

厚生労働科学研究班（松田班）において選定された検討候補薬物療法について

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					備考
				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)	×	×	×	×	同効薬の無水カフェインが国内で経口薬として適応外使用され、経口・静注使用可能なクエン酸カフェインは米国にて承認あり。エビデンスレベル I (systematic reviewあり)
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)		主要4ヶ国にて承認あり。国内の使用実態調査では93%の施設で適応外使用されていること、79%の施設が『他に治療法がないために適応外使用している』ことが判明している。
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	×	×	×	×		危険性の高い治療法である交換輸血の頻度を減らすことができる。国内では地域25施設の実態調査報告がある。国内で広く使用されており本治療の対象選択、基準の報告もあり。適応外使用に伴う病院での多額の費用負担が問題となっている。エビデンスレベル I (systematic reviewあり)
ドキシプラム	未熟児無呼吸発作	新生児	4	4)	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③	×	×	×	×		国内で広く使用されているが、禁忌に指定されている薬剤。小児疾患臨床研究事業に指定。エビデンスレベル II (1つ以上のランダム化比較試験あり)
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	△	△	△	△		進行する難聴を予防する効果があり。国内では約6割の施設で適応外使用あり。エビデンスレベル II (1つ以上のランダム化比較試験あり)

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					備考
				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	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 △	錠剤は米国で小児頻脈性不整脈への 適応が承認されているが、幼児 以下の低年齢群では錠剤の服用が 困難であるため散剤あるいは水剤 等の新規剤型が必要。また、基礎 心疾患を有する症例で死亡の報告 があり、基礎心疾患のない症例に 限定して使用すべきとされている (中村ら)。本剤の使用実態調査に よると、本邦において、小児循環器 専門医が在籍する医療機関の4 0%において本剤が使用されている 。注射剤の小児の適応を有する 国はなく、錠剤を優先すべき対象と 考えている。	
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△	①小児高血圧治療薬としては米 国、欧州で承認されているが、幼児 以下の低年齢群では錠剤の服用が 困難であるため散剤あるいは水剤 等の新規剤型が必要。②慢性心不 全に対しては、Nelsonの教科書(第 17版)に一般的に用いられる治療 薬としてその用量まで明記されて いる。また、小児慢性心不全患者と成 人の心不全患者の薬物動態を比較 した臨床試験において差がなく (Nakamura H et al)、小児患者には 「0.08 mg/kg/回を、1日1-2回」を 投与量として適応外ながら国内外 で使用されている。拡張型心筋症 や先天性心疾患に伴う心不全に 対し本剤が予後を改善した(Lewis A.B. et al, Sluysmans T. et al)とい う報告、心毒性のあるanthracycline を使用された小児癌患者例におい て、プラセボに比し本剤が心毒性を 軽減させた(Silber J.H. et al)とい う報告がある。	
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、発作性心房粗 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、発作性心房粗 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 ×	Nelsonの教科書(第17版)におい て、錠剤、注射剤とも上室性頻脈性 不整脈に対し一般的に用いられる 治療薬として投与量まで明記されて いる。米国(後発品)、英国、独 国においては錠剤、注射剤とも小児 の頻脈性不整脈に対する用量が添付 文書に明記されている。但し、錠剤 については、幼児以下の低年齢群 では服用が困難であるため散剤あ るいは水剤等の新規剤型が必要。	
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	○	△	△	△	小児高血圧治療薬としては米国で 承認されているが、幼児以下の低 年齢群では錠剤の服用が困難であ るため散剤あるいは水剤等の新規 剤型が必要。国内の使用実態につ いては調査されたことがなく不明 である。	
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	△	△	△	△	Nelsonの教科書(第17版)に、小児 の慢性心不全に対し一般的に用い られる治療薬としてあげられてお り、用量も明記されている。現在、 小児の慢性心不全に対する適応を 承認した国はないが、米国において プラセボ対照の用量設定試験が実 施中(Shaddy et al)。国内における 使用実態をアンケートにより調査 した公表論文(片山ら)がある。小児 心不全薬物治療ガイドラインには有 効性・投与量が明記されている。	
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	△	△	△	△	現在、小児の心室性不整脈に対す る効能を承認している国はない。ま た、小児を対象に心室性不整脈に 対する有効性を検証した大規模な 臨床研究はなく、症例報告や小規 模な臨床研究の報告が認められる のみ。しかし、Nelsonの教科書(第 17版)に心室性頻脈の一般的な治療 薬としてあげられており、用量まで 明記されている。	

