

No.	販売名	一般名	企業名	効能・効果 (下線部追加)	用法・用量 (下線部追加)	年齢区分	小児 剤型 の追 加の 有無	申請データパッケージ					日本版 DECISION TREEの該 当パターン	
								国内/ 海外	対象	Phase	PK 試 験・ PK/PD 評価の 有無	試験数		使用成績 調査・自 発報告の 有無
24	ゾレア皮下 注用 150mg、 ゾレア皮下 注用 75mg	オマリズ マブ (遺 伝子組換 え)	ノバル ティス ファーム (株)	気管支喘息 (既存治療によ っても喘息症状をコント ロールできない難治の患 者に限る)	通常、オマリズマブ (遺伝子組換え) として 1 回 75~600 mg を 2 又は 4 週間毎に皮下に注射する。1 回あ たりの投与量並びに投与間隔は、初 回投与前 の血清中総 IgE 濃度及び体重に基 づき、下記の投与量換算表により設 定する。 (30kg 未満の投与量が追加された)	6 歳以上	なし	国内 海外	成人、小児 成人、小児	3 1,2,3	小児対 象 PK 試験	28	なし	C
25	シナジス筋 注用 50mg、 シナジス筋 注用 100mg、 シナジス筋 注液 50mg、 シナジス筋 注液 100mg	パリビズ マブ (遺 伝子組換 え)	アッヴ イ合 同 会 社	下記の新生児、乳児および 幼児における RS ウィル ス (Respiratory Syncytial Virus) 感染による重篤な下 気道疾患の発症抑制 RS ウィルス感染流行初期 において ・在胎期間 28 週以下の早 産で、12 カ月齢以下の新 生児および乳児 ・在胎期間 29 週~35 週 の早産で、6 カ月齢以下の 新生児および乳児 ・過去 6 カ月以内に気管支 肺異形成症 (BPD) の治療 を受けた 24 カ月齢以下の 新生児、乳児および幼児 ・24 カ月齢以下の血行動 態に異常のある先天性心 疾患 (CHD) の新生児、乳 児および幼児 <u>・24 カ月齢以下の免疫不 全を伴う新生児、乳児およ び幼児</u> <u>・24 カ月齢以下のダウン 症候群の新生児、乳児およ び幼児</u> (下線部追加)	パリビズマブ (遺伝子組換え) とし て体重 1kg あたり 15mg を RS ウィ ルス流行期を通して月 1 回筋肉内 に投与する。なお、注射量が 1mL を超える場合には分割して投与す る。		なし	国内	小児	3	小児対 象 PK 試験	1	使用成績 調査	C

No.	販売名	一般名	企業名	効能・効果 (下線部追加)	用法・用量 (下線部追加)	年齢区分	小児 剤型 の追 加の 有無	申請データパッケージ					日本版 DECISION TREEの該 当パターン	
								国内/ 海外	対象	Phase	PK試験・ PK/PD 評価の 有無	試験数		使用成績 調査・自 発報告の 有無
26	アセリオ静 注液 1000mg	アセトア ミノフェ ン	テルモ (株)	経口製剤及び坐剤の投与 が困難な場合における疼 痛及び発熱	下記のとおり本剤を 15 分かけて静 脈内投与すること。 <2歳以上の幼児及び小児における 疼痛及び発熱> 通常、2歳以上の幼児及び小児には アセトアミノフェンとして、体重 1kgあたり1回10~15mgを15分か けて静脈内投与し、投与間隔は4~ 6時間以上とする。なお、年齢、症 状により適宜増減するが、1日総量 として60mg/kgを限度とする。た だし、成人の用量を超えない。 <乳児及び2歳未満の幼児におけ る疼痛及び発熱> 通常、乳児及び2歳未満の幼児には アセトアミノフェンとして、体重 1kgあたり1回7.5mgを15分か けて静脈内投与し、投与間隔は4~6 時間以上とする。なお、年齢、症 状により適宜増減するが、1日総量と して30mg/kgを限度とする。	低出生体 重児、新 生児及び 3カ月未 満の乳児 に対する 使用経験 が少な く、安全 性は確立 してい ない。	なし	国内 国内 国内 海外 海外 海外 海外	成人 成人 成人 成人 成人 小児 小児	1 1 1 3 3 3 3	なし (投与 経路が 静注の ため)	7	なし	C
27	ベンレステ ープ 18mg	リドカイ ン	日東電 工(株)	1. 静脈留置針穿刺時の疼 痛緩和 2. 伝染性軟属腫摘除時の 疼痛緩和 3. <u>皮膚レーザー照射療法 時の疼痛緩和</u> (下線部今回追加)	1. 静脈留置針穿刺時の疼痛緩和 本剤を1回1枚、静脈留置針穿刺予 定部位に約30分間貼付する。 2. *伝染性軟属腫摘除時の疼痛緩和 通常、小児には本剤1回2枚までを、 伝染性軟属腫摘除予定部位に約1 時間貼付する。 3. **皮膚レーザー照射療法時の疼 痛緩和 通常、成人には本剤1回6枚まで、 小児には下記枚数までを、レーザー 照射予定部位に約1時間貼付する。 年齢/1回あたりの最大貼付枚数 3歳以下/2枚 4歳~5歳/3枚 6 歳~7歳/4枚 8歳~9歳/5枚 10 歳以上/6枚	低出生体 重児、新 生児及び 乳児に対 する安全 性は確立 してい ない。 [臨床試 験におい て使用経 験がな い。]	なし	国内	成人 小児	2 3 3	小児対 象PK 試験	3 1	自発報告	B

