

第3回小児がん拠点病院等の指定要件に関する  
ワーキンググループ

資料3

令和8年3月26日

# 今後の小児がん拠点病院等の指定の考え方について

健康・生活衛生局がん・疾病対策課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

# ドラッグラグ・ドラッグロスへの対応

ひと、暮らし、みらいのために



厚生労働省  
Ministry of Health, Labour and Welfare

## 第4期がん対策推進基本計画におけるドラッグラグ・ドラッグロスに関する記載

第4期がん対策推進基本計画において、希少がん・難治性がん・小児がんにおいては、「治療薬の候補が見つかっていても保険診療下で使用できる薬が少ない、参加可能な治験が少ない等、薬剤アクセスの改善が課題となっている。」とされ、ドラッグラグ・ドラッグロスへの対策が必要である。

### 希少がん及び難治性がん対策（抜粋）

#### （現状・課題）

（中略）

また、希少がん及び難治性がんにおいては、治療薬の候補が見つかっていても保険診療下で使用できる薬が少ない、参加可能な治験が少ない等、薬剤アクセスの改善が課題となっている。

#### （取り組むべき施策）

（中略）

国は、希少がん及び難治性がん領域における薬剤アクセスの改善に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討するとともに、希少がん中央機関、拠点病院等、関係学会及び企業等と連携した研究開発を推進する。また、関係学会等と連携した診療ガイドラインの充実を図る。

### 小児がん及びAYA世代のがん対策（抜粋）

#### （現状・課題）

（中略）

また、小児がんにおいては、治療薬の候補が見つかっていても保険診療下で使用できる薬が少ない、参加可能な治験が少ない等、薬剤アクセスの改善が課題となっている。

#### （取り組むべき施策）

（中略）

国は、小児がん領域における薬剤アクセスの改善に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討するとともに、小児がん中央機関、小児がん拠点病院等、関係学会及び企業等と連携した研究開発を推進する。

### 新規医薬品、医療機器及び医療技術の速やかな医療実装（抜粋）

（中略）

しかしながら、諸外国では承認されているものの国内において未承認の医薬品が増加しているなど、小児がんや希少がん領域に留まらない薬剤アクセスの改善が課題となっている。

## ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスの実態

- 2016~2020年に欧米で承認された医薬品のうち、2023年3月時点で日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は143品目。
- そのうち、そもそも開発未着手で、承認申請すらなされない医薬品が86品目（60.1%）。

### ⇒ ドラッグラグ・ロスの発生

- 開発未着手の86品目は、ベンチャー※1発の医薬品やオーファン、小児※2の割合が大きい。

※1：日本に開発拠点を有さない企業が多く、日本の薬事制度等を把握していない可能性が高い。

※2：市場規模が小さい等の理由から、開発が進みづらい。

### 日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）	
			開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	143	57	<b>86</b> (品目)

### 日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	希少疾病用医薬品 (オーファン)	小児用医薬品
<b>56</b> % (48品目)	<b>47</b> % (40品目)	<b>37</b> % (32品目)

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

## ドラッグロス解消に向けた対応

- 開発未着手の医薬品86品目について、国が能動的に企業への開発要請等を行う枠組みを構築。
- 具体には、
  - ① まず国において、国内開発未着手の医薬品の情報整理を行い、
  - ② 未承認薬・適応外薬検討会議において、それらの医薬品の医療上の必要性を判断、
  - ③ それを踏まえ、国から企業への開発要請や開発企業の公募を行う。

※仮にこの開発要請に従わない場合には、薬価算定加算を付与しない等のディスインセンティブを設けて対応。

従来のルート

学会・患者会等からの  
未承認薬・適応外薬の要望



新規ルート

①国内開発未着手の医薬品について、国が情報を整理

※令和6年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」において、医薬品のデータ整理、関連学会へニーズ調査、市場性調査、開発の優先順位付け等を実施



②医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（医療上の必要性を判断）



③企業に対して開発要請

③開発企業を公募

企業による治験の実施等

※国立がん研究センターが相談窓口となり、臨床研究中核拠点病院、がんゲノム医療中核拠点病院等、小児がん拠点病院等が希少がん、小児がん等の領域の開発に協力

アカデミア  
の研究開発



薬事承認申請

# 抗悪性腫瘍剤のドラッグラグ・ドラッグロス品目（8品目）の対応状況

2023年3月時点で国内開発未着手だった86品目のうち、抗悪性腫瘍分野は8品目であった。領域別では希少疾病に5品目、小児に2品目が該当し、このうち「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」で医療上の必要性が高いと判断された品目について、企業への開発要請等がなされている。

