

## 小児医薬品開発ネットワーク支援事業 Q&A

日本小児科学会薬事委員会

作成日：令和 2（2020）年 9 月 1 日

改訂日：令和 3（2021）年 10 月 1 日

本書で用いる略語については、以下とする。

- ・学会：公益財団法人 日本小児科学会
- ・AMED 研究事業：小児領域における新薬開発促進のための医薬品選定等に関する研究  
(国立研究開発法人日本医療研究開発機構 臨床研究・治験推進研究事業：  
平成 29（2017）年 10 月～令和 2（2020）年 3 月)
- ・本事業：小児医薬品開発ネットワーク支援事業  
(厚生労働省医政局：令和 2（2020）年 4 月～)

### 1. 本事業への支援申請及びその手続き等に関すること

Q1-1) PIP/PSP の提出を求められるなど Effort に対する効果が分からない。

また、PIP、PSP について EMA、FDA から最終合意が得られていない場合は、最新の「案」として提出することによいか。

A1-1) PIP/PSP が存在しない場合でも本事業への申請は可能です。

また、FDA、EMA との最終合意が得られていないものについては、最終合意が得られていないと判別できるように提出をお願いします。(例えば、案・Draft であり FDA、EMA と協議中などと明記して提出) また、最終合意が得られた際には、その旨の連絡をお願いします。

Q1-2) 企業は、学会からの国内開発の必要性及び開発優先度評価などの検討結果の受領を待たずに日本での小児試験を開始してもよいか。

A1-2) 差し支えありません。

Q1-3) 学会に提出する PIP、PSP 等の日本語要約（雛形）及び守秘契約書（雛形）等は用意されるのか。

A1-3) 日本語要約（雛形「開発品目の概要」）、守秘契約書（雛形）その他必要な手順や様式等については、学会ホームページに掲載（更新）しています。なお、更新された際には、日本製薬工業協会等の団体にその旨の案内を出す予定です。

Q1-4) 欧米とすでに同時開発を実施中の品目や、欧米から遅れをとってはいるものの日本での小児開発を実施中の品目や、日本単独での開発品目も本事業での支援対象に該当すると考えて差し支えないか。

A1-4) 差し支えありません。国内単独の開発を計画している医薬品、あるいは日本で開発中

(治験中) であり症例登録などが滞っているようなものがあれば、小児医薬品開発の推進という観点で、可能な限り学会としても協力・支援していく予定です。

**Q1-5)** 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で検討中の品目についても、企業が国内治験を実施する場合には、本事業の対象に該当すると考えてよいか。

**A1-5)** 検討会議で検討中であっても、企業が国内治験を計画・実施する場合には、本事業の対象となり得ます。

**Q1-6)** 学会と企業との守秘義務契約（雛形）は、いつ頃提供されるのか。また、守秘義務契約の内容に関する企業側との調整は可能か。

**A1-6)** 守秘契約書（雛形）については、**Q1-3)** にも記載している通り、学会ホームページに掲載しております。また、守秘契約の内容（条項、文言等の追加・修正）については、予め企業毎にその内容について調整し、双方合意のうえで締結することになります。

**Q1-7)** 小児向けワクチン開発も対象となるのか。対象となる場合、具体的にどのような支援となるのか。また、今までの実績はあるのか。

**A1-7)** 小児向けワクチン開発も本事業の支援対象であり **AMED** 研究事業期間中に 1 件の支援申請を受理しています。本支援申請品目においては、治験実施計画書の助言（選択・除外基準への助言）、対象疾患を踏まえた治験実施開始時期の助言及び治験実施施設選定に向けた助言をしております。

**Q1-8)** これまでの成果の品目として、抗がん剤がないと認識しております。小児治験ネットワーク登録施設で抗がん剤開発の支援は可能か。可能な場合、小児がん拠点病院で実施する際との違いはあるのか。

**A1-8)** **AMED** 研究事業期間中に血液・がん領域が対象となる品目の支援依頼を受理した経験もありますので、抗がん剤が本事業の対象外ということはありません。また小児治験ネットワークにおいても、小児治験ネットワークを介した治験として抗がん剤開発の支援経験はあります。

小児がん拠点病院で治験を実施する場合の詳細については把握しておりませんが、小児治験ネットワークを介して治験を実施する場合には、統一手順書の使用、小児治験ネットワーク中央治験審査委員会での一括審査、インフォームド・コンセント及びアセント文書並びに治験費用の共通化及び治験実施施設間での情報共有（症例登録推進などに向けた施設担当者間での情報共有）、治験依頼者（**CRO** も含む）と治験実施医療機関間の調整などの活動を通して早期の治験完了に向けた支援を実施しています。

**Q1-9)** 小児医薬品開発ネットワークと小児治験ネットワークの違いは何か。

**A1-9)** 小児医薬品開発ネットワークは、学会が主体となり企業からの小児開発に向けた支援など学会員（医師）や小児 **CRC** が専門的見地や治験実施上の留意点などについて、「人的なネットワーク」として助言しているものです。一方、小児治験ネットワークは、一

