

**小児・AYA世代のがん及び希少がんを対象とした海外臨床研究動向調査  
～支持療法及び晩期合併症に関する追加調査～**

2023年3月31日

# 議題・目次

---

1. サマリー	P. 3
2. 背景	P. 5
3. 実施した分析・手順	P. 7
4. 分析結果	P. 14
5. Appendix	P. 27

---

# 1. サマリー

## 背景

- 国内の小児・AYA世代・希少がんの研究開発を推進するために海外の臨床研究実施状況を理解し、国内の状況と比較することで日本の強みや課題を整理できると考えられる一方、これらを対象とした臨床研究に関する公開情報は規模が小さいこともあり、体系的に整理されていなかったことを鑑み、令和4年に「小児・AYA世代のがん及び希少がんを対象とした海外臨床研究動向調査」（以下、令和4年調査という）を実施し、海外の小児・AYA世代及び希少がんの臨床試験実施状況を体系的に整理の上、傾向を分析した
- 当追加調査は、上記の調査として、支持療法および晩期合併症の領域に関する海外研究の切り口を明らかにし、可視化することで、AMEDが今後支援すべき研究について示唆を得ることを目的に実施された

## 実施事項

- 令和4年調査にて抽出した支持療法・晩期合併症を対象とした試験について、以下を分類した
  - 試験の目的
  - 介入等の手法
  - 対象合併症（晩期合併症のみ）
- 分類した試験を対象年齢（小児・AYA世代）、希少がんの有無、実施国、開始年等を軸に可視化し、傾向を抽出した

## 調査結果（抽出した主要な傾向）

- 支持療法対象の試験に関する海外動向
  - 合併症の治療・緩和・予防を目的とした試験だけではなく、身体機能の改善、疲労、精神的苦痛、神経障害、認知機能に関わる試験が幅広く、特に北米や欧州を中心に実施されている
  - 小児を対象とした試験は目的に偏りがなく、幅広く実施されている
  - AYA世代を対象とした試験も幅広く実施されているが、神経障害・認知機能に関連した試験が比較的多い
  - 希少がんを対象とした試験は治療・緩和・予防を目的とした試験が多い
- 晩期合併症対象の試験
  - QOL向上、治療後のケア評価、治療方法の評価、診断及び予防、病態の理解を目的としている試験が多い
  - 支持療法に関連した試験と比較し米国の割合は低いが、北米と欧州を中心に実施されている
  - 特定の合併症を対象としていない試験が多い。特定の合併症に着目している試験については認知機能や心理的不安（抑うつ症状含む）に関わる合併症が扱われていることが多い

## 2. 背景

### 本事業背景・目的

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下AMED）の「革新的がん医療実用化研究事業」において国内の小児・AYA世代及び希少がんの研究を推進するために海外の臨床研究実施状況（支持療法・晩期合併症対象）を整理した

#### 【背景】

- 厚生労働省の「がん研究10か年戦略」では「ライフステージやがんの特性に着目した重点研究」に着目しており、小児・AYA世代及び希少がんの治療開発の強化が求められている
- 小児・AYA世代・希少がんいずれも研究開発に関する課題があり、必ずしも治療法の開発が進んでいない
- 国内の小児・AYA世代・希少がんの研究開発を推進するために海外の臨床研究実施状況を理解し、国内の状況と比較することで日本の強みや課題を整理できると考えられる一方、これらを対象とした臨床研究に関する公開情報は規模が小さいこともあり、体系的に整理されていなかったことを鑑み、令和4年に「小児・AYA世代のがん及び希少がんを対象とした海外臨床研究動向調査」（以下、令和4年調査という）を実施し、海外の小児・AYA世代及び希少がんの臨床試験実施状況を体系的に整理の上、傾向を分析した

#### 【目的】

- 令和4年調査では支持療法及び晩期合併症を対象とした臨床研究について、研究内容により分類し、傾向を調査した
- 一方で、研究の目的や使用した手法、晩期合併症を対象とした臨床研究について十分に整理ができていなかった
- 当追加調査は、上記を受け、支持療法および晩期合併症の領域に関する海外研究の切り口を明らかにし、可視化することで、AMEDが今後支援すべき研究について示唆を得ることを目的に実施された

### 3. 実施した分析・手順

追加調査の実施事項

海外における特定がん患者に関する支持療法および晩期合併症に対する切り口を整理した

対象データセット

令和4年度調査（2022年3月時点）で抽出済みの臨床研究  
支持療法：290件  
晩期合併症：108件  
※支持療法・晩期合併症どちらにも含まれる重複を含む



実施内容

項目	実施件数	実施事項
支持療法	290件	<ul style="list-style-type: none"><li>支持療法の目的別に試験を分類した</li><li>各試験について、上記目的達成のための手法を記載した</li></ul>
晩期合併症	108件	<ul style="list-style-type: none"><li>晩期合併症治療の目的別に試験を分類した</li><li>各試験について、上記目的達成のための手法を記載した</li><li>対象合併症を分類した</li></ul>

## 支持療法試験の抽出方法（令和4年調査にて実施）

支持療法を扱う試験を抽出するために使用した条件を以下に示す

### 条件1

調査対象範囲の臨床研究である

- 対象疾患
- 2010年以降がStart Date
- 2022年3月にデータ抽出を実施した
- StatusがRecruiting, Active, Completed

### 条件2

- レジストリー上のPrimary PurposeにSupportive Careが含まれる試験
- 試験タイトルに「Supportive Care」が含まれる試験

## 支持療法対象試験の分類

支持療法を含む臨床研究を、目的と手法（介入方法）でそれぞれ分類した

目的分類	件数
合併症の治療・緩和・予防	61
身体機能の改善（運動機能、臓器機能等）	47
QOL評価関連	48
精神的苦痛	41
神経障害・認知機能関連	35
肉体的苦痛（痛み止め関連を含む）	32
疲労関連	23
がん治療の補助（治療前準備・治療効果への影響など）	18
治療副作用管理・軽減・予防	15
介護者へのサポート	12
生殖機能の改善	2
その他	23

※分類はレジストリーに登録されている研究のOfficial Title及びPrimary Purposeを参考に調査担当者が判断することで実施した

手法分類	件数
投与療法（薬剤、ワクチン、細胞含む）	80
運動療法（身体トレーニング、理学療法、マッサージ療法を含む）	51
外科的介入（電気刺激、鍼、レーザー療法を含む）	22
トレーニング（教育的なもの）	26
食事介入（サプリメント含む）	27
認知行動療法	16
デバイス（医療機器、ウェアラブルツール等）	13
心理療法	14
緩和ケア	12
コミュニケーション支援	6
アンケート	6
水分管理	6
エンターテインメント関連療法（音楽、ゲーム、芸術）	6
その他	19

## 晩期合併症試験の抽出方法（令和4年調査にて実施）

晩期合併症を扱う試験を抽出するために使用した条件を以下に示す

### 条件1

調査対象範囲の試験である

- 対象疾患
- 2010年以降がStart Date
- 2022年3月にデータ抽出を実施した
- StatusがRecruiting, Active, Completed

### 条件2

以下のキーワードをタイトルに含んでおり、晩期合併症を扱っている試験と考えられる

- "late effect"
- "long-term effect"
- "sequelae"
- "survivor"

### 条件3

以下のキーワードをタイトルに含んでおらず、再発がんやMRD\*を扱っている試験ではない

- "minimal residual"
- "residual disease"
- "disease residual"

※ Minimal Residual Disease（微小残存病変）

## 晩期合併症対象試験の分類

晩期合併症を含む臨床研究を、目的と手法（介入方法）でそれぞれ分類した

目的分類	件数
治療方法の評価	28
QOL向上	19
病態の理解	19
治療後ケアの評価	18
予防	7
診断	6
その他(治療後の経過観察)	3
不明(試験情報確認不可)	2
治療方法の評価・疾病の治療方法	1
病態の理解/治療方法の評価	1
予防/治療後ケアの評価	1
その他(アドヒアランス調査)	1
その他(医療従事者のコミュニケーション評価)	1
その他(治療後両親によるケアの評価)	1

手法分類	件数
アンケート	11
認知行動療法	2
デバイス(医療機器、ウェアラブルツール等)	7
トレーニング(教育的なもの)	6
医療従事者の教育指導	3
運動療法	14
疫学調査	2
介入試験(薬剤投与、食事と運動による減量)	1
患者や親の自己申告により、睡眠障害の有病率を推定	1
患者状態の評価	26
合併症の有病率調査(慢性腎臓病等の疾病発症報告)	1
食事(サプリメント含む)	1
心理療法	3
投与療法(薬剤、ワクチン含む)	15
その他	13
不明(試験情報確認不可)	2

※分類はレジストリーに登録されている研究のOfficial Title及びPrimary Purposeを参考に調査担当者が判断することで実施した

## 比較化試験の分類

支持療法及び晩期合併症に関する試験がランダム化比較試験かを抽出し分類した

抽出結果	支持療法対象試験の比較試験（総数）		晩期合併症対象試験の比較試験（総数）	
		件数		件数
	Randomized	185	Randomized	35
	Others	103	Others	73

抽出方法	
	<ul style="list-style-type: none"> <li>Clinical Trials.gov (<a href="https://www.clinicaltrials.gov/">Home - ClinicalTrials.gov</a>) のStudy Designに記載されている“Allocation”項目から引用</li> <li>なお、Randomized以外が記載されている試験及びAllocationが記載されていない試験はOthersに分類している</li> </ul>

