

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。
- ✓ 新規試験の企画を検討するために日本の症例数調査を実施しておりました。成育事務局にご相談した際に、小児治験 NW と小児医薬品開発 NW 支援事業があることをお伺い、小児医薬品開発 NW 支援事業では対象疾患領域の学会より施設横断的に調査ができることを知り申請させていただきました。
- ✓ 被験者登録が難しいことが予想される希少疾病疾患の小児開発を進めたく、産学連携をお願いしたいと考えたから。
- ✓ 小児開発を行ううえで非常に重要かつ貴重なアドバイスをいただける場になると考え、申請いたしました。
- ✓ 症例登録推進のための方策及び治験実施可能施設の紹介
- ✓ 開発対象疾患の小児患者数や治療実態等を把握し、適切な開発計画を検討するため。

- ✓ 文献検索等により臨床試験、臨床研究の報告数が少ないこと、公開 DB でも患者数の把握ができなかったことから、本品目の国内開発の必要性についての助言を得るため。
- ✓ 疾患の希少性や試験デザインなどから、治験の立ち上げに明確な課題があり、複数の専門家からの助言を要すると考えたため。
- ✓ 弊社では小児治験の経験及び対象疾患の治療薬の開発経験がなく、専門家の先生、CRCの方々から幅広いご助言をいただくため。
- ✓ 疾患領域の専門医らの医学的知見に加え、CRCの立場で治験遂行上の実施可能性、患者・家族の視点などからアドバイス・支援いただけること、またこれらにより治験の柔軟性の確保と課題抽出の観点で有用であると考えたため。当該支援に限らず様々な治験実行フェーズで無償で継続的な支援を受けられることも魅力を感じたため。
- ✓ 小児臨床試験の経験がほとんどなく、どのように展開していったらよいか苦慮しておりました。その中で本事業での活動を知り我々の必要としている内容に合致していたことがきっかけでした。
- ✓ 実施計画中の小児試験について、日本での実施可能性や、実施できる医療機関についてご助言を頂きたいため。
- ✓ PMDA より小児開発の検討を依頼されたため。

2. 本研究事業へ申請した感想（回答数：n=22（品目））

- 良かった（20 品目：90%）
- 悪かった（0 品目：0%）
- どちらともいえない（2 品目：10%）

<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。
- ワーキンググループ、小児 DB の利活用や対象疾患領域の学会を介した候補患者様の調査等様々な手法で治験開発初期段階でのサポートいただくことができたため。
- 産学連携で治験を進めることができる点（学会のお墨付きが得られる、もしくは治験候補施設に打診する際、ワーキンググループの先生のお名前を拝借できる点、オペレーション上の難点に関してインプットいただける点）。
- 医師および CRC から現場の率直な意見をいただくことができたことは非常にありがたかったです。本試験への印象、気を付けるべきまたは改善すべき点などのご意見をいただくことができました。また、医療機関にて治験依頼者側担当者のコミュニケーションに関して、試験に対するご説明が不十分な点など実例も踏まえたフィードバックをいただくことができ、今後の活動改善を検討する機会を得ることができました。当初の目的のひとつでもあった組入の難しい小児試験において、ご協力いただけそうな医

療機関候補の情報もいただき、有益な時間となりました。

- 小児科領域の臨床医、CRC 担当者に弊社治験に対する率直なご意見や改善点をいただき、今後、治験を進める上で大変参考となりました。
- 開発対象疾患の小児患者に関する報告に限られる中で、検討 WG において、多様な観点からの情報及び意見を得られたことが開発検討にあたり非常に有意義であった。また、機構相談への協力を含め、申請者の要望に合わせたフレキシブルな支援を受けられるため。
- 臨床実態を明確としたうえで、本品の有効性や安全性を踏まえて実臨床での必要性について評価いただけたのみならず、実臨床での課題として、既存治療での問題点、保険制度での問題点を明示し、本品のポジショニングや国内開発、承認申請内容に対する考慮事項についても助言をいただくことができた。
- 申請後、初回 WG 開催までの流れが非常にスムーズであり、調整いただいた事務局の先生方・御参加下さった専門家の先生方に御礼を申し上げる。
- WG には専門家の医師・CRC の先生方が御参加下さり、具体的かつ的確な助言をいただいた。課題解決のためにとるべきアクションも明確であった。
- 日本小児科学会薬事委員長の中村先生に御出席いただいたことで、日本での小児医薬品開発という観点からの御意見を頂戴したことはありがたかった。企業が開催するアドバイザリー会議では領域に特化した論点になることが多く、俯瞰的な観点からの御助言は本事業ならではのものと感じた。
- 弊社として初めての申請であり、申請前に社内合意を得るために時間を要した。社内調整においては、課題とゴールが明確であることが重要であったと思う。
- 弊社側の費用負担がない点も、社内合意を得やすいポイントであったと思う。
- グローバル企業が実施する国際共同治験の場合、意思決定に日本の意向が必ずしも反映されない現状があることに一定の御理解をいただけるとありがたく思う。
- Site feasibility にも御協力をいただけるとのことで大変ありがたく思う。今回のような超希少疾患かつ治療法が確立されていない領域においては SMO 調査が難しい。そのような状況の中で、本 WG の御協力によりベストな施設選定ができるのではないかと期待している。
- どのように工夫すれば試験が成功するのかを、科学的、実務的の両方の側面から一度に複数の先生からご助言いただける貴重な機会でした。
- 臨床専門医の先生方、薬事委員の先生方、多くの小児臨床試験のご経験のある CRC の皆さまに貴重なアドバイスを頂きました。
-

<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。