

報告書記載要領（案） （希少がん対策専門部会）

1．緒言、背景

背景の記載事項

- 報告書を作成する背景となった事項を記述し、なぜ検討を実施するのかを明確にする。
- 臨床上の位置付けを記載する。
- 本報告の実施にあたり、参考とした先行事例があれば、その概要やその報告書の限界等について記載する。

独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)科学委員会 専門部会(以下「本専門部会」という。) は、・ ・

2．報告書のスコープ、用語の定義、略語の定義

（アルファベット・五十音順）

用語	定義

用語の定義の記載事項

- 報告書内で使用する重要な用語はその定義を明確にし、用語は一貫性を持って使用する。特に、新たに作成した用語は丁寧に説明する。
- 用語の定義は表形式で示すことが望ましい。
- 用語の定義には以下の内容を含める。
 - 用語：報告書内で使用する重要な用語を記載する。
 - 定義：用語の定義を記載する。
- 専門書籍や学会等において用語が定義されている場合には、原則、それらを引用し、定義すること。

略語	正式用語

略語の定義の記載事項

- 報告書内で使用する略語は正式用語を明確にし、略語は一貫性を持って使用する。
- 略語の定義は表形式で示すことが望ましい。
- 略語の定義には以下の内容を含める。
 - 略語：報告書内で使用する略語を記載する。
 - 正式用語：略語の正式な名称を簡略化せずに記載する。
- 本文中では、初出においては正式用語を記載することとし、括弧書きで略語を定義する。

3．希少フラクシオン化の現状と医療への影響および社会的影響

4．革新的な科学技術による希少集団の医薬品開発

4 - 1．NGS

4 - 2．iPS

4 - 3．遺伝子治療

4 - 4．臨床導入

5．希少がんに対する臨床試験のあり方、希少の程度やがんの種類による開発アプローチの違い

6．希少がん登録の推進、臨床試験の体制整備

7．診断（病理、免疫、分子等）の標準化／中央化と臨床情報を紐付けたバイオバンクの整備などの対応

8．結言

本専門部会では、～，前述のように、～を中心とすることとし、～に対する評価は別の機会に譲ることとした。

そのうえで、～まず～を規定することから始めた。～まで考えを整理した。

実際の評価にあたって、～の議論を行ったほか、～の活用可能性についても検討した。

～の進歩は著しいため、今後は～の分野にも、本報告書を参考に～の検討が行われることが望ましい。

9 . 引用文献

引用文献の記載事項

- 報告書の作成に際して参考とした文献を示す。
- 文献は引用順に番号をつける。本文中の引用箇所には、文献番号を上付き文字で示す。
- 書式は報告書内で統一する。
- 引用文献は全て添付する。