

ヒアリング希望団体及び意見提出  
のあった団体等の意見

## 「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会ヒアリング意見書」

- 団体の名称：日本小児科学会薬事委員会
- 代表者氏名：日本小児科学会薬事委員長 伊藤 進（香川大学小児科教授）
- 団体の概要：

（目的）小児の薬物療法を有効で安全なものにするために活動する。

（組織構成）委員長 伊藤 進

委員	板橋 家頭夫	（昭和大学小児科教授）
	大澤 真木子	（東京女子医科大学小児科教授）
	佐地 勉	（東邦大学小児科教授）
	中川 雅生	（滋賀医科大学医学部附属病院治験管理センター助教授）
	中村 秀文	（国立成育医療センター治験管理室長）
	横田 俊平	（横浜市立大学小児科教授）
薬事専門委員	越前 宏俊	（明治薬科大学薬物治療学教授）
	松田 一郎	（北海道医療大学学長）
薬事担当理事	脇口 宏	（高知大学小児思春期医学教授）
	藤村 正哲	（大阪府立母子保健総合医療センター総長）

（事業又は活動内容）

上述の目的遂行のために、平成 16 年度より「小児科領域における適応外使用解決と治験推進のためのアクションプラン」を作成し、それに沿って活動している。平成 17・18 年度のアクションプランを添付する。

### 意見内容

「有効で安全な小児医薬品を迅速に提供するため」に、厚生労働省も「小児薬物療法検討会議」及び「未承認薬使用問題検討会議」を立ち上げ、臨床的ニーズの高い適応外使用医薬品及び未承認医薬品の早期承認に取り組んでいるところである。これらの方策は一定の成果をもたらすことは期待されるものの、あくまで暫定的な対応であり、国内における根本的な小児治験推進策の策定と審査体制の強化が同時進行で行われなければ「欧米と比べた承認の遅れ」を解決することは出来ない。むしろ国内小児治験の数と質の低下をもたらす可能性すらあり、国内の小児医薬品開発力の更なる低下につながりかねない。

#### （１）承認審査の方針や基準の明確化と市販後安全対策への取り組み

小児の医薬品は、アンメット・ニーズ医薬品（医療ニーズが高いが、製薬企業が開発しない医薬品）が多く、後述のように製薬企業へのインセンティブ・義務化や各種体制整備が必要である。承認審査の中では以下の点を考慮すべきである。

承認審査において、成人で開発される医薬品に関して、小児での必要性が認められる医薬品については小児集団を開発対象に入れることを義務付ける。また、審査費用の減免（英国などで実施中と聞いている）、重要な小児用医薬品に関しては積極的に優先相談・審査制度を適用すること、等も考慮していただきたい。

製造販売後安全対策については、平成 11 年医薬審第 107 号にあるように、再審査期間中

の医薬品のみならず小児および胎児への薬剤の有害事象について製造販売後の十分な調査を製薬企業に徹底する必要がある。また、アクションプラン「7）製造販売後調査・使用実態調査を活用した小児の情報収集の枠組み作り」で記載したように機構と小児科医側が協力体制を作り、製造販売後の監視システムが構築できないかを検討する。製造販売後調査の枠組みの中に、小児適応外医薬品の有効性や安全性を高めるために PK/PD のデータが取れるように薬物血中濃度測定を入れることも検討していただきたい。

## **（２） 治験相談・承認審査の体制の充実**

治験相談・承認審査については、小児科の臨床実態や小児医薬品開発の特殊性を十分に理解・考慮しているとは言いがたいコメント・照会事項が出されることも多いと聞いている。今後、小児薬物療法検討会での検討品目も審査に上がってくる現状を勘案し、優秀な小児科医の審査専門員を適正配置し、小児科領域に十分対応可能な審査体制を整備いただきたい。

また（１）にも示したように、審査費用の減免、重要な小児用医薬品に対する優先相談・審査制度の適用、等も考慮していただきたい。優先審査品目の選定については、専門家による適正な優先順位づけが行われる体制が必要となろう。

## **（３） その他医薬品の安全かつ迅速に資する事項**

小児の医薬品は、アンメット・ニーズ医薬品が多く、製薬企業は開発の着手すら困難な状況である。厚生労働科学特別研究事業『「適応外使用」の対応に係る現状と今後の対応のあり方に関する研究』（主任研究者 黒川 清）平成 16 年度総括・分担研究報告書 pp49-54 にあるように、欧米では小児治験推進のために、インセンティブや義務化等の法整備、規制当局・行政及び現場の体制整備等が急速に進んでおり、我が国でも企業へのインセンティブ、義務化や体制整備についての検討が至急開始されるべきである。

現状では、製造販売後に小児臨床試験を実施した場合には再審査期間延長という企業へのインセンティブがあるものの、成人と同時開発をした際のインセンティブは欠如している。製薬企業からは、その医薬品の成人における審査期間の短縮のインセンティブ等の要求もある。小児医薬品の薬価についても、なお一層の改善を期待するものである。オーファンドラック適用を受けた医薬品については市販後調査の公的補助等の仕組み等も検討されるべきであろう。

小児科の日常臨床において、成人用の薬剤の脱カプセル、錠剤の粉碎化、承認・認可を受けた以外の投与経路や注射剤の希釈等多く行われている。これは、小児用剤形開発を製薬企業が怠っているためである。製剤開発経費や薬価の安さ（成人用の薬剤を基準にするため）等がその因子となる。これに関しても、何らかの公的な補助制度や企業へのインセンティブが必要である。

再審査期間終了後の古い医薬品については現行のシステムでは、企業への開発のインセンティブはない。また、個人輸入薬、試薬などについても、なかなか国内で開発をしようとする企業がないことが問題となっている。より強力なインセンティブや支援体制が必要である。

さらに、多くの病院で採用されている一増一減の医薬品採用制度では、小児用薬剤が開発され臨床現場で採用されるとそれにより製薬企業が利益率の高い薬剤をその病院の削除品目としてあげなければならない、小児用医薬品の開発意欲を低下させる原因となっている。そのため、病院の小児用医薬品採用に関して一増一減制度の対象とならないような働きかけも必要である。