

日本で先天性心疾患に対して使われているステント

メーカー	Palmaz XL J & J Cordis	Palmaz large, medium J & J Cordis	Genesis XD, large J & J Cordis	Genesis medium J & J Cordis	Express Vascular LD Boston Scientific
FDAの適応	胆管	販売終了	胆管	胆管	腸骨動脈
米国の実情	主として大動脈縮窄に使用されている	肺動脈・大動脈・上下大静脈などの大血管に初めて使われたステントで広く使われたが、現在は流通していない	Palmaz largeの後継ステントとして肺動脈・大動脈・上下大静脈などの大血管に使われている	Palmaz mediumの後継として肺動脈・大動脈・上下大静脈などの大血管にも使われている	データなし(文献的には報告無し) 他に代替の効くステント多し
CEの適応	大血管	販売終了	末梢血管・胆管	末梢血管・胆管	腸骨動脈
欧州の実情	主として大動脈縮窄に使用されている	肺動脈・大動脈・上下大静脈など大血管に初めて使われたステントで広く使われたが、現在は流通していない	Palmaz large, mediumの後継として肺動脈・大動脈・上下大静脈などの大血管に使われている	Palmaz mediumの後継として肺動脈・大動脈・上下大静脈などの大血管にも使われている	データなし(文献的には報告無し) 他に代替の効くステント多し
日本の適応	胆管	末梢動脈	未承認	腎動脈	腸骨動脈
日本の実情	ほとんどは大動脈縮窄、時に肺動脈狭窄に使われている	肺動脈・大動脈・上下大静脈などの大血管に使われている	XDは未承認。Largeは第一分枝以後の末梢肺動脈などに使われているが受注輸入	第一分枝以後の末梢肺動脈などに使われている	第一分枝以後の末梢肺動脈・肺静脈・上下大静脈などに使われている

CPステント:現在医師主導治験準備中

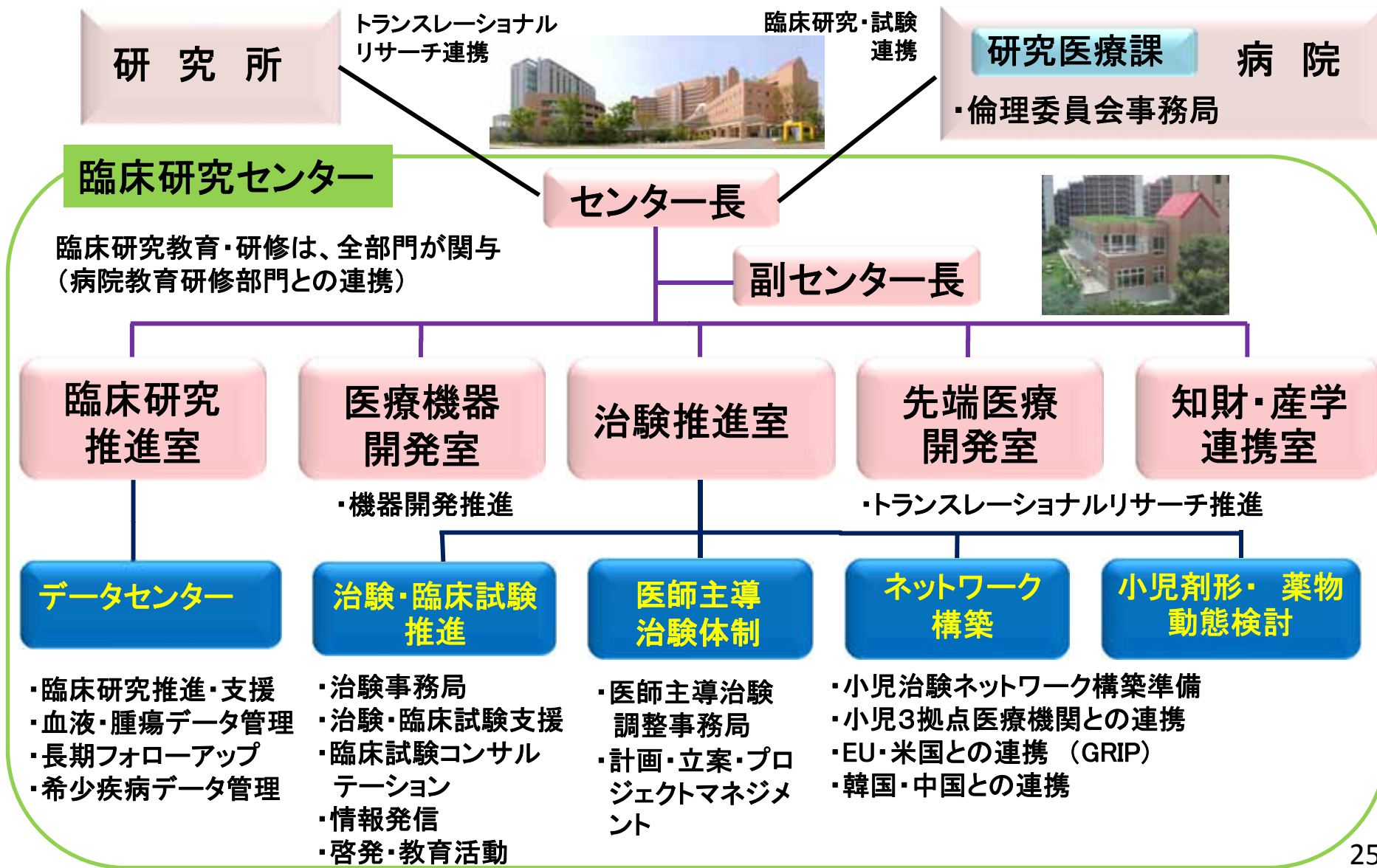
- 大動脈縮窄を適応としてEU諸国、英国でCEマークを取得.
- カナダ、ブラジル、中国、インド、中南米等35カ国で承認
- 大動脈縮窄を対象としてFDAで治験が進行中
- 2010年、早期導入を要望する医療機器等に関する要望書を厚生労働省に提出したが、マーケット規模から企業が国内治験実施に難色を示しており、「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」での検討が進まず。

