

トピックス

ガイドライン最新情報とトピックス(29)

レギュラトリーサイエンス研究所

秦 武久

トピックス

欧州医薬品庁(EMA)は、小児用医薬品は希少疾病と同様に見捨てられた医薬品として位置づけ、その研究開発に勢力的に取り組んでいる。

2013年7月、小児用の多くの剤形の製剤開発に関する下記のガイドラインが発出された。

- 31/07/2013 Scientific guideline: Guideline on pharmaceutical development of medicines for paediatric use, adopted: 小児用製剤の開発に関する一般指針、原薬の特性、投与経路、剤形、投与回数、放出制御製剤、添加剤、患者の満足感、容器、患者情報について議論(全24ページ)

製剤と関連のある小児での薬物動態についてのガイドラインを調べたところ、今からおおよそ7年前の2006年10月に次に示すガイドラインが発出されていた。その目次を示しておいた。

日本においては、小児用医薬品の開発は積極的に取り組まれているのであろうか?

- 06/10/2006 Guideline on the Role of Pharmacokinetics in the Development of Medicinal Products in the Paediatric Population (EMA/CHMP/EWP/147013/04): 小児における薬物動態研究の役割、ポピュレーションPK, 相互作用, ファーマコジェネクス, データ解析等について記載(全8ページ)

目次

EXECUTIVE SUMMARY

1. INTRODUCTION (BACKGROUND)
2. SCOPE
3. LEGAL BASIS
4. MAIN GUIDELINE TEXT
 - 4.1 USE OF PHARMACOKINETICS IN PAEDIATRIC DRUG DEVELOPMENT
 - 4.2 STUDY DESIGN
 - 4.2.1 Age classification
 - 4.2.2 Specific considerations for preterm and term newborn infants, infants and toddlers
 - 4.2.3 Specific considerations in children
 - 4.2.4 Specific considerations for adolescents

- 4.2.5 The choice of control group
- 4.2.6 Population pharmacokinetics
- 4.2.7 Interactions
- 4.2.8 Special populations: impaired organ function and pharmacogenetics
- 4.3 DATA ANALYSIS
 - 4.3.1 Parameter Estimation
 - 4.3.2 Presentation of results
- 4.4 DEVELOPMENT OF DOSING RECOMMENDATIONS
- 4.5 LABELLING

ガイドライン最新情報(2013年6月から8月)

下記のウェブサイトから見る事が出来ます。

ウェブサイト: <http://www.rsihata.com/>

ガイドライン最新情報:

<http://www.rsihata.com/updateguidance.php>

▼DRUGS(低分子医薬品)

MHLW(厚生労働省)

- 2013/7/1 コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品に関する質疑応答集(Q&A)について(平成25年7月1日事務連絡)【医薬食品局審査管理課 薬事法関係】, <http://www.rsihata.com/updateguidance/2013/T130702I0080.pdf>: コンパニオン診断薬等の範囲, 体内診断用医薬品, 申請のタイミング, 開発状況の記載, 添付文書などについての質疑応答について(全4ページ)
- 2013/7/1 コンパニオン診断薬等及び関連する医薬品の承認申請に係る留意事項について(平成25年7月1日薬食審査発0701第10号)【医薬食品局審査管理課 薬事法関係】, <http://www.rsihata.com/updateguidance/2013/T130702I0070.pdf>: コンパニオン診断薬等の範囲, 承認申請及び治験の届出に係る取扱いについて(全5ページ)
- 2013/7/11 医薬品開発における生体試料中薬物濃度分析法のバリデーションに関するガイドライン質疑応答集(Q&A)について(平成25年7月11日事務連絡)【医薬食品局審査管理課 薬事法関係】, <http://www.rsihata.com/updateguidance/2013/T130717I0020.pdf>: 標準物質, 選択性, 安定性, 凍結融解安定性, クロスバリデーション, ISR, 実試料分析でのキャリアオーバーなどについての質疑応答(全6ページ)
- 2013/7/11 医薬品開発における生体試料中薬物濃度分析法のバリデーションに関するガイドラインについて(平成25年7月11日薬食審査発0711第1号)【医薬食品局審査管理課 薬事法関係】, <http://www.rsihata.com/updateguidance/2013/T130717I0010.pdf>: 臨床薬物動態試験やトキシコキネティクス試験を含む非臨床薬物動態