No.	販売名	一般名	企業名	効能・効果 (下線部追加)	用法・用量 (下線部追加)	年齢区分	小児 剤型 の追 加の 有無	申請データパッケージ					日本版 DECISION TREEの該 当パターン	
								国内/ 海外	対象	Phase	PK 試 験・ PK/PD 評価の 有無	試験数		使用成績 調査・自 発報告の 有無
28	プレベナー 13 水性懸濁 注	沈降 13 価肺炎球 菌結合型 ワクチン (無毒性 変異ジフ テリア毒 素結合 体)	ファイ ザー (株)	肺炎球菌(血清型 1、3、4、 5、6A、6B、7F、9V、14、 18C、19A、19F 及び 23F) による侵襲性感染症の予防	小児 初回免疫：通常、1回 0.5mL ずつを 3 回、いずれも 27 日間以上の間隔 で皮下に注射する。 追加免疫：通常、1回 0.5mL を 1 回、 皮下に投与する。ただし、3 回目接 種から 60 日間以上の間隔をおく。	乳幼児	なし	国内/ 海外	国内：健康 乳幼児 海外：健康 乳幼児、成 人	国内：3 海外： 健康乳 幼児： 1/2、2、 3 成人：1	なし	国内：2 海外： 健康乳 幼児： 17 成人：2	なし	A
29	イーケプラ 錠 250mg、イー ケプラ錠 500mg、イー ケプラドラ イシロップ 50%	レベチラ セタム	ユーシー ービー ジャパン(株)	他の抗てんかん薬で十分 な効果が認められないて んかん患者の部分発作(二 次性全般化発作を含む)に 対する抗てんかん薬との 併用療法		4 歳以上	あり	国内/ 海外	小児	1, 2-3, 3	試験内 で PK/PD 評価	8 (国内 1 海外 7)	使用成績 調査&自 発報告	A
30	ハイゼント ラ 20%皮下 注 1g/5mL、 ハイゼント ラ 20%皮下 注 2g/10mL、 ハイゼント ラ 20%皮下 注 4g/20mL	pH4 処理 酸性人免 疫グロブ リン(皮 下注射)	CSL ベ ーリン グ(株)	無又は低ガンマグロブリ ン血症	通常、人免疫グロブリン G として 50~200mg (0.25~1 mL) /kg 体重 を週 1 回皮下投与する。なお、患者 の状態に応じて、1 週あたりの投与 量及び投与回数は適宜増減する。	乳・幼児 以上 (低出生 体重児、 新生児を 除く)	なし	国内 国内 (評価) 海外 (参考) 海外 (参考) 海外 (参考) 海外 (参考)	3-12 歳未 満：7 例、 12-16 歳未 満：4 例 上記の継 続投与 小児&成 人 小児&成 人 小児&成 人 小児&成 人	3 3 3 3 3	試験内 で PK/PD 評価	6	なし	C
31	イナビル吸 入粉末剤 20mg	ラニナミ ビルオク タン酸エ ステル水 和物	第一三 共(株)	A 型又は B 型インフルエ ンザウイルス感染症の治 療及びその予防 (下線部追加)	*A 型又は B 型インフルエンザウ イルス感染症の治療及びその予防 1. 治療に用いる場合 成人： ラニナミビルオクタン酸エステル として 40mg を単回吸入投与する。 小児： 10 歳未満の場合、ラニナミビルオ クタン酸エステルとして 20mg を単	治療 10 歳未 満、以上 予防 10 歳以 上	なし	国内 海外 国際共 同	成人 10 歳以上 小児+成人	1 2 2/3 3	試験内 で PK/PD 評価	13	使用成績 調査	A

