

小児医薬品開発ネットワーク支援事業の 支援を経て承認取得した経験

- 2023年9月28日

Disclaimer

本スライドの内容には発表者の個人的見解が含まれており、必ずしも所属先の見解を代表するものではないことをご了承ください。

小児医薬品開発ネットワーク支援事業から受けた支援

- 組み入れ促進のための検討
- 承認申請後の照会事項へのサポート

組み入れ促進のための検討

□ 本検討のためのワーキンググループの立ち上げ

- ワーキンググループのリーダーとして治験責任医師を指名いただいたため、治験の内容や状況を熟知されており、適切な検討メンバーを選考いただけた。

□ ワーキンググループメンバーでの検討会の実施

- 治験責任医師を主とした医師，CRCからなるメンバーでの検討会の実施
- 症例組み入れ促進に関する各施設へのアプローチ方法について，依頼者では気づかなかった目線からのご助言
- CRCの方々からの治験実施上の観点からのご助言

□ 継続支援

- 実際の相談後も症例組み入れに関して継続して支援を受け，ワーキンググループリーダーから治験責任医師に対して組み入れ促進のレター発出



承認申請後の照会事項へのサポート

背景：

PMDAから「治験結果を踏まえた臨床的位置づけや推奨される投与対象」、「適切に使用するための注意喚起・情報提供の方策」に関して医学専門家、関連学会から意見を得ることを求められた。

サポート：

- 本薬のワーキンググループの会議の速やかな開催（PMDAからの照会回答期限に間に合う時期での開催）
- 得られた治験結果に関しての解釈，ご意見，ご助言
- 臨床試験で本薬を実際に本適応に対して使用いただいた経験者としての立場からのご助言
- 臨床的な立場からのご意見のみではなく，規制当局がどう考えるかという点からのご助言
- 麻酔科医ではない小児科医からのご助言
- その後のPMDAからの照会事項に対する回答案のご確認

小児医薬品開発ネットワーク支援事業から支援を受けてよかったこと

本薬の小児の開発に対して、小児医薬品開発ネットワーク支援事業から支援を受けられたことは大変有用であった。

関連分野の専門家の方（麻酔科医，小児麻酔科医，CRC）を集めてワーキンググループを立ち上げていただき相談の機会を提供いただけることは，様々なご意見や新たな気づきが得られるという点でよかった。

承認申請後の照会事項対応についてご支援いただけるとは思っていなかったもので，支援いただけたことは心強く，その後の承認に向けての市販後の注意喚起，情報提供の準備という観点からのご助言が大変役に立った。

困ったときにすぐに相談できる場であった。

小児医薬品開発ネットワーク支援事業に対する今後の期待・要望

治験や小児医薬品開発で困ったときにすぐに相談できる窓口，規制当局から難しい要望を受けた場合の相談窓口や企業と規制当局との橋渡しなどとして周知いただけると，より利用しやすく，製薬企業にも価値があると思う。

小児医薬品開発ネットワーク支援事業で支援を受けているということが，医療機関や，患者，保護者の治験参加への関心を高めるインセンティブとなるような情報発信をしていただけるとよいと思う。

治験組み入れ対象となる患者が多いと思われる医療機関の調査（データベース調査など）とその結果から，医療機関と治験依頼者を紹介しあえるような仕組みがあるとよいと思う。