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					備考	
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他		
ボトックスR注100 (A型薄ツリヌス毒 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	?	○	○	○	○	備考欄 参照	現在、小児脳性麻痺における下肢 痙縮を十分に軽減できる治療はな く、その予後は不良である。すなわ ち自立歩行の困難と足関節拘縮に よる尖足変形が多くの場合にみら れる。A型ボツリヌス毒素の治療が 施工されれば下肢痙縮は改善さ れ、尖足変形は大幅に軽減させる ことができる。理学療法や下肢装 具の装着も治療後にはより順調に 行われるようになり、約半数の障害 児は比較的早い時期に安定した自 立歩行の獲得が可能となる。よって 身体障害者手帳2級を要する小児 脳性麻痺児の比較は減少し、また 整形外科的手術件数も大幅に減少 することが期待できる。
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 ○			Nelsonのけいれん重積治療の第一 選択薬はベンゾジアゼピンの静注 (ジアゼパム、ロラゼパム、ミダゾラ ム)。ミダゾラム0.15-0.3mg/kg静注 が推奨されている。
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							Duchenne型に対する糖質コルチコ イド投与による治療に関し全無作為 二重盲検法を含み約30の報告があ る。
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	○	○					Nelsonにけいれん重積治療の第一 選択薬投与ベンゾジアゼピンの静 注のための血管確保不可能なら、 ジアゼパム、ロラゼパム、ミダゾラ ムと記載あり。
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							Nelsonに第一選択薬ベンゾジアゼ ピンの静注、注腸不可能あるいは 無効なら、フェニトインまたはフェ ノバルビタールの静注を記載あり。

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					備考	
				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	○	○	○	○	○	アイルランド	Nelsonでも主要な薬物治療の第一に挙げられている。日本での販売はN社が唯一であるが諸般の事情から同社は小児のADHD適応拡大は全く念頭にない。同様に医師主導型臨床研究に協力することもできない(制約があり)。ただ国内外の情報については情報提供の意思は持っている。今回同社の集計する国内データが得られた。H15-17年度小児疾患臨床研究事業で小児科におけるADHD診断治療ガイドライン作成研究班として3医学会合同による作成を行なった。
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	△	△	○	○			小児適応は破壊的行動障害がドイツなど世界22カ国で承認されている。自閉症はフランスなど世界4カ国で承認されている。The Maudsley The South London and Maudsley NHS Trust 2003 Prescribing Guidelinesによると、小児の攻撃性(興奮時)への使用は0.25~2mg/日と記載されている。
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	△	△	×	×			小児への使用としてCan. J. Psychiatry (8~16歳)、Am. Acad. Child Ad. Psy (9.5~17歳)、など多くの英文報告がある。
クエン酸トランドスピロン	心身症(自律神経失調症、本態性高血圧、消化性潰瘍)における身体症候ならびに抑うつ、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	製薬会社も小児への適応や安全性の確認について取り組み意思を明示している。欧米では本剤類似のブスピロンが汎用されている。セロトニン受容体作用薬であるため、抗不安作用・抗うつ作用を併せ持つ特徴があり、安全性においてベンゾジアゼピン系とは異なるため、催眠、筋弛緩、依存性等の副作用が少なく、安全性が高い。
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)における身体症候ならびに不安・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	エチゾラムは成人領域では非常に使用頻度の高い薬剤であり、さらに神経症、心身症、うつ病と適応の範囲が広い。プライマリ・ケア医に広く用いられている薬剤であり、本剤の小児適応ならびに容量が設定されることにより、小児科領域によるこれらの問題への対応に寄与すると考えられる。

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					備考	
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他		
フィルグラスチム レノグラスチム ナルトグラスチム	自己注射の用法追加	小児・成人 (キャリアオーバーを含む)	1	2)-(ア)-①	(ア)-① (イ)-① (ウ)-①	○	○	○	○			先天性好中球減少症を含む、種々の好中球減少に対して、有効性と安全性は確立されている。外来ベースの支持療法を行うために、自己注射の用法追加が必要。通常の適応拡大スキームでは全ての問題解決に至らない可能性がある。
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			小児に対する安全性が確立された標準的な抗真菌剤。現在、内服ではカプセル剤だが、年少児に対する脱カプセルでは吸湿性が強く保存に問題があり、懸濁液が必要。
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			欧州の国際共同研究組織であるBFMグループにおいて、1980年代から悪性リンパ腫に対する標準治療薬として用いられている。第Ⅲ相臨床試験の標準アームに組み込まれている。ただし併用療法のデータは少なく、単剤の有効性データや安全性データに乏しい。

