

## 1. 希少がんを取り上げる理由

希少がんは治療満足度が低く、重篤度と緊急性の高い疾患領域である。これまでに、「希少疾病用医薬品の臨床開発に関するガイダンス（平成 26 年度 成川班報告書）」や「希少がん医療・支援のあり方に関する検討会報告書（平成 27 年 8 月堀田報告書）」などがまとめられているが、最新のがん研究および科学技術の進歩までを考慮した希少がん医薬品開発についての議論や考察はなされていない。

一方、がんを取り巻くわが国の社会情勢として、高齢化に伴うがん罹患率の上昇により、がん治療への国民の期待はますます高くなっている。がんに対する近年の理解の深まりと NGS などの技術能力の向上を受けて、米国では 2015 年の Precision Medicine Initiative 発表を受けて、個別化・最適化したがん治療の開発に向けた取り組みが強化され、規制の先進化が図られている。

近年の革新的な科学技術により、一部のがんでは単一の遺伝子変異が直接の原因であることが明らかとなってきた。これまでの発生臓器・病理形態分類とは別に、ゲノム情報によるがんの分子分類が可能になった。その結果、これらの変異をターゲットとする医薬品開発では希少疾患と同様に対象患者数が少なく、これまでの臨床評価の適用が困難な場合も見受けられる。希少疾患と比べると、希少がんは原因とフェノタイプが比較的結びつきやすく、標的がクリアであることが多いこと、ポテリジオのような先行事例があることから、論点を絞ることが可能となると考えられる。

先端的な科学技術により、疾病原因の解明と創薬技術が進み、治療満足度が低い領域での医薬品開発の道が開かれた。例えば患者由来の iPS 細胞を用いた疾患モデルによる希少疾患の医薬品開発の取り組みが盛んになっている状況において、希少がんの医薬品開発の検討は、先鞭をつける役割を果たすことが期待される。患者の少なさゆえに開発資金が得られないというハードルも、科学的に「希少を乗り越える」改良を加えることでクリアできるのであれば、わが国の創薬を支援する一助になる。

本専門部会では、最新のがん研究をふまえて、希少がんの現状を俯瞰し、安全で有効な製品をより速く患者に届けるために臨床試験の実施に際しての留意点を抽出・整理し、レギュラトリーサイエンスの視点で効果的な開発に寄与するとともに、PMDA における医薬品の審査相談業務に役立てることを狙いとす

2. 検討の柱として

- 報告書のスコープ（がん免疫療法の個別化、ゲノム解析による希少フラクションを希少がんに類するものと捉えることの可否）、言葉の定義
- 希少フラクション化の現状と医療への影響および社会的影響
- 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（例：骨軟部肉腫）
- 革新的な科学技術による希少集団の医薬品開発（NGS からのがん治療薬開発、iPS の活用）
- 希少がん登録の推進、臨床試験の体制整備（現在の医療体制でバリアになっているところの整理）
- 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（現状と今後の期待）