態試験に活用されている生体試料中薬物定量濃度分析法について、バリデーション及び実試料分析に関する一般的な指針(全19ページ)

USFDA(米国食品医薬品庁)

- 2013/7/12 Procedural Pediatric Study Plans: Content of and Process for Submitting Initial Pediatric Study Plans and Amended Pediatric Study Plans, Draft Guidance 07/12/13, <http://www.fda.gov/downloads/Drugs/GuidanceComplianceRegulatoryInformation/Guidances/UCM360507.pdf> : 初回小児試験計画の申請のタイミング, 実施に必要な CMC・非臨床試験, 申請資料および変更について(全16ページ)

EMA(欧州医薬品庁)

- 2013/7/1 Scientific guideline: Draft note for guidance on clinical investigation of medicinal products for treatment of asthma, draft: consultation open, http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Scientific_guideline/2013/07/WC500144964.pdf : 喘息治療薬の臨床試験, 有効性評価(患者の選択, 評価法, 薬物動態, 薬力学, 主要な試験など), 安全性評価, 高齢者および小児での試験などについて議論(全18ページ)
- 2013/7/19 19/07/2013 Scientific guideline: Guideline on the clinical investigation of medicinal products for the treatment of urinary incontinence, adopted, http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Scientific_guideline/2013/07/WC500146177.pdf : 尿失禁治療薬の臨床開発, 定義, 診断, デザイン, 患者の選択, エンドポイント, ストレス性尿失禁への組織組換え医薬品, 小児・高齢者の試験などについて(全21ページ)
- 2013/7/19 19/07/2013 Scientific guideline: Draft guideline on the evaluation of medicinal products for the treatment of irritable bowel syndrome, draft: consultation open, http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Scientific_guideline/2013/07/WC500146176.pdf : 過敏性大腸炎治療薬の臨床開発, 定義, 診断, デザイン, 特殊集団(小児, 高齢者等), エンドポイント(全18ページ)
- 2013/8/1 Scientific guideline: Draft guideline on clinical

cal investigation of medicinal products for the treatment of amyotrophic lateral sclerosis, draft: consultation open, http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Scientific_guideline/2013/07/WC500147005.pdf : 筋萎縮性側索硬化症治療薬の臨床開発, 戦略, 患者の特性, 診断, 有効性評価, 特定の集団, 臨床薬理試験, 有効性・安全性評価試験等について(全24ページ)

- 2013/8/1 Scientific guideline: Concept paper on the development of product-specific guidance on demonstration of bioequivalence, draft: consultation open, http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Scientific_guideline/2013/07/WC500147001.pdf : 製品毎の生物学的同等性試験(試験デザイン, 分析, クライテリア, バイオウエーバー等)についてガイドラインの作成について議論(全3ページ)

▼BIOLOGICS(生物学的医薬品)

MHLW(厚生労働省)

- 2013/7/1 遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保について(平成25年7月1日薬食審査発0701第4号)【医薬食品局審査管理課 薬事法関係】, <http://www.rsihata.com/updateguidance/T130701I0050.pdf> : 治験を実施する際の遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性について, 定義, 製造法, 投与方法による区分, 規格及び試験法並びに製剤設計, 安定性, 非臨床試験(効力, 毒性, 薬物動態), 製造施設及び設備について(全7ページ)

USFDA(米国食品医薬品庁)

- 2013/7/1 Draft Guidance for Industry: Considerations for the Design of Early-Phase Clinical Trials of Cellular and Gene Therapy Products 7/2013 (This guidance document is for comment purposes only.), <http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/GuidanceComplianceRegulatoryInformation/Guidances/CellularandGeneTherapy/UCM359073.pdf> : 細胞および遺伝子治療薬の早期臨床試験について, 臨床試験に影響を及ぼす製剤特性, 臨床試験のデザイン(評価法, 集団, 用量等), 治験に必要な試験(製造, 非臨床試験など)(全24ページ)