https://www.printo.it/pediatric-rheumatology/JP/intro

薬物療法

版 2016

はじめに
この項では小児リウマチ性疾患の治療に一般的に使用される薬物療法に関する情報を提供します。各項は4つの主要部分で構成されます。
性状
この項では各薬剤の作用機序および予期される副作用に関する概略を紹介します。
投与量、投与方法
この項では薬剤の投与量ならびに投与方法（錠剤、注射剤、点滴剤など）に関する情報を提供します。投与量は通常体重1kg当たりの1日用量（mg/kg）または体表面積(m2)当たりの用量（mg/m2）で表されます。
副作用
この項は最も広く知られている副作用に関する情報を提供します。
小児リウマチ性疾患における主要適応症
この最後の項では各薬剤の適応となる小児リウマチ性疾患を記載しています。適応とは当該薬剤が小児で臨床試験が行われ、欧州医薬品庁（EMA）あるいは米国の食品医薬品（FDA）およびその他の国の規制当局が特に小児に対して使用することを承認することを意味します。場合によっては、承認されていない場合であっても医師が処方することを決められます。

小児法規、ラベル表示とオフラベル（承認外） 使用および将来の治療可能性
15年前までは、若年性特発性関節炎（JIA）やその他の小児疾患を治療するための全ての医薬品が、小児における試験で適切には評価されていませんでした。このことは医師が成人患者で実施された臨床試験や個人的経験に基づいて薬剤を投与していたことを意味します。
実際に、過去においては、主に小児研究に対する資金不足や製薬企業が小規模で収益の少ない小児市場に関心を示さなかったために、小児リウマチ学における臨床試験を実施することは困難でした。しかし状況は数年前に一変しました。これは米国における「Best Pharmaceutical for Children Act（最適小児医薬品法）」および欧州共同体（EU）における小児用医薬品開発に関する特定法規「Paediatric Regulation（小児規制）」の導入に負うところが大です。実質的には、これらの取組みが、製薬企業に対して、小児用薬剤について研究することを強制させました。
米国とEUの取組みは、二つの大規模ネットワーク、すなわち世界中で50ヶ国以上が参加するPaediatric Rheumatology International Trials Organisation（小児リウマチ国際試験機関、PRINTO, www.printo.it）および北アメリカに基盤を置くPaediatric Rheumatology Collaborative Study Group（小児リウマチ協同研究グループ、PRCSG, www.prcsg.org）の存在とともに、小

児リウマチ学、特にJIAを有する小児に対する新しい治療法の開発、に非常に好影響を与えました。全世界でPRINTOまたはPRCSGによって治療されたJIA患者の属する数百の家族がこれらの臨床試験に参加し、彼らのために研究された医薬品で治療を受けることができました。試験に参加する人の一部は、評価中の医薬品の有効性が有害性よりも高いことを確かめるために、プラセボ（薬効成分を含まない錠剤または点滴薬）を使用するよう求められることがあります。
このような価値ある取組みによって、今日では数種の医薬品がJIAに対して特別に承認されています。このことはFDA、EMAや数か国の関係当局が臨床試験に基づいて科学的情報を改訂し、それによってその薬品が小児に対して有効かつ安全であることを、製薬企業が薬品の表示ラベルに記載することが可能になってきたことを意味します。
JIAに対して承認された医薬品にはメトトレキサート、エタネルセプト、アダリムマブ、アバタセプト*、トシリズマブ およびカナキヌマブ*が含まれます。 *現在、日本で小児試験実施中
他にもいくつかの医薬品が小児で試験中あるいは試験されることになっているので、あなたの子どもがそのような試験に参加するよう医師から求められる可能性があります。
その他、JIAに使用することが明確に承認されていない医薬品があります。数種の非ステロイド系抗炎症薬（NSAID）、アザチオプリン,*、シクロスポリン、アナキンラ および
インフリキシマブ などです。これらの医薬品は承認適応外（オフラベル使用）で使用され、他に有効な治療法が無い場合には医師がこれらの医薬品を特別に使用することを提案します。
*日本では難治性リウマチ性疾患に適応あり

治療の順守（アドヒランス）
治療に対するアドヒランスは短期的にも長期的にも健康を維持するためにとても重要です。
治療に対するアドヒランスとは医師が処方した薬剤の治療プログラムに従うことを意味します。これには、定期的な薬剤摂取、所定の診療、定期的理学療法、所定の臨床検査など様々な要素があります。これらの要素は協同して病気と闘い、子供達の体を強め健康に保つための相補的プログラムを作りだします。投薬の頻度と用量は体内の薬物濃度を維持するための必要量によって決定されます。この治療計画に対するアドヒランスの欠如は薬物濃度を無効レベルにまで低下させ、病気の再燃の可能性を高めます。これを避けるために定期的に注射を受け服薬することが重要です。
治療が成功しないことの最も一般的な理由は治療を順守しないことです。医師または医療チームが処方した医療プログラムのすべての項目に対するアドヒランスは寛解のチャンスを増大させます。治療の多様な要素を維持することは時には両親や保護者にとって面倒なことですが、子どもが健康を手に入れる機会を確実に獲得するか否かはあなた方次第です。残念なことに、子どもが成長するにつれて、特にティーンエイジに達すると、アドヒランスの欠如の問題は深刻化します。ティーンエージャーは自分が病人であると認めることを嫌がり、面倒な治療を避けるようになります。その結果、この年代では病気の再燃の頻度が増加します。治療計画の順守は寛解やQOLの改善の機会を保証します。