

事務連絡
平成13年6月22日

各都道府県衛生主管部（局）御中

厚生労働省医薬局審査管理課

小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンスに関する
質疑応答集（Q&A）について

「小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンス」については、平成12年12月15日付け医薬審第1334号医薬安全局審査管理課長通知により通知したところですが、今般、別添のとおり同ガイダンスに関する質疑応答集（Q&A）をとりまとめましたので、御了知のうえ、貴管下関係企業に対する周知方よろしくお願いします。



小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンスに関する質疑応答集(Q&A)

	質問	回答
1 1. 4	「成人の疾患や病態に対する医薬品の開発が行われている段階において、当該医薬品が小児集団で使用されると推定される場合には、小児集団を医薬品の開発計画に組み入れるべきである」とは、小児で使用されると想定される医薬品にはすべて適用されるのか。	基本的には、小児で使用されると推定されるすべての医薬品について、開発計画の中に組み入れられるべきである。ただし、疾患の重篤性や医薬品の有効性、安全性および医療現場での必要性を勘案し、医薬品開発全般のなかで総合的に判断することとしている。
2 2. 1	「小児臨床試験の計画の時期と方法についての正当性は、初期段階及びその後定期的な規制当局との間で明らかにする必要がある」とあるが、規制当局との相談部門はどこか。また2.3.2に該当する医薬品については「初期の安全性データと有益性の可能性を示す合理的な根拠を示した後、開発を早期に始める」とあるが、具体的な相談時期について示されたい。	規制当局との相談は、医薬品機構での治験相談を利用されたい。医薬品の特性により開発時期は異なるが、2.3.2に該当する医薬品の場合、成人の安全性データが集積された後に小児治験が開始されるため、遅くとも、成人での第Ⅱ相試験終了時の治験相談が適切と考えられる。
3 2. 3. 2	「小児臨床試験の成績は、申請データベースの一部となるべきものである。これが可能でない場合、小児の成績が得られていないことの妥当性を詳細に示すべきである」とあるが、申請資料での記載場所と記載内容を示されたい。	記載場所については特に決められていない。CTDでは、臨床概括や臨床概要(3.3.3部分集団における結果の比較)に小児患者集団に関する記載項目が設定されている。
4 2. 6. 3	インフォームドアセントとは何か。	本ガイダンス及びGCPにあるとおり、小児が臨床試験に参加することの同意(インフォームドコンセント)は法的な保護者から得ることとなっている。しかしこの場合であっても小児の人権を尊重し、被験者の理

		<p>解力に応じて説明を行うことが必要であり、さらに適切と考えられる被験者からはアセント文書または同意文書への署名と日付の記入が望まれる。</p> <p>(参考)</p> <p>米国小児科学会によるインフォームドアセントの定義: 研究対象者として参加する場合、未成年者が与える積極的な合意。但しコンセントとは同格のものではない。</p> <p>個人の知的成熟度には個人差があり、年齢は特定できない。しかしながら一般的に中学入学以降であれば内容が理解できる年齢と考えられる。</p> <p>「すべての被験者は、彼らが理解できる言葉や用語で臨床試験について可能な限り十分な説明を受ける必要がある」とガイドランス中にも記載されている。</p> <p>概ね7歳以上であれば、簡単な説明に対し理解可能と考えられる。しかしながらそれ以下の年齢であっても、臨床試験に関し被験者が理解できると思われる事項があれば説明すべきである。</p> <p>代諾者(保護者)からの同意(コンセント)とともに被験者本人からアセントも取得した上で治験を開始すべきである。法的規制を受けない小児被験者からの同意であるアセントを取得する年齢について、米国小児科学会を参考(注1)に、現時点での一応の目安を脚注(注2)に示した。</p>
5	アセントを取得すべき「治験への参加を理解できる知的レベルにある被験者」の年齢を示されたい。	
2. 6. 3		
6	Q5に該当しない小児被験者に対しての同意説明の考えを示されたい。	
2. 6. 3		
7	コンセントとアセントの関係はどのようになっているのか。	
2. 6. 3	コンセント取得時であってもアセントが取得できなければ治験は実施できないのか。	

8	本ガイドランスと市販直後の安全対策改善案や適応外使用に関する通知との関係を示されたい。	小児での有効性、安全性が確立されていない医薬品については、当ガイドランスに基づいた臨床試験を実施し、用法・用量を設定すべきである。ただし既存薬であって適応外使用の通知(適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて(平成11年2月1日付研第4号、医薬審第104号))に記載された条件に合致する場合は、臨床試験を実施せず信頼できる文献等を用いた申請も可能である。また小児での用法・用量を有する医薬品に対し、その承認時に追加情報が必要と判断された場合には、市販後臨床試験等を実施することとなる。
---	---	--

注1) Guidelines for the ethical conduct of studies to evaluate drugs in pediatric populations. Committee on Drugs, American Academy of Pediatrics. Pediatrics - 1995 Feb; 95(2): 286-94

注2) コンセントとアセントの関係

対象

同意文書 (コンセント) 代諾者 (法的保護者)
 アセント文書 小児被験者 (概ね中学生以上) ¹⁾
 アセント ²⁾ 小児被験者 (概ね7歳以上) ²⁾

根拠

GCP 省令 50 条
 法的規制なし (IRB・責任医師の判断)
 法的規制なし (IRB・責任医師の判断)

- 1) アセント文書あるいは同意文書に、同意の署名と年月日を小児被験者本人が記入すべきである。
- 2) 中学生未満の小児に対してもできる限り小児被験者本人が同意の署名と年月日をアセント文書に記入することが望ましい。本人からの署名が得られない場合、あるいは文書を用いずに口頭でアセントが取られた場合は、代諾者に署名された同意文書に、本人からアセントが取られたことを記載するべきである。