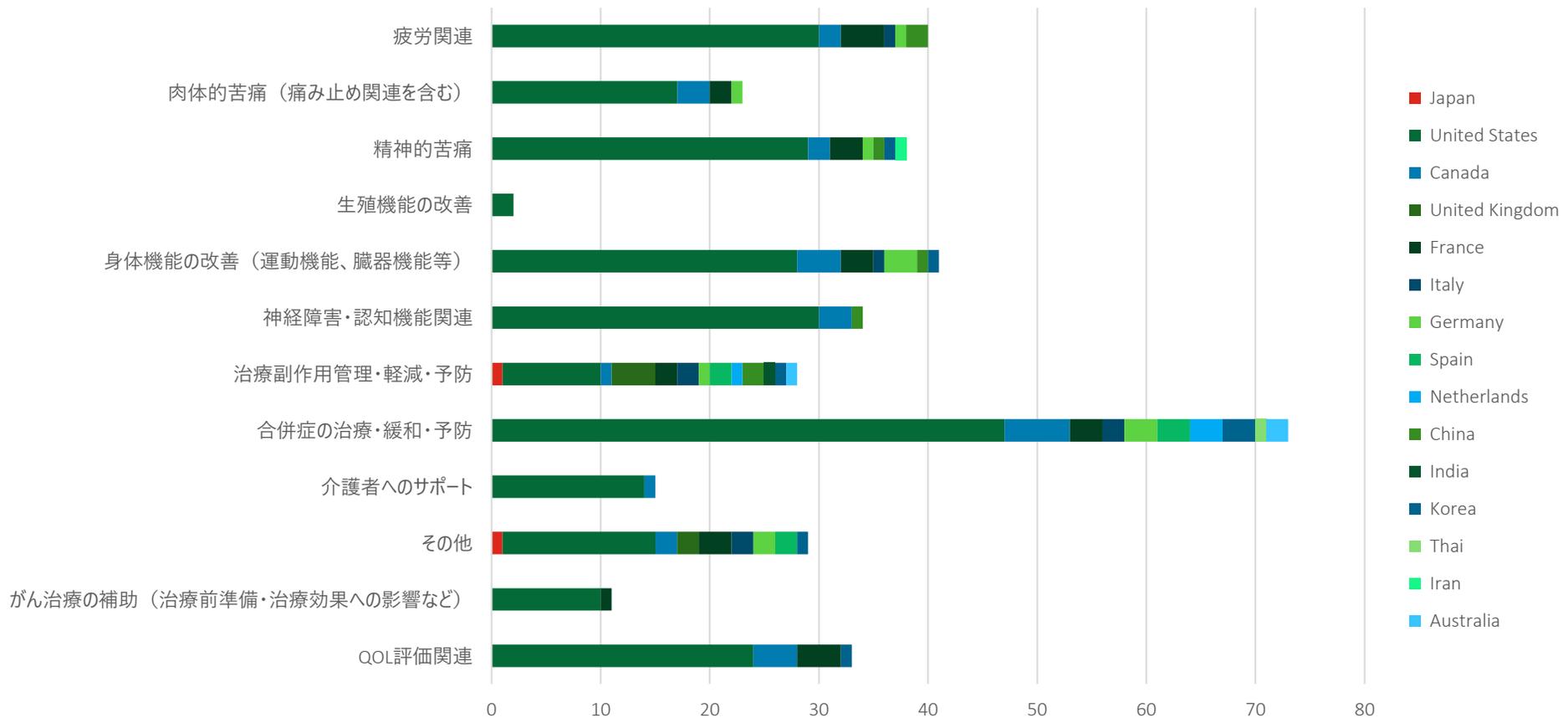
## 4. 分析結果

4. 分析結果  
A) 支持療法

支持療法の分析結果（小児がん・AYA世代のがん、希少がん：国別）

支持療法に関する試験は合併症の治療・緩和・予防を目的とした試験だけではなく、身体機能の改善、疲労、精神的苦痛、神経障害、認知機能に関わる試験も幅広く実施されており、特に北米や欧州に多い

