

2. 抗がん剤併用療法検討会（平成 16 年）

検討会で作成された報告書を踏まえて薬事食品衛生審議会医薬品第 2 部会で事前評価を実施し、その結果一定の根拠が認められた場合は当該医薬品の承認取得企業に一部承認事項変更申請を依頼し、依頼に基づいた申請に対しては迅速に処理して承認する枠組み

3. 「いわゆる「混合診療」問題に係る基本的合意」（平成 16 年）

表の A にあたる国内未承認の医薬品について、欧米で承認されている場合は検討会で検討した上で、確実な治験の実施につなげる枠組み

4. 高度医療評価制度（平成 20 年）

適応外医薬品・医療機器等を用いた自主臨床試験を「高度医療」に指定して、保険外併用療養費の枠組みを使用可能とする制度

II-2. 小児領域

小児領域では、日常診療で使用される医薬品の実に 75%が適応外使用といわれるほど、成人にもまして適応外使用問題が日常診療に深刻な影響を及ぼしている。

1. 「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」（平成 12 年）

日米欧 3 極の ICH における合意（ICH Topic E-11）に基づいて定められた。成人における開発段階において、小児にも使用されると推定されるならば、小児集団の検討を開発計画に含むべきとする内容。

2. 「小児科領域における適応外使用解決と治験推進のためのアクションプラン」（平成 16 年 日本小児科学会）

適応外医薬品のプライオリティリストの作成やカテゴリー分けを実施

3. 「小児に対する薬物療法の根拠情報収集事業」（平成 17 年）

5 年間で 100 品目について小児薬物療法に関する情報収集と使用方法の評価・整理を実施

III. 欧米における適応外使用問題への対応

医薬品の適応外使用問題は、わが国に限らず欧米各国に存在し、様々な対応がとられている。対応の具体的内容としては、①治験を含む臨床試験の推進、②（特に EU で）未承認薬使用の登録制度、③（米国で）第 3 者機関の作成する「エビデンス集」ともいえる” Compendia” の記載や、公表学術論文の記載等により当該医薬品の使用が正当化できる場合には保険償還を認める制度等がある。一方、小児領域においては、米国では、承認済み医薬品の小児領域の臨床試験や臨床薬理学的研究の推進、小児治験を実施する企業に対する、特許権や市場独占権の延長等の優遇措置、小児領域における治験を含む臨床試験が必要な医薬品リストの公開等、EU では、小児治験を実施する企業への特許権延長等、小児

治験に関する規制当局による無料アドバイスの実施、小児用医薬品の申請手数料の軽減等の対応がとられている。

IV. まとめ

医薬品の適応外使用問題は、わが国のみならず世界中で問題となっており、各国はそれぞれの医療制度の中で各種対応を行っているが、共通点として、①いずれも中央行政レベルやアカデミアのレベルで対応が行われており、個々の医療施設で個別に議論されるものではない、②個々の適応外使用を認める、認めないという議論に終始するのではなく、最終的に承認事項とされるためのエビデンス収集を目指して、臨床研究の実施を推進している、③特に治験実施が困難とされる領域（小児領域、救急医療、難病等）については、様々な制度が重層的に整備されている。わが国でも、ここ数年の間に適応外使用問題に対する行政やアカデミアの対応が急速に進んできたところである。本検討会としても、この流れを遮断することなく、最終目標である承認事項の適正化を目指した対応を行政に求めるべきであり、医療施設レベルで個別議論に終始することで、結果的に一貫性のない結果を生み出しかねない方向性を打ち出すべきではないと考える。