医師主導治験の実施を検討

- 2012年7月医師主導治験計画研究申請し採択される
- 2013年2月PMDA治験相談 2013年夏の実施開始目標



臨床研究センターを中心とした「中核病院機能」



小児医薬品・医療機器開発の 入口から出口までを支援

ニーズの
把握

開発アド
バイス

治験実施
支援

承認申請
等支援

関連学会との連携

- ✓ ニーズ把握・集約
- ✓ 開発要請ストラテジーについてのアドバイス
- ✓ 厚生労働省の検討会議への要望提出支援（医薬品・医療機器）
- ✓ 企業との共同研究・開発アドバイス

企業へのアドバイス

- ✓ 開発ストラテジー
- ✓ 実施可能性
- ✓ 拠点医療機関とのニーズの検討
- ✓ プロトコル作成
- ✓ 規制当局対応

医師主導治験アドバイス

- ✓ プロトコル骨子
- ✓ 実施体制
- ✓ 研究費申請
- ✓ 調整業務内容

小児3拠点医療機関

- ✓ 実施可能性調査
- ✓ 症例数調査
- ✓ アセント文書作成
- ✓ 進捗アドバイス
- ✓ 逸脱等の対応検討
- ✓ 体制整備アドバイス

医師主導治験アドバイス

- ✓ 逸脱対応
- ✓ 諸手続き
- ✓ 委員会業務 など

企業へのアドバイス

- ✓ 試験結果評価
- ✓ 用量設定
- ✓ 申請・規制当局対応
- ✓ 製造販売後調査

医師主導治験アドバイス

- ✓ 症例検討会
- ✓ 総括報告書作成
- ✓ 企業連携
- ✓ 規制当局対応

関連学会との連携

- ✓ 製造販売後調査協力
- ✓ 適正使用

- 薬物動態試験（治験）1件、医師主導治験3件、先進医療等で実績
- 治験経験のない希少疾病領域で特に有効
- 厚生労働省の「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」、「ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」に対応

