

# 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 報告書

2022年3月28日

# 議題・目次

---

## 1. エグゼクティブサマリー

---

A. 調査背景・概要 P. 3

---

B. 実施した分析・手順 P. 6

---

C. 抽出した傾向概要 P. 13

---

## 2. 臨床試験情報公開状況 P. 25

---

## 3. 情報ソース及び分析方法 P. 36

---

## 4. 分析結果・海外臨床研究の傾向

---

A. 小児・AYA世代がん P. 68

---

B. 希少がん P. 134

---

# 1. エグゼクティブサマリー

- A) 背景
- B) 実施した分析手順
- C) 抽出した傾向概要

## 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まずは海外の臨床研究実施状況を整理した

### 【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、必ずしも治療法が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が、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い

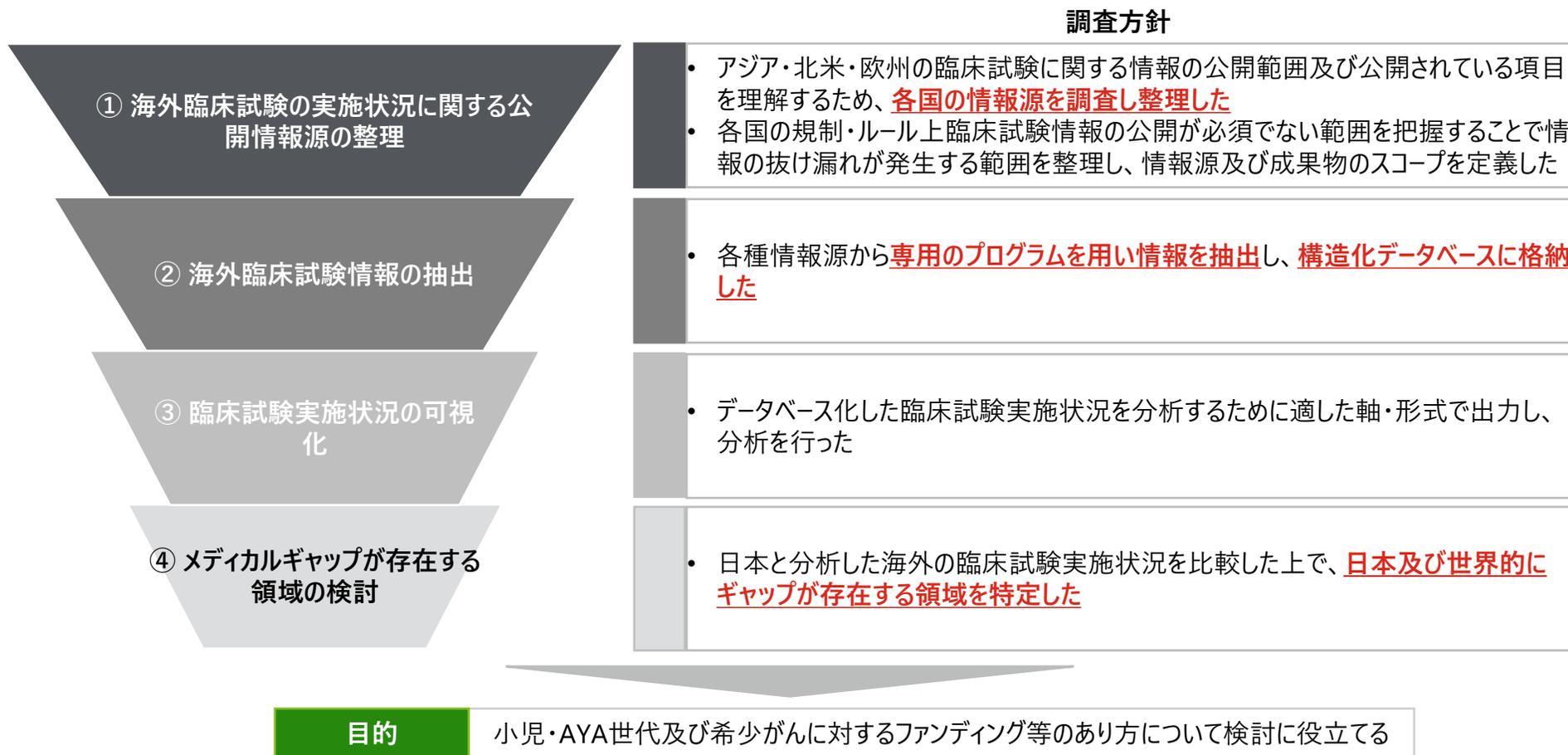
### 【目的】

- 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し、傾向を分析することでAMEDが今後取り組むべき開発分野についての判断材料を得る
- 国内外の臨床試験実施状況の傾向について調査しAMEDが当分野の支援を行うための基礎情報とする

今後、小児・AYA世代及び希少がん研究を推進し、事業立案をするための留意点を明らかにする

## 調査基本方針

「小児・AYA世代のがん及び希少がん」を対象に海外の臨床試験実施状況を整理し、傾向を可視化した



# 1. エグゼクティブサマリー

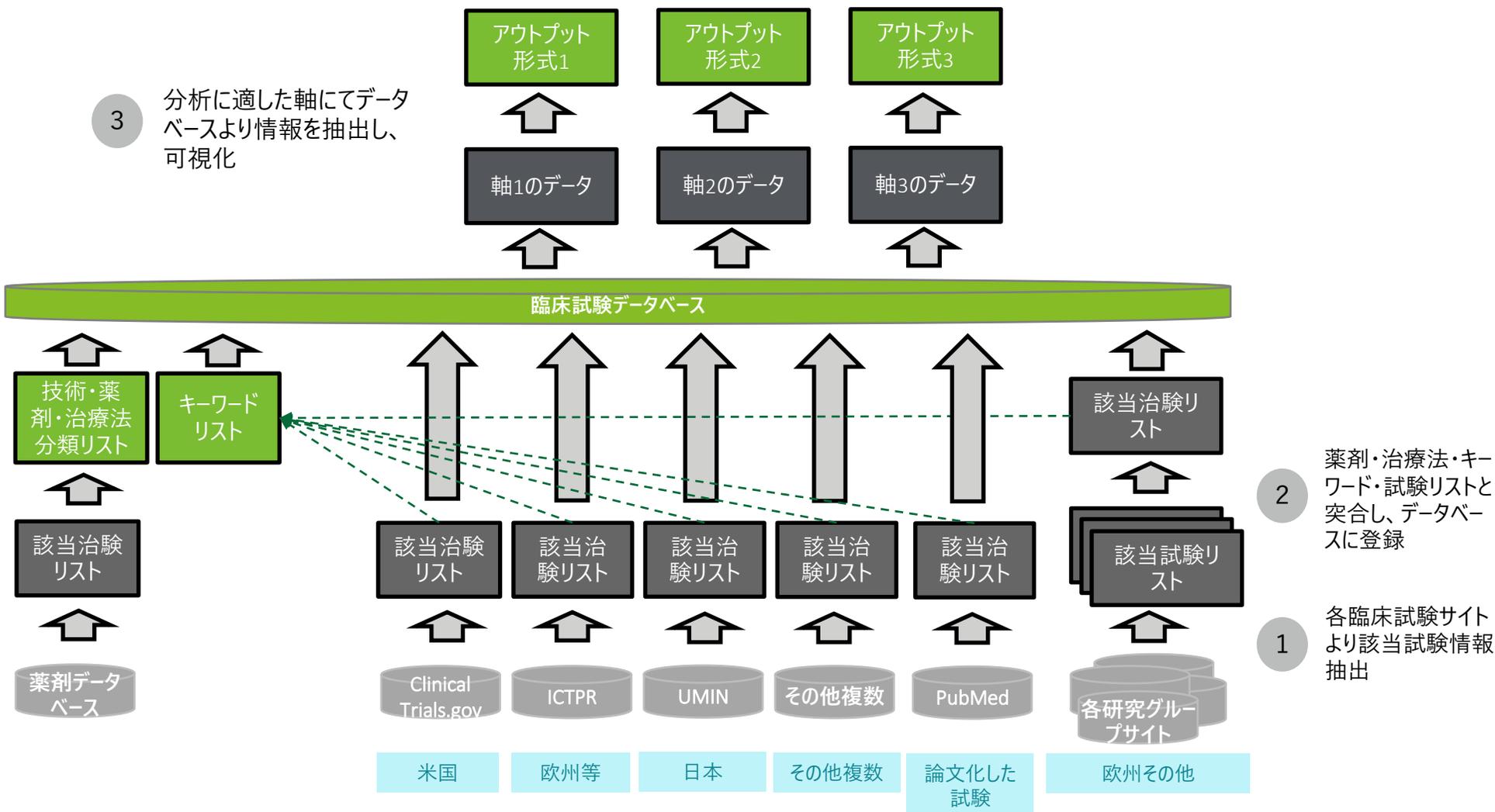
- A) 背景
- B) 実施した分析手順
- C) 抽出した傾向概要

- 1. エグゼクティブサマリー
- B) 実施した分析手順

## データ取得、蓄積、アウトプットプロセスの全体像

複数の臨床試験レジストリ等から収集したデータを分析し、可視化を行った

3 分析に適した軸にてデータベースより情報を抽出し、可視化



## 情報収集・分析の実施手順 (1/5)

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、MeSH Browser (<a href="https://meshb.nlm.nih.gov/">https://meshb.nlm.nih.gov/</a>) やClinical Trials.govの類義語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>1. 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>2. 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.52-55参照</li> <li>• 希少がんに関するキーワードリストについてはP.58-66参照</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>
データベース項目の定義	各情報ソースから取得したデータを可能な限り標準化した形式で格納するための項目を定義した	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 定義した項目はP.74-76参照</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>1. 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>2. 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>3. 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.47参照</li> <li>• 対象とした研究グループはP.48, 49参照</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 (2/5)

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
辞書の作成	<p>臨床試験のフラグ化を実施するため、薬剤・キーワード辞書を整備した</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Biomedtracker (<a href="https://www.biomedtracker.com/">https://www.biomedtracker.com/</a>) の薬剤サーチを当調査の対象疾患で検索し、各疾患の開発で使用されている薬剤、薬剤の分子種類、ターゲット名のリストを作成した</li> <li>2. 当プロジェクト仕様にて定義されているキーワードに関連した臨床試験をフラグ化するため、各キーワードの類義語・関連薬剤等をリスト化し、キーワード辞書を作成した</li> </ol>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 薬剤リストの作成はP.68参照</li> <li>• キーワード辞書の内容はP.69参照</li> <li>• いずれもキーワードを使用したフラグ化を実施しているため、曖昧検索ができなく、完全マッチした単語を含む場合のみフラグ化されるため、フラグには漏れが発生している可能性がある</li> </ul>
臨床試験のフラグ化	<p>臨床試験の分析を行うため、各情報ソースから取得した試験情報や上記辞書を用い、試験の分類・フラグ化を実施した</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 各臨床試験のタイトル及びInterventions項目を薬剤辞書に登録されている薬剤名（一般名及びAPI名）で検索し、薬剤及び不随する分子・ターゲット情報をフラグ化した</li> <li>2. 各臨床試験のタイトル、Interventions及び分子の項目を用いキーワード辞書の項目をフラグ化した</li> <li>3. 各臨床試験のLocation項目を参照に、主要国フラグを付与した</li> <li>4. 小児・AYA世代を対象に含む試験は以下に定義した             <ol style="list-style-type: none"> <li>A) 小児はMinimum Ageが指定なしもしくは17以下、タイトルに「Child」「Pediatric」が含まれる、或いは小児がんを対象とした研究グループが登録している試験</li> <li>B) AYA世代がんはMinimum Ageが38以下、およびMaximum Ageが18以下を除いた試験</li> </ol> </li> </ol>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• フラグ化した項目はP.75, 76参照</li> <li>• キーワード辞書を用いたフラグ化の条件はP.77参照</li> <li>• 主要国はP.47に記載されている国を対象とした</li> </ul>