No.	販売名	一般名	企業名	効能・効果 (下線部追加)	用法・用量 (下線部追加)	年齢区分	小児 剤型 の追 加の 有無	申請データパッケージ					日本版 DECISION TREEの該 当パターン	
								国内/ 海外	対象	Phase	PK 試 験・ PK/PD 評価の 有無	試験数		使用成績 調査・自 発報告の 有無
					<p>回吸入投与する。 10 歳以上の場合、ラニナミビルオクタノ酸エステルとして 40mg を単回吸入投与する。</p> <p>2.*予防に用いる場合 成人及び 10 歳以上の小児：ラニナミビルオクタノ酸エステルとして 20mg を 1 日 1 回、2 日間吸入投与する。</p>									
32	メロペナム点 滴用バイアル 0.25g、メロ ペナム点滴用 バイアル 0.5g、メロペ ナム点滴用キ ット 0.5g	メロペナム 水和物	大日本 住友製 薬(株)	<p>1. 一般感染症 <適応菌種> メロペナムに感性のブドウ球菌属、レンサ球菌属、肺炎球菌、腸球菌属、髄膜炎菌、モラクセラ(プランハメラ)・カタラーリス、大腸菌、シトロバクター属、クレブシエラ属、エンテロバクター属、セラチア属、プロテウス属、プロビデンシア属、インフルエンザ菌、シュドモナス属、緑膿菌、パークホルデリア・セバシア、バクテロイデス属、プレボテラ属 <適応症> 敗血症、深在性皮膚感染症、リンパ管・リンパ節炎、外傷・熱傷及び手術創等の二次感染、肛門周囲膿瘍、骨髄炎、関節炎、扁桃炎(扁桃周囲膿瘍を含む)、肺炎、肺膿瘍、膿胸、慢性呼吸器病変の二次感染、複雑性膀胱炎、腎盂腎炎、腹膜炎、胆嚢炎、胆管炎、肝膿瘍、子宮内感染、子宮付属器炎、子宮旁結合織炎、化膿性髄膜炎、眼内炎(全眼球炎を含む)、中耳炎、副鼻</p>	<p>(1) 一般感染症 ○化膿性髄膜炎以外の一般感染症 通常、成人にはメロペナムとして、1 日 0.5~1g(力価)を 2~3 回に分割し、30 分以上かけて点滴静注する。なお、年齢・症状に応じて適宜増減するが、重症・難治性感染症には、1 回 1g(力価)を上限として、1 日 3g(力価)まで増量することができる。 通常、小児にはメロペナムとして、1 日 30~60mg (力価) /kg を 3 回に分割し、30 分以上かけて点滴静注する。なお、年齢・症状に応じて適宜増減するが、重症・難治性感染症には、1 日 120mg (力価) /kg まで増量することができる。ただし、成人における 1 日最大用量 3g (力価) を超えないこととする。 ○化膿性髄膜炎 通常、成人にはメロペナムとして、1 日 6g (力価) を 3 回に分割し、30 分以上かけて点滴静注する。なお、年齢・症状に応じて適宜減量する。 通常、小児にはメロペナムとして、1 日 120mg (力価) /kg を 3 回に分割し、30 分以上かけて点滴静注する。なお、年齢・症状に応じて適宜減量する。ただし、成人における 1</p>	生後 4 週 以上	なし	国内 海外	小児 成人	1 3	試験内 で PK/PD 評価	4	なし	B

No.	販売名	一般名	企業名	効能・効果 (下線部追加)	用法・用量 (下線部追加)	年齢区分	小児 剤型 の追 加の 有無	申請データパッケージ					日本版 DECISION TREE の該 当パターン	
								国内/ 海外	対象	Phase	PK 試 験・ PK/PD 評価の 有無	試験数		使用成績 調査・自 発報告の 有無
				腔炎、顎骨周辺の蜂巣炎、 顎炎 2. 発熱性好中球減少症	日用量 6g (力価) を超えないこと とする。 (2) 発熱性好中球減少症 通常、成人にはメロベネムとして、 1日 3g(力価)を 3回に分割し、30分 以上かけて点滴静注する。 通常、小児にはメロベネムとして、 1日 120mg (力価) /kg を 3回に分 割し、30 分以上かけて点滴静注す る。ただし、成人における 1日用量 3g (力価) を超えないこととする。									
33	アレグラ錠 30 mg、60 mg OD 錠、ドラ イシロップ 5%	フェキソ フェナジ ン塩酸塩	サノフ イ(株)	アレルギー性鼻炎、蕁麻疹、 皮膚疾患(湿疹・皮膚 炎、皮膚そう痒症、アトピ ー性皮膚炎)に伴うそう痒	通常 7歳から 12歳未満の小児には フェキソフェナジン塩酸塩として 30mgを 1日 2回経口投与する。12歳 以上の小児には 1回 2錠(フェキソ フェナジン塩酸塩として 60mgを 1 日 2回経口投与する。症状により適 宜増減する。通常 2歳以上 7歳未満の小児にはフェキソフェナ ジン塩酸塩として 1回 30mg (ドラ イシロップとして 0.6g)、6か月以 上 2歳未満の小児にはフェキソフ ェナジン塩酸塩として 1回 15mg(ド ライシロップとして 0.3g) を 1日 2回、用時懸濁して経口投与する。	7-12歳 6か月以 上(ドラ イシロッ プ)	ドラ イシ ロッ プ	国内 海外	小児 小児	3	試験内 で PK/PD 評価	1	なし	A

