

(1)小児がん中央機関からの報告

①ー2研究開発・臨床研究等の推進について

国立がん研究センター中央病院小児腫瘍科

小川 千登世

第11回小児がん中央機関アドバイザリーボード会議 2025/3/4

3. 小児がん中央機関・・・役割

- (1)小児がん及びAYA世代で発症するがんに関する相談支援の向上に関する体制整備を行うこと。
また、小児がん患者・経験者の発達段階に応じた長期的な支援のあり方について検討すること。
- (2)小児がん及びAYA世代で発症するがんに関する情報を収集し、広く国民に提供すること。
- (3)全国の小児がんに関する研究開発及び臨床研究の推進・支援を行うこと。
- (4)小児がんの治験促進に向け、治験に関する情報提供を行い、国内の連携体制を整備すること。
- (5)拠点病院、小児がん連携病院等に対する、中央病理診断等の診断、治療などの診療支援体制について協議すること。
- (6)小児がん診療、相談支援や治験等に携わる者の育成に関する国内の体制整備を行うこと。
- (7)小児がんの登録の体制の整備を行うこと。
- (8)小児がん患者がその成長等に伴い全国どこに移住したとしても、切れ目ない長期フォローアップを受けられる体制の整備を行うこと。
- (9)(1)から(8)の業務にあたっては、患者、家族及び外部有識者等による検討を踏まえて行うこと。

小児がん中央機関・・・役割

(研究開発・臨床研究等の推進 抜粋)

(3) 研究開発・臨床研究の推進・支援

(4) 治験促進に向けた情報提供と国内の連携体制整備

(6) 治験等に携わる者の育成に関する国内の体制整備

がんの子どもたちに薬を届けるための治療薬開発促進プロジェクト

小児の病死原因第一位である小児がんにおけるドラッグラグの解消に向けて

解決すべき問題

- がん遺伝子パネル検査が保険適用となり遺伝子異常に適合する医薬品があっても、小児がん患者では
- ・ 保険診療下で使用できる薬がほとんどない
 - ・ 参加可能な治験が少ない
 - ・ 小児用量が決まっておらず現行の患者申出療養の利用も困難

解決のために

- 小児がんに特化した治療開発の実施基盤(小児がん治療開発コンソーシアム)を構築し、小児がん治療薬開発を活性化し、治療薬アクセスを改善する
- ・ 恒常的な小児早期開発体制の整備による保険適用薬剤の増加がゴール
 - ・ 企業治験への小児組み入れを促進し、医師主導治験を恒常的に実施
 - ・ 小児に特化した患者申出療養に基づくプラットフォーム試験の立案

小児がん患者のドラッグアクセスの改善

遺伝子パネル検査結果に基づく治療薬の選択肢・アクセスを増やす



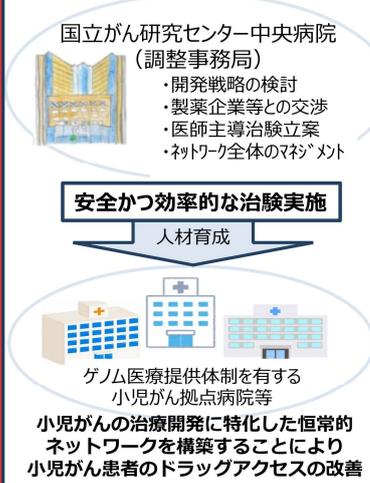
長期的には 保険診療で使用できる医薬品を増やす

- ・ 治験を安全かつ効率的に実施するための治療ネットワークを整備する
- ・ 国外/国内の企業治験の呼び込みにより治験数の増加をはかる
- ・ 企業が着手できない場合は医師主導治験を行い開発を進める

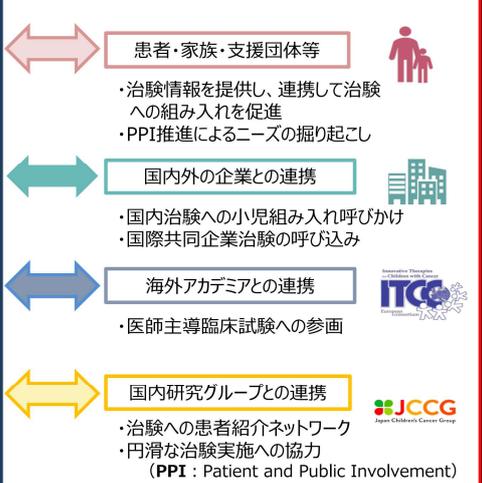
短期的には マスタープロトコルを用いた患者申出療養制度に基づく特定臨床研究の実施

