

小児薬物療法報告書に記載すべき事項

1. 当該薬物療法の小児科領域における医療上の必要性（総論）

- * 必要と考えられるすべての効能・効果、用法・用量、新たに必要とされる剤形等について説明。
- * 「小児薬物療法検討会議において検討対象とする薬物療法の考え方」中の「優先度決定の基準」の「(イ) 適応疾患の重篤度など」および「(ウ) 小児科領域における医療上の有用性」のどのカテゴリーに相当するかについて明らかとなるよう説明。

2. 我が国で必要と考えられる具体的処方等に関する概要

- * 必要と考えられる、効能・効果、用法・用量を記載すること。
- * 必要な剤形と、必要であれば剤形ごとの効能・効果と用法・用量についても記載すること。
- * 国内添付文書の「使用上の注意」等に記載すべき内容などについても記載すること。

3. 文献情報等

① 欧米4カ国での承認状況

- * 米、英、独、仏の添付文書に記載された、効能・効果及び用法・用量とその他の小児関連の情報を中心に、国名、剤形等を明示して記載すること。また、剤形により、効能・効果及び/又は用法・用量が異なる場合には、その内容を記載すること。
- * 必要に応じ、欧米での使用方法と、上記2. で推奨される我が国での使用方法との相違について説明する。欧米での使用方法と異なる場合には、その異なる必要性やそれを支持するエビデンスの概要について記載する。

② 無作為化比較試験・薬物動態試験等の公表論文としての報告状況

- * 文献の検索方法（検索式や検索時期等）を示し、検索された論文のうち重要と考えられる論文の概要、重要と判断された根拠を記載すること。都合のよい文献のみを引用せず、無効とする文献や、安全性に懸念を示す文献なども公平に採用すること。（網羅的な評価が必須である。）
- * 臨床試験の概要説明には、どのような臨床試験であるか（プラセボ対照二重盲検比較試験など）、対象（疾患、重篤度、症例数など）、具体的な有効性評価（主要評価項目、例数や統計的評価など）、及び安全性評価（有害事象の頻度、程度、主な有害事象名など）等、医薬品の評価に必要な情報を盛り込むこと（抗がん剤併用療法検討会議の報告書を参照）。（単に「有効であった」、と記載しても読者は評価できない。）
- * 小児では、年齢ごとの用量設定が必要とされることが多い。特定の年齢群の用量評価に重要と判断される薬物動態試験結果についてはその概要を説明すること。
- * 論文はただむやみに引用するのではなく、科学性について十分に配慮した上で引用すること。

- ③ Peer-review journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況
 - * 都合のよい総説のみを引用せず、公平に評価すること。
 - * メタ・アナリシスについては結論だけでなく、評価内容等についても必要に応じて記載すること。
- ④ 教科書等への標準的治療としての記載状況
 - * 国内外の代表的教科書、薬用量ハンドブックなどの記載状況を列挙すること。
- ⑤ 学会又は組織・機構の診療ガイドラインへの記載状況
 - * 学会名や組織・機構名等を含む出典も記載。海外のものであれば国名も記載すること。

4. 国内での使用実態

- * 文献の検索方法（検索式や検索時期等）を示し、検索された論文のうち重要と考えられる論文の概要、重要と判断された根拠を記載すること。都合のよい文献のみを引用せず、無効とする文献や、安全性に懸念を示す文献なども公平に採用すること。（網羅的な評価が必須である。）
- * 用法・用量、有効性、安全性を可能な限り網羅すること。

5. 有効性の総合評価

- * 複数の効能・効果がある場合は、それぞれの効能・効果の妥当性の評価についての議論を含むこと。
- * 必要であれば、剤形ごとの議論を含むこと。
- * ネガティブデータを無視せずに、必要に応じて評価すること。

6. 安全性の総合評価

- * 成人に比して、小児で明らかに有害事象発現が多いことはないか、小児特有の有害事象がないか等の情報は重要であり、その評価について可能な限り言及すること。
- * 比較試験等での安全性情報の頻度・程度の違い等の情報がある場合は、その内容も必ず評価すること。
- * 小児に対する当該使用方法の安全性に懸念を示す文献がある場合、その評価を必ず記載すること。

7. 用法・用量の妥当性

- * 投与量の妥当性、剤形についての議論を含むこと。
- * 必要があれば、剤形による整合の必要性についての議論を含むこと。

8. 追加国内使用実態調査の必要性

- * 追加国内使用実態調査の必要性の有無とその理由を記載。

9. その他