全体班会議及び小児関連学会代表 委員との情報交換の記録

(小児関連学会代表委員からの報告)

医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス総合研究事業
「小児医薬品の早期実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究」研究班
班会議及び小児関連学会代表委員との情報交換会 プログラム

平成 27 年 2 月 13 日 (金)

場所：AP 東京 八重洲通り 13 階会議室 A

(東京都中央区京橋 1 丁目 10-3 KPP 八重洲ビル 11-13 階)

(<http://www.ap-tokyoyaesu.com>)

※失礼ながらお名前の敬称は省略させていただきます。

10:30-10:35

挨拶

厚生労働省医薬食品局審査管理課 吉村 厚志

10:35-10:45

研究代表者 挨拶及び研究概要紹介

国立成育医療研究センター 中村 秀文

10:45-12:00

研究分担報告 (質疑を含めて一人 15 分でお願いします)

1. 実施可能性のある開発方法論の検討、専門学会との意見調整 京都きづ川病院 中川 雅生
2. 小児剤形・用量等の検討 国立成育医療研究センター 石川 洋一
3. 薬理学的手法の小児臨床試験への応用 京都大学大学院 矢野 育子
4. 小児におけるバイオ医薬品等の開発 横浜市立大学附属市民総合医療センター 森 雅亮
5. 特殊集団、特に新生児における治験・適応拡大
大阪府立母子保健総合医療センター 平野 慎也

12:00-13:15

昼休み

※例年通り、昼食は各自お取りいただくことになります。

※関係者のみ 12:00-13:00 日本小児科学会 薬事委員会の予定です。

13:15-13:45

研究分担報告 午前の続き (質疑を含めて一人 15 分でお願いします)

6. 小児医薬品開発における倫理的配慮 国立精神・神経医療研究センター 伊吹 友秀
7. 製薬企業としての開発推進のための方策の検討 日本製薬工業協会 尾崎 雅弘

13:45-17:15

小児関連学会の代表専門委員からの報告（質疑を含めて一人8分でお願いします）

※失礼ながらお名前の敬称は省略させていただきます。

- | | | |
|-----|------------------|--------|
| 1. | 11.日本小児栄養消化器肝臓学会 | 永田 智 |
| 2. | 22.日本小児麻酔学会 | 鈴木 康之 |
| 3. | 7.日本小児腎臓病学会 | 伊藤 秀一 |
| 4. | 1.日本未熟児新生児学会 | 板橋 家頭夫 |
| 5. | 2.日本小児循環器学会 | 三浦 大 |
| 6. | 3.日本小児神経学会 | 小国 弘量 |
| 7. | 4.日本小児血液・がん学会 | 小川 千登世 |
| 8. | 5.日本小児アレルギー学会 | 勝沼 俊雄 |
| 9. | 6.日本先天代謝異常学会 | 大浦 敏博 |
| 10. | 8.日本小児内分泌学会 | 有阪 治 |
| 11. | 10.日本小児呼吸器学会 | 井上 壽茂 |
| 12. | 12.日本小児心身医学会 | 石崎 優子 |
| 13. | 15.日本小児精神神経学会 | 宮地 泰士 |
| 14. | 17.日本小児東洋医学会 | 山口 英明 |
| 15. | 19.日本小児救急医学会 | 中川 聡 |
| 16. | 20.日本小児リウマチ学会 | 森 雅亮 |
| 17. | 21.日本小児歯科学会 | 井上 美津子 |
| 18. | 9.日本小児感染症学会 | 佐藤 吉壮 |
| 19. | 16.日本外来小児科学会 | (ご欠席) |
| 20. | 23.日本小児皮膚科学会 | (ご欠席) |
| 21. | 18.日本小児運動スポーツ研究会 | (ご欠席) |
| 22. | 14.日本小児遺伝学会 | (ご欠席) |
| 23. | 24.日本小児外科学会 | (ご欠席) |

以 上

日本未熟児新生児学会

1. 小児医薬品および医療機器を対象とした臨床試験・治験への取り組みと立案・実施等での障害や疑問
 - ・ エリスロポエチンによる早産児脳性麻痺の予防に関する多施設共同研究
 - ・ 在胎期間 34 週以降の新生児の呼吸障害に対する High-Flow Nasal Cannula 療法と Nasal CPAP 療法の多施設共同ランダム化比較試験
 - ・ 早産児の呼吸障害に対する抜管後の High-Flow Nasal Cannula 療法と Nasal CPAP 療法の多施設共同ランダム化比較試験

