

**厚生労働科学研究費補助金**  
**(医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス総合研究事業)**  
**分担研究報告書**

**「小児固形腫瘍の臨床評価に関する研究」**

研究分担者 小川 淳 新潟県立がんセンター新潟病院 小児科部長

**研究要旨**

小児がんに対する抗悪性腫瘍薬の臨床評価法を確立し、希少疾患である小児がんへの新規薬剤の導入を促進する目的で、「抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン」、および「小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンス」を基礎資料とし、「『小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン(仮称)』に盛り込むべき内容の内主に固形腫瘍に関する資料を作成し、班会議内で議論を行った。

**A. 研究目的**

成人領域の悪性腫瘍とは異なる背景と性質をもつ小児がんに対する抗悪性腫瘍薬の臨床評価法を確立し、希少疾患である小児がんへの新規薬剤の導入を促進し、小児がんの治療成績改善を通して国民福祉に寄与する。

**B. 研究方法**

1. 「抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン(平成17年11月1日薬食審査発第1101001号)」、および「小児集団における医薬品の臨床試験に関するガイダンス(平成12年12月15日医薬審第1334号)」を基礎資料とし、更にユーイング肉腫、骨肉腫、網膜芽細胞腫、中枢神経外胚細胞性腫瘍の国内における推定年間症例数および再発・難治例の国内における推定年間発症

例数を調査し小児悪性腫瘍に対する抗悪性腫瘍薬の臨床評価に際して留意すべき事項を抽出する。

2. 上記1.で作成した資料を基に、小児固形腫瘍の開発について素案を作成し班会議で検討を加え、最終目標として「小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン(仮称)」を作成するための準備を行う。

(倫理面への配慮)

本研究は、主に公開文書の記載に基づいた調査研究であり、倫理面の問題は極めて少ない。ただし、例外的に非公開情報を取扱う場合には、守秘義務及び個人情報保護を厳守する。

**C. 研究結果**

1. 「『小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨

床評価方法に関するガイドライン（仮称）」に盛り込むべき内容を検討するにあたって、ユーイング肉腫、骨肉腫、網膜芽細胞腫、中枢神経外胚細胞性腫瘍の国内における推定年間症例数は小児血液がん学会全数把握登録事業集計より算定した。また再発・難治例の国内における推定年間発症例数は国内にデータが無いため米国 SEER における各疾患の 5 年生存率から難治例の割合を算定しそれを基準に国内における症例数を推定した。

2. 上記 1. およびその他資料を基に班会議で議論を行った結果、小児固形腫瘍においては早期開発段階における癌腫の包括的な取扱いによる早期の臨床導入の必要性が明らかになった。同時に、行政側との意見交換も行われた。

#### D. 考察

小児がんは、成人領域の悪性腫瘍とは生物学的特性として異なるのみならず、発生症例数が極めて少なく、疾患や治療に関する情報を集積しにくいという背景を持つ。このため、抗悪性腫瘍薬の開発を考える場合に、小児用開発であること、希少疾患用開発であること、さらには薬剤上市後の企業戦略まで加味すると、極めて難しい応用問題であることは間違いない。

本研究の最終目標は、「小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン（仮称）」を作成することであり、本年度はその原案を作成した。優れたガイドラインの作成によって、小児悪性腫瘍に対する抗悪性腫瘍薬の臨床試験のあり方の指針を示すのみならず、薬事承認ラインの明確化により開発戦略が立てやすくなり、企業の薬剤開発インセンティブに

もつなぐと考えられる。

#### E. 結論

小児がんに対する抗悪性腫瘍薬の臨床評価法を確立し、希少疾患である小児がんへの新規薬剤の導入を促進する目的で、「『小児悪性腫瘍における抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン（仮称）』に盛り込むべき内容の策定のため小児固形腫瘍の国内における推定年間症例数および再発・難治例の国内における推定年間発症例数を推定した。その結果その他の資料をもとに原案を作成したして班会議内で議論を行った。

#### F. 健康危険情報

なし

#### G. 研究発表

（雑誌論文）

1. Kato, M., Ogawa, A., et al., Second allogeneic hematopoietic SCT for relapsed ALL in children. Bone marrow transplantation, 2012. 47(10): p. 1307-11.

#### H. 知的財産権の出願・登録状況

なし