## 情報収集・分析の実施手順 (3/5)

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
治療法分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>各臨床試験レジストリーにて定義されているIntervention Typeを集計し、Location（主要国のみ抽出）別に整理した</li> <li>医薬品については各フラグ化した分子種及び試験のStart Dateを用い更に分析した</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Clinical Trials.govやUMINなど、限られたレジストリー以外はIntervention Typeが定義されておらず、分類できていない試験がある可能性が高い</li> <li>定義されているレジストリーでも項目が異なるため、分類方法に差異が生じている</li> <li>医薬品辞書に登録されていない医薬品を用いている場合はMoleculeや医薬品の分析に使用できない</li> </ul>
スポンサー分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>各臨床試験レジストリーにて定義されているSponsor及びSponsor Typeを集計し、Location（主要国のみ抽出）別に整理した</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Sponsor Typeは一部の臨床試験レジストリーに登録されておらず、登録されているレジストリーについても分類されていないケースが多い</li> </ul>
晚期合併症分析	<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>Patient：現行がん患者</li> <li>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>Evaluation：晚期合併症の評価</li> <li>Prevention：晚期合併症の予測</li> <li>Treatment：晚期合併症の治療</li> <li>Care：晚期合併症のケア</li> <li>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 (4/5)

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/Supplement : 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>
各種キーワード分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>当該キーワードでフラグ化されている試験をフィルターし、国（主要国）、疾患等で集計した</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>各キーワードのフラグ化についてはP.75, 76参照</li> </ul>
疾患別分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>疾患毎に試験数の集計を行い、国（主要国）、薬剤等で整理した</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>疾患別分析は疾患毎に試験数を集計しているため、異なる疾患で試験が重複するケースがある</li> </ul>

## 情報収集・分析の実施手順 (5/5)

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
医療機器の分析	<p>医療機器の分析を行うために、以下の流れで医療機器の種類別を分類した</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 各試験のタイトルを検索し、Diagnosis（診断）/Radiotherapy（放射線治療）/Surgery（外科的手術）/Other treatments（その他の治療法）/Digital technology（デジタル技術）の5種類に分類した</li> <li>2. タイトルに特定の医療機器及び医療機器を用いた治療法の名称が含まれる臨床試験をフラグした</li> <li>3. タイトルに画像診断装置が含まれる臨床試験とカメラデバイスが含まれる臨床試験をフラグした</li> <li>4. P.74にてIntervention type: Device/医療機器としてフラグされた試験において、国（主要国）及び分類した項目別に集計した</li> </ol>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• フラグ化した医療機器の項目についてはP.70-72参照</li> <li>• P.77にてIntervention type: 医療機器としてフラグ化されている臨床試験のみを集計対象としていることから、Intervention typeが記されていない臨床研究については分類・フラグされていない</li> <li>• タイトルに医療機器及び医療機器を用いた治療法の名称が含まれている臨床研究のみが分類・フラグ化されており、名称が含まれていない臨床研究については分類・フラグされていない</li> <li>• いずれも特定の医療機器及び医療機器を用いた治療法を使用したフラグ化しているため、あいまい検索ができなく、完全マッチした単語を含む場合のみフラグ化されるため、フラグには漏れが発生している可能性がある</li> </ul>

# 1. エグゼクティブサマリー

- A) 背景
- B) 実施した分析手順
- C) 抽出した傾向概要

## 小児・AYA世代がん臨床研究実施状況の傾向（1/3）

分析の結果、以下の小児・AYA世代がんの臨床研究に関する傾向を抽出した

分類	地域	傾向・仮説	参考
治療法	世界	小児・AYA世代ではいずれも低分子医薬、抗体医薬を使用した試験が多く実施されている	P. 70
		小児・AYA世代では低分子医薬、抗体医薬を用いた試験数が各国で増加傾向にあり、小児においては中国の、AYA世代においては欧米の試験数が顕著に増加している	P. 71
		小児を対象とした臨床試験で使われている医薬品は低分子が比較的多いが、2017年頃からは免疫チェックポイント阻害剤であるNivolumabを用いた試験数が増加傾向にある	P. 77
		AYA世代を対象とした試験では抗体医薬が多く用いられる傾向にあるが、2015年頃から免疫チェックポイント阻害剤の使用が大幅に増加している	P. 79
		AYA世代がんを対象とした放射線治療を使用した試験数割合は小児がんと比較して低く、いずれも試験の大多数が米国で実施されている	P. 82-83
	日本	日本では低分子のDasatinibやCisplatinが小児がんの臨床試験で比較的多く利用されている	P. 76
		日本では低分子のDasatinib、NilotinibがAYA世代がんの臨床試験で比較的多く利用されている	P. 78
		小児・AYA世代がんどちらも日本では医療機器に関する研究が多くされており、AYA世代では米国よりも実施割合が高い	P. 80-81
	日本では小児・AYA世代がんどちらも手技・手術に関する試験が比較的多く、小児では実施割合が世界で2番目である	P. 84-85	

## 小児・AYA世代がん臨床研究実施状況の傾向（2/3）

分析の結果、以下の小児・AYA世代がんの臨床研究に関する傾向を抽出した

分類	地域	傾向・仮説	参考
デバイス	世界	小児・AYA世代でデバイスを扱う試験は国毎に目的・手法に大きな違いがある	P. 87
	日本	日本は診断、特にPETを使用した画像診断に関する試験が世界の中でも多く実施されている	P. 88-89
		日本はアブレーション等の手術機器に関する試験も小児・AYA世代がんでは比較的多く実施している	P. 90
スポンサー	世界	小児がんのスポンサー上位はCOG等、小児がんに特化した研究グループやがんセンターが多い	P. 94
		スポンサー種別では、小児・AYA世代がんに大きな違いはなく民間企業が最多となっており、日本では政府機関が他国と比べて大きな割合を占めている	P. 96-97
晩期合併症	世界	晩期合併症を扱う試験は2012年以降増加傾向にあったが、2020年以降減少している	P. 100
		晩期合併症の試験は脳腫瘍やリンパ腫で特に多く、米国やカナダが世界の大多数の試験を実施している	P. 101-102
		晩期合併症試験の目的は合併症の評価であることが多く、支持療法、治療、予防は北米以外ではほとんど実施できていない	P. 104
	日本	日本では晩期合併症に関する試験が主要国と比べて少なく、ニーズが高いと考えられる	P. 102-103

### 小児・AYA世代がん臨床研究実施状況の傾向 (3/3)

分析の結果、以下の小児・AYA世代がんの臨床研究に関する傾向を抽出した

分類	地域	傾向・仮説	参考
支持療法	世界	小児・AYA世代がんの支持療法に関する試験は北米に多く、アジアに少ない傾向がある	P. 108
		小児・AYA世代がんの支持療法に関する試験は脳腫瘍・リンパ腫等いくつかの疾患で多く実施されている一方、試験数が少ない疾患も多く存在する	P. 110-111
		支持療法に関する試験は小児・AYA世代がんどちらも薬剤を扱う試験、及び運動・認知療法の試験が多く、特に2017年以降は認知療法を中心に薬剤以外を扱う試験が増加傾向にある	P. 112-113
	日本	日本では小児・AYA世代がんに関する支持療法の研究がほとんど実施されておらず、特に小児がんでは少ないと考えられる	P. 110-111
免疫細胞療法	世界	免疫細胞療法に関する小児・AYA世代がんの試験は中国で多く実施されており、特に2019年から中国の試験数が大幅に増加している	P. 117-120
		免疫細胞療法の試験はAYA世代がんはリンパ腫・白血病に注力されているが、小児がんは米国を中心に広く実施されており、国によって注力している疾患が異なる	P. 121-122
Precision Medicine	世界	Precision Medicineを扱う試験は小児・AYA世代がんで米国・中国・英国・日本を中心に少数実施されている	P. 124
Master Protocol	世界	Master Protocolを使用した試験は小児・AYA世代がんで北米・欧州を中心に少数実施されている	P. 126
	アジア	アジアでは中国がMaster Protocol試験を比較的多く実施しており、日本は比較的少ない	P. 126

### 小児・AYA世代がん臨床研究実施状況の傾向 (3/3)

分析の結果、以下の小児・AYA世代がんの臨床研究に関する傾向を抽出した

分類	地域	傾向・仮説	参考
RWEを活用した試験	世界	RWEを活用した試験は小児・AYA世代のがんでは数が少ないが、主に米国・中国でいくつか試験が実施されている	P. 128
疾患別分析	世界	小児・AYA世代がんどちらも集中的にいくつかの疾患が臨床研究されており、世界的にニーズが高い疾患が複数存在すると考えられる	P. 130-131
		AYA世代がんは比較的広く疾患と薬剤の組み合わせが研究されているが、小児がんでは研究されていない組み合わせが多数存在する	P. 131-133

## 希少がん臨床研究実施状況の傾向（1/3）

分析の結果、以下の希少がん臨床研究に関する傾向を抽出した

分類	地域	傾向・仮説	参考
治療法	世界	希少がんの試験数は急激に増加しており、特に抗体医薬に関しては2010年頃と比較し開始した試験数が3倍程度に増えている	P. 136-138
		希少がんにおける低分子医薬・抗体医薬の試験は米国で多く実施される傾向にあるが、2019年頃から中国の試験数が顕著に増加している	P. 140
		低分子医薬品の臨床試験数が増加傾向にあり、2017年頃から特にPembrolizumab/Nivolumabの免疫チェックポイント阻害剤が多く扱われる傾向にある	P. 141-142
		放射線を扱う希少がん試験の割合は米国は北米で高く、欧州では低い傾向にあり、2019年から中国の実施数が増加傾向にある	P. 145-146
		手術・手技に関する希少がん試験は米国が多いが、中国等のアジア国も比較的多く実施する傾向にある	P. 147-148
	日本	医療機器に関する希少がんの試験の割合は日本が最も高いが、近年は日本の試験数は減少傾向にある	P. 143-144
デバイス	世界	希少がんのDevice関連では診断や外科手術を扱う試験が多く実施されている	P. 150
		希少がんの診断を扱うデバイス関連の臨床試験は米国・日本・フランスを中心にMRI・PETを多用している	P. 151-152
		希少がんでは手術や治療に関する試験は多様に実施されているが、デジタル機器や遠隔医療に関する試験は限定的である	P. 153-155