小児治験ネットワークの構築

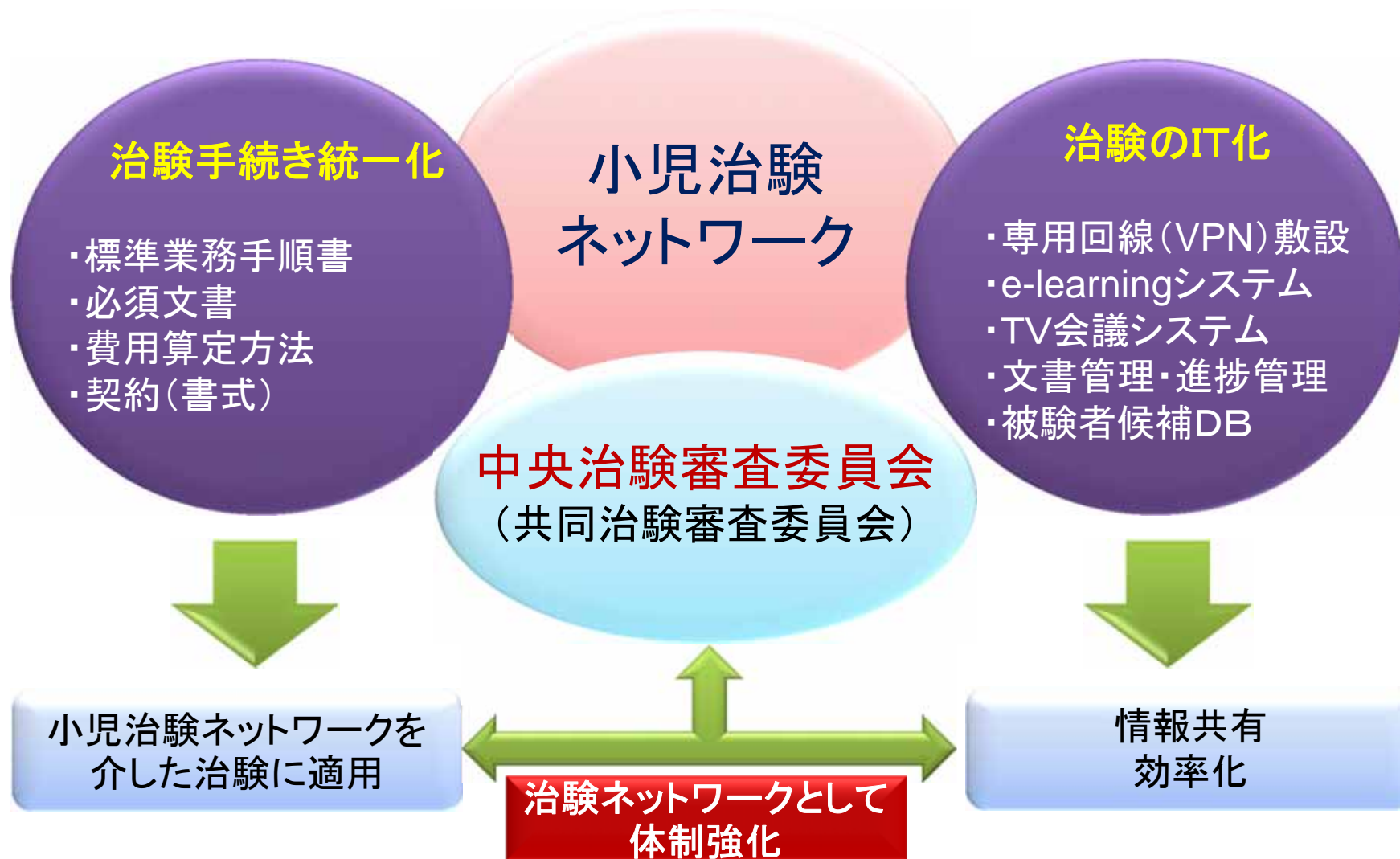
全国の小児病院との連携 平成23年2月-平成24年3月

- 単施設ではなく、集合体としての治験受託
 - － 治験の質・スピードの向上
 - － 小児医薬品開発の受け皿として機能
- 治験の一元管理 (ITの活用)
 - － 事務局業務の一元化
 - － 手順書などの統一
 - － 候補者検索システムの導入等



<https://pctn-portal.ctdms.ncchd.go.jp/portal/html/main/top/top.htm>

窓口機能(連絡・調整)の一元強化 — 中央事務局による一元管理 —



今後の課題: 小児病院のみでなく、全国の小児関係施設と連携したオールジャパン体制

韓国・中国でも小児医薬品開発に向けての活動が急速に展開

韓国(2010年～)

- KFDAに適応外薬解決タスクフォース
- 韓国小児科学会に小児臨床試験タスクフォース
- KoNECT (Korean National Enterprise for Clinical Trials)も小児治験に積極的関与

中国(2011年～)

- 中国小児病院研究ネットワーク
- 中国小児科学会内に小児薬理(医薬品)サブグループ

特殊ミルクのおかれた複雑な状況

- 医薬品としての新規製造承認は事実上困難
- 登録ミルクは特殊ミルク事業によりカバー(国の補助金+企業負担)