- ・ あらかじめマスタープロトコルを用意し、遺伝子パネル検査結果に基づく推奨薬コホートを複数用意することで、治療選択肢を増やす
- ・ 特定臨床研究の結果を利用し薬事承認を目指す

小児がん治療開発コンソーシアム



ステークホルダー連携による治療薬開発促進



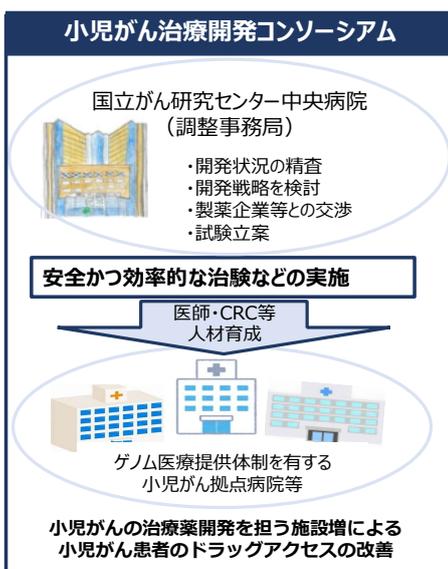
小児がん拠点病院における治験実施状況と体制の小括

(令和4年度第3回QI松本班班会議資料より集計)

- 2021年の治験の実施数(患者登録なしを含む)は中央値で2件、5件以上実施している施設は3施設(関東甲信越と近畿ブロック)であった。
- 治験への登録患者数は中央値で1人、5人以上の患者登録があった施設は5施設(関東甲信越、近畿、九州ブロック)であった。
→施設毎の治験の経験数はあまり多くないと考えられる。
- 小児がんに関わるCRCの数は中央値で5人、CRC一人当たりの治験実施数はほとんどの施設で1未満であった。
→CRCの小児がんの経験数もあまり多くないと考えられる。

第18回小児がん拠点病院連絡協議会 2023/6/28 資料

令和5年度からの取り組み 小児がんで治験・治療開発を行うための人材育成



- 最短1日の見学 …… 13人
治験実施のための診療見学(朝のカンファレンスとカルテ)
- 3日~5日の短期研修 …… 3人
使えるようにしたい治療計画のコンセプト作成議論(完成?)
- 6か月以上3年の研修 …… 5人
将来小児がんの治療開発をリードする若手育成
(病院でのレジデント募集期間に応募必要)
- CRC向けweb講習会(研修)

随時
募集中

R6: 各ステイクホルダーとの連携による治療薬開発促進

ステイクホルダー連携による治療薬開発促進

・患者・家族・支援団体等を対象とした患者参画に向けた啓発のための勉強会

→ 2024年1月の日米交流の後、6回シリーズで開催

薬剤開発促進の国際会議「ACCELERATE」に患者会招聘



・治験情報の提供 → 「小児がんの治験を探す」で検索

小児がんの薬剤開発を学ぶ会
～患者家族の意見を発信していくために～

第1回 **がん対策や薬剤に関する法律や規制についての基礎知識と最近の動向** 事前申込制

日時: 2024年10月24日(木) 20:00～21:40 (休憩10分含む)
開催形式: Teamsによるオンライン開催 **参加費無料**
対象者: 小児がんの薬剤・研究開発に関心のある、小児がん経験者・ご家族 ※患者・家族以外の方もご参加いただけます
参加方法: 右記QRコードまたはURLからお申込みください。
<https://forms.gle/LfrcQKZbRyFWRt5>
※申込みは、招待リンクからのご登録となります。
申込み締切: 2024年10月21日(月)

薬剤開発に関する知識を学び、日本の小児がんの薬剤や治療開発の促進、ドラッグ・ドラッグロスの解決に向けた、患者家族や患者会の具体的なアクションにつなげることを目指します。

第1回の内容: 抗がん剤の薬剤開発の分野では、長年にわたり、欧米で使用可能な薬剤が日本では使用できない状態が生じていました。しかし、ここ3年間に、行政やアカデミアを中心とした様々な取り組みが行われ、ドラッグ・ドラッグロスの解消に向けて大きな進展がみられます。これらの取り組みを理解するための基本となる法律や規制を解説した上で、最近の動向について紹介します。

取組テーマ (全6回予定)

- 市民参画に求められる役割
- 疼痛・社会医学
- がん研究と患者参画
- エビデンスと意思決定
- 疫学・医療統計
- 患者の立場での活動
- etc.

