

事 務 連 絡
令和 6 年 3 月 29 日

各都道府県衛生主管部（局） 御中

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課

成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定に
ついての質疑応答集（Q&A）について

成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定については、「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」（令和6年1月12日医薬審発0112第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知。以下「課長通知」という。）にて示したところですが、この度、別添のとおり質疑応答集（Q&A）を取りまとめましたので、御了知の上、業務の参考として貴管内関係事業者に対し周知方御配慮願います。

(別添)

成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定についての質疑応答集 (Q & A)

Q 1. 課長通知は、成人を対象とした医薬品の開発を行う際に、小児用医薬品の開発計画を策定することが義務付けられることを意味するのか。

A 1. 小児用医薬品の開発計画を策定することが望ましいとするものであり、義務付けるものではない。

Q 2. 「成人と小児における効能・効果が異なる医薬品 (例えば、成人と小児で対象となるがんの種類が異なる場合等)」としては、がんに対する分子標的薬であって、その作用機序に照らして効果が期待される、成人とは異なるがん腫の小児がんは含まれるのか。

A 2. 含まれる。

Q 3. 課長通知に基づき、開発計画について独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (以下「PMDA」という。) から確認を受けようとする場合には、具体的にどのような手続によるのか。

A 3. 成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでに PMDA の確認を受ける場合、PMDA の「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」を活用すること。また、他の対面助言を利用して小児用の開発計画について PMDA の確認を受けた場合は、当該対面助言をもって課長通知に基づく確認を受けたものとみなす。

「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」は、開発計画の確認を行うのみであり、臨床試験デザインの妥当性、臨床データパッケージの充足性等の相談は医薬品第Ⅱ相試験終了後相談等の従来の対面助言を利用すること。

なお、成人を対象とした医薬品の承認申請後に PMDA の確認を受ける場合、承認申請資料のコモン・テクニカル・ドキュメント (以下「CTD」という。) のモジュール 1.5 に開発計画を記載すること。

Q 4. 新たな効能の追加を目的として成人を対象とした医薬品の開発を行う際に、小児用医薬品の開発計画について、成人を対象とした医薬品の当該効能追加に係る承認申請を行うまでに PMDA の確認を受けた場合にも本通知の対象となると理解してよいか。

A 4. そのとおり。なお、成人と小児における「効能又は効果」が異なる医薬品において、小児用医薬品の開発計画について PMDA の確認を受ける場合は、「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」ではなく、医薬品第Ⅱ相試験終了後相談等

の従来の対面助言を利用すること。

Q 5. 小児用医薬品の開発計画としては、治験を実施する内容でなければ、課長通知に定める小児用医薬品の開発には該当しないのか。

A 5. 承認を受けるために適切な計画が策定可能であれば、必ずしも新たな治験を実施する必要はなく、リアルワールドデータ、モデリング&シミュレーションの活用等による開発計画であっても、課長通知に定める小児用医薬品の開発に該当する。なお、リアルワールドデータ、モデリング&シミュレーションの活用等による治験を実施しない開発計画について PMDA の確認を受ける場合は、「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」ではなく、従来の対面助言を利用すること。

Q 6. 課長通知において、小児として想定される具体的な年齢層はどのくらいか。

A 6. 新生児を含め、開発の対象となる効能・効果ごとに必要性が認められる年齢層に対して開発することが望ましい。なお、開発の必要性が認められる年齢層のうち、体格や成熟度合い等を考慮した適切な用法・用量を年齢集団別に検討する必要が認められる場合には、段階的に年齢集団を拡大する開発も可能と考えられる。その場合は、段階的な開発を含めた計画の全体像を策定し、PMDA の確認を受けること。

Q 7. 「成人と合わせて評価可能な小児(10歳又は12歳以上の小児)の臨床評価の留意点について」(令和2年6月30日付け厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課事務連絡)に基づき、成人と合わせて評価可能な小児(10歳又は12歳以上の小児)の開発を行う場合、課長通知に定める小児用医薬品の開発に該当するか。

A 7. 該当するが、その場合は、成人と合わせて評価する小児とは別に開発の必要性が認められる小児の年齢集団がある場合には、当該年齢集団に対する開発も含めた計画の全体像を策定し、PMDA の確認を受ける必要がある。

Q 8. 課長通知において、「遅滞なく当該開発計画に基づいて開発を進めることが望ましい。」とあるが、どのくらいの開発期間を想定しているのか。

A 8. 一律に期間を定めることは難しいが、速やかに小児用医薬品の開発に着手するという観点から、成人用とは異なる小児用の剤形の開発を行わない場合、以下の対応を行うことが望ましい。なお、小児用の剤形の開発を行う場合の対応は、QA 9を参照すること。

