

<p>(4) 希少疾患・がんに対する臨床試験のあり方(成川委員講演、安藤委員講演)</p>	<p>(5) 希少がん登録の推進、臨床試験の体制整備(安藤委員講演)</p>	<p>(6) 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(安藤委員講演)</p>
<p>① 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)</p>	<p>① 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(木村)</p>	<p>① 希少がんの診断にあたっては個別施設での対応では診断/評価の誤りの原因となる。希少がんの臨床データ集積、分子・病理・画像診断中央化のための基盤整備が最重要課題であるが、それを支える費用/仕組みが不足(水谷)。同じ問題が長く続いているので、提言により変える必要がある(上田)</p>
<p>② 承認された後のフォローつまり、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、副作用はどうであるか追跡(柴田(龍)、柴田(大))</p>	<p>② 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)</p>	<p>② 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)。 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)。小児がんが希少であるとはいえ15の拠点病院だけで対応しきれないことは明らか。小児がん拠点病院の役割の見直しと日本小児がん研究グループ(JCCG)との連携を促し、全体としての機能性を高める誘導策が必要である。JCCGではvirtualに日本全体を一つの病院と考え、病理、画像、放射線、バイオバンク、データ保存などの中央診断/管理体制の構築を進めている。(水谷)</p>
<p>③ 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(柴田(大))</p>	<p>③ 日本での希少がんネットワーク作りとGlobal Networkへの参入の方向性(上田)*</p>	<p>③ サンプルを集約するバイオバンクの必要性(上田) センター化した施設で保存サンプルの解析ができるよう解析法の向上(柴田(龍)) 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)</p>
<p>④ 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。(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) 効果が抜群に大きければ、比較群の同時対照はなくても評価可能(成川委員講演) OSCARプロジェクトは有益な情報を与える(谷)。</p>		
<p>⑤ 疾患登録データベースでhistorical controlをとる(柴田大、安藤委員講演) 作用機序が明確、または疾患の自然経過が既知であれば同時比較が無くても試験可能(成川委員講演)。</p>		
<p>⑥ ウルトラオーファン・オーファン承認については</p>		

柔軟な PMDA 判断があり、一般化・体系化できるとよい（柴田大）		
⑦ 効能・効果の範囲（遺伝子異常に対する）（安藤委員講演）		

検討項目の柱（1）～（7）のうち、第1回専門部会で議論が集中したのは（4）～（6）であったため、横軸に示している。

\*メールで頂いたご意見

（敬称略）