なお、適応外使用問題の是正には、適切なエビデンスの収集とその評価、臨床試験の実施に関する企業やアカデミアへの助言等、規制当局の関与が非常に重要である。欧米の規制当局に比べてわが国の医薬品医療機器審査機構（PMDA）は専門性の高い審査員の人数が少ない。この点を早急に改善する必要があるが、国公立大学、ナショナルセンター、公的研究機関のほとんどが非公務員化する現在、これらアカデミアのセクターに在籍する研究者や医療者が公務員に転職する場合、人事評価、専門技術の継続と発展性、給与等様々な面で不利益を被る可能性がある。実際、PMDA が国立医薬品食品衛生研究所に属していた時代にナショナルセンターや国立大学から移籍した医師の審査官全員が年収の大幅低下を経験している。有能な研究者や医療者を PMDA に集めるためには、人事面の条件等の柔軟性が極めて重要であるが、公務員型となった場合、果たしてそのような柔軟性が望めるのか、大いに疑問であり、この点を真剣に考えなければ、どのような提言も結局は「笛吹けど踊らず」で実効性の乏しいものとなるのではないかと危惧します。

参考資料：

- 1) 厚生労働科学研究費補助金厚生労働科学特別研究事業「「適応外使用」の対応に係る現状と今後の対応のあり方に関する研究」平成 16 年度総括・分担研究報告書（主任研究者 黒川清 2005 年 3 月）
- 2) 「小児用医薬品の適応外使用をめぐって—現状をいかにして改善すべきか」薬の知識. 53; 1-12, 2002.
- 3) 「小児薬物療法検討会議」資料 5
- 4) 「同」資料 7

「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臨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

「小児薬物療法検討会議」において検討する薬物療法の候補（案）

学会名： 日本未熟児新生児学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
クエン酸カフェイン	未熟児無呼吸発作	新生児	1	1)	(ア)-① (イ)-① (ウ)-②	○ (2000)	×	×	×	
アシクロビル	新生児単純疱疹ウイルス感染症	新生児	2	2)-(ア)-②	(ア)-① (イ)-① (ウ)-①	○ (1998)	○ (1992)	○ (1988)	○ (1987)	
ガンマグロブリン	血液型不適合溶血性黄疸	新生児	3	2)-(ア)-①	(ア)-② (イ)-① (ウ)-②	×	×	×	×	
ドキサプラム	未熟児無呼吸発作	新生児	4	4)	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③	×	×	×	×	
ガンシクロビル	新生児サイトメガロウイルス感染症	新生児	5	2)-(ア)-②	(ア)-② (イ)-② (ウ)-②	△	△	△	△	