2. コンパッショネートユース(国内で市販されていないで独自に輸入している)医薬品および医療機器のリスト、これらの国内導入の取り組みの進捗と障害・問題点
 - ・ オメガベン：短腸症候群、腸管運動機能不全（日本外科学会、日本静脈経腸栄養学会が要望書提出）、PNAC に対しては未対応

3. 各分科会が関連するガイドラインに記載のある適応外医薬品および医療機器のリスト及び、適応外使用解決に向けての取り組み
 - ・ 静注用イブプロフェン：未熟児動脈管開存症（日本未熟児新生児学会が要望書を提出）

4. 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に提出した医薬品のその後の経緯と、その後の要望提出状況
 - ・ ヒト免疫グロブリン：血液型不適合溶血性黄疸（検討中）
 - ・ ドキサプラム：未熟児無呼吸発作（検討中）
 - ・ カフェイン：未熟児無呼吸発作（承認）

5. 研究班へのご意見、ご要望

日本小児循環器学会

小児医薬品の早期実用化に資するレギュラトリーサイエンス研究班資料

小児循環器学会 保険診療委員会 三浦 大

2015 年 2 月 2 日

1. 小児医薬品および医療機器を対象とした臨床試験・治験への取り組みと立案・実施等での障害や疑問

急性期川崎病に対するシクロスポリン（ランダム化比較試験）、先天性心疾患にともなう肺動脈狭窄に対する CP ステントの医師主導治験が進行中である。企業治験としては、肺動脈性肺高血圧に対する一酸化窒素ガス、経口薬のボセンタンは終了したが、シルデナフィール、タダラフィル、（アンプリセンタン：現在組み入れ中断）、静注薬のエポプレステノールの進捗が遅いことが問題になっている。血栓症に対するリバーロキサバン、上室頻拍に対するランジオロールの企業治験が近々開始される。学会としても、委員会で治験の状況を把握し、促進活動を行っていく予定である。

2. コンパッショネートユース（国内で市販されていないで独自に輸入している）医薬品および医療機器のリスト、これらの国内導入の取り組みの進捗と障害・問題点特になし。

3. 各分科会が関連するガイドラインに記載のある適応外医薬品および医療機器のリスト及び、適応外使用解決に向けての取り組み

- ① 小児不整脈の診断・治療ガイドライン 日小循誌 2010 年 26 巻 Suppl.
- ② 先天性および小児期発症心疾患に対するカテーテル治療の適応ガイドライン 日小循誌 2012 年 28 巻 Suppl 2.
- ③ 川崎病急性期治療のガイドライン（改訂版）日小循誌 2012 年 28 巻 Suppl 3.
- ④ 小児心不全治療のガイドライン：改訂中

適応外薬品が多く対応は十分できていないが、上記のように一部は治験が進行中か予定されている。①ではアミオダロン、③ではインフリキシマブ、④ではカルベジロールなどが適応外である。その他、日本循環器学会のガイドラインに複数関与している。

4. 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に提出した医薬品のその後の経緯と、その後の要望提出状況

昨年度要望した薬剤（ニトロプルシド、シルデナフィール、エポプレステノール）が検討中である。

5. 研究班への意見・要望

治験を迅速に進めるためのネットワーク等の組織構築を推進，厚労省による企業に対するインセンティブの強化，などを希望する。

日本小児神経学会

小児神経学会としての取り組み

1. 小児医薬品を対象とした臨床試験・治験への取り組みと立案・実施等での障害や疑問

1) 発達障害を有する小児の睡眠障害を対象にメラトニン開発（コンパッショネートユース医薬品）

これは小児神経学会薬事委員会で承認されメラトニンコンソーシアムが立ち上げられ小児精神神経学会、小児心身医学会、小児神経学会の合同研究で行っている。その際に所属機関によっては企業の学術指導などの産学連携の経験がない場合に合同研究が困難になることがあった。

2) 免疫介在性神経疾患あるいはてんかんに対するタクロリムス療法

小児慢性特定疾病に新たに選ばれた Rasmussen 症候群の治療薬としてタクロリムスの保険適応を要望しているが、本症候群自体の症例数が少なく、エビデンスのある RCT が不可能であり、非常な困難を伴っている。第 48 回日本てんかん学会プレングレスにおいて Rasmussen 症候群をテーマに取り上げこの疾患の権威であるドイツの Bien 教授を招聘してタクロリムスの有効性の現状について講演いただいた。