- 治験計画届の届出を要する開発計画にあっては、PMDA の確認を受けてから

2年以内に治験計画届を届け出ることが望ましい。

- 治験計画届の届出を要しない治験を実施する開発計画の場合、PMDAの確認を受けてから2年以内に治験を開始することが望ましい。本事務連絡における治験の開始日とは、当該治験の治験実施計画書に記載する実施期間の開始日とする。
- また、治験を実施しない開発計画（リアルワールドデータ、モデリング&シミュレーションの活用等による開発計画）にあつては、PMDAの確認を受けてから2年以内に当該計画に従った承認申請を行うことが望ましい。

なお、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでにPMDAの確認を受ける場合、PMDAの確認とは「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」又は「従来の対面助言」における記録確定日を指す。また、成人を対象とした医薬品の承認申請後にPMDAの確認を受ける場合、PMDAの確認とは承認日を指す。

Q9. 課長通知において、「成人用とは異なる小児用の剤形の開発を行う場合においては、小児用の剤形の開発が必要とならない場合と比べて開発に長期間を要することが想定される」とあるが、小児用の剤形の開発を行う場合、どのくらいの開発期間を想定しているのか。

A9. 一律に期間を定めることは難しいが、速やかに小児用医薬品の開発に着手するという観点から、成人用とは異なる小児用の剤形の開発を行う場合、以下の対応を行うことが望ましい。

- 治験計画届の届出を要する開発計画にあつては、PMDAの確認を受けてから3年以内に治験計画届を届け出ることが望ましい。
- 治験計画届の届出を要しない治験を実施する開発計画の場合、PMDAの確認を受けてから3年以内に治験を開始することが望ましい。本事務連絡における治験の開始日とは、当該治験の治験実施計画書に記載する実施期間の開始日とする。
- また、治験を実施しない開発計画（リアルワールドデータ、モデリング&シミュレーションの活用等による開発計画）にあつては、PMDAの確認を受けてから3年以内に当該計画に従った承認申請を行うことが望ましい。

なお、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでにPMDAの確認を受ける場合、PMDAの確認とは「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」又は「従来の対面助言」における記録確定日を指す。また、成人を対象とした医薬品の承認申請後にPMDAの確認を受ける場合、PMDAの確認とは承認日を指す。

Q10. 「小児における適切な用法・用量を設定するために行う開発」とあるが、小児における適切な用法・用量が、成人での用法・用量と同じであるかどうかを確認する場合も含まれるか。また、成人における用法・用量と小児における適切な用法・用量が異なると想定し治験を実施したものの、結果的に成人の用法・用量と同じ用法・用量を小児においても定めることになった場合も含まれるか。

A10. いずれも含まれる。

Q11. 課長通知に従い PMDA の確認を行った場合、その記録はどのように残されるか。

A11. PMDA の対面助言記録に、課長通知に基づき確認を受けたことが記載される。

(PMDA の対面助言記録における記載例)

当該相談における小児開発計画は、「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」(令和6年1月12日医薬薬審発0112第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知)に基づき確認した。

また、PMDA の確認を受けた開発計画に基づき開発を進め、小児の適応が承認される場合、当該小児の適応に係る審査報告書にも確認を受けたことが記載される。

(小児の審査報告書における記載例：成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでに PMDA の確認を受けた場合)

本品目は、「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」(令和6年1月12日医薬薬審発0112第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知)に基づき、PMDA の対面助言(対面助言番号：●●●●)において小児開発計画を確認済みである。

(小児の審査報告書における記載例：成人を対象とした医薬品の承認申請後に PMDA の確認を受けた場合)

本品目は、「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」(令和6年1月12日医薬薬審発0112第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知)に基づき、PMDA において小児開発計画を確認済みである。

なお、成人を対象とした医薬品の承認申請後に PMDA の確認を受ける場合、当該成人の適応に係る審査報告書にも PMDA の確認を受けたことが記載される。

Q12. 課長通知に基づく PMDA の確認を受けた上で小児に係る承認申請に至った場合、承認申請資料に PMDA の確認を受けたことを記載する必要はあるか。

A12. ある。承認申請資料の CTD のモジュール 1.5 において、「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」（令和 6 年 1 月 12 日医薬薬審発 0112 第 3 号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）に基づき、PMDA の対面助言（対面助言番号：●●●●）において小児開発計画が確認された」旨、記載すること。

Q13. PMDA の確認を受けた後、開発計画に大幅な変更が生じた場合、改めて「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」を受ける必要があるか。

A13. 開発計画に以下のような変更が生じた場合は、改めて「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」等を利用して PMDA の確認を受けることができる。

- 対象となる年齢層に変更があった場合
- 開発計画のスケジュールが大幅に変更になった場合
- 小児用の剤形は不要と考えていたが、開発を進めた結果、小児用の剤形が必要となった場合

Q14. 「仮称・小児用医薬品開発計画確認相談」の運用が開始される前に、「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」（令和 6 年 1 月 12 日医薬薬審発 0112 第 3 号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）に基づく PMDA の確認を受ける場合、どうすればよいか。

A14. 従来 of 対面助言を利用すること。