

本事業を活用した小児医薬 品開発促進の事例紹介

～本事業に申請した経験を踏まえて～

弊社で小児医薬品開発NW支援事業を活用した経験の共有 小児医薬品開発NW支援事業を活用した経緯：

- 青少年患者（希少疾患）を対象とした治験の実施のため、小児治験NWの実施医療機関の予備調査について相談したところ、小児医薬品開発NW支援事業の活用について紹介を受け、活用するに至った。

サポートを受けた事業について

事業内容

本事業では、小児医薬品の開発を促進するため、下記の活動を実施します。

(1) 開発支援リストの作成・更新

小児の治療において、国内外で小児の治療薬として開発されている、あるいは開発が計画されている医薬品の開発計画情報を学会が、製薬企業と連携して収集します。また、学会は、当該製薬企業から必要な資料等の提出を受けた上で、小児の各診療分野の専門家と当該医薬品の重要度等を検討し、我が国における小児医薬品開発の優先度評価を行って、開発支援を行うべき医薬品のリスト（以下、開発支援リスト）を作成します。

(2) 企業への小児医薬品開発の要望

学会は、開発支援リストに基づき、企業に対して開発要望を行います。

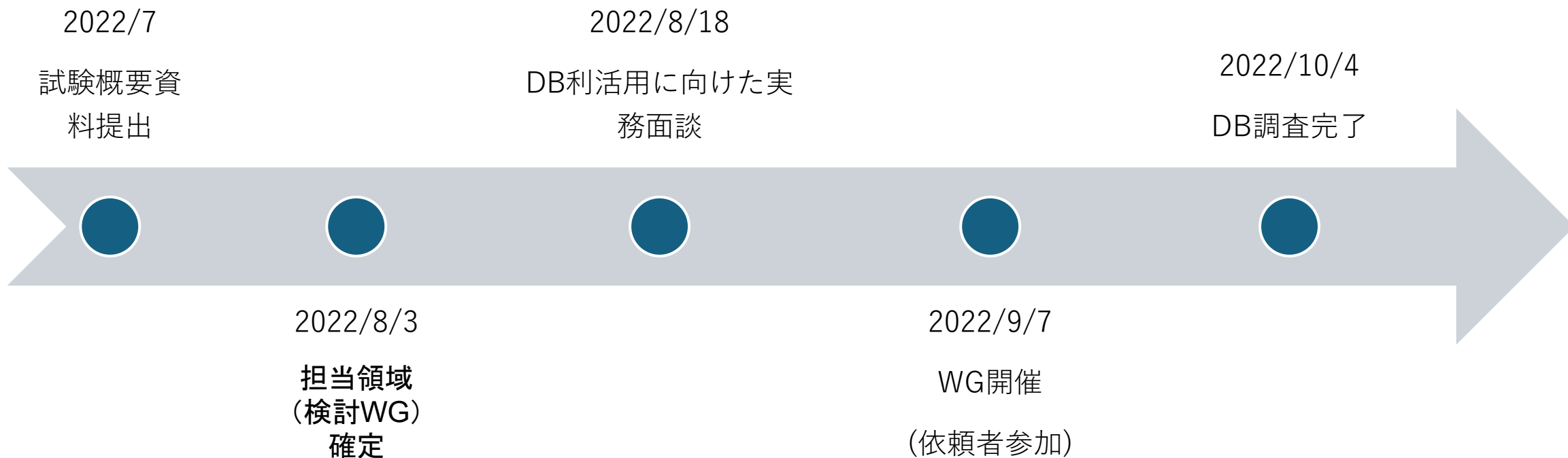
(3) 開発要望を行った企業に対する治験実施のサポート

学会は、既に国内で開発中の医薬品も含め、(2)の開発要望を行った製薬企業からの求めに応じ、各種の情報提供、治験実施医療機関等の紹介、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、PMDAにおける治験相談等への同席、臨床研究コーディネーターによる症例集積向上策の検討等の支援を通じて製薬企業の治験実施を積極的かつ柔軟にサポートします。

- 小児科学会の専門医およびCRC参加のWGの設置
- 開催小児医療情報収集システム（小児DB）の利活用
- WGに参加した医師による、医療機関の該当症例数の調査

小児医薬品開発ネットワーク支援事業 | 公益社団法人 日本小児科学会 [JAPAN PEDIATRIC SOCIETY \(JPEDS.or.jp\)](http://JPEDS.or.jp)