## 希少がん臨床研究実施状況の傾向（2/3）

分析の結果、以下の希少がん臨床研究に関する傾向を抽出した

分類	地域	傾向・仮説	参考
スポンサー	世界	米国ではがんセンター等のがん専門施設がスポンサーになることが比較的多い	P. 157
	アジア	中国、イランでは個別の大学・病院がスポンサーとなることが多く、民間企業のスポンサー数は限られている	P. 158
		オーストラリアでは研究グループがスポンサーに比較的多くなっており、その分個別の大学・病院のスポンサー比率が低い	P. 158
晩期合併症	世界	晩期合併症に関する試験は希少がんでは少数のみ、主に神経系に関連するがん種で米国を中心に実施されている	P. 161
支持療法	世界	希少がんの支持療法に関する試験は北米の試験が世界の大半を占めており、多数の疾患について実施されている	P. 164, 167
		日本を含めたアジアでは希少がんの支持療法に関する試験数が著しく少ない	P. 164
		支持療法の目的は薬剤療法、口腔ケア、運動療法、認知療法が多い	P. 168
免疫細胞療法	世界	希少がんにおける免疫細胞療法の大多数はCar-T療法である	P. 171
		中国以外のアジア諸国は比較的希望希少がんの免疫細胞療法に関する試験数が少なく、欧州が多く実施している	P. 171
		免疫細胞療法は広い希少がん種で試験を実施されており、試験数が多い中国と米国は異なる疾患に注力している	P. 172

### 希少がん臨床研究実施状況の傾向 (3/3)

分析の結果、以下の希少がん臨床研究に関する傾向を抽出した

分類	地域	傾向・仮説	参考
免疫細胞療法	アジア	韓国では他国と比較してCar-T以外の細胞療法試験の割合が高い	P. 171
	日本	日本は主要国の中では10番目と、希少がんの免疫細胞療法に関する試験数は比較的少ない	P. 171
Precision Medicine	世界	希少がんの分野のPrecision Medicineは米国で実施されているものの、まだ少数である	P. 174
5Master Protocol	世界	希少がんではMaster Protocolを使用した試験は日本を含め主要国で広く実施されている	P. 175
RWEを活用した試験	世界	希少がんではRWEを活用した試験は数が少ないが、米国・オーストラリアでは複数の疾患で実施されている	P. 178
疾患別分析	世界	世界で臨床研究が現在実施されていない、もしくは限られた数しか実施されていない希少がんが多数あり、ニーズが高いと考えられる	P. 180-189
	日本	日本ではCML等一部の希少がんでは集中的に臨床研究が実施されているものの、半数ほどの疾患で1試験しか実施されていない	P. 180-189

## 小児・AYA世代がんニーズが高いと考えられる疾患

以下の小児・AYA世代がんが世界或いは日本で臨床試験数が少なく、メディカルニーズがあると考えられる

### 世界（AYA世代20試験以下、小児200試験以下）

疾患名	試験数
骨外性ユーイング肉腫	0
粘液線維肉腫	1

### 日本（4試験以下）

疾患名	試験数
骨外性ユーイング肉腫	0
粘液線維肉腫	0
悪性末梢神経鞘腫瘍	1
類上皮肉腫	1
線維肉腫	2
未分化多形肉腫	2
脂肪肉腫	2
明細胞肉腫	3
胞巣状軟部肉腫	3
平滑筋肉腫	3
軟骨肉腫	3

AYA世代

疾患名	試験数
網膜芽細胞腫	90
組織球症	192
胚細胞腫瘍	197

疾患名	試験数
網膜芽細胞腫	1
組織球症	3
胚細胞腫瘍	4

小児

## 世界で希少がん臨床ニーズが高いと考えられる疾患

以下の希少がんが世界で臨床試験数が少なく、メディカルニーズがあると考えられる  
 RARECAREnetにて公開されているTier 2疾患の罹患率\*中央値は0.10028であるため、罹患率が比較的低い疾患が多く含まれる

### 世界（1試験以下）

疾患名	試験数	罹患率*
Adenoid Cystic Carcinoma Of Corpus Uteri	0	0.00032
Alveolar Rhabdomyosarcoma Of Soft Tissue	0	0.03313
Carcinoma With Osteoclast-Like Giant Cells Of Pancreas	0	0.00121
Follicular B Lymphoma	0	2.19244
Hodgkin Lymphoma Nodular Lymphocyte Predominance	0	0.09467
Lymphoepithelial Carcinoma Of Thymus	0	0.00077
Mixed Endocrine-Exocrine Carcinoma Of Pancreas And Digestive Tract	0	0.00938
Odontogenic Malignant Tumours	0	0.0044
Pancreatoblastoma	0	0.00249
Papillary Adenocarcinoma Of Nasopharynx	0	0.00038
Primary Peritoneal Serous/Papillary Carcinoma	0	0.08171
Serous (Papillary) Carcinoma	0	0.07832
Soft Tissue Sarcoma Of Mediastinum	0	0.02968
Soft Tissue Sarcoma Of Paraorbit	0	0.00747

疾患名	試験数	罹患率*
Soft Tissue Sarcoma Of Paratestis	0	0.03256
Soft Tissue Sarcoma Of Viscera	0	0.38326
Teratoma With Malignant Transformation	0	0.00128
Undifferentiated Carcinoma Of Cervix Uteri	0	0.03064
Undifferentiated Carcinoma Of Thymus	0	0.0023
Undifferentiated Carcinoma Of Vulva And Vagina	0	0.00543
Adenocarcinoma With Variants Of Middle Ear	1	0.00319
Bile Duct Cystadenocarcinoma Of IBT	1	0.00243
Choriocarcinoma Of Placenta	1	0.02247
Mucinous Cystadenocarcinoma Of Pancreas	1	0.00696
Mullerian Mixed Tumour Of Cervix Uteri	1	0.01641
Salivary Gland Type Tumours Of Oesophagus	1	0.00402
Salivary Gland Type Tumours Of Trachea	1	0.49873
Soft Tissue Sarcoma Of Superficial Trunk	1	0.02407
Squamous Cell Carcinoma With Variants Middle Ear	1	0.01117

\*RARECAREnetにて公開されているCrude incidence rate per 100,000

## 日本で希少がん臨床ニーズが高いと考えられる疾患（1/2）

以下の希少がんが日本で臨床試験数が少なく、メディカルニーズがあると考えられる

### 日本（0試験）

疾患名	試験数
Acinar Cell Carcinoma Of Pancreas	0
Adenocarcinoma With Variants Of Middle Ear	0
Adenocarcinoma With Variants Of Thymus	0
Adenocarcinoma With Variants Of Trachea	0
Adenocarcinoma With Variants Of Vulva And Vagina	0
Adenoid Cystic Carcinoma Of Corpus Uteri	0
Alveolar Rhabdomyosarcoma Of Soft Tissue	0
Atypical Chronic Myeloid Leukaemia Bcr_Abl Negative	0
Basal Cell Adenocarcinoma Of Prostate	0
Bile Duct Cystadenocarcinoma Of Ibt	0
Carcinoma With Osteoclast-Like Giant Cells Of Pancreas	0
Choriocarcinoma Of Placenta	0
Choroid Plexus Carcinoma Of CNS	0
Ependymal Tumours Of CNS	0
Epithelial Tumours Of Major Salivary Glands	0
Fibromixoma And Low Grade Mucinous Adenocarcinoma Of The Appendix	0
Follicular B Lymphoma	0
Germ Cell Tumour Of Ovary	0
Hepatocellular Carcinoma, Fibrolamellar	0
Hodgkin Lymphoma Nodular Lymphocyte Predominance	0

疾患名	試験数
Hodgkin Lymphoma, Classical	0
Lymphoepithelial Carcinoma Of Nasal Cavity And Sinuses	0
Lymphoepithelial Carcinoma Of Thymus	0
Malignant Meningiomas	0
Malignant Teratomas Of Ovary	0
Malignant Thymoma	0
Mast Cell Tumour	0
Mixed Endocrine-Exocrine Carcinoma Of Pancreas And Digestive Tract	0
Mucinous Cystadenocarcinoma Of Pancreas	0
Mullerian Mixed Tumour	0
Mullerian Mixed Tumour Of Cervix Uteri	0
Mullerian Mixed Tumour Of Ovary	0
Neuroendocrine Carcinoma Of Skin	0
Neuronal And Mixed Neuronal-Glial Tumors	0
Odontogenic Malignant Tumours	0
Paget's Disease Of Anal Canal	0
Paget's Disease Of Vulva And Vagina	0
Pancreatoblastoma	0
Papillary Adenocarcinoma Of Nasopharynx	0
Paraganglioma	0

## 日本で希少がん臨床ニーズが高いと考えられる疾患 (2/2)

以下の希少がんが日本で臨床試験数が少なく、今後ニーズが高いと考えられる

### 日本 (0試験)

疾患名	試験数
Paratesticular Adenocarcinoma With Variants	0
Pheochromocytoma, Malignant	0
Pleuropulmonary Blastoma	0
Primary Peritoneal Serous/Papillary Carcinoma	0
Prolymphocytic Leukaemia, B Cell	0
Retinoblastoma	0
Salivary Gland Type Tumours Of Bladder	0
Salivary Gland Type Tumours Of Oesophagus	0
Salivary Gland Type Tumours Of Trachea	0
Serous (Papillary) Carcinoma	0
Serous Cystadenocarcinoma Of Pancreas	0
Sex Cord Tumours Of Ovary	0
Soft Tissue Sarcoma Of Brain And Other Parts Of The Nervous System	0
Soft Tissue Sarcoma Of Heart	0
Soft Tissue Sarcoma Of Mediastinum	0
Soft Tissue Sarcoma Of Paraorbit	0
Soft Tissue Sarcoma Of Paratestis	0
Soft Tissue Sarcoma Of Superficial Trunk	0
Soft Tissue Sarcoma Of Viscera	0

疾患名	試験数
Solid Pseudopapillary Carcinoma Of Pancreas	0
Squamous Cell Carcinoma Of Thymus	0
Squamous Cell Carcinoma With Variants Middle Ear	0
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Corpus Uteri	0
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Penis	0
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Prostate	0
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Rectum	0
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Small Intestine	0
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Trachea	0
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Urethra	0
Teratoma With Malignant Transformation	0
Testicular Sex Cord Cancer	0
Undifferentiated Carcinoma Of Cervix Uteri	0
Undifferentiated Carcinoma Of Liver And Ibt	0
Undifferentiated Carcinoma Of Nasal Cavity And Sinuses	0
Undifferentiated Carcinoma Of Oesophagus	0
Undifferentiated Carcinoma Of Thymus	0
Undifferentiated Carcinoma Of Vulva And Vagina	0

## 2. 臨床試験情報公開状況

## 主な倫理的背景

臨床試験は倫理的・法的に情報公開が求められている

倫理指針	概要
ニュルンベルグ綱領	1947年、非人道的な人体実験等に関する責任者に対する裁判の結果として生まれた、人間を被験者とする研究に関する倫理指針
ジュネーブ宣言	1948年、世界医師会が採択した、現代の医師はどのような倫理原則に従って職務を全うするべきかをまとめた倫理指針
ヘルシンキ宣言	1964年、ニュルンベルク綱領を踏まえて、世界医師会が採択した、人間を対象とする医学研究に関する倫理指針

## ヘルシンキ宣言で求められる情報公開

「研究登録と結果の刊行および普及」の条項において、以下の2点が求められている

35. 人間を対象とするすべての研究は、最初の被験者を募集する前に**一般的にアクセス可能なデータベースに登録されなければならない**。

36. すべての研究者、著者、スポンサー、編集者および発行者は、研究結果の刊行と普及に倫理的責務を負っている。**研究者は、人間を対象とする研究の結果を一般的に公表する義務を有し報告書の完全性と正確性に説明責任を負う**。すべての当事者は、倫理的報告に関する容認されたガイドラインを遵守すべきである。否定的結果および結論に達しない結果も肯定的結果と同様に、刊行または他の方法で公表されなければならない。資金源、組織との関わりおよび利益相反が、刊行物の中には明示されなければならない。この宣言の原則に反する研究報告は、刊行のために受理されるべきではない。