販売名 (一般名)	効能・効果	小児	希少 疾病	企業への開発要請・公募状況	開発・承認状況
AYVAKIT (アバプリチニブ)	胃腸間質腫瘍(GIST) (PDGFRAのエクソン18に特定の変異を有する)	—	○	企業募集中 (現時点までに申出企業なし)	—
DANYELZA (ナキシタマブ)	神経芽細胞腫	○	○	開発要請済み (ノーベルファーマ)	第I相試験実施中
QINLOCK (リプレチニブ)	進行性消化管間質腫瘍	—	○	開発要請予定	—
ASPARLAS (カラスパルガーゼペゴル)	急性リンパ性白血病(ALL)	○	○	検討会議* <sup>1</sup> における評価のために 必要な情報を整理中	—
MARGENZA (マルゲツキシマブ)	HER2 乳がん	—	—	要請・公募はしない (第66回検討会議* <sup>1</sup> で医療上の必要性の基準に該当しないと判断)	—
TOOKAD (パデリポルフィン)	前立腺がん	—	—	要請・公募はしない (調査事業* <sup>2</sup> で開発の必要性が低いと判断)	—
LUMOXITI (モキセツモマブ パストクス)	有毛細胞白血病(HCL)	—	○	要請・公募はしない (調査事業* <sup>2</sup> で開発の必要性が低いと判断)	—
TRODELVY (サシツズマブ ゴビテカン)	トリプルネガティブ乳がん	—	—	調査事業* <sup>2</sup> 時点で開発中 (ギリアド・サイエンシズ)	承認済み (令和6年9月)

\*1: 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

\*2: 令和6年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」研究班

# 小児がん拠点病院等の見直しについて



# 小児がん拠点病院等の現行体制の課題及び見直しの方向性（案）

## 現状・課題

（2040年を見据えた小児がん医療提供体制）

- 小児がん罹患者数予測では、2040年に1,589人と、2025年の1,865人から15%減少することが推計されている。
- 小児（15歳未満）のがんによる死亡者数及び年齢調整死亡率は減少傾向で、治療成績が向上しており、小児がん経験者が増えているため、晩期合併症の影響を最小限に抑えるための長期フォローアップが重要である。
- 令和7年8月にとりまとめられた「2040年を見据えたがん医療提供体制の均てん化・集約化に関するとりまとめ」において「小児がん・希少がんの中でも特に高度な専門性を有する診療等については、国及び地域ブロック単位で集約化することが望ましい」とされている。

（小児がん医療提供体制の整備状況）

- 小児がん患者とその家族が安心して適切な医療や支援を受けられるような環境の整備を目指して、全国に15箇所の小児がん拠点病院、2箇所の小児がん中央機関を整備し、小児がん診療の一定程度の集約化と小児がん拠点病院を中心としたネットワークによる小児がん診療体制の整備を進めてきた。
- 小児がん拠点病院は地域ブロックごとに整備されており、その役割は「地域における小児がん医療及び支援を提供する中心施設として、地域ブロック協議会の中心を担い、地域全体の小児・AYA世代のがん医療及び支援の質の向上に資する」とされている。
- 地域の小児がん医療を担う施設として小児がん連携病院が全国に142箇所指定されているが、その提供体制の確保における都道府県の位置づけが不明確である。
- 持続可能ながん医療の提供に向け、拠点病院等の役割分担を踏まえた集約化を推進する必要があるが、小児がんにおいては年間初回治療開始数1～2例の医療機関が全国に100以上存在している。

（ドラッグラグ・ドラッグロスへの対応）

- 第4期がん対策推進基本計画において、希少がん・小児がん等においては、「治療薬の候補が見つかっていても保険診療下で使用できる薬が少ない、参加可能な治験が少ない等、薬剤アクセスの改善が課題となっている。」とされ、ドラッグラグ・ドラッグロスへの対策が必要である。
- 米FDA・欧EMA（以下、FDA等）承認に向けた国際共同試験への早期参画、FDA等既承認で国内未承認薬の薬剤ごとの最適な国内開発方針の検討、早期相開発のための国内ネットワーク確保と、海外および国内に向けた希少がん・小児がん等の薬剤開発の窓口の明確化が必須である。