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
酢酸フレカイニド (50mg、100mg錠 剤、50mg注射剤)	①錠剤 小児への頻脈 性不整脈(発作性上室 性頻拍、非発作性上室 性頻拍、心室頻拍)に 対する効能追加 ②注射剤 小児への頻 脈性不整脈(発作性上 室性頻拍、非発作性上 室性頻拍、心室頻拍) に対する効能追加	①錠剤 15歳以下 (但し、錠剤の服用 が可能であることを 確認)、②注射剤 15歳以下	1	1) 2)(イ)①(錠 剤:発作性上室 性頻拍、非発 作性上室性頻 拍) (注射剤:非発 作性上室性頻 拍) 2)(イ)②(錠 剤:心室頻拍) (注射剤:発作 性上室性頻 拍、心室頻拍) 3)(イ)(錠剤) 3)(ア)(注射 剤)	①錠剤 (ア) ①、(イ)①、 (ウ)②③ ② 注射剤 (イ) ①、(ウ)②③	①錠剤 ○ ② 注射剤 △	①錠剤 △ ② 注射剤 △	①錠剤 △ ② 注射剤 △	①錠剤 △ ② 注射剤 △	
マレイン酸エナラ プリル(2.5mg、 5mg、10mg錠)	①小児の高血圧症に 対する効能追加、 ②小児の慢性心不全 に対する効能追加	15歳以下(但し、 錠剤の服用が可能 であることを確認)	2	①小児高血圧 症に対して 1)、2)(イ)②、 3)(イ)、②小 児慢性心不全 に対して 1)、 2)(イ)②、3) (ア)	①小児高血圧 症に対して (ア)①、(イ) ②、(ウ)①③、 ②小児慢性心 不全に対して (ア)②、(イ) ①、(ウ)①③	①高血 圧○ ②心不 全△	①高血 圧○ ②心不 全△	①高血 圧○ ②心不 全△	①高血 圧○ ②心不 全△	
塩酸ベラパミル (40mg錠剤、5mg 注射剤)	①錠剤 小児の頻脈性 不整脈(発作性上室性 頻拍、発作性心房細 動、発作性心房粗動) に対する効能追加、 ②注射剤 小児の頻脈 性不整脈(発作性上室 性頻拍、発作性心房細 動、発作性心房粗動) に対する効能追加	①錠剤 15歳以下 (但し、錠剤の服用 が可能であることを 確認)、②注 射剤 15歳以下	3	①錠剤 1)、 2)(イ)①、3) (イ) ②注射剤 2) (イ)②、3)(イ)	①錠剤 (ア) ①、(イ)①、 (ウ)②③ ②注射剤 (ア)①、(イ) ①、(ウ)②③	①錠剤 ○ ② 注射剤 ○	①錠剤 ○ ② 注射剤 ○	①錠剤 ○ ② 注射剤 ○	①錠剤 △ ② 注射剤 x	
ベシル酸アムロジ ピン	小児高血圧症の効能 追加	15歳以下(但し、 錠剤の服用が可能 であることを確認)	4	1)、2)(イ)②、 3)(イ)	(ア)①、(イ) ②、(ウ)①③	○	△	△	△	
カルベジロール	小児慢性心不全に対 する効能追加	15歳以下(ただし、 錠剤が内服できる ことを確認のうえ投 与すること)	5	1)、2)(イ)②、 3)(ア)	(ア)②、(イ) ①、(ウ)②③	△	△	△	△	
塩酸メキシレチン (50mg、100mgカ プセル)	小児頻脈性不整脈(心 室性)の効能追加	15歳以下(但し、カ プセルの内服が可 能であることを確 認)	6	1)、2)(イ)②、 3)(ア)	(イ)①、(ウ) ①③	△	△	△	△	

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり					
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他	
A型ボツリヌス毒素	眼瞼けいれん、片側顔面けいれんの改善。痙性斜頸の改善。脳性麻痺における下肢痙縮の改善。	脳性麻痺における下肢痙縮に対しては2歳以上。	1	2)-(ア)-①	(ア)-① (イ)-② (ウ)-②	?	○	○	○	○ 注) 1998年、2歳以上の小児脳性麻痺による下肢痙縮	オーストラリア等計65ヶ国で承認
ミタゾラム注	てんかん様重積状態(けいれん重積症)	乳児から成人	2	2)-(イ)-①	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③			過去に○			
ステロイドホルモン	筋ジストロフィー	幼児から成人	3	2)-(イ)-①	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③						
塩酸リドカイン	てんかん様重積状態(けいれん重積症)けいれん発作頻発状態の改善	新生児から乳幼児	4	2)-(イ)-①	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③						
ジアゼパム注腸液	てんかん様重積状態(けいれん重積症)	乳児から成人	5	1)	(ア)-① (イ)-① (ウ)-③	○	○				
フェノバルビタールナトリウム	てんかん様重積状態(けいれん重積症)	新生児から成人	6	1)	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③						

