

この設問に対して回答された製薬企業は56社で回答総件数は272件であった。頻度の高い順に、優遇措置が不十分が45件、臨床治験の実施が困難が38件、臨床治験の同意書の取得が困難が35件、小児医療体制の貧困が35件、採算が取れないが27件、症例数の確保が困難が20件、小児科医の治験に対する啓蒙の必要性が20件、幼弱動物による非臨床試験の意義不明、小児臨床試験の開始時期が不明確、成人の治験の先行を一律に義務づけて小児専用の医薬品の開発を阻害している等、小児治験の現行のガイドラインの不備が20件、市販後使用成績調査結果が活用されていないが19件、等であった。

従来、第三者から余り問題にされていなかった小児科医の治験に対する認識不足、積極性の欠如、行政への働きかけが不十分、小児医療体制の貧困等の治験の実施母体となる大学病院、総合病院や小児病院の脆弱な体制の立て直しが焦眉の急であることが製薬企業側から指摘された。

## 2. 解決のための具体的な方策について

### 1) 行政に対する具体的要望

この設問に対して回答された製薬企業は54社で回答総件数は116件であった。頻度の高い順に、小児医薬品の的確なガイドラインの作成と整備が20件、申請手続きの簡素化と緩和が16件、外国のデータの活用が16件、小児用医薬品開発への優遇措置15件、治験制度の啓蒙と環境作りが12件、市販後調査結果を活用が10件、国が小児医薬品の治験を行う体制の整備、ネットワークの構築等の意見があった。

小児用医薬品の開発は非常な困難を伴う故、国外で確立された適応承認は簡易申請で認可するように改めるべきとの意見が多数あり、厚生省医薬安全局審査管理課が平成11年2月1日付けで打ち出されている方針が強力かつ着実に実行されることを望むものである。一部の製薬企業から小児科領域で必要な医薬品の絞り込みが要望されているが、平成10年度の研究報告書に記載した如く専門分野別に実施し公にしている故、企業が開発を企画される際にはこの情報を積極的に活用されることを要望したい。「小児治験ネットワークが欠落していること」と「小児医療体制の貧困」とは表裏一体の問題があるが、この深刻な状況が最近ようやく多少認識されて来たように思われるが、大蔵省、文部省、厚生省の絶大な理解と決断を大いに要望したい。

### 2) 希少疾病用医薬品制度に則った小児用医薬品開

## 発の問題点

端的に言えば、従来、行政から個々の製薬企業へ押し付け的な指導により行われているやに聞くが、本制度に合致している小児用医薬品と判断して、希望しても指定を受けることが出来なかったとの意見も寄せられた。再審査期間の延長、特許期間の延長、税負担の軽減、承認申請費用の無料化、薬価の小児医薬品への特別加算、小児治験体制への行政的支援による促進等の優遇措置が非常に不完全であることが指摘された。薬価の問題については、製薬企業が希少疾病用医薬品法等の幾つかの道に則って小児用医薬品の開発に取り組み、当該部署の理解が得られても、最終的には、現状にそぐわない現行の薬価設定方式で薬価が提示され薬価の設定が非常に不適切であるとの指摘がされている。これは原価割れや狭い市場性等の不採算な小児用医薬品の開発に対する製薬企業の社会的使命感に水を差す結果となり今後の大きな障害となることが懸念される。これらの問題点を早急に改め、メリットのある希少医薬品制度に則った小児用医薬品開発の公募による推進が実現されることを願うものである。

### 3) 小児科医（学会）に対する具体的要望

過去100年余りの日本小児科学会の歴史を繙く迄もなく、治験を軽視する従来の日本小児科学会の姿勢を改め、医薬品に対する科学的知識を深め、小児科臨床に役立つ医薬品の開発に全面的に協力する体制を構築すると共に小児科臨床に必要な医薬品について学会の場で大いに議論し主体性をもって行政へ積極的な働きかけを行うことが求められている。

### 4) 他の製薬企業に対する具体的要望

従来、医薬品行政当局は個々の製薬企業に開発の指導を行って来たようであるが、小児医薬品開発の不採算性が自明の理となっている故、それを軽減する方策として複数の企業が共同出資と共同開発や情報公開による共有化、更に企業全体で支援するシステムを構築する案、製薬企業団体による資金援助が提案されている。

### 5) 社会（国民）に対する具体的要望

本邦においては医薬品の臨床試験（治験）は、従来これにまつわる幾つかの不祥事が起こり、マスコミにより取り上げられマイナス面のみが強調されてきた。その結果、国民から治験の本来の意義が理解されず、非常に協力が得られ難い不幸な状況にあり、治験の空洞化が現実起こっていることは既に昨年の研究報告書に記載した如くである。優れた医

薬品を開発することは人類の幸せに結び付く極めて重要な貢献であることをマスコミの協力を得て社会(国民)に対して理解を求め、有意義な治験を容易に行うことが出来る社会の仕組みを打ち立てる必要がある。

#### 6) その他

この項に記載された事項は上記のいずれかの項目に記載された事項と一致していたので各々の項目に帰属させて集計を行った。

#### D. 結論

現在、地球上の総人口は約60億人で、その1/3に相当する20億人余りが小児で占められており、多くの子供達が病気に苦しんでいる現実に製薬企業は目を向けると共に社会的責務にも配慮して戴きたい。小児用の優れた医薬品を開発するのは人類にとって大きな財産であることを、マスコミの協力を得て国民に理解が得られるよう啓蒙するために医薬品行政、製薬企業、小児科学会が連携して努力することが極めて重要である。

我が国は少子化が急速に進行し歯止めの効かない危機的状況に直面しているが、未だ日本国政府は姑息的な対応に終始し、子供達と親の真の幸せに結び付く有効な施策は打ち出されていない。国の礎である子供達の健全な心身の発育と社会性の発達を支援することを使命とする小児科学の充実を国策として取り上げ、その一環として小児用医薬品の理不尽な therapeutic orphan の状況からの脱却に向けて真剣に取り組んで戴きたい<sup>11), 12)</sup>。

