

臨床研究中核病院の承認要件及び
臨床研究・治験の推進に係る今後の方向性について
非臨床研究中核病院・小児科領域の視点から

国立成育医療研究センター
研究開発監理部

中村 秀文

国立成育医療研究センターの
臨床研究中核病院（特定領域；成育医療）
としての要件の充足性

国立成育医療研究センター 1 体制要件

- ✓ 病院管理者を中心とした研究管理体制（ガバナンス）
- ✓ 臨床研究支援体制（ネットワークの構築含む）
- ✓ データ管理体制
- ✓ 安全管理体制
- ✓ 倫理審査体制
- ✓ 利益相反管理体制
- ✓ 知財管理・技術移転体制
- ✓ 国民への普及・啓発及び研究対象者等への相談体制
- ✓ 病院機能評価一般3（又は、特定機能病院等）の取得

国立成育医療研究センター 2 能力要件

承認要件	成育の充足性	現状
特定臨床研究に関する計画の立案及び実績（過去3年間）①または②		
① 医師主導治験 8件（特定疾病領域の場合は2件）	○	＜2021～2023年度＞ 治験 3件 ＜2022～2024年度＞ 治験 5件
② 医師主導治験 4件 臨床研究 40件 （特定疾病領域の場合は医師主導治験1件、かつ臨床研究40件）	×	＜2021～2023年度＞ 臨床研究：24件 ＜2022～2024年度＞ 臨床研究：24件
他病院又は診療所と共同して実施する場合、特定臨床研究の実施の主導的役割の実績（過去3年間）①または②		
① 医師主導治験 2件 （特定疾病領域の場合も同じ）	○	＜2021～2023年度＞ 治験：3件、臨床研究：14件 ＜2022～2024年度＞ 治験：5件、臨床研究：15件
② 臨床研究 20件 （特定疾病領域の場合も同じ）	×	
他病院及び診療所に対し、特定臨床研究の実施に関する相談、必要な情報提供、助言その他の援助実績		
特定臨床研究に係るプロトコル作成支援、データマネジメント、モニタリング、監査、統計解析、研究実施の調整に係る業務支援等を契約又はそれに準ずる書面に基づき、併せて年に15件以上実施 研究代表者が申請機関所属の場合であっても、データマネジメント、モニタリング、監査、統計解析、研究実施の調整に係る業務支援等を行った場合には計上して差し支えない（プロトコル作成支援については計上不可）	○	2023年度：18件 2024年度：18件

※研究実績は成育医療研究センター調査による値

国立成育医療研究センター 3 論文要件

特定臨床研究に関する計画の立案及び実績(過去3年間)		
英文、査読ありの論文発表実績 45件以上 (特定疾病領域の場合は22) ・特定臨床研究が実施されたことによって発表された学術論文のうち、査読のある学術雑誌(自機関発行雑誌は除く。)に英文で掲載されており、かつ、米国国立医学図書館が提供する医学・生物学分野の学術文献データベースに掲載されている学術論文であって、原則として、主解析論文、サブ解析論文、プロトコール論文 筆頭著者の所属機関が当該申請機関である論文 または 研究責任者の所属機関が当該申請機関であり、当該申請機関から研究支援を受けて研究を実施した論文 ・プロトコール論文6報以内(特定領域の場合は除く)	×	<2022～2024年度> 既報 15 本 投稿中 4 本 (計 19 本)

国立成育医療研究センター 4 人員要件

承認要件	成育の 充足性	現状
臨床研究に携わる者 ※専従、専任の定めなし。		
医師又は歯科医師 5人以上 (FTE)	△	4.7人 (5名)
薬剤師 5人以上 (FTE)	○	10.9人 (14名)
看護師 10人以上 (FTE)	×	6.8人 (10名)
臨床研究に携わるその他の従事者		
専従の臨床研究の実施に係る支援を行う業務に関する 相当の経験及び識見を有する者 (経験3年以上) 特定領域12人以上 (FTE)	○	13.7人 (14名)
専従の臨床研究に関するデータの管理に関する 相当の経験及び識見を有する者 (経験3年以上) 3人以上	○	3名
専従の生物統計に関する 相当の経験及び識見を有する者 2人以上	○	2名
専従の薬事に関する審査に関する 相当の経験及び識見を有する者 1人以上	○	1名

国立成育医療研究センターの 臨床研究中核病院（特定領域；成育医療） としての要件の充足性

- ①体制要件 ②能力要件 は充足している
- ③論文要件は、19／22と不足している
- ④人員要件は、特に看護師の確保が難しい

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

- 2023年3月時点において、欧米では承認されているが国内開発未着手の医薬品は86品目（未承認薬のうち60.1%）あり、そもそも承認申請がなされない（＝企業が開発しない）というドラッグラグ・ロスが発生していると指摘されている。
- 国内開発状況が未着手の86品目について傾向を分析したところ、ベンチャー発の医薬品や、オーファン、小児の割合が比較的大きいことが分かった。

日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）	
			開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	143	57	86 (品目)

内訳

日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	オーファン	小児
56 % (48品目)	47 % (40品目)	37 % (32品目)

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

※出典：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計

※2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計

※3：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計

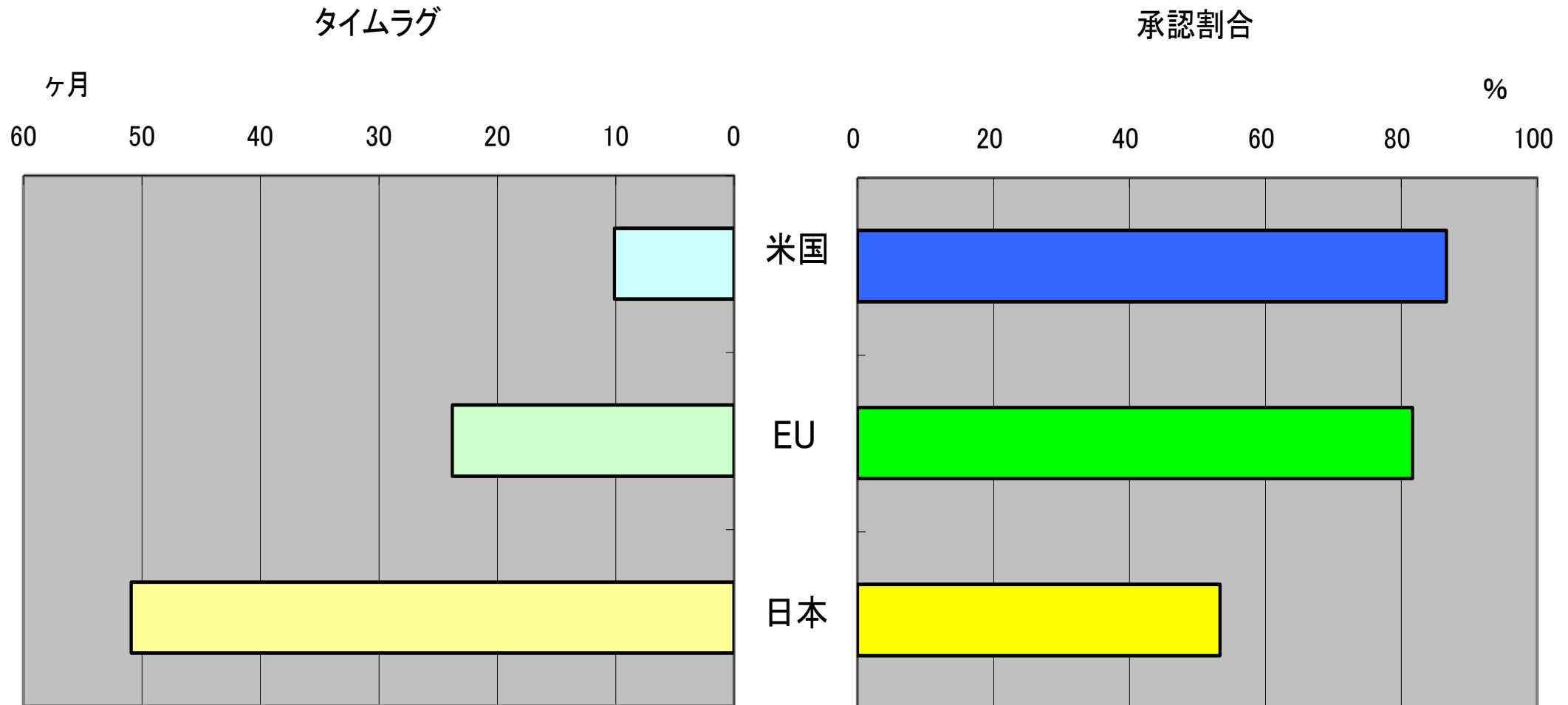
※4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までには受けた品目をオーファンとして集計

