

# 小児がんのための医薬品開発の 課題と取り組み

国立がん研究センター中央病院 小児腫瘍科

小川千登世



国立研究開発法人

国立がん研究センター

National Cancer Center Japan



# 小児がんのための医薬品開発の課題と取り組み

1. 小児がん領域での医薬品開発の課題
2. 開発促進への取り組み
3. ドラッグロスの危機をチャンスへ転換する

# 小児がんのための医薬品開発の課題と取り組み

1. 小児がん領域での医薬品開発のこれまでの課題
2. 開発促進への取り組み
3. ドラッグロスの危機をチャンスへ転換する

# 小児がん

- ・小児：厚労統計では15歳未満(0 - 14歳)
- ・小児慢性特定疾病助成の対象年齢：  
新規申請は18歳未満(0 - 17歳)  
継続は19歳まで

## ◆ 日本での罹患数：

**15歳未満では2000~2500人/年**

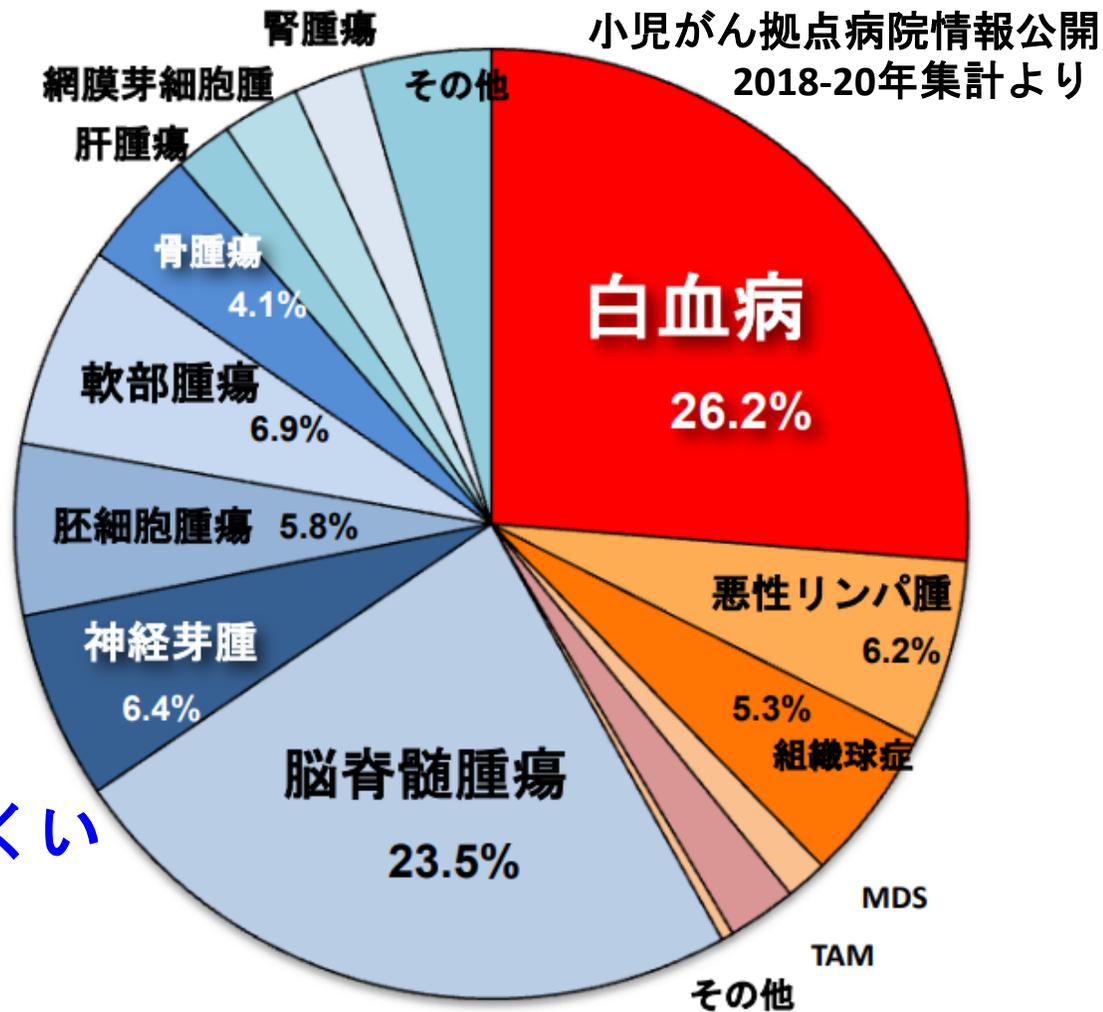
**19歳までで約3000人/年**

(成人のがんは約100万人)

## ◆ 種類は多い

## ◆ 成人にはないがんも多い

**小児がんの患者数は少なく、開発が行われにくい**



# 2019年がん遺伝子パネル検査が実施可能となった しかし、小児が使用できる薬はほとんどない！

がん遺伝子  
パネル検査

レポート

Patient ID: xxx

Genetic aberrations:

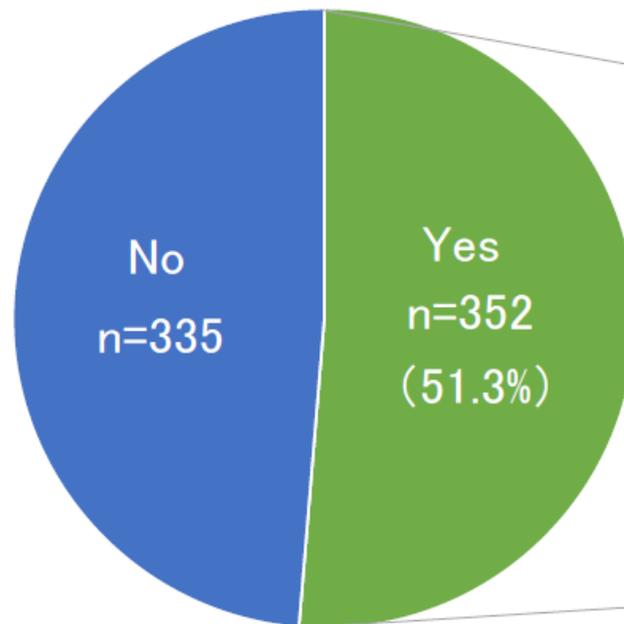
HER2遺伝子増幅

.....



