

2024年6月25日

プラダー・ウィリ症候群に対する GH 治療適応判定を希望される場合の
適応拡大を踏まえた適応判定の実施について

成長科学協会は、プラダー・ウィリ症候群（PWS）を含む GH 治療適応判定は原則として中止しましたが、希望される場合は適応判定を行います（お知らせ 2024 年 4 月 25 日）。

PWS においては、2023 年 12 月 22 日に GH 製剤（ジェノトロピン®TC 注用）の適応が「体組成異常及び骨端線閉鎖を伴わない低身長」に拡大されました。

また、日本小児内分泌学会は、「PWS コンセンサスガイドライン（2022.12.23 改訂）」<http://jspe.umin.jp/medical/files/guide20221223.pdf> を先に公表していましたが、上記の適応拡大に合わせて「PWS 体組成改善目的の GH 治療実施上の注意点（2023.12.27）」<http://jspe.umin.jp/medical/files/guide20231227.pdf>（以下、「注意点」）をホームページ上に公開しました。

このような背景から、成長科学協会では、ジェノトロピン®TC 注用の添付文書および日本小児内分泌学会からの「注意点」等の文書に基づいて PWS の GH 治療適応判定を行います。

【PWS の GH 治療適応判定における成長科学協会の方針】

1. 上記のように、「体組成異常」と「骨端線閉鎖を伴わない低身長」の2つに対する適応が承認されていますが、遺伝学的な検査により確定した PWS であればそのまま「体組成異常」に対する GH 治療の適応になることから、GH 治療の適応の有無は、身長等の状況によらずに判断できることとなります。そのため、成長科学協会では、PWS の確定診断のための適切な遺伝学的方法と、禁忌等への非該当が確認できれば、「適応あり」と判断いたします。
2. 一方、小児期においては成長の評価の臨床的重要性は変わりありません。そのため、登録された成長関連のデータの有用性を考慮して、適応判定依頼書（新規）と治療成績報告書（継続）には成長に関わる項目を残してあります。それらの項目は、適応判定に関係しませんので、記入していただくか否かは任意ですが、登録されたデータは貴重な情報として利用されますので、なるべく記入して下さい。
3. PWS の体組成異常に対する適応は成人を含みますが、成長科学協会では、小児期の新規の「GH 治療（小児用量）」に対する適応判定を行います*。また、治療成績報告書（継続）については「GH 治療（小児用量、または、移行期用量）」に対する適応判定を行います。

* 成人患者に対する GH 治療については、「体組成改善を目的とするプラダー・ウィリ症候群成人患者における成長ホルモン治療について」（後日掲載予定）を参照して下さい。

【具体的な実施方法について】

PWS に対して GH 治療適応判定を依頼される場合は、本ウェブサイト上の以下の項目を改訂しましたので、それを参照してください。

- [プラダー・ウィリ症候群 ヒト成長ホルモン治療適応判定依頼書等の記入に当たっての注意](#)
- [プラダー・ウィリ症候群 ヒト成長ホルモン治療適応基準](#)