1　緒言

エルトロンボパグ　オラミン（以下，ETB115）は，経口投与が可能なトロンボポエチン受容体作動薬であり，トロンボポエチン受容体を介して造血を促進する。米国では，持続性又は慢性特発性血小板減少性紫斑病及び重症再生不良性貧血（aplastic anemia, AA）の成人及び小児に対する適応のほか，血小板減少症を伴う C 型肝炎の適応を有する。国内では，成人に対して，2010 年 10 月に慢性特発性血小板減少性紫斑病，2017 年 8 月に AA の効能・効果で承認されたが，いずれも小児に対する適応はない。AA に対しては，国内外の臨床試験成績より，ETB115 を抗ヒト胸腺細胞免疫グロブリン（anti-thymocyte globulin, ATG）／シクロスポリン（ciclosporin, CsA）療法と併用投与した際の有効性及び安全性が示されており，本邦で用いられている AA 診療の参照ガイドでも ETB115 と ATG / CsA 療法の併用投与が推奨されている。

AA の大部分は特発性であり，小児患者の病態は成人患者と大きな違いはなく，同様の疾患経過が予想される。そのため，免疫抑制療法で未治療の重症 AA 患者を対象として ETB115 を ATG / CsA 療法と併用投与した際の有効性及び安全性を評価した CETB115G2201 試験の成績に基づき，小児 AA 患者で成人 AA 患者と同程度の有効性・安全性が認められるかを検討することで，ETB115 の小児 AA 患者に対する有用性を評価した。その結果，被験者数が少なく解釈に限界はあるものの，成人と同様に血液学的奏効及び輸血に対する効果が示唆された。忍容性も良好で，安全性に関して小児特有の懸念は認められなかった。

以上より，ETB115 は，免疫抑制療法で未治療の小児 AA 患者に対して成人と同様に有用な治療選択肢になり得ると考え，小児に対する用法及び用量の追加を目的とした製造販売承認事項一部変更承認申請を行う。効能又は効果は既承認の「再生不良性貧血」から変更はなく，用法及び用量（案）は「抗胸腺細胞免疫グロブリンとの併用において、通常、成人及び 12 歳以上の小児には、エルトロンボパグとして 75mg を 1 日 1 回、6 歳以上 12 歳未満の小児には、エルトロンボパグとして 37.5mg を 1 日 1 回、食事の前後 2 時間を避けて空腹時に経口投与する。なお、患者の状態に応じて適宜減量する。（下線部：追記）」とした。