0-15歳の患者の標的薬への到達方法の内訳  
(2022年4月時点のC-CATデータより)

標的治療推奨



全体: 687人

標的薬投与の有無

312例

40例

■ Yes ■ No

全体の5.8%

標的薬への到達方法

4例

8例

2例

26例

■ 保険診療内: 0.6%

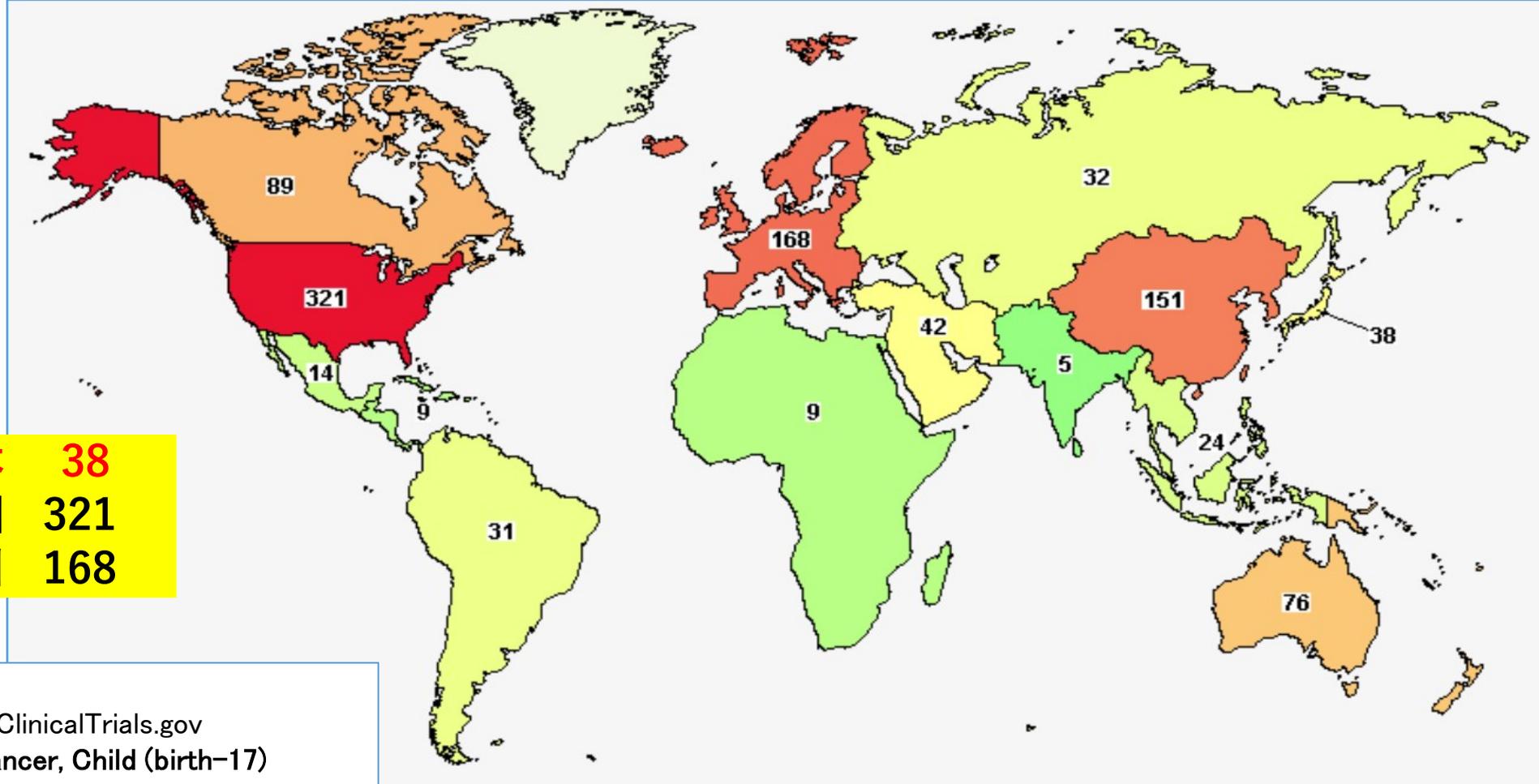
■ 治験: 1.2%

■ 患者申出療養: 0.3%

全体の2%

■ 適応外: 3.8%

# 小児がんを対象とした臨床試験数（2022/3/1）



日本 38  
米国 321  
欧州 168

## 検索方法:

Source: [http:// ClinicalTrials.gov](http://ClinicalTrials.gov)

Search term: Cancer, Child (birth-17)

Study type: Interventional

Study phase: Early Phase 1, Phase 1, Phase 2, Phase 3

Funder type: Industry

Study status: Recruiting, Active not recruiting, Enrolling by invitation

- 小児がんの臨床試験の数は、日本は欧米に比べて圧倒的に少ない
- 中国の1/4、オーストラリアの半分程度である
- 欧米では原則として小児に対する薬剤開発が義務付けられてる

# なぜ小児がんの薬剤開発が進まないのか？

2000年12月 医薬審第1334号通知

「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」(1.2 背景より抜粋)

現在、医薬品の小児患者のために適切に評価され小児患者に対する適応を持つ医薬品は限られている。小児への使用が想定される医薬品については、小児集団における使用経験の情報の集積を図ることが急務であり、成人適応の開発と並行して小児適応の開発を行うことが重要である。また、成人適応の承認申請中又は既承認の品目について、引き続き小児の用量設定等のための適切な臨床試験（治験、市販後臨床試験）の実施が望まれる。

## しかし、現状は...

- 1 市場規模が小さく、開発コストや法的義務(安定的供給・安全性監視活動など)の負担が大きい
- 2 第I相臨床試験・小児治験に精通した施設、医師、CRCの不足等、小児治験を実施する環境が不十分
- 3 医師主導治験で開発しようとしても、公的予算・研究費の確保が困難
- 4 対象患者が少なく被験者の確保も難しいため、臨床試験の実施が困難

世界共通の課題であるが、海外の臨床試験数は日本より多く、保険で使える薬も多い  
インセンティブなしでは、製薬企業にとっては採算性が低く、開発の困難性が高い<sup>7</sup>

# 欧米における小児用医薬品開発に係る規制

## 2000年代初め

米国

- **2002年: Best Pharmaceuticals for Children Act (BPCA、インセンティブ)** および
- **2003年 Pediatric Research Equity Act (PREA要件)** 制定

小児患者に対する医薬品の適切な開発を任意または義務づける



## 2007-2008

米国

- Pediatric Review Committee (PeRC) 設立
- Pediatric Cluster 設立

EU

- **2007年 Paediatric Regulation**
- インセンティブと要件の両方を含む
- Paediatric Committee (PDCO) と **Paediatric Investigation Plan (PIP)** 設立

## 2012-2020

米国

- **Pediatric Study Plan (PSP) 要件追加**
- **がん標的治療薬を開発する企業に対し、小児用の開発を義務付け (RACE\* for Children Act)**