#### 文献

- 1) 大西鐘壽, 伊藤進. 小児薬物療法の現状と問題点. 日本病院薬剤師会雑誌 33: 405-416, 1997.
- 2) 大西鐘壽他. 小児薬物療法の実態調査結果. 日本小児臨床薬理学会雑誌 9: 95-99, 1996.
- 3) 小川雄之亮他. 新生児彌承認薬使用調査結果. 日本小児臨床薬理学会雑誌 9: 95-99, 1996.
- 4) 大西鐘壽. 小児薬物療法の therapeutic orphan からの脱却への道. 日本小児臨床薬理 10: 114-120, 1997.
- 5) 大西鐘壽. 小児薬物療法の therapeutic orphan からの脱却への道(1997-1998). 日本小児臨床薬理 11: 125-131, 1998.
- 6) 大西鐘壽. 第17回日本臨床薬理学会 シンポジウム「転換期の医薬品開発と医薬品行政」の討論 p. 1446, 1997.
- 7) 大西鐘壽. 中央児童福祉審議会母子保健部会、小児薬物療法の在り方について. 議事録の全文は厚生省のインターネットホームページ (HTTP://WWW.GO.JP.SHINGI/TXT/SO326-1.TXT). 日本小児臨床薬理学会雑誌 11: 129-138, 1998.
- 8) Blumer JL. Developmental pharmacology: Past, present and future. Acta Paediatr Jpn 38: 555-561, 1996.
- 9) Yaffe S. The Pediatric Pharmacology Research Unit Net Work (PPRU) of the NICHD - Possible solution to the therapeutic orphan. 日本小児臨床薬理学会雑誌 12: 1-2, 1999.
- 10) 辻本豪三. 小児医薬品の適応外使用の解決に向けた諸外国の取り組みと本邦の対応 小児のオーファンドラッグに関する海外臨床研究調査 厚生科学研究「小児薬物療法における医薬品の適正使用の問題点の把握及び対策に関する研究」主任研究者 大西鐘壽 研究報告書 平成11年4月 PP. 226-28.
- 11) 藤村正哲, 梶原眞人, 板橋家頭夫. 子どものための医薬品一現状と課題. 日本医事新報 No. 3860 pp. 73-77, 1998.
- 12) Onishi S, Iikura Y, Ushiyama M et al. Japan Today: Survey of the current state of pediatric drug use in Japan (1994-6). Pediatrics International 42: 109-113, 2000.

この研究に協力を戴いた次頁に列記した各位と企業に深甚なる謝意を表したい。

本研究課題のアンケート調査に対して回答を寄せられた各位と所属は下記のようなものである。  
御協力に深謝申し上げます。

小児医薬品調査研究班の代表専門委員の氏名（分科会名）：

藤村正哲（日本未熟児新生児学会）  
佐地勉（日本小児循環器学会）  
大澤真木子（日本小児神経学会）  
大平陸郎（日本小児血液学会）  
岩田力（日本小児アレルギー学会）  
青木継稔（日本先天代謝異常学会）  
村上睦美（日本小児腎臓病学会）  
田中敏章（日本小児内分泌学会）  
阿倍敏明（日本小児感染症学会）  
豊島協一郎（日本小児呼吸器疾患学会）  
原田徳蔵（日本小児栄養消化器学会）  
星加明德（日本小児心身医学会）  
大和田操（日本小児遺伝医学会）  
宮本信也（日本小児精神神経学会）  
原田卓浩（日本外来小児科学研究会）  
春木英一（日本小児東洋医学研究会）

薬事委員の氏名（所属）：

飯倉洋治（昭和大学医学部）  
伊藤進（香川医科大学）  
大澤真木子（東京女子医科大学）  
松田一郎（江津湖療育園）  
吉田一郎（久留米大学医学部）

その他：米国の Rainbow Babies and Childrens Hospital の Blumer 教授のもとで小児臨床薬理を現場で実践された中村秀文（現久留米大学医学部）から吉田一郎（現久留米大学医学部教授）を介して貴重な多くの意見が寄せられた。また、香川医科大学附属病院薬剤部の森田修之部長と元主任大西純一医薬品情報室長（現医薬安全局）から種々の貴重な意見や資料の提供を受けた。和田義郎名古屋市立大学元小児科教授（現同学長）及び坂京子（名古屋市立大学医学部）、黒田泰弘（徳島大学医学部教授）、久野建夫（佐賀医科大学）の各位から貴重な資料の提供を受けた。

本研究課題のアンケート調査に対して回答を寄せられた会社名は下記のようなものである。  
御協力に深謝申し上げます。

旭化成工業株式会社	株式会社ツムラ
アストラセネカ株式会社	帝国臓器製薬株式会社
アベンティス ファーマ株式会社	帝人株式会社
エーザイ株式会社	三菱東京製薬株式会社
エスエス製薬株式会社	富士化学工業株式会社
オーファン ジャパン YK	日研化学株式会社
大塚製薬 (株)	日本イーラーリリー (株)
小野薬品工業株式会社	グラクソウェルカム株式会社
科研製薬株式会社	日本化薬株式会社
キッセイ薬品工業株式会社	日本新薬株式会社
杏林製薬株式会社	日本ベーリンガーインゲルハイム (株)
協和発酵工業株式会社	日本ワイズレダリー株式会社
麒麟麦酒株式会社	日本ロシュ株式会社
興和株式会社	ノバルティスファーマ株式会社
三共株式会社	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社
参天製薬株式会社	バイエル薬品 (株)
シェリング・プラウ株式会社	萬有製薬 (株)
昭和薬品化学工業	ファイザー製薬株式会社
塩野義製薬株式会社	ファルマシア・アップジョン株式会社
スミスクライン・ビーチャム製薬株式会	藤沢薬品工業株式会社
住友製薬株式会社	扶桑薬品工業株式会社
ゼリア新薬工業株式会社	ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社
セローノ・ジャパン株式会社	明治製薬 (株)
第一製薬株式会社	持田製薬株式会社
大同ほくさん株式会社	山之内製薬株式会社
大正製薬株式会社	ヤンセン協和株式会社
大日本製薬株式会社	吉富製薬株式会社
大鵬薬品工業株式会社	和光堂株式会社
武田薬品工業株式会社	ワーナー・ランバート株式会社
田辺製薬株式会社	雪印乳業株式会社
中外製薬株式会社	

## 厚生科学研究費補助金（厚生省医薬安全総合研究事業）

### 分担研究報告書

小児薬物療法における医薬品の適正使用の問題点の把握及び対策に関する研究  
（主任研究者）大西鐘壽（香川医科大学小児科 教授）

（分担研究課題） 本邦における製薬企業による開発の現状から見た小児医薬品の将来

（分担研究者） 大西鐘壽（香川医科大学小児科講座）

（研究協力者） 伊藤 進<sup>1)</sup>，磯部健一<sup>2)</sup>，今井 正<sup>1)</sup>，近藤昌敏<sup>1)</sup>，日下 隆<sup>2)</sup>，  
難波正則<sup>1)</sup>，岡田 仁<sup>1)</sup>，尾崎貴視<sup>1)</sup>，柴崎三郎<sup>1)</sup>，大西喜久子<sup>1)</sup>  
樋口和子<sup>3)</sup>

1) 香川医科大学小児科講座

2) 香川医科大学母子センター新生児部

3) 香川医科大学薬剤部医薬品情報室長

#### 研究要旨

小児疾患に対する医薬品の効能・効果，初めて承認された国名と年（月日），今までに承認された国の数（国名）等の項目についてのアンケート調査を依頼した。提出された回答について分析し分類を試みた。その結果，1) 外国で市販され本邦でそれを市販する製薬企業がない小児用医薬品9品，2) 外国で市販され本邦でそれを市販する製薬企業があるが開発予定がない小児用医薬品25品，3) 本邦で開発中であるが小児疾患を治験対象としない医薬品15品，4) 本邦で開発中で小児疾患を治験対象とする医薬品25品，5) 小児疾患に対する適応拡大を希望する医薬品8品，6) 本厚生科学による調査開始後に承認された医薬品17品，7) 希少疾病用に指定された医薬品3品，であった。一方小児医薬品調査研究班から提出された優先順位表（priority list）を掲げ，両者を対比した。本邦固有の健康保険制度による強力な規制下で日本の子供たちは外国で開発された優れた医薬品の恩恵に浴することが出来ないばかりか多くの適応外使用医薬品により小児医療が行われており効能・効果や用法・用量更には有効性や安全性等も保障されなていない状況にある。このような therapeutic orphan の状況は速やかに改めなければならない。