※5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

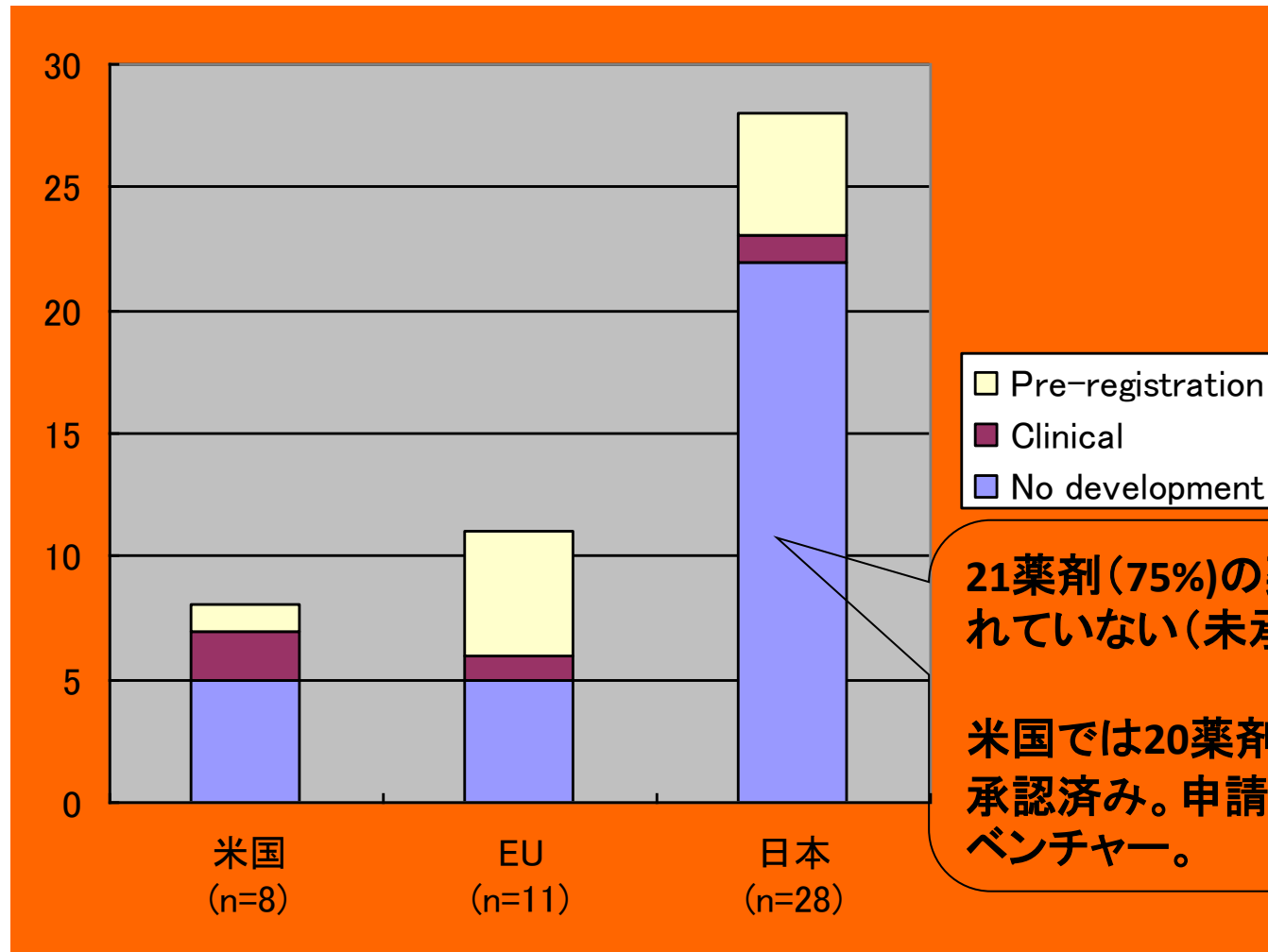
厚生労働省 創薬力の強化・安定供給の確保等のための
薬事規制のあり方に関する検討会議資料

小児医薬品にはオーファンドラッグが多い

ーオーファンドラッグ(60薬剤)承認状況の日米欧比較ー



三極における未承認オーファンドラッグの開発状況 (2006年調査)



21薬剤(75%)の薬剤は開発が行われていない(未承認薬)。

米国では20薬剤、EUでは15薬剤が承認済み。申請企業はほとんどがベンチャー。

創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会議

検討事項の概要

開発促進

■ 希少疾病用医薬品の指定のあり方

- 日本の希少疾病用医薬品の指定時期が欧米よりも遅く、指定数が少ない現状を踏まえ、開発の早期段階で広範に指定できるよう、運用の見直しを検討

■ 小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方

- 製薬企業に小児用医薬品の開発を促すため、成人用を開発する段階で、製薬企業に小児用医薬品の開発計画の策定を促すための方策を検討

開発の受け皿の強化も必要

臨床試験

■ 我が国の承認審査における日本人データの必要性の整理

- 海外で早期の臨床試験が実施された薬剤について、第3相試験等の国際共同治験の段階から日本が参加する場合における日本人の安全性の確認の考え方を整理(第I相試験の要否を含む。)
- 希少疾患等に用いる薬剤であって、外国においてのみ検証的な臨床試験が実施されている場合における薬事承認の考え方を整理

■ 治験の更なる効率化(エコシステム)

- 日本での治験実施が高コストである現状を踏まえ、GCPの観点から更なる効率化に寄与する運用の見直しを検討

市販後安全対策

■ 製造販売後に実施する使用成績調査等のあり方

- 新薬の製造販売後に行われる安全性監視活動として、多くの場合、使用成績調査(全例調査を含む。)が行われているが、製薬企業の実施負担が大きいとの指摘も踏まえ、製造販売後の情報収集のあり方について検討

■ リアルワールドデータの活用のあり方

- リアルワールドデータの利活用に向けた環境整備が進みつつある現状を踏まえ、その薬事制度における活用のあり方について検討

小児のRWD
収集体制

品質

■ 医薬品の製造方法等に係る薬事審査等のあり方

- 医薬品の承認書における製造方法等の記載や変更管理のあり方について、国際整合性も考慮しつつ検討

情報発信

■ 我が国の薬事制度に関する海外への情報発信

- 海外ベンチャー企業が日本での開発を行わない背景の一つとして、日本の薬事制度に関する理解不足や誤解がある背景を踏まえ、海外への情報発信のあり方について検討

海外ベンチャー
企業が気軽に
相談できる体制

希少疾患の多くは小児発症

- 7000を超える希少疾患
(<https://www.science.org/content/webinar/7000-challenges-basis-and-burden-rare-diseases>)
- 米国民の2500万-3000万人(世界では推定3億5千万人)が希少疾患を患う
- 全ての小児悪性疾患は希少疾患
- <10% にFDAで承認された治療薬
(<https://rarediseases.org/understanding-rare-disease/rare-disease-facts-and-statistics/>)
- 80% は遺伝性疾患(WHO Department of Essential Drugs and Medicines Policy (2004) Priority Medicines for Europe and the World Background Paper.)
- ~65% は重篤で完治する可能性は低い(French Government (2004) French National Plan for Rare Diseases 2005-2008.)
- 2/3 は2 歳未満で発症(French Government (2004) French National Plan for Rare Diseases 2005-2008.)
- 1/2は生命予後が悪い(French Government (2004) French National Plan for Rare Diseases 2005-2008.)
 - 35 % が1 歳未満で死亡
 - 10 % が1～5 歳で死亡
 - 12 % が5～15 歳で死亡

希少疾病治療開発にはオールジャパン体制と
国際連携が必須

欧米では希少疾病医薬品開発を促進する活動が急速に進展

- IRDiRC
- ACCELERATE
- EU
 - European Rare Disease Research Coordination and Support Action (ERICA) 等
 - 小児開発では、全EUネットワークのconnect4children: 2024年に独立法人化 (EU Innovative Health Initiativeによる研究費からの移行)
 - ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer)
- 米国
 - National Organization for Rare Diseases (NORD)
 - Rare Disease Clinical Research Network (RDCRN)