学会名: 日本小児神経学会&日本小児心身医学会&日本小児精神神経学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
メチルフェニデート	注意欠陥/多動性障害	小児(6-15歳)	1	2)-(ア)-①	(ア)-① (イ)-③ (ウ)-③	○	○	○	○	アイ ランド
リスベリドン	統合失調症、破壊性行動障害の効能追加	小児	2	2)-(イ)-① 3)-(ア)	(ア)-① (イ)-② (ウ)-②	△	△	○	○	
アルプラゾラム	小児の(過剰)不安障害(パニック障害(過換気症候群)・夜驚症・全般性不安障害)・不登校が継続する予期不安の強い症例の効能追加	小児・思春期	3	2)-(イ)-② 3)-(ア) 4)	(ア)-① (イ)-② (ウ)-②	△	△	×	×	
クエン酸タンドスピロン	心身症(自律神経失調症、本態性高血圧、消化性潰瘍)における身体症状ならびに抑うつ、不安、焦燥、睡眠障害・神経症における抑うつ、恐怖の効能追加	小児(6歳~18歳未満)	4	2)-(イ)-②	(イ)-② (ウ)-②	×	×	×	×	欧米は なし、ア ジアの み
エチゾラム	神経症における不安・緊張・抑うつ・神経衰弱症状・睡眠障害うつ病における不安・緊張・睡眠障害心身症(高血圧症、胃・十二指腸潰瘍)における身体症状ならびに不安・緊張・抑うつ・睡眠障害の効能追加	小児	5	2)-(イ)-②	(イ)-② (ウ)-②	×	×	×	×	欧米で はイタ リアのみ

学会名: 日本血液学会、日本小児がん学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
フィルグラステム レノグラステム ナルトグラステム	自己注射の用法追加	小児・成人 (キャリアオーバー 含む)	1	2)-(ア)-①	(ア)-① (イ)-① (ウ)-①	○	○	○	○	
フルコナゾール	懸濁液の剤型追加	小児	2	1)	(ア)-① (イ)-① (ウ)-①	○	不明	不明	不明	
イホスファミド	悪性リンパ腫の効能追加	小児	3	2)-(ア)-①	(ア)-① (イ)-① (ウ)-③	×	×	○	不明	

学会名: 日本小児アレルギー学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
塩酸イソプロテレ ノール吸入液	「気管支喘息重症発作 に対する持続吸入療 法」の用法の追加	乳児を含む小児	1	2)-(ア)-①	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③	×	×	×	×	オースト ラリア、 ポーラ ンド、ス ロバキ ア、エス トニア、 クウェー トで販 売され ている が、当 該用法 につい ての適 応は不 明
塩酸プロカテロー ル吸入液	使用上の注意から「乳 児に対する安全性は確 立していない。」を削除	乳児	2	4)	(ア)-② (イ)-② (ウ)-③	×	×	×	×	韓国 (2000年 7月)、南 米:メキ シコ (2001年 6月)ほ か12カ 国
برانلكاستدرا ي شروب	添付文書から「1歳未 満の小児での使用経 験がなく、低出生体重 児、新生児、乳児に対 する安全性は確立して いない」を削除	乳児	3	4)	(ア)- (イ)-① (ウ)-③	×	×	×	×	
トシル酸スプラタ ストドライシロップ	効能・効果にアトピー 性皮膚炎、食物アレル ギーを追加、使用上の 注意から「乳児(3歳未 満)に対する安全性は 確立していない」を削 除	乳幼児	4	2)-ア)-②	(ア)- (イ)-③ (ウ)-③	×	×	×	×	

学会名： 日本先天代謝異常学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
塩化レボカルニチン錠	原発性カルニチン欠乏症、その他の二次性カルニチン欠乏症への適応拡大。注射製剤及び用量増量が必要。	全年齢群	1	1) 2)-(ア)-①	(ア)-① (イ)-① (ウ)-①	○	不明	不明	不明	伊
塩酸サプロプロテリン顆粒	BH4反応性フェニルアラニン水酸化酵素欠損症における血中フェニルアラニン値の低下。	全年齢群	2	2)-(ア)-①	(ア)-② (イ)-② (ウ)-②	×	×	×	×	
ピオチン散	ホロカルボキシラーゼ合成酵素欠損症、ピオチニダーゼ欠損症、ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害。原末製剤及び用量増量も必要。	全年齢群	3	1) 2)-(ア)-①	(ア)-② (イ)-① (ウ)-①	不明	不明	不明	不明	
メトニタゾール内服錠	プロピオン酸血症、メチルマロン酸血症のコントロールの改善。水剤、散薬製剤も必要。	全年齢群	4	1) 2)-(イ)-①	(ア)-② (イ)-① (ウ)-①	不明	不明	不明	不明	

