

小児医薬品開発ネットワーク支援事業に対する企業意見

更新日：令和4年（西暦2022年）年9月30日

1. 本研究事業へ申請しようとした理由

- ✓ 成人および小児患者を対象とした治験を計画しましたが、対象疾患が希少疾病であるため小児の候補患者が見つからない状況でした。
- ✓ 本事業は多くの小児関連学会で組織されておりますので、小児リクルートのヒントを頂けるのではないかと考え、申請させていただきました。
- ✓ 社として小児試験の経験のない領域についての開発を計画しており、専門家の紹介や開発に対するアドバイスを頂ける点を魅力に感じたため。
- ✓ すでに治験は開始しておりますが、COVIDの影響もあり、当初の予定よりも組み入れが遅れております。症例組み入れ促進ため、当該試験の対象患者様を多く診察されている小児科の先生方より本試験に関するアドバイスをいただきたく申請いたしました。
- ✓ 小児患者を対象とした臨床試験ということで計画通り被験者のエントリーが進まず、エントリーを含めた試験進捗のための施策を専門家の先生に相談したかったため
- ✓ 小児医薬品開発ネットワーク支援事業の事業内容の一つに「開発初期段階での治験実施相談及びプロトコルへの助言」があります。弊社は小児治験の経験がほとんどなく、貴事業に申請すれば治験実施に向けて有益なご助言が得られると期待したため。
- ✓ 新規疾患、新規治療薬の小児開発のため日本の小児の医療現場で治験が実施できるのかアドバイスを頂きたかった。
- ✓ 他剤を含め当該疾患領域での成功事例が乏しく、試験計画の立案が困難であったことから、より早期からご助言をいただきたいと考えたため。
- ✓ 本剤の作用機序と非臨床試験の成績から、今後欧米では小児領域において対象疾患に対して臨床開発を進める可能性があるが、これまでの経験からアカデミア(Cooperative Group)との共同開発が選択される可能性が高い。日本における対象疾患に対する開発ニーズの有無に加え、欧米で臨床開発がすすめられた場合に欧米に遅れることなく日本の開発を進めるための方策について、NW支援事業からの助言をいただきたいと考えたため。
- ✓ 実施中の成人/青年対象試験での症例登録での難航状況や競合品の開発状況を鑑み、本試験は多くの小児病院とのコラボレーションを必要としていました。小児治験ネットワーク選定調査のご協力に加えて貴支援事業のご協力を仰ぐことで症例登録のみならず、計画書の適切性、実臨床の先生方の治験実施計画へのInputを踏まえPatient centricに本試験を進めたいと考え、貴事業に申請いたしました。

2. 本研究事業へ申請した感想 (回答数：n=9 (品目))

- 良かった (7 品目：78%)
- 悪かった (0 品目：0%)
- どちらともいえない (2 品目：22%)

<良かった>

- とても丁寧で迅速にご対応いただき、貴重なご意見をいただきました。
- WG 開催までこまやかにサポートいただけた。また、WG 当日も臨床の立場からの議論だけではなく治験を意識したアドバイスを頂戴でき非常に有意義であった。当初想定していた対象疾患の枠に限らない意見を頂戴した点も開発の参考となった。
- 専門家の先生方より現場目線でのご意見をいただける非常によい機会になったと考えます。特に治験にご協力いただいている先生方もご参加いただき非常に有用なご意見を頂戴できたと思いました。
- 本治験への参加が見込まれる具体的な患者像や、実施可能性を高めるための治験実施計画書や治験運用面へのアドバイス、治験施設あたりの患者組み入れ数の見込みなど大変重要な情報をいただけた。また、小児の医療現場での状況や医療ニーズが高いことも教えていただき、小児開発を進める根拠をより明確にすることができた。
- 相談項目として設定した「対象疾患における新規治療の臨床的なニーズ」「日本で治験を進める上での懸念点等」「効率的に治験を進める上での方策」について、医師・薬剤師・CRC のエキスパートから多角的な助言が得られ、今後の課題の整理につながった。

<悪かった>

該当なし

<どちらともいえない>

- 実施施設側のスタッフの忌憚のない意見は貴重ではあるものの、実施計画書改訂や実業務の複雑さなど、ある程度 GCP に則った業務内容に異を唱えられても企業側のスタンスとしては対応が難しかった。弊社は既に試験を実施中に小児医薬品開発ネットワークに相談したため、プロトコルの不適切な点等があったとしても、タイミング等も鑑み、改訂も難しかったが、計画立案時に相談していればより良い治験実施計画書になったと考えられた。
- WG 会議のご助言を踏まえた治験計画立案に向けて、課題が明確になったのは良かったですが、もう少し「こうすればうまくいく」というような収穫があることを期待していたため。