

## 小児適用が望まれている疾患領域

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において必要性が高いものとされ、開発要請あるいは公募されているものうち、小児適用関係をまとめると次のとおり

	小児適用関係(件)						合計
	代謝・その他	循環器	精神・神経	抗菌・抗炎症	抗がん	生物	
①承認	4	2	1	1	0	0	8
②承認申請済	2	0	0	7	0	1	10
③治験届提出済	4	1	7	3	0	1	16
④公知申請予定	0	5	0	3	0	0	8
⑤治験届提出予定	0	0	1	2	0	0	3
⑥その他	0	0	2	0	0	0	2
⑦公募	5	0	0	2	0	0	7
<b>小児関係合計</b>	<b>15</b>	<b>8</b>	<b>11</b>	<b>18</b>	<b>0</b>	<b>2</b>	<b>54</b>
参考 必要性高い品目数 (件)	29	33	31	46	42	5	186
<b>小児の割合(%)</b>	<b>51.7%</b>	<b>24.2%</b>	<b>35.5%</b>	<b>39.1%</b>	<b>0.0%</b>	<b>40.0%</b>	<b>29.0%</b>

※ 開発要請に占める小児関連の件数の割合は、全体の3割近く、「代謝・その他の分野」では半分以上。

小児関連医薬品の開発工程表の概要(疾患分野順)

分野	要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容又は開発内容	開発状況	小児効能関係
代謝・その他	357	エーザイ	ワルファリンカリウム	ワーファリン錠	小児における維持投与量(mg/kg/日)の目安を以下に示す。 12カ月未満:0.16mg/kg/日	①2011年2月承認	○
代謝・その他	255	日本化薬	ピンプラスチン硫酸塩	エクザール注射用	下記疾患の自覚的並びに他覚的症状の緩解 ランゲルハンス細胞組織球症	①2011年3月承認	小児WG
代謝・その他	238	アボットジャパン	パンクレリパーゼ	リパクレオン顆粒、リパクレオンカプセル	膵外分泌機能不全における膵消化酵素の補充	①2011年4月承認	小児WG
代謝・その他	304	ファイザー	メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール静注用	ネフローゼ症候群	①2011年5月承認	○
代謝・その他	139	塩野義製薬	シクロホスファミド	エンドキサン錠	ネフローゼ症候群(副腎皮質ホルモン剤による適切な治療を行っても十分な効果がみられない場合に限る。)	②承認申請済	○
代謝・その他	295	中外製薬	ミコフェノール酸モフェチル	セルセプトカプセル	腎移植における拒絶反応の抑制に対する小児用法・用量の追加	②承認申請済	○
代謝・その他	77 b	大塚製薬	レボカルニチン	未定	乳幼児のための液剤の開発	③治験届提出済	小児WG
代謝・その他	142	マイラン製薬	システアミン	Cystagon Capsule	腎性システチン症	③治験届提出済	小児WG

分野	要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容又は開発内容	開発状況	小児効能関係
代謝・その他	308	大日本住友製薬	メホルミン塩酸塩	メグルコ錠	2型糖尿病に対する小児用法・用量の追加	③治験届提出済	○
代謝・その他	348 a	ゼリア新薬工業	経ロリン酸塩製剤	未定	原発性低リン血症性くる病	③治験届提出済	○
代謝・その他	42	公募	安息香酸ナトリウム・フェニル酢酸ナトリウム配合剤	Ammonul	尿素サイクル異常症患者における急性発作時の血中アンモニア濃度の低下	⑦公募	小児WG
代謝・その他	97	公募	カルグルミック酸	Carbaglu	N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症	⑦公募	小児WG
代謝・その他	209	公募	ニチシノン	Orfadin	チロシン血症 I 型	⑦公募	小児WG
代謝・その他	257	公募	フェニル酢酸ナトリウム	Buphenyl(米) Ammonaps(英、独、仏)	尿素サイクル異常症	⑦公募	小児WG
代謝・その他	275	公募	ベタイン	Cystadane	ホモシスチン血症	⑦公募	小児WG
循環器	282	エーザイ	ベラパミル塩酸塩	ワソラン静注、ワソラン錠	頻脈性不整脈(発作性上室性頻拍、心房細動・粗動)の小児用法・用量の追加	①2011年5月承認	○
循環器	343	武田薬品工業	リュープロレリン酢酸塩	リュープリン注射用	通常、4週に1回リュープロレリン酢酸塩として30 μg/kgを皮下に投与する。なお、症状に応じて180 μg/kgまで増量できる。	①2011年5月承認	小児WG
循環器	230	ノバルティス ファーマ	バルサルタン	ディオバン錠	6~16歳の小児高血圧症	③治験届提出済	○