EU

- EMAがPIPのクラス免除リストを改正

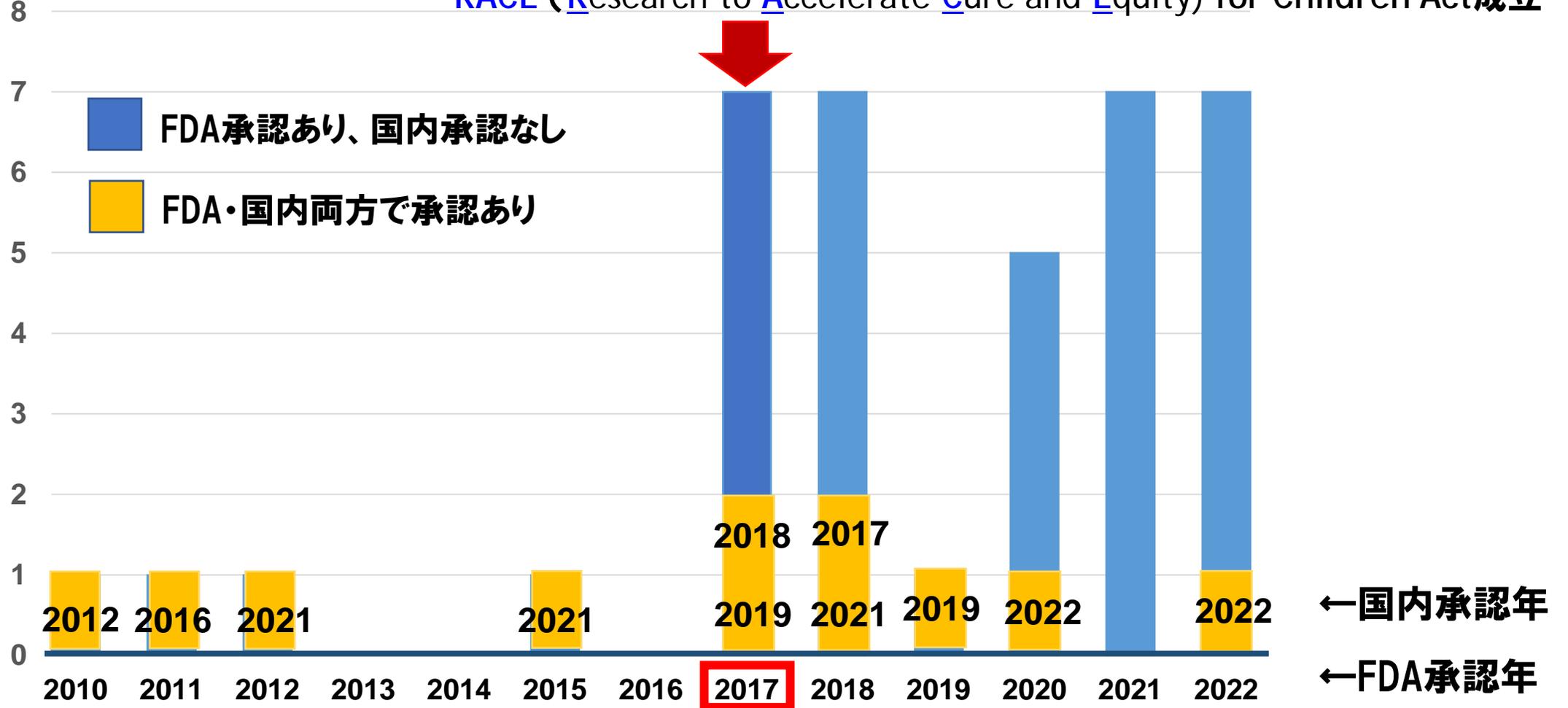
欧米では成人対象の開発過程における小児の薬剤開発に関する検討は義務  
ただし、小児がんに特化した規制ではなく、免除・猶予の規定もあった

がん分子標的治療薬を開発する企業  
に対し、小児用の開発を義務付ける  
RACE\* for Children Act が2017年成立  
2020年発効

\*RACE (Research to Accelerate Cure and Equity) for Children Act

# 小児がんに対してFDAで承認を受けた医薬品の国内での承認状況 (2010-2022年:適応症ベースでの比較)

\*RACE (Research to Accelerate Cure and Equity) for Children Act成立



米国では RACE\*法成立後、小児分野における分子標的薬の開発を促進する取組が進んでおり  
分子標的薬の時代に入って、日米間のドラッグラグ、ロスが拡大する懸念が指摘されている

# 小児がんの医薬品開発の問題点

- 小児がんは子どもの病死原因の第一位であり、その治癒率向上は喫緊の課題である
- 特に再発例では治療選択肢が少なく、治癒が極めて困難である
- 薬剤開発の対象となる各々のがん種、特に固形腫瘍の患者の数は少なく、製薬企業による開発が行われにくい
- 遺伝子プロファイリング検査が保険適用となり、小児がん患者でもその結果に基づき治療薬候補が見つかるようになったが、多くの患者では実際には承認薬がない、または参加可能な臨床試験・治験がないため、治療薬にアクセスすることができていない

## 2022年：小児がん治療薬剤の開発促進および、ドラッグ・ラグの解決を求める患者・家族からの要望書

- (1) 小児がん薬剤の治験や臨床試験を成人と並行して行うことを義務付ける法制度を整備してください。
- (2) 海外で有効とされている小児がんの薬は、1日も早く国内で使えるように早期承認してください。
- (3) がん遺伝子パネル検査で効きそうな薬が見つかった場合には、小児がん患者に対して最適な分子標的薬を使えるようにしてください。
- (4) 日本で開発された薬は、1番最初に国内で使えるようにしてください。

# 患者さんご家族等の声により始まった意見交換の場

- 2017 - 2020年：厚労科研松本班「小児がんのための薬剤開発を考える」
- 2021年：患者さんご家族を中心に小児がん対策国民会議設立
- 2022年8月：小児がん対策国民会議 設立1周年記念シンポジウム
- 2022年11月：第64回日本小児血液・がん学会学術集会  
シンポジウム「小児がんのための薬剤開発を考える」  
患者家族、医療者、製薬企業、行政から発表  
患者さんご家族から： 旅立った子供が苦しんだこと「手が届かない分子標的薬」
- 2023年9月：第65回日本小児血液・がん学会学術集会  
「小児がんのための薬剤開発を考える」何が進んだか・次に何をすべきか

# ゲノム医療や分子標的薬の恩恵を求める小児がん患者・患者家族の要望が高まっている

## 解決のために

1

新薬、特にがんに対する分子標的薬の開発では小児・成人同時開発を行えるような制度の導入

2

企業開発を可能にする新規治療薬の小児開発に対する効果的なインセンティブ制度の導入

3

企業開発が困難な場合に、医師主導治験で開発するための公的予算・研究費の増額、公的な継続的实施基盤の整備

従来の制度の延長線上での検討ではなく、抜本的な制度改革が必要！  
たとえば日本版NCIとして、小児がんの薬剤開発を優先的に支援する組織・予算など？

# 小児がんのための医薬品開発の課題と取り組み

1. 小児がん領域での医薬品開発の課題
2. 開発促進への取り組み
3. ドラッグロスの危機をチャンスへ転換する

# 厚労省などの取り組み

- R4年度厚生労働科学特別研究:

「小児がん及び小児希少難治性疾患に係る医薬品開発の推進制度に資する調査研究」

- R5年3月: がん対策基本計画(第4期)

- R5年度厚生労働科学指定研究:

「小児がんおよび小児希少難治性疾患の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究」

- 「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」

(小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方について)

### (3) 小児がん及びAYA世代のがん対策

#### (現状・課題)

また、小児がんにおいては、治療薬の候補が見つかっていても保険診療下で使用できる薬が少ない、参加可能な治験が少ない等、薬剤アクセスの改善が課題となっている。

#### (取り組むべき施策)

国は、小児がん領域における薬剤アクセスの改善に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施(国際共同治験への参加を含む。)を促進する方策を検討するとともに、小児がん中央機関、小児がん拠点病院等、関係学会及び企業等と連携した研究開発を推進する。