## 留意点・参考情報

- **ヘルシンキ宣言は、法的拘束力のある国際法ではなく、各国の法令等に対して原則を遵守するよう影響を与え、その権威付けとするもの、とされる。**
- 日本においては、ヘルシンキ宣言の精神に基づいた「医薬品の臨床試験の実施に関する基準」に関する通知が1990年に施行、省令が1998年に施行されている。『薬生薬審発0705第3号 令和元年7月5日「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」のガイダンスについて』に以下のように記載されている
  - 治験は、ヘルシンキ宣言に基づく倫理的原則及び本基準を遵守して行うこと
  - 治験審査委員会の各委員は、ヘルシンキ宣言に基づく倫理的原則、GCP省令、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律、その他治験に係る法令及び行政通知等の内容を理解していること

### 主な法制化の背景

臨床試験は倫理的・法的に情報公開が求められている

- 1997年、米国議会がFood and Drug Administration Modernization Act of 1997 (FDAMA)を可決 (FDAの薬事規制下で実施される連邦政府または民間資金による臨床試験を登録するための公開情報リソースの作成をNIHに要求)
- 2000年、NIHがClinicalTrials.govを開発、一般公開 (主にNIHが資金配分した研究の情報が登録されていた)
- 2001年、Clinical trials Directive 2001/20/EC (以下、EU臨床試験指令) が採択、2004年までに加盟各国の規制が施行され、包括的な登録制度が開始
- 2004年、保健相世界会議がWHOに対して、世界の臨床試験レジストリを繋げるプラットフォームの設立を要望
- 2005年、主要医学雑誌 (The LancetやJAMA等) が加盟するInternational Committee of Medicine Journal Editor (ICMJE)が、臨床試験の結果を論文に掲載する必要条件としてレジストリへの臨床試験の登録を設定する声明を表明
- 2005年、WHOがInternational Clinical Trial Registry Platform (ICTRP)を設置・公開、運営を開始

### WHO ICTRPが求める必須登録項目 (WHO Trial Registration Data Set)

- 現在のversion 1.3.1では24項目ある (version 1.0では20項目)
- 必須登録項目には、固有番号、試験開始日、疾患情報 (健康状態や研究課題)、被験者の年齢範囲等を含む
- **WHO ICTRPの基準に準拠したレジストリを用いることで、小児、AYA世代、希少がんに関する主な臨床試験に関する情報分析が可能である**

### 参照

- <https://cellbank.nibiohn.go.jp/legacy/information/ethics/refhoshino/hoshino0006.htm>
- <http://platform.umin.jp/elsi/link.html>
- <https://www.med.or.jp/doctor/international/wma/helsinki.html>
- <https://www.med.or.jp/di-med/wma/helsinki2013j.pdf>
- <https://www.pmda.go.jp/files/000230974.pdf>
- ClinicalTrials.gov "History, Policies, and Laws"ページ <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-site/history>
- European Commission "Clinical trials - Directive 2001/20/EC"ページ [https://ec.europa.eu/health/medicinal-products/clinical-trials/clinical-trials-directive-200120ec\\_en](https://ec.europa.eu/health/medicinal-products/clinical-trials/clinical-trials-directive-200120ec_en)
- WHO "Ministerial Summit on Health Research" (Mexico City, 16-20 November 2004) [https://apps.who.int/gb/archive/pdf\\_files/EB115/B115\\_30-en.pdf](https://apps.who.int/gb/archive/pdf_files/EB115/B115_30-en.pdf)
- ICMJE "Clinical trial registration: a statement from the International Committee of Medical Journal Editors" <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC516198/>
- WHO Trial Registration Data Set (Version 1.3.1) <https://www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network/who-data-set>

## 米国：ClinicalTrials.gov + ISRCTN registry

臨床試験に関する情報はISRCTN registryとClinicalTrials.govを主に利用し、各国・地域のレジストリーを補完的に用いて収集・分析した（1/8）

対象国	規制・データソース	制約・備考
米国	<ul style="list-style-type: none"> <li>● Food and Drug Administration (FDA)改正法 (FDAAA 801)               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 臨床試験の登録を義務付けている</li> <li>➢ 目的：臨床試験参加者への倫理的配慮、潜在的な参加者への情報提供、出版バイアスの低減</li> <li>➢ 対象：米国内で実施する臨床試験、米国で製造される医薬品等に関する臨床試験                   <ul style="list-style-type: none"> <li>※観察研究、医薬品・医療機器等を用いない行動的介入等を除く</li> </ul> </li> <li>➢ 登録内容：臨床試験の計画、結果サマリー(*2)</li> <li>➢ FDAへの事前登録や結果報告義務を遵守しない場合、罰則がある(*1 97頁)</li> <li>➢ 米国の登録機関は<b>ClinicalTrials.gov</b>である(*2)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● ClinicalTrials.gov/FDAAA 801 (*1 84頁)               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 登録項目に《試験開始日、疾患、被験者の年齢範囲》等の情報を含むため、本調査に用いることに適している。</li> </ul> </li> </ul>

※ ISRCTN registry は、以下のように本調査に用いることに適している

- WHO ICTRP と ICMJE (International Committee of Medical Journal Editors) に認定された主要な臨床試験レジストリである
- 全ての臨床研究を受け入れ、データベース内のすべての研究記録を自由に検索・アクセスできる
- 英国の公的機関 Health Research Authority (HRA) とパートナーシップを結んでいる
- 代表的な学術誌出版社である BMC, Springer Nature が運営している

<https://www.isrctn.com/>

## 欧州：CTIS、EU-CTR、ISRCTN registry、ClinicalTrials.gov

臨床試験に関する情報はISRCTN registryとClinicalTrials.govを主に利用し、各国・地域のレジストリーを補完的に用いて収集・分析した（2/8）

対象国	規制・データソース	制約・備考
欧州	<ul style="list-style-type: none"> <li>● Clinical Trials Regulation EU No 536/2014（以下、EU臨床試験規則）               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 臨床試験の登録を義務付けている(*4 8頁)</li> <li>➢ 目的：臨床試験の透明性確保、公衆衛生の保護、欧州の医療研究の革新能力の促進(*4 8頁)</li> <li>➢ 対象：EUで実施されるすべての臨床試験(*4 11頁)                   <ul style="list-style-type: none"> <li>※非介入研究を除く</li> </ul> </li> <li>➢ 登録内容：臨床試験の登録、結果概要(*4 69頁)</li> <li>➢ 2022年1月31日に施行(*5)</li> <li>➢ 登録先：EMAが運営する<b>Clinical Trials Information System (CTIS)</b> (*6)                   <ul style="list-style-type: none"> <li>※EU臨床試験規則での名称はEU Clinical Trial Portal and Database</li> <li>※WHO ICTRPに参加している<b>EU Clinical Trials Register (EU-CTR)</b>から運営・データを順次移行している</li> </ul> </li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● CTIS/EU臨床試験規則               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 登録項目には、試験開始日、目的（一般に疾患名を含む）、被験者の年齢、等の情報を含むため、本調査に用いる上で特段の問題はないと考える。(*4 69頁)</li> <li>➢ Paediatric Investigation Plan(PIP)（以下、小児調査計画）により、EU外で実施された小児試験を含めて登録されているため、必要に応じて試験実施国の情報を用いて分析する(*7)</li> </ul> </li> <li>● 英国における臨床試験の情報について               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ Brexit（2021年1月1日）以降に開始された臨床試験の登録は、条件に応じて国際的レジストリに順次登録されている（2022年1月1日以降）(*8)</li> <li>➢ 登録先：<b>ISRCTN registry</b>に自動的に登録</li> <li>➢ 2021年12月31日までの情報は<b>ISRCTN registry</b>や<b>ClinicalTrials.gov</b>等の国際的レジストリへの登録が必要（2021年1月1日～2021年12月31日）(*9)</li> <li>➢ 登録先：<b>ISRCTN registry</b>や<b>ClinicalTrials.gov</b>等の既存の国際的レジストリへが推奨</li> <li>➢ 英国とEUの両方で実施される臨床試験はEU-CTRに登録</li> <li>➢ 英国で実施されている臨床試験は、<b>Health Research Authority</b>の研究概要サイトと「<b>Be Part of Research</b>」サイトで公開</li> </ul> </li> </ul>

## ISRCTN registry、ClinicalTrials.gov + CTIS、EU-CTR、DRKS、NTR

臨床試験に関する情報はISRCTN registryとClinicalTrials.govを主に利用し、各国・地域のレジストリーを補完的に用いて収集・分析した（3/8）

対象国	規制・データソース	制約・備考
ドイツ	<ul style="list-style-type: none"> <li>● EU臨床試験規則               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ EUパートを参照</li> </ul> </li> <li>● WHO ICTRP、ヘルシンキ宣言 (*10)               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 公的にアクセス可能なデータベースに臨床試験を登録する必要がある</li> <li>➢ 登録先：政府機関Federal Ministry of Health (BMG) Federal Institute for Drugs and Medical Devices (BfArM)の中に設置された非営利団体DRKSが運営するGerman Clinical Trials Register (DRKS)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● DRKS (*10)               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 対象年齢で検索が可能</li> <li>➢ ドイツで実施される全ての臨床試験がDRKSに登録されるとは記載されておらず、CTISやClinicalTrials.govの抜け漏れを補足するために用いる</li> </ul> </li> </ul>
オランダ	<ul style="list-style-type: none"> <li>● EU臨床試験規則               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ EUパートを参照</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● Netherlands Trial Register (NTR) (*11)               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ オランダの公的レジストリであるNTRは、新規登録を終了しており、ISRCTN registryやClinicalTrials.gov等の国際的レジストリへの登録が推奨されている</li> <li>➢ CTISの抜け漏れを補足するために、これらの国際的レジストリを用いる</li> </ul> </li> </ul>

## ISRCTN registry、ClinicalTrials.gov + CRIS、ChiCTR

臨床試験に関する情報はISRCTN registryとClinicalTrials.govを主に利用し、各国・地域のレジストリーを補完的に用いて収集・分析した（4/8）

対象国	規制・データソース	制約・備考
韓国	<ul style="list-style-type: none"> <li>● WHO ICTRP、ヘルシンキ宣言               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 韓国で実施される前向きな臨床研究（臨床試験を含む）は、Korea Disease Control and Prevention Agency (KDCA)が運営する<b>Clinical Research Information Service (CRIS)</b>に登録することができる(*12)</li> </ul> </li> <li>● Regulation for Management of Health and Medical Technology R&amp;D Projects               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ Ministry of Health and WelfareやKorea Centers for Disease Control and Prevention等から公的な資金配分を受けた臨床試験はCRISに登録する必要がある(*13)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● CRIS               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ WHO ICTRPで求められる全ての項目を登録する必要があり、試験開始日、目的（一般に疾患名を含む）、被験者の年齢、等の情報を含むため、本調査に用いる上で特段の問題はない(*14)</li> <li>➢ 韓国の臨床試験情報は、<b>ISRCTN registry</b>や<b>ClinicalTrials.gov</b>等の国際的レジストリーを用いて分析する必要があり、CRISは抜け漏れを補足する用途で用いる</li> </ul> </li> </ul>
中国	<ul style="list-style-type: none"> <li>● Drug Registration Regulation Order No. 27 (DRR) (*15)               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 中国で実施される臨床試験は、NMPAのCenter for Drug Evaluation (CDE)が運営するDrug Clinical Trial Registration and Information Disclosure Platform (以下、DCTRIDP)に登録する必要がある</li> </ul> </li> <li>● WHO ICTRP、ヘルシンキ宣言 (*16,17)               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 中国で実施される臨床研究（介入研究、治験だけでなく観察研究等を含む）は、非営利団体の<b>Chinese Clinical Trial Registry (ChiCTR)</b>に登録する必要がある</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● DCTRIDP (*18)               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ <u>全て中国語</u>であるため、日本語または英語で情報分析することに適していない</li> </ul> </li> <li>● ChiCTR               <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 法的な登録根拠が記載されておらず、WHO ICTRPやヘルシンキ宣言等の倫理的社会的な要求となっており、全ての臨床試験が登録されているとは限らない(*16,17)</li> <li>➢ 中国の臨床試験情報は、<b>ISRCTN registry</b>や<b>ClinicalTrials.gov</b>等の国際的レジストリーを用いて分析する必要があり、ChiCTRは抜け漏れを補足する用途で用いる</li> </ul> </li> </ul>

