

コハク酸メチルプレドニゾ ロンNa	点滴静注	小児リウマチ疾患全域
メトトレキサート		若年性関節リウマチ（関節型）
シクロフォスファミド	点滴静注？	全身性エリテマトーデス、皮膚筋炎、血管 炎症候群など
シクロスポリン		若年性関節リウマチ（全身型）
アザチオプリン		全身性エリテマトーデス、皮膚筋炎など
ミゾリビン		全身性エリテマトーデス、皮膚筋炎など
金チオリンゴ酸Na		若年性関節リウマチ（関節型）
ヒト免疫グロブリン		若年性関節リウマチ（全身型）、難治性皮 膚筋炎

資料 2

適応外使用医薬品に関する調査票

施設名 _____
 記入者 所属 _____
 氏名 _____
 連絡電話番号 _____

ｺﾝｸ	商品名	一般名	規格	剤型	適応外使用疾患名	症例数	適応外分類番号①～④
1							
2							
3							
4							
5							
6							
7							
8							
9							
10							

分類番

号

① 承認を受けている効能・効果及び用法・用量以外の目的での使用をする場合

② 小児に対する使用が禁忌となっている医薬品を使用する場合

③ 医療用医薬品として認められていない院内製剤、個人輸入医薬品、試薬等を使用する場合

④ 厳密には適応外使用には当てはまらないが、添付文書中の「使用上の注意」に「小児に対する安全性が確立されていない」等の記載がされている医薬品（有効性・安全性上疑問が残る）

資料3

適応外使用医薬品等に関する調査集計

報告数	一般名	剤型	適応外使用疾患名	症例数	①~④
17	アミノフィリン	経口・注射 剤・坐剤	無呼吸発作	387>	①
15	ミダゾラム	注射剤・経口	鎮静、けいれん重積発作、 前麻酔	1361>	①
11	ジクロロ酢酸ナトリ ウム	注射剤・経口	ミトコンドリア異常症	33>	③
10	メトトレキサート	注射剤・経口	急性リンパ性白血病、若年 性関節リウマチ	54>	①
9	シクロホスファミド	注射剤・経口	頻回再発型ネフローゼ症 候群、移植前処置、小児悪 性腫瘍	42>	①
7	エチルコハク酸エリ スロマイシン	経口	慢性肺疾患	36>	①
7	塩酸メチルフェニデ ート	経口	注意欠陥多動障害(ADH D)	157	①
6	塩酸エピネフリン	注射剤・外用	クループ症候群	34>	①
6	ファモチジン	注射剤・経口	胃・十二指腸潰瘍、逆流性 食道炎、ステロイドと併用 し 消化性潰瘍の予防目 的	35>	④
5	安息香酸ナトリウム	注射剤・経口	高アンモニア血症	12	③
5	クエン酸フェンタニ ル	注射剤	麻酔、鎮痛、鎮静	304>	②
5	ジピリダモール	散剤	小児糸球体腎炎、血栓予防	107	①
5	リン製剤	経口	家族性低リン血症性ビタミ ンD抵抗性くる病	53>	③
5	マレイン酸エナラプ リル	経口	心疾患にともなう心不全	123>	④
4	イホスファミド	注射剤	神経芽腫	5>	①

4	酢酸デスモプレシン	点鼻	夜尿症	109>	①
4	ジアゼパム	注射剤・経口・坐剤	熱性痙攣、てんかん	708>	①
4	シメチジン	注射剤・経口	胃・十二指腸潰瘍、逆流性食道炎	25	④
3	シクロスポリン	経口・注射剤	全身性エリテマトーデス、血球貧食症候群、若年性関節リウマチ（JRA）	3	①
3	シクロスポリン	内用液→点眼	角膜移植後拒否反応	5	③
3	シスプラチン	注射剤	神経芽腫	5>	①
3	テオフィリン	経口	無呼吸発作	32>	①
3	ハロペリドール	経口	チック・自閉症、解離性障害	12>	①
3	プロピオン酸ベクロメタゾン	吸入	慢性肺疾患	40>	①
3	メチルプレドニゾロン	注射剤・経口	希少性難治性筋疾患、ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群	10>	①
3	リン酸ピリドキサル	経口	West 症候群、點頭てんかん	45>	①
3	塩酸ドキサプラム	注射剤	無呼吸発作	17	①
3	塩酸ドキサプラム	注射剤	未熟児無呼吸発作	3	②
2	セレン製剤	注射剤	セレン欠乏症	6	③
2	アルプロスタジル	注射剤	動脈管依存型冠動脈疾患	15	①
2	一酸化窒素	吸入	新生児・周術期肺高血圧症	10>	③
2	ウルソデオキシコール酸	経口	乳児胆汁うっ滞症、慢性肝疾患	7	①
2	塩酸トラゾリン	注射剤	新生児原発性肺高血圧症（PPHN）	6	①
2	塩酸リドカイン	注射剤	けいれん重積発作、新生児痙攣	15	①
2	カフェイン	経口	無呼吸発作	39	①

