

# カナダで開催された小児がん治療薬開発加速化会議「ACCELERATE」に参加しました。

文責/小児脳幹部グリオーマの会 代表 貴井孝雄



## ACCELERATE とは

「ACCELERATE」とは、ブリュッセルに運営本部を置き、世界中の小児がんの医師、研究者、製薬企業、そして患者団体が一堂に会し、小児がんの薬品開発をもっと加速化(accelerate)して行こうという目的のもとに、フォーラムを定期的で開催している組織です。

今回 13 回目のフォーラムが、2024 年 5 月 8 日、9 日の二日間、カナダの都市トロントにある小児病院の名門「SickKids」にて開催されました。

毎回、さまざまな小児がんの研究テーマを決めて、関係者たちを世界中から招集して話し合います。

今回のテーマは「DMG」という脳腫瘍。

すなわち「小児脳幹部グリオーマ(以下 DIPG)」を含む、脳の中心部に発生する悪性腫瘍の薬品開発でした。

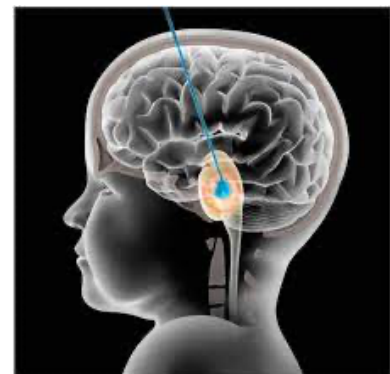


会場となったトロントの「SickKids」

## 参加までの背景

DIPG は余命 1 年の難治性のがんです。日本では米国で実施されている臨床試験が、ほとんど実施されていません。患者の子どもたちとご家族は、日米のがんの治療研究の格差に苦しんでいます。一刻も早く、可能性のある治療が日本でも受けられるように、その解決のヒントを得られないかと参加を決断しました。

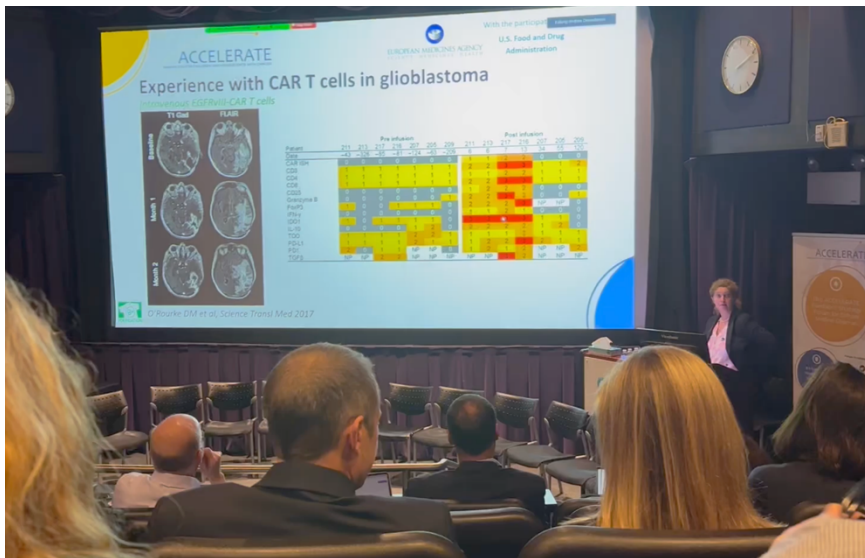
トロントへの渡航費用確保と、一般の方への啓発活動を兼ねて、クラウドファンディングを実施。多くの皆様のご支援を得て、渡航費のみならず、通訳を頼んだり、日本の患者や団体を紹介するパンフレットも制作することもできました。



DIPG は脳幹内部に発生する

## 薬の研究をめぐる議論

フォーラムでは、現地・オンラインで合計 200 名近くが参加し、2 日間に亘り、約 8 割が治るようになった小児がんの中でも特に治癒率が低い DMG というがんに対して、今後どのような薬を作っていくのか。多くの興味深い研究が発表されました。