タイムライン



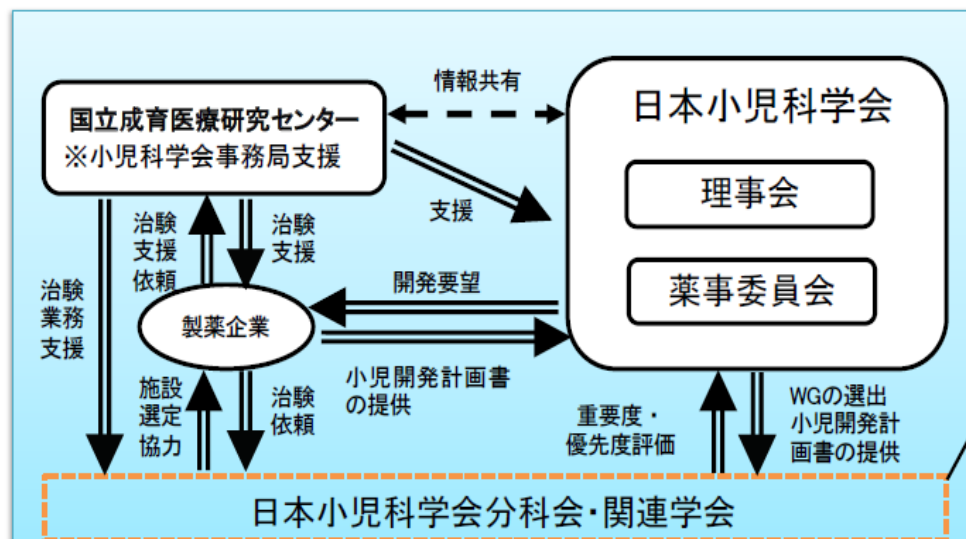
小児医薬品開発ネットワーク支援事業

https://www.jpeds.or.jp/modules/activity/index.php?content_id=348



製薬企業から情報提供（開発支援依頼）のあった医薬品について、当該領域の専門家からなるワーキング（WG）を設置し臨床における重要度・開発優先度の評価を実施

⇒日本小児科学会より企業への開発要望、治験実施の支援



分科会／関連学会	
1	日本新生児成育医学会
2	日本小児循環器学会
3	日本小児神経学会
4	日本小児血液・がん学会
5	日本小児アレルギー学会
6	日本先天代謝異常学会
7	日本小児腎臓病学会
8	日本小児内分泌学会
9	日本小児感染症学会
10	日本小児呼吸器学会
11	日本小児栄養消化器肝臓学会
12	日本小児心身医学会
13	日本小児精神神経学会
14	日本小児東洋医学会
15	日本小児リウマチ学会
16	日本小児歯科学会
17	日本小児外科学会

弊社試験での状況

- WG参加者

• 医師：6名

• CRC：2名

- WG当日の流れ

• 依頼者からの説明

• 質疑&ディスカッション

- 所要時間：2時間

WG開催・DB・Feasibility調査の活用について

＜どのように活用したか＞

- ・WGはプロトコルがほぼ固定される段階での活用だったため手順の変更などはできなかったが、データベース調査やWGでの検討結果をもとにGlobalチームへ日本の状況をインプットを行った（継続中）。
- ・DB調査では対象患者の検査値の推移および治療状況が明確で、プロトコルの患者像と実臨床での患者像の相違を明確に、選定訪問時に詳細な患者像について協議をすることができた。
- ・WG開催後、WGのリーダー医師より当該領域の医師へ、治験に該当症例数調査（Feasibility調査）を実施していただき、候補施設の特定につながった。また、試験開始後の追加施設を検討する時にも再度症例数調査のご協力をいただいた。

WG開催・DB・Feasibility調査の有用性

＜開発戦略の観点＞

- ・複数の医師からの効果的な意見の収集、及び実臨床状況の把握（疫学，実臨床の治療）
- ・医師やCRCからの、プロトコルデザインや適格性について多角的な意見収集

＜オペレーションの観点＞

- ・WGに参加していた医師を介して適格な患者さんがいる施設があるが調査をしていただけたため、初回の医師面談時から候補患者について詳細なディスカッションができた。
- ・CRCも参加しているためオペレーションでリスクがある点が明確となり、治験実施時のリスクの管理に役立てることができた。
- ・WG後にフィージビリティ調査をいただけたので、登録時に問題になりそうな点を明確にしたうえで調査が出来た。

活用を検討される方へ弊社の経験からの提案

- ・今回は施設調査の段階で活用したが、もっと早期段階（プロトコル作成段階）で依頼していたらいただいた意見をプロトコルなどに反映しやすかったと思うため、早い段階で活用を検討されるとよいと思います。（ただ、提供できる情報が少なくなる・日本での実施を取りやめる可能性もあるため、その点を含めて活用時にきちんと伝えておく必要がある。）
- ・本事業のHPには、提出資料として書類が指定されているが、提出できない書類がある場合は相談が可能であったため、利用を検討している場合は相談してみるとよいと思います。
- ・WG・DB調査で何を達成したいのか、調査後にフォローアップが出来るかを事前に事務局の方と相談してから当日に臨むとその後の流れが明確になり、対応もスムーズになります。