

令和 6 年 12 月 4 日

自由民主党 衆議院議員 永岡 圭子殿

小児脳幹部グリオーマの会 代表 貫井 孝雄
一般社団法人トルコキキョウの会 代表 高木 伸幸
小児脳腫瘍の会 代表 馬上 祐子
現 DIPG 患者家族有志一同

「拡大治験の制度見直し」と「2016 年要望書実現」に関する提言書

謹啓

時下ますますご清祥のこととお慶び申し上げます。

グリオーマ（神経膠腫）は悪性の脳腫瘍のひとつであり、特に生命維持をつかさどる脳幹部から発生する「小児脳幹部グリオーマ」は、学童期の子どもを死に至らしめる極めて予後不良の疾患です。有効な治療薬のない希少疾患であり、世界各国で克服に向けた研究開発が行われています。

我々、小児脳幹部グリオーマの会と関連患者支援団体は、2016 年に約 2 万 3 千筆の署名を添えて、「難治性小児脳腫瘍の研究体制の確立」と「小児脳幹部グリオーマの治療研究の推進」を掲げた「難治性疾患『小児脳幹部グリオーマ』に関する要望書（2016 年 10 月 27 日）」を、当時の塩崎恭久厚生労働大臣へ提出しました。しかし、残念ながらその後も我が国の小児脳幹部グリオーマの研究は進展していません。

現在、米国製薬企業 Chimerix 社が開発中の治験薬「ONC201」は、グリオーマに対し有効性が期待されています。本年より、ONC201 の国際共同第Ⅲ相試験（ACTION 試験）が日本でも始まりましたが、本治験は小児脳幹部グリオーマの多くを占める、びまん性内在性橋神経膠腫（DIPG: diffuse intrinsic pontine glioma）が除外基準に設定され、DIPG 患児は治験参加による治療的機会すら失っています。

2024 年 12 月現在、米国においては治験薬への拡大アクセス制度である、Expanded Access Program が行われており、これを通じて ONC201 の投与を受けられる道筋が残されています。一方、日本では人道的見地から実施される治験（以下、拡大治験）が厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知（医薬薬審発 0913 第 2 号：令和 6 年 9 月 13 日）に基づいて運用されていますが、現行制度では拡大治験の対象範囲は極めて限定的であり、真に人道的な制度設計とは言い難い状況です。

以上を鑑み、議員及び厚生労働省関係者の皆さまに、以下の点をご検討いただきたく、お願い申し上げます。

敬具

- **拡大治験制度の対象範囲見直しと公的資金の導入**

- 現行制度では、拡大治験の対象範囲は、国内開発の最終段階である治験（以下、主たる治験）の実施後又は実施中（組入れ終了後のものに限り）の被験薬を対象としています。この規定により、生命に重大な影響がある疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない疾患の患者が、主たる治験の参加基準に満たない場合、拡大治験計画があっても組入れ終了後まで待たなくてはなりません。
- 我々は、主たる治験である ACTION 試験の参加基準に満たない DIPG 等の患者に対して拡大治験を実施いただけるよう、開発業務受託機関を介して申し入れを行っております。拡大治験計画が策定された場合に、現行制度が拡大治験の早期実施を阻害しないように、主たる治験の実施中（組入れ中）も対象範囲とするよう、見直しをお願いします。
- 患者とその家族にとり最大の問題は、この制度の実施は、治験実施企業並びに患者への金銭的負担により成立しているという点です。我々は、特に重篤性、希少性が認められるもの、そして早急に生命への影響が考えられる疾患を対象とした薬剤の治験に対しては、国の資金的措置も可能となるように制度改正をお願い致します。

- **拡大治験制度の実施施設及び実施者見直し**

- 現行制度では拡大治験を、主たる治験を実施済み又は実施中の医療機関において、主たる治験の治験責任医師又は治験分担医師により実施されることが原則となっています。しかし、DIPG 等の極めて希少な疾患では、主たる治験の実施医療機関は一般に少なく、拡大治験が実施されても治験薬へのアクセスが困難になることが想定されます。
- このため、拡大治験の実施施設及び実施者について、臨床研究中核病院や小児がん拠点病院など、患者特性に応じた施設が選定されるよう見直しをお願いします。

- **2016 年要望書実現**

- 現在に至るまで、日本国内の DIPG 等の研究が進んでいるとは言い難く、欧米はもとより、オーストラリア、中国、タイ、イランにいたるまで、世界中で DIPG 治療研究が活性化中、我が国は完全に遅れをとっています。
- 私たちは、2016 年の要望書の内容を今こそ実現していただきたいと切に望んでいます。DIPG 治療研究、ひいては小児がん治療研究の推進を目指し、国からの予算的措置を含め国策として取り組むよう、強くお願い申し上げます。

この活動は現在 DIPG で闘病中のご家族の切実な声をきっかけに始まりました。小児希少がん患者の薬剤アクセスの要望に応えられるよう、国の支援を強く、心よりお願い申し上げます。

以上