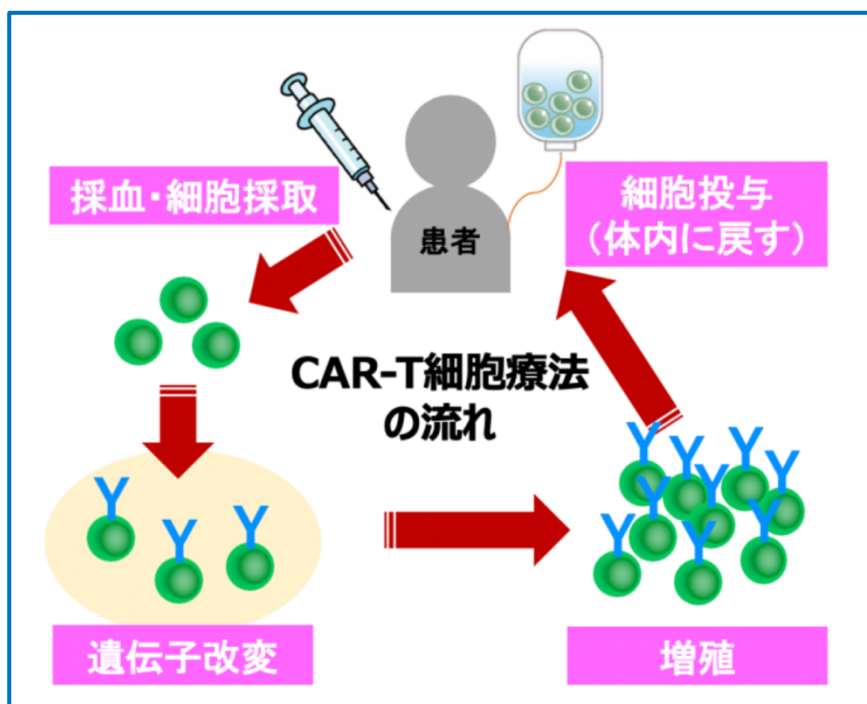


講演の様子

分子標的薬と言って、現在の最新の抗がん剤は、がん細胞に備わっている特有の遺伝子変異がある分子を、標的にして攻撃をするような薬が主流になって

きています。会議でも、これまでの研究により発見された、数々の分子標的のどこを狙えば一番効果的な薬となるかといった専門的な討議が交わされました。

DMG 治療には、現時点で最も開発が進んでいる ONC201 という薬や、人工的に患者自身の免疫細胞を強化してがんを攻撃する CAR-T 療法という方法などが有力とされていますが、臨床試験では、効果があった患者でも数ヶ月から数年の延命効果にとどまっており、完治までは行きません。まだまだ研究の余地は大きく、DMG を完全に克服するまでの道のりは長いのだなと実感しました。



白血病で実用化されている CAR-T 細胞療法を DMG の治療に応用する研究を急ぐことが必要です。

白血病治療の場合、患者さんの体から取り出した T 細胞に、遺伝子改変技術を用いて、白血病細胞の表面に出ている CD19 という目印だけを認識して攻撃するアンテナをくっつけ、人工的な T 細胞 (CAR-T 細胞) を作ります。それを大幅に増殖して体内に戻すことで、CD19 を標的に CAR-T 細胞が白血病細胞を攻撃します。

参考：がん治療新時代 WEB URL : <https://gan-mag.com/immunooncology/9370.html>

## 薬品開発に伴う倫理的な問題

また、薬品開発に伴う倫理的な問題もあります。一番の問題は、脳幹部のグリオーマの場合、がん治療を開始するにあたり、一般的に行われている、手術でがん細胞の一部を採取し、それを病理検査してがんの種類を決定する、いわゆる「生検」というものに危険を伴うリスクがあるため、今でも日本などではMRIでの画像診断のみで診断が下されて治療が進められています。しかし、それだと厳密な遺伝子検査などができ

ないため、研究して薬を作ることができません。よってアメリカでは、脳幹部のグリオーマであっても、基本的に「生検」を必須としようとする動きが出てきており、それに対する倫理的な問題の議論が患者側から起こっているようです。また、臨床試験をめぐる情報の透明性などの議論も興味深いものでした。