学会名： 日本小児腎臓病学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
シクロホスファミド	頻回再発型ネフローゼ症候群の効能追加	1歳以上の小児	1	2)-(イ)-①	(ア)-① (イ)-③ (ウ)-③	○	○	○		
ソルメドロール	ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群の効能追加	1歳以上の小児	2	2)-(ア)-①	(ア)-① (イ)-② (ウ)-①	○	×			イタリ ア、ペ ル ギー、 オース トラ リア
セルセプト	腎移植の小児への適応拡大	1歳以上の小児	3	3)-(イ)-①	(ア)-① (イ)-① (ウ)-③	○	○	○	○	
ミノリピン	頻回再発型ネフローゼ症候群の効能追加	1歳以上の小児	4	2)-(イ)-①	(ア)-? (イ)-③ (ウ)-③	×	×	×	×	中国、 韓国
ヒドロクロロチアジド	高カルシウム尿症の効能追加	乳児を含む小児	5	2)-(ア)-①	(ア)-② (イ)-③ (ウ)-①	○	○			オース トラ リア、 ペル ギー

学会名： 日本小児内分泌学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
メトフォルミン	2型糖尿病の小児への 適応追加	10歳以上	1	2)-(イ)-②	(ア)-① (イ)-② (ウ)-③	○	△	△	△	△
リュープロレリン	中枢性思春期早発症 の用量追加	新生児より	2	3)-(イ)	(ア)-① (イ)-② (ウ)-③	○	○	○	○	
パミドロネート	骨形成不全症への適 応追加	新生児より	3	2)-(イ)-①	(ア)-② (イ)-② (ウ)-①					
プラバスタテン アトルバスタテン	高脂血症、家族性高コ レステロール血症への 小児への適応追加	10歳以上	4	2)-(イ)-②	(ア)-① (イ)-③ (ウ)-①	○	△	△	△	

学会名： 日本小児感染症学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
シプロフロキサシ ン注	β-ラクタム剤無効の 重症感染症	幼児・学童	1	2)-(イ)-②	(ア)-① (イ)-① (ウ)-②	○	○	○	○	
塩酸オセルタミビ ルドライシロップ 3%	乳児(1歳未満)への用 法・用量の追加	1歳未満(乳児)	2	2)-(ア)	(ウ)-① 又は (ウ)-③	△	△	△	△	△
塩酸バラシクロピ ル	単純疱疹に対する小児 適応の追加	小児	3	2)-(イ)-②	(イ)-③ (ウ)-③	△	△	△	△	△
トシル酸 トスフロキサシン (オゼックス)	小児の用法用量の追 加	小児 (7歳以下)	4	1) 2)-(ア)-②	(イ)-③ (ウ)-① (ウ)-③	×	×	×	×	韓 △