## ISRCTN registry、ClinicalTrials.gov + TCTR、CTRI、IRCT

臨床試験に関する情報はISRCTN registryとClinicalTrials.govを主に利用し、各国・地域のレジストリーを補完的に用いて収集・分析した（5/8）

対象国	規制・データソース	制約・備考
タイ	<ul style="list-style-type: none"> <li>● Notification of the Medicines Regulation Division Regarding the Details of the Requirements for Importing or Prescribing Drugs into the Kingdom for Clinical Research (ClinDrugReqsDetails) <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 臨床試験は、非営利団体Medical Research Foundationの下部組織Medical Research Network (MedResNet)が運営する<b>Thai Clinical Trials Registry (TCTR)</b>または海外レジストリーに登録することが求められている(*24)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● TCTR <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 登録を必須とする法的根拠は明記されていない(*25)</li> <li>➢ タイの臨床試験情報は、<b>ISRCTN registry</b>や<b>ClinicalTrials.gov</b>等の国際的レジストリーを用いて分析する必要があり、TCTRは抜け漏れを補足する用途で用いる</li> </ul> </li> </ul>
インド	<ul style="list-style-type: none"> <li>● New Drugs and Clinical Trials Rules, 2019 (2019-CTRules)、National Ethical Guidelines for Biomedical and Health Research Involving Human Participants (G-ICMR)、National Ethical Guidelines for Biomedical and Health Research Involving Human Participants (G-ICMR) <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ インドで実施される全ての臨床試験は、Indian Council of Medical Research (ICMR)の運営する<b>Clinical Trials Registry India (CTRI)</b>に登録する必要がある(*26,27)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● CTRI <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ WHO ICTRPのプライマリーレジストリーであるが、登録情報の一覧に年齢の項目が含まれておらず、疾患名等から必要な臨床試験情報を抽出する必要がある可能性がある(*27)</li> <li>➢ インドの臨床試験情報は、<b>ISRCTN registry</b>や<b>ClinicalTrials.gov</b>等の国際的レジストリーを用いて分析する必要があり、CTRIは抜け漏れを補足する用途で用いる</li> </ul> </li> </ul>
イラン	<ul style="list-style-type: none"> <li>● WHO ICTRP (*28) <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 臨床試験は、Iran University of Medical Sciences (IUMS)が運営する<b>Iranian Registry of Clinical Trials (IRCT)</b>に登録することができる</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● IRCT <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 登録を必須とする法的根拠は明記されていない(*29)</li> <li>➢ <b>IRCT</b>はベータ版であるため、結果の信頼性は担保されない(*29)</li> <li>➢ イランの臨床試験情報は、<b>ISRCTN registry</b>や<b>ClinicalTrials.gov</b>等の国際的レジストリーを用いて分析する必要があり、IRCTは抜け漏れを補足する用途で用いる</li> </ul> </li> </ul>

## ISRCTN registry、ClinicalTrials.gov + HAS Clinical Trial Registry、HKUCTR

臨床試験に関する情報はISRCTN registryとClinicalTrials.govを主に利用し、各国・地域のレジストリーを補完的に用いて収集・分析した（6/8）

対象国	規制・データソース	制約・備考
シンガポール	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 臨床試験の登録を必須とする法的根拠は明記されていない(*19,20) <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 臨床試験は、Health Sciences Authority (HSA) が運営するClinical Trials Registryに登録することができる(*19)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● HSA Clinical Trial Registry（左記と名称が異なるが、原文のまま） <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ WHO ICTRPのプライマリー/パートナーレジストリーではない(*21,22)</li> <li>➢ International Committee of Medical Journal Editors (ICMJE)が求める登録項目を満たしていない(*19)</li> <li>➢ シンガポールの臨床試験情報は、ISRCTN registryやClinicalTrials.gov等の国際的レジストリーを用いて分析する必要があり、HSA Clinical Trial Registryは抜け漏れを補足する用途で用いる</li> </ul> </li> </ul>
香港	<ul style="list-style-type: none"> <li>● WHO ICTRP、ヘルシンキ宣言 <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 臨床試験は、Clinical Trials Centre, The University of Hong Kong (HKU-CTC)が運営するHKU Clinical Trials Registry (HKUCTR)に登録することができる(*23)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● HKUCTR <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ WHO ICTRPのプライマリー/パートナーレジストリーではない(*21,22)</li> <li>➢ ICMJEとWHO ICTRPが求める必須登録項目の要件（20項目）に準拠しているが、最新の要件（24項目）を満たす記載はない(*23)</li> <li>➢ 対象年齢はEligibility Criteriaからのみ取得可能</li> <li>➢ 香港の臨床試験情報は、ISRCTN registryやClinicalTrials.gov等の国際的レジストリーを用いて分析する必要があり、HKUCTRは抜け漏れを補足する用途で用いる</li> </ul> </li> </ul>

※シンガポールのHAS Clinical Trial Registryと香港のHKUCTRは、WHO ICTRPのプライマリー/パートナーレジストリーではないことに留意

## 参照情報 (1/2)

臨床試験に関する情報はISRCTN registryとClinicalTrials.govを主に利用し、各国・地域のレジストリーを補完的に用いて収集・分析した (7/8)

対象国	参照先
米国	<ul style="list-style-type: none"> <li>*1 FDAAA 801 80-100頁 <a href="https://www.govinfo.gov/content/pkg/PLAW-110publ85/pdf/PLAW-110publ85.pdf#page=82">https://www.govinfo.gov/content/pkg/PLAW-110publ85/pdf/PLAW-110publ85.pdf#page=82</a></li> <li>*2 ClinicalTrials.gov "Why Should I Register and Submit Results?" ページ <a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/manage-recs/background">https://clinicaltrials.gov/ct2/manage-recs/background</a></li> <li>*3 臨床研究（試験）の登録制度と情報公開：臨床試験登録の歴史・現状・課題、保健医療科学、2015、Vol.64 No.4 p.297 - 305</li> </ul>
欧州	<ul style="list-style-type: none"> <li>*4 EU臨床試験規則 <a href="https://ec.europa.eu/health/system/files/2016-11/reg_2014_536_en_0.pdf#page=8">https://ec.europa.eu/health/system/files/2016-11/reg_2014_536_en_0.pdf#page=8</a></li> <li>*5 European Commission "Clinical trials - Regulation EU No 536/2014" ページ <a href="https://ec.europa.eu/health/medicinal-products/clinical-trials/clinical-trials-regulation-eu-no-5362014_en">https://ec.europa.eu/health/medicinal-products/clinical-trials/clinical-trials-regulation-eu-no-5362014_en</a></li> <li>*6 European Medicines Agency (EMA) "Clinical Trials Regulation" ページ <a href="https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/clinical-trials/clinical-trials-regulation#clinical-trials-information-system-section">https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/clinical-trials/clinical-trials-regulation#clinical-trials-information-system-section</a></li> <li>*7 European Commission "Clinical trials - Directive 2001/20/EC" ページ <a href="https://ec.europa.eu/health/medicinal-products/clinical-trials/clinical-trials-directive-200120ec_en">https://ec.europa.eu/health/medicinal-products/clinical-trials/clinical-trials-directive-200120ec_en</a></li> <li>*8 Clinical trials for medicines: apply for authorisation in the UK <a href="https://www.gov.uk/guidance/clinical-trials-for-medicines-apply-for-authorisation-in-the-uk#registration-of-your-clinical-trial">https://www.gov.uk/guidance/clinical-trials-for-medicines-apply-for-authorisation-in-the-uk#registration-of-your-clinical-trial</a></li> <li>*9 Registration of clinical trials for investigational medicinal products and publication of summary results <a href="https://www.gov.uk/guidance/registration-of-clinical-trials-for-investigational-medicinal-products-and-publication-of-summary-results">https://www.gov.uk/guidance/registration-of-clinical-trials-for-investigational-medicinal-products-and-publication-of-summary-results</a></li> </ul>
ドイツ	<ul style="list-style-type: none"> <li>*10 DRKS - German Clinical Trials Register <a href="https://www.drks.de/drks_web/setLocale_EN.do">https://www.drks.de/drks_web/setLocale_EN.do</a></li> </ul>
オランダ	<ul style="list-style-type: none"> <li>*11 NTR <a href="https://www.trialregister.nl">https://www.trialregister.nl</a></li> </ul>
韓国	<ul style="list-style-type: none"> <li>*12 CRIS "About CRIS" ページ <a href="https://cris.nih.go.kr/cris/info/introduce.do">https://cris.nih.go.kr/cris/info/introduce.do</a></li> <li>*13 CRIS "FAQ" ページ <a href="https://cris.nih.go.kr/cris/board/listFAQBoard.do?board_seq=8">https://cris.nih.go.kr/cris/board/listFAQBoard.do?board_seq=8</a></li> <li>*14 CRIS "Registration Data Set" ページ <a href="https://cris.nih.go.kr/cris/resources/file/explain_en.pdf">https://cris.nih.go.kr/cris/resources/file/explain_en.pdf</a></li> </ul>

## 参照情報 (2/2)

臨床試験に関する情報はISRCTN registryとClinicalTrials.govを主に利用し、各国・地域のレジストリーを補完的に用いて収集・分析した (8/8)