## 見直しの方向性（案）

- 小児がん患者が、どの都道府県においても適切な診断・治療にアクセスできるように、各都道府県の診療の拠点となる病院（**都道府県小児がん拠点病院**）の位置づけを明確化してはどうか。都道府県小児がん拠点病院は治療方針を決定し、他施設と連携しながら標準的な治療を提供するとともに、都道府県における小児がん医療連携体制の確保、人材育成、院内がん登録の実施、長期フォローアップの医療連携体制の確保等を中心に指定要件を定めてはどうか。指定に当たっては、各都道府県の推薦をもとに原則1箇所指定することとしてはどうか（都道府県内の役割分担が明確であれば複数指定も可とする）。
- 地域における小児がん患者もしくは小児がん経験者の医療・支援を担うもしくは放射線治療等の特定の治療を行う医療機関として、都道府県小児がん拠点病院が**小児がん連携医療機関**を指定し、都道府県小児がん拠点病院とD to Dオンライン等で連携することや、地域の長期フォローアップ体制を拠点病院と連携して実施すること、放射線治療等の特定の治療を行う等を中心にその指定要件を定めてはどうか。
- **小児がん拠点病院**の役割を、高度な専門性を有する診療等を提供でき、ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に貢献する病院、と見直してはどうか。指定要件としては、ブロックの枠組みを超えて専門人材の育成、都道府県小児がん拠点病院の支援、集学的治療の提供（放射線治療は他医療機関と連携でも可）、治験への参加等を中心に定めてはどうか。また、小児がん拠点病院のうち国際共同治験の推進や医療技術の開発を行い、治験・臨床試験に関する情報提供及び相談支援等を担う拠点的機能や中央診断体制を充実させた、我が国の小児がん医療・支援を牽引する病院を**小児がん中央機関**として位置付けてはどうか。

## (参考) 小児がん拠点病院等における課題の整理

目指すべき方向性	現状・課題	解決策
2040年を見据えた、持続可能な質の高い小児がん医療提供体制の確保	<p>地域の小児がん医療を担う施設として小児がん連携病院が全国に142箇所指定されているが、その提供体制の確保における都道府県の位置づけが不明確である。</p> <p>小児がん年間初回治療開始数1～2例の医療機関が全国に100以上存在している。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>小児がん拠点病院を、診療の拠点として集学的治療を行う医療機関（放射線治療は他医療機関と連携可）として位置づける。</li> <li>都道府県小児がん拠点病院を指定し、小児がん患者が、どの都道府県においても適切な診断・治療にアクセスできるように、各都道府県の診療の拠点となる病院として位置づける。</li> <li>都道府県小児がん拠点病院が指定する小児がん連携医療機関を指定し、放射線治療等の特定の治療を行う医療機関として位置づける。</li> </ul>
小児がんにおける長期フォローアップの充実	治療成績が向上しており、小児がん経験者が増えているため、晩期合併症の影響を最小限に抑えるための長期フォローアップが重要である。	<ul style="list-style-type: none"> <li>都道府県小児がん拠点病院を小児がん患者が各都道府県において長期フォローアップの医療連携体制の確保を行う病院として位置づける。</li> <li>都道府県小児がん拠点病院が小児がん連携医療機関を指定し、地域における小児がん患者もしくは小児がん経験者の医療・支援を担う医療機関として位置づける。</li> </ul>
がん領域におけるドラッグラグ・ドラッグロスの解消	令和5年3月時点で国内開発未着手だった86品目のうち、抗悪性腫瘍分野は8品目であり、領域別では希少疾病に5品目、小児に2品目が該当している。	<p>小児がん拠点病院を、高度な専門性を有する診療等を提供でき、ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に貢献する病院として、国際共同治験の推進等を行い、我が国の小児がん医療を牽引する高度な機能を有する医療機関として位置づける。</p> <p>企業による治験が進むように、国立がん研究センターが相談窓口となり、臨床研究中核拠点病院、小児がん拠点病院等が小児がん等の領域の開発に協力する。</p>

