

厚生労働大臣 加藤 勝信様

小児がん患者会ネットワーク

運営委員 浦尻 みゆき

園部 かおる

馬上 祐子

## 小児がん治療薬剤の開発促進および、ドラッグ・ラグの解決を求める患者・家族からの要望

ここ数十年の医療の進歩により、以前は不治の病とされていた小児がんも、治りやすいタイプの血液腫瘍を中心に8～9割が治るようになってきました。しかし、難治性の固形腫瘍(脳腫瘍、神経芽腫、骨腫瘍など)については、新薬開発が進んでいないこともあり、5年生存率も低いままとなっています。

また、日本では、成人を対象とした治験やがん遺伝子パネル検査で小児にも効きそうな薬が見つかって、子どもが参加できる治験自体が少ないため、その薬を使うチャンスさえ与えられていないという現状があります。さらに、海外で承認されているが日本では承認されていない「未承認薬」や、海外で承認されている有効な薬剤が長らく日本で承認されない「ドラッグ・ラグ」が原因で、薬が使えていたら救えたかもしれない大切な子どもの命が失われています。

小児がん患者会ネットワークでは、長年の懸案である、小児がん薬剤の開発の遅れやドラッグ・ラグ問題について、もっと多くの方々に知っていただきたい、そして、何とか解決に向けての動きにつなげていきたいという思いで、2022年6月4日より、「チェンジ・ドット・オーグ」にて、オンライン署名活動を開始しました。10月10日現在、38,904人の方たちから賛同をいただいております。

私たちは、小児がん患者とその家族、そして、多くの賛同者の皆様の思いを届けるべく、下記の通り、要望いたします。

### 記

- (1) 小児がん薬剤の治験や臨床試験を成人と並行して行うことを義務付ける法制度を整備してください。
- (2) 海外で有効とされている小児がんの薬は、1日も早く国内で使えるように早期承認してください。
- (3) がん遺伝子パネル検査で効きそうな薬が見つかった場合には、小児がん患者に対して最適な分子標的薬  
を使えるようにしてください。
- (4) 日本で開発された薬は、1番最初に国内で使えるようにしてください。

<各要望事項の詳細>

(1) 患者数の多い成人のがんに比べ、小児がんは、治療や薬剤の研究や開発が遅れています。

その主な理由として、

- ① 製薬企業は、市場が小さく収益にならないので、開発に消極的であること
- ② 小児がんは、患者数が少ないために、公的な予算や研究費も少ないことが挙げられます。

欧米でも、小児がん薬剤開発について、日本と同様の問題を抱えていましたが、成人と小児の薬を一緒に開発することが義務化されたことや、製薬会社に対するインセンティブが導入されたこと、さらに、米国では、2017年に小児がん薬剤開発の計画を義務化する RACE 法(Research to Accelerate Cure and Equity for Children Act)が成立したことにより、小児がんの薬剤開発が進み、治療の選択肢が大きく、増えています。

下記は、「小児がんに対して米国で承認を受けた医薬品の日本国内での承認状況」を表したものです。

米国では、RACE 成立後、小児分野における分子標的薬の開発を促進する取り組みが進んでいます。

今年に入ってから、月1剤のペース<sup>1)</sup>で承認されており、このことから、日米間のドラッグ・ラグがさらに拡大しています。

日本でも、将来的に小児でも効果が得られそうな薬剤については、大人の薬剤との同時開発を義務付ける RACE のような法制度が整備されることを要望いたします。

	RACE 成立前の承認薬 (2010～2016)	RACE 成立年からの承認薬 (2017～2022.8)
米国	4	<b>32</b>
日本	4 (何年か遅れて4つとも承認)	6

※ この表のデータは、2022年8月5日に開催された小児がん対策国民会議のシンポジウム後に公開された資料とFDAのデータ<sup>1)</sup>を元にしてしています。

(2) 海外で、例えば、米国のFDAで小児がんの有効と認められ、承認された薬剤については、国内で治験が行われていない場合や治験後上市するまでの拡大治験が行われていない場合に、患者申出療養制度などあらゆる可能な方法を使い、できるだけ早く臨床試験を実施できるようにしてください。アメリカやカナダでは救える子どもの命が、日本では救えないという状況は患者家族にとって耐え難い苦しみです。子どもたちの命を救うために、1日も早い早期承認により、安心して新薬にアクセスできる道を拓いてください。

加えて、現在の患者申出療養制度の運用方法や複雑な手続きについての見直しも要望いたします。

(3) 小児向けに分子標的薬の承認をお願いしたい理由は、小児がんの子どもたちの場合には、治療後の人生の方が長い、という現実があるためです。成長過程において、強い抗がん剤や放射線等の集学的な治療を受けた子どもたちのうち、約6割<sup>2)</sup>が、何らかの後遺症や合併症を抱えてしまうとされています。これらの障害は一生続き、治療後の人生をも左右します。飲み続けなくてはならない薬や必要な治療の費用は、「小児慢性特定疾病医療費助成制度」の適用年齢の上限である20歳を過ぎると、大きな負担となって家計を圧迫します。保護者が負担できなくなり、当事者の負担になった場合に、経済的理由から受診を控えてしまうというケースも耳にします。今後は、このような晩期合併症を残さない治療を強く望みます。