# ドラッグアクセス改善のために

◆ **これから開発される薬**をラグなく日本で使えるようにする

✓ 海外と一緒に！ . . . **国際共同での開発**

✓ 国内の成人と一緒に！ . . . **小児・成人同時開発**

✓ 治験結果以外の情報の利活用

◆ **すでにドラッグラグが生じている薬**を日本で使えるようにする

# エビデンス構築の基本的な方針（研究班\*にて検討中の案）

評価資料としての治験データが重要であることは議論の余地がないため、推奨されるエビデンス構築方針は以下の順

**A：国際共同治験に参加（評価資料に国内小児例あり）**

**A'：国際共同治験に参加（評価資料に国内小児登録なし）**

結果として国内小児の登録がなかった場合、MS・少なくともPPK解析による確認、  
その他Cのデータによる補完

**B1：国内単独治験実施-成人と同時の試験（小児例あり）**

成人のみで開始した治験の変更届による小児への拡張（適格規準の拡大、用法・用量の追加）を含む

**B1'：国内単独治験実施-成人と同時の試験（小児登録なし）**

結果として小児の登録がなかった場合、MS・少なくともPPK解析による確認、  
その他Cのデータによる補完

**B2：国内単独治験実施-主に小児の試験**

**C：治験の実施が困難な場合、治験以外のデータで補完**

- 公知申請
- 先進医療・患者申出療養・その他の特定臨床研究
- 非介入研究データを根拠とした承認（レジストリ・DB・厳密に計画して実施するカルテ調べ）

いずれの場合も  
国内小児例の情報が少なく、  
結果として該当例が  
登録されない場合もあるため、  
全てのケースでCのデータの  
併用を念頭に置いて計画

※下に行くほど  
必要度は高い

# ドラッグアクセス改善のために

◆ これから開発される薬をラグなく日本でも使えるようにする

✓ 海外と一緒に！ . . . 国際共同での開発

✓ 国内の成人と一緒に！ . . . 小児・成人同時開発

✓ 治験結果以外の情報の利活用

◆ **すでにドラッグラグが生じている薬**を日本でも使えるようにする

. . . 古い薬は長い間の取り組みで少しずつ解消してきた

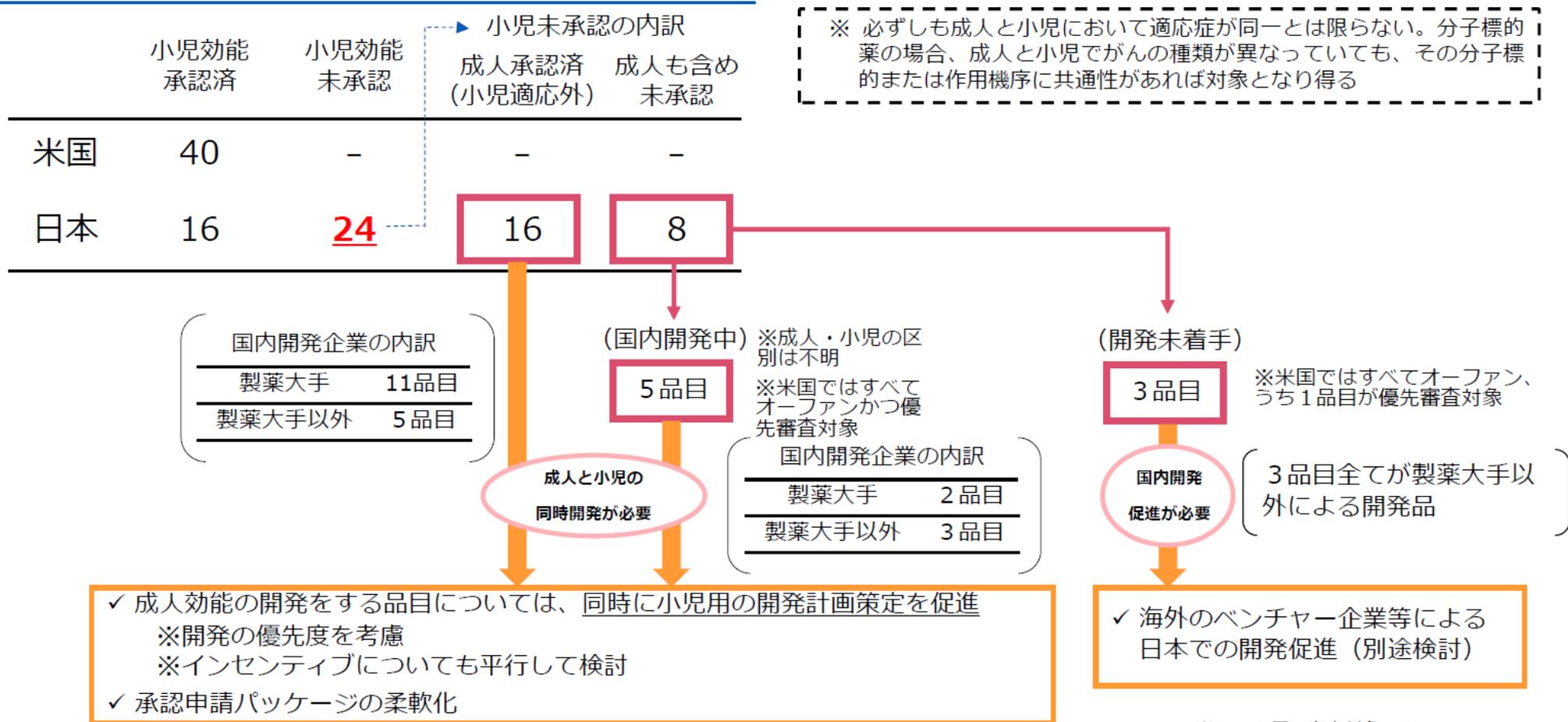
**新しいラグとなってきた医薬品は速やかな解消を！**

**特に小児がん・希少難病など小児特有の疾患への対応を！**

# 小児用医薬品の国内開発・承認状況の分析：（2）抗悪性腫瘍薬

米国で小児適応をもつ抗悪性腫瘍薬について、6割が国内では小児適応未承認。ただし、そのうち三分の二は成人効能は承認済み。

## 米国で小児適応をもつ抗悪性腫瘍薬の国内開発の状況



※出典：PMDA、FDAの各公開情報、ClinicalTrials.govをもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※2000年から2022年に米国で小児適応を受けて承認された品目を対象とし、2023年3月時点で開発状況が明確となっていないものを未着手とした。

※製薬大手とは小児適応取得時にグループ連結売上高が50億米ドル以上の企業を指す。

※国内開発企業と海外開発企業は必ずしも同一ではない

※米国の優先審査対象：Treat a serious condition and if approved, would provide a significant improvement in safety or effectiveness over available therapies

# 小児用医薬品の国内開発・承認状況の分析：（2）抗悪性腫瘍薬

米国で小児適応をもつ抗悪性腫瘍薬について、6割が国内では小児適応未承認。ただし、そのうち三分の二は成人効能は承認済み。

## 米国で小児適応をもつ抗悪性腫瘍薬の国内開発の状況

	小児効能承認済	小児効能未承認	小児未承認の内訳	
			成人承認済(小児適応外)	成人も含め未承認
米国	40	-	-	-
日本	16	24	16	8

※ 必ずしも成人と小児において適応症が同一とは限らない。分子標的薬の場合、成人と小児でがんの種類が異なっている場合、その分子標的または作用機序に共通性があれば対象となり得る

