シルデナフィルクエン酸塩（以下，本薬）は，英国ファイザー研究所で合成されたホスホジエステラーゼ 5（以下，PDE5）の選択的阻害薬である。本薬は，男性勃起不全治療薬として，欧米では 1998 年，本邦では 1999 年に承認された後，肺動脈性肺高血圧症（Pulmonary Arterial Hypertension：以下，PAH）の効能取得を目的とした開発が進められ，欧米では 2005 年，本邦では 2008 年に PAH 治療薬として承認された（販売名：レバチオ錠 20 mg）。2017 年 6 月現在，欧米を含む 50 カ国を超える国において PAH 治療薬として承認されている。

PAH は進行性の致死性疾患であり，病態は成人と小児で類似しているが，小児では成人に比べてより予後不良となることが報告されている。本薬の小児 PAH に対する開発は，成人 PAH に対する開発に続いて進められ，2003 年より欧米諸国を中心に小児 PAH 患者を対象とする国際共同試験が開始され，日本からは本試験に 20[redacted] 年より参加した。本試験の結果を踏まえ，本薬は 2011 年に欧州において「1 歳から 17 歳の PAH 患者」に対して承認され，2017 年 6 月現在，欧州を含む 35 カ国において，小児 PAH 患者に対して承認されている。また，小児患者を含め，錠剤を飲み込むことが困難な患者が服用しやすい剤形として本薬のドライシロップ剤が開発され，2012 年に欧米において承認された。また，服薬コンプライアンスの向上や利便性等を考慮し，レバチオ錠 20 mg の剤形追加としてレバチオ OD フィルム 20 mg が開発された。レバチオ OD フィルムは，欧米を含むいずれの国においても申請ならびに承認はされていない。

本邦における小児 PAH に対する薬物治療は，長年，成人 PAH に対して承認されている薬剤を用いて，成人での有効性および安全性等を参考に用量を調節して行われてきたのが現状であり，2015 年 9 月にボセンタン水和物を有効成分とする「トラクリア小児用分散錠 32 mg」が承認されるまで，小児 PAH に対する用法・用量が承認されている薬剤は存在しなかった。本薬の本邦における小児 PAH に対する開発は，20[redacted] 年より参加した小児 PAH 患者を対象とした国際共同試験に加え，2012 年より国内臨床試験を実施し，日本人小児 PAH に対する本薬の有効性，安全性および薬物動態を評価した。これらの臨床試験成績から本薬の小児 PAH 患者に対する有効性および安全性が確認できたと判断し，小児 PAH 患者に対する用法・用量の追加を目的とし，以下の内容にて，レバチオ錠 20 mg の製造販売承認事項一部変更承認申請，ならびにレバチオ懸濁用ドライシロップ 900 mg およびレバチオ OD フィルム 20mg の製造販売承認申請（剤形追加）を行うこととした。

［申請品目：レバチオ錠 20mg］（製造販売承認事項一部変更承認申請）

効能・効果（案）：肺動脈性肺高血圧症

用法・用量（案）：成人
通常，シルデナフィルとして 1 回 20 mg を 1 日 3 回経口投与する。
1 歳以上の小児
体重 20 kg 超の場合：通常，シルデナフィルとして 1 回 20 mg を 1 日 3 回経口投与する。（下線部を追加）

［申請品目：レバチオ懸濁用ドライシロップ 900mg］（製造販売承認申請）

効能・効果（案）：肺動脈性肺高血圧症

用法・用量（案）：成人
通常，シルデナフィルとして 1 回 20 mg を 1 日 3 回経口投与する。
1 歳以上の小児
体重 8 kg 以上 20 kg 以下の場合：通常，シルデナフィルとして 1 回 10 mg を 1 日 3 回経口投与する。
体重 20 kg 超の場合：通常，シルデナフィルとして 1 回 20 mg を 1 日 3 回経口投与する。

［申請品目：レバチオ OD フィルム 20mg］（製造販売承認申請）

効能・効果（案）：肺動脈性肺高血圧症

用法・用量（案）：成人
通常，シルデナフィルとして1回20 mgを1日3回経口投与する。
1歳以上の小児
体重20 kg超の場合：通常，シルデナフィルとして1回20 mgを1日3回経口投与する。