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					備考
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他	
塩酸イソプロテ ロール吸入液	「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	欧米の複数の喘息治療管理ガイド ラインで小児気管支喘息の重症の 急性発作に対して、短時間作用型 β2刺激薬の持続吸入療法 of 安全 性と有効性が認められ、推奨されて いる。現在、日本の小児気管支喘 息診療の場では、重症の発作時の 初期治療薬として広く使用されて おり、小児気管支喘息治療・管理ガイ ドライン2005でも乳児喘息も含めて 大発作では追加治療、呼吸不全で は初期治療として掲載されている。
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	欧米の複数の喘息治療管理ガイド ラインで、喘息の急性発作には一 般的にはネブライザーを用いて短 時間作用型β2刺激薬の吸入投与 を行うことが推奨されている。また、 テオフィリン製剤が副作用の問題か ら使用順位が下げられたため、本 薬剤の重要性はより増してくるもの と思われる。
برانلカスト ロイシロップ	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	×	×	×	×		小児気管支喘息の発症年齢のピー クは1～2歳までにあり、乳児喘息 の適切な対応は小児喘息の中でも 重要な位置を占める。小児気管支 喘息治療・管理ガイドライン2005で は、中等症持続型、重症持続型に おいて吸入ステロイド薬と併用する 内服薬として、抗アレルギー薬のな かでもロイコトリエン受容体拮抗薬 を取り上げており、臨床的にも有効 と考えられている薬剤である。
トシル酸スプラ タ ストロイシロップ	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	×	×	×	×		アイビーディは本邦で開発された薬 剤であり、海外での使用例はない。 小児気管支喘息のより良い予後 を確認するためには早期診断、早期 治療による早期介入が重要とされ る。アイビーディはTh2サイトカイン を抑制し、IgE産生を抑制する唯一 の医薬品である。アトピー性皮膚炎 患者はIgEが高値になることが多く、 early interventionの観点から、この 薬剤の機能的特性を考えると、乳 児において優先度の高い薬剤とい える。

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					備考
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他	
エルカルチン錠	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	原発性カルニチン欠乏症には唯一の治療薬であり、その他の二次性カルニチン欠乏症への適応、プロピオン酸血症などへの急性期経静脈的投与なども標準的治療としてNelsonの教科書(17版)に記載されている。タンデム質量分析計を用いた新生児スクリーニングの普及により多くの原発性、二次性カルニチン欠損症の発見が予想され、適応拡大は急務である。
ビオプテン顆粒	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	×	×	×	×		わが国においてのみ承認されている医薬品である。海外では現在治療実施中。その効果はN Engl J Med 2002;347:2122-32に報告されている。Nelsonの教科書(17版)にも新しい治療として紹介されている。学会から厚生労働大臣宛てに平成16年7月1日付にて要望書を提出した。
ビオチン散	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		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ではピオチン大量投与が唯一の治療法であり、標準的治療としてNelsonの教科書(17版)に記載されている。
フラジール内服錠	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		腸内細菌叢由来のプロピオン酸を低下させることにより原疾患のコントロールを改善させる治療法である。併用療法としてNelsonの教科書(17版)にも記載されている。

＜ソリレウミン＞
注

アルギン顆粒、注	ミトコンドリア脳筋症、特に脳卒中を起こすサブタイプであるMELASにおける脳卒中発作の急性期治療とその予防。	全年齢群	2→他	2)-(ア)-①	(ア)-? (イ)-① (ウ)-①	×	×	×	×		わが国で確立された新しい治療法である。MELAS患者の脳卒中様発作の急性期にL-アルギンを静注することにより、症状の軽減と次の発作の予防が可能。また経口投与にて予防効果がある。Neurology 58(5): 827-828, 2002. 医師主導型試験が開始された。
----------	--	------	-----	----------	-------------------------	---	---	---	---	--	--