海外で小児がんで承認された（＝小児がんでの有効性あり）  
適応外薬（＝日本人成人での安全性情報あり）は  
安全性上の人種差の懸念がないなら  
速やかな承認を！

国内開発企業の内訳

製薬大手	11品目
製薬大手以外	5品目

(国内開発中) 5品目

※成人・小児の区別は不明  
※米国ではすべてオープンかつ優先審査対象

国内開発企業の内訳

製薬大手	2品目
製薬大手以外	3品目

成人と小児の同時開発が必要

(開発未着手) 3品目

※米国ではすべてオープン、うち1品目が優先審査対象

国内開発促進が必要

3品目全てが製薬大手以外による開発品

海外企業への働きかけ

- ✓ 成人効能の開発をする品目については、同時に小児用の開発計画策定を促進
  - ※開発の優先度を考慮
  - ※インセンティブについても平行して検討
- ✓ 承認申請パッケージの柔軟化

- ✓ 海外のベンチャー企業等による日本での開発促進（別途検討）

※出典：PMDA、FDAの各公開情報、ClinicalTrials.govをもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計  
 ※2000年から2022年に米国で小児適応を受けて承認された品目を対象とし、2023年3月時点で開発状況が明確となっていないものを未着手とした。  
 ※製薬大手とは小児適応取得時にグループ連結売上高が50億米ドル以上の企業を指す。  
 ※国内開発企業と海外開発企業は必ずしも同一ではない

※米国の優先審査対象：Treat a serious condition and if approved, would provide a significant improvement in safety or effectiveness over available therapies

# 小児用医薬品の開発を促進する仕組みについて（続）

## 主な課題

### ■ 開発コストの低減

- 小児用医薬品の開発にはコストを要するものの、成人に比べて市場規模は小さく、コストの回収が困難。
- 開発コストの低減に資するため、国内で小児の治験を実施することなく承認申請可能なケースを整理し、明確化すべきではないか。

### ■ 小児剤形の利用促進

- 企業が小児に特化した剤形を開発した場合でも、対象患者が少ないため医療機関や薬局が必ずしも当該剤形を採用せず、実際の利用が進まない、という指摘がある。

## 対応の方向性（案）

### ■ 承認申請パッケージの柔軟性

- 以下のような取組により、小児の治験実施の要否に関する考え方を整理し、明確化してはどうか。
  - 国際的に用いられているモデル&シミュレーション（M&S）の活用や、海外データ、文献情報等により有効性・安全性が説明できる場合を整理し、明確化する。
  - 新有効成分や新効能医薬品については、少なくとも10-12歳以上の小児においては、一定の条件を満たせば、成人の承認申請時に併せて評価可能な場合があること（※）を周知する。

※令和2年6月30日事務連絡 成人と合わせて評価可能な小児（10歳又は12歳以上の小児）の臨床評価の留意点について

- 上記に関する相談への対応を含め、PMDAに小児用医薬品に特化した相談枠を新設してはどうか

### ■ 小児剤形の利用促進策

- 例えば、地域において中心的に小児剤形に対応する薬局を設置するなど、小児剤形を利用しやすくなる仕組みを検討してはどうか。

<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001118959.pdf>

厚生労働省医薬・生活衛生局実施「第1回 創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」

資料3-2：「小児用医薬品の開発促進に資する薬事審査等のあり方について」より。黄色枠は小川追加。

# 既にラグが生じている小児がん特有の医薬品への対応（提案）

（研究班\*\*にて検討中）

以下に該当する医薬品では条件付き承認等による承認、承認後に臨床情報を収集する

- 1) きわめて希少かつ生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）である
- 2) 既存の療法がない、または、欧米等\*の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている  
（\*欧米等：米・英・独・仏・加・豪6か国）
- 3) 以下のいずれかを満たす
  - ① 欧米等\*のいずれかにて当該疾病・小児に対して薬事承認されている
  - ② 欧米等\*のいずれかにてなんらかの薬事承認を取得しており、診療ガイドライン等で当該疾病・小児に対して推奨されている
- 4) 海外データの日本人への外挿が可能であると考えられる
  - ① 既承認薬と作用機序が類似している、または作用機序が明らかであり、日本人の有効性や安全性が類推できる
  - ② 薬物動態において人種間で大きな差異がないと想定できる
  - ③ 安全性についての人種間で大きな差異がないと想定できる

\*\* 「小児がんおよび小児希少難治性疾患の早期実用化を目指した新たな審査基準提言のための研究」 班

# 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患者申出療養の利用も困難

## 解決のために

小児がんの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

- 長期的には治療開発体制の整備により保険で使用できる薬を増やす
- 企業開発の増加をはかるとともに、医師主導等での開発も含め活性化
- 短期的には患者申出療養制度を利用した臨床試験の立案と実施

## 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

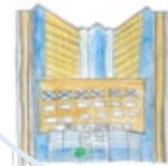
- 治験を安全かつ効率的に実施するための治療開発体制の整備を行う
- 企業治験等、企業開発の増加をはかる
- 企業が着手できない場合は医師主導治験を行い開発を進める

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を迅速に届ける
- 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

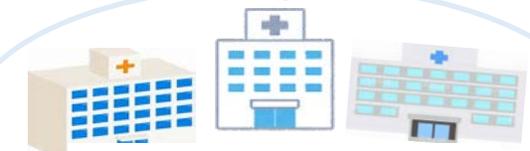
国立がん研究センター中央病院  
(調整事務局)