20歳以上は国の補助がない(企業の無償提供)、

成人患者の特殊食については患者負担

- 登録外ミルクは全額企業負担
国の関与のない登録外ミルクの安定供給に不安

欧米では保険償還等で、公費で負担されている
特殊ミルクや特殊食が多い

特殊ミルク補助拡大を 腎不全でんかんの赤ちゃん用

生まれつき、特定の栄養成分を分解できない赤ちゃんのために、成分を調整した特殊ミルクがある。30年以上、乳業会社が国の補助金で作り、患者に無償提供してきた。最近、腎不全でんかんなど、国の補助対象でない病気で必要な特製ミルクの需要が伸び、メーカーの負担が大きくなっている。患者団体や企業は国の補助の拡大を求めている。

需要増え、出荷量1.5倍

東京都練馬区(各社)は昨年8月、双子の男の子を出産した。1週間後、長男に血尿が出た。検査の結果、腎不全と診断され、腹膜透析を始めた。

「特殊なミルクを使いましょう」と、医師から言われた。このミルクは、カウラムという名を冠し、ナトリウムを増やしてある。高カリウムは心停止を招き、リンが多いと骨がもろくなる。ナトリウムを多くすると、脱水を防げる。腎不全で透析を受けている子どもの場合、長ければ数年かかってしまう。特別なミルクが必要になる。利用者は全国に約100人、製造元の井尻薬臨床研究センターは「薬

特殊ミルクとは

● 医薬品(保険適用)
● 登録ミルク(保険適用)
● 患者負担なし ● 製造費=国の補助金+企業負担(20歳以上の患者が企業負担)
● 登録外ミルク(保険適用)
● 患者負担なし・製造費=全部企業負担

明治の登録外ミルクの出荷量の推移

年	小児難治性でんかん用 (kg)	腎不全用 (kg)
05年度	1000	1000
06年度	1500	1500
07年度	2000	2000
08年度	2500	2500
09年度	3000	3000
10年度	3500	3500
11年度	4000	4000

無償提供、企業に負担

特殊ミルクの供給は、8月に国の補助事業として始まった。同社は幸井大・森橋社長が、乳業協会に「患者負担を減らすため、大規模な補助金を提供してほしい」と訴えている。同社が提供する登録外ミルクは、25品目(患者数約700人)に達し、約1億7千万円の補助金が出ている。腎不全でんかんの治療用「登録外ミルク」1品目、患者数約400人、1品目あたり約1000万円の出荷量がある。市販すれば、腎不全のミルクなら患者負担は年間数十万円になるといわれる。患者が少なく、流通が難しいためだ。

同社が提供する登録外ミルクは、25品目(患者数約700人)に達し、約1億7千万円の補助金が出ている。腎不全でんかんの治療用「登録外ミルク」1品目、患者数約400人、1品目あたり約1000万円の出荷量がある。市販すれば、腎不全のミルクなら患者負担は年間数十万円になるといわれる。患者が少なく、流通が難しいためだ。

同社が提供する登録外ミルクは、25品目(患者数約700人)に達し、約1億7千万円の補助金が出ている。腎不全でんかんの治療用「登録外ミルク」1品目、患者数約400人、1品目あたり約1000万円の出荷量がある。市販すれば、腎不全のミルクなら患者負担は年間数十万円になるといわれる。患者が少なく、流通が難しいためだ。

臨床研究・治験活性化5カ年計画2012

平成24年3月30日、文部科学省・厚生労働省

開発が進みにくい分野への取組の強化等

小児疾患、希少・難治性疾患等への取組

- 小児疾患、希少・難治性疾患等、治験が進みにくい分野の臨床研究を促進するために、研究グループの育成や、開発企業や研究者のインセンティブについて検討
- 例えば、研究者においては継続的に予算を確保される等の仕組み等について検討する。
- 財政上の支援の充実を図る。特に、厚生労働科学研究費等において、医師主導治験への更なる支援を行う。

子ども達は、我々の未来です！

小児疾患は難病や希少疾患に包含される問題ではありません。

小児医療における医療機器 及び薬物治療の課題

- 臨床試験・治験インフラの整備
- 開発推進のための行政的・法的枠組み整備
 - EU、米国には小児に特化した委員会
 - 企業へのインセンティブと義務化
- 十分な研究開発費の投下
- 研究者及び支援者の育成
- 収集されたエビデンスの発信・医療の均霑化
- 剤形については、薬剤部・保険点数での対応も必要

**疾患領域のひとつとしてではなく、大切な小児
(さらには母性・産科)としての支援を考えていただきたい**