2	グリチルリチン、グリシン、L-システイン塩酸塩	注射剤	慢性肝疾患	10>	①
2	コハク酸メチルプレドニゾロンナトリウム	注射剤	ネフローゼ症候群、小児リウマチ疾患	2>	①
2	ジノプロストン	経口	原発性肺高血圧症	1	①
2	ダナゾール	経口	再生不良性貧血、特発性血小板減少性紫斑病（ITP）	7	①
2	マレイン酸フルボキサミン	経口	外傷後ストレス障害	6	①
2	マレイン酸フルボキサミン	経口	強迫性障害	3	④
2	ミゾリビン	経口	頻回再発型ネフローゼ症候群	14	①
2	ミルリノン	注射剤	心疾患に伴う心不全	1	④
2	ミルリノン	注射剤	新生児原発性肺高血圧症（PPHN）	10	①
2	リン酸オセルタミビル	経口	インフルエンザ	13>	④
2	プロピオン酸フルチカゾン	吸入	気管支喘息	5	④
1	塩化レボカルニチン	経口	有機酸代謝異常症、カルニチン欠乏症	20>	①
1	塩化カルニチン	注射剤	メチルマロン酸血症	1	①
1	L-アルギニン	経口	MELAS型ミトコンドリア脳筋症	3	①
1	アクチノマイシンD	注射剤	神経芽腫	—	①
1	アスピリン	経口	川崎病	60	①
1	アモキシシリン	経口	心内膜炎予防の歯科治療前投与	50	①
1	ウリナスタチン	注射剤	川崎病（γ-glob 不応例）に対する使用	—	①

1	エトポシド	注射剤	神経芽腫	—	④
1	塩化第二銅	注射剤	メンケス症	1	③
1	塩酸アマンタジン	経口	インフルエンザ	—	④
1	塩酸イミダプリル	経口	心疾患に伴う心不全	25	①
1	塩酸タリペキソール	経口	解離性障害	2	①
1	塩酸ピラルビシン	注射剤	神経芽腫	—	①
1	カプトプリル	経口	先天性心疾患による心不全	46>	①
1	カルベジロール	経口	心疾患に伴う心不全	5	①
1	カルボプラチン	注射剤	神経芽腫	—	①
1	ガンシクロビル	注射剤	後天性サイトメガロウイルス感染症	—	④
1	クエン酸シルデナフィ イル	経口	原発性肺高血圧症	1	①
1	抗ヒト胸腺細胞ウマ 免疫グロブリン	注射剤	移植前処置	5	①
1	コリンテオフィリン	経口	無呼吸発作	64	①
1	サリドマイド	経口	クリッペル・トレノーニ イ・ウェーバ症候群	1	③
1	ジアゾキサイド	経口	高インスリン性低血糖症	3	③
1	システアミン	経口	シスチン症	2	③
1	ジヒドロテストステ ロン	軟膏	短小陰茎	5	③
1	スルピリド	経口	自閉症	2	①
1	トシル酸トスフロキ サシン	経口	各種感染症	30	②
1	バルプロ酸ナトリウ ム	坐剤	脳外術後抗けいれん	5	③
1	ビタミンB ₁	経口	ミトコンドリア症	10	①
1	ビタミンB ₆	経口	ミトコンドリア脳症	1	①