従来の抗がん剤と比べて、分子標的薬は、副作用や合併症が軽減できるとされています。個々の患児について、がん遺伝子パネル検査によって有効だという分子標的薬が見つかった際には、疾患にかかわらず、小児がん患者にも使用できるようにしてください。2022年9月現在、大人のがんの受け皿試験で使える薬剤は16ありますが、小児用には4つしかありません<sup>3)</sup>。この差につきましても、早急に解消していただけますよう強く要望いたします。

(4) 日本で基礎研究から開発された薬でも、海外で臨床試験が行われ、日本での使用が遅れてしまうケースが多くあります。日本で開発された薬は、1番最初に国内で使えるよう、臨床試験がしやすくなる環境を作ってください。

1) FDA: Oncology (Cancer)/ Hematologic Malignancies Approval Notifications

2) 石田也寸志 他:「小児がん経験者の晩期合併症および QOL の 実態に関する横断的調査

研究—第 2 報」

[日児誌-114-676.pdf](#)

[The journal of the Japan Pediatric Society 114 \(4\), 676-686, 2010-04](#)

3) 国立がんセンター中央病院ホームページ

[受け皿試験リスト\(2022.02.01\)\[2305843009225958734\].pdf](#)

## <賛同団体一覧>

公益財団法人 がんの子どもを守る会 (<http://www.ccaj-found.or.jp/>)

認定 NPO 法人 ゴールドリボン・ネットワーク (<https://www.goldribbon.jp/>)

認定 NPO 法人 ミルフィーユ小児がんフロンティアーズ (<https://www.millefeuille.or.jp/>)

認定 NPO 法人 ハートリンクワーキングプロジェクト (<http://cchlwp.com/>)

一般社団法人 日本希少がん患者会ネットワーク (<https://rarecancersjapan.org/>)

一般社団法人 みんなのレモネードの会 (<https://www.minnanolemonade.com/>)

一般社団法人 トルコキキョウの会 (<https://torukokikyounokai.jimdofree.com/>)

一般社団法人 全国がん患者団体連合会 ([zenganren.jp](http://zenganren.jp))

NPO 法人 脳腫瘍ネットワーク(<https://www.jbta.org/index.html>)

小児がん患者会ネットワーク (<https://ssj-gan.net/>)

◆にじいろ電車(東京女子医科大学病院脳神経外科  
家族の会)

◆リンクス(聖路加国際病院小児病棟親の会)

◆さくらの会(慶應義塾大学病院小児科で血液・腫瘍疾患の  
治療経験がある患者と家族の会)

◆SMILE(すみれ)の会(新潟大学病院小児科親の会)

◆ほほえみの会(静岡県立こども病院血液腫瘍科親の会)

◆さくらんぼの会(兵庫県立こども病院血液腫瘍内科親の会)

◆あゆみの会(岡山県小児血液・腫瘍患者の親の会)

◆大きな木(九州がんセンター小児科親の会)

◆すまいる(九州大学病院小児医療センター親の会)

◆きょうとたんぼぼの会(京都大学医学部附属病院)

◆子どもを亡くした親の会「ぬくもり山梨」(山梨県)

◆小児がんファミリーサポーター和楽～waraku～(愛知県)

◆ハッピーウイング(富山県 小児がん経験者と家族の会)

◆ccct 小児がんのコト親の会(富山県)

◆くるみカフェ(石川県 小児がん経験者と家族の会)

◆かけはしの会(島根県・鳥取県)

◆lupinus-ルピナス(埼玉県)

◆クローバーの会(神奈川県立こども医療センター)

◆木曜会(久留米大学病院小児科血液グループ親の会)

◆あすなるクラブ(国立成育医療研究センター小児がん  
患者家族の会)

◆げんきの会(日本大学医学部附属板橋病院小児科親  
の会)

◆さんふらわ(横浜市立大学附属病院小児科おやこの  
会)

◆近畿小児脳腫瘍経験者グループ・家族の会 miracle  
Brain

◆HiStar<sup>3</sup> Snow Tsukuba(茨城県つくば市)

◆沖縄小児がん親の会 daythesmilefamily(沖縄県浦添市)

◆ハートリンク共済(新潟県)

- ◆横紋筋肉腫 家族の会(全国)
- ◆肝芽腫の会(全国)
- ◆小児血液・固形腫瘍患者家族の会 つながる輪(全国)
- ◆小児脳腫瘍の会(全国)
- ◆小児脳幹部グリオーマの会(全国)
- ◆「小児脳幹部グリオーマ」(DIPG)シンポジウム開催実行委員会(全国)
- ◆神経芽腫の会(全国)
- ◆「すくすく」網膜芽細胞腫の家族の会(全国)
- ◆繋がり歩む小児脳腫瘍ママの会(全国)
- ◆繋がる胚細胞腫瘍の親仲間たち(全国)
- ◆ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)患者会(全国)