3) ボトックスの適応追加として流涎に対する保険適応について学会として推進したい。

2. コンパッショネートユース医薬品（国内で市販されていないで独自に輸入している）の国内導入の取り組みの進捗と障害・問題点

1) 小児交代性片麻痺（AHC）に対するフルナリジン療法

治療薬のフルナリジンは国内生産が中止後、AHC の会で長期個人輸入を行っている。以前より保険適応について厚労省、製薬メーカーと相談してきたが対象症例の少なさ、欧米での使用成績の蓄積や RCT がいないことなど重なり現状では困難と判断されている。

2) ビガバトリンの點頭てんかんへのオーファンドラッグとしての承認を目的とした治験

ビガバトリンは成人の部分てんかんの治験中に視野狭窄の副作用出現のため国内での治験が中止されたが、欧米では點頭てんかんに対しては今も第一選択薬として使用されている。「医療上必要性が高い未承認薬検討会議」で検討され、現在點頭てんかんを対象に開発治験が行われている。欧米では結節性硬化症の點頭てんかんに対する第一選択薬である。承認までは個人輸入で治療を行っている施設が数か所存在する。

3. 各分科会が関連するガイドラインに記載のある適応外医薬品について、適応外使用解決に向けての取り組み

1) 結節性硬化症治療へのエベロリムスの使用で特に SEGA と腎血管腫への保険適応が承認されたが、さらに 2013 年末から結節性硬化症に伴う部分てんかんへの国際小児治験が開始され、日本も小児神経学会会員が中心となって治験に参加しており、2015 年中には終了する予定。

4. 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議第 2 回募集」で提出した医薬品のその後の経緯と、その後の要望提出状況

1) てんかん重積症治療薬として小児神経学会が要望してきたミダゾラムの保険適応が認可され 2014 年 12/17 より薬価収載となった、今後はミダゾラムの点鼻ないし経粘膜使用の要望をだしていく予定である。

2) 進行性筋ジストロフィーに対する経口ステロイド治療は、公知申請が通り 2013 年度に保険適応となった。

日本小児血液・がん学会

1. 小児医薬品および医療機器を対象とした臨床試験・治験への取り組みと立案・実施等での障害や疑問

・根本的な問題として、患者数の少ない小児血液疾患・がんを対象とした薬剤開発は企業によって行われることはほとんどない。一定のエビデンスレベルのある医薬品を対象に各治療研究グループや委員会や委員施設を中心に臨床試験、医師主導治験を計画、実施している。

・未承認薬における医師主導治験においては国内開発企業がない場合、治験薬提供者の確保に難渋している。研究者が製薬企業に一社ずつ当たる状態であり、確保できずに断念したこともあり。

・適応外薬の開発においても企業協力がほとんど得られないこともあり。

2. コンパッショネートユース（国内で市販されていないで独自に輸入している）医薬品および医療機器のリスト、これらの国内導入の取り組みの進捗と障害・問題点

・イソトレチノイン：神経芽腫の欧米標準薬であるにもかかわらず、海外でも適応なし（保険償還のみ）であるため、国内での開発の可能性さえなし。元来、ざ瘡治療薬であり、これに対する個人輸入に対しては厚労省より乱用による有害事象に対する警告が出ている薬剤であるにも関わらず、個人輸入による使用が続いてきた。一部では適正な使用と安全性情報収集のために、研究費購入を行い、臨床試験にて投与を行っている。研究費が打ち切られれば、再び個人輸入に戻らざるを得ず、大きな問題である。未承認薬・適応外薬検討会議に過去 2 回あげてはいるが、海外承認なしのため、検討対象外。

3. 各分科会が関連するガイドラインに記載のある適応外医薬品および医療機器のリスト及び、適応外使用解決に向けての取り組み

・別紙 1 に示す通り、適応外・未承認の医薬品につきリストを作成し、各薬剤につき、具体的対応を検討している。未承認薬・適応外薬等検討会議に提出、検討外となった薬剤についても、エビデンスが追加される毎に再提出を行っている。

4. 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に提出した医薬品のその後の経緯と、その後の要望提出状況

・2013 年 12 月末締め切りの第Ⅲ回第一期 要望にて別紙 2 の 8 剤を提出。結果は以下。検討対象となり、現在検討中の品目：ピノレルピン酒石酸塩、ブスルファン、リツキシマブ。

ビノレルピンは適応追加を第Ⅰ回要望で提出、検討対象外となったものをエビデンス追加で再提出したもの、ブスルファンは用法追加、リツキシマブは小児適応追加。

検討対象外の品目 : Daunorubicin citrate liposome injection、クリゾチニブ、ゲムツズマブ オゾガマイシン、ブレンツキシマブ ベドチン、ボルテゾミブ、isotretinoin (学会員より個人として提出)