1	フェノバルビタール	注射剤	新生児痙攣・鎮静	5	①
1	プログリセム	経口	高インスリン性低血糖症	2	③
1	プロプラノロール	経口	ファロー四徴症	6	①
1	プロマゼパム	坐剤	痙攣の鎮静	29	①
1	ベラプロストナトリウム	経口	肺高血圧症	13>	④
1	ホスカルネットナトリウム	注射剤	サイトメガロウイルス感染症	3	①
1	メサラジン	経口	クローン病	3	④
1	メスナ	注射剤	移植前処置後の出血性膀胱炎の治療・予防（シクロホスファミドとの併用）	4	①
1	メフェナム酸	経口	動脈管開存症（PDA）	30	①
1	メロベネム	注射剤	感染症	4	④
1	ランソプラゾール	経口	逆流性食道炎	1	④
1	硫酸亜鉛	経口	亜鉛欠乏症	1	③
1	リン酸フルダラビン	注射剤	移植前処置	1	①
1	ワルファリンカリウム	経口	全身性エリテマトーデス	3	①
1	塩酸キナプリル	経口	蛋白尿改善	1	①
1	硫酸アトロピン	経口	幽門狭窄症	1	①

①	承認を受けている効能・効果及び用法・用量以外の目的での使用をする場合
②	小児に対する使用が禁忌となっている医薬品を使用する場合
③	医療用医薬品として認められていない院内製剤、個人輸入医薬品、試薬等を使用する場合
④	厳密には適応外使用には当てはまらないが、添付文書中の「使用上の注意」に「小児に対する安全性が確立されていない」等の記載がされている医薬品（有効性・安全性上疑問が残る）

小児薬物療法に係る研究について

「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」

(H10～12 大西鐘壽 香川医科大学教授)

目的 本研究は本邦における小児の off-label 医薬品の実態や 4 つの病院内の処方の実態と添付文書の解析を行い、医薬品等とその使用される疾患との関係を明確にして、その解決のための対策を立てることを目的とした。

「小児等の特殊患者群に対する医薬品の用法及び用量の確立に関する研究」

(H13～15 大西鐘壽 香川医科大学名誉教授)

目的 小児薬物療法における適応外医薬品を始めとし、個人輸入医薬品、試薬からの転用、病院薬局製剤などの therapeutic orphan の問題を解決するために、本邦における小児未承認薬の米国における承認状況調査等を実施した。

「小児薬物療法におけるデータネットワークのモデル研究について」

(H13～15 石川洋一 国立成育医療センター薬剤部)

目的 小児科領域における医薬品適応外使用の改善及び小児科領域の治療・臨床試験の推進を目的として小児薬物療法におけるデータネットワークモデルを構築するための基礎資料を作成し、その有用性と問題点を検証することを目的とする。

「小児薬物療法におけるデータネットワークの実用性と応用可能性に関する研究」

(H16～18 石川洋一 国立成育医療センター薬剤部)

目的 小児科領域における医薬品適応外使用の改善および治験・臨床試験の推進を目的として構築した「小児薬物療法データネットワーク」(全国 32 医療施設協力)を運用して、1)全国規模の小児科領域処方実態全例調査、2)小児治験の実施・基盤整備の進捗・改善状況調査と評価・結果の応用、等の研究を実施し、その実用性と応用可能性を検証する。

いずれも厚生労働省科学研究データベース(<http://mhlw-grants.niph.go.jp/>)にて研究報告書の閲覧が可能。

なお、平成 22 年度厚生労働科学研究費補助金においても公募研究課題で「小児等の特殊患者に対する医薬品の製剤改良その他有効性及び安全性の確保のあり方に関する研究」を設定しているところ。

小児薬物療法検討会議における適応拡大の流れ

適切な小児薬物療法が行われるよう環境整備を進めるため、

(1) 小児薬物療法検討会議の設置

- 疾病の重篤度及び医療上の有用性を踏まえて、対象医薬品の優先順位を決定
- 文献等のエビデンスによる有効性及び安全性の評価

(2) 審議会の事前評価による承認審査手続きの迅速化

