

平成26年度 厚生労働科学研究委託費（革新的がん医療実用化研究事業）

ノン・ハイリスク群小児悪性固形腫瘍の安全性と治療後QOLの向上への
新たな標準治療法開発のための多施設共同臨床研究

委託業務成果報告

神経芽腫全国スタディグループJNBSG事務局
(神経芽腫低・中間リスク群に対するIDRFに基づく手術時期決定の臨床試験)

担当責任者 福島 敬 筑波大学医学医療系准教授（小児科学）

研究要旨

難治希少疾患である神経芽腫を対象として有効性・安全性を検証するための臨床試験には、10年前後の研究期間が必要である。これを実現するための自主組織として日本神経芽腫スタディグループ Japan Neuroblastoma Study Group (JNBSG)が2006年に発足した。造血器腫瘍のグループ研究との大きな相違点は、多診療科の医師（小児科医、外科医、病理診断医、放射線腫瘍医、更に放射線診断医）による協力が必須である点である。本分担研究では、JNBSGのミッションを円滑に実施するための trial を実践的に実施した。運営委員会が中心となって、規約の整備、各種委員会活動および臨床試験の計画・実施を支援するための組織運営を行った。また、多施設臨床試験の画像診断をハイレベルに標準化するために画像診断委員会が新たに発足した。JNBSGの基盤、支援システムを利用することで、本研究班の成果が効率よく集積し普及することが期待される。

A．研究目的

わが国では、「難病の患者に対する医療等に関する法律」と「児童福祉法の一部を改正する法律」が、揃って平成26年5月30日公布、平成27年1月1日施行に至り、小児がんは小児慢性特定疾病として、新たな制度においても対象となった。自己負担額の上限が以前の3割から2割に軽減されるなどの変更がある一方で、一部には負担増に

なる場合も想定されている。同時に、小児がん拠点病院の整備事業も開始され、小児がん診療病院間の都道府県を越えた役割分担の検討も1つのテーマである。全国いずれの地域であっても、小児がんをはじめとする希少小児難病に対して高度専門診療を提供し、同時に臨床研究を実施することが社会的要請である。日本神経芽腫スタディグループJNBSGを通じて、小児が

んに対して集学的治療を提供可能な全国の専門施設の協力を得ながら、ハイレベルの共同研究を実施するための基盤を維持・発展させることを目的とする。

B．研究方法

JNBSG規約・細則（資料1）を整備し、必要に応じて改訂している。これに基づいて運営委員会（資料2）と各種委員会（資料3）が活動全体を組織的に統括し、支援した。

（倫理面への配慮）

外部諮問委員会を組織し、第三者の立場でJNBSGの活動を評価する体制を構築している。

同時に、外部委員を含む倫理審査委員会を作り、提案される観察研究、余剰検体を利用する研究、臨床試験の附随研究等について審査する体制を完備している。介入を伴う臨床試験は、日本小児血液・がん学会の研究審査委員会による審査を受けることになっている。更に、各臨床研究に参加する医療機関は、各施設において研究審査委員会または倫理審査委員会の承認を得ることを必須条件としている。

C．研究結果

臨床試験を担当するJNBSG施設、中央診断・データセンター業務等において臨床試験の計画・実施を支援するJNBSG協力施設および個人会員（資料4）とによって効率よく臨床試験を遂行することができた。

平成26年度中には、新たに画像診断委員会が発足し、多施設共同臨床試験における画像診断のハイレベルな標準化を目指して活動を開始した。

D．考察

わが国の小児慢性特定疾病制度によって、国内のいずれの地域においても、この手続きをとることによって、患者家族は経済的負担の軽減を受けながら該当疾患の診療を受けることができる。医療機関側は、この要請と期待に応じるべく、小児がんの診療を専門とする小児科医、小児外科医が在籍する医療機関において、放射線治療医や病理診断医の協力を得ながら、先進的医療を提供する体制を構築してきた。

一方で、この度、小児がん拠点病院指定事業によって、小児がんの診療を担当する施設間の役割分担の検討をテーマの一つに挙げることができる。わが国において、将来に渡って継続・発展可能な臨床実践・臨床研究体制を構築するには、専門医療機関相互の情報共有が必須である。ある症例の集学的治療に、特殊な医療技術を組み込むためには、治療期間中に転院が必要である。高い治療密度を維持しながらこれを達成するには、お互いの医療機関同士、お互いの診療チーム同士の共同作業が必須である。この全国的実現にはさらに工夫が必要である。

補助金または委託事業の多くは、3年毎に区切られる。一方で、成長の要素を有する小児を対象として、希少疾

患の治療成績向上を目的とした臨床試験は、10年以上の研究期間が必要である。追跡中は、具体的な研究実績が生じない期間があり、このため、競争的研究経費の獲得が非常に困難であった。これを受けて、JNBSG施設から納入される年会費および自主研究資金を提供し合うことによって最小限の研究継続のための経費を捻出できるようになった。即ち、政権交代、国家財政の余裕の有無、大災害による研究費緊縮化等の影響によって、長期間の研究/事業継続が保証されない競争的資金を補完するという点で大きな功績を期待できる、。小児領域に留まらず、成人領域の種々希少疾患を対象とした臨床研究のモデルともなり得ることを想定すると、国民への貢献度は非常に大きいと判断されるものである。

1. 特許取得（該当事項なし）
2. 実用新案登録（該当事項なし）
3. その

E . 結論

神経芽腫のより効果的な治療を開発するために必要な自主組織としてJNBSGを運営し、希少疾患でもある小児がん臨床研究が効率よく実施され、将来に向けた継続・発展の支援が可能になった。

F . 健康危険情報（該当せず）

G . 研究発表

1. 論文発表 なし
2. 学会発表 なし

H . 知的財産権の出願・登録状況