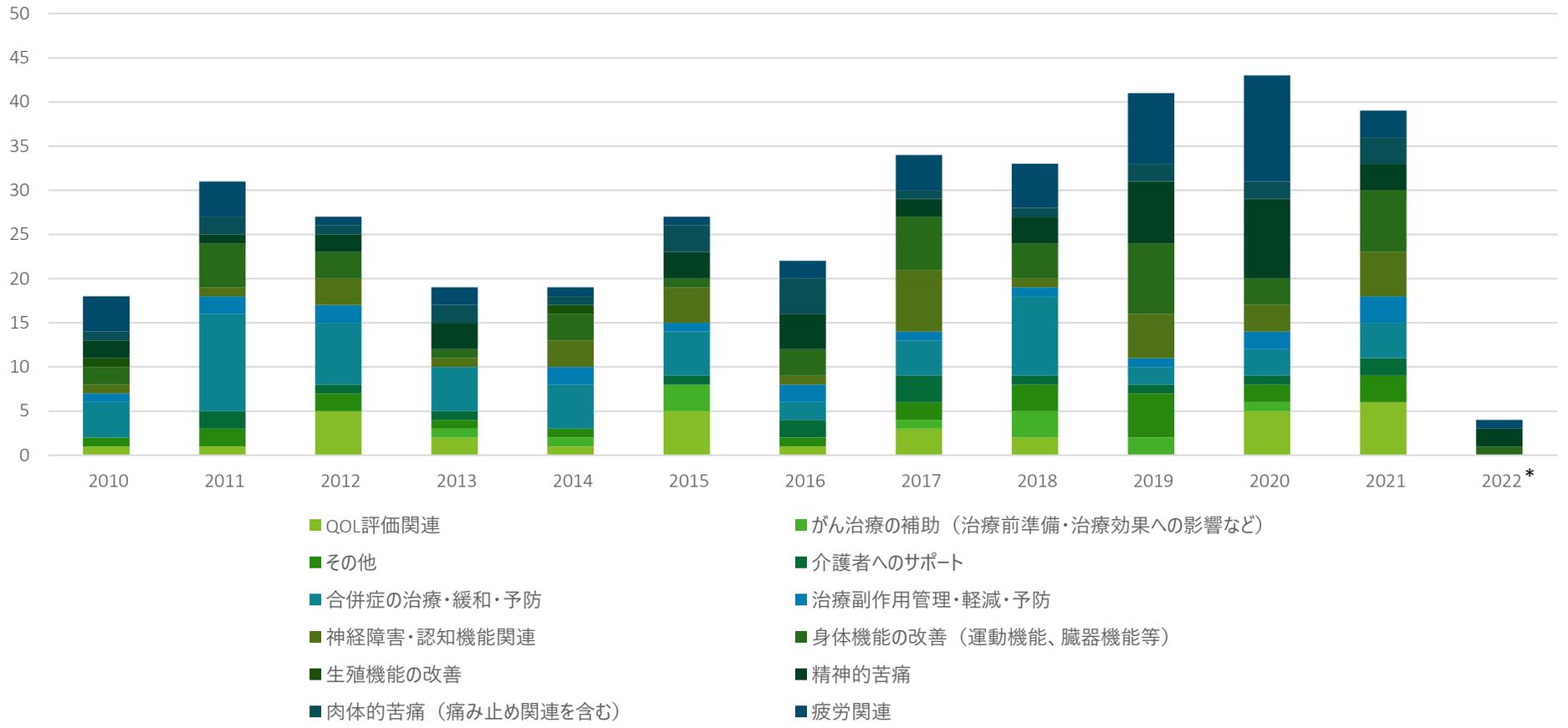
試験・研究の目的（支持療法：国別）



支持療法の分析結果（小児がん・AYA世代のがん、希少がん：時系列）

2020年において最も多く支持療法に関する試験が開始された

試験・研究の目的（支持療法：時系列）



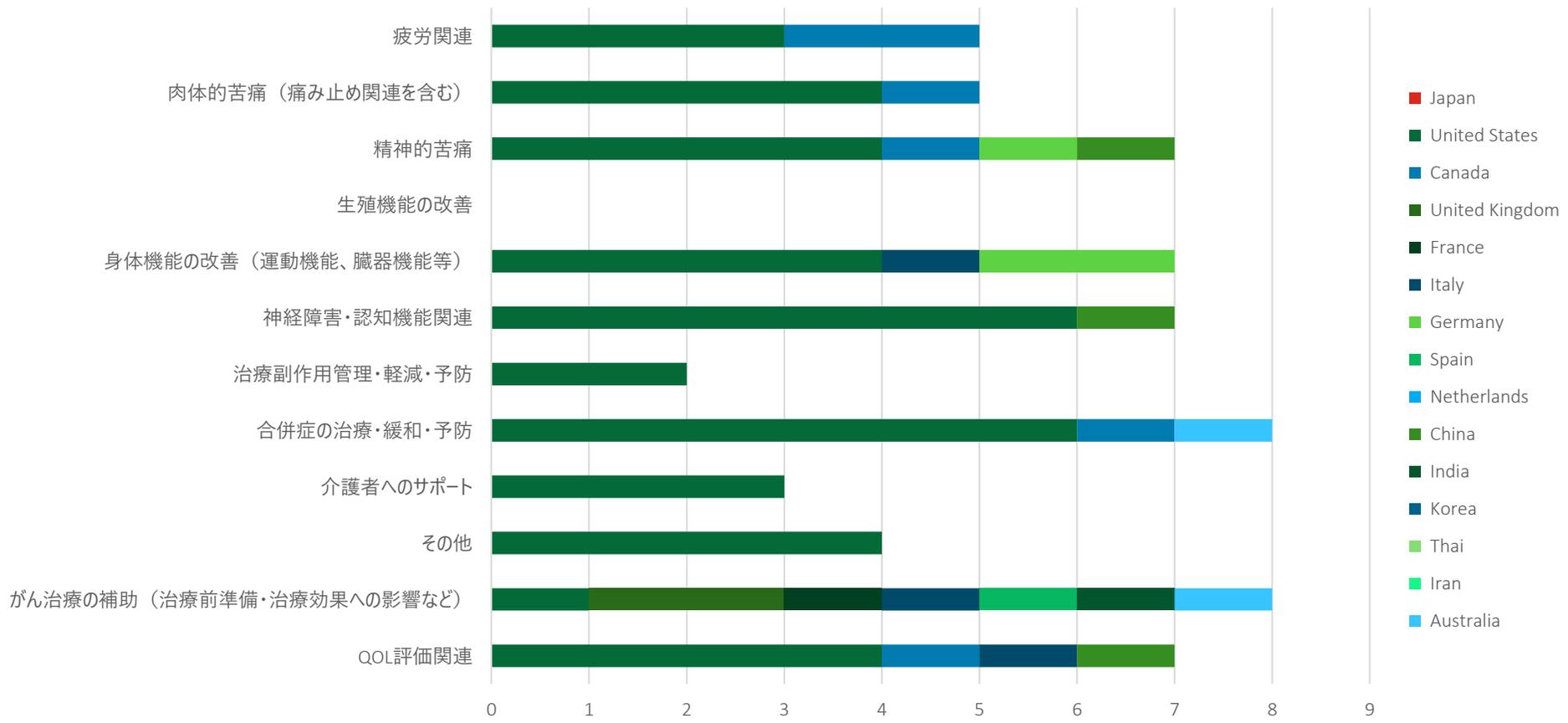
\*2022年3月に取得したデータを集計したため、以降登録された研究情報を含まない

4. 分析結果  
A) 支持療法

支持療法の分析結果（小児がん：国別）

小児がんを対象とした試験は実施件数が少ないものの、幅広いカテゴリで実施されている

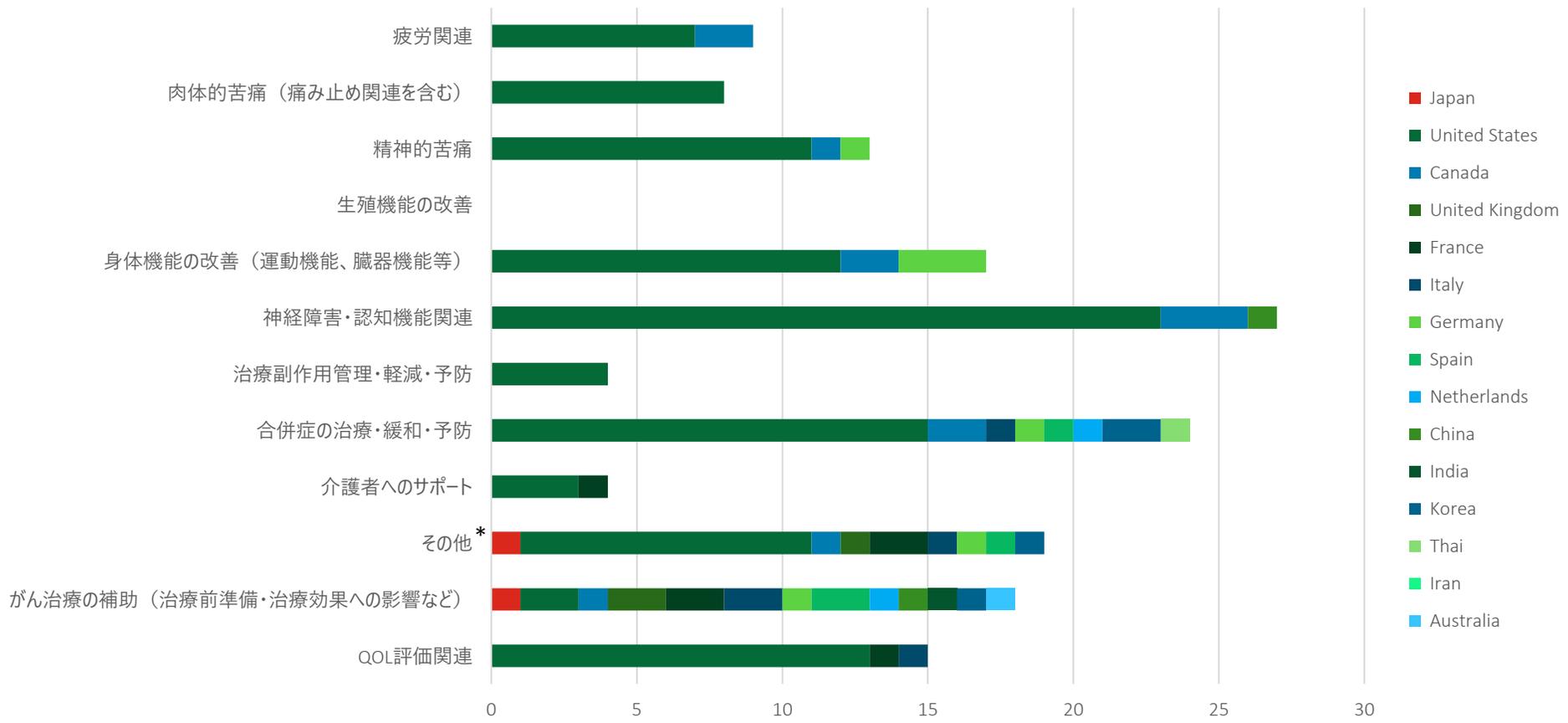
試験・研究の目的（支持療法：国別）



支持療法の分析結果（AYA世代のがん：国別）

AYA世代のがんを対象とした支持療法は多様な試験が実施されており、特に神経障害・認知機能に関連した試験が多く実施されている

試験・研究の目的（支持療法：国別）



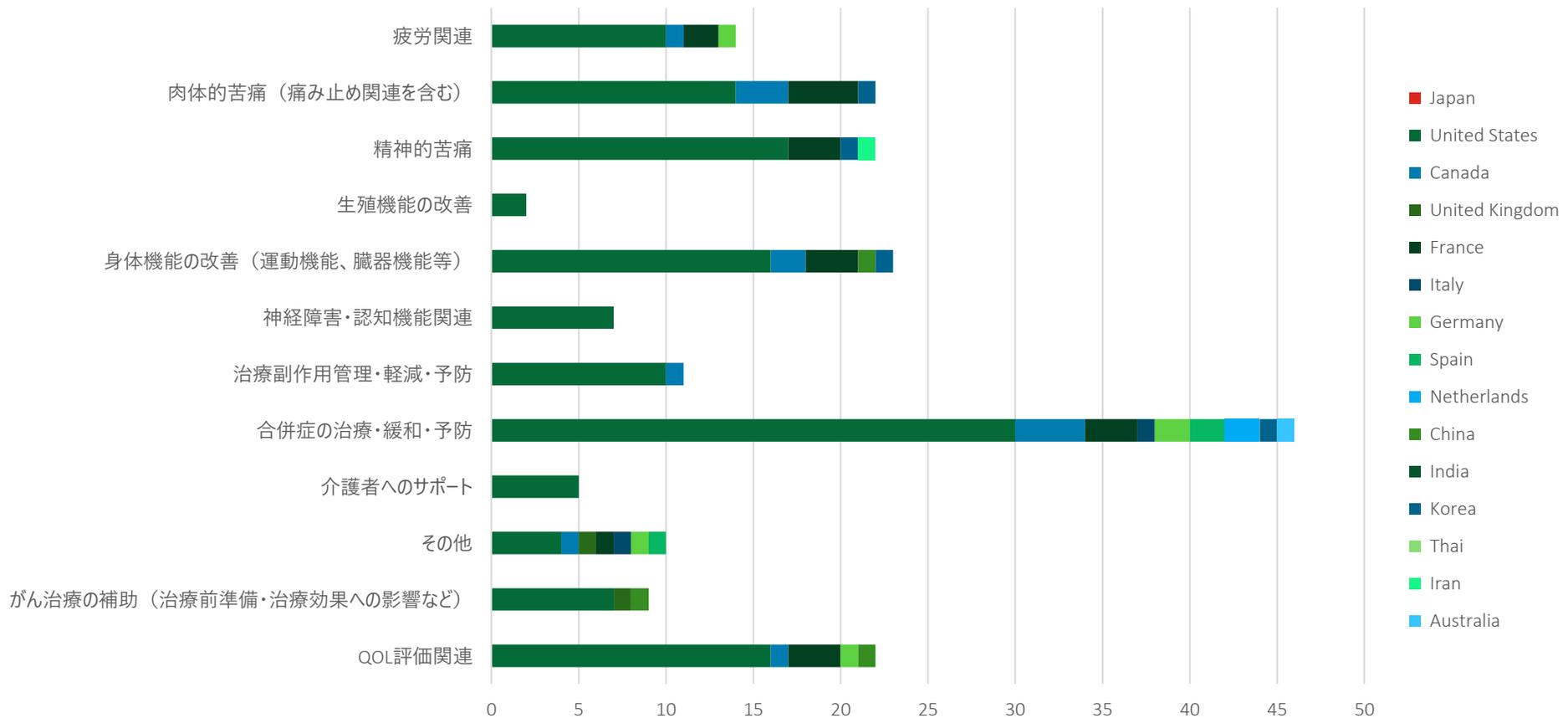
\*日本にて実施された研究はがん進行抑制を目的とした国際共同研究一件

4. 分析結果  
A) 支持療法

支持療法の分析結果（希少がん：国別）

希少がんを対象とした支持療法に関する試験は合併症の治療・緩和・予防を目的とした支持療法に関する試験が多く実施されており、小児がん・AYA世代のがんを対象とした試験に比べ、カテゴリが多様である