#### 研究目的

日本小児科学会の全領域からなる17分科会の専門委員で組織された小児医薬品調査研究班，薬事委員会委員，本研究班の分担研究者より小児科臨床で，必要不可欠な新薬に関して提供を受けた資料に基づいて構築した第一カテゴリー及び第二カテゴリーの一覧表<sup>1)</sup>を「小児科領域における新薬に関する研究」の成果として，平成10年度厚生科学研究報告書に発表した<sup>2)</sup>。この研究報告書（9-13頁）を参考資料として，本邦の製薬企業63社に送付し，当該製薬企業に帰属する小児用未承認薬等に関する情報の提供を依頼した。提出された資料を分析し分類を試みた。得られた研究成果より小児に関わる現下の未承認薬や新医薬品の全貌を明らかにし，本邦における小児用医薬品の置かれている国際的な位置

づけを行った。更に，昨年度の小児医薬品調査研究班より報告された資料を基に作成した優先順位表（priority list）を掲げた<sup>3)</sup>。本邦の製薬企業小児用医薬品の開発に対する現下の動向から，小児医療に携わっている小児科医が直面している問題と対比した。以って今後の小児薬物療法における適正使用の問題点の把握及び対策に資することを究極の研究目的とした。

#### 研究方法

##### 1. 製薬企業へのアンケート調査

##### 1) アンケート調査の内容

小児疾患に対する医薬品の効能・効果，初めて承認された国名と年（月日），今までに承認された国の数（国名）等，以下に列記した項目について本邦

の小児用医薬品関係と思われる製薬企業 63 社に回答を依頼した。

## 2) 医薬品の分類

提出された 62 社の回答について分析し分類を試みた。

### (1) 外国の市販されている医薬品について

(i) 外国で市販され本邦で承認されていない貴社の小児用医薬品について (研究報告書の 11 頁表 1) 医薬品名, 適応疾患名, 年齢区別・用法・用量, 初めて承認を受けた年と国名, 承認国数又はその総計

(ii) 外国で市販され本邦で承認されていない貴社の医薬品で小児適応外の予備軍について (報告書の 11 頁の表 1) 医薬品名, 適応疾患名, 年齢区別・用法・用量, 初めて承認を受けた年と国名, 承認国数又はその総計

(2) 本邦において現在治験中で速やかな承認が望まれる貴社の小児用医薬品 (研究報告書の 12 頁の表 2) 医薬品名, 進捗状況 (出来るだけ詳細に), 発表を憚られる場合はその理由, (発表を憚られる記載箇所は下線を施されたい)

## 2. 小児医薬品調査研究班の優先順位表 (priority list)

昨年度に日本小児科学会の 17 分科会の代表専門委員で組織した小児医薬品調査研究班から提出された優先順位表に, 今年度新たに提出された資料を追加して今年度改訂の優先順位表を作成した。

平成 10 年度の報告書を参考資料として添付して, アンケート調査を依頼し, 製薬企業から自発的に記載された資料を基に分析した結果である故, 偏った内容になっている可能性がある。これは本調査方法の性質上やむを得ない点と受け止めている。

尚, 本邦で同種同効の医薬品が既に記載されている場合は本研究の性格上, 原則として割愛したことをご了承いただきたい。

## 結果

1. 製薬企業へのアンケート調査結果で提出された資料を分析した結果の分類表

- 1) 外国で市販され本邦で市販する製薬企業がない小児用医薬品 9 品 (表 1)
- 2) 外国で市販され本邦で市販する製薬企業があるが開発予定がない小児医薬品 25 品 (表 2)
- 3) 本邦で開発中であるが小児疾患を治験対象としない医薬品 15 品 (表 3)
- 4) 本邦で開発中で小児疾患を治験対象とする医

薬品 25 品 (表 4)

5) その他の医薬品小児疾患に適応拡大を希望する医薬品 8 品 (表 5)

6) 本厚生科学研究による調査開始後に承認された医薬品 17 品 (表 6)

7) 希少疾病用医薬品に指定され開発中の医薬品 3 品 (表 7)

8) 「創薬等ヒューマンサイエンス総合研究事業」第 4 分野官民共同プロジェクト型に指定された医薬品 1 品

## 2. 小児医薬品調査研究班から提出された今年度改訂の優先順位表 (priority list)

表 8 は平成 10 年度に日本小児科学会 17 分科会 (本年度より日本小児運動スポーツ研究会が承認され, 18 分科会となった) の代表専門委員で組織した小児医薬品調査研究班から提出された優先順位表 (priority list) である<sup>3)</sup>。今年度になって資料の提出があった日本先天代謝異常学会の優先順位表は本誌の該当する報告書を参照されたい。この他に, 禁忌条項の削除を希望する医薬品<sup>4)</sup>, 試薬から転用の医薬品<sup>5)</sup>, 個人輸入医薬品<sup>5)</sup>, 病院薬局製剤<sup>5,6)</sup>, 必須の供給停止の医薬品等が存在する。

今回の本邦の製薬企業から提供された情報を中心に分析して作成した表と対比した。小児適応外使用医薬品の解決を切望する側との間に大きなギャップが存在することが明らかとなった。

## 考察

「日本は物質的には豊かであるが心が貧しい」とマザーテレサにより夙に指摘されている。事実, 物質的豊かさについては種々様々な品物や生き物が世界中から輸入され満ち溢れている。かような物質的豊かさの中の極立った例外として小児医療用医薬品が挙げられるのではなからうか。心の貧しさを示す最たる例が弱者である子供達に関わる問題で, 大学医学部小児科学における教育・研究・診療体制の貧困であり, 本邦に固有の健康保険制度による規制下に置かれ, 小児医療用医薬品が therapeutic orphan の状態に置かれて来た事実が挙げられる<sup>7)</sup>。

まず, 本邦では小児医療用医薬品の 60-70% の添付文書に小児疾患に適応の無い状態で小児に使用されている。未熟児新生児医療では, 抗菌剤を除けば殆どの医薬品の添付文書に効能・効果 (適応疾患等) や用法・用量 (投与方法) の記載は無く, 代替医薬品もなく, 止むをえず適応外使用せざるを得ない状況にある<sup>8,9)</sup>。その上, 日常的に汎用されている

医薬品が「小児には使用経験が無い」、「有効性や安全性は確立されていない」等の記載がされたまま放置されている理不尽な状況が小児医療関係者自身でも最近になる迄認識されていないのではなかろうか。医薬品の承認システムは謂ゆる申請主義で、医薬品の開発の決定権は製薬企業の手完全に委ねられ、本邦では利潤が見込まれない小児用医薬品の殆ど総ては永久に放置されることになる。一方、欧米では優れたオリジナルな医薬品が開発され市販され、逆に最善の治療が施されなければ米国では医事訴訟で敗訴するといわれている。それらの国の小児薬物療法では生死に関わる疾病に罹患するとそれに対して効能・効果を有する医薬品により治療を受けることが可能で、国民はその恩恵に浴している。

