

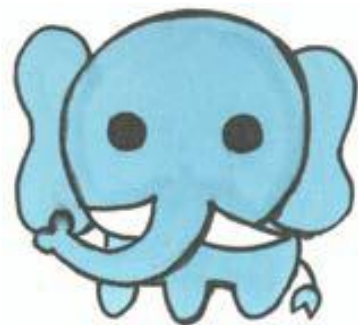
2026年1月18日

第2回ワークショップ

「施設の垣根を越えてみんなで進めよう臨床試験」

# 小児がんの治験・臨床試験のTips

国立がん研究センター中央病院 小児腫瘍科  
荒川 歩



# 目次

- 小児患者さんの試験の同意はどうすべき？
- アセント文書はどんな感じ？
- 試験における小児と成人の違い？

小児の試験の一番の違いは  
**患者本人と保護者の両方に試験について説明する**必要がある点

患者が子どもであっても、なるべく分かりやすく  
治療内容を伝える必要がある！（例えばゲノム医療はどう説明する？）

遺伝子は**細胞の中の設計図**  
**に当たる部分**

車でいうと  
**エンジン**のような感じ



遺伝子異常がたまると  
**がんとなり**  
**細胞がコントロール不能に**  
**ふえていく**

**エンジンが故障すると**  
**車が**  
**暴走する（場合もある）**



遺伝子異常の  
場所が分かれば  
**がんを治療できるかもしれない**

エンジンの故障している  
場所が分かれば  
**暴走を止められる(かもしれない)**



# 小児患者さんからの試験の同意はどうするべき？

- 小児を対象とした試験では、**未成年（17歳以下）の患者**においては法的な効力を持った同意を**代諾者（基本的には保護者）**から取得
- 小児患者であっても、「**がんに対して新しいくすりを使用すること、試験に参加すると良いことと悪いことがあること**」を年齢に適した説明を行い、**患者さん本人からも極力アセント（文書あるいは口頭）**を取得するべき。
- 小児治験ネットワークが作成したアセント文書のひな型があり、当院で実施している医師主導/企業治験も使用している。

<https://pctn-portal.ctdms.ncchd.go.jp/service/agree/>

# アセント文書はどんな感じ？

- アセント文書は一般的に3種類作成
  - 中学生用
  - 小学校高学年用
  - 小学校低学年用
- その年齢の患者さんが自力で読めるように**かなにはルビを振る。**
- 医師の署名も患者さんが読めるように**ひらがなで記載して、患者さんにも署名をしてもらうなど工夫**をしている。
- **避妊や月経についての記載**の説明は（企業治験だと具体的な記載であることも多く）配慮が必要なことも。

# アセント文書の一例 (小学生低学年用)

## 1 あたらしいくすりがかえるようになるまで



あたらしいくすりがかえるようになるまでには、  
たくさんのけんきゅうをします。



びょう<sup>びと</sup>気の人 <sup>にん</sup>なん<sup>にん</sup>かに  
あたらしいくすりを <sup>つか</sup>つかって<sup>もら</sup>もらって、  
よくないことがおこらないかや くすりのききめを <sup>し</sup>しらべ<sup>ます</sup>ます。  
このことを「**ちけん**」といいます。  
ちけんにつかう あたらしいくすりを  
「**ちけんやく**」とよびます。



びょういんの<sup>せんせい</sup>先生たちが はなしあって、  
このちけんを <sup>びょういん</sup>びょういんで  
することを <sup>き</sup>きめました。



あたらしいくすりは、  
あんぜんにつかえて  
ききめがあることを <sup>た</sup>たしかめたら、  
おなじびょう<sup>き</sup>気<sup>ひと</sup>の人たち <sup>みんな</sup>みんなが  
つかえるようになります。

### ... かくにんしょ ...

はなしをきいて ●●● のちけんについて わかりました。  
ちけんを <sup>さん</sup>さんかします。

きめた日 <sup>ねん</sup>年 <sup>がつ</sup>月 <sup>にち</sup>日

な <sup>な</sup>名まえ: \_\_\_\_\_

# アセント文書の一例（中学生用）

1

## 「治験」とは？

病気を治すための治療や薬は、たくさんの研究によって生まれます。

### 実験室/動物研究

病気に効きそうな物質『薬の候補』を、実験室で調べます。また、薬の候補を色々な動物にを使って、生き物にどのように作用するのかを調べます。



5～10年

### 治験

薬の候補を人に使ってもらいます。  
この試験を「治験」、治験に使う薬のことを「治験薬」といいます。  
なお、「治験」には、次の3つの段階があります。

#### 第1相

健康な成人（患者さんのこともあります）の方に治験薬を使ってもらい、治験薬のリスク（安全に使えるかどうか）や、薬がどのように吸収されて、出ていくのかも調べます。



今回

#### 第2相

少数の患者さんに治験薬を使ってもらい、効果やリスク、薬が体にとどのくらい吸収されるか、使う量はどれくらいがよいかなどを調べます。

#### 第3相

多くの患者さんに治験薬を使ってもらい、効果とリスクを確かめて、薬の使い方などを決めます。



合格

#### 審査

治験の結果は国（厚生労働省）に提出し、審査を受けます。リスクと効果が確かめられた時に初めて、治験薬は「薬」として国に認められ、多くの患者さんが使えるようになります。