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					備考
				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	○	○	○			コ克蘭レビュー、欧米の教科書でも第一選択薬とされている。メタアナリシスでの有用性は確立されている。日本で高頻度に...
ソリメドロール	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、ベルギー、オーストラリア	小児の末期腎不全の20%を占める重篤な疾患で、海外では古くから承認されている。すでに教科書レベルである。日本の60%の患者に使用されている。症例数が少なく今から臨床試験を...
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	○	○	○	○		海外では承認され、小児薬用量も設定されている。わが国の小児腎移植で半数以上が使用されている。小児の適正な薬用量の設定が必要。
ミゾリピン	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	すでに本邦では後半に利用されている。また、10歳以下では頻回再発の抑制効果はRCTで認められている。ネフローゼでは安全な長期に使用できる薬剤が必要で...
ヒドロクロチアジド	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、ベルギー	教科書レベルである。成人でのエビデンスはある。小児での薬用量設定もある。小児でのデント病使用へのエビデンスもある。他の薬剤はない。小児では放置すると成人期に入ると腎不全に...

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					備考
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他	
メトホルミン	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	○	△	△	△	△	現在、班研究による臨床試験が進行中。
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	○	○	○	○		現在の治療量では、抑制されない例が多数出てきている。保険審査で切られている。欧米では、日本の約3~10倍量。
バミドロネート	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						学会で診療のガイドライン作成
プラバスタチン アトルバスタチン	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	○	△	△	△		どの薬剤にするか

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					備考
				医薬品の類型	優先度の根拠	米	英	独	仏	他	
シプロキサシ注	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	○	○	○	○		海外において重症感染症としての適応は有していないが、米国においては大腸菌感染による複雑性尿路感染症・腎盂腎炎・肺炎疽(暴露後)、英・独・仏においては緑膿菌感染による膿毒性線維症の急性増悪の治療、炭疽菌の吸入暴露後の緊急療法として適応を取得している
タミフルドライ 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	△	△	△	△	△	1歳未満乳児を対象としたレトロスペクティブ調査(2003/2004シーズン)において本薬投与症例771例が収集され、副作用発現率は3.2%であったと報告された(第108回日本小児科学会、2005年4月24日)。また、1歳未満乳児を対象としたプロスペクティブ調査(2004/2005シーズン)において本薬投与症例を含む1700例を超える症例情報が収集されており本年4月の第109回日本小児科学会で報告される予定である。なお、1歳未満乳児への使用経験は、五十嵐ら ¹⁾ 、Tamura et al. ²⁾ 、Okamoto et al. ³⁾ 、森ら ⁴⁾ が文献報告しており、いくつかの学会報告もなされている。 1)小児科臨床 58:2181-2187,2005 2)Pediatrics International 47:484,2005 3)pediatric Infectious Disease J. 24:575-576,2005 4)小児感染免疫 17:87-93,2005
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	△	△	△	△	△	小児の単純疱疹に対する本剤の使用経験は国内外を含め限られている。水痘同様に海外では当該適応症の開発計画がない。また、国内での患者数が少ないことから、現在、申請の予定はない。
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 △	小児の中耳炎では、セフェム耐性の肺炎球菌、インフルエンザ菌が原因菌の約70%を占めており、小児に使用可能なキノロン薬が必要。新規の小児用細粒剤についてメーカーが試作品を有しているため、適応拡大ができれば使用可能。