- 開発状況の精査
- 開発戦略を検討
- 製薬企業等との交渉
- 試験立案

安全かつ効率的な治験などの実施

医師・CRC等  
人材育成



ゲノム医療提供体制を有する  
小児がん拠点病院等

小児がんの治療薬開発を担う施設増による  
小児がん患者のドラッグアクセスの改善

## 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

- 治験情報の提供
- 患者申出療養制度での試験提供
- PPI推進に向けた啓発



国内外の企業との連携

- 国内治験の活性化
- 国際共同企業治験の呼び込み



海外アカデミアとの連携

- 医師主導臨床試験への参画



国内研究グループとの連携

- 円滑な治験実施への協力

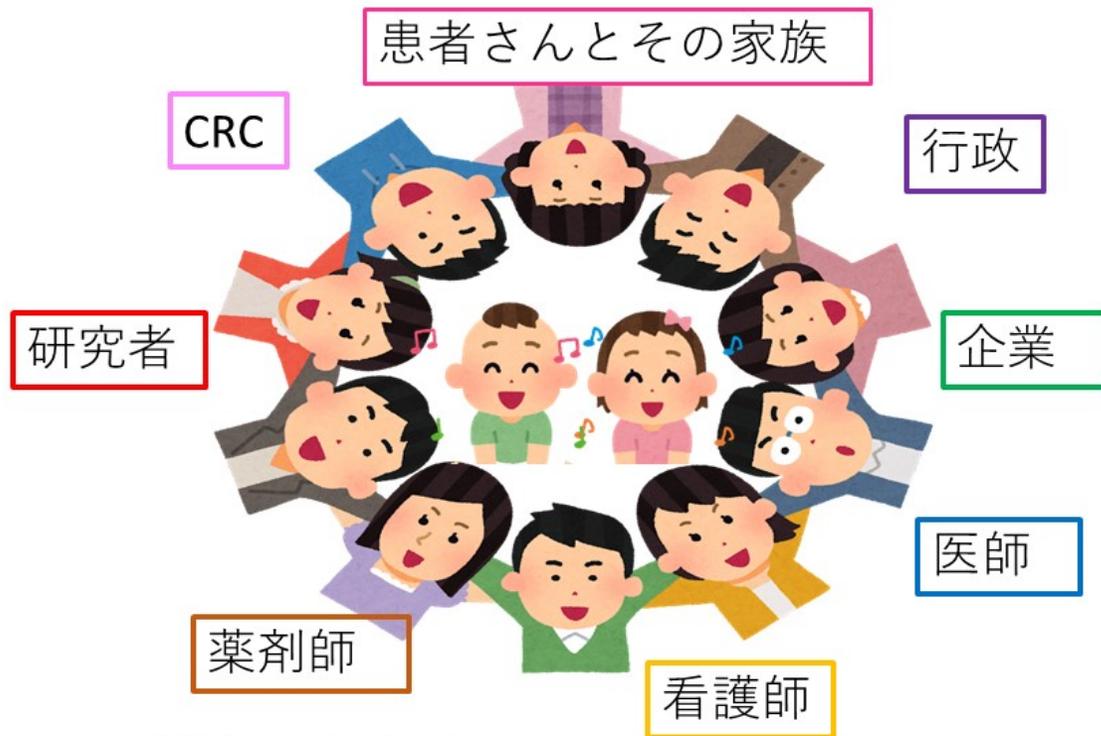


(PPI : Patient and Public Involvement)

# 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)

2024年1月開始

The trial of Patient-Requested Targeted Novel therapy for children, adolescents, and young adults: predictive response based on the molecular alterations and Expert panel Recommendation

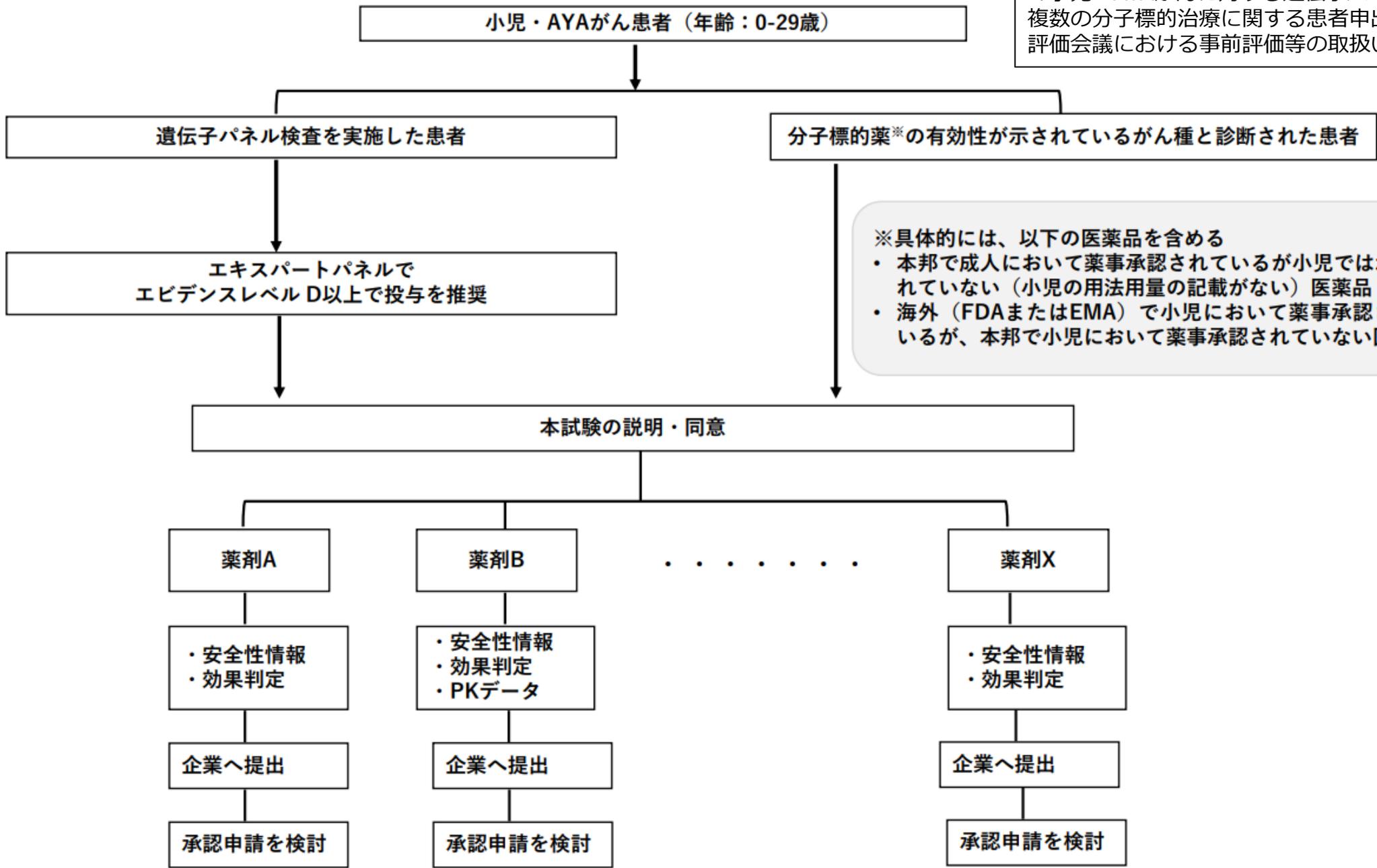


CRC : 臨床研究コーディネーター

- ◆ Single Patient INDではない患者申出療養では使えるまでに時間がかかるため、あらかじめ複数の薬剤を準備し、必要な患者さんがすぐにでも使えるよう準備しておく患者申出療養制度の下で行う試験
- ◆ これまでに国内または海外で小児を対象とした臨床試験が行われていて、小児での一定の安全性情報がある医薬品（既承認薬の適応外使用 あるいは 未承認薬）
  - ✓ 成分として 7種
  - ✓ 剤形として 12剤形

（錠剤では国内で承認されている成分であるが、小児が内服可能な経口服液は国内未承認であるものを含む）

**第43回患者申出療養評価会議（2023/09/21）**  
「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」の患者申出療養評価会議における事前評価等の取扱いについて、別紙1



※具体的には、以下の医薬品を含める

- ・ 本邦で成人において薬事承認されているが小児では承認されていない（小児の用法用量の記載がない）医薬品
- ・ 海外（FDAまたはEMA）で小児において薬事承認されているが、本邦で小児において薬事承認されていない医薬品

# 薬事承認までのロードマップ

技術名: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)

各医薬品ごとの  
国内外での臨床試験  
(各医薬品ごとに異なる)

関連学会  
からの要望

医療上の必要性の  
高い未承認薬・  
適応外薬検討会議

開発要請等

企業治験  
医師主導治験  
公知申請等

薬事承認

関連学会からの要望

製薬企業へ  
データ提供

特定臨床研究結果の  
承認申請への利活用

海外での小児  
への承認状況  
(各医薬品ごと  
に異なる)