#### 発売

発売後も、さらに多くの患者さんが使用したときの、リスクや効果などの情報を集めています。

5～10年

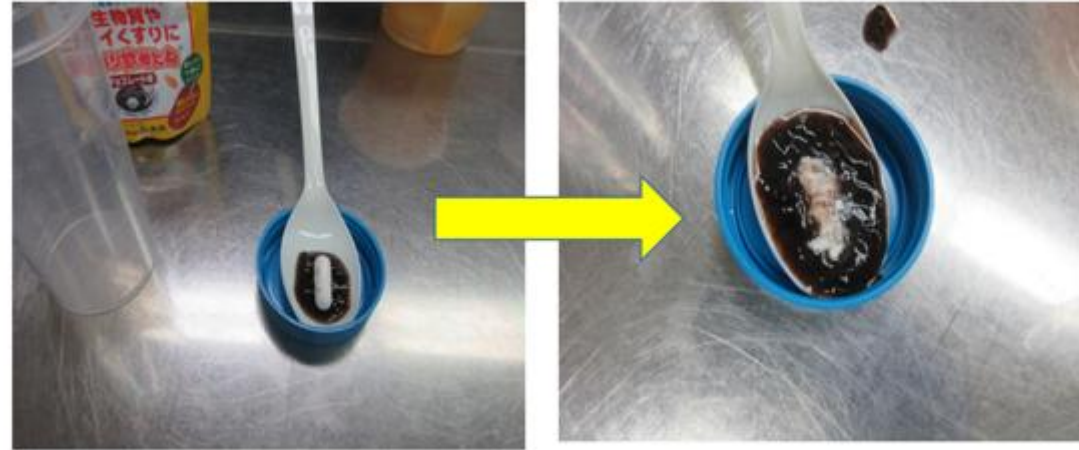
# 治験における小児と成人の違い？ PSの評価スケールが異なる

Performance Status Criteria: KarnofskyとLanskyのPSは10の倍数で用いる

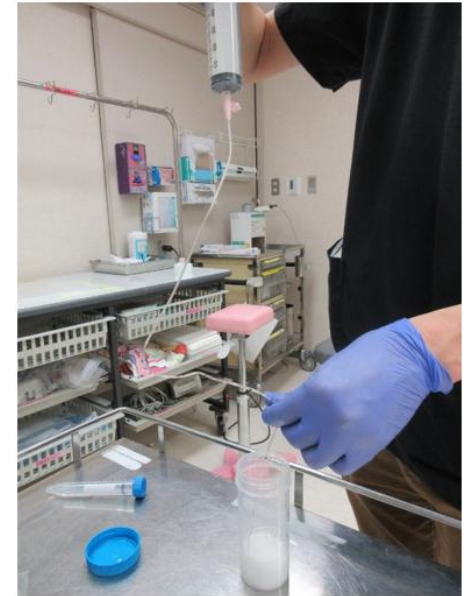
ECOG (Zubrod) [69]		Karnofsky (KPS)		Lansky (LPS)	
Score	定義	Score	定義	Score	定義
0	全く問題なく活動できる。発症前と同じ日常生活が制限なく行える。	100	正常。自他覚症状がない。	100	正常。全く問題なく活動できる。
		90	通常の活動ができる。軽度の自他覚症状がある。	90	身体的に激しい活動はわずかに制限される。
1	肉体的に激しい活動は制限されるが、歩行可能で、軽作業や座っての作業は行える。 (例: 軽い家事、事務作業)	80	通常の活動に努力が要る。中等度の自他覚症状がある。	80	活動できるがすぐに疲れる。
		70	自分の身の回りのことはできる。通常の活動や活動的な作業はできない。	70	より大きな活動制限があり、かつ活動的な遊びができる時間が短い。
2	歩行可能で、自分の身のまわりのことはすべて可能だが、作業はできない。日中の50%以上はベッド外で過ごす。	60	時に介助が必要だが、自分で最もやりたい身のまわりのことはできる。	60	起きて歩けるが、活動的な遊びは最小限しかできない。ややおとなしい遊びはできる。
		50	かなりの介助と頻回の医療的ケアが必要。	50	服を着られるが日中の多くをベッドのそばで過ごす。活動的な遊びはできない。おとなしい遊びは十分にできる。
3	限られた自分の身のまわりのことしかできない。日中の50%以上をベッドか椅子で過ごす。	40	身体が不自由。活動にかなりの障害があり、特別なケアや介助が必要。	40	日中のほとんどベッド上で過ごす。おとなしい遊びに参加できる。
		30	高度に活動が障害され、入院が必要。死は差し迫っていない。	30	ベッド上でのおとなしい遊びに介助を要する。
4	全く動けない。自分の身のまわりのことは全くできない。完全にベッドか椅子で過ごす。	20	非常に重篤で入院が必要。死は差し迫っていない。	20	しばしば眠っている。非常に受動的な活動に制限される(例: テレビ鑑賞など)。
		10	致命的な経過が急速に進行している。	10	遊べない。ベッドから出ることができない。
5	死亡。	0	死亡。	0	死亡。

