

本邦の小児骨形成不全症におけるパミドロン酸二ナトリウム使用実態調査について

日本小児内分泌学会は、次の経緯により「本邦の小児骨形成不全症におけるパミドロン酸二ナトリウム(アレディア®)使用実態調査」を実施することになりました。

骨形成不全症は骨の外側の固いところのコラーゲン繊維を正常につくることができないという病気です。コラーゲン繊維を作成できないことによって、骨形成不全症の患者さんは簡単に骨が折れてしまいます。現在、骨形成不全症に対する治療の一つとして、ビスホスホネートという種類の骨吸収抑制剤(パミドロン酸二ナトリウム)が使用されています。ビスホスホネートはコラーゲン繊維を強くしてくれる働きを持っていますので、この治療によって骨形成不全症の方の骨が折れにくくなります。

パミドロン酸二ナトリウムは、アレディア®という商品名で、ノバルティス ファーマ株式会社から販売されています。

現在、国内において小児の骨形成不全症の治療として、本薬剤が投与されていますが、本薬剤は骨形成不全症の適応はありません。(適応とは、薬事法という法律で使用を認められていることをいいます。)しかしながら、小児の骨形成不全症の治療において本薬剤の必要性が高いことから、保険適応外として使用されています。

そこで、日本小児内分泌学会は、厚生労働省に本薬剤の小児の骨形成不全症患者への効能追加及び用法・用量追加要望を提出しました。

この要望を受け、「第12回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、本薬剤の小児骨形成不全症に対する医療上の必要性が高いと評価されました。そこで、本邦における今後の適応追加の承認申請を円滑に進めるため、日本小児内分泌学会は、日本における小児骨形成不全症に対する本薬剤の使用状況を調査することになりました。

この調査では、対象となる患者さまの診療録(カルテ)情報を使用させていただくことがあります。調査にご協力いただけない方は、調査期間中に担当医までお申し出ください。

なお、協力できないことをお申し出になられた場合でも、そのために治療を変更するなど、治療上の不利益を受けることは一切ありませんのでご安心ください。

※この調査は、「ヘルシンキ宣言」や「疫学研究に関する倫理指針」に従って実施されます。

調査対象医薬品薬	パミドロン酸二ナトリウム (アレディア®)
対象患者	2012年4月1日～2013年3月31日に調査対象医薬品を投与された18歳未満の骨形成不全症患者
調査方法	2012年4月1日～2013年3月31日にパミドロン酸二ナトリウム(アレディア®)を投与した18歳未満の骨形成不全症患者における使用実態(患者背景情報、用法・用量情報、有効性及び安全性)について調査する。
実施医療機関	日本小児内分泌学会の評議員が所属する小児科施設のうち、本調査が実施可能な施設

目標症例数	100 例
調査期間	2013 年 4 月 1 日～2013 年 6 月 30 日
調査責任者	日本小児内分泌学会 理事長 横谷 進 国立成育医療研究センター 生体防御系内科部 部長
調査結果の公表方法	日本小児内分泌学会は、本調査の成果を学術論文等にて公表する予定である。

参考： KOMPAS : 2011 年 4 月骨形成不全症の治療（小児科）