本邦では、不採算性、承認申請の繁雑さ、治験の困難さ等の理由で製薬企業による開発の予定が全く無い一群の医薬品、更には医薬品を取り扱う製薬企業自体が日本に存在しない医薬品が存在する。他方、製薬企業により開発が手がけられても、採算性のある数少ない医薬品に限定され、しかも治験が難航している一群の医薬品が存在する。これらの医薬品の大部分は小児疾患への適応承認を得るための治験は行われていない。従って適応外使用医薬品の予備軍である。その上、本邦では健康保険の強力な制約下でしかも therapeutic orphan の状況にあり、上述のように未承認の医薬品の入手が事実上不可能な状況にある。これはまさに製薬企業が社会的責務を有すると云われている所以であろう。しかしながらこの事実は一般にはほとんど知られていないのではなかろうか。資本主義における自由経済システムの常として利潤のみを追及するあまり、このような流れになったと解釈される、一方小児用医薬品の開発に対する製薬企業の意向調査によれば複数の製薬企業が共同出資と共同開発や情報公開による共有化、更には製薬企業団体による資金援助が提案されている。また規制当局もこの根本的な問題解決に向けて例えば、「小児医薬品ヒューマンサイエンス総合研究事業」の創設のような発想の転換が求められていると云えよう。

本邦の医療システムは一種の統制経済システム下にあり、一方それを支える医薬品を供給する製薬企業は薬価を除けば自由経済システム下に置かれている。小児用医薬品はその母体である小児医療と同じように自由経済と統制経済の狭間に置かれ今日迄捨て子のように放置されてきた。小児医療は育児や教育と同じように国や社会が投資して支えるべきもの

で長期的・間接的には国の存亡に係わるが、直接的には利潤を生むものでは決してない。しかし現実には採算性を至上とする資本主義的発想のつぼに入れられ、小児医療の本質的特性が見誤られ、子供に関わる諸々の問題が等閑に付され、少子化が急速に進行し、今や危機的状況に直面するに至っている。治験に関連する問題として、現在本邦の小児医療体制が極めて貧弱で治験を実施する体制を構築することが困難な状況にある。現下の小児医薬品の治験ガイドライン<sup>10)</sup>は1982年に作成されたもので実状に合わない面も多いと今回のアンケート調査により指摘を受けている。現在厚生省医薬安全局審査管理課から小児科学会へ「小児臨床評価ガイドライン原案作成のための調査研究」が委託され、新しいガイドライン作成へ向けて鋭意取り組まれていることを付け加えておく。一方、過去の薬務局時代において審査を行う審査管理課の担当官が小児医学の特異性についての知識が乏しかったため理不尽な指導が行われ、また担当官の頻繁な配置転換により指導の一貫性を欠き、小児医療の基本的知識の欠落した中央薬事審議会の委員による指導、社会的責務として希少疾病用医薬品 (orphan drug) に取組み困難を克服して承認を受けた医薬品に対する薬価の面等での配慮が欠落している等、種々の実体験された厳しい具体的事例が製薬企業のアンケート調査の回答で指摘されている。

## 結論

小児用医薬品の therapeutic orphan の問題は一般国民は勿論、医療に携わっている小児医療関係者以外には殆ど認識されていないと思われる<sup>11,12)</sup>。さて平成11年12月17日新エンゼルプランが6大臣合意により提起された。従来殆んど掛け声だけに終わった少子化対策が真に実のある形で実施され、その一環として小児用医薬品の therapeutic orphan からの脱却が実現されることを切に願うものである<sup>13~15)</sup>。

尚、今回は時間の関係で設問ⅡⅢについては検討できなかったのが次年度に行うこととした点をお断りする。

この研究に協力戴いた119ページに列記した企業に深甚なる謝意を表す。

## 文献

- 1) 大西鐘壽他. 本邦の小児科領域における新薬に関する予備的調査結果. 日本小児臨床薬理学 11:

- 120-124, 1998.
- 2) 大西鐘壽, 伊藤 進. 本邦の小児科領域における新薬に関する研究 厚生科学研究「小児薬物療法における医薬品の適正使用の問題点の把握及び対策に関する研究」主任研究者 大西鐘壽 研究報告書 平成11年4月 PP. 9-13.
  - 3) 大西鐘壽. 日本小児科学会分科会別の適応外医薬品の優先順位表に関する研究 厚生科学研究「小児薬物療法における医薬品の適正使用の問題点の把握及び対策に関する研究」主任研究者 大西鐘壽 研究報告書 平成11年4月 PP. 72-76.
  - 4) 森田修之, 大西純一. 大学附属病院と総合病院における小児へ処方された医薬品に関する研究 厚生科学研究「小児薬物療法における医薬品の適正使用の問題点の把握及び対策に関する研究」主任研究者 大西鐘壽 研究報告書 平成11年4月 PP. 35-67
  - 5) 松田一郎. 小児科領域における非市販薬に関する調査と倫理的対応 厚生科学研究「小児薬物療法における医薬品の適正使用の問題点の把握及び対策に関する研究」主任研究者 大西鐘壽 研究報告書 平成11年4月 PP. 19-25.
  - 6) 日本薬剤師会編. 病院薬局製剤—第4版—. 薬事時報社 1997年4月発行.
  - 7) 大西鐘壽. 我が国の小児科の現状と問題点—大学医学部小児科の立場から—ミニシンポジウム「これからの小児科医のあり方」第100回日本小児科学会総会(当日会場で配布した資料)日本小児臨床薬理学 12:151-157, 1999.
  - 8) 梶原真人, 藤村正哲. 第42回日本未熟児新生児学会シンポジウム II 「新生児薬物療法をめぐる諸問題」1. 現状と課題—いくつかの例題、新生児未承認薬の使用実態調査: 藤村正哲, 静注用インドメタシン: 板橋家頭夫, ドキサプラム: 山崎俊夫, 一酸化窒素: 戸荻創, ステロイド: 伊藤進, 2. これからの小児の医薬品認可のあり方と課題, 石崎高志, 3. 新生児・小児の医薬品と薬事行政の課題, 森和彦. 日本未熟児新生児学会雑誌 10:174-183, 1998.
  - 9) 梶原真人, 藤村正哲. 新生児薬物療法をめぐる諸問題 日本未熟児新生児学会雑誌 10:32-41, 1998.
  - 10) 小林登他. 小児医薬品開発のためのガイドライン. 新薬臨床評価ガイドライン. 1995年版 日本公定書協会編 薬事日報社 1995. pp. 471-488.
  - 11) 少子化対策推進関係閣僚会議 少子化対策推進基本方針 平成11年12月17日 重点的に推進すべき少子化対策の具体的実施計画について(新エンゼルプラン)の要旨
  - 12) 松谷有希雄. エンゼルプラン. スポット小児科医 1996; No. 21:1.
  - 13) 大西鐘壽. 小児薬物療法の therapeutic orphan からの脱却への道. 日本小児臨床薬理学会雑誌 10:114-120, 1997.
  - 14) 大西鐘壽. 小児薬物療法の therapeutic orphan からの脱却への道(1997-1998). 日本小児臨床薬理学会雑誌 11:125-131, 1998.
  - 15) Onishi S, Iikura Y, Ushiyama M et al. Japan Today: Survey of the current state of pediatric drug use in Japan (1994-6). Pediatrics International 42:109-113, 2000.



