

令和 8 年 6 月 3 0 日

上野賢一郎 厚生労働大臣

小児がん新薬開発プラットフォームの構築に関する要望書

小児がん治療等推進勉強会 呼びかけ人
衆議院議員 田村 憲久、柴山 昌彦、永岡 桂子、齋藤 健、橋本 岳
参議院議員 自見 はなこ、かまやち 敏

小児がんは、1 歳から 14 歳までの子どもにおける病死原因の第 1 位であり、子どもの命を脅かす最も重大な疾患の一つです。しかし現在、小児がんでは、海外で利用できる新しい治療薬が日本では使えないために患者さんに新しい薬が届かない「ドラッグ・ラグ/ロス」が恒常的に生じています。小児用医薬品は患者数が少なく採算性が低いため、企業による開発が進みにくく、日本国内単独での薬剤開発は難しいため、アカデミアが主体となった国際共同試験への参加が不可欠です。

しかし現状では、日本国内で小児がんの国際共同試験を実施するための体制や新薬開発のための治験を実施する体制が十分に整備されておらず、結果として子どもたちに必要な新薬が速やかに届かない状況が続いています。小児がん闘病中の患者さん・御家族からも「海外で開発されている有望な薬剤が国内で使用可能となること」への要望が複数寄せられています。

現在、国立がん研究センター中央病院で実施している PARTNER 試験（遺伝子パネル検査の結果に基づき、未承認薬・適応外薬へのアクセスを可能にする患者申出療養による臨床試験）は、新たな治療を求める患者さん・ご家族のニーズの高さを反映し、想定を大きく上回る患者登録数となっています。このように、新たな治療を求める患者さんに、適切な治験・臨床試験へ参加する機会を提供するためには、小児がん診療を担う病院と、新薬開発のための国際共同試験や医師主導治験を実施する病院との強固な連携体制が必要です。

厚生労働省事業である「小児医薬品開発ネットワーク支援事業」は、小児医薬品全般の治験体制強化に大きく貢献していますが、特に小児がんをはじめとする高度に専門性を要する領域では、他の小児疾患領域とは異なる開発上の課題があり、専門的かつ集中的な支援体制が不可欠です。

以上より、小児がん患者が全国どこにいても適切な治験や新薬にアクセスできることを目指して、小児がん領域に特化した新薬開発基盤を構築することが重要です。小児がんの新薬開発は、成人がん領域で豊富な治験・国際共同試験の実績を有する国立がん研究センター中央病院を中心に進めることが効率的で、まずはモデル事業として「小児がん新薬開発プラットフォーム」を構築し、全国展開につなげるべきと考えます。

要望事項

1. 国立がん研究センター中央病院を、小児がん新薬開発の司令塔（ハブ機能）として、必要な人員を配置するとともに、中央調整事務局を設置し、国立成育医療研究センターとの緊密な連携のもと事業を推進すること
2. 小児がんを一律に捉えるのではなく、がん種ごとの疾患特性や専門性を踏まえて、小児がん拠点病院の集約化を進めるとともに、各拠点が緊密に連携できるネットワークを整備し、新薬開発のための治験・国際共同試験を恒常的に実施できる体制及び、治験の情報提供・患者紹介の仕組みを構築すること
3. 若手医師、治験支援スタッフを育成し、大学病院を含めた医療機関が役割を果たしつつ、持続可能な小児がん新薬開発体制を整備すること
4. まずはモデル事業として、小児がん新薬開発プラットフォームの基盤整備費を予算措置し、中央調整事務局の運営、治験ネットワーク整備、人材育成等を着実に推進すること

以上