

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する
専門作業班（WG）の評価

<小児 WG>

目 次

<小児分野>

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における適応外薬

メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム （要望番号；IV-77）	1
エルトロンボパグ オラミン （要望番号；IV-84）	2
ロミプロスチム（遺伝子組換え） （要望番号；IV-85）	3
リツキシマブ（遺伝子組換え） （要望番号；IV-87）	4

要望番号	IV-77	要望者名	日本小児循環器学会、日本川崎病学会
要望された医薬品	一般名	メチルプレドニゾロンコハク酸エステルナトリウム	
	会社名	ファイザー株式会社	
要望内容	効能・効果	川崎病の急性期（静注用免疫グロブリンに不応または不応予測例）	
	用法・用量	通常、メチルプレドニゾロンとして 30 mg/kg を 1 日 1 回、1～3 日間点滴静注する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>川崎病は小児の急性熱性疾患であり、特徴的な合併症である冠動脈瘤が形成されると血管狭窄や血栓形成により狭心症や心筋梗塞を起こす危険性が高く、心筋梗塞が発現した場合には致死的な経過を辿ることもあることから、「ア 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ウ]</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等 6 カ国において本剤は川崎病の急性期の効能・効果では承認されていないが、静注用免疫グロブリン不応例に対する本剤の投与は米国及び英国のガイドラインで、静注用免疫グロブリン不応予測例に対する本剤の投与は英国のガイドラインで、それぞれ推奨されており、本邦のガイドラインにおいても静注用免疫グロブリン不応例及び不応予測例に対する本剤投与が推奨されていることから、「ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>		
備考	要望用法・用量の投与期間の妥当性は、欧米のガイドラインの記載等を踏まえ、今後、検討する必要があると考える。		

要望番号	IV-84	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	エルトロンボパグ オラミン	
	会社名	ノバルティスファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	慢性特発性血小板減少性紫斑病	
	用法・用量	開始用量として、6歳以上は1日1回25 mg、1～5歳には1日1回12.5 mg。出血の危険性を減らすため、血小板数が50,000/ μ L以上を維持するよう調整する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>[特記事項]</p> <p>小児における慢性特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）の病態は成人と同様であり、頭蓋内出血等の重篤かつ致死的な出血の発現を抑制するために、血小板数を一定以上に管理する必要があることから、「イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>[特記事項]</p> <p>1歳以上の慢性ITPに対する用法・用量は米国、英国、独国及び仏国で承認されており、米国ガイドラインにおいて1歳以上の慢性ITPの二次治療として本剤の投与が推奨されている。国内ガイドラインでも同様に小児の慢性ITPの二次治療として推奨されており、慢性ITPの治療体系における本剤の位置付けは欧米と同様であると考え。加えて、本邦でも本剤の小児の慢性ITPに対する使用経験が報告されている。以上より、「ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>		
備考	要望用法・用量の妥当性は、成人の慢性ITPに対する国内外の承認用法・用量を踏まえ、今後、検討する必要があると考える。		

要望番号	IV-85	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	ロミプロスチム（遺伝子組換え）	
	会社名	協和キリン株式会社	
要望内容	効能・効果	慢性特発性血小板減少性紫斑病	
	用法・用量	初回投与量 1 $\mu\text{g}/\text{kg}$ を皮下投与する。投与開始後は血小板数、症状に応じて投与量を適宜増減し、週 1 回皮下投与する。また、最高用量は週 1 回 10 $\mu\text{g}/\text{kg}$ とする。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> イ</p> <p>[特記事項]</p> <p>小児における慢性特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）の病態は成人と同様であり、頭蓋内出血等の重篤かつ致死的な出血の発現を抑制するために、血小板数を一定以上に管理する必要があることから、「イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>1 歳以上の慢性 ITP に対する用法・用量は米国、英国、独国、仏国及び豪州で承認されており、米国ガイドラインにおいて 1 歳以上の慢性 ITP の二次治療として本剤投与が推奨されている。国内ガイドラインでも同様に小児の慢性 ITP の二次治療として推奨されており、慢性 ITP の治療体系における本剤の位置付けは欧米と同様であると考え。加えて、本邦でも本剤の小児の慢性 ITP に対する使用経験が報告されている。以上より、「ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IV-87	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	リツキシマブ（遺伝子組換え）	
	会社名	全薬工業株式会社	
要望内容	効能・効果	小児の慢性特発性血小板減少性紫斑病	
	用法・用量	1回あたり 375 mg/m ² を1週間間隔で4回投与	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> イ</p> <p>[特記事項]</p> <p>小児における慢性特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）の病態は成人と同様であり、頭蓋内出血等の重篤かつ致死的な出血の発現を抑制するために、血小板数を一定以上に管理する必要があることから、「イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>慢性 ITP について欧米等 6 カ国で承認されていないものの、米国及び欧州ガイドラインにおいて小児の慢性 ITP の二次治療として推奨されている。国内ガイドラインでも同様に小児の慢性 ITP の二次治療として推奨されており、慢性 ITP の治療体系における本剤の位置付けは欧米と同様と考える。加えて、本邦でも本剤の小児慢性 ITP に対する使用経験が報告されていることも考慮すると「ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>		
備考			