試験・研究の目的（支持療法：国別）

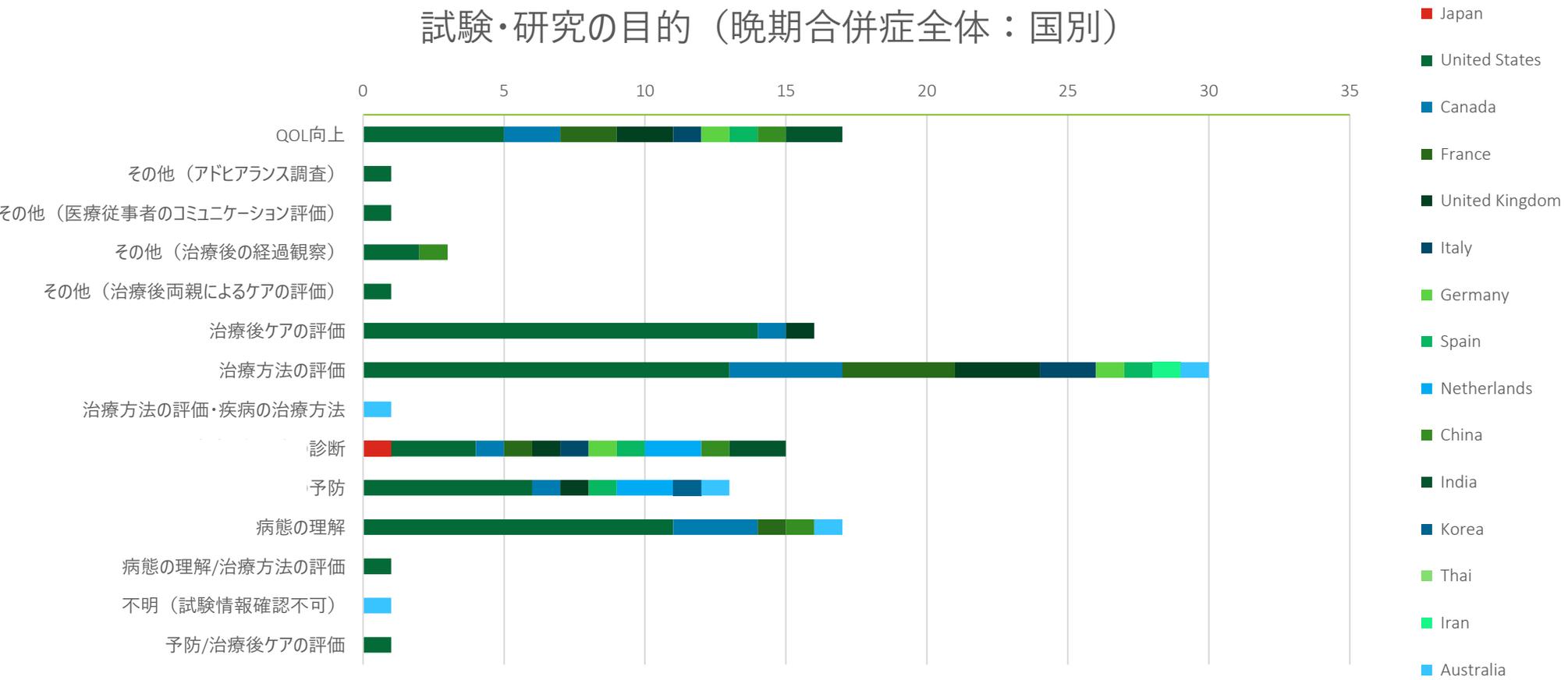


4. 分析結果  
B) 晩期合併症

晩期合併症の分析結果（小児がん・AYA世代のがん、希少がん：国別）

晩期合併症を対象とした試験の目的は主にQOL向上、治療後のケア評価、治療方法の評価、診断及び予防、病態の理解であり、治療方法の評価に関する試験が多い  
支持療法と比較し米国の割合は低い、北米と欧州を中心に実施されている