・2014年12月末締め切りの第Ⅲ回第三期要望にて、別紙3の9剤を提出。
現在、受付済み、適応の変更指示があり、一部修正し、1, 2を分割し再提出。

5. 研究班へのご意見、ご要望

・同一疾患に成人適応がある医薬品で、小児の診療ガイドラインに記載されている薬剤、国内で一定の使用報告がある薬剤において、小児適応の追加につき、是非、および、追加する場合の方法論を検討いただきたい。

・今後の開発品については小児での使用の可能性のある薬剤では、成人の開発が一定進んだ段階で、小児における安全性、用量確認を開発終了前に行い、小児用量を記載する方向を企業に要請したい。実施企業に対するなんらかのインセンティブの設定などの行政への要望も検討いただきたい。

以上

発表担当者：国立がん研究センター中央病院 小川千登世

1. 血液疾患に対する治療薬

疾患	特記事項	薬剤	適応	適応外	
急性リンパ性白血病	Bpre	ピンクリスチン	○		
		L-アスパラギナーゼ	○		
		メソトレキセート	○		
		ダウノルビシン	○		
		ピラルビシン	○		
		シクロホスファミド	○		
		6-メルカプトプリン	○		
		ドキシソルビシン		○	
		シタラビン	○		
		T-ALL	イホスファミド	○	
	ネララビン		○		
	髄注	メソトレキセート		○	
		シタラビン		○	
	乳児		ピンクリスチン	○	
			シクロホスファミド	○	
			ドキシソルビシン		○
			L-アスパラギナーゼ	○	
			シタラビン	○	
			エトポシド	○	
			ダウノルビシン	○	
6-メルカプトプリン			○		
再発または難治性	イダルビシン		○		
	ミトキサントロン	○			
急性骨髄性白血病	APL 以外	シタラビン	○		
		ダウノルビシン	○		
		エトポシド	○		
		イダマイシン	○		
		ミトキサントロン	○		
		トレチノイン	○		
	APL	ダウノルビシン	○		
		シタラビン	○		
		イダルビシン	○		
		6-メルカプトプリン	○		
		メソトレキセート	○		
		イマチニブ		○	
		ダサチニブ	○		
		ニロチニブ	○		
慢性骨髄性白血病		イマチニブ		○	
		ダサチニブ	○		
		ニロチニブ	○		
		イマチニブ		○	
骨髄異形成症候群	JMML	6-メルカプトプリン	○		
		シタラビン	○		
		エトポシド	○		
		イソトレチノイン		未承認	
悪性リンパ腫	バーキットリンパ腫またはDLBCL	ピンクリスチン	○		
		ドキシソルビシン	○		
		シクロホスファミド	○		
		メソトレキセート	○		
		シタラビン		○	
	再発または難治	エトポシド	○		

薬剤の保険適応外使用に関して_抗腫瘍薬

性(バーキットリンパ腫またはDLBCL)	シスプラチン	○		
	L-アスパラギナーゼ	○		
	イホスファミド	○		
	カルボプラチン	○		
	リンパ芽球性	ピンクリスチン	○	
		L-アスパラギナーゼ	○	
		シクロホスファミド	○	
		イホスファミド	○	
		ダウノルビシン	審	○
		6-メルカプトプリン		○
		メソレキセート	○	
		エトポシド	○	
		シスプラチン	○(再発)	
ドキソルビシン		○		
シタラビン		○		
再発または難治性(リンパ芽球性)	ネララビン	○(T)		
	カルボプラチン	○		
未分化大細胞型	ドキソルビシン	○		
	ピンクリスチン	○		
	シクロホスファミド	○		
	メソレキセート	○		
	ビンブラスチン	○		
	シタラビン		○	
	イホスファミド	○		
	エトポシド	○		
ホジキンリンパ腫	ビンブラスチン	○		
	プレオマイシン	○		
	ピンクリスチン	○		
	ドキソルビシン	○		
	メソレキセート	○		
	エトポシド	○		
	プロカルバジン	○		
	シクロホスファミド	○		
	ダカルバジン	○		
	再発または難治性(ホジキンリンパ腫)	カルボプラチン	○	
イホスファミド		○		
ビルルビン			○	
ゲムシタビン		○		
プロカルバジン		○		
シスプラチン		○		
急性白血病	エトポシド(内服)	審		
難治性造血器悪性腫瘍	ミキサントロン	審		