表1. 外国で市販され本邦で市販する製薬企業がない小児用医薬品

医薬品名	適応疾患名	初承認国と年	承認国数 (国)	製薬企業
Melatonin	(米) : 健康食品店または薬局でカプセル錠剤 睡眠障害, 不登校児が容易に入手できる)			Schiff Products etc.
Palivizumab	重症RSV感染症の予防			Synagis, MedImmune
Polyethylene glycol-modified bovine adenosine deaminase	Adenosine deaminase deficiency (SCID) 欠損症患者血中ADA活性を、正常者の赤血球内ADA活性の2~3倍に維持する	(米)		ENZON Inc. オーフアーンジャパンYK
Acetaminophen I.V.	解熱鎮痛			PPRUで治験中
Sodium Phenylbutyrate	先天性高アンモニア血症 (尿素サイクル異常症) における高アンモニア血症の改善および急性発作の予防	(米)		Pharmaceutics International, Inc. オーフアーンジャパンYK
Erwinase (Erwinia L-asparaginase)	急性リンパ性白血病, 非ホジキンリンパ腫			Porton Products Ltd. (U.K.)
Na benzoate(10g) & Na phenylbutyrate(10g)/100ml	先天性尿素サイクル異常症 (2.5ml/kg/day3~6回分割)	1997 米	(米)	Kendall McGaw
2-(2-nitro-4-trifluoromethyl-benzoyl)-1,3-cyclohexanedione (NTBC)	肝細胞障害の進行抑制 <small>遺伝性チロシノ血症(例)での4ヒドロキノンフェニルピルビン酸化酵素を阻害して毒性物質アマリカアゼト阻害, アミカアゼト阻害の産生を抑制する</small>		(瑞典)	Swedish Orphan AB オーフアーンジャパンYK
NORMOSANG (Heme Arginate)	急性ポルフィリン症の発作時の治療薬 δ-アミノレブリン酸 (ALA) 合成酵素活性を抑制		(芬, 欧)	Leltras オーフアーンジャパンYK

表2. 外国で市販され本邦で市販する製薬企業があるが開発予定がない小児用医薬品

医薬品名	適応疾患名	初承認国と年	承認国数(国)	製薬企業
13-cis Retinoic Acid capsules	神経非細胞腫、横紋筋肉腫等に対し治療ではなく研究的に使用	未	未	日本ロシユ(株)
13-cis Retinoic Acid 内服薬 Accutane capsules (米, 加)	Severe recalcitrant nodular acne 他剤無効の重症座瘡	1983 米	74	日本ロシユ(株)
Atrovent Solution for Inhalation (ipratropium 0.025%液)	慢性閉塞性肺疾患, 喘息(β刺激薬との併用のもののみ)	1974 独	49	日本ベーリンガーインゲルハイム(株)
Berodual Inhalatis (powder inhalation, 1 cap. 中 ipratropium: 0.04mg, fenoterol: 0.1mg含有)	慢性閉塞性気道疾患	1988 独	9	日本ベーリンガーインゲルハイム(株)
Berodual Metered Aerosol (1 puff中ipratropium: 21mcg, fenoterol: 50µg含有)	慢性閉塞性気道疾患	1980 独	33	日本ベーリンガーインゲルハイム(株)
Berodual Solution for Inhalation (1ml中ipratropium: 260mcg, fenoterol: 500mg含有)	慢性閉塞性気道疾患	1980 独	37	日本ベーリンガーインゲルハイム(株)
Daclizumab	PMS腎移植患者における急性拒絶反応の予防	1997 米	16	日本ロシユ(株)
Dextrazoxane	心筋保護剤(アドリアマイシンに対する)	1995.5.26 米	13 (米, 加, 伊他)	ファルマシア・アプジョン株式会社 (該当8社)
Diazoxide (審査管理課へ要望書提出) (米: 新生児, 乳児, 小児の用法・用量の記載あり)	続発性低血糖症, ロイシン過敏感症, 脾島細胞症 脾島腺腫, 糖原病	1971 東独	(米, 仏, 独, 伊, 露)	シェリング・プラウ株式会社
DPT+HibVaccine	ジフテリア, 破傷風, 百日咳, インフルエンザ菌(2ヵ月以上の小児), 髄膜炎, 肺炎, 小児(2~71ヵ月)における疾患の予防に用いる	1993 米	20以上	日本ワイステダリー株式会社
Felbamate (小児への使用上記疾患以外の有効性・安全性確立 されていない警告欄に再生不良性貧血と肝機能障害)	てんかん, Lennox-Gastaut症候群に伴う局及び全般 てんかん15mg/kg/day (2~14歳)	1993 西	28 (本年1月時点)	シェリング・プラウ株式会社
Genef	成長不全	1997 米	米	セローノ・ジャパン株式会社
Mucosolvan Solution for Inhalation (ambroxol 15mg/ml)	急・慢性気管支疾患 急・慢性肺疾患	1978 独	30	日本ベーリンガーインゲルハイム(株)
Tiagabine hydrochloride	抗てんかん剤 (他剤でコントロール困難な部分発作の上乗せ療法13歳以上)	1996 仏	16 (欧, 米, 豪, 新他)	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社
Zidovudine	HIV感染症 (米: 3ヵ月~12歳の用法・用量の記載あり)	1987 米	78 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
アンドロダーム (テストステロン貼付剤)	男性性腺機能低下症等閉鎖性テストステロン欠乏に 対する補充療法	1995 米	5以上 (米, 英, 瑞, 西, 澳, 愛他)	スミスクライン・ビーチャム製薬株式会社

エビビルオラソリリューション	HIV感染症 (米：3カ月～12歳の用法・用量の記載あり)	1995 米	66 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
オクスカルバマゼピン (日本では開発は行われていない)	抗てんかん剤	1990 丁	3 (蘭, 奥, 南ア)	キッセイ薬品
ザイアジェンオラソリリューション	HIV感染症 (米：3カ月～12歳の用法・用量の記載あり)	1998 米	16 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
フェキソフェナジン (12歳未満は安全性を確立していない)	アレルギー性鼻炎 慢性蕁麻疹 (米：6～11歳申請中)	1996 米	25	ヘキスト・マリオン・ルセル (株)
リバピリン吸入液 (小児の用法・用量の設定されていない)	RSウイルス感染症 C型慢性肝炎 (IF $\alpha$ -2b併用療法)	(米)		シエリング・ブラウ ICN Pharmaceuticals
ロラゼパム注射液	てんかん重積	20 (独, 英, 愛のみ使用 が認められている)		日本ワイスレダグリー株式会社
酸化窒素	肺高血圧症 新生児 (正期産児, 低出生体重児)	1999.12.3. 米	(米)	INO Therapeutics 大同ほくさん
筋注用フォスフェニトイン	抗てんかん剤 (米：5歳以下の小児適応申請中)	1996 米	15 (英, 米, 仏他)	ワーナー・ランバート株式会社
静注用プロスタサイクリン	肺高血圧			グラクソウエルカム株式会社