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					備考
				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	△	○	△	△		世界52カ国において使用され、明らか に肝移植や死亡の時期を遅らせる エビデンスのある薬剤である。す でに小児の教科書レベルに量も記 載されている。対象疾患は胆道閉 鎖症、PSC,PBCなど幅広く早期に 承認をおねがしたい。
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	○GEF に關し てのみ	△	△	△		多くの内外の国にヘリコバクター・ピ ロリ除菌のガイドライン[小児を含 め]に記載され、使用されているに もかかわらず小児適応がない。ま た、GEFの治療ガイドラインに記載 されているが、OD錠であること、適 応外使用を多数国内で使用されて いる。
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	△	△	△	△	米国等では小児の適応を有してい るが、国内では小児の臨床試験が 未実施のため適応を取得していな い
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	すでに製薬メーカーより本年度小児 の申請予定、大容量に関しては成 人の認可がまだのため行わない
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	有用性は高く、エビデンスのある論 文はあるが、18歳以下での安全性・ 有用性は不明との記載あり。国内 での使用例は現在ごく少数だが、い ずれ使用されているIFNがすべてこ の製剤に変更になる。
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	△	×	×	×		有用性は高く、PEG-IFNとの併用 でエビデンスのある論文はあるが、 18歳以下での安全性・有用性は不 明との記載あり。国内での使用例 は非常に少ない。
ラミブジン	B型肝炎	全小児例	7	2)-(イ)-②	(ア)-① (イ)-② (ウ)-②	○	不明	不明	不明		B型肝炎の経口薬として唯一の薬 剤であり、海外での有用性が言わ れていると同時に国内でのエビデ ンスが証明されつつある。エビデ ンスレベルで1bの論文があり、また FDAは2歳以上の小児で承認して いる。
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	△	△	△	△		小児の適応もあるが安全性が確認 されていないとの効能記載となっ ている。
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	×	×	○	○		自己免疫性肝炎において治療指針 において一般にステロイドと併用 し、すでに汎用されている。また、潰 瘍性大腸炎・クローン病においても ガイドラインに記載されている。
サンドスタチン 注射液、LAR	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	現在、国内での使用実態について の公表論文は症例報告程度であ る。サンドスタチンの治験におけ る本邦の症例は17例(注射液15例、 LAR2例)。海外でのエビデンスによ り薬剤の有効性、安全性は確立し ており、NCCNガイドライン*4にも掲 載されている。ただし、いずれも成 人患者を対象とした報告であり、小 児への用量、安全性等については 確立していない。
ミコフェノール酸モ フェチル[セルセ プト]	肝移植	全小児例	11	2)-(イ)-②	(ア)-② (イ)-① (ウ)-③	△	△	△	△	△	成人肝移植では既に海外主要国で 承認がある。また、小児腎移植にお いて広く使用されている。海外での 肝移植の有効性の論文は多数ある が、国内で症例報告程度である。
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	○*	×	×	×		以前に米国において医薬品であ ったが、現在OTC薬となっている。

メシル酸カモスタット・100mg	1. 慢性膵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	既存の治療法・予防法がない。 成人を対象とした臨床試験で本剤は慢性膵炎の症状(膵臓痛)を緩解することが認められている。本剤は慢性膵炎の病態と密接な関連のあるトリプシンを阻害する唯一の経口剤である。小児への使用に関しては市販後調査で6例、その他文献で6例が報告されている。
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	×	×	×	×	×	これまでに潰瘍性形成のため副腎皮質ステロイド剤の使用し難い症例にミゾリピンを使用し良好な経過を得た症例が報告されている。小児科領域では頻回再発型のネフローゼ症候群において二重盲検比較試験が行われた結果、有効性、安全性が示唆されている。
モサブライド	便秘症、慢性胃炎	全小児例	15	2)-(ア)-②	(ア)-② (イ)-③ (ウ)-③	×	×	×	×	△	海外では中国、韓国で承認(成人)成人での適応症は慢性胃炎であるがセロトニン5-HT4が消化管全般に分布していることから消化管運動機能改善薬として幅広く使用されている。国内の使用実態についての公表論文は、症例報告程度。散製剤あり。
ゲルチルリチン酸	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	欧州ではPhageIII中国、韓国、インド、台湾などで成人で承認され、小児領域では国内で頻回に使用されている。マニュアルにも記載されている。
ラベプラゾールナトリウム〔パリエット〕	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	×	×	×	×	×	現在小児製剤がなく、国内外のエビデンスが不足。欧州での小児申請を検討中。成人の申請中の段階

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					備考
				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	×	×	×	×	×	(1)学会については、 a.平成17年日本小児遺伝学会総会で発表 b.平成17年日本人類遺伝学会で発表 c.平成17年日本小児臨床薬理学会で発表 d.平成17年アメリカ人類遺伝学会で発表 (2)論文については、 a. T.Kondoh, et al: Dramatic Improvement in Down Syndrome-Associated Cognitive Impairment with Donepezil. Ann Pharmacother. 39(3), 563-6, 2005 b. T.Kondoh, et al: Pharmacokinetics of Donepezil in Down Syndrome. Ann Pharmacother. 39(3), 572-3, 2005 c. 日本小児臨床薬理学会誌へ学会発表内容を中心に投稿中。 d. ファイザーのホームページ「Growth Hormone World」に日本人類遺伝学会で発表した「ダウン症候群患者における塩酸ドネペジル投与の効果と安全性に関する研究」を照会予定。 e. "Helix Review Series: Dementia"にa.の内容について紹介予定。 (3)使用しようとしているところは具体的に把握できていない。 (4)小児遺伝学会薬事委員会、理事長名で慎重投与の勧告を出す予定。それと同時に、客観的評価法の確立を目的とした多施設研究組織として参加施設を募る予定。 (5)厚生労働省、国立病院機構本部に相談。 (6)長崎大学と獨協大学で倫理委員会
成長ホルモン	成人ブラダー・ウィ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	○	○	×	アメリカ、日本の成績とEUの成績が比較されてきている。