など



IRDIRC

INTERNATIONAL
RARE DISEASES RESEARCH
CONSORTIUM

International Rare Diseases Research Consortium (国際難病コンソーシアム)

設立：2011年にヨーロッパ委員会（Commission）とアメリカNIHが共同で設立した世界的な団体

目的：研究を通じて希少疾患に取り組み、希少疾病患者が治療を受けられるようにする

構成：世界各国から60団体(アカデミア、資金提供者、企業、患者支援団体)

活動：希少疾病研究におけるギャップと重要な問題を特定し、ガイドライン、推奨事項、リソースを作成する。参加者の70%は小児科医とのこと。

→ 各国の背景が異なるため、概要をIRDIRCが作成し、各国で詳細な部分を議論して、最終的に方針を決定する。

<https://irdirc.org/who-we-are-2/>

日本からもAMED、PMDA等から参加しているが、
国内での関係者との情報共有は不十分で
連携・活動に反映されていないのではないかと。



European Rare Disease Research Coordination and Support Action (欧州希少疾病研究調整支援コンソーシアム)

設立：全ヨーロッパの医療提供者が関与するネットワークで、24のEuropean Reference Networks (ERNs)で構成される国際的研究グループ

目的：以下のために知識の共有し、希少疾患関係者のネットワークや様々な保健分野で活動する

- ERN内および各ERN間による新しい希少疾患ネットワークの形成
- 効果的なデータ収集戦略
- 患者がより参加しやすい環境
- 臨床試験の質と効果の向上
- ERNのイノベーションの可能性に対する認識を高める

活動：ERICAは、ERN研究活動の統合、ヨーロッパ研究インフラの展開、開発イノベーションによって、研究と開発能力を強化している。

※ ERICA→European Rare Diseases Research Alliance (ERDERA)へ移行

<https://erica-rd.eu/>

我が国では、このような希少疾患横断的な連携体制がほぼ皆無ではないか。

設立：全ての小児の新薬やその他の治療法の開発促進を目的とした
全欧州のネットワーク

目的：小児と家族が必要とする国際共同小児臨床試験の実施を目指す。

構成：アカデミアと企業等が協力した組織であり、36のアカデミア団体、10の
企業、500の提携パートナーが参加協力：EUの、国のネットワーク、疾患
領域ネットワーク（例：嚢胞性線維症）等を登録。

活動：医薬品開発プロセスのあらゆる条件および段階で、高品質の小児臨床試験
を効率的かつ迅速に実施するための、持続可能な統合プラットフォームを
提供する

<https://conect4children.org/about/>

2024年からは法人化して活動

このような本格的なネットワークは米国にもあるが、予算規模は数億-10億円/年 規模



ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer)

目的：小児がんに対する新規薬剤の早期相臨床試験を推進する

活動：欧州を中心に、複数の医師主導国際共同試験を実施、企業の薬剤開発をサポートする



ACCELERATE

目的：小児がんの医薬品開発をaccelerate (加速)させる

活動：欧米を中心に全ての利害関係者（製薬企業、規制当局、アカデミア、患者団体）が一同に会して、問題を討議、目標を設定して行動する

ITCCの主導している一部の国際共同臨床試験に日本が参加している。

今後日本とITCC間でパートナーシップを締結すべく議論を進めている。

ACCELERATE年次会議に、日本からアカデミア、PMDA、患者家族が参加している。

国際共同試験に継続して参加していくために
海外と連携できる国内ネットワークの維持と資金が必要である。

小児の疾患領域臨床研究ネットワーク: 例1 小児がん領域

小児がん中央機関



国立がん研究センター
中央病院
National Cancer Center Hospital



NCCHD
国立研究開発法人
国立成育医療研究センター
National Center for Child Health and Development

主に固形腫瘍に対する
新規薬剤の臨床開発を担当

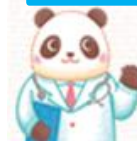
主に血液腫瘍に対する
新規薬剤の臨床開発を担当

ITCCと連携し、ITCCの主導する国際共同試験を
National Coordinating Centerとして担当

がん種や治験/試験ごとに小児がん中央機関と
小児がん拠点病院等を中心としたネットワークを
構築して新規薬剤開発を推進

新規薬剤開発を推進するためのネットワーク
(小児がん治療開発コンソーシアムetc.)を維持
するための、恒常的な予算の確保が大きな課題

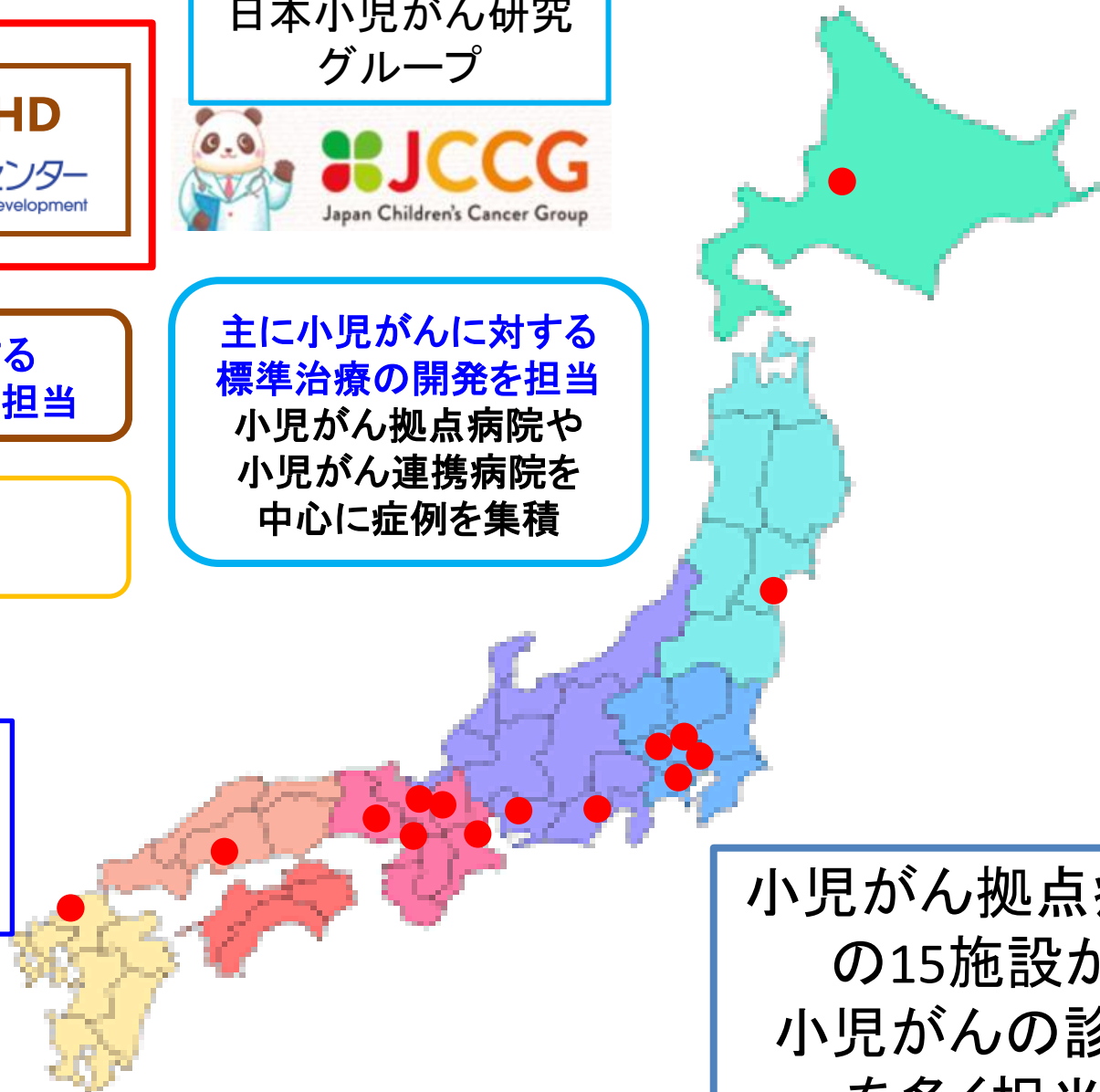
日本小児がん研究
グループ



JCCG
Japan Children's Cancer Group

主に小児がんに対する
標準治療の開発を担当
小児がん拠点病院や
小児がん連携病院を
中心に症例を集積

小児がん拠点病院
の15施設が
小児がんの診療
を多く担当



小児の疾患領域臨床研究ネットワーク

例2:小児腎領域

- 小児腎臓病研究グループ(JSKDC)は、異なる適応についてAMED研究費を取り続けることが出来たために、存続出来ている。
- 薬事承認に繋がる質の高い医師主導治験、特定臨床研究を実施。