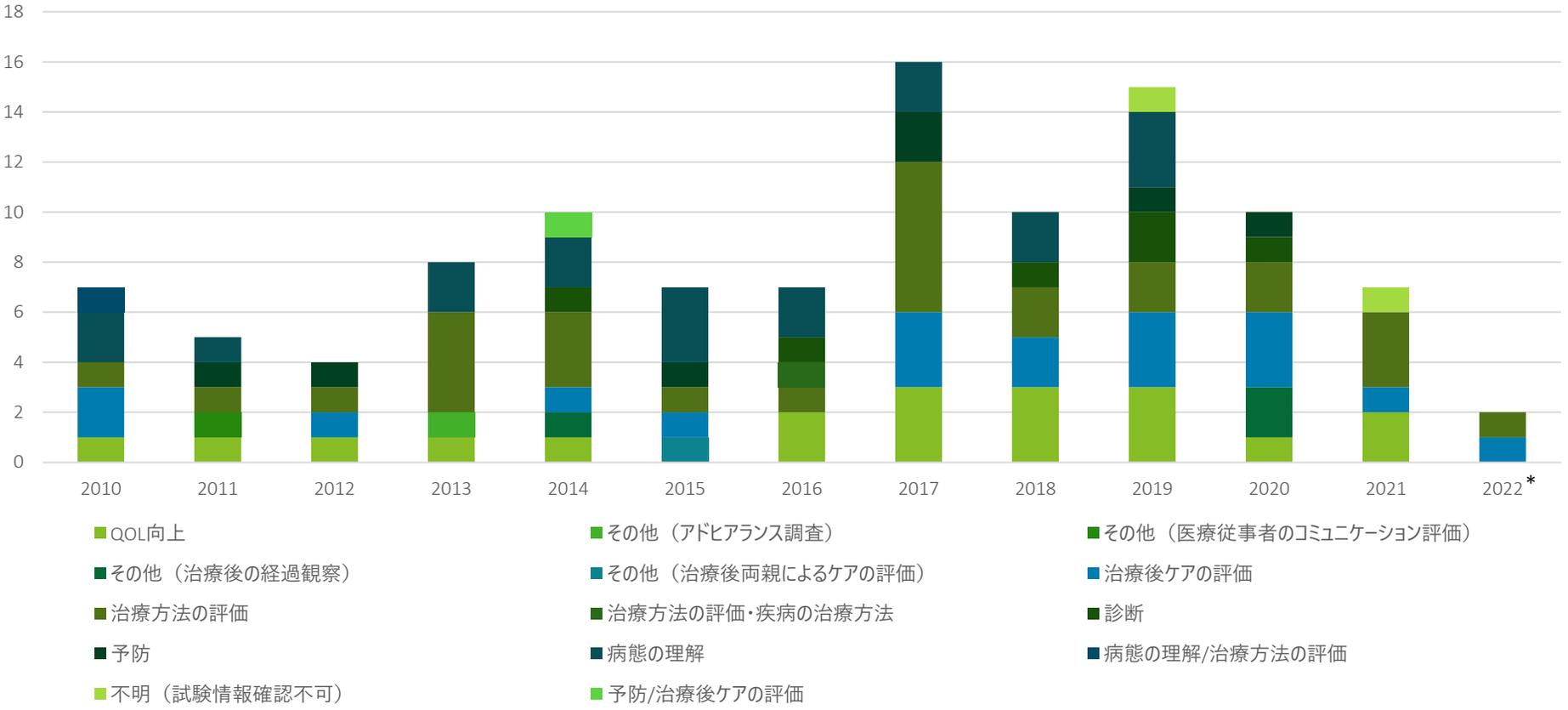
試験・研究の目的（晩期合併症全体：国別）



晩期合併症の分析結果（全体：時系列）

2017年以降、治療後のケアやQOL向上に関する研究が2016年以前に比べて増加している

試験・研究の目的（晩期合併症：時系列）

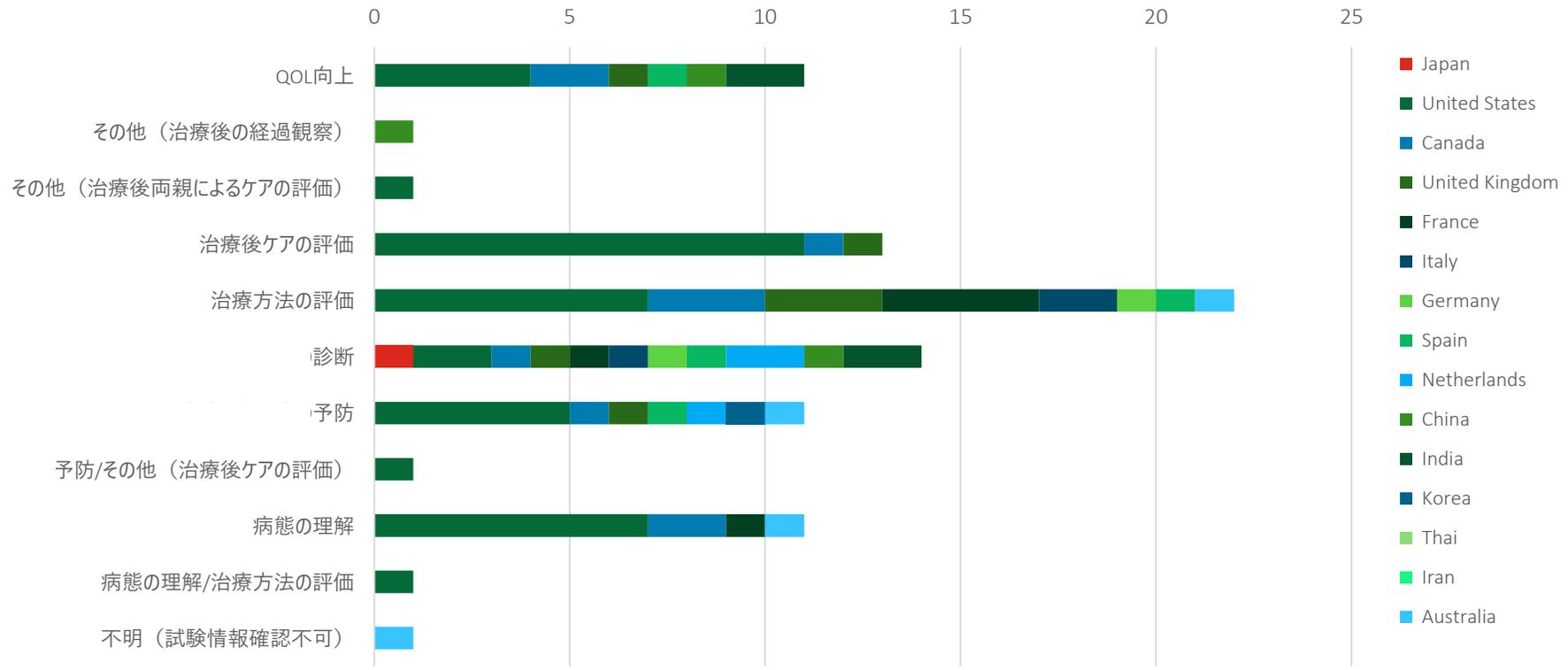


\*2022年3月に取得したデータを集計したため、以降登録された研究情報を含まない

晩期合併症の分析結果（小児がん：国別）

小児がんを対象とした晩期合併症の試験の目的は主に治療方法の評価、診断及び予防、治療後のケア評価、QOL向上、及び病態の理解である

試験・研究のカテゴリ別目的（晩期合併症小児がん：国別）

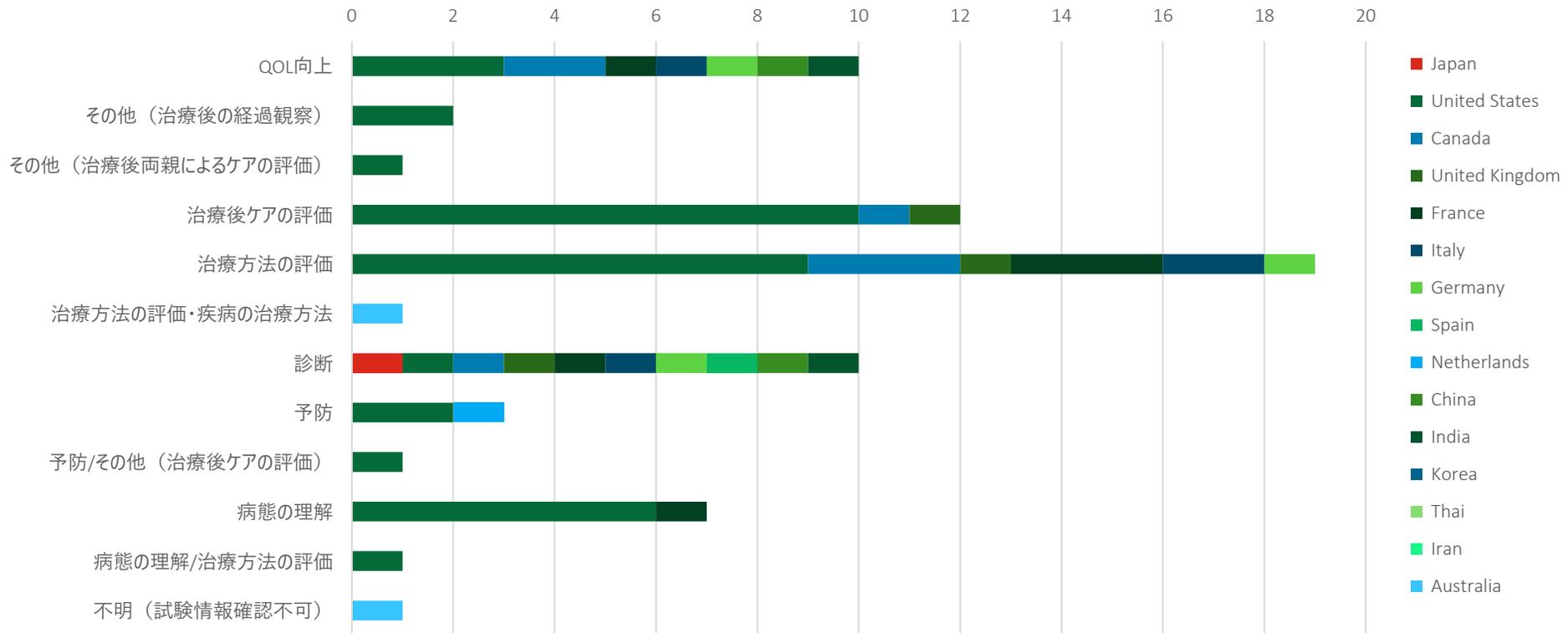


4. 分析結果  
B) 晩期合併症

晩期合併症の分析結果（AYA世代のがん：国別）

AYA世代のがんを対象とした晩期合併症の試験は予防を目的としたものが小児がんの試験と比較して割合が低い

試験・研究のカテゴリ別目的（晩期合併症 AYA世代のがん：国別）

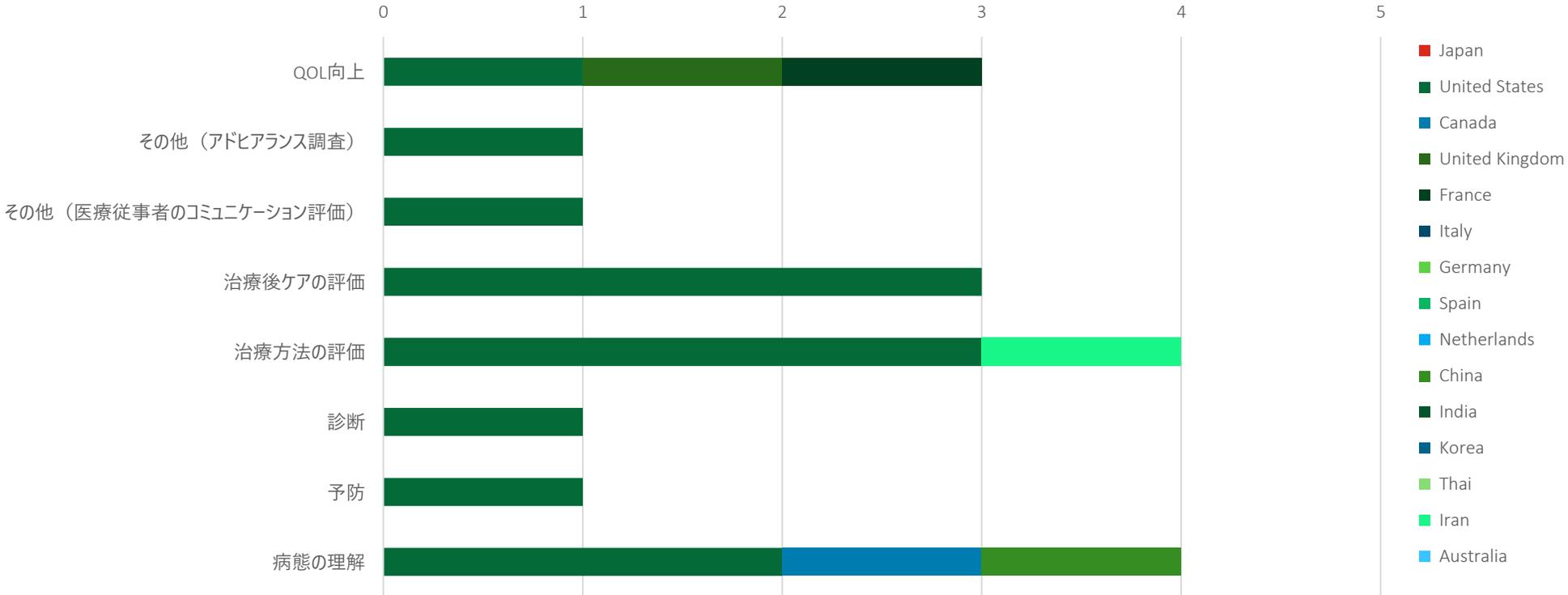


4. 分析結果  
 B) 晩期合併症

晩期合併症の分析結果（希少がん：国別）

希少がんを対象とした晩期合併症に関する試験は実施件数が少ないが、米国では多様な試験が実施されている

試験・研究のカテゴリ別目的（晩期合併症希少がん：国別）



4. 分析結果  
B) 晩期合併症

晩期合併症の分析結果（全体、小児がん、AYA世代のがん、希少がんの合併症の分類）

特定の合併症を対象としていない試験が多い。対象の症状が指定されている試験については小児・AYA世代で認知機能障害に関わる合併症が扱われていることが多い

分類	合併症	試験・研究数
全体	特定の合併症を対象としない	61
	脳神経・認知機能障害	15
	肥満・肥満リスク高	5
	その他	27
小児	特定の合併症を対象としない	38
	認知機能障害	13
	複数合併症	2
	その他	22
AYA	特定の合併症を対象としない	34
	認知機能障害	12
	抑うつ症状	3
	その他	16
希少	特定の合併症を対象としない	20
	倦怠感	2
	心理的不安	1
	その他	11

