

医薬薬審発 0112 第 3 号
令和 6 年 1 月 12 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、下記のとおり基本的な考え方を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。

本考え方に基づく具体的な取り扱いやその適用の時期については、追って通知する予定です。

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係る基本的な考え方について

- (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、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ことが望ましい。

(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