他にも、

- 臨床研究中核病院等を中心として医師主導治験、特定臨床研究が進行している
- 国際研究ネットワークへ参加して研究実施している研究者も(小児リウマチなど)

研究費や特定の企業治験が終了した段階で、構築したネットワークが消滅することも多く、世界的に問題視されている:対応策としてconnect4children、iACT for Childrenなどが公費で整備

- 小児医療施設等でも、まだ十分なCRCは確保されていない:SMOからの支援を可能とする体制・予算も含め、試験実施の拠点施設の体制強化も必要
- 小児がんは、他の小児領域や成人がん領域と異なり、独立した開発連携が必要:早期開発、後期開発・製販後でも体制は異なる
- IRDiRCやERICAなどのように、希少難病をヨコ串で刺しノウハウを共有・連携できるような体制も必要

医薬品開発推進に向けての小児科領域の活動

- **日本小児科学会薬事委員会**

委員長: 故大西鍾壽先生(香川大学名誉教授)⇒松田一郎先生(熊本大学名誉教授)⇒香川大学 伊藤 進 名誉教授⇒

～平成30年 京都きづ川病院 中川雅生病院長

平成30年～令和2年 東京慈恵会医科大学 勝沼俊雄教授

令和2年～ 中村秀文

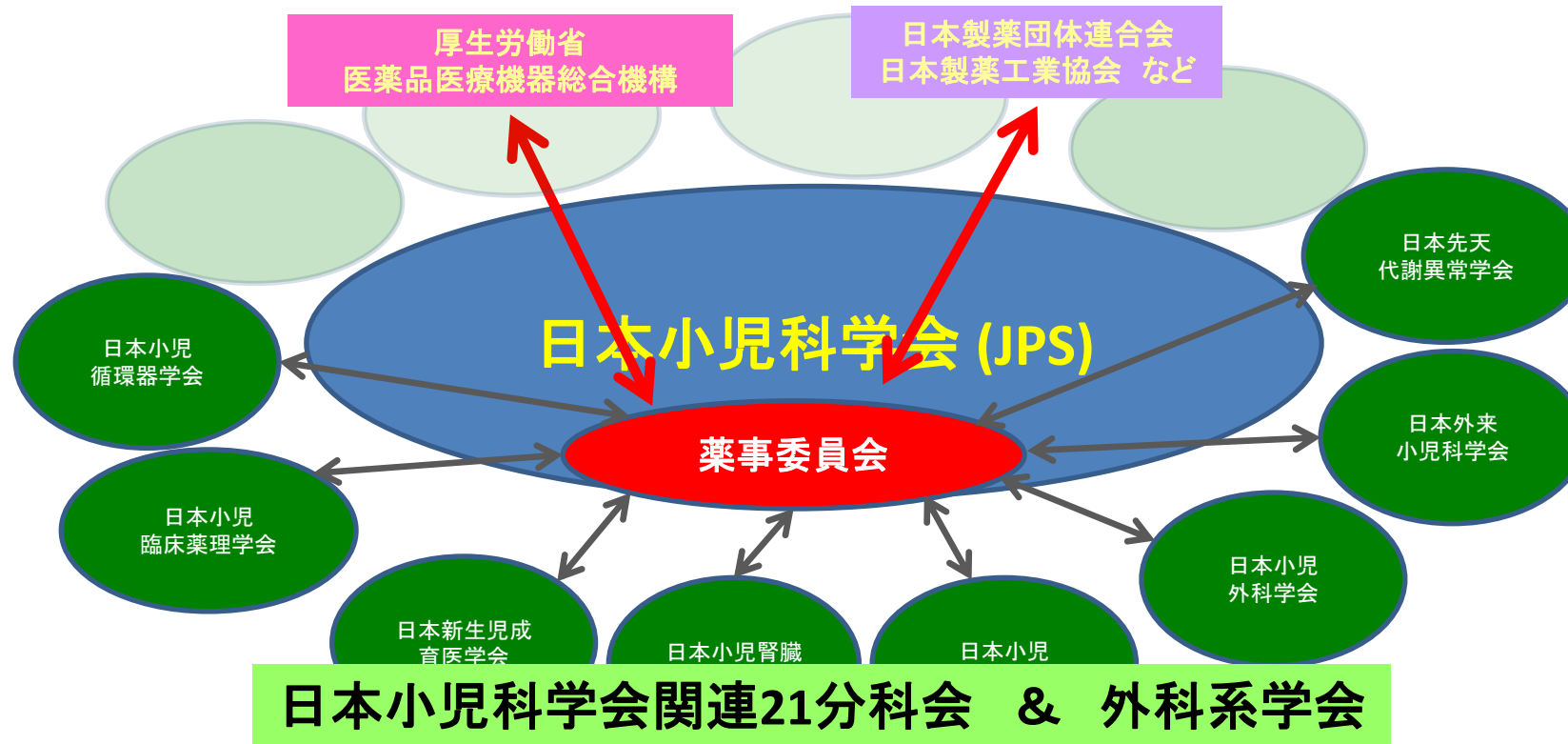
- 2017年には「小児医薬品開発ネットワーク」設立

- **AMED研究班**

厚生労働科学研究 研究代表者: 故大西鍾壽先生(香川大学名誉教授)⇒松田一郎先生(熊本大学名誉教授)⇒香川大学 伊藤 進名誉教授⇒平成25年から中村秀文が代表へ

- 平成25年度-27年度: 小児医薬品の早期実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究(H27年度からAMED研究事業)
- 平成28年度-30年度: 小児医薬品の実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究
- 平成31年度-令和3年: 小児医薬品早期実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究
- 令和4年度-令和6年度: 小児医薬品の早期実用化と国際連携に資するレギュラトリーサイエンス研究

日本小児科学会 及び 関連分科会の取り組み



小児医薬品開発推進に向けての情報・ノウハウの共有
未承認薬・適応外薬の要望提出や55年通知関連作業、供給停止問題対応も、連携して実施
AMED研究研究班の活動として、毎年全体会議を行い情報共有



小児医薬品開発ネットワーク

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



公益社団法人
日本小児科学会
Japan Pediatric Society

＜リンク＞＜サイトマップ＞＜E

＜学会について＞**＜各種活動＞**＜小児科専門医＞＜ガイドライン・提言＞＜刊行物＞



学術集会
各種委員会
インテンシブコース
小児診療初期対応コース
各種研修会・講習会など
予防接種・感染症
出生前コンサルト小児科医
国際学会関係
表彰関係
災害対策関係

学会 INFORMATION

重要なお知らせ

＜小児医薬品開発ネットワーク・医薬品供給相談＞

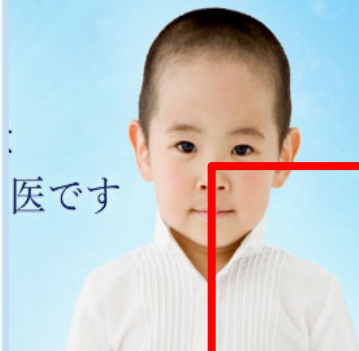
＜大規模災害対策情報システム＞男女共同参画推進 について 2024年07月09日

＜【更新】能登半島地震に被災した医療機関の支援について＞中核病院小児科・地域小児科センター登録事業 セミナーコンテンツ 2024年02月27日

＜小児科用語集＞

＜東京オリンピック・パラリンピックコンソーシアム＞

＜小児科学会からのメッセージ＞その他の情報



医です

小児医薬品開発ネットワーク支援事業

(厚生労働省医政局 医療施設運営費等補助金及び中毒情報基盤整備事業費補助金)