審: 適応にはないが、保険審査上は認められている。

2. 脳腫瘍に対する治療薬

疾患	特記事項	薬剤	適応	適応外
頭蓋内胚細胞腫	初発	シスプラチン	○	
		エトポシド	○	
		シクロホスファミド		○
		カルボプラチン	○	
	髄注	メソレキセート		○
髄芽腫	初発	シクロホスファミド		○
		エトポシド	○	
		ピラルピシン		○
		シスプラチン	○	
		ビンクリスチン		○
		ニムスチン	○	
		カルボプラチン		○
	ロムスチン		未承認	
	再発または難治性 髄注	トポテカン	○	
髄注	メソレキセート		○	
AT/RT	初発	ドキシソルビシン	○	
		シクロホスファミド		○
		ビンクリスチン	○	
		イホスファミド	○	
		エトポシド	○	
		アクチノマイシンD		○
	髄注	メソレキセート		○
悪性星細胞腫	初発	テモゾロミド	○	
		ビンクリスチン	○	
		プロカルバジン	○	
		カルボプラチン		○
		ニムスチン	○	
乏突起膠腫	初発	テモゾロミド	○	
		プロカルバジン	○	
		ビンクリスチン	○	

3. 固形腫瘍(脳腫瘍以外)に対する治療薬

疾患	特記事項	薬剤	適応	適応外
肝芽腫	初発	シスプラチン	○	
		ピラルピシン		○
		フルオロウラシル		○
		ビンクリスチン	○	
		ドキシソルビシン	○	
		イホスファミド	○	
		カルボプラチン	○	
		エトポシド	○	
		イリノテカン	○	
腎芽腫	初発	アクチノマイシンD	○	
		ビンクリスチン	○	

薬剤の保険適応外使用に関して_抗腫瘍薬

		ドキシソルビシン	○	
		イホスファミド	○	
		エトポシド	○	
		カルボプラチン	○	
		シクロホスファミド		○
骨肉腫	初発	ドキシソルビシン	○	
		シスプラチン	○	
		メソトレキセート	○	
		イホスファミド	○	
		シクロホスファミド	○	
		エトポシド	○	
	再発または難治性	カルボプラチン		○
		ゲムシタピン		○
		ドセタキセル		○
中枢神経外胚細胞性腫瘍	初発	シスプラチン	○	
		エトポシド	○	
		プレオマイシン	○	
		カルボプラチン		○
	再発または難治性	ビンブラスチン	○	
		イホスファミド	○	
		パクリタキセル	○	
網膜芽細胞腫	初発	ビンクリスチン		○
		カルボプラチン	○	
		エトポシド	○	
		イホスファミド	○	
		シクロホスファミド	○	
		ドキシソルビシン	○	
		トポテカン	○	
	眼動注	メルファラン		○
神経芽腫	初発	シスプラチン	○	
		シクロホスファミド	○	
		ビンクリスチン	○	
		ドキシソルビシン	○	
		エトポシド	○	
		カルボプラチン	○	
		ピラルビシン		○
		イホスファミド	○	
		イホレチクイン		未承認
		トポテカン	○	
		イリノテカン	○	
		テモゾロミド		○
	横紋筋肉腫	初発	ビンクリスチン	○
アクチノマイシン D			○	
シクロホスファミド			○	
シスプラチン			○	
エトポシド			○	
ピラルビシン				○

薬剤の保険適応外使用に関して_抗腫瘍薬

	再発または難治性	イホスファミド	○	
		ドキソルビシン	○	
		カルボプラチン		○
		トポテカン	○	
		イリノテカン	○	
		ビシカルピン		○
		ゲムシタビン		○
		ドセタキセル		○
		テモゾロミド		○
ユーイング肉腫ファミリー腫瘍	初発	ドキソルビシン	○	
		シクロホスファミド		○
		ビンクリスチン	○	
		イホスファミド	○	
		エトポシド	○	
		アクチノマイシン D	○	
	再発または難治性	カルボプラチン	○	
		トポテカン	○	
		イリノテカン	○	
		テモゾロミド		○
		ゲムシタビン		○
		ドセタキセル		○
難治性小児固形腫瘍			○	
小児悪性固形腫瘍		○		

4. 移植前処置薬

疾患	特記事項	薬剤	適応	適応外
髄芽腫	Auto	メルファラン	○	
		カルボプラチン		○
AT/RT	Auto	メルファラン	○	
		カルボプラチン		○
神経芽腫	Auto	メルファラン	○	
		ブスルファン	○	
ユーイング肉腫ファミリー腫瘍	Auto	メルファラン	○	
		ブスルファン	○	
急性リンパ性白血病	Allo	シクロホスファミド	○	
		メルファラン	○	
		ブスルファン	○	
		フルダラビン	審	○
		エトポシド		※
急性骨髄性白血病	Allo	ブスルファン	○	
		メルファラン	○	
		フルダラビン	○	
		シクロホスファミド	○	
問わず	Allo/Auto	シタラビン	審	

※造血幹細胞移植の前処置としての適応はなし

審: 適応にはないが、保険審査上は認められている。