

## 「小児薬物療法検討会議」において検討対象とする場合の考え方 (案)

### 1. 検討の対象とする医薬品の類型

- 1) 国内に同一有効成分の医薬品はあるが、必要な剤型が無いもの  
(例：現在、脱カプセル、錠剤つぶし、静注用製剤の経口投与で対応している場合等)
- 2) 国内に同一有効成分及び同一剤型の医薬品はあるが、小児（あるいは特定の年齢群）の必要な適応（以下「新規適応」という。）が無いもの
  - (ア) 小児（あるいは特定の年齢群）の他の適応はある（用量や安全性の評価がある程度されている）
    - ① 成人や他年齢群でも新規適応がない
    - ② 成人や他年齢群では新規適応がある
  - (イ) 小児（あるいは特定の年齢群）の他の適応もない
    - ① 成人や他年齢群でも新規適応がない
    - ② 成人や他年齢群では新規適応がある
- 3) 国内に同一有効成分、同一剤型及び同一適応の医薬品はあるが、小児（あるいは特定の年齢群）の用量が不明確のもの
  - (ア) 海外（米、英、独、仏など、承認審査に係る薬事規制が我が国と同等と考えられる国。以下同じ。）の添付文書でも明確な用量記載がない
  - (イ) 海外の添付文書では明確な用量記載がある
- 4) 小児での安全性が確立していないもの、安全性の記載が不十分あるいは行き過ぎているもので、保険で査定される可能性が比較的高い等の問題があるもの

※以下の医薬品については、本検討会の対象外とする。

- ・ 海外で承認されている、あるいは海外で治験中であるが、まだ国内に製剤がない（原則として新規性の高い）医薬品
- ・ 海外で承認されている临床上必要不可欠な比較的古い医薬品で、国内に製剤がないもの
- ・ 試薬を転用している医薬品、施設で化学合成している医薬品など

## 2. 対象医薬品の優先度決定の基準

以下の（ア）に記載されているレベルのエビデンスがあり、かつ、（イ）のいずれかを満たす医薬品について、（ウ）の観点も加味して優先度を決定する。

### （ア）エビデンスレベル

- ① アメリカ、イギリス、ドイツ及びフランスなど承認審査に係る薬事規制が我が国と同等と考えられる国で承認された効能・効果及び用法・用量を持つ医薬品が原則
- ② ①でない場合、複数の検証的な臨床試験結果がある、あるいは多くの世界的に認められた教科書に標準的治療として記載されている等、エビデンスが十分にあると考えられる医薬品

### （イ）適応疾病の重篤度等

- ① 適応疾病が重篤であり、生命に重大な影響がある疾患
- ② 適応疾病が重篤であり、病気の進行が不可逆 及び／又は 日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ③ その他（例：適応疾病は重篤ではないが日常生活に著しい影響を及ぼす疾患）

### （ウ）小児科領域における医療上の有用性

- ① 既存の治療法・予防法が無い
- ② 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の治療法・予防法と比べて明らかに優れている
- ③ 本邦で広範に使用され、用法・用量等を適正化することによる臨床現場への影響が大きい