目的と概要

本事業は、先行して実施された日本医療研究開発機構（AMED）研究事業（平成29年度～令和元年度）の体制を強化し、令和2年度より開始されました。日本小児科学会（以下、学会）が、小児科に関連する専門分科会、小児治験ネットワークと連携し、小児医薬品開発に取り組む製薬企業・治験国内管理人等に対して、開発の企画段階から治験実施、承認申請、及びその後の対応に至るまでの全てのプロセスにおいて、オールジャパン体制で助言・協力・支援します。「医薬品開発は、製薬企業・医療現場・学会が協同して実施する」という意識の浸透、世界同時開発への参画推進やドラッグ・ラグの解消、また小児医薬品開発に関わる人材の育成も目指します。

本事業では、小児医薬品開発のために以下のような活動をしています。

○規制科学及び医学的見地のみならず、医療現場及び患者・保護者の視点も含めた助言

⇒小児医薬品開発支援チーム（以下、ワーキンググループ）を、相談内容（疾患領域）ごとに迅速に組織します。ワーキンググループには、対象疾患領域の専門医、小児医薬品開発に精通した規制科学・開発薬事専門家、臨床薬理専門家、小児治験の経験が豊富な臨床研究コーディネーターも参加し、多角的な視点から小児医薬品開発に関する助言を受けることができます。

○小児治験実施のプラットフォームである小児治験ネットワークとの連携による円滑な小児治験の実施

⇒小児治験ネットワークを通じて、フィジビリティ調査、治験実施、中央治験審査委員会での一括審査等を行うことができます。

○小児医療情報収集システムの活用

⇒小児病院・クリニックの総症例数100万人を超える電子カルテ情報を活用した症例調査等を行うことができます。



小児医薬品開発ネットワーク JPEDNet

2017年度—2019年度AMED研究費、厚生労働省小児医薬品開発支援事業

本事業は、日本小児科学会薬事委員会が中心となり、各小児科専門領域における医薬品開発に理解のある小児科医が協力し、オールジャパン体制で企業治験の実施に協力・参加する

専門領域によっては、治験の経験がほとんどない領域や、過去に治験の進捗が思わしくなかった領域も、

- 他の領域の経験のある小児科医や国立成育医療研究センター・小児治験ネットワークのノウハウを提供することにより、治験成功可能性を最大化させる
- また進捗が思わしくない場合には、その解決について最大限の助言と協力をする

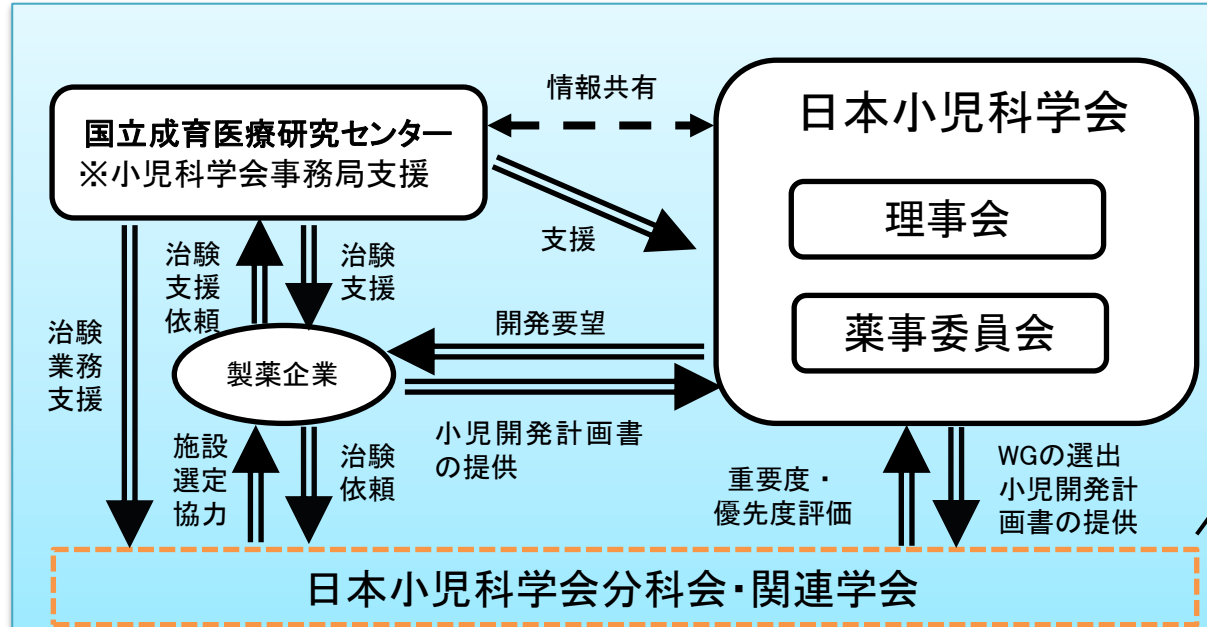


日本小児科学会小児医薬品開発ネットワーク

ー小児医薬品開発のためのオールジャパンネットワークー

➤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(治験実施施設の選定、相談・助言など)の支援



ワーキンググループ設置済の分科会／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
18	日本小児麻酔学会

①AMED事業(2017～2019年度): **13品目**の開発支援要請
⇒13品目におけるワーキンググループに参画した専門家は、
17領域から60名(それぞれ延べ数)。

②厚生労働省事業(2020～2024年度(2024.9迄)): **19品目**の開発支援要請
⇒19品目におけるワーキンググループに参画した専門家は、
23領域から127名(それぞれ延べ数)

★厚生労働省事業よりWGには小児CRCも参画し、医師と共に医学的な助言のみでなく治験実施面での具体的なアドバイスも実施

開発支援リストの作成・更新、企業への開発要望、治験実施のサポートを進める



産官学連携による
小児医薬品開発の
さらなる促進へ



日本小児科学会小児医薬品開発ネットワーク ー小児医薬品開発のためのオールジャパンネットワークー

- 企業からの応募を受けて、薬事委員会は小児医薬品開発支援チーム（以下、WG）リーダーを指名し、リーダーは関連学会から専門家を選抜しWGを組織
- 必要に応じて、複数の関連学会から専門家を選抜（例：新生児、感染症と呼吸器）
- WGには、薬事委員会の担当者、対象疾患領域の専門医（複数）、小児医薬品開発に精通した規制科学・開発薬事専門家、臨床薬理専門家、小児治験の経験が豊富な小児治験ネットワーク小児CRC部会のCRC（複数）も参加し、多角的な視点から小児医薬品開発に関する助言を実施
- 企業の開発担当者からの説明とそれに対する助言（1回2時間、複数回の開催可能）
- 医学的な助言のみでなく治験実施面での具体的なアドバイス、施設選定支援など、幅広く支援。
- 国際連携に向けて
 - 2021年3月に米国のI-ACT for Childrenと連携に向けての守秘義務契約締結
 - 2022年11月にEuropean Network of Paediatric Research at the EMA (Enpr-EMA)に登録
 - 英文HP作成準備中

<相談内容>

- 治験国内管理人・海外企業に対する国内開発の可能性・治験実施体制についての助言
- 開発企画段階での実施可能性やプロトコル骨子案についての助言（開発のgo, no goを決めるためのご相談も可能）
- 国際共同治験やグローバル開発チームとの連携についての助言（英語対応可能）（例：日本の臨床現場の具体的状況、ニーズや計画の改善点の提案など）
- 医学専門家候補の紹介、対象疾患に関する臨床的知見の提供
- 治験実施計画書、試験デザインに関する助言
- 小児治験ネットワークを通じた実施可能性調査、治験実施施設選定の調査協力、候補施設の提案、中央治験審査委員会事務局の紹介（一括審査は有料）

<相談内容>

- 小児医療情報収集システムを活用した、医療機関の該当症例数や、検査値等の診療情報の調査
- 症例登録推進のための助言（遅延の解決策の検討等）、症例検索の協力（学会や小児治験ネットワークを通じた症例調査等）
- PMDAとの対面助言への協力、規制当局からの要望・指摘への対応について協力
- 治験実施中の各種問題に対する具体的助言
- 治験実施体制や安全管理策についての助言
- 承認申請後の規制当局からの照会事項に対する対応・回答についての助言
- 適正使用マニュアル等、医薬品の適正使用に関する助言

