

「特定用途医薬品に係る基準」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＞

【特定用途医薬品の基準に該当すると考えられた品目】

マシテンタン（要望番号；2023-T002）

1

要望番号	2023-T002	要望・提案者名	ヤンセンファーマ株式会社
要望・提案された 医薬品	一般名	マシテンタン	
	会社名	ヤンセンファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	肺動脈性肺高血圧症	
	用法・用量	<p>2歳以上の小児</p> <p>体重15kg未満の場合：通常、マシテンタンとして3.5mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>体重15kg以上25kg未満の場合：通常、マシテンタンとして5.0mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>体重25kg以上50kg未満の場合：通常、マシテンタンとして7.5mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>体重50kg以上の場合：通常、マシテンタンとして10mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>生後6か月以上2歳未満の小児</p> <p>通常、マシテンタンとして2.5mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>生後3か月以上6か月未満の小児</p> <p>通常、マシテンタンとして1mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p>	
「特定用途医薬品」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 対象とする用途に用いるために必要な開発の該当性 <input type="checkbox"/>ア①及び②</p> <p>[特記事項]</p> <p>今般の開発提案は、マシテンタン（以下、「本薬」）について、小児の肺動脈性肺高血圧（以下、「PAH」）患者に対する用法・用量の追加に伴い、小児が服用しやすい剤形として分散錠の開発を行うものであるため、指定要件ア①及び②に該当すると考える。</p> <p>(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないことの該当性 <input type="checkbox"/>イ②</p>		

[特記事項]

本邦では、PAH 治療薬としてエンドセリン受容体拮抗薬（以下、「ERA」）、ホスホジエステラーゼ（以下、「PDE」）5 阻害薬、可溶性グアニル酸シクラーゼ刺激薬及びプロスタサイクリン製剤が使用可能であり、急性肺血管反応試験が陰性の PAH 患者に対しては、異なる作用機序の PAH 治療薬の組合せによる併用療法が推奨されている（特発性／遺伝性肺動脈性肺高血圧症（IPAH/HPAH）診療ガイドライン）。

小児の PAH 患者に対しても、上記のとおり異なる作用機序の薬剤の組合せによる併用療法が推奨されているものの、既承認の PAH 治療薬のうち、小児に対する用法・用量が承認されている薬剤は限られている。ERA では、ボセンタン水和物（以下、「ボセンタン」）及びアンブリセンタンについて小児の用法・用量が承認されているが、ボセンタンは複数の併用薬と薬物相互作用を示すこと及び肝毒性を引き起こす可能性があり（Heart 2016; 102: ii67-85）、肝毒性や薬物相互作用の懸念がボセンタンより小さいアンブリセンタンは投与対象が 8 歳以上の小児患者とされていること等の制限がある。以上より、上記の ERA の投与が困難な小児患者に対しても投与可能な薬剤が必要とされていると考えられることから、指定要件（イ）②に該当すると考える。

(3) 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有することの該当性 ウ①及び②

[特記事項]

指定要件ウ①について

PAH は、末梢肺小動脈の血管攣縮、リモデリング、二次的な血栓形成等により肺動脈の狭小化及び肺血管抵抗の増加をきたし肺動脈圧が上昇し、治療介入がない場合、失神、咯血、右心不全、さらには死に至る極めて生命予後の悪い疾患であるため、指定要件ウ①に該当すると考える。

指定要件ウ②について

本薬は、海外においても小児の PAH に対する用法・用量は承認されていないため、国内外の診療ガイドラインに小児に対する治療薬として記載されていない。しかしながら、以下の点を考慮すれば、実施中の本薬の国内外の臨床試験において、小児に対

	<p>する有効性及び安全性が期待できると判断可能な結果が得られた場合、本薬は成人と同様、小児の PAH に対しても標準的な治療薬と位置付けられることが想定される。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 国内外の診療ガイドラインにおいて、小児の PAH に対する治療アルゴリズムは、成人の治療指針に準拠していること（肺高血圧症治療ガイドライン（2017年改訂版）、ESC/ERS ガイドライン（Eur Heart J 2022; 43:3618-731）等） ・ 成人の PAH 患者に対しては、ESC/ERS ガイドラインにおいて本薬を含む ERA と PDE5 阻害薬との併用療法が推奨され、肺高血圧症治療ガイドライン（2017年改訂版）では WHO 機能分類クラスⅡ及びⅢの患者に本薬の投与が推奨される等、本薬が既に標準的な治療薬として記載されていること <p>以上より、指定要件ウ②に該当すると考える。</p>
備 考	