# 小児がん拠点病院等の見直しの方向性（イメージ）

## 現行

類型名	求められる役割
小児がん中央機関 ※国が指定	日本における小児がん医療・支援の牽引 国立成育医療研究センターと国立がん研究センターを指定  (主な指定要件) <ul style="list-style-type: none"> <li>人材育成の中心(医師・看護師等)</li> <li>研究開発及び臨床研究の推進・支援</li> <li>診断支援(放射線・病理診断等)</li> </ul>
小児がん拠点病院 15箇所 (中央機関と兼ねることも可能) ※国が指定	地域における小児がん医療・支援の中心 難治、再発例を含む小児がんに対する集学的治療を行う  (主な指定要件) <ul style="list-style-type: none"> <li>集学的治療の提供体制及び標準的治療等の提供</li> <li>年間新規症例数30以上</li> <li>放射線療法に関する機器の設置</li> <li>緩和ケア・地域連携の提供</li> </ul>
小児がん連携病院 142箇所 ※小児がん拠点病院を中心とする地域ブロック協議会で指定	地域の小児がん医療の集約を担う  類型1 標準治療が確立しているがん種について、拠点病院と同等程度の医療を提供する 類型2 集約すべき特定のがん種の診療や、限られた施設でのみ実施可能な治療を行う 類型3 長期フォローアップを担う  (主な指定要件) <ul style="list-style-type: none"> <li>拠点病院に準じる</li> </ul>

## 見直し後

類型名	求められる役割
小児がん拠点病院 ※国が指定 ブロック毎の指定なし	国の拠点として、小児がん医療・支援の中心を担う。また全国の拠点としてドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けて、国際共同治験の推進や医療技術の開発を行うなど、我が国の小児がん医療・支援を牽引する。その中で中心的な役割を担う中央機関として国立成育医療研究センターと国立がん研究センターを指定する。 (主な指定要件) <ul style="list-style-type: none"> <li>専門人材の育成</li> <li>都道府県小児がん拠点病院の支援</li> <li>集学的治療の提供（放射線治療は他医療機関と連携可）</li> <li>治験への参加 (以下は中央機関のみ)</li> <li>中央診断体制の一層の充実</li> <li>国際共同治験の推進や医療技術の開発</li> <li>相談支援体制を含めた情報発信機能の強化</li> </ul>
都道府県小児がん拠点病院 ※国が指定。見直し後は、都道府県の推薦のもと原則1カ所指定する（都道府県内の役割分担が明確であれば複数指定も可とする）	都道府県の拠点として、都道府県における小児がん医療・支援の中心  (主な指定要件) <ul style="list-style-type: none"> <li>治療方針を決定し、他施設と連携しながら標準的な治療を提供 ※都道府県小児がん拠点病院は小児がん拠点病院と兼ねることも可</li> <li>人材育成</li> <li>院内がん登録の実施 ※経過措置を設ける</li> <li>長期フォローアップの医療連携体制の確保</li> </ul>
小児がん連携医療機関 ※都道府県小児がん拠点病院が指定	地域における小児がん患者もしくは小児がん経験者の医療・支援を担う  (主な指定要件) <ul style="list-style-type: none"> <li>都道府県小児がん拠点病院とD to Dオンライン等で連携</li> <li>地域の長期フォローアップ体制を拠点病院と連携して実施もしくは</li> <li>放射線治療等の特定の治療を行う</li> </ul>

## 今後のスケジュール(案)

- 次期小児がん拠点病院等の整備指針改定ならびに指定にあたっては、以下のようなスケジュールを進めてはどうか。

### ◆ 小児がん拠点病院等の指定に向けたスケジュール

	令和8年												令和9年			
	月	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	1	2	3	4~	
WG開催(本WG・指針改定の論点出し)		■														
WG開催(学会等ヒアリング)				■												
WG開催(改定指針案提示)					■											
がん診療提供体制のあり方に関する検討会 (WGからの報告)						■										
新整備指針公表						■										
新現況報告書様式配布							■									
新現況報告書の提出(都道府県からの推薦)									■	(※)						
新現況報告書の集計(都道府県への照会)(※)										■	■	■				
小児がん拠点病院等の指定に関する検討会														■		
新指定類型の適用開始															■	

(※)10月末日までに提出される新規指定推薦書及び現況報告書において、未充足の要件がある等の不備が認められる場合、厚生労働省は都道府県に対し、12月末日までを期限として、補正を求めることとする。不備が補正されない場合、新規指定の推薦は拒否される。また、10月末日～12月末日の間に、要件の充足が新たに確認された場合、都道府県は厚生労働省に対し、所定の書類を提出することとする。