

フォーラム富山「創薬」要旨  
テーマ「小児の難病と創薬への期待」

「小児用医薬品開発の現状と展望：日米比較」

国立成育医療センター 総合診療部  
土田 尚

平成 12 年、ICH(日米 EU 医薬品規制調和国際会議)における合意(ICH E-11)に基づき、「小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンス」(平成 12 年 12 月 15 日、医薬審第 1334 号)が定められた。以降、国際的にも広く小児用医薬品の開発の意義は高まっている。

しかしながら、小児用医薬品は、開発の土俵に上がらずに、長く孤児状態で放置されているような状況(Therapeutic Orphan)に置かれているものが多いことも事実である。安全性及び有効性における十分なデータがないままに、臨床での必要性に迫られて、承認された効能・効果もしくは用法・用量以外で使用される、即ち適応外使用(Off-Label Use)せざるを得ない状態であることも問題である。

適正な薬物療法のために本来あるべき姿は、こどもたちに使用される可能性の高い医薬品について、小児治験が実施され、適応が取得されることである。

こどもたちのために、できるだけ早く、良い医薬品を安全に提供するにはどうしたら良いか考え、実行することもまた小児科医の務めである。

本日は、医系審査官として医薬品承認審査に携わった経験を踏まえて、あまり表だって話されることはなかったであろう、日本の小児用医薬品の承認申請が実際にどのように行われているのか、日本の小児用医薬品開発の何が問題とされているのか等現状を具体的に、また小児用医薬品開発について先をいくと思われる米国や EU ではどのようなことが考えられ、問題とされ、解決策として実施されているか等お話させていただきたいと考えている。本日のテーマからは、少しばかり、それるかも知れないが、医薬品の承認申請ということを考える際には、避けては通れない道である。そして、私たち小児用医薬品(開発)に少しでも関わる状況にあるものは、こどもたちのためにどのようなことを願い、実行していかなければならないか等展望を、考えていくことができれば良いと思う。

フォーラム富山「創薬」の本日のテーマが「小児の難病と創薬への期待」であることから、この観点からは必要であろうと考えられる、トランスレーショナルリサーチや医師主導型治験についても、簡単にふれてみたいと思う。