(現在内容を検討中)

主催: 小児がんの薬剤開発を学ぶプロジェクトチーム
共催: 国立がん研究センター 研究開発局
「小児がんに対する医師主導治験基盤構築」(期)
協力: 小児がん患者会ネットワーク、小児がん国際関係会議
問い合わせ先: プロジェクトチーム learn_drugdev@googleforgroups.com

小児がんの薬剤開発を学ぶ会
～患者家族の意見を発信していくために～

第2回 **製薬企業における薬剤開発プロセスの全体像** 事前申込制

日時: 2025年1月24日(金) 20:00～21:40 (休憩10分含む)
開催形式: Teamsによるオンライン開催 **参加費無料**
対象者: 小児がんの薬剤・研究開発に関心のある、小児がん経験者・ご家族 ※患者・家族以外の方もご参加いただけます
参加方法: 右記QRコードまたはURLからお申込みください。
<https://forms.gle/EEFGNR>
※申込みは、招待リンクからのご登録となります。
申込み締切: 2025年1月20日(月)

薬剤開発に関する知識を学び、日本の小児がんの薬剤や治療開発の促進、ドラッグ・ドラッグロスの解決に向けた、患者家族や患者会の具体的なアクションにつなげることを目指します。

第2回の内容: (多くの場合は、長い年月と多額の費用がかかりますが、その成功率は約23,000分の1しかありません。また、発売後も有効性・安全性について確認することが義務付けられています。心が折れているのが、今回は「すり」のタネ探しから始まり、治験の実施と発売後の活動など、薬剤開発のプロセスについて解説いたします。

取組テーマ (全6回予定)

- 市民参画に求められる役割
- 腫瘍・社会医学
- がん研究と患者参画
- エビデンスと意思決定
- 疫学・医療統計
- 患者の立場での活動
- etc.

(今後のテーマは参加者のご意見を参考に決定いたします)

主催: 小児がんの薬剤開発を学ぶプロジェクトチーム
共催: 国立がん研究センター 研究開発局(23-6-14)
「小児がんに対する医師主導治験基盤構築」(期) 23EA1039
協力: 小児がん患者会ネットワーク、小児がん国際関係会議
問い合わせ先: プロジェクトチーム learn_drugdev@gmail.com

