

第 1 回希少がん対策専門部会のまとめ

1. 専門部会立ち上げの経緯

近年の先端的技術と個別化医療の進展および米国での Precision Medicine Initiative を背景として、治療満足度が低く、重篤度、緊急度の高い希少がんを題材として、安全で有効な医薬品をより迅速に患者に届けるための効果的で革新的なアプローチ・評価法を整理・体系化することにより、本邦の創薬を支援することを親委員会より要請された。

2. 成川委員の講演から

- ウルトラオーファンドラッグ・オーファンドラッグでは承認品目中 0.03%が医師主導治験データに基づくことが説明された（成川；追加情報）。医師主導治験とベンチャーを活用・活性化するための助成、インセンティブ、体制が必要とされた（木村）。
- 肉腫ではさらに症例数が希少なため、共通な特徴を持つ腫瘍をあわせることで n 数を増やすことも必要（戸口田）。
- 小児がんの臨床データ集積、分子・病理・画像診断、サンプル保存の集約化を進めているが、そのための基盤整備の費用が不足（水谷）。小児がんの施設を決めて集約化を図ったが、15 の小さな施設ではまかないきれない。（松本・門田・水谷）。拠点病院に集約すべき症例の篩い分け、いかにうまく集めるかと患者の参画が重要（門田、水谷）。
- 承認された後のフォロー（サブタイプを纏めて試験をした場合、サブタイプごとのレスポンス、副作用はどうでるか追跡）（柴田（龍））
- サンプルを集約できるバイオバンクの必要性（上田、水谷）、センター化した施設で保存サンプルを用いた解析法の向上（柴田（龍））
- 基盤整備の予算確保に向け努力する必要があるのではないか。（水谷）

3. 安藤委員の「希少がんに対する医薬品開発」の講演から

- 疾患をどこまで細分化するか、マージするかが、試験デザイン上の要点となる。サブタイプを括って試験をして、効果の異なるサブグループがないか、さらに市販後に確認。臓器が異なるが分子的には同じものを（例：Her2）まとめて試験するのであれば比較可能な形でデータを取る。疾患登録データベースで historical control をとるのも一案。新規分子標的薬が見出されたとき、その絞込みをする情報が既存のデータベースに入っていないことが問題（柴田大）
- 特異的な遺伝子変異を持つ腫瘍を横断的にまとめて POC がクリアに示される場合と、そうでない場合は発生頻度や臓器別に考えるのか、検討を要する（上田）
- OSCAR プロジェクトは、異なる遺伝子転座に関連して生じる遺伝子異常に由来する抗原性の違いに対する新規チェックポイント阻害剤の効果と安全性に関する情報が得られ、将来の治療戦略に有益。また、より多数のがん細胞を高品質に、可能であれば腫瘍浸潤リンパ球とのペアで採取および保管するバイオバンクが有用（谷）。

- umbrella trial は国を挙げて多くの製薬会社を巻き込む必要がある(木村)
- ウルトラオープン・オープン承認については柔軟な PMDA 判断があり、一般化・体系化できるとよい(柴田大)
- インフラ整備の財政基盤(松本、水谷) 同じ問題が続いているので、提言により変える必要がある(上田)