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					備考
				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	△	△	△	△	△	乳児のインフルエンザ患者に対するオセルタミビルによる治療の特別調査が行われた。有害事象全体の発現率は治療薬のない症例のそれと同等であった。また新たな安全性上の問題は認められなかった。
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	○	○	○	○	○	小児用の解熱薬・鎮痛薬として世界中で広く用いられている薬剤である。本邦では、医療薬と一般薬で、アセトアミノフェンの用量・用法に整合性がない。また、内服と坐剤の用量設定も異なる。用量・用法の適正な表記によって、医療現場や家庭での解熱薬使用に関する混乱を避けることができる。

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					備考
				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	×	×	×	×		経口投与が困難な時に経腸的に投与。
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					備考
				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	△	△			△	International Liaison Committee on Resuscitationが決定している世界標準の心肺蘇生法: Guidelines 2005 for cardiopulmonary cardiovascular care では、電気的除細動に抵抗する心室細動、心室性頻拍に対してリドカインよりも優先すべき薬剤としている。
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)	心肺蘇生法の第一選択薬(用量0.01mg/kg)である。現状の1mg/mlの注射剤では10倍希釈して投与しなければならないので、現状では心肺蘇生時に致命的な投与の遅れを生じている。
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)	静脈内に薬剤を投与する際、引き続き生理食塩水を投与し、輸液チューブ内に残った薬剤を静脈内に押し入れるが、投与の遅れが致命的となりうる心肺蘇生時などには、注射器に入った生理食塩水が有用となる。
臭化イプラトロピウム	吸入液	小児	4	1)	(ア)-① (イ)-② (ウ)-③	○				○(カナダ)	気管支喘息発作の標準的な治療薬で、日本ではエアゾール剤のみが市販されているが、救急医療の現場では吸入液が必要である。
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)	痙攣発作に対してジアゼパムに次ぐ第二選択薬として世界的に確立された有効で安全な薬剤であり、以前は静注剤があったので広く使用されていた。

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					備考
				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	○	○	○	○		欧米諸国計26か国で、成人とともに、小児での承認も存在する。国内外の代表的な教科書、一流雑誌の総説、ガイドラインにおける本剤の記載は十分であり、対象とする年齢の小児のPKデータも存在しており、2重盲検等の対照薬を用いた比較試験やその他の主たる試験、副反応および症例報告も報告検討されており、エビデンスとして確立されている。
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	×	△	○	△		成人はEU諸国で承認されているが、小児ではドイツ以外はなし。Cochran Review の評価、国内外の代表的な教科書、一流雑誌の総説、ガイドラインにおける本剤の記載は十分にある。2重盲検等の対照薬を用いた比較試験やその他の主たる試験、副反応および症例報告も報告検討されており、エビデンスは確実にある。
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	○	○	○	○		世界121ヶ国でリウマチ疾患において既に承認されている。国内外の代表的な教科書、一流雑誌の総説、ガイドラインにおける本剤の記載は十分に存在している。小児リウマチ性疾患における臨床比較試験やその他の主たる試験、副反応および症例報告も報告検討されており、エビデンスとしては確立されている。
ミゾリピン	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)	本剤は本邦で開発された薬剤であり、欧米諸国には販売されていないため、欧米での使用経験はほとんどないと考えられる。本邦成人では認可。国内(外)の代表的な教科書、一流雑誌の総説、ガイドラインにおける本剤の記載は十分に存在している。比較試験やその他の主たる試験、副反応および症例報告も報告検討されており、エビデンスとしては確立されている。
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	○	○	○	○		英、独では小児で、重度のJIA、SLE、皮膚筋炎、結節性多発性動脈炎に適応が認められている。国内(外)の代表的な教科書、一流雑誌の総説、ガイドラインにおける本剤の記載は十分に存在している。比較試験やその他の主たる試験、副反応および症例報告も報告検討されており、エビデンスとしては確立されている。

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					備考
				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須	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	小児での安全性についての記載の削除が必須	小児	2	4)		不明	不明	不明	不明	不明	
塩酸プロピトカイン・フェリプレジン	小児での安全性についての記載の削除が必須	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須	小児	4	4)		不明	不明	不明	不明	不明	

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					備考
				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	○					
ロピバカイン(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						