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △: 池の年齢で承認あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
ウルソデオキシ コール酸	胆汁うっ滞に伴う肝疾 患の利胆、慢性肝疾患 における肝機能の改善	新生児以上	1	2)-(ア)-②	(ア)-① (イ)-① (ウ)-③	△	○	△	△	
ランソプラゾール	胃潰瘍・十二指腸潰瘍 におけるヘリコバク ター・ピロリに除菌・ GER	GER 新生児以 上 ヘリコバク ター・ピロリ除菌 5歳以上	2	1)-(イ)-②	(ア)-① (イ)-① (ウ)-③	○GER に 関 し て の み	△	△	△	
ファモチジン	GER、胃炎、逆流性食 道炎	全小児例	3	2)-(イ)-①	(ア)-① (イ)-③ (ウ)-③	○GER	△	△	△	△
ペンタサ	潰瘍性大腸炎・クロー ン病	全小児例	4	3)-(ア)	(ア)-② (イ)-② (ウ)-③	△	△	△	△	デン マ ー ク
PEG-インターフェ ロン	C型慢性肝炎	全小児例	5	3)-(ア)	(ア)-① (イ)-② (ウ)-①	△	△	△	△	スイ ス、 カナ ダ
リバビリン	C型慢性肝炎、慢性肝 疾患に肝機能改善	全小児例	6	2)-(イ)-②	(ア)-① (イ)-② (ウ)-①	△	×	×	×	
ラムブジン	B型肝炎	全小児例	7	2)-(イ)-②	(ア)-① (イ)-② (ウ)-②	○	不明	不明	不明	
インフリキシマブ	クローン病	全小児例	8	4)	(ア)-① (イ)-① (ウ)-①	△	△	△	△	
アザチオプリン(イ ムラン)	潰瘍性大腸炎・自己免 疫性肝炎・クローン病	全小児例	9	2)-(イ)-②	(ア)-① (イ)-② (ウ)-③	×	×	○	○	
酢酸オクトレオチ ド	消化管ホルモン産生腫 瘍 (VIP産生腫瘍、カルチ ノイド症候群の特徴を 示すカルチノイド腫瘍、 ガストリン産生腫瘍)の 追加	新生児を含む 小児	10	3)-(ア)	(ア)-① (イ)-① (ウ)-①	○*1	○*2	○*2	○*2	EU各国 *3
ミコフェノール酸モ フェチル	肝移植	全小児例	11	2)-(イ)-②	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③	△	△	△	△	△
ポリカルボフィル カルシウム	過敏性腸症候群	全小児例	12	4)	(ア)-① (イ)-③ (ウ)-③	○*	×	×	×	
メシル酸カモス タット・100mg	1. 慢性痔炎における 急性症状の緩解 2. 術後逆流性食道炎	全小児例	13	2)-(イ)-②	(ア)-② (イ)-② (ウ)-①	×	×	×	×	○ 韓国
プレデニン	自己免疫性肝炎	全小児例	14	2)-(イ)-①	(ア)-? (イ)-② (ウ)-①	×	×	×	×	×
モサプリド	便秘症、慢性胃炎	全小児例	15	2)-(ア)-②	(ア)-② (イ)-③ (ウ)-③	×	×	×	×	△
グルチルリチン酸	慢性肝疾患における肝 機能異常の改善	全小児例	16	2)-(イ)-②	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③	×	×	×	×	韓国、 中国他
ラベプラゾールナ トリウム	胃潰瘍・十二指腸潰瘍 におけるヘリコバク ター・ピロリに除菌	5歳以上	17	2)-(イ)-②	(ア)-② (イ)-③ (ウ)-③	×	×	×	×	×

学会名： 日本小児遺伝学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
塩酸ドネペジル	日常生活能力重度障害または急激退行現象を来したダウン症候群患者		1	通常、病気の進行を認め、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患	既存の治療法・予防法がない	×	×	×	×	×
成長ホルモン	成人ブラダー・ウイリー症候群患者での体組織改善		2	体組織悪化による血管障害の頻度増加	既存の治療法・予防法がない	×	不明	○	○	×

学会名： 日本外来小児科学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
オセルタミビル	ドライシロップ剤の乳児への適応拡大	1歳未満の乳児	1	2)-(ア)-①	(ア)-① (イ)-③ (ウ)-①	△	△	△	△	△
アセトアミノフェン	小児に対する用法・用量の適正化	新生児を含む小児	2	3)-(イ)	(ア)-① (イ)-③ (ウ)-③	○	○	○	○	○

学会名： 日本小児東洋医学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
五苓散	小児適応(座薬・注腸製剤)	新生児を含む小児	1	3).4)	臨床での要望が最も高い	×	×	×	×	
麻杏甘石湯	小児適応	新生児を含む小児	2	3).4)	臨床での要望が最も高い	×	×	×	×	
柴胡清肝湯	小児適応	新生児を含む小児	3	3).4)	臨床での要望が最も高い	×	×	×	×	