表3. 本邦で開発中であるが小児疾患を治療対象としない医薬品

医薬品名	適応疾患名	初承認国と年	承認国数 (国)	製薬企業
Anectine注 (Suxamethonium)	電気痙攣, 気管支挿管, 全身麻酔, 人工換気 (乳幼児, 小児の用量の記載あり)	1952 米	16 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
Carmustine (BCNU)	脳腫瘍・多発性骨髄腫・ホジキン病・非ホジキンリンパ腫	1977 米 (米: 第III相試験中)	13	プリストル・マイヤーズ スクイープ株式会社
Daraprim錠 (Pyrimethamine)	マラリア, トキソプラズマ症 (5~10歳, 10歳以上の用法・用量の記載あり)	1952 加	50 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
Exosurf neonatal (Colfoscerilpalmitate)	新生児の呼吸困難	1990 米	28 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
Lanvis錠 (6-Thioguanine)	白血病 (日本人同様?)	1966 米	46 (米, 英, 仏, 伊, 露他)	グラクソウエルカム株式会社
Leukeran錠 (Chlorambucil)	肺癌, 白血病, ホジキン病など	1956 加	90 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
Malarone (Atovaquone-proguanilhydrochloride)	マラリア (乳幼児, 小児の用量の記載あり)	1996 英	34 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
Nuromax注 (Doxacurium)	気管支挿管, 全身麻酔, 人工換気			グラクソウエルカム株式会社
Oxistatクリーム (Oxiconazole)	真菌感染, 皮膚感染	1988 米	7 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
Tractrium注 (Atracrium besylate)	気管支挿管, 全身麻酔, 人工換気	1982 英	104 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
Vasoxinc注 (Methozamine hydrochloride)	低血圧症 (乳幼児, 小児の用量の記載あり)	1949 米	10 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
シクロスポリンNeoral capsule	移植後の拒否反応抑制, 尋常性乾癬, 再生不良性貧血, ネフローゼ症候群	1994 瑞西	約80	ノバルティスファーマー株式会社 チバ, サントの合弁会社
ブデソニド ネブライザー用吸入ステロイド (Budesonide) 液剤	日: 開発する予定なし		有り	アストラゼネカ株式会社
レバグリニド	NIDDM (II型糖尿病)	1997 米	70	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社
抗IL-6レセプター抗体 (小児の開発治療は検討していない)	多発性骨髄腫, 慢性関節リウマチ RAを適応とした治療を日本 (P-I/II), 英国 (P-I) で実施中			中外製薬株式会社

表4. 本邦で開発中で小児疾患を治験対象とする医薬品

医薬品名	適応疾患名	初承認国と年	承認国数 (国)	製薬企業
MMRII (日: 開発中)	麻疹, 流行性耳下腺炎, 風疹の生ワクチン		43以上 (米他)	萬有製薬 (株) メルク (U.S.A.)
Rizatriptan benzoate	偏頭痛			萬有製薬 (株) メルク (U.S.A.)
Rofecoxib (MK-966) (日: 第II相試験)	鎮痛消炎剤		(米: 1998.11.FDAに申請, 小児適応なし)	萬有製薬 (株) メルク (U.S.A.)
Tilade (Nedocromil sodium)	気管支喘息 抗アレルギー剤 (6歳以上の小児の継続療法)	1986 英	40以上 (英, 仏, 蘭他)	アベンティス ファーマ株式会社
TMP-96 (ノンフロン定量噴霧吸入剤) (日本小児適応追加予定) 治験は実施していない	気管支喘息 (抗アレルギー剤)	1998.9. 英	8 (英, 瑞典他) (米: 治験中)	大日本製薬株式会社
TMR (乾燥弱毒性生麻しん風しん混合ワクチン)	ワクチン 臨床第3相オープン試験実施中 (総症例330例中約1/3が開始されている)			武田薬品工業株式会社
アミノフィリン注射液	未熟児無呼吸発作 (低出生体重児)	該当なし	該当なし	エーザイ株式会社
インスリンアスバルト (遺伝子組換え) (Phase IIIを実施中)	インスリンが適応となる糖尿病	1999 瑞西	欧	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社
エボジン注	再生不良性貧血			中外製薬株式会社
ガバペンチン (12歳以下の適応は承認申請予定)	てんかんの部分発作 (単純部分発作、複雑部分発作、二次性全般化発作)	1993 英 (1994 米)	30以上 (販売国70カ国)	ワーナー・ランバート株式会社
キシナホ酸サルメテロール (セレベント) (日: 承認申請中)	気管支喘息 (4歳以上承認は40カ国)	1990 英 (小児適応)	107 (英, 仏, 伊, 米, 露他)	グラクソウエルカム株式会社
テオフィリン (内服)	未熟児無呼吸発作		米	日研化学株式会社
デスモプレシン	夜尿症の適応拡大を申請中	1985.7 イス ラエル	31 夜尿症として (瑞典, 英, 仏, 米他)	協和発酵工業株式会社
トシル酸スプラタスト	気管支喘息を対象に治験 (トライシロップ) を終了し、現在、申請準備中			大鵬薬品工業株式会社
トビラமைト (日: 後期第II相試験報告書作成中)	小児の部分発作 (成人の部分発作), Lennox-Gastaut症候群, 強直間代発作	1995 英	49 (総ての国で適応は成人のみ)	協和発酵工業株式会社
トロンボボイエチレン 治験中	再生不良性貧血, 急性骨髄性白血病		国内外とも未承認	麒麟麦酒株式会社

ノイトロジン注	未梢血幹細胞動員	1993.3.18. 韓	6 (英, 仏, 泰, 奥, 中)	中外製薬株式会社
ヒガハトリン (申請中)	他剤抵抗性の部分てんかん, 点頭てんかん (ウェスト症候群) 他 の抗てんかん剤で十分にコントロールされないうてんかんの治療 (West症候群に14カ国で適応あり)	1989 英	60以上 (英, 仏, 加他)	アベンテイス ファーマ株式会社 (該当6社)
ブデソニド (粉末吸入剤) (バリミコート タービュヘイラー)	気管支喘息 (日: 第Ⅲ相試験終了, 製造承認申請中)	1988.12. 瑞 典 (成人)	67ヶ国では6歳以上の小児に 対する適応を承認済み 英 (12歳未満用法: 用済み)	アストラゼネカ株式会社
フルタイドデイスカス (プロピオン酸フルチカゾン) (日: 小児承認申請予定) (米: 小児追加の予定で治験中)	気管支喘息	1993 英	89 (英, 伊, 仏, 露, 独, 米他)	グラクソウエルカム株式会社
プロドラッグ型セフェナム系抗生剤	咽喉頭炎, 扁桃炎, 気管支炎, 肺炎, しょうじょう紅熱及 び尿路感染症			旭化成工業株式会社
ベニロン (GBS適応拡大)				帝人株式会社
ペンレス小児用 二重盲検試験を実施中 モンテルカスト	リドカイン貼付 治験中	治験中 成人だけ	なし	日本ワイスレダリー株式会社
抗インフルエンザウイルス薬 (リン酸オセルタミビル)	抗喘息薬 (アレルギー用薬) (日: 第Ⅲ相試験) 小児: 16歳以上カプセル 外国: 小児用ドライシロップ	1998 英	43以上 (米: 6歳以上適応)	萬有製薬 (株) メルク (U.S.A.)
		承認申請予定		日本ロシユ (株)

