

# 臨床研究の実施状況と研究結果活用の促進

国立研究開発法人 国立がん研究センター  
研究支援センター 生物統計部  
柴田大朗

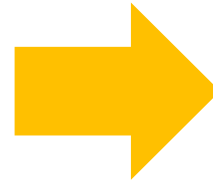
# Outline

- **臨床研究実施状況に係わる情報の活用促進**
- **研究結果に係わる情報の活用促進**

# 地域がん診療連携拠点病院の指定要件の変更

## 以前の規定

- 参加中の**治験**について、その対象である**がんの種類及び薬剤名等を広報**することが**望ましい**
- **臨床研究・治験**に対する普及啓発を進め、患者に対して**臨床研究・治験に関する適切な情報提供**に**努めること**



## 2022年8月1日 厚労省通知

- 参加中の**治験**について、その対象である**がんの種類及び薬剤名等を広報**すること
- 患者に対して**治験を含めた医薬品等の臨床研究、先進医療、患者申出療養等**に関する**適切な情報提供を行うとともに、必要に応じて適切な医療機関に紹介すること**

# 臨床試験登録DBに関する制度の変遷

- 2004年9月 医学雑誌編集者国際委員会 (ICMJE) の声明
  - ICMJEに参加する医学雑誌に臨床試験結果を投稿するのであれば、事前登録が必要
- 2008年 「臨床研究に関する倫理指針」改正
  - **全ての介入研究**の事前登録の義務化 (探索・検証、第I相～第III相などを問わない)
- 2013年 厚労省の治験届に関する通知：治験計画届を提出した際に、公開DBへの**疾患名、実施医療機関、実施状況等の登録が望ましい**
- 2018年 厚労省の治験届に関する通知：**治験の登録義務化**
  - 生物学的同等性試験と第I相試験は除く。実施医療機関の登録は義務ではない。
- 2020年 厚労省の治験届に関する通知：登録義務の対象・項目拡大
  - 生物学的同等性試験以外の**全ての治験が対象。実施医療機関も登録。**
- 2023年 Japic-CTI/JMACCTのjRCTへの統合・データ移行 (**治験登録先の一元化**)

# なぜ臨床試験登録DBがあるのか？

- 事前に登録しておくことで・・・
    - 都合の良い結果であった場合のみ公表されることを避ける（出版バイアスへの対処）
    - 避けることが出来る臨床試験の重複を防ぐ
    - 取り組むべき課題で取り組まれていないものを見いだす
    - 臨床試験に参加したいと考えている方々への情報提供
- 拠点病院の指定要件に関わる事項

# 医療機関ごとの情報提供をjRCTと繋ぐ利点

国立がん研究センター  
中央病院  
National Cancer Center Hospital

トップページ 治験・臨床試験とは 実施中の治験一覧 よくあるご質問 お問い合わせ

## 軟部肉腫・骨肉腫を対象にした治験

このページには国立がん研究センター中央病院が行っている治験等の情報を掲載しています。掲載している情報は定期的に更新を行っていますが、常に最新の内容が掲載されているわけではありませんことをご了解ください。

治験等に参加いただくためには試験ごとに定められたさまざまな条件を満たす必要があり、そのためには、当院での診療や検査が必要となります。治験等への参加を希望される方は、まずはあなたの主治医にご相談ください。そして、紹介状をご用意の上で、電話又はファクスにて初診予約をお取りいただき受診してください。

なお、電話などでは、現在の患者さんの病状、健康状態を正確に判断できませんので、治験に参加できるかどうかなどの内容には回答できません。どうぞご了承ください。

| 治験番号  | jRCT臨床試験実施計画番号 | 薬や機器の名前         | 治験段階 | 担当科              | 担当医師 | 詳細      |
|-------|----------------|-----------------|------|------------------|------|---------|
| T5243 | jRCT2071230107 | brigimadlin     | 拡大試験 | 骨軟部腫瘍・リハビリテーション科 | 川井章  | 詳細を見る → |
| T5099 |                | CICS-1, SPM-011 | 第II相 | 放射線診断・治療科        | 井原浩  | 詳細を見る → |
| T5094 |                | タゼメトスタット        | 第II相 | 腫瘍内科             | 下井辰徳 | 詳細を見る → |

注：開発早期の治験である第I相試験および第I/II相試験については依頼者における知的財産権に配慮をして、原則として「使用される新薬」および「登

<jRCT IDの掲載がない場合>

進行脱分化型脂肪肉腫 対象の  
brigimadlinの拡大試験

Q：この拡大治験は国がん中央  
病院以外でも実施しているか？

PMDAのサイトを見ると・・・

# PMDAのサイトでは・・・

## 一般名表記がない

**「脱分化型脂肪肉腫」**  
という情報があり、  
企業名が書いてあるので  
実施医療機関等の問い合わせ  
をすることは可能

しかし、主たる治験では  
66頁、1580行の書類  
から探すことになる

もし非小細胞肺癌だと、  
148件の情報があり、  
148件のメールを送り、  
問い合わせることになる

人道的見地から実施される治験(拡大治験)情報(2024年4月30日までに届出られた情報)

