

事 務 連 絡
令 和 8 年 2 月 27 日

各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課 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）の改正について

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
についての質疑応答集（Q&A）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の質疑応答集（Q&A）に
ついて」（令和6年3月29日付け厚生労働省医薬局医薬品審査管理課事務連絡。
以下「旧事務連絡」という。）にてお示ししてきたところです。

今般、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）を別添のとおり改正し、令和8年5月1
日から適用することとしましたので、御了知の上、業務の参考として貴管内関係
事業者等に対し周知いただきますよう御配慮願います。

なお、旧事務連絡については、令和8年4月30日限り廃止します。

また、本事務連絡については、別記の団体等に宛てて連絡するので、念のため
申し添えます。

(別記)

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

(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. 「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。以下「課長通知」という。)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を努力義務とするものである。

Q 2. 既承認の医薬品と同じ有効成分、効能・効果等で後発医薬品の開発を行う場合、小児用医薬品の開発計画の策定に努めなければならない、課長通知により計画の確認を受ける対象となるのか。

A 2. 既承認の医薬品と同じ有効成分、効能・効果等で開発を行う場合は対象とはならない。なお、既承認の医薬品と同じ有効成分を含有する医薬品について、既承認の効能・効果等と異なる効能・効果等に係る開発を行う場合は、小児用医薬品の開発計画の策定に努めなければならない

Q 3. 「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 3. 含まれる。

Q 4. 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 4. 以下のいずれかの手続により PMDA の確認を受けること。

① 小児用医薬品開発計画確認相談における確認

PMDA の「小児用医薬品開発計画確認相談」を活用すること。なお、「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(国内又は国際共同治験を実施しない場合も含む)等の相談は医薬品第Ⅱ相試験終了後相談等を利用すること。

② 小児用医薬品の治験相談における確認

PMDA の「小児用医薬品開発計画確認相談」の対象に該当しない場合は、小児用医薬品の治験相談において課長通知に基づく確認を受けること。なお、治験相談が小児の臨床試験デザイン等に係る内容であっても、課長通知に基づく確認を希望する旨を相談事項として提示する必要がある。

③ 成人用医薬品の治験相談における確認

PMDA の「小児用医薬品開発計画確認相談」の対象に該当する内容に限り、成人用医薬品の治験相談（医薬品第Ⅱ相試験終了後相談等）を利用して小児用の開発計画について課長通知に基づく PMDA の確認を受けることも可能である。この場合、課長通知に基づく確認を希望する旨を相談事項に挙げた上で、小児用医薬品開発計画確認相談の相談資料に含めるべき情報を参考に開発計画を記載すること。

なお、令和 10 年 4 月 30 日までに成人を対象とした医薬品の承認申請を行った医薬品であり、かつ小児用医薬品開発計画確認相談の対象に該当する内容に限り、成人を対象とした医薬品の承認申請後に、成人を対象とした医薬品の審査の過程でも PMDA の確認を受けることができる。その場合、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 に小児用医薬品開発計画確認相談の相談資料に含めるべき情報を参考に開発計画を記載すること。また、成人を対象とした医薬品の審査の過程で PMDA の確認を受けることを希望する者は、新医薬品承認審査予定事前面談において、課長通知に基づく確認を希望する旨を提示すること。

Q 5. 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課長通知の対象となるか。

A 5. 対象となる。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、「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を利用すること。

Q 6. 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 6. 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、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、「小児用医薬品開発計画確認相談」ではなく、他の治験相談を利用すること。

Q 7. 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ぐらいか。

A 7. 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よう努めること。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性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 8. 「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 8. 該当する。ただし、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。なお、特定の年齢集団について開発の必要性がない等により開発を行わない場合にはその理由を説明すること。

Q 9. 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。」とあるが、どのぐらいの開発期間を想定しているのか。

A 9. 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。小児用の剤形の開発を行う場合の対応は、QA10を参照すること。

- 治験計画の届出を要する開発計画にあつては、成人用医薬品の承認後2年以内に治験計画を届け出ること。
- 治験計画の届出を要しない治験を実施する開発計画の場合、成人用医薬品

の承認後2年以内に治験を開始すること。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、成人用医薬品の承認後2年以内に当該計画に従った承認申請を行うこと。

なお、これらの対応について、段階的に年齢集団を拡大する開発の場合は、計画のうち最も早く着手するものに係る対応を指すものであること。

Q10. 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。

A10. 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、以下の対応を行うよう努めること。

- 治験計画の届出を要する開発計画にあつては、成人の承認後3年以内に治験計画を届け出ること。
- 治験計画の届出を要しない治験を実施する開発計画の場合、成人の承認後3年以内に治験を開始すること。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、成人の承認後3年以内に当該計画に従った承認申請を行うこと。

Q11. 「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。

A11. いずれも含まれる。

Q12. 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。

A12. 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、成人の適応が承認申請された場合や、確認を受けた開発計画に基づき開発を進め、小児の適応が承認申請された場合、当該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。

<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。

<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 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。なお、当該対面助言は成人を対象とした医薬品の承認申請後に実施された。

Q13. 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。

A13. 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。

Q14. 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、改めて課長通知に基づく確認を受ける必要があるか。

A14. 開発計画に以下のような変更が生じ、Q8 及び Q9 に記載された目安の年

数から治験計画の届出又は承認申請に大幅な遅延が生じる場合は、改めて「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
- 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

Q15. 課長通知に基づく PMDA の確認を受ける予定であったものの、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでに、やむを得ず、PMDA の確認を受けることができなかつた場合、どのような手続きが必要になるのか。

A15. 成人を対象とした新医薬品承認審査予定事前面談において、課長通知に基づく確認を希望している旨を提示すること。また、成人を対象とした医薬品の審査報告書が確定するまでに、小児用医薬品開発計画確認相談等の相談により PMDA の確認を受けること。

Q16. 「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）」とあるが、がん以外ではどのような場合が想定されるか。

A16. 例えば、何かしらの接頭語がつき「効能・効果」が成人に限定されている場合や、「成人発症スチル病」や「全身型若年性特発性関節炎」のように成人と小児で異なる名称の疾患等が想定される。