

1. 本研究事業へ申請しようとした理由

- ✓ 小児開発を推進していくにあたり、必要に応じ助言をいただきたいと考えたため
- ✓ 小児臨床試験を実施するにあたり、小児治験ネットワークの活用などサポートを得られると考えたため
- ✓ 計画している臨床試験において患児の組み入れが困難であると予想しており、候補医療機関リストの作成等に支援を要望したため
- ✓ 稀少疾患を対象とした試験で、患者の組み入れが難航していたため
- ✓ 症例登録促進のため
- ✓ 臨床試験計画の客観的な助言
- ✓ 小児適応追加を考えたため、学会より推薦をしていただきたいと考えたため

2. 本研究事業へ申請した感想 (回答数: n=12 (品目))

- 良かった (9 品目 (75%))
- 悪かった (0 品目 (0%))
- どちらともいえない (3 品目 (25%))

<良かった>

- 試験実施候補医療機関リストの作成について支援をいただくことができた (2 件)。
- 試験開始時、研究会において AMED 支援事業であると伝えることで、責任医師等の意識を高めることができた。
- 本研究事業におけるご協力の結果、以前リソース不足のためご協力頂けなかった医療施設に治験に参加していただけることとなった。
- PMDA/MHLW へ提示する候補施設数や試験期間について、学会による客観的な根拠として提示することが可能となった。
- 臨床試験計画に対する現場の先生や CRC の現場レベルの意見を聴取できる機会となった。
- WG の医学専門家の臨時招集、他分野の医学専門家を同 Group に追加いただくなど、弊社の計画や要望に応じて柔軟にご対応いただくことができた。
- 治験実施計画書の検討段階で、ワーキンググループから実臨床に即した助言を得ることができ、PMDA との交渉に活かすことができた。
- WG で試験計画について具体的なアドバイスをいただくことができた。

<どちらともいえない>

- ・ 今後、サポートをお願いする可能性はあるものの、現時点では、まだ具体的なサポートをお願いできていない。
- ・ 日本小児科学会や小児治験ネットワークの協力が得られ、当該治験の周知を高めることができました。しかし、症例登録に際してはワーキンググループ会議から約 4 ヶ月経過しましたが、まだ期待したほどの成果は得られていないと考えます。