般社団法人日本小児総合医療施設協議会加盟施設を中心に全国の小児医療施設等が加盟しているものであり、施設単位で登録されているものです。

小児開発について専門的助言を担う小児医薬品開発ネットワークと治験実施フィールドである小児治験ネットワーク並びに小児 CRC 部会の連携を進めていくことで産官学連携による小児医薬品開発の更なる促進が期待されます。

## 2. 開発支援リストの作成・更新（検討内容・結果及び検討 WG も含む）に関すること

**Q2-1)** 本事業への支援申請に際して、治験実施計画書を提出する場合、その計画書の内容変更を指示されることはないと考えてよいか。  
仮に治験実施計画書の内容について修正を求められた場合でも、最終的な修正の可否の判断については企業が持つと考えてよいか。

**A2-1)** 本事業の実施に際して、開発の必要性及び開発優先度評価の検討のために提供された「開発品目の概要」と PIP、PSP 等以外に必要な場合には追加情報（治験実施計画書、治験薬概要書等）の提供をお願いする可能性があります。これは治験実施計画書の内容変更を意図としたものではありませんが、日本での治験実施可能性（症例数、選択・除外基準、併用禁止薬など）を考慮して、修正を要望することはあるかもしれません。  
ただし、この場合であっても最終的な治験実施計画書の修正判断は企業となります。

**Q2-2)** 企業への開発依頼は、開発の必要性の優先順位が高いとされたもののみか。または、優先順位が低いものに対しても開発の依頼がされるのか。

**A2-2)** 開発の優先分類は、原則として、「優先」と「通常」の2分類となりますが、優先と通常で分類できないような場合、個々の事情を勘案して対応していくこととなります。仮に優先順位が「通常」となった場合でも可能な限り開発には協力することにしておりません。

**Q2-3)** 様々な理由により、短いタイムラインで日本の開発計画立案や施設選定を行わなければならない場合もある。本事業で支援依頼をする場合、支援の依頼開始から実施まで、どのくらいの期間となるのか。また、状況によっては、タイムラインが短くなるなどフレキシブルな対応は可能か。

**A2-3)** Global 試験の場合、海外本社から日本での治験実施の可否について短期間で回答することが求められるかと思えます。仮に、その後であっても対象疾患に対する専門的な見地や臨床的な位置づけ、小児 CRC による実行可能性など助言していくことで、早期のプロトコル改訂並びに症例集積性の向上につながっていくかと思えます。

なお、本事業で支援を実施する場合、正式な支援申請の受理から、対象領域（分科会及び関連学会）の確定、WG メンバーの選定及び WG 日程調整など相応の時間を要します。（通常であれば、支援申請受領後、WG 開催まで 1.5 ヶ月程度です）学会への正式な申請前に守秘義務契約を締結したうえで、内容についてご相談いただければ正式な支援申請受理後のタイムラインを短くするなどフレキシブルな対応は可能です。

**Q2-4)** 学会ホームページに掲載されている成果概要一覧では、相談内容 1 件あたり WG が 1 日で開催されている。具体的には、この 1 日の中で、どのようなメンバーで、どのような内容を中心に話し合われるのか。また、申請者には、相談内容についてのみ回答がなされるのか。

**A2-4)** 申請品目の WG については、内容によって複数回開催している場合もあります。WG は、申請品目及びその対象疾患に対応する分科会・関連学会で設置（必要に応じて複数領域による合同 WG として設置）し、かつ当該疾患に精通している学会員（医師）及び小児 CRC が WG メンバーとして選定されています。WG での検討内容は、申請者からの相談事項を中心に専門的な助言を実施していますが、相談事項のみならず派生した事項についてもあわせて議論され、申請者の要望にあわせて助言を実施しております。なお、WG 開催時に申請者も同席し申請品目の概要紹介（説明）の後にディスカッションとなり、正式な文書での通知は後日となりますが、議論の内容は承知されていると思いません。

**Q2-5)** 学会ホームページに掲載されている成果概要一覧より、複数の WG によりこれまで検討がなされている。各 WG も同様の視点で検討がなされているのかなどについて、学会ホームページには、それぞれの WG のメンバーが示されておらず、申請者には誰が検討されたのか、わかるようになっているのか。また、いずれの WG にも必ず国立成育医療研究センターの担当者が参加されているのか。

**A2-5)** 検討の視点ですが、申請品目・対象疾患及び申請者からの相談事項にも因りますので、「同様の視点」にはならないと考えます。なお、**Q2-4)** で回答したように WG には申請者も同席していますので、WG メンバーは必然的に申請者に分かることとなります。（但し、正式な文書には WG メンバーの氏名等は記載されていません。）また、WG には必ず成育担当者も同席しています。