表5. その他の医薬品小児疾患に適応拡大を希望する医薬品

医薬品名	適応疾患名	初承認国と年	承認国数 (国)	製薬企業
6-Mercaptopurine	リンパ腫 (日: 成人同様2.5mg・kg・day)	1953 米	82 (英他)	グラクソウエルカム株式会社
HMG製剤	男子性腺機能低下症			帝国臓器製薬株式会社 セローノ・ジヤパン
L-カルニチン	カルチニン欠損症, Reye症候群	1981 伊	20 (日, 英, 豪, 伊, 西)	大塚製薬, Sigma Tau
アマンタジン	A型インフルエンザ (小児は適応外医薬品)	1999.12.	30 (英, 米他)	ノバルティスファーマー株式会社
フルボキサミンFluvoxamine maleate (1999.6.発売)	(抗うつ剤, 強迫神経障害) (日: 成人のみ)	1999.4.7. 1984 独	77 (小児適応米のみ)	明治製菓(株) 騰沢薬品工業株式会社
プロスタグランジンE <sub>1</sub> CD	動脈管依存性先天性心疾患における動脈管の閉存	1979 日 1984 独	34 (独, 日, 露, 仏, 米他) (小児へ承認なし)	小野薬品工業株式会社
ホスカルネットNa水和物 (日: 未熟児, 新生児, 乳児, 幼児, 小児に対する安全性は確立してはいない)	CMV感染症, (外国でAIDS患者におけるCMV網膜炎の治療のみ承認)	1997 1989.3 丁	33 (成人)	アストラゼネカ株式会社
塩酸メチルフェニデート	注意欠陥/多動性障害等 (ADHD) 小児の行動異常 (小児は適応外医薬品拡大の予定なし)	1954 瑞西	43	ノバルティスファーマー株式会社

表6. 本厚生科学研究による調査開始後に承認された医薬品（但し小児では適応外使用医薬品となっていないものが含まれている）

医薬品名	適応疾患名	初承認国と年	承認国数（国）	製薬企業
1%プロポフォール注	集中治療における人工呼吸中の鎮静 （外国で16～18歳は適応承認を取得）	1986 英 小児は未承認	95以上 （小児は未承認）	アストラゼネカ株式会社
アジスロマイシン （未熟児・新生児に対する安全性は確立していない）	感受性菌による感染症 （2000.5. 承認予定） 収載	1991 英	57	ファイザー製薬株式会社
アセトアミノフェンシロップ	小児科領域における解熱	1999.12.14.	（日）	昭和薬品化学工業
アルギニン注 （1993.11.15.開発振興制度により希少疾患用医薬品に指定）	先天性尿素サイクル異常症	承認後、収載 待ち		アベンテイス ファーマ株式会社
アルギニン顆粒 （1993.11.15.開発振興制度により希少疾患用医薬品に指定）	先天性尿素サイクル異常症	1999.12.6. 発売		アベンテイス ファーマ株式会社
エトレチナート	角化症			日本ロシユ（株）
オメプラゾール	逆流性食道炎 （安全性は確立していない）	1997 愛	4	アストラゼネカ株式会社
クロバサム	抗てんかん剤、抗不安剤 （新生児、乳児に対する安全性は確立していない）	2000.3.10. 1970.2. 彙	94（独、英、加 他）（てんかん90）	大日本製薬株式会社
ザナミビル	A型、B型インフルエンザ感染症 （日：16歳以上）	1999 瑞典	30（英他）	グラクソウエルカム株式会社
ソマトロピン（遺伝子組換え）	骨端線閉鎖を伴わない下垂体性小人症、軟骨異常症 症における低身長	2000.3.15. 1999 丁	（欧）	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社
ナプロキセン	若年性関節リウマチ、慢性関節リウマチ他	米	10	日本ロシユ（株）
ヒト成長ホルモン	ターナ症候群による低身長（成長ホルモン分泌不全 有無関係なく）	1999.12.9.		日本ケミカルリサーチ
ピラセタム	Myoclonus, Dyslexia, 自閉症、多動、皮質性ミオクローヌ スに対する抗てんかん剤などの併用療法	1999.11.9.	（日）	大鵬薬品工業株式会社 ユーシーピーージャパン株式会社
ブランルカスト水和物	気管支喘息	1999		小野薬品工業株式会社
ミコフェノール酸モフェチル	腎移植後の（心臓移植）難治性拒絶反応の治療 既存の治療薬が無効又は副作用等のため投与できず、難治性拒絶 反応と診断された場合（加：重症にきび）	1999.9.	73（小児への使用が 承認された国は無い）	日本ロシユ（株）
塩酸グラニセトロン（錠、注、細粒）	抗悪性腫瘍剤（シスプラチン等）投与に伴う 消化器症状（悪心、嘔吐）	1993 米	30	スミスクライン・ピーチャム製薬株式会社 グラクソウエルカム株式会社
低フェニルアラニンペンタドシルク	フェニルケトン尿症	1999	（日）	雪印乳業株式会社



表7. 希少疾病用医薬品に指定され開発中の医薬品

医薬品名	適応疾患名	初承認国と年	承認国数(国)	製薬企業
チオプロニン (1994.7.1.希少疾病用医薬品の指定対象は16歳以上と限っている)	シスチン尿症			参天製薬株式会社
静注用フェノバルビタールNa (希少疾病用医薬品に指定) (日本1984製造中止, 1985迄薬価取載)	新生児ケイレン性疾患(手術前の鎮静, 抗けいれん, てんかん発作重積)申請用資料作成中	米	(米, 加, 独, 仏, 瑞典)	日本ワイスレダリー株式会社
注射用メルファラン (治験) (1993.11.~希少疾病用医薬品に指定)	造血幹細胞移植時の前処置 (抗がん剤)	1953 英		グラクソウエルカム株式会社

愛蘭 (愛), アイルランド共和国; 米国 (米), アメリカ合衆国; 亜爾然丁 (亜), アルゼンチン  
 英国 (英); イギリス; イスラエル; 伊太利 (伊), イタリア; 伊太利 (伊), イタリア;  
 豪州 (豪), オーストラリア; 奥太利 (奥), オーストリア; 和蘭 (蘭), オランダ;  
 加奈陀 (加), カナダ; 瑞西, スイス; 瑞典, スウェーデン; 和蘭 (蘭), オランダ;  
 西班牙 (西), スペイン; 泰, タイ; 大韓民国 (韓);  
 中華人民共和国 (中); 丁抹 (丁), デンマーク; 独逸 (独), ドイツ連邦共和国;  
 日本 (日); 新西蘭 (新), ニュージーランド; 芬蘭 (芬), フィンランド;  
 仏蘭西 (仏), フランス; 南アフリカ共和国 (南ア); 露西亜 (露), ロシア連邦;  
 欧州各国 (欧), ヨーロッパ各国;