人道的見地から実施される治験(拡大治験)の届書のうち、最初に提出された治験計画届書の情報を掲載しています。  
機器・再生の治験届で届け出られた被験薬については治験依頼者が外国製造業者の場合、( )内に治験国内管理人名を記載しています。

| 変更箇所 | 治験成分記号                        | 対象疾患                                   | 治験届出者名                  | 実施予定期間       |
|------|-------------------------------|--|-------------------------|--------------|
| *    | BIIB067                       | スーパーオキシドジスムターゼ1遺伝子変異による筋萎縮性側索硬化症の被験者   | バイオジェン・ジャパン株式会社         | 2024/04/24 ~ |
|      | AAA617<br>AAA517JPN<br>EZR001 | 前立腺がん<br>前立腺がん<br>前立腺がん                | ノバルティスファーマ株式会社          | 2024/03/20 ~ |
|      | AMG 757                       | 小細胞肺癌                                  | アストラゼネカ株式会社             | 2024/03/01 ~ |
|      | BI 907828                     | 脱分化型脂肪肉腫                               | 日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社     | 2024/02/01 ~ |
|      | ONO-7702<br>ONO-7703          | 不能な甲状腺がん<br>BRAF 遺伝子変異を有する根治切除不能な甲状腺がん | 小野薬品工業株式会社              | 2023/09/01 ~ |
|      | ONO-4538                      | 上皮系皮膚悪性腫瘍                              | 慶應義塾大学病院 皮膚科<br>船越 建    | 2023/04/10 ~ |
|      | ONO-4538                      | 悪性中皮腫 (胸膜を除く)                          | 兵庫医科大学病院 呼吸器内科<br>木島 貴志 | 2023/03/08 ~ |
|      | UX858                         | 家族性高コレステロール血症ホモ接合体                     | 国立循環器病研究センター<br>榎野 久士   | 2023/03/01 ~ |
|      | DYD-301                       | ランバート・イートン筋無力症候群                       | ダイドーファーマ株式会社            | 2023/02/14 ~ |
|      | CNT-01                        | 特発性中性脂肪蓄積心筋血管症                         | トーアエイヨー株式会社             | 2023/02/01 ~ |
|      | GSK2857916                    | 再発・難治性多発性骨髄腫                           | グラクソ・スミスクライン株式会社        | 2022/03/01 ~ |
|      | AT2221                        | 糖原病II型                                 | シミック株式会社                | 2021/12/01 ~ |
|      | ATB200                        | 糖原病II型                                 | シミック株式会社                | 2021/12/01 ~ |
|      | BI 655130 iv                  | 急性期膿疱性乾癬 (汎発型)                         | 日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社     | 2021/12/01 ~ |
|      | ALN-AS1                       | 急性肝性ポルフィリン症 (AHP)                      | シミック株式会社                | 2020/11/27 ~ |
|      | Alpha-1 MP                    | α1-アンチトリプシン欠乏症                         | グリフォルス株式会社              | 2020/06/01 ~ |

# 医療機関ごとの情報提供をjRCTと繋ぐ利点

国立がん研究センター  
中央病院  
National Cancer Center Hospital

トップページ 治験・臨床試験とは 実施中の治験一覧 よくあるご質問 お問い合わせ

## 軟部肉腫・骨肉腫を対象にした治験

トップページ > 軟部肉腫・骨肉腫を対象にした治験

このページには国立がん研究センター中央病院が行っている治験等の情報を掲載しています。掲載している情報は定期的に更新を行っていますが、常に最新の内容が掲載されているわけではありませんことをご了解ください。

治験等に参加いただくためには試験ごとに定められたさまざまな条件を満たす必要があり、そのためには、当院での診療や検査が必要となります。治験等への参加を希望される方は、まずはあなたの主治医にご相談ください。そして、紹介状をご用意の上で、電話又はファクスにて初診予約をお取りいただき受診してください。

なお、電話などでは、現在の患者さんの病状、健康状態を正確に判断できませんので、治験に参加できるかどうかなどの内容には回答できません。どうぞご了承ください。

| 治験番号  | jRCT臨床試験実施計画番号 | 薬や機器の名前         | 治験段階 | 担当科              | 担当医師 | 詳細      |
|-------|----------------|-----------------|------|------------------|------|---------|
| T524  | jRCT2071230107 | rigimadlin      | 拡大試験 | 骨軟部腫瘍・リハビリテーション科 | 川井章  | 詳細を見る → |
| T5099 |                | CICS-1, SPM-011 | 第II相 | 放射線診断・治療科        | 井垣浩  | 詳細を見る → |
| T5094 |                | タゼメトスタット        | 第II相 | 腫瘍内科             | 下井辰徳 | 詳細を見る → |

注：開発早期の治験である第I相試験および第II相試験については依頼者における知的財産権に配慮をして、原則として「使用される新薬」および「登

## <jRCT IDを掲載している場合>

Q：この拡大治験は国がん中央病院以外でも実施しているか？

A： <https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2071230107>

11施設で実施していること、より詳しい適格・除外規準、企業の連絡先もすぐに見つかる



# がん情報サービス「がんの臨床試験を探す」

The screenshot shows the website interface for searching clinical trials. At the top, there's a search bar and navigation links. The main content area includes a search box, a list of search results, and a sidebar with additional resources. The sidebar contains links to 'Clinical Trials Q&A: Basic Knowledge', 'Clinical Trials Q&A: Participation', 'Pediatric Cancer Clinical Trials', 'Research Stage Medical (Clinical Trials, Trials, etc.) Basic Knowledge', and 'Detailed Information of Clinical Trials (Link Collection)'. There's also a 'Chat Search' button and a 'Search by Disease Name' button.