質が高く迅速で、多角的なアドバイスが必要

- WGでの助言を反映して、治験が円滑に進行した事例もある。
- リピーターとなった企業もある。
- 折角WGで助言してもなかなか反映されないことが多い。
 - グローバルですでにプロトコルが決まっている
 - 既に治験が開始されている 等、理由は様々
- より早期に相談いただく必要がある：国内外のベンチャー企業の相談にも迅速に対応する必要性（CROにもベンチャー企業からの小児開発の相談が増えていると聞いている）
 - ⇒簡易相談、シーズ・早期開発相談、実施可能性相談等の実施準備中
 - ⇒英文ホームページ準備中
 - ⇒海外ベンチャー・グローバル企業本社への助言が可能な支援体制準備中
- この連携・支援体制は、医師主導治験にも活用可能と考えられる。



小児治療ネットワークの活動

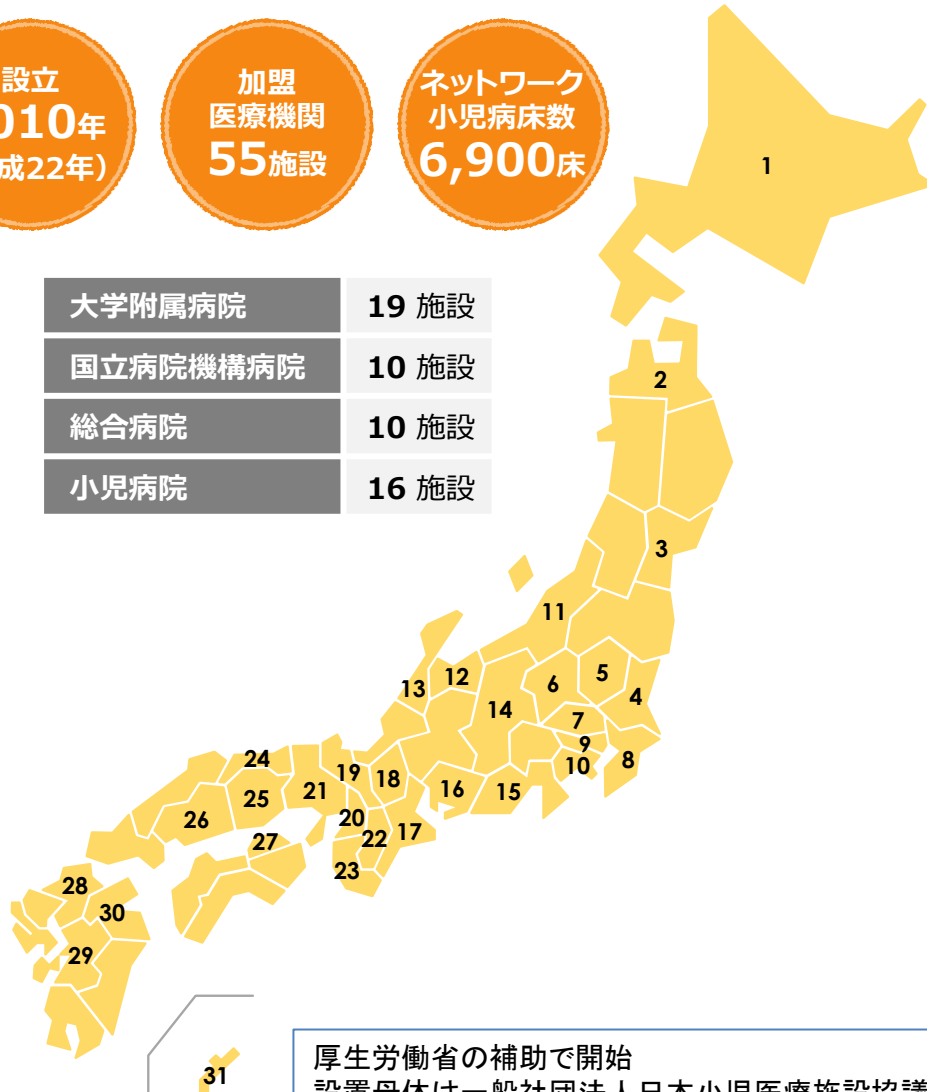
—加盟施設の状況—

設立
2010年
(平成22年)

加盟
医療機関
55施設

ネットワーク
小児病床数
6,900床

大学附属病院	19 施設
国立病院機構病院	10 施設
総合病院	10 施設
小児病院	16 施設



2025年1月1日現在

厚生労働省の補助で開始
設置母体は一般社団法人日本小児医療施設協議会
委託により国立成育医療研究センターに事務局

中央IRB一括審査可能施設
38施設

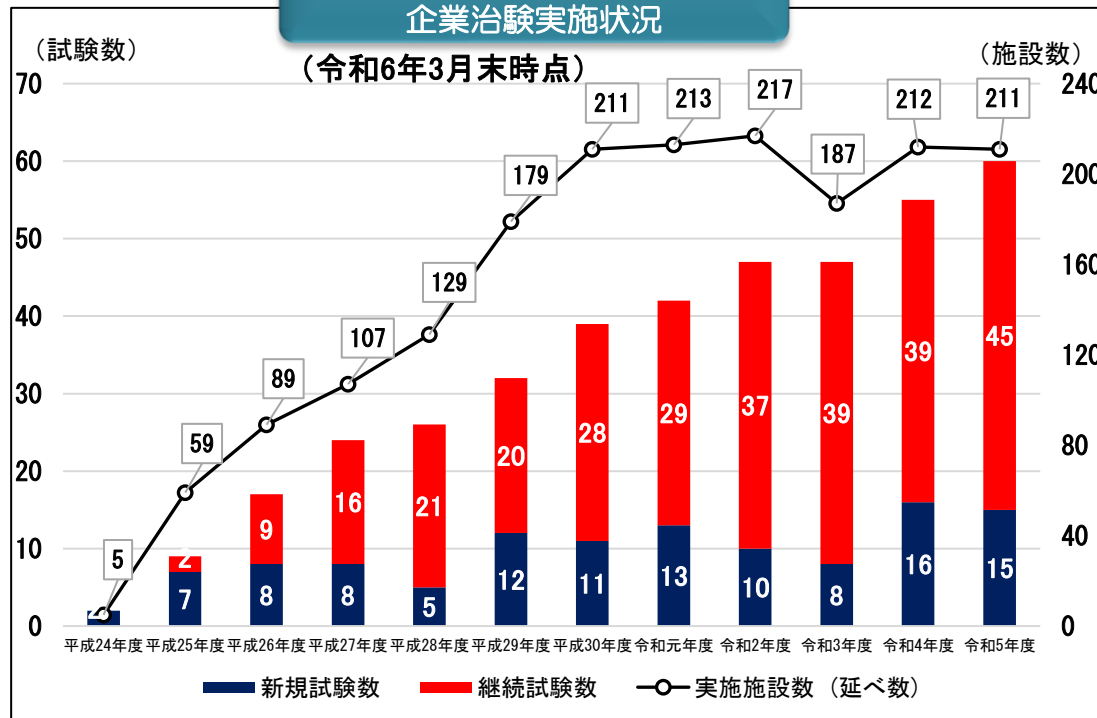
1	● 北海道立子ども総合医療・療育センター	16	◎ 日本赤十字社愛知医療センター名古屋第一病院
2	● NHO 弘前総合医療センター	17	● あいち小児保健医療総合センター
3	● 宮城県立こども病院	18	● 愛知県医療療育総合センター中央病院
4	◎ 東北大学病院	19	◎ NHO 三重病院
5	● 茨城県立こども病院	20	● 滋賀県立総合病院
6	● 獨協医科大学病院	21	◎ 京都府立医科大学附属病院
7	● 自治医科大学附属病院	22	◎ NHO 南京都病院
8	● 群馬県立小児医療センター	23	● 大阪母子医療センター
9	● 埼玉県立小児医療センター	24	◎ 大阪市立総合医療センター
10	● 千葉県こども病院	25	● 高槻病院
11	◎ 東京女子医科大学附属八千代医療センター	26	● 大阪はびきの医療センター
12	● 国立成育医療研究センター	27	● 兵庫県立こども病院
13	● 東京都立小児総合医療センター	28	◎ 神戸大学医学部附属病院
14	◎ 東京大学医学部附属病院	29	◎ 奈良県総合医療センター
15	◎ 東京科学大学病院	30	◎ 和歌山県立医科大学附属病院
16	◎ 順天堂大学医学部附属順天堂医院	31	◎ 鳥取大学医学部附属病院
17	● 神奈川県立こども医療センター		● NHO 岡山医療センター
18	◎ 横浜市立大学附属病院		◎ 川崎医科大学附属病院
19	● NHO 相模原病院		● 県立広島病院
20	◎ 東海大学医学部付属病院		◎ NHO 福山医療センター
21	◎ 北里大学病院		● 福山市民病院
22	◎ 新潟大学医学部総合病院		◎ 広島大学病院
23	◎ 富山大学附属病院		● NHO 四国こどもととなの医療センター
24	◎ 金沢医科大学病院		● 福岡市立こども病院
25	● NHO 金沢医療センター		◎ 九州病院
26	● 長野県立こども病院		◎ NHO 熊本医療センター
27	● 静岡県立こども病院		◎ NHO 別府医療センター
28			● 沖縄県立南部医療センター・こども医療センター
29			
30			
31			

