

委員からの意見とりまとめ

資料3

内容	意見
<ul style="list-style-type: none"> ・助成 ・インセンティブ ・中小企業へのサポート 	<p>1) 企業にとってリスクが高いウルトラオーファンな疾患こそ、医師主導型臨床治験が重要な役割を果たすべきである。そのためには、AMEDからの支援を優先的に受けられるようにしていく。</p> <p>2) 市販後調査を精度の高いものとするには、各調査票に支払われる現行の調査費用はあまりに安価である。そのため本業務に対する医師への補助がなく、現場医師の負担増となっている。全例市販後調査費用の改訂が必要である。</p> <p>3) 上記を推進するには、企業の負担を増加する。国としてコストをかけずに、企業のリスクを下げるためには、市場独占期間の延長(10～20年)が有効である。</p> <p>4) ウルトラオーファンな疾患にはSMEsの参画が必要だが、SMEsはGlobal試験に関するノウハウが少ない。国として、SMEsが行うGlobal試験へのサポート体制を充実させる。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・希少の程度による分類 ・ICHガイドライン ・承認制度 	<p>さまざまなレベルの希少性、さまざまな診療体制(多くは非常に分散した体制で診療されており、外科的・内科的治療の専門分化も未だ十分ではない)・そもそも、格段の集約化が進まない限り専門分化した診療体制をとることは実際上困難か)で診療されている多種多様な「希少がん」に関して、一律の回答を導くことは困難かもしれない。</p> <p>例えば、ALK陽性肺がんは、日本人で推定2,000症例/年の発生数とされている</p> <p>それに対して、肉腫(Sarcoma)は、肉腫全体でほぼ同じレベルの発生数と考えられる。</p> <p>このレベルの希少性であれば、患者集積の道筋を作り、さらに国際共同治験まで視野に入れればなんとか第Ⅰ相試験も可能(日本単独では困難)。しかし、この希少な肉腫においてもcommon cancerと同様、組織型・遺伝子変異を基にした更なる細分化が進み、これらウルトラオーファンな疾患(数十～数百症例/年)に対する特異的治療法が開発されつつある。これらの疾患に関しては、さらに別のアプローチが必要かもしれない。</p> <p>既に、ICHガイドラインに基づき、外国データの受け入れやブリッジング試験についての取り決めが存在するが、複数の治験の実施が実際上困難な希少がんにおいては、このしくみの有効な活用が一層重要ではないか。</p> <p>FDAのbreakthrough designationや早期承認プログラムのような条件付き承認の活用について検討することも重要ではないか。</p>

内容	意見
<ul style="list-style-type: none"> ・骨軟部肉腫ではゲノム変異解析以外のアプローチも必要 ・発生起源の解明 	<p>希少がんに対するアプローチを考える上で、まずこれまで明らかになった事実を正しく認識することが重要であると考え。担当者の専門領域である骨軟部肉腫に関しては、骨で23種類、軟部で35種類の肉腫が最新のWHO分類で規定されている。その中でドライバー変異が明確に同定されている腫瘍は、骨で5種類程度、軟部では10種類程度である。骨、軟部のそれぞれで最も頻度の高い骨肉腫及び脂肪肉腫では既にゲノム解析が施行されており、druggableな遺伝子変異は同定されていない。更にドライバー変異が同定された肉腫は、希少がんの中でも更に稀なものが多く、比較的頻度の高い肉腫、例えば平滑筋肉腫あるいは未分化多形肉腫ではドライバー変異は同定されていない(あるいは存在しない?)。このような状況で、ゲノム変異解析から更に個別化医療を目指す方向性が妥当であるのかはよく議論する必要があると考える。</p> <p>現実的にはある程度の分類のもとで、ベストではなくても共通して一定の効果がある治療法、例えばがんに共通した代謝、DNA修復機構等を標的とした治療法を開発することも考慮すべきではないだろうか。また特に肉腫の場合、多くの癌腫と異なり、その発生起源細胞が同定されておらず、発生過程も多段階を経て癌化するのか、あるいは癌腫とは異なる過程を経て癌化するのかも明らかでない。このような基礎的な事項を解明することも希少がんの理解、そして新規の治療法の開発には必要ではないかと考える。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ・インフラ整備 ・国際共同治験のサポート 	<p>希少がん領域の臨床データ、サンプル保存、ゲノム解析など可能とするインフラ整備が、日本では十分でない気がします。</p> <p>希少がんの重要なものは国際共同研究にならざるをえませんが、それを支える仕組みが十分でないような気がします。</p> <p>上記のインフラ整備が優先的に配慮される必要があるように思います</p>