がん情報サービス  
ganjoho.jp

サイト内検索

医療関係者向け > がん統計 > がんの臨床試験を探す >

病名から探す | がんの治療と生活 | 制度やサービスを知る | がんの予防・検診 | 資料室

HOME > 診断と治療 > 臨床試験について > がんの臨床試験を探す

臨床試験について がんの臨床試験を探す

がんの新しい治療法<sup>※</sup>や診断法の評価のために国内で行われている臨床試験の検索サイトです。  
※ 薬物によるものだけでなく、手術や放射線治療によるものも含まれます。  
このサイトの臨床試験情報は医学・医療関係者向けの内容になっています。あらかじめご了承ください。

このサイトは、医療者とのコミュニケーションを補助するものとして作成しています。自分が参加できそうな臨床試験が見つかったら、その臨床試験のページを印刷し、参加できる臨床試験であるかを、今おかりの担当医にご相談ください。

チャットで検索を開始する

がんの種類や薬の名前などの調べたい言葉（キーワード）を入力して、チャット形式で検索することができます。

カテゴリで検索を開始する

がんの種類を選択して、都道府県などのカテゴリ名（分類名）を選択することにより検索することができます。

ご利用にあたり必ずご確認ください

- こちらの情報は、データを収集した時点のもので、その後開始された新しいものが含まれていなかったり、すでに募集を終了しているものが表示されていたりすることもあります。これまでの履歴とデータ収集日についてはページ上部の「履歴」をクリックしてご確認ください。

臨床試験について

- 臨床試験のQ&A:基礎知識
- 臨床試験のQ&A:参加に際して
- 小児がんの臨床試験
- 研究段階の医療(臨床試験、治験など) 基礎知識
- 臨床試験の詳しい情報(リンク集)

がんの臨床試験を探す

相談先・病院を探す

病名をキーワードで検索

病名をキーワードで検索

## 2006年10月より運用

- ・ 3DBのデータを集約
- ・ 乳がん、胃がん、などの情報を付与し15の領域に分けてリスト化
- ・ 都道府県情報等の付与、がん診療連携拠点病院情報との連携
- ・ 薬剤名シソーラスの導入

- ・ **チャット検索機能の追加**
- ・ **全4DBを網羅し現在2DB +厚労省 先進・患者申出療養 +PMDA 主たる治験・拡大治験の情報を集約**

# カテゴリで検索とチャットで検索

がん情報サービス ganjoho.jp がんの臨床試験を探す チャットで検索

がんの臨床試験をキーワードで探します。

まずは、がんの種類、くすりの名前、お住まいの都道府県などのキーワード（単語）を入力してください。

[千葉県]では分類名[国立がん研究センター東病院]、[千葉大学医学部附属病院]などがあります。

次のように分類される臨床試験があります。調べたい分類名のボタンを押してください。

施設の名前

- 国立がん研究センター東病院<対象件数：318件>
- 千葉大学医学部附属病院<対象件数：137件>
- 千葉県がんセンター<対象件数：88件>

[もっと見る>>](#)

現時点では、治験の情報には、実施する施設の情報が入っていないものが多くあります。ボタンを押してください。

施設の名前

- 国立がん研究センター東病院、施設情報がない臨床試験<対象件数：5,767件>
- 千葉大学医学部附属病院、施設情報がない臨床試験<対象件数：5,586件>

入力ボックス：キーワードを入れてください

[ひとつ前の入力に戻る](#) [最初からやり直す](#)

がん情報サービス ganjoho.jp がんの臨床試験を探す

試験名をクリックすると詳しい情報が表示されます。

以下の条件で検索しました。

千葉県 >> 多発性骨髄腫

検索結果 15件

[詳細表示](#) より詳細な一覧を表示します。

すべて表示 (15件)  開発後期 (6件)  開発中期 (3件)

このサイトで検索することのできる情報について?

| 試験名   |
|---|
| <a href="#">がん患者（化学療法）に対するホームエクササイズにおけるシミュレーションサポートアプリの有用性に関するパイロット研究</a>   |
| <a href="#">待機手術がん患者に対する周術期ホームエクササイズにおけるシミュレーションサポートアプリの有用性に関するパイロット研究</a>  |
| <a href="#">再発・難治性多発性骨髄腫患者を対象としてbelantamab mabとリドミド及びデキサメタゾンとの併用療法（B-Pd）の有効性を、ボマリドミドとボルテソミブ及びデキサメタゾンとの併用療法（B-Pd）と比較検討する多施設共同非盲検無作為化第III相試験（D）</a>     |
| <a href="#">同種造血細胞移植後B型肝炎ウイルス再活性化例の後方視的観察研究</a>   |
| <a href="#">多発性骨髄腫及び悪性リンパ腫患者を対象としたKRN125に由来する抗体医薬品に関する臨床試験</a>  |
| <a href="#">再発又は難治性の多発性骨髄腫（RRMM）患者を対象にiberdomin及びデキサメタゾン（IberDd）とダラツマブ、ボルテソミブ、及びデキサメタゾン（Dvd）を比較する第3相、第2ステージ、ランダム化、多施設共同、オープンラベル試験（EXCALIBUR-RRMM）</a> |

