

## 小児領域における新薬開発促進のための医薬品選定等に関する研究 Q&A

作成日：平成 29（2017）年 11 月 30 日

改訂日：平成 30 年（2018）年 5 月 10 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」（プライオリティリスト）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か。

A 2：本研究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 等以外に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、本研究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 : 日本医療研究開発機構（以下、「AMED」という）からの研究開発費を希望する場合、総額に上限はあるのか。また CiCLE に応募する際には「優先的に開発する医薬品」とした要望を受けていなければならないか。

A 6 : AMED からの研究開発費を希望する場合は、AMED による「医療研究開発革新基盤創成事業」（CiCLE : Cyclic Innovation for Clinical Empowerment）等に応募し、採択される必要があります。

CiCLE の総額は一般型の研究開発タイプでは上限 100 億円、実用化開発タイプでは上限 50 億円、スタートアップ型（ViCLE・ヴィークル）では全てのタイプで上限 3 億円となります。

AMED ホームページ<[https://www.amed.go.jp/koubo/07/01/0701B\\_00001.html](https://www.amed.go.jp/koubo/07/01/0701B_00001.html)>もご参照ください。平成 30 年 3 月に公表された第 3 回の CiCLE 公募要領にある通り、小児医薬品として日本小児科学会が作成するプライオリティリストに掲載された医薬品が CiCLE に採択された場合、成果利用料のうち AMED 分を 0%（支払い無し）とする優遇制度があります。CiCLE に応募する際には、学会から受けた開発優先検討結果、もしくは学会へ申請済み（評価中）である旨を提案書に明記してください。

Q 7 : 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 7 : 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 8 : AMED での平成 29 年度「臨床研究・治験推進研究事業」における本研究課題の実施期間は 3 年間となっているが、研究期間終了後はどのような対応になるか。

A 8 : 本研究課題では、優先的に開発すべき医薬品のリスト（プライオリティリスト）の作成が主目的となっております。本研究課題実施期間中に可能な限り多くの小児領域におけるプライオリティリストを作成していくと同時に、開発が行われる際には、学会（分科会、関連学会も含む）として、国内臨床試験の実施施設選定、試験実施中の進捗管理など企業と連携し進めていく予定です。

なお、現時点では研究期間終了後の本研究課題の継続等については未定ですが、上記の趣旨を踏まえて可能な限りの協力は継続していきたいと考えております。

Q 9 : 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 9 : 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となります。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。

Q10：当該研究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。

A10：本研究事業の目的は、日本での開発可能性を含めた「プライオリティリスト」の作成ですので、本研究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、本研究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。

Q11：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。

A11：本研究事業の目的は、日本での開発可能性を含めた「プライオリティリスト」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。

Q12：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。

A12：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。

Q13：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か。

A13：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、本研究の対象となり得ます。

Q14：プライオリティ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。

A14：プライオリティ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、AMEDへの研究成果等の報告内容についてはこの限りではありませんが、公開可能とする研究成果の内容については医薬品が特定できないようにするなどの措置を行います。

Q15：今後の募集は、どの程度の間隔で行われるのか。

A15：学会理事会開催にあわせて、当面は4ヶ月に1回の募集とさせていただきます。