

(別添35)

対面助言のうち、小児用医薬品開発計画確認相談に関する実施要綱

1. 相談の区分及び内容

「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日付け医薬薬審発0112第3号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知。令和6年3月29日一部改正。以下、「小児用薬開発計画策定通知」という。）2.（1）に基づき、小児を対象とした医薬品（以下、「小児用医薬品」という。）の開発計画の確認に特化して設置する相談であり、原則、書面による助言とします。

（1）小児用医薬品開発計画確認相談

小児用薬開発計画策定通知2.（1）に基づき、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。）を行う場合で、成人を対象とした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の確認を行うもの。

ただし、小児を対象とした臨床試験の実施を計画している場合であって、成人を対象とした開発に係る臨床試験デザイン等に関して機関との治験相談を実施している、かつ、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでの段階にある場合に限ります。

なお、以下に例示する相談内容については本相談の対象外となりますので、本相談ではなく該当する相談区分を利用してください。

- ・臨床試験デザインの妥当性及び申請データパッケージの充足性に係る相談
- ・成人と小児における効能・効果が異なる医薬品における、小児の開発計画に係る相談
- ・小児を対象とした治験を実施する予定がない、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係る相談

2. 小児用医薬品開発計画確認相談の事前面談

小児用医薬品開発計画確認相談の実施を希望する場合は、相談申込みの前に、事前面談（本通知の別添16参照。費用無料。）を申し込み、本相談の該当性、確認を希望する開発計画の概略、提出資料の内容、申込書及び資料搬入予定時期、相談記録確定時期等について、機関の担当者と事前の打合せを必ず行ってください。事前面談を申し込む際、本通知の別紙様式7「医薬品事前面談質問申込書」の「質問事項」欄における表題に「小児用医薬品開発計画確認相談に先立つ事前面談」、相談区分欄に「小児用医薬品開発計画確認」と記入してください。

また、上記1.（1）の要件を満たすことの説明（予定される効能・効果、成人を対象とした開発に係る臨床試験デザイン等に関して実施した治験相談の受付番号、相談区分及び相談年月日、成人を対象とした医薬品の承認申請予定時期を含む。）、開発の経緯図を含む開発計画の概略、提出予定の相談資料の概要、希望する相談のスケジュール等をまとめた資料を提出してください。

3. 相談の実施依頼

事前面談実施の上、小児用医薬品開発計画確認相談の実施を希望する場合は、独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査等業務関係業務方法書実施細則（平成16年細則第4号。以下の「業務方法書実施細則」という。）の様式第58号の「小児用医薬品開発計画確認相談申込書」の表題部分を「小児用医薬品開発計画確認相談実施依頼書」と修正し、必要事項を記入し、審査マネジメント部審査マネジメント課に電子メールにより提出してください。電子メールでの提出が困難な場合、審査マネジメント部審査マネジメント課にご連絡ください。

申込先及び疑義がある場合の照会先：

〒100-0013 東京都千代田区霞が関3-3-2 新霞が関ビル
独立行政法人医薬品医療機器総合機構 審査マネジメント部審査マネジメント課
電話（ダイヤルイン） 03-3506-9556

ファクシミリ 03-3506-9443

電子メール： shinyaku-uketsuke@pmda.go.jp

問合せ受付時間：月曜日から金曜日まで（国民の祝日等の休日を除く。）の午前9時30分から午後5時までです。

4. 相談の実施等のお知らせ

相談の実施については、実施依頼書の受付日から起算して原則5勤務日以内に「対面助言実施のご案内」により、相談者の連絡先宛てに電子メール又はファクシミリにてお知らせします。お知らせは調整状況により遅れる場合があります。1～2日経っても連絡がない場合は審査マネジメント部審査マネジメント課までお問い合わせください。

5. 手数料振込みと申込み

上記4. の「対面助言実施のご案内」を受信した日の翌日から起算して15勤務日以内又は事前面談においてあらかじめ取り決めた資料搬入日のいずれか早い期日までに、当該相談の区分の手数料を市中銀行等から振り込んだ上で、業務方法書実施細則の様式第58号の「小児用医薬品開発計画確認相談申込書」に必要事項を記入するとともに、振込金受取書等の写しを添付して、「対面助言実施のご案内」に記載した申込書提出日に電子メールにより審査マネジメント部審査マネジメント課に提出してください。電子メールによる提出が困難な場合は、6. (2) に示す方法により相談資料と併せて、電子ファイルで提出してください。郵送の場合には、封筒の表に「小児用医薬品開発計画確認相談申込書在中」と朱書きしてください。

なお、手数料額及び振込方法の詳細については、それぞれ業務方法書実施細則の別表及び「独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う審査等の手数料について」（平成26年11月21日薬機発第1121002号独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通知）を参照してください。

6. 相談の資料

- (1) 本通知の別添1の8. を参考に作成してください。なお、治験計画届の届出をする開発計画にあっては、治験計画届を届け出る時期、治験計画届の届出を要しない治験を実施する開発計画にあっては、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を示してください。
- (2) 相談資料は、申込書提出以降、事前面談においてあらかじめ取り決めた期限までに、以下のいずれかの方法により、審査マネジメント部審査マネジメント課へ提出してください。
 - ・電子媒体（CD又はDVD）の郵送又は持参による提出
 - ・申請電子データシステム（ゲートウェイシステム）を利用したオンライン提出相談資料の提出に際しては機構ホームページに掲載している留意事項を事前に確認してください。

7. 相談の取下げ、日程変更

- (1) 相談の申込み後、申込者の都合で取下げを行う場合には、業務方法書実施細則の様式第33号の「対面助言申込書取下願」に必要事項を記入し審査マネジメント部審査マネジメント課に提出してください。併せて、業務方法書実施細則の様式第34号の「医薬品等審査等手数料還付請求書」に必要事項記入の上、提出された場合には、手数料の半額を還付します。
- (2) 取り下げる場合であっても、機構がやむを得ないものとして認めた場合は、手数料の全額を還付します。

8. 相談の実施

提出された資料については、必要に応じて、相談者に対するヒアリング及び照会などを行うことがあります。

資料提出から40勤務日以内を目途に、相談記録を作成し、相談者に伝達します。