がん情報サービス ganjoho.jp 臨床試験を探す

国立がん研究センター中央病院

初回指定日：2012/04/01 指定更新日：2023/04/01

基本情報 | **がんの種類** | 特徴・窓口 (成人) | 希少がん | 相談支援センター (成人) | 現況報告書情報

病院の特徴や各窓口の情報を掲載しています。  
小児連携病院の一部では、情報が登録されていない場合があります。

更新日：2023/02/01 掲載日：1997/06/18

[+ すべて展開する](#) [- すべて折りたたむ](#)

- 専門外来の実施状況と問い合わせ窓口 +
- 臨床試験・治験の実施状況と問い合わせ窓口 +
- 緩和ケア +
- 情報交換や交流 +

10

# わかりやすい情報発信の試み：患者本位の「がん情報サイト」

- 公益財団法人 がん研究振興財団  
患者本位の「がん情報サイト」
  - <https://www.fpcr-joho.jp/>
  - **製薬企業のご協力により、治験毎に、治験の概要、治験薬の作用機序等の概要を分かりやすく説明した文章の提供を受け、第三者のレビュー後、集約して公開**
  - **企業毎・薬剤毎の情報発信ではなく、患者から見て企業横断的に情報を得ることが出来る枠組みを構築**



がん情報サイト がんの種類を選択 × +

← → ↻ https://www.fpcr-joho.jp/jRCT207123... 🔍 ☆ ⬇️ 👤 ⋮

患者本位の「がん情報サイト」 HOME | ご挨拶 | 各種検索 ▾ | ご寄付のお願い | 報告書 | お問い合わせ

更新日 2024年5月17日

|                                |   |
|--------------------------------|---|
| 治験依頼者                          | 日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社   |
| 疾患名 (jRCTに掲載)                  | 【軟部肉腫、骨肉腫】などの骨・筋肉のがん<br>軟部肉腫<br>脱分化型脂肪肉腫  |
| 管理ID (治験ID)                    | JRCT2071230107 <a href="#">jRCTで詳細を確認する</a>   |
| 治験名                            | Brightline-4 : 未治療又は既治療の進行脱分化型脂肪肉腫患者を対象としてbrigimadlin   |
| 治験の概要                          | 脱分化型脂肪肉腫と呼ばれる種類の癌の患者を対象にbrigimadlin の忍容性を検討する試験   |
| 治験の実施方法の概要と注意事項                | 進行又は転移性DDLPS 患者を対象として、治療下で発現した有害事象 (TEAE) の発現率を評価することによってbrigimadlinの安全性を評価し、TEAE の重症度、頻度、重篤度、因果関係及び転移の特性を明らかにすること  |
| 治験のフ                           |   |
| 問い合わせ先                         | 問い合わせ代表連絡先<br>medchiken.jp@boehringer-ingenheim.com   |
| 治験成分記号<br>(治験薬一般名)<br>(作用機序情報) | 治験成分記号 : BI 907828<br>治験薬一般名 (日本語) : -<br>治験薬一般名 (英語) : <u>Brigimadlin</u><br><hr/> 経口の低分子化合物であり、MDM2とがん抑制タンパク質であるp53の結合を妨げます。MDM2はp53を抑制的に制御しています。その結合を妨げることでp53のがん抑制タンパク質としての機能が回復し、がん細胞の増殖抑制と細胞死への誘導による抗癌増作用が期待されています。 |
| 治験の概要                          | 脱分化型脂肪肉腫と呼ばれる種類の癌の患者を対象にbrigimadlin の忍容性を検討する試験   |

## 薬剤の作用機序の説明等

## 治験の概要の説明等

|                 |   |
|-----------------|---|
| 治験の概要           | 脱分化型脂肪肉腫と呼ばれる種類の癌の患者を対象にbrigimadlin の忍容性を検討する試験   |
| 治験の実施方法の概要と注意事項 | 進行又は転移性DDLPS 患者を対象として、治療下で発現した有害事象 (TEAE) の発現率を評価することによってbrigimadlinの安全性を評価し、TEAE の重症度、頻度、重篤度、因果関係及び転移の特性を明らかにすること  |
| 病院名             | <ul style="list-style-type: none"> <li>北海道がんセンター <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>東北大学病院 <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>国立がん研究センター東病院 <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>がん研究会有明病院 <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>名古屋大学医学部附属病院 <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>愛知県がんセンター <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>地方独立行政法人大府立病院機構 大府国際がんセンター <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>岡山大学病院 <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>九州大学病院 <a href="#">詳細はこちら</a></li> <li>九州がんセンター <a href="#">詳細はこちら</a></li> </ul> |

QRコード 

ページを印刷 

がん診療連携拠点病院へのコード付与による  
がん情報サービスの拠点病院情報との連携

がん情報サイト がんの種類を選択

fpcr-joho.jp/fRCT2031220077

治験成分記号:-  
 治験薬一般名(日本語)  
 治験薬一般名(英語)

PD-1というたんぱく質を抑制することで、免疫システムを活性化します。

治験の概要

本治験の目的は、固形がん SK3745417をDostarlimabのように作用するか、効果を調べます。  
 治験に参加するための条件  
 ・参加に同意される時  
 ・進行/再発した固形がん  
 ・標準的な抗癌剤治療などがあります。  
 ただし他の条件も多数あります。