分野	要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容又は開発内容	開発状況	小児効能関係
循環器	318	サンノーバ	メナテレノン	ケイツー・シロップ 0.2%	新生児・乳児ビタミンK欠乏性出血症に対する予防	④公知申請予定	小児WG
循環器	274.1	アストラゼネカ (大日本住友製薬より承継)	プロプラノロール塩酸塩	インデラル錠	小児における不整脈	④公知申請予定	○
循環器	33	ファイザー 大日本住友製薬	アムロジピン ベシル酸	ノルバスク錠、ノルバスクOD錠 アムロジン錠、アムロ	高血圧症に対する小児用法用量の設定	④公知申請予定	○
循環器	64	MSD	マレイン酸エナラプリル	レニベース錠	小児高血圧	④公知申請予定	○
循環器	331	アストラゼネカ 塩野義製薬	リシノプリル	ゼストリル錠 ロンゲス錠	6歳以上かつ20kg以上の幼児、20kg以上の小児に対する投与についての用法・用量の一部変更	④公知申請予定	○
精神・神経	89	ファイザー	ガバベンチン	ガバベン錠	通常、成人及び13歳以上の小児にはガバベンチンとして初日1日量600 mg、2日目1日量1200 mgをそれぞれ3回に分経口投与する。3日目以降は、維持量として1日量1200 mg～1800 mgを3回	①2011年7月承認	○
精神・神経	81	ノバルティス ファーマ	オクスカルバゼピン	Trileptal	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない小児の部分発作の併用療法	③治験届提出済	○
精神・神経	156	Meiji Seikaファルマ	スチリペントール	Diacomit®	乳児重症ミオクロニーてんかん	③治験届提出済	○
精神・神経	193	協和発酵キリン	トピラマート	トピナ錠	2-16歳の小児における部分発作に対する併用療法	③治験届提出済	○
精神・神経	329	グラクソ・スミスクライン	ラモトリギン	ラミクタール錠	成人における部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する単剤療法、成人における強直間代発作に対する単剤療法、小児における定型欠伸に対	③治験届提出済	○

分野	要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容又は開発内容	開発状況	小児効能関係
精神・神経	349	エーザイ	ルフィナミド	Inovelon (欧州)、 Banzel (米国)	レノックス・ガストー症候群(4歳以上)に伴う発作に対する併用療法	③治験届提出済	○
精神・神経	352 a	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケブラ錠	4歳以上の小児てんかん患者における部分発作に対する併用療法	③治験届提出済	○
精神・神経	352 b	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケブラ錠	4歳以上の特発性全般てんかん患者における強直間代発作に対する併用療法	③治験届提出済	○
精神・神経	243	サノフィ・アベンティス	ピガバトリン	SaBril	點頭てんかん(West症候群)に対する単剤療法(1箇月齢から2歳齢まで)	⑤治験届提出予定	○
精神・神経	268	アボットジャパン Meiji Seikaファルマ	フルボキサミンマレイン酸塩	ルボックス錠 デプロメール錠	小児における強迫性障害	⑥その他	○
精神・神経	332	ヤンセン ファーマ	リスペリドン	リスパダール錠、OD錠、細粒、内用液	小児における自閉症・Disruptive Behavior Disorders(破壊的行動障害) (学会における合意に基づく適応症にて開発予定)	⑥その他	○
抗菌・抗炎症	16	グラクソ・スミスクライン 田辺三菱製薬	アザチオプリン	イムラン錠 アザニン錠	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性エリテマトーデス	①2011年5月承認	小児WG
抗菌・抗炎症	34	アステラス製薬 協和発酵キリン	アモキシシリン	サワシリン細粒 パセトシン細粒	ヘリコバクター・ピロリ感染を除く感染症に対する小児の最大投与量の変更	②承認申請済	小児WG