対象国	参照先
中国	<ul style="list-style-type: none"> <li>*15 NIAID ClinRegs "China"ページ <a href="https://clinregs.niaid.nih.gov/country/china#_top">https://clinregs.niaid.nih.gov/country/china#_top</a></li> <li>*16 ChiCTR "Registration Guidance"ページ <a href="https://www.chictr.org.cn/registryen.aspx">https://www.chictr.org.cn/registryen.aspx</a></li> <li>*17 ChiCTR "Frequently Asked Questions"ページ <a href="https://www.chictr.org.cn/questionen.aspx">https://www.chictr.org.cn/questionen.aspx</a></li> <li>*18 DCTRIDP <a href="http://www.chinadrugtrials.org.cn/index.html">http://www.chinadrugtrials.org.cn/index.html</a></li> </ul>
シンガポール	<ul style="list-style-type: none"> <li>*19 HSA "Clinical Trials Register"ページ <a href="https://www.hsa.gov.sg/clinical-trials/clinical-trials-register">https://www.hsa.gov.sg/clinical-trials/clinical-trials-register</a></li> <li>*20 HSA Clinical Trial Registry (検索ページ) <a href="https://eservice.hsa.gov.sg/prism/ct_r/enquiry.do?action=loadSearch">https://eservice.hsa.gov.sg/prism/ct_r/enquiry.do?action=loadSearch</a></li> <li>*21 WHO "Primary registries in the WHO registry network"ページ <a href="https://www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network/primary-registries">https://www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network/primary-registries</a></li> <li>*22 WHO "Partner registries"ページ <a href="https://www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network/partner-registries">https://www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network/partner-registries</a></li> </ul>
香港	<ul style="list-style-type: none"> <li>*23 HKU Clinical Trials Registry (HKUCTR) "About US"ページ <a href="http://www.hkuctr.com/home/about">http://www.hkuctr.com/home/about</a></li> </ul>
タイ	<ul style="list-style-type: none"> <li>*24 NIAID ClinRegs "Thailand"ページ <a href="https://clinregs.niaid.nih.gov/country/thailand#_top">https://clinregs.niaid.nih.gov/country/thailand#_top</a></li> <li>*25 TCTR <a href="https://www.thaiclinicaltrials.org">https://www.thaiclinicaltrials.org</a></li> </ul>
インド	<ul style="list-style-type: none"> <li>*26 NIAID ClinRegs "India"ページ <a href="https://clinregs.niaid.nih.gov/country/india#_top">https://clinregs.niaid.nih.gov/country/india#_top</a></li> <li>*27 Clinical Trials Registry - India "Frequently Asked Questions"ページ <a href="http://ctri.nic.in/Clinicaltrials/faq.php#10a">http://ctri.nic.in/Clinicaltrials/faq.php#10a</a></li> </ul>
イラン	<ul style="list-style-type: none"> <li>*28 IRCT "How to register a trial"ページ <a href="https://www.irct.ir/page/how_to_register_a_trial">https://www.irct.ir/page/how_to_register_a_trial</a></li> <li>*29 IRCT <a href="https://www.irct.ir">https://www.irct.ir</a></li> </ul>

2022年2月14日～21日にアクセス

## 4. 情報ソース及び分析方法

- A) 情報ソース
- B) 対象疾患
- C) 索引用辞書
- D) Raw Data項目

## 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)

4. 情報ソース及び分析方法  
B) 情報ソース

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.bigtenrc.org/clinical-research/current-trials/">https://www.bigtenrc.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

## 4. 情報ソース及び分析方法

- A) 情報ソース
- B) 対象疾患
- C) 索引用辞書
- D) Raw Data項目

## 小児・AYA世代・希少がんの定義

対象の臨床試験及び小児・AYA世代・希少がんをそれぞれ以下の通り定義し、分類した

共通	<ul style="list-style-type: none"><li>• Start Dateが2010年以降</li><li>• 2022年3月にデータ抽出を実施</li><li>• Statusが「Active, not recruiting」「Recruiting」「Completed」のいずれか（情報ソースによりステータス名が異なるため実際の項目名はソース毎に異なる）</li></ul>
小児がん	<p>以下のいずれかが該当する試験</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• タイトルに「Child」「Pediatric」「Paediatric」が含まれる</li><li>• Max Ageが18以下である</li></ul>
AYA世代がん	<p>以下のいずれかが該当する試験</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• タイトルに「Adolescent」「Young adult」が含まれる</li><li>• Max Ageが19以上である、且つMinimum Ageが39以下である</li></ul>
希少がん	<ul style="list-style-type: none"><li>• RARECARENetにてTier 2で定義されている198疾患に対して作成した検索式で検索が可能である</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

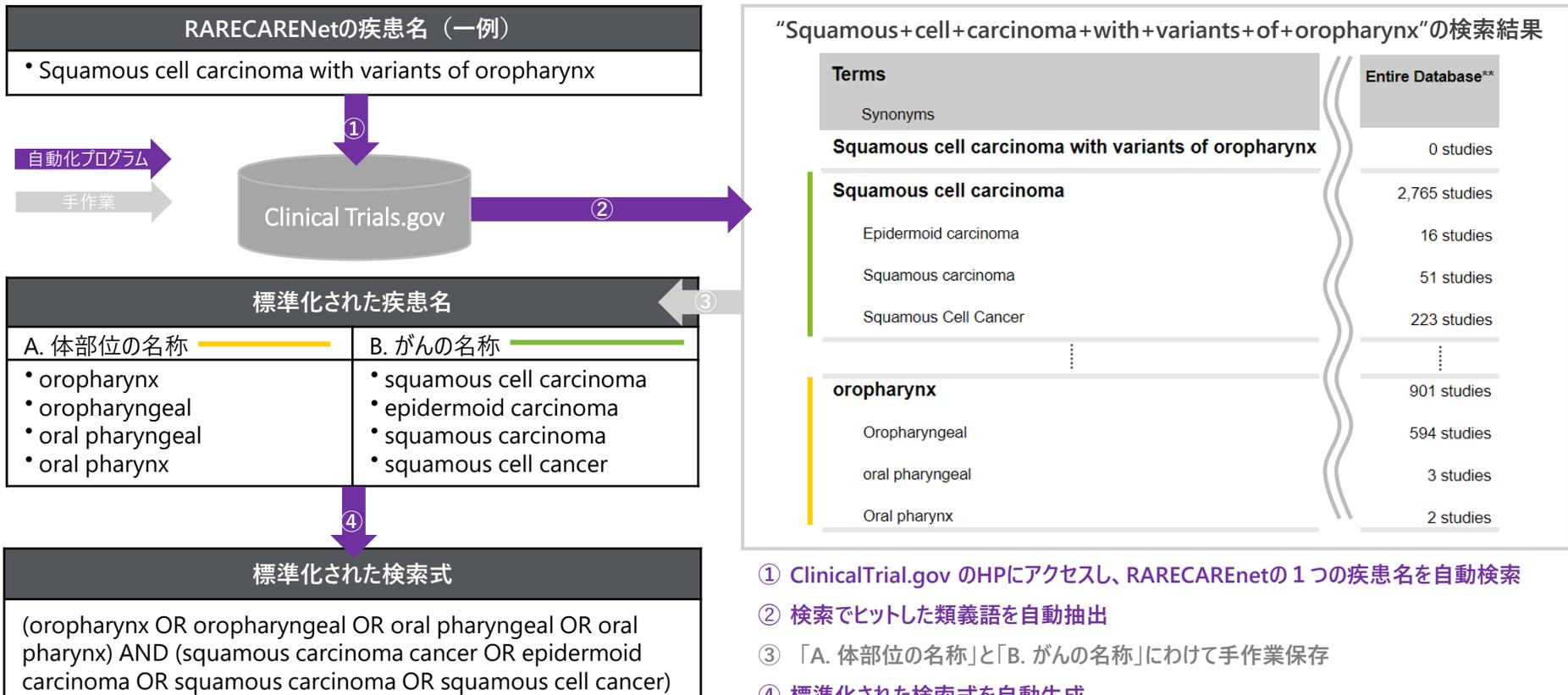
分類	疾患	検索語句
AYA	滑膜肉腫	Synovial Sarcoma, Synovioma
AYA	類上皮肉腫	Epithelioid sarcoma
AYA	胞巣状軟部肉腫	Alveolar Soft Part Sarcoma, Alveolar Soft-Part Sarcoma
AYA	明細胞肉腫（淡明細胞肉腫）	Clear Cell Sarcoma, Melanoma of Soft Part
AYA	骨外性ユーイング肉腫	Extraskeletal Ewing's sarcoma

※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

### Clinical Trials.govをベースにしたRARECAREnetの疾患名の半自動“標準化”プロセス

希少がんについてはRARECAREnetで示されているTier 2を対象疾患と定義し、体の部位とがん種からなる疾患名の“標準化”された検索式を作成した



RARECAREnetの198の希少疾患ファミリー (tier2) からさらに521の形態学的分類 (tier3) を同定し、全疾患名に対して標準化処理を適用

## 疾患名標準化の際に修正対応が必要なケース

希少がんの検索語句を設定する上で例外対応が必要と考えられるケースを定義し、検索式リストを整備した

No.	ケース	対応方針
1	Apostrophe (""")が含まれる 例：Paget's Tumor	<ul style="list-style-type: none"> <li>Apostropheなしの名前も作成する</li> <li>例：Paget, Pagets, Paget's</li> </ul>
2	Andが含まれる 例：Combined hepatocellular carcinoma and cholangiocarcinoma	<ul style="list-style-type: none"> <li>Andを検索のためにBooleanのORに変換する</li> <li>例：Combined hepatocellular carcinoma OR cholangiocarcinoma</li> </ul>
3	"~type"が含まれる 例：salivary gland type tumour	<ul style="list-style-type: none"> <li>"~type"のありなしで名前を2種類作成する</li> <li>例：salivary gland type tumourに加えてsalivary gland tumourも追加</li> </ul>
4	カッコが含まれる疾患名 例：Serous (papillary) carcinoma	<ul style="list-style-type: none"> <li>個別での対応を実施する</li> <li>例：papillary carcinomaは希少疾患ではないため、serous carcinomaに変換</li> </ul>
5	英数字が含まれる 例：grade iv astrocytoma]	<ul style="list-style-type: none"> <li>英数字を英字表記と算用数字に置き換えた名前も作成する</li> <li>例：grade iv astrocytomaに加えて grade 4 astrocytomaとgrade four astrocytomaも追加</li> </ul>
6	ハイフンが含まれる 例：ovarian sex cord-stromal tumor	<ul style="list-style-type: none"> <li>ハイフンありなしどちらも検索できるよう、自動化プログラム上で対応する</li> <li>例：ovarian sex cord stromal tumor</li> </ul>
7	異なる綴りの同意語が混在している 例：tumorとtumour	<ul style="list-style-type: none"> <li>類似単語すべても検索できるよう、自動化プログラム上で対応する そのほか：pediatricとpaediatric、leukemiaとleukaemiaなど</li> </ul>
8	コンマが含まれる 例：Steroid cell tumour, malignant	<ul style="list-style-type: none"> <li>カンマ後の文字列を疾患名の先頭に移す</li> <li>例：malignant steroid cell tumour  に変換</li> </ul>
9	"with"が含まれる 例：Adenocarcinoma with squamous metaplasia	<ul style="list-style-type: none"> <li>WithをBooleanのANDに変換する</li> <li>例：Adenocarcinoma AND squamous metaplasiaのまま</li> </ul>
10	Slash ("/")が含まれる 例：Chronic myelogenous leukemia BCR/ABL positive	<ul style="list-style-type: none"> <li>個別での対応を実施する</li> <li>例：Chronic myelogenous leukemia BCR ABL positive</li> </ul>
11	"Malignant"が含まれる 例：leydig cell tumour malignant	<ul style="list-style-type: none"> <li>Malignantを疾患名の先頭に移す</li> <li>例：malignant Leydig cell tumour</li> </ul>
12	誤字・脱字・スペルミスが含まれると思われる 例：Transitionalcell carinoma	<ul style="list-style-type: none"> <li>当法人にて修正する</li> </ul>
13	その他個別対応が必要と思われる 例：Fibromixoma and low grade mucinous adenocarcinoma (pseudomixoma peritonei) of the appendix	<ul style="list-style-type: none"> <li>個別での対応を実施する</li> <li>各ケースでの対応は個別のエクセルシートに記載する</li> </ul>