治験の実施方法の概要と注意事項

専門家による医学的判断  
 なお、本治験の治験薬を行う段階です。  
 また、実施する治験薬の詳細を含め、本治験で頂く必要があります。

病院名

国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 [詳細はこちら](#)  
 がん研究会有明病院 [詳細はこちら](#)

現在公開

※臨床試験IDをクリックすると詳細ページへ移動します。

| がん種 | 治験ID           |
|-----|----------------|
| 乳がん | JRCT2061200028 |

患者本位の「がん情報サイト」

fpcr-joho.jp/hospital/view/N50001

国立がん研究センター中央病院: 病

hospdb.ganjoho.jp/kyoten/detail/features/N50001?\_gl=1\*uczyio\*\_ga\*NTY1NTEwMTE3EjE2ODY1Mzc4MTU.\*\_ga\_8PZ...

がん情報サービス ganjoho.jp

相談先・病院を探す

サイト内検索

一般の方向け

がん統計

医療関係者向け

病名・対応状況で絞り込む

がん診療連携拠点病院などを探す

小児がん拠点病院などを探す

希少がん情報公開専門病院を探す

TOP > 国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院

国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院

国立がん研究センター

がんゲノム医療中核拠点病院

リンパ浮腫外来がある病院

初回指定日: 2012/04/01 指定更新日: 2023/04/01

基本情報

がんの種類

特徴・窓口(成人)

希少がん

相談支援センター(成人)

現況報告書情報

病院の特徴や各窓口の情報を掲載しています。  
 小児連携病院の一部では、情報が登録されていない場合があります。

更新日: 2023/02/01 掲載日: 1997/06/18

+ すべて展開する

- すべて折りたたむ

専門外来の実施状況と問い合わせ窓口 +

臨床試験・治験の実施状況と問い合わせ窓口 +

緩和ケア +

情報交換や交流 +

## がん診療連携拠点病院へのコード付与による がん情報サービスの拠点病院情報との連携

# 臨床試験登録ID (jRCT ID) で管理することのメリット

がん情報サービス  
ganjoho.jp

## 臨床試験情報

臨床試験ID : [jRCT2071220035](#)  
情報提供元 : JRCT (Japan Registry of Clinical Trials ; 臨床研究実施計画・研究概要公開システム)  
試験名 : 再発又は難治性の高リスク骨髄異形成症候群及び高リスク慢性骨髄単球性白血病に対するOP-2100の第I相臨床試験  
試験の概要 : 主目的 再発又は難治性の高リスクMDS及び高リスクCMMLに対してOP-2100を経口投与した時のMTDを検討する。次目的 再発又は難治性の高リスクMDS及び高リスクCMMLに対してOP-2100を経口投与した時の安全性、薬物動態及び有効性を評価する。

基本情報 患者さん一人一人の状況に応じた判断が必要ですので、詳しくは診療を担当している医師にご相談ください

|                 |   |
|-----------------|---|
| 対象疾患名           | 再発又は難治性若しくは標準治療に不耐容のMDS又はCMML患者   |
| 試験の目的 (主目的・副目的) |   |
| この試験の説明         |  <a href="#">がん研究振興財団が提供する患者本位の「がん情報サイト」ではこの治験の解説を閲覧する事が出来ます</a> |

実施施設 & 進捗状況

|             |   |
|-------------|---|
| 試験実施施設      | 大原薬品工業株式会社、佐賀大学医学部附属病院、岐阜市民病院、広島大学病院、公立大学法人福島県立医科大学附属病院、NIT東日本関東病院、京都府立医科大学附属病院 |
| 試験のフェーズ     | 第I相   |
| 試験進捗状況      | 募集中   |
| 公開日・最終情報更新日 | 2022/8/10   |

<https://ct.ganjoho.jp/category/ttrial/jRCT2071220035>

jRCT IDの利用による  
分業の容易化と  
情報の相互連携の実現

国立がん研究センター  
がん情報サービス「がんの臨床試験を探す」

選択する。(1)同意説明文書を用いて文書による同意が得られ  
ベネフィットをもたらすことが知られている治療を含め、標準治  
療と比較して効果が期待できる治療法を優先的に提供することを

# 最近の動向

- 第5回 創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間取りまとめ (案)

<https://www.cas.go.jp/jp/seisaku/souyakuryoku/dai5/gijisidai.html>

**薬事の世界でもjRCTの  
情報との連携を取る流れへ**

- 治験・臨床試験情報の公開と国民の理解促進
  - 国民向けに治験・臨床試験に関する知識及び治験・臨床試験情報の調べ方等の啓発を図る。
  - **また、PMDAのWebサイトで公開されている主たる治験・拡大治験情報にjRCT番号の付記を求める。**
  - また、併せて安全で安心な創薬の推進という臨床試験の意義についても、国民に理解を求める努力が必要である。

# Outline

- 臨床研究実施状況に係わる情報の活用促進
- **研究結果に係わる情報の活用促進**



# 薬機法改正へ向けての議論

- 令和6年度第3回厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会における厚労省 医薬品審査管理課 側の論点提示 [https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage\\_40580.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_40580.html)
  - 「**米国のsingle patient INDを参考に、拡大治験を包括的に見直すなど、より簡略な仕組みを構築できないか**」 → **アクセス改善**
  - 「**必ずしも臨床試験の試験成績によらず、RWDのみの臨床成績による承認申請も可能であることを法律上明確化してはどうか**」 → **結果の活用の拡大**