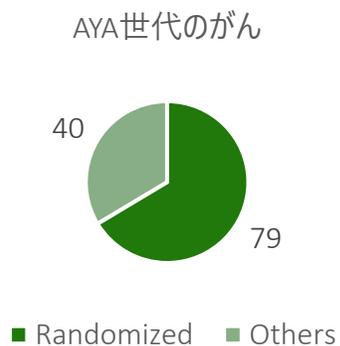
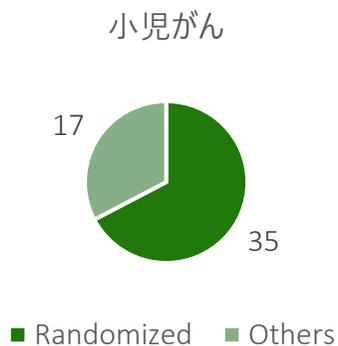
※上位2合併症分類（脳神経・認知機能障害、肥満・肥満リスク高）のみを記載

### 比較化試験の分類

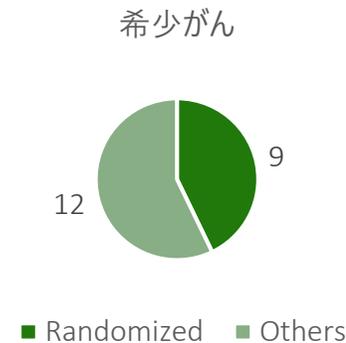
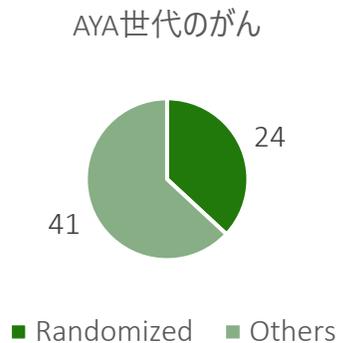
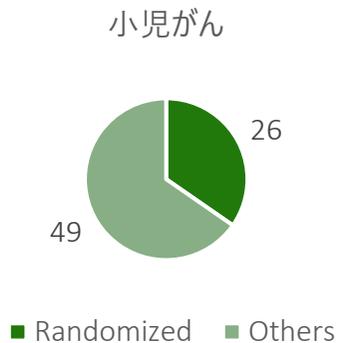
支持療法を目的とした試験ではランダム化比較試験（RCT）の割合が大きく、晩期合併症を対象とした研究ではランダム化比較試験以外が半数以上を占めている

Randomized：ランダム化比較試験

#### 支持療法の試験



#### 晩期合併症の試験



# 5. Appendix

## 情報収集・分析の実施手順 (1/3)

令和4年調査の情報収集及び分析は以下の手順で実施した

分析名	手順	備考・制限
対象疾患の定義	<p>小児・AYA世代及び希少がんで対象とする疾患の範囲を定義するため、Clinical Trials.gov (<a href="https://clinicaltrials.gov">Home - ClinicalTrials.gov</a>) を参考に臨床試験レジストリーの検索キーワードを疾患毎に作成した</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>小児・AYA世代のがんについては当プロジェクト仕様にて指定されているがんのリストから類義語リストを作成した</li> <li>希少がんについてはRARECARENet (<a href="https://ecpc.org/policy/rarecarenet/">https://ecpc.org/policy/rarecarenet/</a>) にてTier 2として定義されている疾患を対象に体の部位とがん種の組み合わせの類義語リストを作成し、各希少がんの検索対象とした</li> </ol>	<ul style="list-style-type: none"> <li>小児・AYA世代のがんに関するキーワードリストはP.35-38参照</li> <li>希少がんに関するキーワードリストについてはP.39-42参照</li> <li>いずれも抜け漏れを防ぎつつ疾患と無関係な試験情報を抽出しないようにキーワードの定義を実施したが、抽出結果の分類が困難な上、目視で全結果を確認していないため、分類が一部不正確な可能性がある</li> </ul>
情報収集	<p>各臨床試験レジストリー・研究グループから情報を取得するためのプログラムを作成し実行した</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>情報収集方法はレジストリーにより異なるが、基本方針としては上記にて定義した疾患検索キーワードをすべて用い、各疾患について複数回検索を実施し、試験IDを取得の上重複IDを削除した</li> <li>取得したIDに関連する各臨床試験の情報を抽出し、該当するデータベース項目に格納した</li> <li>研究グループについては実施している臨床試験リストやサーチを各疾患名で検索もしくは目視確認し、臨床試験レジストリーに登録されていない試験情報を試験IDで識別し、個別に情報を取得した上でデータベースに追加した</li> </ol>	<ul style="list-style-type: none"> <li>対象とした臨床試験レジストリーはP.43参照</li> <li>対象とした研究グループはP.45, 46参照</li> <li>レジストリーにより登録されている項目や項目の内容・粒度が異なるため、複数のレジストリー情報を分析する際に偏った索引がされている可能性がある</li> </ul>

## 情報収集・分析の実施手順 (2/3)

令和4年調査の情報収集及び分析は以下の手順で実施した

分析名	手順	備考・制限
晩期合併症分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>• タイトルに“late effect” “survivor” “long-term effect” “sequelae”を含み、Minimal Residual Diseaseに関連したキーワードを含まない試験を抽出し、以下のカテゴリで分類した               <ul style="list-style-type: none"> <li>Category 1 : 臨床試験の対象者で分類                   <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Patient : 現行がん患者</li> <li>2. Survivor : がん生存者 (survivor)</li> </ol> </li> <li>Category 2 : 臨床試験の目的で分類                   <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Evaluation : 晩期合併症の評価</li> <li>2. Prevention : 晩期合併症の予測</li> <li>3. Treatment : 晩期合併症の治療</li> <li>4. Care : 晩期合併症のケア</li> <li>5. Others : 上記以外</li> </ol> </li> <li>Category 3 : カテゴリ 2 のPrevention、Treatment、Careの詳細を細分類</li> </ul> </li> <li>• 国 (主要国)、疾患、Start Date、及び上記カテゴリ別に集計した</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• カテゴリ 3 は今回の収集詳細が明示されている場合のみ記載しており、全てのPrevention、Treatment、Careに対しては細分類を実施できていない</li> <li>• 試験の抽出条件については分析ページに記載している</li> </ul>

情報収集・分析の実施手順 (3/3)

令和4年調査の情報収集及び分析は以下の手順で実施した

分析名	手順	備考・制限
支持療法分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>• タイトルに“supportive care”を含む、もしくはレジストリー上のPrimary Purpose項目がsupportive careである試験を抽出し、以下のカテゴリーで分類した             <ul style="list-style-type: none"> <li>Category 1 : 支持療法の種類で分類                 <ul style="list-style-type: none"> <li>• Cell therapy : 幹細胞治療、CAR-T療法など</li> <li>• Cognitive therapy : 認知行動療法、コーチングなど</li> <li>• Device : 神経刺激装置、鍼灸など</li> <li>• Digital Application : モバイルアプリ、ゲームなど</li> <li>• Drug : 薬剤治療全般</li> <li>• Food/Supp晩期合併症ment : 食事療法、サプリ摂取など</li> <li>• Oral care : 口腔ケア全般</li> <li>• Palliative care : 緩和ケア</li> <li>• Physical therapy : 運動療法、ヨガなど</li> <li>• Radiotherapy : 放射線治療</li> <li>• Surgery : 外科的手術全般</li> <li>• Transfusion : 輸血療法全般</li> <li>• Transplantation : 臓器移植</li> </ul> </li> <li>Category 2 : Category 1 のCell therapyとDeviceの詳細を細分類</li> </ul> </li> <li>• 国 (主要国)、疾患、Start Date、及び上記カテゴリー別に集計した</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 複数の支持療法が用いられている場合は主要な支持療法のみを分類している</li> </ul>