表8 平成10年度小児医薬品調査研究班からの適応外使用医薬品

1. 日本未熟児新生児学会	
1 アミノフィリン	未熟児無呼吸発作
2 テオフィリン	未熟児無呼吸発作
3 塩酸ドキサプラム	麻酔時の呼吸抑制
4 メフェナム酸	未熟児の動脈管開存症
5 デキサメサゾン	慢性肺障害
6 塩酸トラゾリン	新生児肺高血圧症
7 フェンタニール	鎮静剤
8 ニトログリセリン	新生児遷延性肺高血圧症・PPHN
9 塩酸リドカイン	痙攣
10 アルプロスタジルアルファデクス	動脈管依存性先天性心疾患
11 プロスタグランディンE <sub>2</sub>	動脈管依存性先天性心疾患
12 カフェイン	未熟児無呼吸発作
13 G-CSF	好中球減少症
2. 日本小児循環器学会	
1 アルプロスタジルアルファデクス	動脈管依存性先天性心疾患
2 一酸化窒素	肺高血圧クリーゼ
3 ヒト免疫グロブリン大量療法	川崎病
4 ATP	発作性上室性頻脈発作
5 エピネフリン	心停止時の気管内散布
6 ニトロプルシド	高血圧性緊急症
7 メフェナム酸	未熟児の動脈管開存症
8 デキサメサゾン	慢性肺障害
9 ジピリダモール	タリウム心筋シンチにおける薬物負荷
10 ドブトレックス	心エコーにおける薬物負荷
11 塩酸トラゾリン	肺高血圧に対する血管反応性負荷試験
3. 日本小児神経学会	
1 ヒト免疫グロブリン大量療法	ギランバレー症候群などの免疫性神経筋疾患
2 メチルプレドニゾロン大量療法	ギランバレー症候群などの免疫性神経筋疾患
3 リドカイン	痙攣重積症
4 ミダゾラム	痙攣重積症
5 ビタミンB <sub>6</sub>	點頭てんかん
6 ジアゼパム (内服)	熱性痙攣予防
4. 日本小児血液学会	
1 注射用メルファラン	急性白血病、神経芽腫、横紋筋肉腫など 小児癌の移植前処置として
2 エトポシド	急性白血病、神経芽腫、横紋筋肉腫、ユーイング肉腫 組織球増殖性疾患など
3 イホスファミド	急性白血病、神経芽腫、横紋筋肉腫、ユーイング肉腫
4 カルボプラチン	急性白血病、神経芽腫、横紋筋肉腫、ユーイング肉腫
5 シスプラチン	急性白血病、神経芽腫、横紋筋肉腫、ユーイング肉腫 肝芽腫、ウィルムス腫瘍など
6 アクチノマイシンD	急性白血病、神経芽腫、横紋筋肉腫、ユーイング肉腫 ウィルムス腫瘍など
7 塩酸ピラルビシン	急性白血病、神経芽腫、横紋筋肉腫、ユーイング肉腫、 ウィルムス腫瘍など
8 塩酸ドキソルビシン	ウィルムス腫瘍、急性白血病など
9 ダカルバシン	神経芽腫

10	塩酸イリノテカン	神経芽腫
11	シタラビン	悪性リンパ腫
12	チオテパ	横紋筋肉腫、ユーイング肉腫など小児がんの幹細胞移植前処置薬
13	ブレオマイシン	
14	シクロホスファミド	
5. 日本小児アレルギー学会		
1	L体塩酸イソプレナリン	気管支喘息、持続吸入
2	アミノフィリン、テオフィリン	未熟児無呼吸発作
3	ラセミ型エピネフィリン	クループ症候群
4	d1体塩酸イソプレナリン (持続吸入)	気管支喘息、
5	リン酸デキサメサゾンナトリウム	慢性肺障害
6	ソルメドロール	気管支喘息
6. 日本先天代謝異常学会		
1	安息香酸ナトリウム	オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症
2	エルカルニチン	尿素サイクル代謝異常症の低カルニチン血症を伴う例
3	L-ドパ (レボドパ)	遺伝性テトラヒドロビオプテリン (BH4) 欠乏症の治療薬として必須
4	GSDフォーミュラー D	頻度の高いケトン性低血糖症における低血糖予防
5	チオプロニン	シスチン尿症
7. 日本小児腎臓病学会		
1	ミゾリビン	原発性糸球体疾患による頻回再発型ネフローゼ症候群
8. 日本小児内分泌学会		
1	ジアゾキサイド	低血糖
2	hMG製剤	男性性腺機能低下症
3	DDAVP	夜尿症
9. 日本小児感染症学会		
1	塩酸アマンタジン	A型インフルエンザ感染症
2	リバビリン	RSウイルス感染症
3	ホスカルネット	サイトメガロ感染症
4	デキサメサゾン	細菌性髄膜炎
10. 日本小児呼吸器疾患学会		
1	L体塩酸イソプレナリン	気管支喘息
2	アミノフィリン、テオフィリン	未熟児無呼吸発作
3	ガンシクロビル	サイトメガロ感染症
4	メフェナム酸	未熟児動脈管開存症
5	塩酸トラゾリン	新生児肺高血圧症
6	気管支造影剤	気管支造影
11. 日本小児栄養消化器病学会		
1	シサプリド	胃食道逆流症
2	H2受容体拮抗薬	胃・十二指腸潰瘍、逆流性食道炎症
3	オメプラゾール	胃・十二指腸潰瘍、逆流性食道炎症
4	ランソプラゾール	胃・十二指腸潰瘍、逆流性食道炎症

5	アモキシシリン	ヘリコバクター・ピロリ除菌療法
6	クラリスロマイシン	ヘリコバクター・ピロリ除菌療法
7	ガンシクロビル	サイトメガロウイルス肝炎
8	マジンドール	年長児の高度肥満症
9	ソマトスタンチンアナログ	分泌性下痢、難治性低血糖
10	ヘリコバクター・ピロリ培養	ヘリコバクター・ピロリ診断
11	13C尿素呼吸試験	ヘリコバクター・ピロリ診断
1 2. 日本小児心身医学会		
1	塩酸メチルフェニデート	注意欠陥多動障害
2	ハロペリドール	チック
1 3. 日本小児臨床薬理学会		
		日本小児科学会の全分科会に関与
1 4. 日本小児遺伝医学会		
1	安息香酸ナトリウム	オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症
2	エルカルニチン	尿素サイクル代謝異常症の低カルニチン血症を伴う例
3	L-ドバ (レボドバ)	遺伝性テトラヒドロbiopterin (BH4) 欠乏症の治療薬として必須
4	GSDフォーミュラD	頻度の高いケトン性低血糖症における低血糖予防
5	GSDフォーミュラM	頻度の高いケトン性低血糖症における低血糖予防
6	チオプロニーン	シスチン尿症
1 5. 日本小児精神神経学会		
1	塩酸メチルフェニデート	注意欠陥多動障害
2	ハロペリドール	チック自閉症
3	クロミプラミン	強迫症状
1 6. 日本外来小児科学研究会		
1	抗生剤各種	
2	脂質代謝改善剤	
1 7. 日本小児東洋医学研究会		
		当該薬剤なし