

小児医薬品開発ネットワーク支援事業 Q&A

作成日：令和 2（2020）年 9 月 1 日

Q 1：企業は、「優先的に開発すべき医薬品リスト」の受領を待たずに日本での小児試験を開始してもよいのか。

A 1：可能です。

Q 2：治験実施計画書を提出する場合、「優先的に開発すべき医薬品リスト」作成のために必要であり、治験実施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のか。

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のか。

A 2：本事業の実施に際して、開発の優先順位等の検討のために提供された「開発品目の概要」と PIP、PSP 等以外で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。

Q 3：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でよいのか。

A 3：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。

Q 4：日本小児科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。

A 4：日本小児科学会（以下、「学会」という）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、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。

Q 5：日本小児科学会に提出する PSP、PIP 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。

A 5：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。

Q 6：日本小児科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。

A 6：守秘契約書（雛形）については、Q5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。

Q 7：企業への開発依頼はプライオリティリストで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。

A 7：開発の優先分類は、原則として、「優先」と「通常」の2分類とする予定ですが、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になります。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す。

Q 8：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。

A 8：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、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該当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。

Q 9：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。

A 9：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。

Q 10：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該当すると考えて差し支えないか。

A 10：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、可能な限り日本小児科学会としても協力・支援していく予定です。

Q 1 1 : 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当該スキームに該当すると考えてよいのか。

A 1 1 : 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。

Q 1 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。

A 1 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。

Q 1 3 : 今後の募集は、どの程度の間隔で行われるのか。

A 1 3 : 随時、募集とさせていただきます。