※RWDはRCTの代わりにならないが、従前より希少疾病では実施可能性の観点からRCTなしに単群の試験や、治験以外の参考資料の情報に基づき薬事承認の判断が行われているケースも少なくない\*

※医師主導治験以外の臨床研究や診療データも薬事上の活用の可能性あり

\*荒戸、他「日本で承認された患者数の特に少ない希少疾病用医薬品の臨床データパッケージ等に関する研究」

[https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/2014/144041/201427047A\\_upload/201427047A0004.pdf](https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/2014/144041/201427047A_upload/201427047A0004.pdf)

# 多様な研究成果の活用事例①

## BELIEVE試験/NCCH1901（受け皿試験） メキニスト審査報告書

表 10 有効性及び安全性に関する臨床試験の一覧

| 資料区分 | 実施地域 | 試験名                    | 相        | 対象                                      | 登録例数                             | 用法・用量の概略*  | 主な評価項目                                  |
|------|------|------------------------|----------|---|----------------------------------|--|---|
| 評価   | 国際共同 | ROAR                   | II       | BRAF V600E 変異を有する進行悪性腫瘍患者等（18歳以上）       | 206                              | DAB 150 mg を BID 及び TRA 2 mg を QD で経口投与  | 有効性<br>安全性                              |
|      | 海外   | A2102                  | I / II   | BRAF V600 変異を有する進行固形腫瘍患者（1歳以上18歳未満）     | 85                               | DAB 1.5、1.875、2.25 又は 2.625 mg/kg を BID で経口投与  | 安全性<br>忍容性<br>PK                        |
|      |      | X2101                  | I / II   | BRAF V600 変異を有する進行悪性腫瘍患者等（生後1カ月以上18歳未満） | 139                              | パート A : TRA 0.0125、0.025、0.032 又は 0.04 mg/kg を QD で経口投与<br>パート B : TRA 0.025 又は 0.032 mg/kg を QD で経口投与<br>パート C : DAB 1.125、1.315、2.25 又は 2.625 mg/kg を BID 及び TRA 0.025 又は 0.032 mg/kg を QD で経口投与<br>パート D : DAB 2.25 又は 2.625 mg/kg を BID 及び TRA 0.025 又は 0.032 mg/kg を QD で経口投与 | 有効性<br>安全性<br>忍容性<br>PK                 |
|      | 参考   | 国内                     | NCCH1901 | —*2                                     | BRAF 遺伝子変異を有する進行固形腫瘍患者等（年齢は問わない） | 57   | DAB 150 mg を BID 及び TRA 2 mg を QD で経口投与 |
| 海外   |      | NCL-MATCH<br>(サブパート H) | II       | BRAF V600 変異を有する進行悪性腫瘍患者等（18歳以上）        | 35                               | QD で経口投与   | 安全性                                     |
|      |      | G2101                  | I        | 健康成人                                    | 26                               | DAB の分散錠又はカプセル剤 100 mg をクロスオーバーで単回投与   | PK                                      |
|      |      | 115892                 | I        | 進行固形癌患者（18歳以上）                          | 16                               | TRA の錠剤又は経口液剤 2 mg をクロスオーバーで単回経口投与   | PK                                      |

\*1：用いられた製剤については、表 5 参照、\*2：患者申出療養として実施

1. 基準に該当するまで投与を継続することとされた。

2. 試験の DAB/TRA コホートに登録された 57 例（有効性評価集を有する割合 30 例、安全性評価集を有しない患者 7 例）を除き DAB/TRA 投与を受け有効性及び安全性の有効性試験とした。

3. 本試験における主要評価項目とされた、治療開始後 16 週までの、測定可能腫瘍を有する患者における RECIST v1.1 に基づく経口薬による有効性率 15 と比較であった。サブパート A の「9 月 1 日（月）」。

表 15 BRAF 遺伝子変異及び効果率  
(治療可能腫瘍を有する患者集団、標準治療、2 期、サブパート H)

| 安全性評価          | 割合 (%)  |
|----------------|---------|
| 死亡             | 20 (35) |
| CR             | 0       |
| OR             | 14 (24) |
| SD             | 28 (49) |
| PD             | 6 (10)  |
| NE             | 2 (4)   |
| 効果率 (CR+OR)    | 14      |
| 効果率 (CR+OR+SD) | 42 (73) |

注：効果率は 95% CI (38.6, 78.8) と認められた。

9. 審査報告 (作) 作成時における統合評価  
提出された資料から、標準治療と比較して有効性及び安全性を有する患者は全例に認められた。

本試験のパート D においては、BRAF V600 変異を有する 160 例患者及び ICI 患者に対する DAB/TRA 投与の有効性を評価することとされ、国際共同協定として RANO 基準を用いた Histology Society Evaluation and Treatment Guidelines (2019 年版) (H) に基づく主要評価項目とされた。

有効性について、本試験のパート D の主要評価項目とされた、RANO 基準及び Histology Society Evaluation and Treatment Guidelines (2019 年版) に基づく測定可能腫瘍による有効性率 14 と比較であった (2020 年 12 月 29 日データカットオフ)。

