

医薬薬審発 0227 第 8 号
令和 8 年 2 月 27 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

「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」の一部改正について

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。以下「課長通知」という。）により基本的な考え方を示したところです。

今般、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律」（令和 7 年法律第 37 号。以下「改正法」という。）により、小児用医薬品の開発計画の策定が努力義務とされたこと等を踏まえ、課長通知を別添のとおり改め、令和 8 年 5 月 1 日から適用することとしましたので、貴管内関係事業者に対し周知方御協力お願いいたします。

なお、本通知の写しについて、別記の団体等に宛てて連絡することを申し添えます。

(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

新旧対照表

(下線部は改正部分)

改正後	改正前
1. 小児用医薬品の開発について <u>製造販売業者は、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号）第 14 条の 8 の 2 及び医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律施行規則（昭和 36 年厚生省令第 1 号）第 69 条の 2 の規定により、既に承認を与えられている医薬品と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が異なるものについて承認を受けようとするときにおいて、小児用医薬品の品質、有効性及び安全性に関する資料の収集に関する計画を策定するとともに、遅滞なく資料の収集に努めることとされている。</u> 本通知の対象となる小児用医薬品の開発とは、医療上の必要性に基づき、以下の（１）から（３）のいずれか又は複数に該当する開発を行う場合を指す。 （１）効能・効果において成人と小児が区別される医薬品において効能・効果の対象に小児を含めるために行う開発 （２）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 （３）成人用とは異なる小児用の剤形の開発	1. 小児用医薬品の開発について 本通知の対象となる小児用医薬品の開発とは、医療上の必要性に基づき、以下の（１）から（３）のいずれか又は複数に該当する開発を行う場合を指す。 （１）効能・効果において成人と小児が区別される医薬品において効能・効果の対象に小児を含めるために行う開発 （２）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 （３）成人用とは異なる小児用の剤形の開発
2. 小児用医薬品の開発に係る基本的な考え方について	2. 小児用医薬品の開発に係る基本的な考え方について

<u>小児用医薬品の開発に係る基本的な考え方は以下（１）及び（２）のとおりである。小児を対象とした治験実施の困難さ等を踏まえると、国際共同治験での開発が望ましく、海外との同時開発を進めるためにも、日本での開発計画については、早期に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の確認を受けることが望ましい。</u> （１）新有効成分又は新効能等の医薬品について、成人を対象とした医薬品の開発（効能・効果の追加に係る開発を含む。）を行う場合は、当該開発の対象となる効能・効果に係る小児用医薬品の開発計画を策定し、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでに、PMDAの確認を受けるとともに、遅滞なく当該開発計画に基づいて開発を進めるよう努めること。 なお、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）においても、小児用医薬品の開発計画についてPMDAの確認を受けることを妨げるものではない。	（新設） （１）新有効成分又は新効能等の医薬品について、成人を対象とした医薬品の開発（効能・効果の追加に係る開発を含む。）を行う場合は、当該開発の対象となる効能・効果に係る小児用医薬品の開発計画を策定し、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでに、<u>独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）</u>の確認を受けるとともに、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。 なお、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）においても、小児用医薬品の開発計画についてPMDAの確認を受けることを妨げるものではない。
---	--

(2)(1)の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承認申請を行うまでに PMDA の確認を受けることが困難である場合は、当該承認申請に対する審査終了までの間に PMDA の確認を受けるとともに、遅滞なく当該開発計画に基づいて開発を進める<u>よう努めること。</u>	(2)(1)の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承認申請を行うまでに PMDA の確認を受けることが困難である場合は、当該承認申請に対する審査終了までの間に PMDA の確認を受けるとともに、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。
5. PMDA の確認について <u>上記2から4までの PMDA の確認については、小児用医薬品開発計画確認相談等の相談により行うこと。</u> <u>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。</u>	(新設)

医薬薬審発 0112 第 3 号

令和 6 年 1 月 12 日

[一部改正]令和 6 年 3 月 29 日

[一部改正]令和 8 年 2 月 27 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長

（ 公 印 省 略 ）

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

小児を対象とした医薬品（以下「小児用医薬品」という。）については、医療ニーズが高いにもかかわらず、成人と比べて臨床開発が進みにくいところ、より効率的な開発が行われること等により成人から遅れることなく開発されることが望まれてきました。

今般、小児用医薬品に対する早期のアクセスを確保する観点から、厚生労働省の「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」における検討結果を踏まえ、成人を対象とした医薬品の開発期間中に行われることが望ましい小児用医薬品の開発計画の策定に係る取扱いについて、下記のとおりとりまとめましたので、貴管内関係事業者に対し周知方御協力お願いいたします。

なお、本通知の写しについて、別記の団体等に宛てて連絡することを申し添えます。

記

1. 小児用医薬品の開発について

製造販売業者は、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号）第 14 条の 8 の 2 及び医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律施行規則（昭和 36 年厚生省令第 1 号）第 69 条の 2 の規定により、既に承認を与えられている医薬品と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が異なるものについて承認を受けようとするときにおいて、小児用医薬品の品質、有効性及び安全性に関する資料の収集に関する計画を策定するとともに、遅滞なく資料の収集に努めることとされている。

本通知の対象となる小児用医薬品の開発とは、医療上の必要性に基づき、以下の（１）から（３）のいずれか又は複数に該当する開発を行う場合を指す。

- （１）効能・効果において成人と小児が区別される医薬品において効能・効果の対象に小児を含めるために行う開発
- （２）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
- （３）成人用とは異なる小児用の剤形の開発

2. 小児用医薬品の開発に係る基本的な考え方について

小児用医薬品の開発に係る基本的な考え方は以下（１）及び（２）のとおりである。小児を対象とした治験実施の困難さ等を踏まえると、国際共同治験での開発が望ましく、海外との同時開発を進めるためにも、日本での開発計画については、早期に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の確認を受けることが望ましい。

- （１）新有効成分又は新効能等の医薬品について、成人を対象とした医薬品の開発（効能・効果の追加に係る開発を含む。）を行う場合は、当該開発の対象となる効能・効果に係る小児用医薬品の開発計画を策定し、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでに、PMDA の確認を受けるとともに、遅滞なく当該開発計画に基づいて開発を進めるよう努めること。

なお、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）においても、小児用医薬品の開発計画について PMDA の確認を受けることを妨げるものではない。

- （２）（１）の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承認申請を行うまでに PMDA の確認を受けることが困難である場合は、当該承認申請に対する審査終了までの間に PMDA の確認を受けるとともに、

遅滞なく当該開発計画に基づいて開発を進めるよう努めること。

3. 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について

上記1.(2)の小児における適切な用法・用量を設定するための開発計画については、日本人小児を対象とした治験の実施を検討するだけでなく、成人のデータや海外の小児のデータ、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も検討した上で、PMDAの確認を受けること。

4. 成人用とは異なる小児用の剤形の開発について

上記1.(3)の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ことから、その点も考慮した開発計画について、PMDAの確認を受けること。

5. PMDAの確認について

上記2から4までのPMDAの確認については、小児用医薬品開発計画確認相談等の相談により行うこと。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。