## 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 (1/9)

疾患名	罹患率 (Crude incidence rate per 100,000)
Adenocarcinoma with variants of anal canal	0.25342
Adenocarcinoma with variants of trachea	0.01047
Mantle cell lymphoma	0.55842
Prolymphocytic leukaemia, B cell	0.05132
Acinar cell carcinoma of pancreas	0.02866
Acute promyelocytic leukaemia (AML with t(15;17) with variants	0.11975
Adenocarcinoma with variants of bladder	0.29702
Adenocarcinoma with variants of cervix uteri	0.90976
Adenocarcinoma with variants of EBT	1.4369
Adenocarcinoma with variants of eye and adnexa	0.00855
Adenocarcinoma with variants of fallopian tube	0.17127
Adenocarcinoma with variants of gallbladder	1.34594
Adenocarcinoma with variants of liver and IBT	0.41217
Adenocarcinoma with variants of middle ear	0.00319
Adenocarcinoma with variants of oesophagus	3.26433
Adenocarcinoma with variants of ovary	5.95333
Adenocarcinoma with variants of pelvis and ureter	0.02081
Adenocarcinoma with variants of penis	0.00562
Adenocarcinoma with variants of small intestine	0.58848
Adenocarcinoma with variants of thymus	0.00287
Adenocarcinoma with variants of urethra	0.01213
Adenocarcinoma with variants of vulva and vagina	0.07149
Adenoid cystic carcinoma of corpus uteri	0.00032
Adenosquamous carcinoma of lung	0.29408

## 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 (2/9)

疾患名	罹患率 (Crude incidence rate per 100,000)
Adnexal carcinoma of skin	0.299
Alveolar rhabdomyosarcoma of soft tissue	0.03313
AML	3.49739
Astrocytic tumours of CNS	4.98657
Atypical chronic myeloid leukaemia BCR/ABL negative	0.01526
Basal cell adenocarcinoma of prostate	0.00779
Bile duct cystadenocarcinoma of IBT	0.00243
Carcinoma of adrenal cortex	0.21857
Carcinoma of pituitary gland	0.03715
Carcinoma of thyroid gland	5.06968
Carcinoma with osteoclast-like giant cells of pancreas	0.00121
Carcinomas of parathyroid gland	0.02617
Cholangiocarcinoma of IBT	0.97034
Chondrogenic sarcomas	0.26217
Choriocarcinoma of placenta	0.02247
Choroid plexus carcinoma of CNS	0.00626
Chronic myeloid leukaemia	1.11537
Chronic Myelomonocytic leukaemia	0.28993
Clear cell adenocarcinoma of ovary	0.3034
Clear cell adenocarcinoma, NOS	0.16131
Diffuse B lymphoma	4.31804
Embryonal rhabdomyosarcoma of soft tissue	0.05337
Embryonal tumors of CNS	0.19801
Endocrine carcinoma of thyroid gland	0.24231

## 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 (3/9)

疾患名	罹患率 (Crude incidence rate per 100,000)
Ependymal tumours of CNS	0.20503
Epithelial tumour of male breast	1.05939
Epithelial tumours of major salivary glands	0.96089
Epithelial tumours, adamantinoma	0.0136
Ewing's sarcoma	0.12403
Ewing's sarcoma of soft tissue	0.06371
Fibromixoma and low grade mucinous adenocarcinoma (pseudomixoma peritonei) of the appendix	0.10686
Follicular B lymphoma	2.19244
Gastrointestinal stromal sarcoma	0.3004
Germ cell tumors of Central Nervous System (CNS)	0.03664
Germ cell tumour of ovary	0.07264
Hairy cell leukaemia	0.27927
Hepatocellular carcinoma of Liver and IBT	3.22112
Hepatocellular carcinoma, fibrolamellar	0.0247
Heptatoblastoma	0.02279
Histiocytic malignancies	0.04187
Hodgkin lymphoma nodular lymphocyte predominance	0.09467
Hodgkin lymphoma, classical	2.46322
Infiltrating duct carcinoma of prostate	0.51476
Intestinal type adenocarcinoma of nasal cavity and sinuses	0.00268
Intraductal papillary mucinous carcinoma invasive of pancreas	0.01104
Kaposi's sarcoma	0.2485
Large cell carcinoma of lung	3.81177

## 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 (4/9)

疾患名	罹患率 (Crude incidence rate per 100,000)
Lymph node accessory cell tumors	0.00198
Lymphoepithelial carcinoma of nasal cavity and sinuses	0.00077
Lymphoepithelial carcinoma of thymus	0.14548
Malignant melanoma of mucosa and extracutaneous	0.70358
Malignant melanoma of uvea	0.16367
Malignant meningiomas	0.14478
Malignant thymoma	0.05317
Malignant/Immature teratomas of ovary	0.41415
Mammary Paget's disease of breast	0.02943
Mast cell tumour	0.13182
Mesothelioma of peritoneum and tunica vaginalis	1.8305
Mesothelioma of pleura and pericardium	0.1006
Metaplastic carcinoma of breast	0.00938
Mixed endocrine-exocrine carcinoma of pancreas and digestive tract	0.77022
Mucinous adenocarcinoma of ovary	0.00696
Mucinous cystadenocarcinoma of pancreas	0.40062
Mullerian mixed tumour	0.01641
Mullerian mixed tumour of cervix uteri	0.14395
Mullerian mixed tumour of ovary	0.00996
Myelodysplastic syndrome with 5q syndrome	0.12543
Nephroblastoma	0.09996
Neuroblastoma and ganglioneuroblastoma	0.90133
Neuroendocrine carcinoma of other sites	0.19303
Neuroendocrine carcinoma of skin	0.00472

## 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

## 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 (9/9)

疾患名	罹患率 (Crude incidence rate per 100,000)
Undifferentiated carcinoma of liver and IBT	0.01532
Undifferentiated carcinoma of nasal cavity and sinuses	0.01826
Undifferentiated carcinoma of oesophagus	0.04436
Undifferentiated carcinoma of stomach	0.21065
Undifferentiated carcinoma of thymus	0.0023
Undifferentiated carcinoma of vulva and vagina	0.00543
Vascular sarcomas	0.00823
Well differentiated functioning endocrine carcinoma of pancreas and digestive tract	0.02624
Well differentiated not functioning endocrine carcinoma of pancreas and digestive tract	1.01189

## 4. 情報ソース及び分析方法

- A) 情報ソース
- B) 対象疾患
- C) 索引用辞書
- D) Raw Data項目

## 薬剤・技術・ターゲットリスト作成方法

治療法別に臨床試験を整理するために該当疾患で開発されている治療法・薬剤のリスト、及びキーワード辞書を作成した

当法人契約臨床試験データベース

小児・AYA世代がん対象疾患のキーワード及びRare Diseaseに分類される疾患を検索

検索結果（一部抜粋）

疾患名	薬剤名（一部抜粋）	件数
急性リンパ性白血病	nadunolimab, clofarabine, coltuximab ravtansine, duvelisib, decitabine, daratumumab, denintuzumab mafodotin, dinaciclib, eltanexor, entospletinib, epratuzumab, rigosertib	149件
急性骨髄性白血病	alisertib, alvocidib, evorpaccept, alrizomadlin, lisaftoclax, filanesib, amonafide malate, aspacytarabine, avapritinib	437件
慢性骨髄性白血病	ponatinib, imatinib, inecalcitol, motixafortide, busulfan, sorafenib tosylate, sonidegib, azacitidine, rebastinib tosylate, ropeginterferon alfa-2b, sapacitabine, asciminib, dasatinib	67件
ホジキンリンパ腫	ricolinostat, rituximab, sintilimab, sugemalimab, tenalisib, tislelizumab, pexidartinib, umbralisib, idelalisib	61件
「Rare Disease」	aldoxorubicin, alecensa, alisertib, AMG 330, AMG 420, etc.	4,018件

技術・ターゲットを追加

検索結果を精査

- ・ 重複を除外 等

薬剤・技術・ターゲットリストの作成

## 分析対象キーワードリスト

分析を実施する項目を定義するために指定キーワードから検索式を作成し、各臨床試験のフラグ化した

キーワード	検索語句・ルール (Title・Intervention検索)
Pediatric Match	検索用語：Pediatric Match
免疫細胞療法	医薬品辞書で「Molecule」がcellularに分類される医薬品を使用している、CAR-T細胞療法に分類される、もしくは以下のキーワードがタイトルに含まれる 検索用語：immune cell therapy, cell immunotherapy, T cell receptor therapy, t cell therapy, tumor-infiltrating lymphocytes, tumor infiltrating lymphocytes, adoptive cell therapy, natural killer cell therapy
CAR-T細胞療法	医薬品辞書で「Target」にCAR-Tが含まれる医薬品を使用している、もしくは以下のキーワードがタイトルに含まれる 検索用語：CAR T, CAR-T, chimeric antigen receptor
Precision Medicine	ゲノム医療・遺伝子パネル検査に分類される、もしくは以下のキーワードがタイトルに含まれる 検索用語：Precision Medicine, companion diagnostic, companion testing, Precision oncology, Precision diagnostic, Precision treatment, molecular profiling
ゲノム医療	検索用語：genetic precision medicine, genome sequencing, genetic testing, genomic testing, transcriptomics, RNAseq, RNA-seq, gene expression profiling
遺伝子パネル検査	検索用語：genetic panel, genetic test panel, genetic panel test, genetic companion diagnostic, genetic companion testing, FoundationOne
リキッドバイオプシー	検索用語：liquid biopsy, liquid biopsies
umbrella trial	検索用語：umbrella
umbrella/basket hybrid trial	検索用語：platform trial, umbrella/basket, hybrid trial
Master Protocol	検索用語：umbrella, basket, platform, master protocol, master treatment protocol
晩期合併症	検索用語：late effect, long-term effect, sequelae, survivor
支持療法	Primary Purposeが「supportive care」のClinical Trials.govに登録された臨床研究
Real World Evidence活用	検索用語：Medical record, Claims data, insurance record, electronic health record (Retrospective/Observational試験に限る)

### 分析対象医療機器項目リスト (1/3)

医療機器の分析を実施するために特定の医療機器及び医療機器を用いた治療法の検索語句を作成し、各臨床試験をフラグした

医療機器項目	検索語句 (Title検索)
PET	検索用語：PET, positron emission tomography
CT	検索用語：CT, computed tomography
MRI	検索用語：MRI, magnetic resonance imaging
SPECT/Scintigraphy	検索用語：SPECT, Scintigraphy
Mammography	検索用語：mammography
X-ray	検索用語：x-ray, xray, x ray
Ultrasound	検索用語：ultrasound
NBI	検索用語：NBI, narrow band imaging, narrowband imaging
OCT/OCM	検索用語：OCT, OCM, optical coherence, optical-coherence
NIR	検索用語：NIR, near infrared, near-infrared, nearinfrared
Fluorescence	検索用語：Fluorescence
Endoscopy	検索用語：endoscopy, endoscope, endoscopic, endomicroscopy, endomicroscope, endomicroscopic
Laparoscopy	検索用語：laparoscopy, laparoscope, laparoscopic
Thoracoscopy	検索用語：thoracoscopy, thoracoscope, thoracoscopic
Colonoscopy	検索用語：colonoscopy, colonoscope, colonoscopic
Anoscopy	検索用語：anoscopy, anoscope, anosopic
Duodenoscopy	検索用語：duodenoscopy, duodenoscope, duodenoscopic
Chromoendoscopy	検索用語：chromoendoscopy, chromoendoscope, chromoendoscopic
Laryngoscopy	検索用語：laryngoscopy, laryngoscope, laryngoscopic
Bronchoscopy	検索用語：bronchoscopy, bronchoscope, bronchoscopic
Cholangiopancreatography	検索用語：cholangiopancreatography, cholangiopancreatoscope, cholangiopancreatoscopic
Other camera device	検索用語：optic, camera
Hyperthermia	検索用語：hyperthermia
Cyberknife	検索用語：cyberknife
Electron beam	検索用語：electron beam
Proton beam	検索用語：proton beam