表 16 BRAF 遺伝子変異及び効果率  
(パート D、標準治療、2020 年 12 月 29 日データカットオフ)

| 安全性評価          | 割合 (%)  |
|----------------|---------|
| 死亡             | 16 (29) |
| CR             | 2 (3)   |
| OR             | 2 (3)   |
| SD             | 8 (14)  |
| PD             | 6 (11)  |
| NE             | 1 (2)   |
| 効果率 (CR+OR)    | 4 (7)   |
| 効果率 (CR+OR+SD) | 10 (18) |

注：効果率は 95% CI (2.9, 29.1) と認められた。

9.2 参考資料  
9.2.1 臨床実用試験  
本薬を成人及び小児悪性腫瘍患者を対象とした以下の臨床試験 2 試験が報告されている。11 及び 6.1.1.2 参照。当該試験において治療期間中の死亡は認められなかった。

9.2.1.1 海外第 1 相試験 (CTD 5.3.3.2.1-4)：G2101 試験 (<20 年 9 月〜20 年 11 月>)  
9.2.1.2 海外第 1 相試験 (CTD 5.3.3.2.2)：115892 試験 (<20 年 9 月〜20 年 11 月>)

9.2.2 国内試験  
9.2.2.1 国内試験 (CTD 5.3.5.4)：NCCH1901 試験 (<2019 年 9 月〜実施中 [データカットオフ：20 年 1 月 1 日]>)  
本試験の主要評価項目とされた、BRAF 遺伝子変異を有する進行固形腫瘍患者等（年齢は問わない）（18歳以上）を対象とした試験である。57 例患者（有効性評価集を有する割合 30 例、安全性評価集を有しない患者 7 例）を対象に、DAB/TRA 投与の有効性及び安全性を評価することとされた。本試験は、BRAF 遺伝子変異を有する患者を対象とした DAB/TRA コホートの有効性試験であった。

用法・用量は、DAB 150 mg を BID 及び TRA 2 mg を QD で経口投与することとされた。標準治療又は治療可能な患者に投与するまで投与を継続することとされた。

9.2.3 海外試験  
9.2.3.1 海外第 II 相試験 (CTD 5.3.5.2-4)：NCL-MATCH 試験 (サブパート H <2016 年 1 月〜実施中 [データカットオフ：20 年 1 月 1 日]>)  
化学療法のある、かつ標準的な治療が有効でない BRAF V600 変異悪性腫瘍患者等（18歳以上）（18歳未満：35 例）を対象に、DAB/TRA 投与の有効性及び安全性を評価することとされた。有効性及び安全性は、標準治療と比較して有効性試験の結果は、有効性及び安全性を有する患者は全例に認められた。

9.2.3.2 海外第 I 相試験 (115892 試験)  
有効性及び安全性を評価することとされた。

9.2.3.3 国内試験 (NCCH1901 試験)  
有効性及び安全性を評価することとされた。

9.2.3.4 海外第 II 相試験 (NCL-MATCH 試験、サブパート H)  
有効性及び安全性を評価することとされた。

9. 機序による承認申請書に添付すべき資料に係る適合性調査結果及び機序の判断  
9.1 適合性調査結果に対する機序の判断  
9.2 GCP 実施調査結果に対する機序の判断  
9.3 審査報告 (作) 作成時における統合評価

薬事承認申請資料内で参考資料として活用：  
PMDAの審査報告書上、相当な分量で有効性・安全性について言及

※小児対象の九州大学病院、北海道大学病院の患者申出療養も  
がん種と最良総合効果、jRCT IDの情報が記載されている

# 多様な研究成果の活用事例②

## RAFAELO試験/NCCH1409

### Cool-tip RFA 審査報告書

(1) 新規に治験を行わず、RAFAELO STUDY をもって本品の承認申請における検証的試験とすることの妥当性について

本試験は、2013年8月1日から先進医療B臨床研究として試験が開始され、2017年11月29日に予定登録症例数である372例の登録が完了しており、現在、追跡調査中である。

申請者は、ニーズ検討会での要望を踏まえた早期薬事承認申請のために、5年間とされていた観察期間の満了を待たず、中間解析、主たる解析及び最終解析とは独立に、当初予定されていた解析計画に表14の内容を追加して、2022年2月2日までに得られた結果をもって本申請を行った。

表14: RAFAELO STUDY に追加された解析計画の要点

|                                 |   |
|---------------------------------|---|
| 主要評価項目: 5年<br>温存乳房内無再発生<br>生存割合 | FASを対象に、以下の解析を行った。<br>・薬事申請用統計解析計画書に基づき、検定を行わない。<br>・Kaplan-Meier法を用いて、5年温存乳房内無再発生存期間曲線を描く。<br>-1年ごとのリスク集合 (at risk) の人数を求める。<br>-1年ごとの各期間内の打ち切り数を求める。<br>・Kaplan-Meier法を用いて、年次温存乳房内無再発生存割合を求める。その95% |
|---------------------------------|---|