分野	要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容又は開発内容	開発状況	小児効能関係
抗菌・抗炎症	87	ノバルティス ファーマ	カナキスマブ	Iraris 150 mg/ml powder for solution for injection	2歳以上の次のクリオピリン関連周期性症候群(CAPS) ・家族性寒冷自己炎症症候群(FCAS)	②承認申請済	小児WG
抗菌・抗炎症	161	サノフィ・アベンティス	セフォタキシムナトリウム	クラフォラン注射用	小児の化膿性髄膜炎の最大投与量の変更	②承認申請済	小児WG
抗菌・抗炎症	195	ノバルティス ファーマ	トブラマイシン	TOBI	吸入用製剤の剤形追加 腭嚢胞線維症患者の緑膿菌気道感染症の治療	②承認申請済	小児WG
抗菌・抗炎症	201	中外製薬	ドルナーゼ アルファ	ブルモザイル	嚢胞性線維症における肺機能の改善	②承認申請済	小児WG
抗菌・抗炎症	264.1	ファイザー	フルコナゾール	ジフルカンカプセル、ジフルカン静注液	造血幹細胞移植を施行する患者の真菌感染症予防	②承認申請済	小児WG
抗菌・抗炎症	264.2	ファイザー	フルコナゾール	ジフルカンカプセル、ジフルカン静注液	小児の用法・用量の追加 小児用懸濁剤の剤型追加	②承認申請済	小児WG
抗菌・抗炎症	94	日本ベーリンガー・インゲルハイム	カフェインクエン酸塩	CAFCIT Injection、CAFCIT Oral solution	早産・低出生体重児における原発性無呼吸(未熟児無呼吸発作)	③治験届提出済	小児WG
抗菌・抗炎症	229	アボット・ジャパン	パリピズマブ(遺伝子組換え)	シナジス筋注用	24ヶ月齢以下の免疫不全児(複合免疫不全症、抗体産生不全症、HIV感染、ダウン症候群、臓器移植後又は骨髄移植後、免疫抑制性化学療法施行)	③治験届提出済	小児WG
抗菌・抗炎症	289	ファイザー	ポリコナゾール	ブイフェンド静注用、ブイフェンド錠	小児用法用量の設定	③治験届提出済	小児WG
抗菌・抗炎症	43	Meiji Seikaファルマ	アンピシリンナトリウム	ビクシリン注射用	小児用法・用量の追加	④公知申請予定	小児WG
抗菌・抗炎症	151	バイエル薬品	シプロフロキサシン	シプロキサシ注	小児に対するβラクタム系薬無効の尿路感染症(複雑性膀胱炎、腎盂腎炎)及び嚢胞性線維症	④公知申請予定	小児WG
抗菌・抗炎症	340	ファイザー	リネゾリド	ザイボックス錠、ザイボックス注射液	小児の用法・用量の追加	④公知申請予定	○

分野	要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容又は開発内容	開発状況	小児効能関係
抗菌・抗炎症	56	田辺三菱製薬	インフリキシマブ	レミケード	大量ガンマグロブリン治療に抵抗を示す重症川崎病	⑤治験届提出予定	小児WG
抗菌・抗炎症	228	グラクソ・スミスクライン	バラシクロビル	バルトレックス錠、バルトレックス顆粒	単純疱疹、造血幹細胞移植における単純ヘルペスウイルス感染症(単純疱疹)の発症抑制、帯状疱疹、性器ヘルペスの再発抑制の小児適応	⑤治験届提出予定	小児WG
抗菌・抗炎症	130	公募	コリスチンメタンサルホン酸ナトリウム	Colomycin Injection	吸入用製剤の剤形追加 腭嚢胞線維症患者の緑膿菌気道感染症の治療	⑦公募	小児WG
抗菌・抗炎症	345	公募	リロナセプト	Arcalyst	クリオピリン関連周期性熱症候群(家族制慣例蕁麻疹症およびMuckle-Wells症候群)患者の炎症症状の軽減	⑦公募	小児WG
生物	376	化学及血清療法研究所	乾燥組織培養不活化A型肝炎ワクチン	エイムゲン	A型肝炎の予防(16歳未満)	②承認申請済	○
生物	372	CSLベーリング	人免疫グロブリンG	ヴィヴァグロビン	原発性免疫不全症候群(PID)の成人及び小児患者における抗体補充療法	③治験届提出済	○