がんの子どもたちに薬を届けるための治療薬開発促進プロジェクト

小児の病死原因第一位である小児がんにおけるドラッグロスの解消に向けて

解決すべき問題

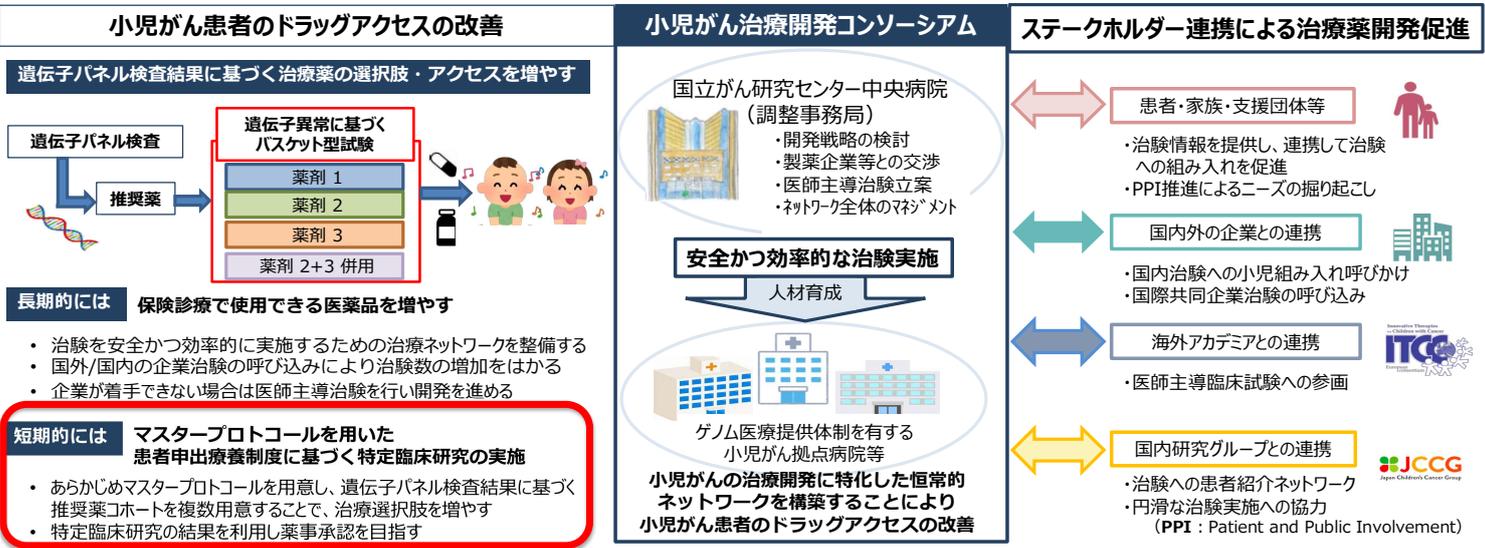
がん遺伝子パネル検査が保険適用となり遺伝子異常に適合する医薬品があっても、小児がん患者では