## 小児・AYA世代のがん調査対象疾患（1/4）

小児・AYA世代がんについては以下のがん種を調査対象とした

分類	疾患	検索語句
小児・AYA	急性リンパ性白血病	Lymphoblastic leukaemia, lymphocytic leukemia, lymphoid leukemia, Precursor Cell Lymphoblastic Leukemia Lymphoma
小児・AYA	急性骨髄性白血病	Acute Myeloblastic Leukemia, Acute Myelocytic Leukemia, Acute Myelogenous Leukemia, Acute Myeloid Leukemia, Acute Nonlymphoblastic Leukemia, Acute Nonlymphocytic Leukemia, acute nonlymphoid leukemia
小児・AYA	慢性骨髄性白血病	Chronic Granulocytic Leukemia, Chronic Myelocytic Leukemia, Chronic Myelogenous Leukemia, Chronic Myeloid Leukemia, positive Granulocytic Leukemia, positive Myelocytic Leukemia, positive Myelogenous Leukemia, positive Myeloid Leukemia
小児・AYA	骨髄異形成症候群	Dysmyelopoietic Syndrome, Hematopoetic Myelodysplasia, Myelodysplastic Syndrome
小児・AYA	胚細胞腫瘍	Embryoma, Embryonal and Mixed Cancer, Embryonal and Mixed Neoplasm, Embryonal Cancer, Embryonal Neoplasm, embryonal tumor, Embryonic Cancer, Embryonic Neoplasm, Embryonic tumor, Germ Cell Cancer, Germ Cell Neoplasm, Germ Cell Tumor
小児・AYA	脳腫瘍（髄芽腫、神経膠腫、中枢神経系悪性リンパ腫、胚細胞腫瘍、上衣腫、髄膜腫、ラブドイド腫瘍）	Brain Cancer, Brain Neoplasm, Brain Tumor, Cancer of Brain, Cancer of the Brain, Intracranial Neoplasm, intracranial tumor (Medulloblastoma, Medullomyoblastoma, Circumscribed Arachnoidal Cerebellar Sarcoma, Glial Cell Tumor, Glioma, primary central nervous system lymphoma, Ependymoma, Meningioma, Rhabdoid Tumor)
小児・AYA	横紋筋肉腫	Rhabdomyosarcoma
小児・AYA	骨肉腫	Bone sarcoma, Osteogenic Sarcoma, Osteosarcoma
小児・AYA	ユーイング肉腫	Ewing Sarcoma, Ewing Tumor, Ewing's Sarcoma, Ewing's Tumor

※以下も含めて検索

- 英国・米国綴り
- 単数形・複数形
- 語順の入替

## 小児・AYA世代のがん調査対象疾患（2/4）

小児・AYA世代がんについては以下のがん種を調査対象とした

分類	疾患	検索語句
小児	リンパ（ホジキンリンパ腫、バーキットリンパ腫、びまん性大細胞型 B 細胞性リンパ腫、リンパ芽球性リンパ腫、未分化大細胞型リンパ腫）	Germinoblastic Sarcoma, Germinoblastoma, Reticulolymphosarcoma, Malignant Lymphoma (Hodgkin Lymphoma, Hodgkin Disease, Hodgkin Granuloma, Hodgkin sarcoma, Hodgkin's Disease, Hodgkin's Granuloma, Hodgkin's Lymphoma, Malignant Granuloma, Malignant Lymphogranuloma, acute B-cell leukemia, African Lymphoma, B-cell acute lymphoblastic leukemia, B-cell acute lymphocytic leukemia, Burkitt Cell Leukemia, Burkitt Leukemia, Burkitt Lymphoma, Burkitt Tumor, Burkitt's Leukemia, Burkitt's Lymphoma, Burkitt's Tumor, Burkitt-Type Lymphoblastic Leukemia, Diffuse Large B-Cell Lymphoma, Diffuse Large Cell Lymphoma, Diffuse Large Lymphoid Lymphoma, Diffuse Large-Cell Lymphoma, DLBCL, DLCL, Histiocytic Lymphoma, Lymphoma Large B-Cell Diffuse, ALCL, Anaplastic Large-Cell Lymphoma, Ki-1 Large-Cell Lymphoma, Ki-1 Lymphoma)
小児	神経芽腫	Neuroblastoma
小児	網膜芽細胞腫	Retinoblastoma, Retinal Glioblastoma, Retinal Glioma, Retinal Neuroblastoma
小児	腎腫瘍（腎芽腫、ラブドイド腫瘍）	Cancer of Kidney, Cancer of the Kidney, Kidney Cancer, Kidney Neoplasm, kidney tumor, nephroma, Renal Cancer, renal neoplasia, Renal Neoplasm, renal tumor (nephroblastoma, Wilms Tumor, Wilms' Tumor, Rhabdoid Tumor)
小児	肝腫瘍（肝芽腫、肝細胞がん）	Cancer of Liver, Cancer of the Liver, Hepatic Cancer, hepatic carcinoma, hepatic neoplasia, Hepatic Neoplasm, hepatic tumor, Hepatocellular Cancer, Liver Cancer, liver carcinoma, Liver Neoplasm liver tumor (Hepatoblastoma, hepatocarcinoma, hepatocellular cancer, Hepatocellular Carcinoma, hepatocellular neoplasm, hepatocellular tumor, Hepatoma, Liver Cell Carcinoma)
小児	軟部肉腫	soft tissue sarcoma

※以下も含めて検索

- 英国・米国綴り
- 単数形・複数形
- 語順の入替

## 小児・AYA世代のがん調査対象疾患（3/4）

小児・AYA世代がんについては以下のがん種を調査対象とした

分類	疾患	検索語句
小児	組織球症（ランゲルハンス細胞組織球症など）	Histiocytosis(Generalized Histiocytosis, Hand-Schueller-Christian Disease, Hand-Schueller-Christian Syndrome, Hashimoto-Pritzger Disease, Histiocytosis X, Histiocytosis-X, Langerhans Cell Granulomatosis, Langerhans Cell Histiocytosis, Langerhans' cell granulomatosis, Langerhans-Cell Granulomatosis, Langerhans-Cell Histiocytosis, Letterer-Siwe Disease, Non-lipid reticuloendotheliosis, Pulmonary Histiocytosis X, Pulmonary Langerhans Cell Granulomatosis, Schueller-Christian Disease, Systemic aleukemic reticuloendotheliosis, Type 2 histiocytosis, Malignant Histiocytic Disorder, Non-Langerhans-Cell Histiocytosis, Reticulohistiocytoma, Xanthoma Disseminatum)
AYA	急性前骨髄球性白血病	Acute Promyelocytic Leukemia, M3 Acute Myeloid Leukemia, M3 ANLL, Progranulocytic Leukemi
AYA	粘液線維肉腫	Myxofibrosarcoma
AYA	線維肉腫	Fibrosarcoma
AYA	軟骨肉腫	Chondrosarcoma
AYA	脂肪肉腫	Atypical Lipomatous Tumor, Liposarcoma
AYA	未分化多形肉腫	Malignant Fibrohistiocytic Tumors, Malignant Fibrous Histiocytoma, undifferentiated pleomorphic sarcoma
AYA	平滑筋肉腫	Leiomyosarcoma
AYA	血管肉腫	Angiosarcoma, Hemangiosarcoma
AYA	GIST（消化管間質腫瘍）	Gastrointestinal Stromal Neoplasm, Gastrointestinal Stromal Sarcoma, Gastrointestinal Stromal Tumor
AYA	悪性末梢神経鞘腫瘍	Malignant peripheral nerve sheath tumor, Malignant Neurilemmoma, Malignant Neurilemoma, malignant neurinoma, Malignant Peripheral Nerve Sheath Tumor, Malignant Schwannoma, MPNST, Neurilemmosarcoma, Neurofibrosarcoma, Neurogenic Sarcoma

※以下も含めて検索

- 英国・米国綴り
- 単数形・複数形
- 語順の入替

## 小児・AYA世代のがん調査対象疾患（4/4）

小児・AYA世代がんについては以下のがん種を調査対象とした

分類	疾患	検索語句
AYA	滑膜肉腫	Synovial Sarcoma, Synovioma
AYA	類上皮肉腫	Epithelioid sarcoma
AYA	胞巣状軟部肉腫	Alveolar Soft Part Sarcoma, Alveolar Soft-Part Sarcoma
AYA	明細胞肉腫（淡明細胞肉腫）	Clear Cell Sarcoma, Melanoma of Soft Part
AYA	骨外性ユーイング肉腫	Extraskeletal Ewing's sarcoma

※以下も含めて検索

- 英国・米国綴り
- 単数形・複数形
- 語順の入替

## 対象とした希少疾患及びRARECARENet上のEU罹患率

希少がんはRARECARENetにTier 2で登録されている疾患を対象とした（5/9）

疾患名	罹患率（Crude incidence rate per 100,000）
Neuronal and mixed neuronal-glia tumors	0.00472
Non seminomatous germ cell tumours	0.05841
Non seminomatous testicular cancer	1.26614
Notochordal sarcomas, chordoma	0.07309
Odontogenic malignant tumours	0.0044
Olfactory neuroblastoma	0.03179
Oligodendroglial tumours of CNS	0.39245
Osteogenic sarcoma	0.21257
Other high grade sarcomas (fibrosarcoma, malignant fibrous histiocytoma)	0.01941
Other myelodysplastic syndrome	2.14111
Other myeloproliferative neoplasms	2.16741
Other T cell lymphomas and NK cell neoplasms	0.61638
Paget's disease of anal canal	0.00134
Paget's disease of vulva and vagina	0.04762
Pancreatoblastoma	0.00249
Papillary adenocarcinoma of nasopharynx	0.00038
Paraganglioma	0.02215
Paratesticular adenocarcinoma with variants	0.0014
Pheochromocytoma, malignant	0.04149
Plasmacytoma/Multiple Myeloma (and Heavy chain diseases)	5.70929
Pleuropulmonary blastoma	0.00057
Poorly differentiated endocrine carcinoma of pancreas and digestive tract	0.66521
Precursor B/T lymphoblastic leukaemia/lymphoblastic lymphoma (and Burkitt leukaemia/lymphoma)	1.45509