活発なディスカッションが行われました

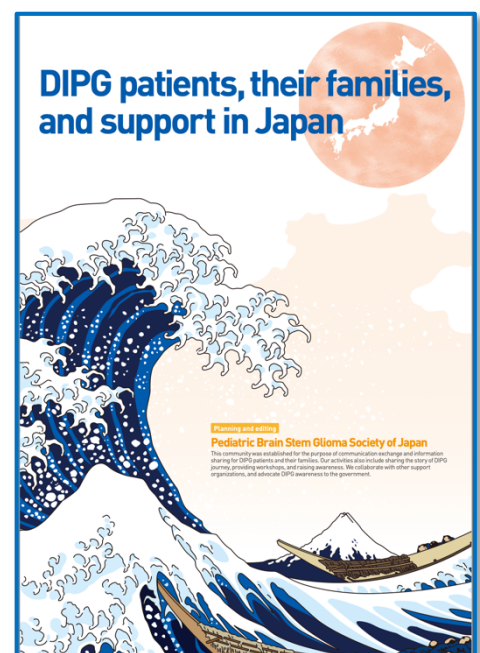
## 日本の問題

私は、欧米だけで薬品開発をするのではなく、広くアジアなど世界にも目を向けながら研究開発をして欲しいと発言しました。

それに対し、最近までオーストラリアなども日本と同じ状況でしたが、他の先進国と同様に、効果的な臨床試験を実施するためには、予算の確保と製薬業界からの支援が重要となります。具体的には、家族と研究者の協力体制を築き、相互にリソースを提供することで、治療法の研究と開発を促進することができるでしょう。

また、国際的な情報共有などの協力も必要であると、パネリストの皆様から見解をいただきました。

日本の患者や支援団体を紹介するパンフレットを制作



## 子どもたちの QOL と治療薬研究

翌二日目の会議では、前日に話し合われたことを踏まえ、患者の子どもたちの QOL にとって、薬品開発はどのような進め方が真に理想なのかという議論がされました。エンドポイント、すなわち、薬品の最終的な評価とは何なのか。どんな基準によってそれが決定されるのかなどです。パネリストを中心に、最後まで興味深い議論が展開されました。

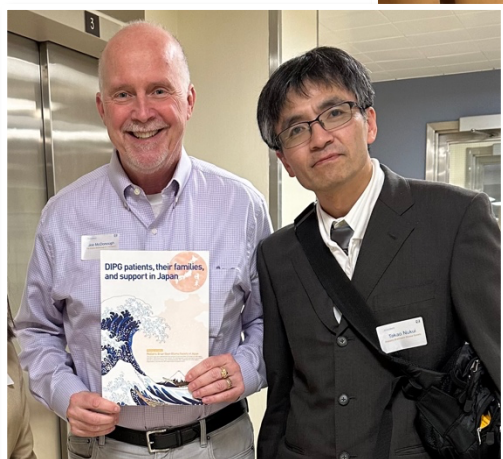
## 今回の経験の感想

二日間は、あっという間に過ぎました。今回、参加をしてみて、その議論のレベルの高さと深さ、そして真摯さに驚きました。また DMG の治療薬開発をめぐる医学的/倫理的な問題に関して、専門家や患者団体が、情熱を持って真剣に徹底討論していく場を作っていること。それ自体の素晴らしさを何よりも実感しましたし、この病気は必ず克服されると信じさせられる会議でした。そして、このような場を作ることが、今の日本でも必要なことなのではないかと強く思いました。

また、このフォーラム自体の運営資金は、全てアメリカの患者団体が担っており、営利企業などの意向に左右されない中立的な議論が成立していることの素晴らしさにも重ねて感動しました。

そして、何よりも DIPG の患者支援団体や、研究者、製薬企業の皆様とお話できたことは、大きな経験でした。

日本の問題に関して、様々なご意見をいただき、これを今後、具体的に私たちの活動にどのように反映させて、課題解決に向けて進めていくかを真剣に考えて行きたいと思っています。



ACCELERATE のスポンサーである  
米国患者支援団体「B+ foundation」の  
代表 Joe McDonough 氏と



今回、講演した研究者の皆様と。  
間違いなくこの中から将来ノーベル賞受賞者が  
出ると確信しています