治験における小児と成人の違い？

**小児の剤型がない場合が、**



内服困難な小児には簡易懸濁の上  
NG tubeからの投与を検討



- 小児の治験では、**小児用の剤型が用意できない**事もしばしば
- 大人用のカプセルや錠剤をどのように小児に飲んでもらうか？
  - 子供がうまく内服できないと服薬率が達成できない
  - 内服時間 20分！？

# 治験における小児と成人の違い？

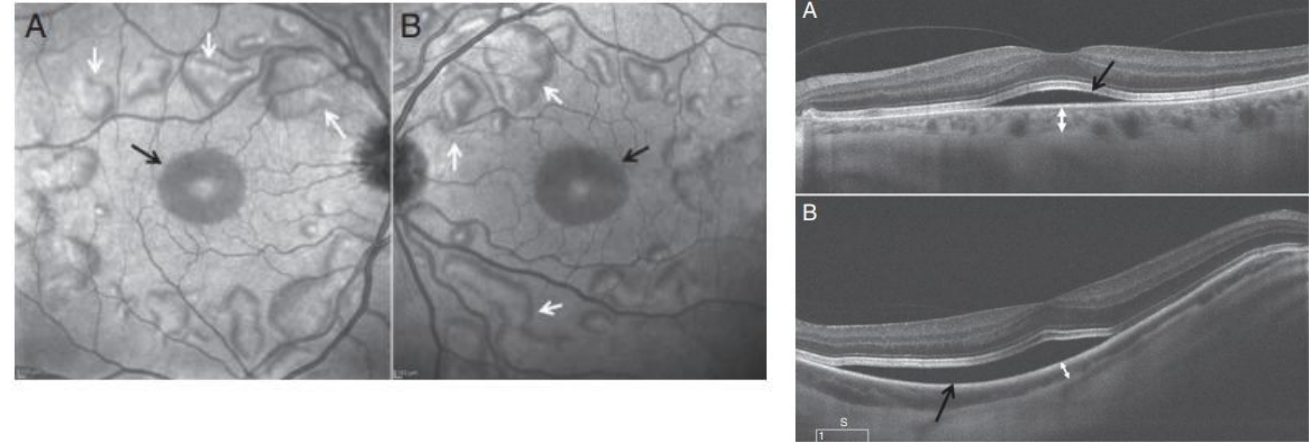
# 有害事象をどう評価するか

## mTKIによる手足症候群



重篤副作用疾患別対応マニュアル 手足症候群 より抜粋  
<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/000529043.pdf>

## MEK阻害剤によるMEK retinopathy



*Annals of Oncology* 27: 998–1005, 2016  
doi:10.1093/annonc/mdw100  
Published online 6 March 2016

- **皮膚や眼・骨などの有害事象**が出る
- ➔ 上手く症状を説明できない幼少児においてどう評価するか？
- **成長や発達に対する影響**をどう評価するか？
- ➔ 治験の後も長く副作用をフォローする体制が重要



## mTKIによる 骨端線の肥厚

*Pediatr Blood Cancer*. 2018;65:e27077.  
<https://doi.org/10.1002/pbc.27077>

## 小児およびAYA世代のがんに対する治験（早期相試験）情報 患者さん・ご家族との情報共有に活用してください

JCCG HP > 「研究者ログイン」 > 「研究管理委員会」 > 「早期相試験推進委員会」 > 「小児およびAYA世代のがんに対する治験情報」



- 早期相試験情報は**2か月に1回更新**しています
- 患者本位の「がん治験情報サイト」と連携し、一般向け情報公開

<https://www.fpcr-joho.jp/>

# まとめ

- 小児の患者においても、年齢やその子にあった説明を行って、きちんと治験の参加について同意を得ることがとても重要.
- 剤型・PS・有害事象の評価など、臨床試験において（成人と少し異なる）小児ならではの留意点がある.