## 対象とした希少疾患及びRARECARENet上のEU罹患率

希少がんはRARECARENetにTier 2で登録されている疾患を対象とした（6/9）

疾患名	罹患率（Crude incidence rate per 100,000）
Primary peritoneal serous/papillary carcinoma	0.08171
Retinoblastoma	0.0549
Salivary gland type tumours of bladder	0.00045
Salivary gland type tumours of breast	0.05541
Salivary gland type tumours of head and neck	0.4303
Salivary gland type tumours of lung	0.05611
Salivary gland type tumours of oesophagus	0.00402
Salivary gland type tumours of trachea	0.01117
Salivary gland-type tumours of stomach	0.00249
Sarcomatoid carcinoma of lung	0.20778
Seminomatous germ cell tumors	0.0083
Seminomatous testicular cancer	1.82028
Serous (papillary) carcinoma	0.07832
Serous cystadenocarcinoma of pancreas	0.00026
Sex cord tumours of ovary	0.12805
Soft tissue sarcoma of brain and other parts of the nervous system	0.17382
Soft tissue sarcoma of breast	0.18288
Soft tissue sarcoma of head and neck	0.26089
Soft tissue sarcoma of heart	0.01379
Soft tissue sarcoma of limbs	1.09654
Soft tissue sarcoma of mediastinum	0.02968
Soft tissue sarcoma of paraorbit	0.00747
Soft tissue sarcoma of paratestis	0.03256
Soft tissue sarcoma of pelvis	0.19725

## 対象とした希少疾患及びRARECARENet上のEU罹患率

希少がんはRARECARENetにTier 2で登録されている疾患を対象とした（7/9）

疾患名	罹患率（Crude incidence rate per 100,000）
Soft tissue sarcoma of retroperitoneum and peritoneum	0.31349
Soft tissue sarcoma of skin	0.30238
Soft tissue sarcoma of superficial trunk	0.49873
Soft tissue sarcoma of uterus	0.55261
Soft tissue sarcoma of viscera	0.38326
Soft tissue sarcomas of other genitourinary tract (vulva, vagina, ovary, penis, prostate, testis, kidney, renal pelvis, ureter, bladder, urethra)	0.20171
Solid pseudopapillary carcinoma of pancreas	0.00281
Special types of adenocarcinoma of breast	3.06479
Spermatocytic seminoma	0.03204
Squamous cell carcinoma of gallbladder and EBT	0.03166
Squamous cell carcinoma of thymus	0.00728
Squamous cell carcinoma spindle cell type of kidney	0.01213
Squamous cell carcinoma with variants middle ear	0.02407
Squamous cell carcinoma with variants of pancreas	0.02304
Squamous cell carcinoma with variants of anal canal	0.81011
Squamous cell carcinoma with variants of bladder	0.3553
Squamous cell carcinoma with variants of cervix uteri	4.7304
Squamous cell carcinoma with variants of colon	0.02553
Squamous cell carcinoma with variants of corpus uteri	0.06403
Squamous cell carcinoma with variants of eye and adnexa	0.02687
Squamous cell carcinoma with variants of hypopharynx	1.2657
Squamous cell carcinoma with variants of kidney	0.03402
Squamous cell carcinoma with variants of larynx	4.60944

## 対象とした希少疾患及びRARECARENet上のEU罹患率

希少がんはRARECARENetにTier 2で登録されている疾患を対象とした（8/9）

疾患名	罹患率（Crude incidence rate per 100,000）
Squamous cell carcinoma with variants of lip	1.02032
Squamous cell carcinoma with variants of liver and IBT	0.00938
Squamous cell carcinoma with variants of nasal cavity and sinuses	0.34885
Squamous cell carcinoma with variants of nasopharynx	0.11401
Squamous cell carcinoma with variants of oesophagus	3.35747
Squamous cell carcinoma with variants of oral cavity	3.50645
Squamous cell carcinoma with variants of oropharynx	3.11585
Squamous cell carcinoma with variants of pelvis and ureter	0.02375
Squamous cell carcinoma with variants of penis	0.61574
Squamous cell carcinoma with variants of prostate	0.01858
Squamous cell carcinoma with variants of rectum	0.1126
Squamous cell carcinoma with variants of small intestine	0.00849
Squamous cell carcinoma with variants of stomach	0.11535
Squamous cell carcinoma with variants of trachea	0.06492
Squamous cell carcinoma with variants of urethra	0.021
Squamous cell carcinoma with variants of vulva and vagina	1.68662
T cutaneous lymphoma (Sezary syn, Mycosis fung)	0.35275
Teratoma with malignant transformation	0.00128
Testicular sex cord cancer	0.0217
Transitional cell carcinoma of pelvis and ureter	1.41066
Transitional cell carcinoma of prostate	0.06128
Transitional cell carcinoma of urethra	0.08873
Typical and atypical carcinoid of the lung	0.39322
Undifferentiated carcinoma of cervix uteri	0.03064

活用した臨床試験レジストリー

各国の臨床試験実施状況を収集するため、各国の臨床試験情報データベースを対象に検索を実施した

	対象国	データソース
対象データソース（試験登録件数1,000件以上の米国・欧州・アジアの臨床試験情報データベース）	米国	Clinical Trials, International Clinical Trials Registry Platform (ICTRP)
	欧州	European Union Drug Regulating Authorities Clinical Trials Database (EudraCT), EU Clinical Trials Register (EU-CTR)
	ドイツ	German Clinical Trials Register (DRKS)
	オランダ	The Netherlands National Trial Register (NTR)
	韓国	Clinical Research Information Service
	中国	Chinese Clinical Trial Registry (ChiCTR)
	タイ	Thai Clinical Trials Registry
	インド	Clinical Trials Registry (CTRI)
	イラン	Iranian Registry of Clinical Trials (IRCT)
	オーストラリア	Australian New Zealand Clinical Trials Registry (ANZCTR)
	日本	UMIN Clinical Trials Registry, Japan Registry of Clinical Trials (jRCT), Japan Pharmaceutical Information Center (Japic)

## 調査対象の専門研究グループ (1/2)

臨床試験レジストリー情報を補完するため、各国の小児・AYA世代・希少がんの専門研究グループのウェブサイトに公開されている試験情報を収集し、データベースに追加した

Country	Category	Group Name	Clinical Trial List URL	Number of Trials
共通	小児・AYA	Children's Oncology Group	<a href="https://ctep.cancer.gov/initiativesPrograms/pep-ctn.htm">https://ctep.cancer.gov/initiativesPrograms/pep-ctn.htm</a> <a href="https://childrensoncologygroup.org/find-clinical-trials">https://childrensoncologygroup.org/find-clinical-trials</a>	疾患毎に検索
	希少	Orphanet	<a href="https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/ResearchTrials_ClinicalTrials.php?lng=EN">https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/ResearchTrials_ClinicalTrials.php?lng=EN</a>	疾患毎に検索
		International Rare Cancer Initiative	<a href="https://www.cancerresearchuk.org/funding-for-researchers/how-we-deliver-research/our-research-partnerships/international-rare-cancers-initiative?msclid=5900c691a82611ec9f52bde79fd7039b">https://www.cancerresearchuk.org/funding-for-researchers/how-we-deliver-research/our-research-partnerships/international-rare-cancers-initiative?msclid=5900c691a82611ec9f52bde79fd7039b</a>	疾患毎に検索
米国	小児	American Cancer Society	-	0
	AYA	Adolescent and Young Adult Clinical Trial Working Group	<a href="https://www.bigtenccr.org/clinical-research/current-trials/">https://www.bigtenccr.org/clinical-research/current-trials/</a>	35
欧州	小児	Children's Cancer and Leukaemia Group	<a href="https://www.cclg.org.uk/our-research-projects">https://www.cclg.org.uk/our-research-projects</a>	124
		The European Society for Paediatric Oncology	<a href="https://siope.eu/eu-projects/">https://siope.eu/eu-projects/</a>	0
	希少	Rare Cancers Europe	<a href="https://www.rarecancerseurope.org/rare-cancers-in-europe/european-reference-networks">https://www.rarecancerseurope.org/rare-cancers-in-europe/european-reference-networks</a>	0
		Rare Diseases Europe	<a href="https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/ResearchTrials_ClinicalTrials.php?lng=EN">https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/ResearchTrials_ClinicalTrials.php?lng=EN</a>	疾患毎に検索
		European Organisation for Research and Treatment of Cancer	<a href="https://www.eortc.org/clinical-trials-database/">https://www.eortc.org/clinical-trials-database/</a>	疾患毎に検索

## 調査対象の専門研究グループ (2/2)

臨床試験レジストリー情報を補完するため、各国の小児・AYA世代・希少がんの専門研究グループのウェブサイトに公開されている試験情報を収集し、データベースに追加した

Country	Category	Group Name	Clinical Trial List URL	Number of Trials
英国	小児	Cancer Research UK	<a href="https://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/find-a-clinical-trial">https://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/find-a-clinical-trial</a>	28
	希少	Cancer Research UK	<a href="https://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/find-a-clinical-trial">https://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/find-a-clinical-trial</a>	14
ドイツ	小児	kinderkrebsinfo	<a href="https://www.gpoh.de/kinderkrebsinfo/content/health_professionals/clinical_trials/index_eng.html">https://www.gpoh.de/kinderkrebsinfo/content/health_professionals/clinical_trials/index_eng.html</a>	54
スイス	小児	The Swiss Paediatric Oncology Group	<a href="https://www.spog.ch/projects/studien/?lang=en">https://www.spog.ch/projects/studien/?lang=en</a>	53
中国	小児	Children's Cancer Group China	-	0