継続が不適切と  
考えられた場合

患者申出療養のうち  
当該コホートの中止

## 【患者申出療養】NCCH2220

「特定臨床研究で得られた試験成績を医薬品の承認申請に利用する場合の留意点・考え方※」に沿って品質を確保している

対象: 標準治療がない、または標準治療に不応・不耐で、以下のいずれかを満たす  
0-29歳の小児・AYAがん患者

- ① 遺伝子パネル検査でエビデンスレベルD以上と判定されたactionableな遺伝子異常を有する。
- ② 本邦または海外(FDAまたはEMA)において薬事承認された分子標的薬の適応がん種と病理学的に診断されている。

目的: 小児に対して一定の安全性情報があり有効性が期待される適応外薬あるいは未承認薬の安全性および有効性を評価する。必要な場合にはPKデータを収集し薬物動態を評価する。

評価項目: 医薬品コホート毎の用量制限毒性相当の有害事象発現割合、奏効割合(施設判定)、病勢制御割合(施設判定)、無増悪生存期間、全生存期間、薬物動態パラメータ

予定登録症例数: 医薬品コホートごとに最大30例(6例で中間解析)

予定試験期間: 登録期間3年 追跡期間: 登録終了後1年間

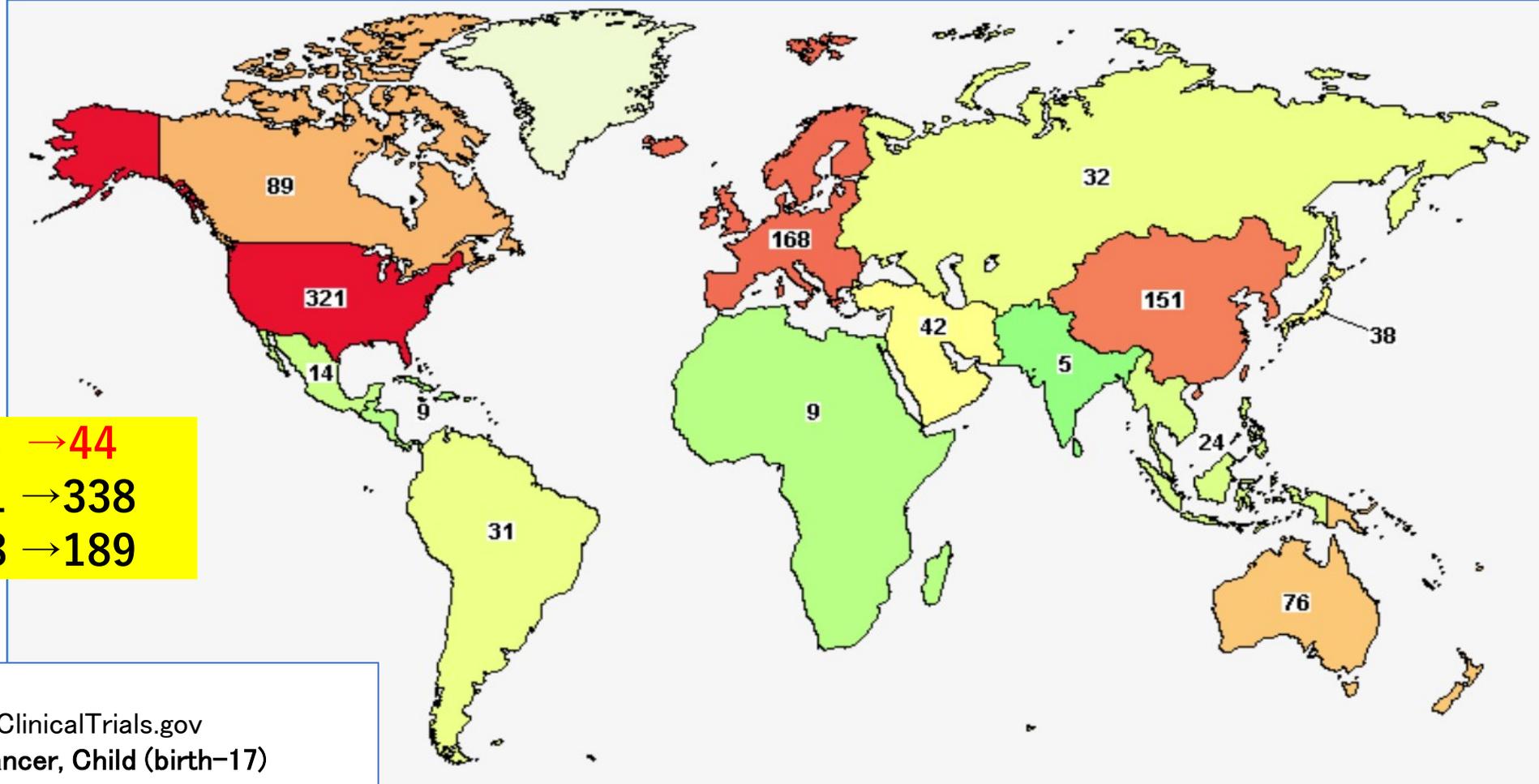
実施医療機関: 国立がん研究センター中央病院、その後施設(がんゲノム医療中核拠点病院、および小児がん中央機関もしくは小児がん拠点病院)追加予定

※ 令和5年3月31日事務連絡(医薬・生活衛生局医薬品審査管理課)

# 小児がんのための医薬品開発の課題と取り組み

1. 小児がん領域での医薬品開発の課題
2. 開発促進への取り組み
3. **ドラッグロスの危機をチャンスへ転換する**

# 小児がんを対象とした臨床試験数(2022/3/1→2023/4/10)



日本 38 →44  
米国 321 →338  
欧州 168 →189

## 検索方法:

Source: [http:// ClinicalTrials.gov](http://ClinicalTrials.gov)

Search term: Cancer, Child (birth-17)

Study type: Interventional

Study phase: Early Phase 1, Phase 1, Phase 2, Phase 3

Funder type: Industry

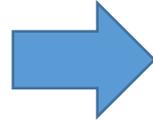
Study status: Recruiting, Active not recruiting, Enrolling by invitation

欧米では原則として小児に対する薬剤開発が義務付けられている  
⇒実施しなければならない試験は多く、効率的な開発が必要なはず  
国際共同での開発参画のチャンス！