学会名： 日本小児救急医学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
塩酸アミオダロン	静注剤	新生児を含む小児	1	1)	(ア)-② (イ)-① (ウ)-②	△	△		△	
エピネフリン	0.1mg/ml(100倍希釈)の静注剤	新生児を含む小児	2	1)	(ア)-① (イ)-① (ウ)-③	○				○(カナダ)
0.9塩化ナトリウム液(生理食塩水)	10ml(注射器入り)静注剤	新生児を含む小児	3	1)	(ア)-① (イ)-① (ウ)-③	○				○(カナダ)
臭化イpratロピウム	吸入液	小児	4	1)	(ア)-① (イ)-② (ウ)-③	○				○(カナダ)
フェノバルビタールナトリウム	静注用	新生児を含む小児	5	1)	(ア)-① (イ)-① (ウ)-③	○	○	○	○	○(カナダ)

学会名： 日本小児リウマチ学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
メトトレキサート	若年性特発性関節炎の効能追加	4歳～15歳までの小児期全般	1	4)	(ア)-① (イ)-② (ウ)-②,③	○	○	○	○	
シクロホスファミド注射薬	小児リウマチ性疾患全般の効能追加	4歳～15歳までの小児期全般	2	4)	(ア)-② (イ)-①,② (ウ)-②,③	×	△	○	△	
メチルプレドニゾン	小児リウマチ性疾患全般の効能追加	15歳以下の小児期全般	3	2)-(ア)-②	(ア)-① (イ)-①,② (ウ)-③	○	○	○	○	
ミノリピン	小児ループス腎炎、特発性関節炎の効能追加	15歳以下の小児期全般	4	2)-(イ)-②	(ア)-② (イ)-①,② (ウ)-②,③	×	×	×	×	△(本邦成人)
アザチオプリン	小児ループス腎炎、特発性関節炎の効能追加	15歳以下の小児期全般	5	3)-(ア)	(ア)-① (イ)-①,② (ウ)-②,③	○	○	○	○	

学会名： 日本小児歯科学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △:他の年齢で適応あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
塩酸リドカイン・エビネフリン	小児での安全性についての記載の削除が必要	小児	1	4)		不明	不明	不明	不明	不明
塩酸プロピトカイン・酒石酸エビネフリン	小児での安全性についての記載の削除が必要	小児	2	4)		不明	不明	不明	不明	不明
塩酸プロピトカイン・フェリプレシン	小児での安全性についての記載の削除が必要	小児	3	4)		不明	不明	不明	不明	不明
塩酸メピバカイン	小児での安全性についての記載の削除が必要	小児	4	4)		不明	不明	不明	不明	不明

学会名: 日本小児麻酔学会

要望医薬品	要望内容の概要 (効能・剤形等)	要望年齢	学会内 優先順位	カテゴリー分類		海外承認(当該効能) △.他の年齢で承認あり				
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他
フェンタニル(注射)	2歳以下の疼痛、麻酔	全年齢	1	注射薬	循環抑制がなく、頻用されている	○				
ミダゾラム	麻酔前投薬(用法:経口、経腸)、術中術後の鎮静	生後2ヶ月以上	2	シロップ、坐薬、注射薬	小児に頻用されている	○				
アミオダロン(内服薬)	心肺蘇生(剤型:注射薬、用法:静注)	全年齢	3	注射薬	小児の蘇生に有用である	○				
バソプレシン	低血圧、心停止後	全年齢	4	注射薬	小児の蘇生に有用である					
アプロチニン製剤	人工心肺時の出血量減少	全年齢	5	注射薬	心臓手術に有用である	○				
リドカイン(注射)	静脈注射時の血管痛、神経障害性疼痛、集中治療時のけいれん	全年齢	6	注射薬	疼痛治療、けいれんに有用である					
オンダンセトロン	嘔気(抗がん剤非使用時)	生後2ヶ月以上	7	内服薬、注射薬	小児に有用である	○				
エフェドリン	脊髄くも膜下麻酔時以外の低血圧	全年齢	8	注射薬	小児の蘇生に有用である					
フェンタニル貼付薬	非がん性疼痛	3歳以上	9	貼付薬	小児の疼痛治療に有用である	○				
プロポフォール	鎮静、麻酔	生後2ヶ月以上	10	注射薬	小児に有用である	○				
ロビバカイン(注射)	術後以外の硬膜外鎮痛	生後2ヶ月以上	11	注射薬	小児の疼痛治療に有用である					
デクスメトミジン	集中治療時の鎮静(2日以上7日間まで)、手術中使用	3歳以上	12	注射薬	小児に有用である	○				
オキシコドン(徐放性、即効性内服薬)	非がん性疼痛	3歳以上	13	内服薬	小児の疼痛治療に有用である	○				
モルヒネ(坐薬)	非がん性疼痛	3歳以上	14	坐薬	小児の疼痛治療に有用である	○				
ケタミン(注射)	神経障害性疼痛、用法追加(注腸、経口)	3歳以上	15	シロップ、坐薬、注射薬	小児の疼痛治療に有用である					