### 3. 情報公開に関すること

**Q3-1)** 学会ホームページでの情報提供・収集に関する項目の掲載時期はいつ頃になるのか。また、掲載された際にはアナウンスされるのか。

**A3-1)** 学会ホームページには、本事業を進めていくうえで必要な最新の情報等を随時、掲載・更新していきます。なお、学会ホームページの掲載が更新された際には、日本製薬工業協会等の団体にその旨の案内を出す予定です。

**Q3-2)** 開発支援リストに掲載された品目等の公開情報の内容はどのようなものになるか。

**A3-2)** 開発支援リストに掲載された品目については、原則として非公開の取扱いにする予定です。ただし、厚生労働省への事業成果等の報告内容についてはこの限りではありません。

Q3-3) 学会の優先度評価及び開発支援リストの開示はどのくらいのタイミングで公開されるのか。

A3-3) 優先度評価及び開発支援リストの開示については、少なくとも6ヶ月に1回程度で更新していきます。

#### 4. その他本事業全般に関すること

Q4-1) 本事業により得られた知的財産は通常の企業治験と同様に治験依頼者に帰属するものという認識で良いか。

A4-1) 本事業の目的は、日本での開発可能性を含めた「開発支援リスト」の作成及び更新ですので、本事業のみで知的財産が発生するとは考え難いと思っております。ただし、本事業で知的財産が発生するような場合においては、その内容を踏まえ学会と当該企業間での協議になると考えています。なお、治験実施により発生する知的財産の取扱いについては、通常の企業治験と同様に治験実施施設と協議のうえ治験実施契約を締結することになります。

Q4-2) 治験実施体制もそうだが、小児疾患の多くは希少疾患であり当局の求める統計的有意差や比較試験が難しい。そのあたりの規制を同時に改革していく計画はあるか。

A4-2) 本事業の目的は、日本での開発可能性を含めた「開発支援リスト」の作成ですので、規制改革は範疇外となります。ただし、国内治験を実施する際の（独）医薬品医療機器総合機構との相談の過程で、希少疾患における統計的手法や比較試験について新たな見識が示されることは十分に考えられます。

Q4-3) 現在本邦で実施されている（された）小児試験のうち、本事業の支援を受けているものの割合はどの程度か。

A4-3) 本邦で実施されている（された）小児試験の母数は明らかになっておりませんので、具体的な割合を提示することはできません。AMED 研究事業期間中に支援申請が提出されたのは13品目となっておりますので、全体の小児試験から見れば、その割合は決して高いものではないと考えています。

Q4-4) 本事業を利用することが今後のスタンダードになるのか、逆に利用しないことで審査が不利になる等のデメリットが生じる可能性が出てくるのか。

A4-4) 本事業は、学会が主体となって治験計画（治験実施計画書など）への助言、迅速な症例登録を通じた治験の早期完了など本邦での小児医薬品開発を推進していくことを目的にしており、本事業を活用することでこれらを達成しスタンダードになっていくことを願っております。また本事業を利用しないことで審査が不利になるなどの影響はありません。

Q4-5) 企業への開発必要性の検討結果提案と未承認検討会への要望については、企業に打

診を行った上での要望となるのか。

A4-5) 本事業での検討結果(開発必要性の検討結果)と未承認薬検討会への要望については、連携しているものではありません。

Q4-6) 患者リクルートの調査や治験実施施設についての相談であった場合、その後始まった臨床試験において、どの程度組み入れに貢献できたのか示すことは可能か。

A4-6) 治験実施施設について相談され回答した場合であっても、結果的に治験実施医療機関として選定されないケースも多々あります。それは企業側(CRO側)のリソースやコストの問題や複数の治験実施可能施設を紹介しても、より多くの症例が存在する施設のみ選定されることもあります。またWGで治験実施可能施設を紹介しても企業側で「学会から推薦されると何かあったときに断りにくい」という考えもあるようで、結局、選定されない施設の方が多いかと思えます。

上述したように治験実施施設の選定については、企業側の考えもあるようですので、確実に貢献できたか否かは分かりませんが、学会ホームページに掲載している「申請企業からの意見」も是非ご参考にしてください。

Q4-7) これまで学会ホームページの情報からAMED研究事業期間中に13件の相談に対応したことが分かるが、その相談/支援の経験を踏まえて、申請者となる企業に求めることなどあるか。

A4-7) 企業には是非、開発の初期段階での申請(相談)をお願いできればと考えています。小児での症例登録推進に一番重要なのは「実効性のある現実的な治験実施計画書の策定」と考えています。これも開発初期であれば、対象疾患の臨床的な状態などに即したプロトコル策定が可能ですが、治験が進むほどプロトコル改訂が困難になります。Global試験の場合、本社から日本での治験実施の可否について短期間で回答することが求められるかと思いますが、仮に、その後であっても対象疾患に対する専門的な見地や臨床状態、CRCによる実行可能性など助言していくことで、早期のプロトコル改訂につながっていくと考えられます。なお、過去のWGでもWGメンバー(実際の臨床医)から「治験実施計画書の選択・除外基準に合致する症例は、ほとんどいない」と提案されることもありました。

Q4-8) その他、本事業にて、新たに加えられた対応などがあるのか。

A4-8) 令和2年度よりWGには小児CRCも参画しています。これにより医師と共に医学的な助言のみでなく治験実施面での具体的なアドバイスも実施し、より実践的な提案が可能となっています。また令和2年度において、先行AMED事業も含め新たな学会分科会以外の関連学会を主体として新WGを組織することも実施しました。