### 特定臨床研究の結果を臨床試験の代替として活用した承認品目

| 品目名<br>(製造販売業者)                             | 品目の概要   | 使用目的<br>(適応追加部分を抜粋)   |
|---|---|---|
| Cool-tip RFAシステム Eシリーズ<br>(コヴィディエンジャパン株式会社) | 腫瘍組織等の凝固及び焼灼に使用するためのラジオ波焼灼システム。<br><br>アクティブ電極、アクティブ電極に電源を供給するジェネレータ本体等から構成される。 | 本システムは、以下のような経皮、腹腔鏡下及び開腹術、胸腔鏡下及び開胸術での組織凝固及び焼灼に使用する。<br>一 乳腺腫瘍(腫瘍径1.5cm以下の単発、触診及び画像診断による腋窩リンパ節転移及び遠隔転移を認めない限局性早期乳癌)に対する治療を目的とした凝固及び焼灼<br><br><b>早期乳癌の適応追加(下線部): 承認年月日 2023/7/7</b> |

乳癌に対するRFA療法は、自由診療下での不適切な使用例が散見されたため、臨床試験の目的以外に使用しないよう求める注意喚起を2010年に日本乳癌学会が発表

適切な治療対象での有効性・安全性を検証するRAFAELO STUDYが先進医療Bとして実施(特定臨床研究に該当)

RAFAELO STUDYの実施状況を踏まえた日本乳癌学会からの要望に基づき、2021年にニーズ医療機器に指定。



### 特定臨床研究(RAFAELO STUDY)のデータを活用

- RAFAELO STUDYの試験デザイン、プロトコルを確認した結果、標準治療である乳房温存療法のヒストリカルデータとの比較・評価は可能と判断。
- 承認申請のためのさらなる治験を実施した場合にも新規の見解が得られる可能性は低く、当該特定臨床研究のデータをもって承認審査を行うことが適切と判断。
- GCP実地調査等により、データの信頼性については担保されていることを確認。

従来、非治験の先進医療や患者申出療養は  
 出口戦略がないと批判されていたが、  
 上手く活用される事例も出てきた

<https://www.pmda.go.jp/files/000265090.pdf#page=24>

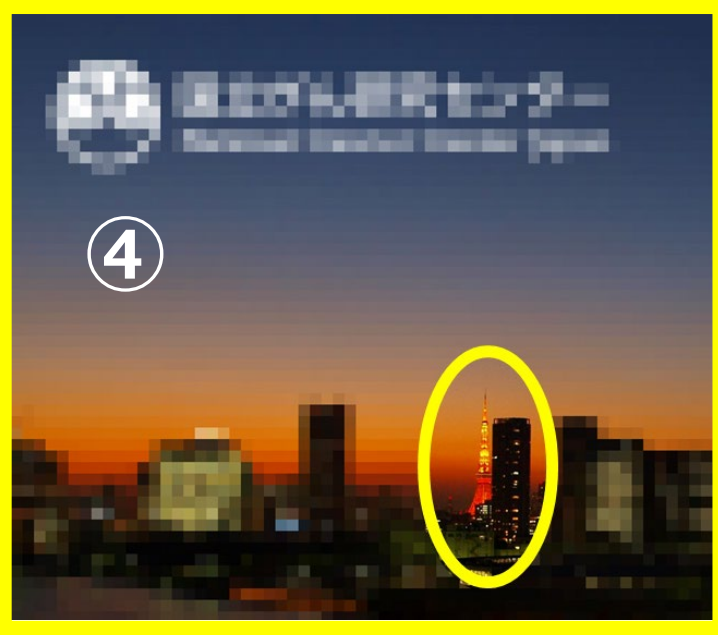
# 米国での薬事承認審査への非介入研究データの活用事例

- パルボシクリブ：  
男性乳癌への承認  
(2019)
- RWD(DB)による有効性の主張
- Flatiron Health社のEHRのデータベース
- IQVIA社のInsurance claimデータベース
- Pfizer社の市販後安全性データベース
- 「対照群」としての利用ではない
- ボソリチド：  
軟骨無形成症への承認  
(2021)
- 治験とRWD(自然歴研究)の組み合わせによるエビデンスの補強
- FDAは観察期間2年のプラセボ対照RCTを要求
- 企業は1年間の治験(RCT)とRWDの自然歴情報を組み合わせ申請
  - 臨床試験を補うため4つの自然歴研究を活用
- アルペリシブ：  
PIK3CA 関連過成長症候群への承認(2022)
- RWD(compassionate use例の診療録)を基にした有効性の主張
- 診療録から後ろ向きに収集したデータ
- 「対照群」としての利用ではない

米国では、希少疾病領域で観察研究データが主な根拠となる薬事承認申請事例が出てきている  
診療データ等のRWDの利活用拡大の可能性あり



③より情報量は減るが、  
①で得られない  
医薬品の有効性  
や安全性を評価  
するための情報、  
適切に使うため  
に必要な情報を  
補完できる場合  
もある



治験を模倣する  
方法での  
RWDデータ

治験データ  
+  
治験の模倣に  
よらない  
方法での  
RWDデータ

# まとめ

- **臨床研究実施状況に係わる情報の活用促進**
  - 各関係者の負担を増やさず情報提供を促進する工夫が必要
  - jRCTの活用や、jRCT IDの利用による分業と連携がひとつの解
- **研究結果に係わる情報の活用促進**
  - 厳格な治験・臨床試験/RCTは今後も重要だが、日常診療のデータの蓄積（DX化の成果）も含め、多様なソース・デザイン・データパッケージのエビデンスに基づく意思決定の流れあり