「子どもの薬を創る会」第１回セミナー

日本薬理学会後援セミナー

小児心不全治療薬の課題と対策　ー　学会主導の小児治験促進活動　ー

東京都立小児総合医療センター　循環器科
三浦　大

日時：2021 年 12 月 25 日（土）13:00 – 13:40
形式：オンラインセミナー
参加費：無料
参加方法：下記 URL から 12 月 24 日（金）までに事前参加登録をお願いします。
https://us02web.zoom.us/meeting/register/tZIudO-gpj0sHNb7E5ifq4Gk-9ZhFu3w96qt
問い合わせ先：信州大学医学部分子薬理学教室 山田 充彦（myamada@shinshu-u.ac.jp）

小児心不全の主因である先天性心疾患の多くは，薬物治療や人工換気で状態を安定させ，手術を行えば心不全は改善する．しかし，術後経過が不良な場合や心筋疾患などでは，心不全の管理に難渋する．補助人工心臓や心臓移植の実施例も増えてきたが，受け入れ可能な数に限界がある．このような例では，内科的な抗心不全治療が重要となり，成人で注目されている新薬の応用も期待される．しかし，小児領域では，保険適用のある抗心不全薬は少なくエビデンスも乏しい．

未承認・適応外の医薬品には，不安定な供給，不適切な剤形，副作用被害の救済が不可，医療訴訟に不利，エビデンスに基づかない医療といった問題がある．小児の治験が遅れる要因として，少ない利益のほか，疾患の多様性，症例数の不足，組み入れの困難さ，非現実的なプロトコールなどが挙げられる．

このような問題の解決策として，日本小児循環器学会では臨床試験委員会を中心に，2013 年から治験促進活動を行ってきた．学会は治験依頼者（製薬企業）と契約を締結し，プロジェクトチームを結成する．治験の計画では，データベースによる対象患者数の把握，アンケートによる参加施設の選定，プロトコール作成などに関与する．開始後は，参加施設の会議，メールやホームページでの広報，非参加施設からの患者紹介などで組み入れを進める．終了後も論文や添付文書の作成，さらに製造販売後調査まで支援する予定である．

抗心不全薬に関しては，アンジオテンシン受容体ネプリライシン阻害薬のサクビトリルバルサルタンおよび水利尿薬のトルバプタンの治験の完遂に寄与した．過分極活性化環状ヌクレオチド依存性チャネル遮断薬のイバブラジンは，企業が治験に消極的なため，医師主導治験に向けて当局との協議を行っている．

今後も本活動を発展させ，心不全を有する小児と家族のために，薬物治療のエビデンスを構築し保険適用取得をめざしたい．