- ・ 保険診療下で使用できる薬がほとんどない
- ・ 参加可能な治験が少ない
- ・ 小児用量が決まっておらず現行の患者申出療養の利用も困難

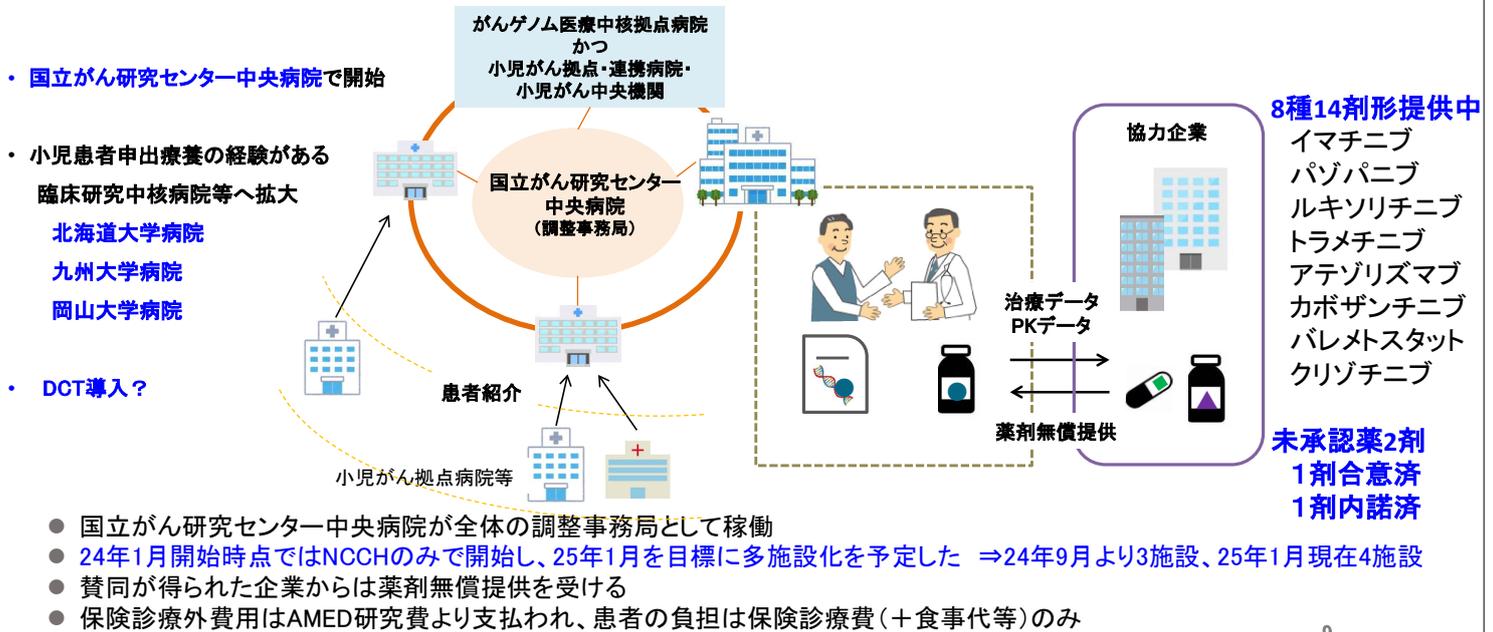
解決のために

小児がんにて特化した治療開発の実施基盤(小児がん治療開発コンソーシアム)を構築し、小児がん治療薬開発を活性化し、治療薬アクセスを改善する

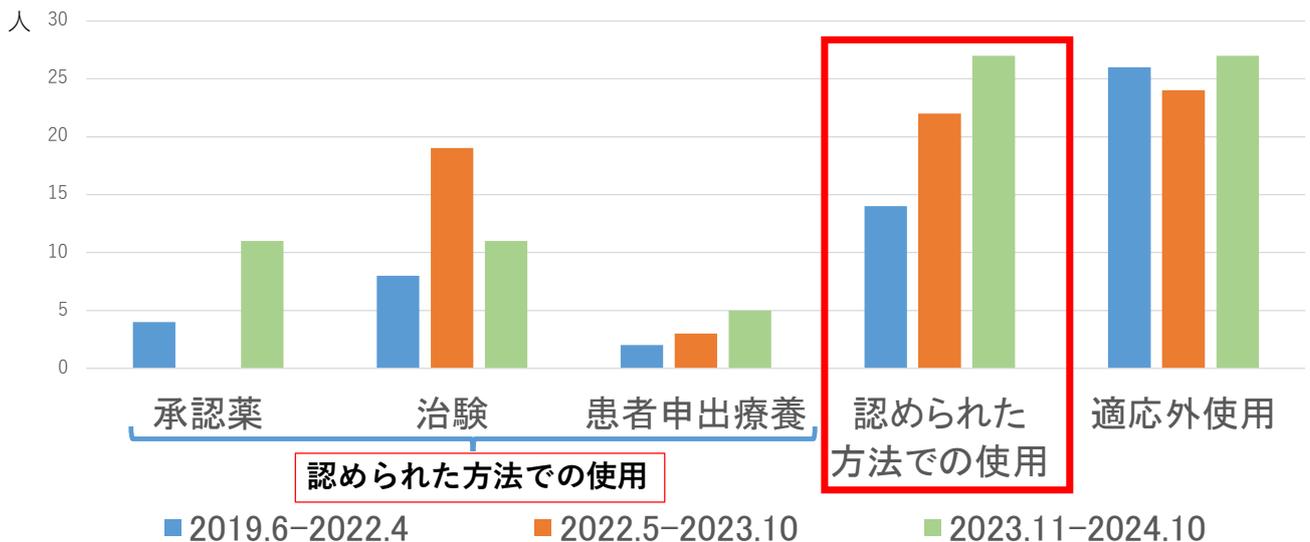
- ・ 恒常的な小児早期開発体制の整備による保険適用薬剤の増加がゴール
- ・ 企業治験への小児組み入れを促進し、医師主導治験を恒常的に実施
- ・ **小児に特化した患者申出療養に基づくプラットフォーム試験の立案**



「小児・AYAがんに対する遺伝子パネル検査結果等に基づく複数の分子標的治療に関する患者申出療養」(PARTNER試験/NCCH2220) 研究実施体制



標的薬アクセス状況の改善(期間別)



- ✓ C-CATからの集計によると小児がん患者のパネル検査後の薬剤アクセスは少しずつ改善してきている。
- ✓ 方法としては治験、承認薬が増加、患者申出療養も増加しつつある。適応外使用実数は横ばい、比率は低下。
- ✓ 承認薬、開発される医薬品(=実施される治験)、患者申出療養で使用可能な医薬品、いずれの数も増加している。