御協力お願いいたします。

なお、「薬機法等制度改正に関するとりまとめ」（令和7年1月10日付け厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会）において、より一層小児用医薬品の開発を促進しドラッグ・ロスの解消につなげる必要があるという観点から、成人用の新有効成分又は新効能等の医薬品の承認申請者に対して、小児用医薬品開発の計画策定を努力義務として課すべきとの方針が示されました。今後、小児用医薬品の開発促進に係る制度や運用の見直しが行われ、小児用医薬品の開発に関する

基本的考え方等に変更が生じた場合には、別添で示した基本的考え方や留意事項等も見直す可能性があります。

別 記

日本製薬団体連合会 会長

日本製薬工業協会 会長

米国研究製薬工業協会在日執行委員会 委員長

一般社団法人欧州製薬団体連合会 会長

## 小児用医薬品の開発促進に向けた取組について

## 1. 背景と目的

近年、欧米で承認された医薬品が日本では開発が行われていない状態（以下「ドラッグ・ロス」という。）の拡大が懸念され、小児を対象とした医薬品（以下「小児用医薬品」という。）においても課題となっている。

欧米では小児用医薬品の開発が義務化されており、製薬企業等は、成人を対象とした新有効成分又は新効能等の医薬品の開発早期（米国では第Ⅱ相試験終了後、欧州では第Ⅰ相試験終了後）に小児用医薬品の開発計画案を当局に提出し、成人を対象とした医薬品の承認申請時には、当局と合意した小児用医薬品の開発計画を承認申請資料に含めることが求められている。一方、日本では、現時点で小児用医薬品の開発は規制要件として求められていないため、成人を対象とした医薬品の承認申請までに、成人を対象とした医薬品の効能又は効果に係る小児用医薬品の開発計画を独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）と合意できている例は少ない。また、日本における小児用医薬品の開発計画がPMDAに提示された段階で、海外では小児を対象とした臨床試験が実施済み又は実施中であることも少なくない。

日本における小児用医薬品の開発を海外に遅れることなく進めるためには、PMDAが成人を対象とした医薬品開発のより早期の段階から小児用医薬品の開発を含めた医薬品開発計画の全体像を把握し、必要に応じて、製薬企業等に対して日本での小児用医薬品開発を促すことが重要であると考えている。そのため、PMDAは小児用医薬品開発を促進するための取組の一環として、成人を対象とした医薬品開発に係る治験相談の際に、成人を対象とした医薬品開発の対象となる疾患及び病態において、開発薬剤の小児への使用が想定される場合には、国内外における小児用医薬品の開発状況を積極的に確認し、海外に遅れることなく日本において小児用医薬品の開発が着手されるよう促す取組を行うこととする。また、成人を対象とした医薬品開発に係る治験相談の中で、相談者が希望する場合には、「成人を対象とした医薬品の開発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日付け医薬薬審発0112第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知 令和6年3月29日一部改正、以下「令和6年通知」という。）に基づく小児用医薬品の開発計画の確認を行うこととする。

本文書では、PMDAが考える小児用医薬品の開発に関する基本的考え方や成人を対象とした医薬品の治験相談を行う際の留意事項等を示す。

## 2. 基本的考え方

国内外における小児用医薬品の開発状況を考慮し、小児用医薬品の開発を成人に対する開発から遅れることなく進めるためには、日本においても成人を対象とした医薬品の開発早期の段階から、小児用医薬品の開発を含めた開発計画を策定し、検討を進めることが重要である。成人を対象とした医薬品の開発段階で小児用医薬品の開発計画が策定される欧米の状況を踏まえると、内因性又は外因性民族的要因に明確な差異が確認又は推測されない限り、欧米で小児を対象とした臨床試験が計画される段階で日本から国際共同治験に参加することを前提とした開発計画を策定することが望ましい。また、小児用の剤形の開発が必要な場合には、小児の用法・用量追加のための承認申請に間に合うよう、開発を進めることが適切である。

以上を踏まえ、PMDAは、成人を対象とした医薬品開発に係る治験相談の際に、小児用医薬品の開発状況について積極的に確認し、成人を対象とした医薬品の開発から遅れることなく、日本における小児用医薬品の開発が着手されるよう必要に応じて助言又は指導を行い、相談者に日本での小児用医薬品開発を促す取組を行うこととする。

## 3. 成人を対象とした医薬品開発に係る治験相談を行う場合の留意事項

上記2に示した基本的考え方を踏まえ、成人を対象とした医薬品の第Ⅱ相試験（Proof of Concept 試験）以降の開発に係る治験相談を申し込むに当たり、次の点に留意すること。

- 相談資料中に、相談時点における国内外の小児用医薬品の開発計画の有無等を記載すること（可能な限り「小児用医薬品開発計画確認相談」の実施要綱に定める情報を含めることが望ましい）。また、成人と併せて評価可能な小児も含む開発の場合には、成人と併せて評価する当該小児の開発とは別に、開発の必要性が認められる小児の年齢集団の開発計画の有無等を含む小児用医薬品の開発計画の全体像について記載すること。なお、相談資料に、国内外の小児用医薬品の開発計画の有無等に関する情報が含まれていない場合には、PMDAは、必要に応じて、照会事項において国内外における小児用医薬品の開発計画等を確認することがある。
- 成人を対象とした医薬品開発に係る治験相談で、令和6年通知に基づく、小児用医薬品の開発計画の確認を受けることを希望する場合は、相談事項に「小児用医薬品の開発計画の確認について」を挙げた上で、日本における小児用医薬品の具体的な開発計画等、「小児用医薬品開発計画確認相談」の実施要綱に定める必要な情報及び令和6年通知に基づく小児用医薬品の開発計画の確認を受けることを希望する旨を相談資料中に記載するこ

と。この場合、当該治験相談で行う令和6年通知に基づく開発計画の確認の範囲は、「小児用医薬品開発計画確認相談」の対象とされているものに限る。当該対応を行った場合に限り、PMDAは実施中の成人を対象とした医薬品開発に係る治験相談において、令和6年通知に基づく小児用医薬品の開発計画の確認をする。

#### 4. その他

小児用医薬品の開発に関する試験デザイン等の妥当性や小児を対象とした臨床データパッケージの充足性等についてPMDAに相談を希望する場合は、別途医薬品第Ⅱ相試験終了後相談等の治験相談を利用すること。

#### 5. 参考通知

- 1) 「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日付け医薬薬審発0112第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）
- 2) 「「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日付け医薬薬審発0329第1号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）
- 3) 「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質疑応答集（Q&A）について」（令和6年3月29日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡）

以上