# 情報収集から海外企業へのコンタクト、日本企業へのつなぎ、そして開発へ

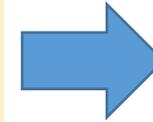
## 情報収集

基礎開発や成人の開発早期から



## 海外企業にコンタクト

有望なものは  
海外で小児 I 相が動いたら



## 国内企業へのつなぎ

日本に支社のない企業  
・バイオベンチャーの場合



ASCO<sup>®</sup> AMERICAN SOCIETY OF CLINICAL ONCOLOGY

ESMO GOOD SCIENCE BETTER MEDICINE BEST PRACTICE

SOCIÉTÉ INTERNATIONALE D'ONCOLOGIE PÉDIATRIQUE

STOP INTERNATIONAL SOCIETY OF PAEDIATRIC ONCOLOGY

国際学会で

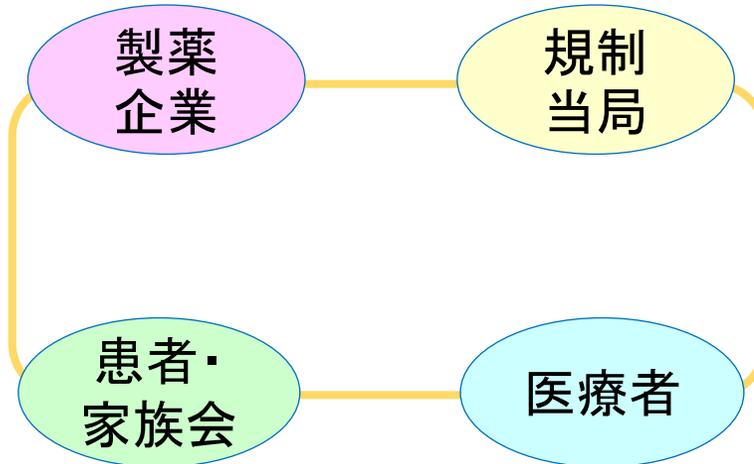
米・欧州の小児がん研究グループ会議で



CHILDREN'S ONCOLOGY GROUP

Innovative Therapies for Children with Cancer

ITCO European Consortium



全ての利害関係者が一同に介して  
小児がんの薬剤開発を  
‘ACCELERATE’ する方策を議論する



Annual meeting での日本の紹介  
日本への国際共同治験誘致



Contents lists available at [ScienceDirect](https://www.sciencedirect.com)

EJC Paediatric Oncology

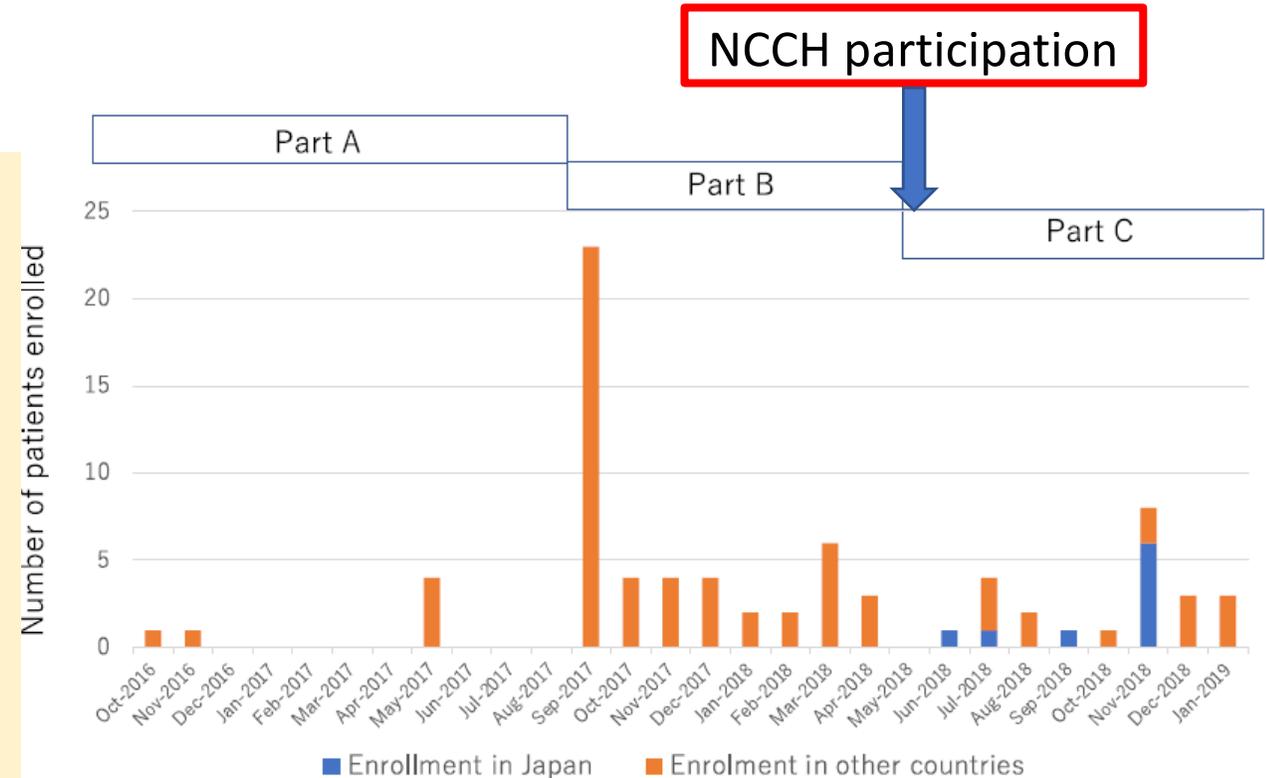
journal homepage: [www.journals.elsevier.com/ejc-paediatric-oncology](http://www.journals.elsevier.com/ejc-paediatric-oncology)

## Japan's contribution to an ongoing global pediatric cancer clinical trial: The experience of the National Cancer Center Hospital (NCCH) in Tokyo

Miho Nakajima, Ayumu Arakawa\*, Chitose Ogawa

Department of Pediatric Oncology, National Cancer Center Hospital, Tokyo, Japan

- ACCELERATEへの参加を通じて国際共同治験にPart Cから参加となった
- 約6か月の登録期間で速やかに予定数を登録し、治験の迅速な完了に貢献した
- この経験と日本の小児がんでの開発体制等を論文化した
- 国際共同治験への日本の参加機会が増えることを期待している



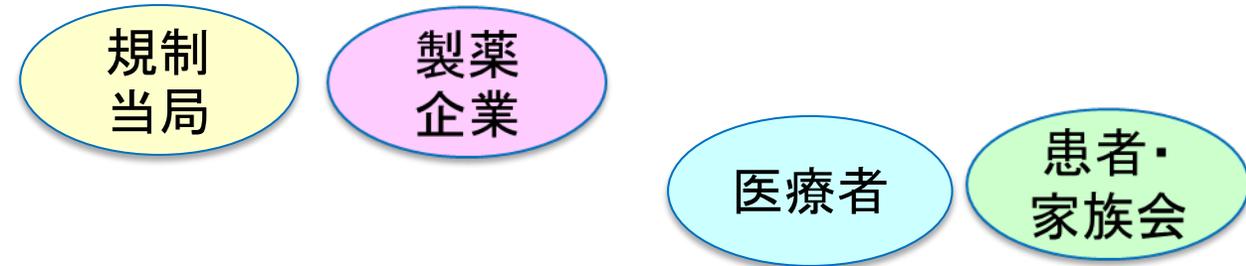
# ドラッグアクセス改善へ

## ◆ これから開発される薬をラグなく日本で使えるようにする

- ✓ 国際共同での開発
- ✓ 国内小児・成人同時開発



- ✓ 治験結果以外の情報の利活用  
利活用できる情報を増やす！



## ◆ すでにドラッグラグが生じている薬を日本で使えるようにする

新しいラグとなってきたる医薬品は速やかな解消を！  
特に小児がん・希少難病など小児特有の疾患への対応を！