薬の知識

CONTENTS

1 January 2002 Vol.53 No.1

●特集●

小児用医薬品の 適応外使用をめぐる —現状をいかにして改善すべきか—

鼎談

田中敏章 ● 国立小児病院内分泌代謝科・
国立小児病院小児医療研究センター内分泌代謝研究部
大西鐘壽 ● 香川医科大学名誉教授・高松短期大学幼児教育学科
中村秀文 ● 国立大蔵病院麻酔科・
国立医薬品食品衛生研究所医薬品医療機器審査センター

小児薬物治療の孤児的状態……………2
開始された行政・小児科医の取り組み……………7

●分子医学の目 成松 久……………13

●チーム医療と薬剤師……………14
国際親善総合病院薬剤部(神奈川県)

●海外通信スクランブル 池田重政……………17

●くすりの窓 薬物治療とEBM-7……………18
感染症
木津純子

●学会長を訪ねて……………22
第25回日本脳神経学会総会
岩田 隆

●話題の病院・話題の施設……………24
三星ソウル病院(韓国)

●くろすおーぼーとーく……………26
香山リカ vs 登老孟司

●味な話 亀山忠光……………28

●万葉雑考 奈良崎初子……………29

■表紙■

撮影：元木基嗣(横浜クリニック院長)
撮影地：香川県仲多度郡多度津町
【撮影者から】バラ星雲 いくつかのじゅう座 4,600光年
オリオン座のベテルギウスとこいぬ座のプロキオンのはぼ
中間にある散光星雲です。中央にある散開星団が雄しべと
も花粉とも見える冬のバラ1輪です。赤い色は星の材料
となる水素原子のガスで、近くの明るいう星の紫外線を受けて
輝いています。ところどころに見える暗黒帯が星の製造
現場です。花輪にも似ていることより、西欧ではロゼット
星雲ともよばれています。
SKY90(f=407mm, F4.5), ST-10E冷却CCDカメラ

* 2002年度のテーマは天体です。

特集

小児用医薬品の 適応外使用をめぐる —現状をいかにして改善すべきか—



田中敏章氏



大西鐘壽氏



中村秀文氏

小児の薬物治療において
使用されている医薬品の7~8割は、
添付文書に小児の用量・用法、適応等が
十分に記載されていない。
こうした適応外使用の実態が明らかになり
大きな社会問題となりつつある。

本特集では、小児の薬物治療の
現状および問題点を明らかにし、
米国やヨーロッパの動きとともに
わが国における医師や行政の取り組み、
また将来展望について、
小児科専門医3人に述べてもらった。

国立小児病院内分泌代謝科医長・国立小児病院小児医療研究センター
内分泌代謝研究部長
Tashiki Tanaka

(司会)田中敏章

香川医科大学名誉教授・高松短期大学幼児教育学科教授
Shoji Ohsaka

大西鐘壽

国立大蔵病院麻酔科医長・
国立医薬品食品衛生研究所医薬品医療機器審査センター審査第一部併任
Hidefumi Nakamura

中村秀文