

## ヒト成長ホルモン製剤の適正使用について（お知らせと推奨）

2024年8月14日

日本小児内分泌学会理事長 長谷川奉延

下垂体・成長障害委員長 水野晴夫

小児慢性特定疾病に関する告示の2024年4月1日施行を前にして、日本小児内分泌学会は、「小児慢性特定疾病におけるヒト成長ホルモン治療を行う場合の疾病の状態の程度に関する要件の撤廃についての周知・適正使用のお願い」を発信しました（[http://jspe.umin.jp/pdf/notification\\_240329.pdf](http://jspe.umin.jp/pdf/notification_240329.pdf)）。その際、薬剤添付文書の治療基準を遵守した、ヒト成長ホルモン製剤の適正使用をお願いいたしましたが、ここでは適正使用のために重要な点を述べます。

### 【成長ホルモン治療の診断基準・保険診療の対象は変わらない】

今回の「疾病の状態の程度」に関する要件の撤廃は、小児慢性特定疾病に限られた変更であり、成長ホルモン治療の対象疾患を拡大するものではなく、添付文書記載の診断・治療基準を変更するものでもありません。すなわち、保険診療の対象となっている疾患の診断や、成長ホルモンの使用が、診断基準に従ってなされることが必須の条件であることには、何ら変わりはありません。

### 【成長ホルモン分泌不全性低身長症の診断について】

成長ホルモン分泌不全性低身長症の診断は（乳幼児の症候性低血糖、頭蓋内器質性疾患、他の下垂体ホルモン分泌不全がある場合は除く）、2つ以上の成長ホルモン分泌刺激試験で低反応を示した場合とされています。これは、正常な小児でも低反応を示す場合があるからです。

成長ホルモン分泌不全性低身長症であれば、主症候に加えて、成長ホルモン分泌刺激試験が診断に必須であることを再度ご確認ください。また、低栄養、各種慢性疾患、思春期遅発症などの除外も重要であることにご留意ください。

### 【成長ホルモン治療の中止基準の推奨について】

「骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症」以外のヒト成長ホルモンの使用が適応症となっている疾患群には、添付文書に「治療継続・中止基準」の記載があり、それを遵守することが求められます。一方、「骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症」については、添付文書に「最新の『厚生労働科学研究費補助金難治性疾患等研究事業 間脳下垂体機能障害の研究班 成長ホルモン分泌不全性低身長症の診断と治療の手引

き』を参照すること」とありますが、その手引には、継続・中止基準の記載はありません。

もちろん、骨端線閉鎖以降も治療を続けることは成人身長にも効果がないばかりか、保険診療でも認められておりません。さらに、年間成長率から考えて治療効果が望めないと判断した時点での成長ホルモン治療の中止を推奨します。具体的には、

1. 中止すべき基準（治療を継続すべきでない基準）として、成長率 $<1$  cm/年、ないし骨端線閉鎖を認めた場合
2. 効果が期待できないので中止を積極的に検討すべき基準として成長率 $<2$  cm/年

を日本小児内分泌学会としての推奨といたします。なお、「骨端線閉鎖」とは、日本人小児TW2法RUS法では、男子16.0歳、女子14.6歳を超えた場合に相当します。

今後も、成長ホルモン治療の適正使用を行っていただきますようお願い申し上げます。