

ドラッグラグ、ドラッグロス対策 の進捗状況について

国立成育医療研究センターの取り組み



国立成育医療研究センター 小児がんセンター
富澤 大輔



国際医師主導治験への参画によるドラッグラグ・ロス解消への試み

ITCC-101/APAL2020D

(NCT05183035 / JRCT2031240283)

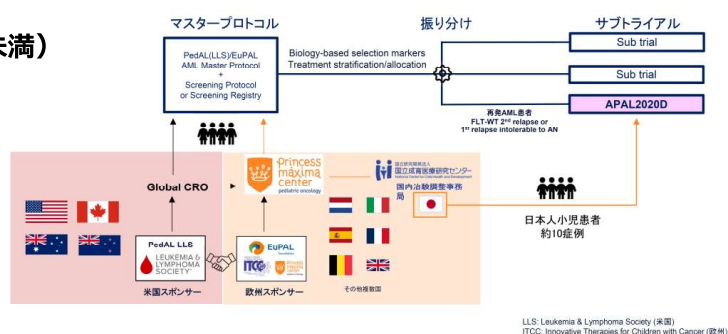
小児再発AMLを対象としたフルダラビン/シタラビン/ゲムツズマブ・オゾガマイシンにベネトクラス併用の有無を検証する第III相試験

急性骨髄性白血病（AML）

- ・ 小児で2番目に多い白血病
- ・ 再発例の予後は極めて不良（5年生存率40%未満）

ベネトクラス

- ・ 経口BCL2阻害薬
- ・ 成人の強力な寛解導入療法の適応とならないAMLの標準治療として確立
- ・ 小児を含めたAML全体の標準治療薬となることが期待されているが、小児の用法・用量は設定されておらず、小児用剤形もない



LLS: Leukemia & Lymphoma Society (米国)
ITCC: Innovative Therapies for Children with Cancer (欧州)

1. 小児がんの治験は国際的にもアカデミア（医師）主導が多数を占める
2. 国際共同医師主導治験への参画は、新規医薬品の同時開発（ドラッグラグの解消）および開発機会の逸失回避（ドラッグロスの解消）につながる。

国際医師主導治験への参画によるドラッグラグ・ロス解消への試み

ITCC-101/APAL2020D

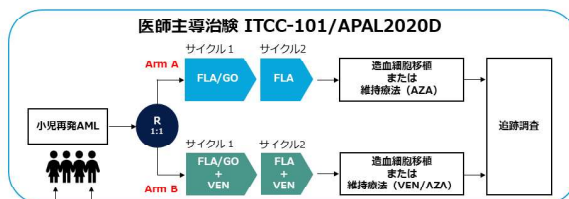
(NCT05183035 / jRCT2031240283)

小児再発AMLを対象としたフルダリン/シタラビン/ゲムツズマブ・オゾガマイシンにベネトクラス併用の有無を検証する第III相試験

急性骨髄性白血病（AML）の骨髄再発の患者さんが対象です。

- ① 登録時に年齢28を超えて22歳未満
- ② 以下に該当する FLT3/ITD 変異のない AML
 - ・ 第2再発で再度の強化化学療法を受けるのに十分適格である。
 - ・ 初回再発で治験責任（分担）医師によりアントラサイクリンを含む追加の化学療法に忍容性がないと判断されている。

ベネトクラスの小児用剤型を含めた開発を目指しています !!



登録開始になりました !!

該当する患者さんがいらっしゃったら、ご紹介ください
(~2026年4月30日)



FLA: フルダリン+シタラビン
GO: ゲムツズマブオゾガマイシン
VEN: ベネトクラス
AZA: アザシチジン

実施医療機関	施設責任医師	目標症例数10例 (全世界で98例)
1 国立成育医療研究センター 小児がんセンター 血液腫瘍科	富澤大輔（治験調整医師）	2例
2 埼玉県立小児医療センター 血液・腫瘍科	康 勝好	2例
3 日本赤十字社愛知医療センター名古屋第一病院 小児科	濱 麻人	2例
4 大阪市立総合医療センター 小児血液・腫瘍内科	藤崎弘之	2例
5 兵庫県立こども病院 血液・腫瘍内科	長谷川大一郎	2例



NEWS RELEASE

報道関係者各位

2024年11月28日
国立成育医療研究センター

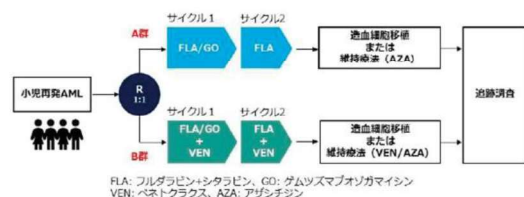
急性骨髄性白血病を再発した小児を対象に、国際共同治験を開始
~海外と同時に新しい治療法を開発することで、ドラッグラグの解消~

国立成育医療研究センター（所在地：東京都世田谷区大蔵、理事長：五十嵐隆）小児がんセンター血液腫瘍科の富澤大輔は、同臨床研究センターの研究支援のもと、欧米の小児急性骨髄性白血病（AML）研究グループと協働して、AMLを再発した小児患者を対象とした国際共同医師主導治験を開始します。

AMLは、再発した場合の生存率が40%に満たず、有効で安全な新しい治療法の開発が望まれています。

本治験は、治療の難しい再発 AML の小児患者に対する標準治療法を確立することを目的に、AMLを再発した小児患者約100名（日本人約10名を含む）を対象に行います。日本をはじめ、アメリカやオランダなど、約20カ国が参加する国際的な治験です。

具体的には、FLA/GO併用療法¹に、分子標的薬²のベネトクラスを併用することで、治療成績が改善するかどうかを、ランダム化比較試験³で検証します（図1）。日本からは、国立成育医療研究センターが日本の代表施設となり、兵庫県立こども病院・大阪市立総合医療センター・埼玉県立小児医療センター・日本赤十字社愛知医療センター名古屋第一病院が参加します。



【図1：再発 AML の国際医師主導治験（ITCC-101/APAL2020D 試験）の概要】

2024/11/28 NCCHD プレスリリース



記事URL：
<https://bio.nikkeibp.co.jp/atcl/column/16/100400036/121200024/>

このページに掲載されている記事、写真、図表などの無断転載を禁じます。
著作権は日経BP、または、その他執筆者に帰属します。
なお、掲載している情報は、記事執筆時点のものです。

記事に戻る

印刷する

連載

久保田文の“気になる現場”

アカデミア主導で小児を対象としたグローバル治験を実施する難しさ

国立成育医療研究センターが小児AMLの国際共同医師主導治験の開始にごきつめるまで

1pt 9分

2024.12.19 久保田文

国立成育医療研究センターは、2024年11月28日、欧米の非営利組織と協働し、小児の再発AML患者を対象とした国際共同医師主導治験（ITCC-101/APAL2020D試験）に日本からも患者登録を開始したと発表した。2024年6月末に、同治験（の日本での実施部分）について医薬品医療機器総合機構（PMDA）への治験届を提出し、このほど患者組み入れがスタートした。ただ、欧米の関係者から同治験への参加を打診されたのは約2年8カ月前——。日本で同治験を開始するまでには多くの苦労があったという。



2024/12/19 日経バイオテック掲載