● 会員（29施設）とは、統一手順書等を遵守し、中央IRBの一括審査が可能な施設
◎ 準会員（9施設）とは、一部を除く統一手順書等を遵守し、中央IRBの一括審査が可能な施設
◎ 協力施設（17施設）とは、実施可能性調査のみ対応可能な施設



小児治験ネットワークの活動 ー治験実施状況ー

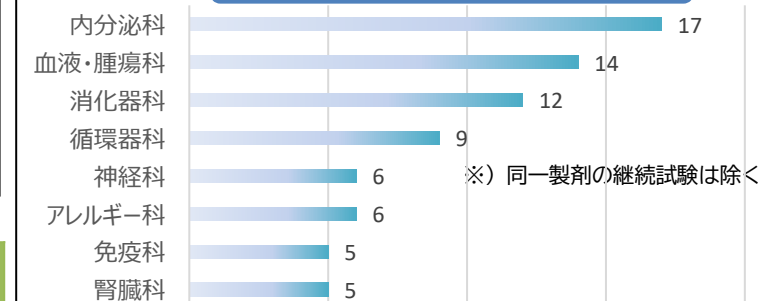
小児治験ネットワークを介した
企業治験実施状況



施設別受託課題数
ー平成24年度ー

課題数	施設名(略称)	課題数	施設名(略称)
①	成育	⑤	都立小児
②	埼玉小児		兵庫こども
③	福岡こども	⑥	神奈川こども
④	大阪母子		あいち小児
10課題以上	宮城こども、静岡こども、大阪市立、自治医大、千葉こども、NHO四国、京都府立		

診療科別治験数



主な対象疾患

成長ホルモン分泌不全	鎮静	静脈血栓症
てんかん	アトピー性皮膚炎	潰瘍性大腸炎
小児がん	未熟児網膜症	ムコ多糖症
若年性特発性関節炎	高血圧	重症喘息
血友病	心不全	先天性心疾患

承認等の進捗状況
ー小児治験NWを介した治験ー

承認取得	36	治験終了	64
開発中止	5	治験実施中	50



小児治験ネットワークの活動

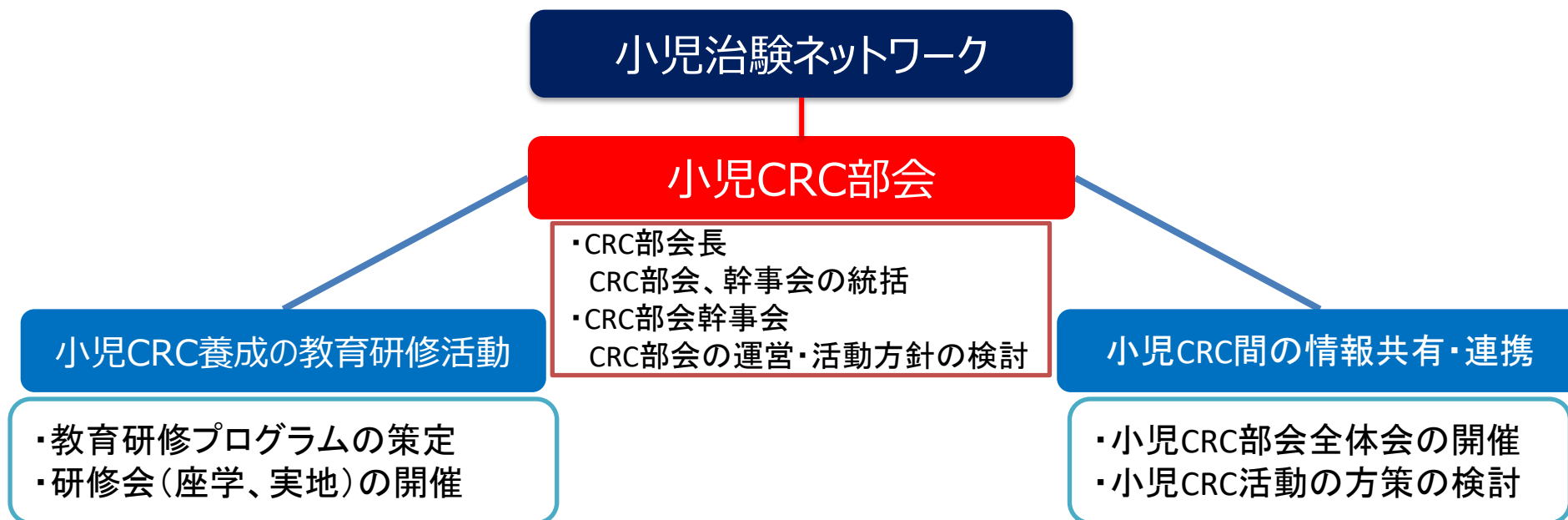
－小児CRCの養成（小児CRC部会の設置）－

■ CRC部会設立（H29.4～）

小児の専門性を兼ね備えたCRCと小児治験経験の少ないCRCが会合する機会を持ち、小児の専門性を兼ね備えたCRCの養成を継続して実施。

■ CRC部会長

- ・友常 雅子（東京都立小児総合医療センター）



小児と薬情報収集ネットワーク整備事業

小児医療現場では、未承認薬・適応外薬の使用が常態化

- 臨床現場の医師は治療に際して必要性に迫られそれらの未承認薬・適応外薬を小児患者へ使用しているが、それらの使用実態は十分に明らかになっていない。
- つまり、小児科領域の医薬品使用環境は日常的にリスクにさらされている状態である。

小児医療情報収集システム（医療情報データベース）構築

- 医療情報：病名、医薬品処方、検体検査
 - 患者情報：性別、生年月日
- の情報を収集し、解析・評価するためのデータベースを構築

小児医薬品の使用実態を明らかにする活動

- 小児医薬品（未承認薬・適応外薬）の使用実態調査
- 小児医薬品（未承認薬・適応外薬）のリスク評価
- 小児医薬品開発の推進

子どもたちへより安心・安全な医療の提供

小児病院

11施設

小児科クリニック

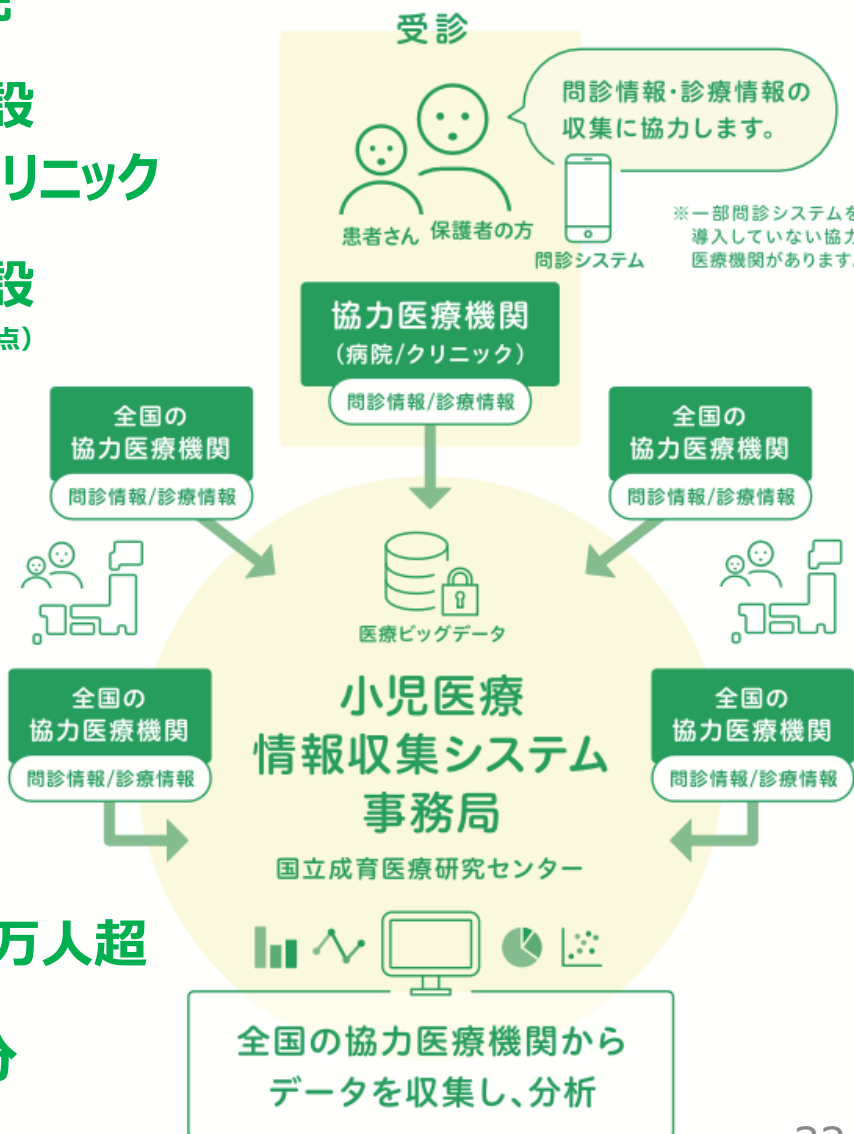
32施設

（2024年9月時点）

100万人超

約8年分

（2016年4月～）

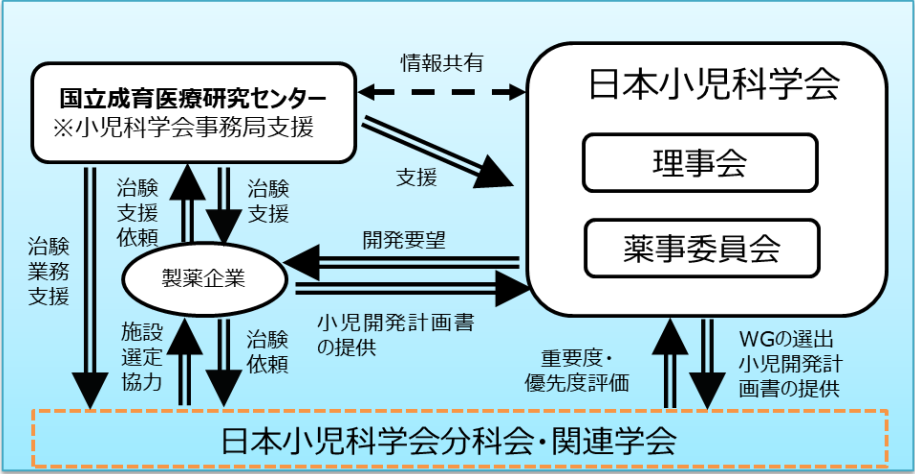


治験実施の効率化・開発期間の短縮



治験実施計画最適化・施設選定支援：案件一覧

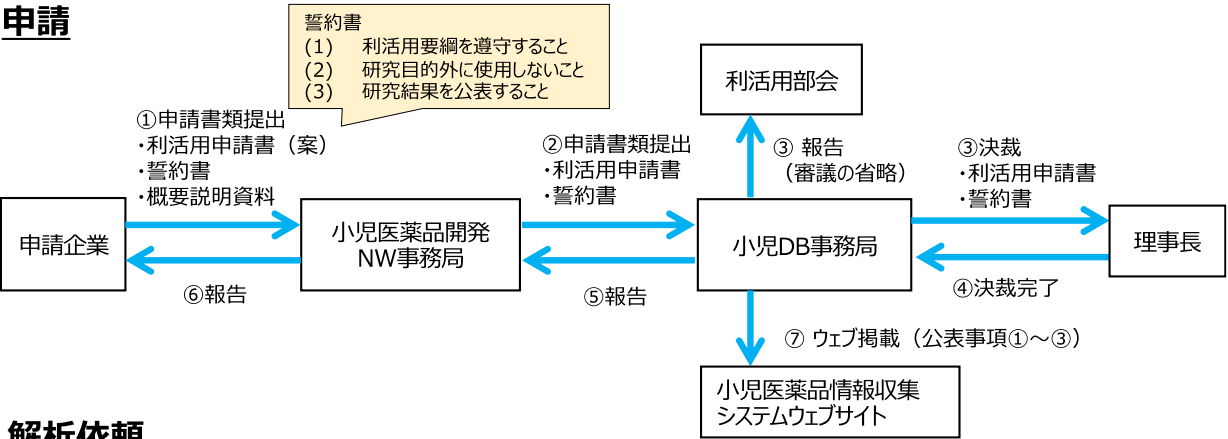
小児医薬品開発ネットワーク支援事業



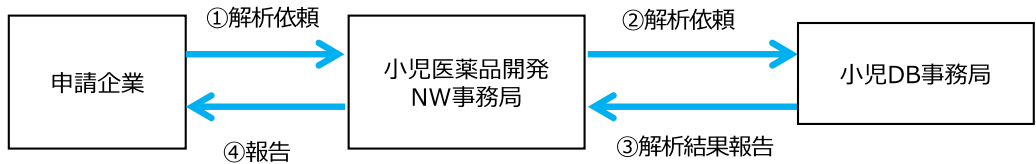
申請案件 5件（2022年4月～2024年12月）

#	課題名	対象疾患名	ステータス
1		感染症	解析終了 公表済
2		腎症 腎炎	解析終了 公表済
3		血液疾患	解析終了 公表済
4			解析終了 公表済
5		疾患	解析終了 公表準備中

申請



解析依頼



小児を対象とした医師主導治験の問題点と解決策について

臨床薬理 2024;55(1):21-34

- 小児医師主導治験の問題点：治験デザインの難しさ、検査手順や採血量に関する問題、臨床検査基準値の問題、小児剤形の問題、小児治験の位置づけ、研究費不足等
- 小児治験に精通した「専門家チーム」のアドバイスを受ける必要性：小児領域の臨床試験・医師主導治験の経験やノウハウのあるプロジェクトマネジャー、開発薬事担当者、臨床薬理専門家、CRCなど
- 実施の支援：試験実施体制の構築支援、調整事務局業務支援、被験者リクルート促進のための方策検討、準備・実施その他を支援する体制の整備
- 小児領域の医師主導治験の問題解決には、プロトコル作成よりも前段階で、コンセプトの検討や医師主導治験実施の可否も含めた開発戦略・ロードマップの検討・提案、剤形、評価項目とその評価のタイミングなど、企画する医師やその支援スタッフの理解度・経験度や体制に応じて、よりきめ細やかなコンサルテーションが行われる必要がある。
 - 臨床研究中核病院には必ずしも小児疾病に詳しい人材が十分にいるとは限らないが、プロトコルが確定し実施体制などが決まれば、支援できる体制は十分にあると考えられる。
- 小児医師主導治験の経験が比較的に豊富な小児専門医療施設は存在するが、臨床研究中核病院に指定されるほどの規模ではないことが多い。

希少疾患の多くは小児発症

- 7000を超える希少疾患、<10% にFDAで承認された治療薬
- 2/3 は2 歳未満で発症
- 1/2は生命予後が悪い:
 - 35 % が1 歳未満で死亡
 - 10 % が1～5 歳で死亡
 - 12 % が5～15 歳で死亡

希少疾病治療開発には小児科領域のオールジャパン体制と国際連携が必須

- ✓ 一医療機関で、すべての希少疾病に対応することは不可能: 疾患によって中心となる機関は変わる。
 - ✓ むしろ共通基盤としての方法論等の助言・支援や体制・連携体制整備などのフレキシブルな支援が重要。
 - ✓ 国際連携のできる体制が不可欠。
 - ✓ 他の希少疾病領域でも似た状況かと思われる。
- ✓ 小児医療施設は臨床研究中核病院となる大学病院より規模が小さいため、いくつかのコアとなる医療施設にも体制整備を行い、これら医療施設と連携し既存のネットワーク等も活用して支援するのがより現実的ではないか。
- ✓ 第39回の臨床研究中核病院からの発表にもあったが、「数値要件を満たすことに注力せざるをえない」状況はあると思われる。