## 分析対象医療機器項目リスト (2/3)

医療機器の分析を実施するために特定の医療機器及び医療機器を用いた治療法の検索語句を作成し、各臨床試験をフラグした

医療機器項目	検索語句 (Title検索)
Ablation	検索用語：ablation
Laser	検索用語：laser
Robot	検索用語：robot
Histotripsy	検索用語：histotripsy
MR-HIFU	検索用語：MR-HIFU, HIFU, focused ultrasound
Phototherapy	検索用語：phototherapy
tDCS/TMS	検索用語：DCS, TMS
Other nerve stimulation	検索用語：nerve stimulation, nerve stimuli, direct electrical stimulation
Electrochemotherapy	検索用語：electrochemotherapy
IRE	検索用語：irreversible electroporation
Implant	検索用語：implant
CAD	検索用語：CAD, computer-aided, computer aided, computer-assisted, computer assisted
AI	検索用語：artificial intelligence, machine learning, deep learning, neural network, support vector machine
VR	検索用語：virtual reality
mHealth	検索用語：remote, telehealth, tele-, mobile, mHealth, wearable
App	検索用語：app

### 分析対象医療機器項目リスト (3/3)

医療機器の分析を実施するために特定の医療機器及び医療機器を用いた治療法の検索語句を作成し、各臨床試験をフラグした

医療機器項目	ルール
Radiology_device (画像診断装置)	PET, CT, MRI, SPECT/Scintigraphy, Mammography, X-ray, Ultrasoundとしてフラグされた臨床試験
Camera_device (カメラデバイス)	Endoscopy, Laparoscopy, Thoracoscopy, Colonoscopy, Anoscopy, Duodenoscopy, Laryngoscopy, Bronchoscopy, Cholangiopancreatography, Chromoendoscopy, Other camera deviceとしてフラグされた臨床試験

## 4. 情報ソース及び分析方法

- A) 情報ソース
- B) 対象疾患
- C) 索引用辞書
- D) Raw Data項目

## Raw Data項目 (1/3)

Raw Dataには以下の項目が含まれている

Index	項目名	内容	例
A	OriginalDiseaseName	疾患名 (P.52~55及びP.57~66) の分類に準拠する (複数の疾患に該当する試験は複数行疾患毎に記載)	rhabdomyosarcoma
B	ID	各レジストリーID	INCMOR0208-101
C	OfficialTitle	試験タイトル	A Study Evaluating Safety, PK, and Efficacy of Tafasitamab...
D	Phase	試験のフェーズ (該当しない場合は空欄)	1,2
E	LocationCountry	レジストリーに登録されている試験実施国のリスト	Austria, Belgium, France, Germany, Italy,
F	StartDate	試験開始の年	2021
G	CompletionDate	試験終了見込みの年	2024
H	LeadSponsorName	レジストリーに登録されているLead/Primary Sponsor	Incyte Corporation
I	Sponsor Type	レジストリー上のスポンサー種別	Private Sector
J	OverallStatus	試験のステータス (Recruiting, Active, not recruiting, completedに分類)	Recruiting
K	Study type	観察・介入試験の種別	Interventional
L	DesignPrimaryPurpose	レジストリー上の試験目的	Treatment
M	Minimum	最小対象年齢 (空白の場合は指定なし)	18
N	Maximum	最大対象年齢 (空白の場合は指定なし)	100
O	EnrollmentCount	Enrollment人数、もしくは目標人数	500
P	Source	情報のソース (レジストリー名、研究グループ名)	Clinical Trials.gov
Q	Incidence Rate	希少がんについて、RARECARENetに記載されている疾患のCrude Incidence per 100,000 individuals (欧州)	0.05132
R	InterventionName	レジストリーに登録されているInterventionリスト	Tafasitamab, parsaclisib

## Raw Data項目 (2/3)

Raw Dataには以下の項目が含まれている

Index	項目名	内容	例
S	Molecule	Interventionの分子タイプ (Interventionに記載されている薬剤をBiomedtrackerデータに基づき分類)	Small
T	Immune Activator	免疫活性剤のフラグ (P.77を参照)	0 or 1
U	Immune Suppressor	免疫抑制剤のフラグ (P.77を参照)	0 or 1
V	Japan Approval	PMDA公開の審査報告書 (Review Reports) に記載されている薬剤名のフラグ ( <a href="https://www.pmda.go.jp/english/review-services/reviews/approved-information/drugs/0001.html">https://www.pmda.go.jp/english/review-services/reviews/approved-information/drugs/0001.html</a> )	0 or 1
W	Pediatric Match	Pediatric Matchのフラグ (P.69を参照)	0 or 1
X	Immune cell therapy	免疫細胞療法のフラグ (P.69を参照)	0 or 1
Y	Genome Medicine	ゲノム医療のフラグ (P.69を参照)	0 or 1
Z	Precision Medicine	Precision Medicineのフラグ (P.69を参照)	0 or 1
AA	Genetic Panel Test	遺伝子パネルのフラグ (P.69を参照)	0 or 1
AB	Umbrella trial	Umbrella trialsのフラグ (P.69を参照)	0 or 1
AC	Umbrella/basket hybrid trial	umbrella/basket hybrid trialのフラグ (P.69を参照)	0 or 1
AD	Master Protocol	Master Protocolのフラグ (P.69を参照)	0 or 1
AE	CAR-T	CAR-Tのフラグ (P.69を参照)	0 or 1
AF	Liquid Biopsy	Liquid Biopsyのフラグ (P.69を参照)	0 or 1
AG	Adaptive Design	Adaptive Designのフラグ (タイトルにAdaptive Designが含まれる試験)	0 or 1
AH	RWE	Real World Evidence活用のフラグ (P.69を参照)	0 or 1

## Raw Data項目 (3/3)

Raw Dataには以下の項目が含まれている

Index	項目名	内容	例
AI~AQ	Intervention Type	含まれる治療法種別をフラグ (Drug/Biologics, Device, Procedure, Radiation, Behavioral, Genetic, Dietary Supplement, Combination Product, Diagnostic Test)	0 or 1
AR~B F	Country	登録されている実施施設の国フラグ (主要国 : Japan, United States, Canada, United Kingdom, France, Italy, Germany, Spain, Netherlands, China, India, Korea, Thai, Iran, Australia)	0 or 1
BG~D B	医療機器分類	キーワードに基づいた医療機器の分類フラグ (P.70-72参照)	0 or 1

## 臨床研究のタグ付け

治療法・技術分類について、薬剤データベース上の薬剤分類及び各レジストリー上のIntervention項目に準拠し分類した

### 治療法によるタグ付け

大分類	小分類	特定方法
再生医療等製品	免疫細胞療法	<b>Biomedtrackerの分類が以下の治療法：</b> Cellular ・ キーワード検索にて別途試験を検索
医療用医薬品	化学療法、低分子薬	<b>Biomedtrackerの分類が以下の治療法：</b> Small Molecule
	抗体医薬品	<b>Biomedtrackerの分類が以下の治療法：</b> Monoclonal Antibody、 Polyclonal Antibody
医療機器	医療機器	レジストリーのIntervention Type分類に準拠
手術・手法	手術・手法	レジストリーのIntervention Type分類に準拠
放射線	放射線	レジストリーのIntervention Type分類に準拠
遺伝子治療	遺伝子治療	レジストリーのIntervention Type分類に準拠、試験名のキーワード検索
診断	診断	レジストリーのIntervention Type分類に準拠、試験名のキーワード検索

### 作用機序による追加タグ付け

大分類	小分類	特定方法
免疫抑制・活性	免疫抑制系の解除	<b>ターゲットに以下が含まれる治療法：</b> Cytotoxic T-Lymphocyte Antigen 4 (CTLA4)、 Programmed death-1 receptor (PD-1)、 Programmed death ligands (PD-L1 and PD-L2)
	免疫の活性化	<b>ターゲットに以下が含まれる治療法：</b> Autologous Chimeric Antigen Receptor T-cells (CAR-T)、 B-cell activating factor (BAFF)/B-lymphocyte stimulator (BLyS)、 Carcinoembryonic antigen (CEA)、 Melanoma antigen-encoding gene (MAGE)、 NY-ESO-1 (Cancer-testis antigen)、 Survivin、 Toll-Like Receptor (TLR) Family、 Toll-Like Receptor 2 (TLR2)、 Toll-like receptor 3 (TLR3)、 Toll-like receptor 4 (TLR4)、 Toll-like receptor 7 (TLR7)、 Toll-like receptor 8 (TLR8)、 Toll-like receptor 9 (TLR9)、 Wilms' Tumor Protein 1 (WT1)

## 5. 分析結果・海外臨床研究の傾向

- A. 小児・AYA世代のがん
- B. 希少がん

## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

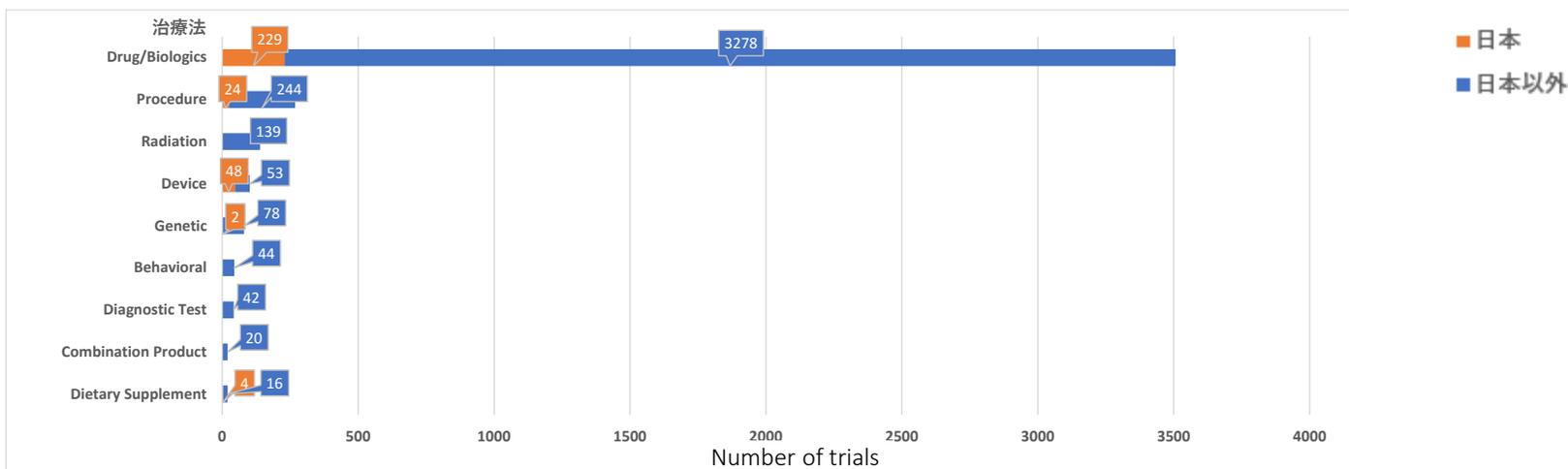
1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

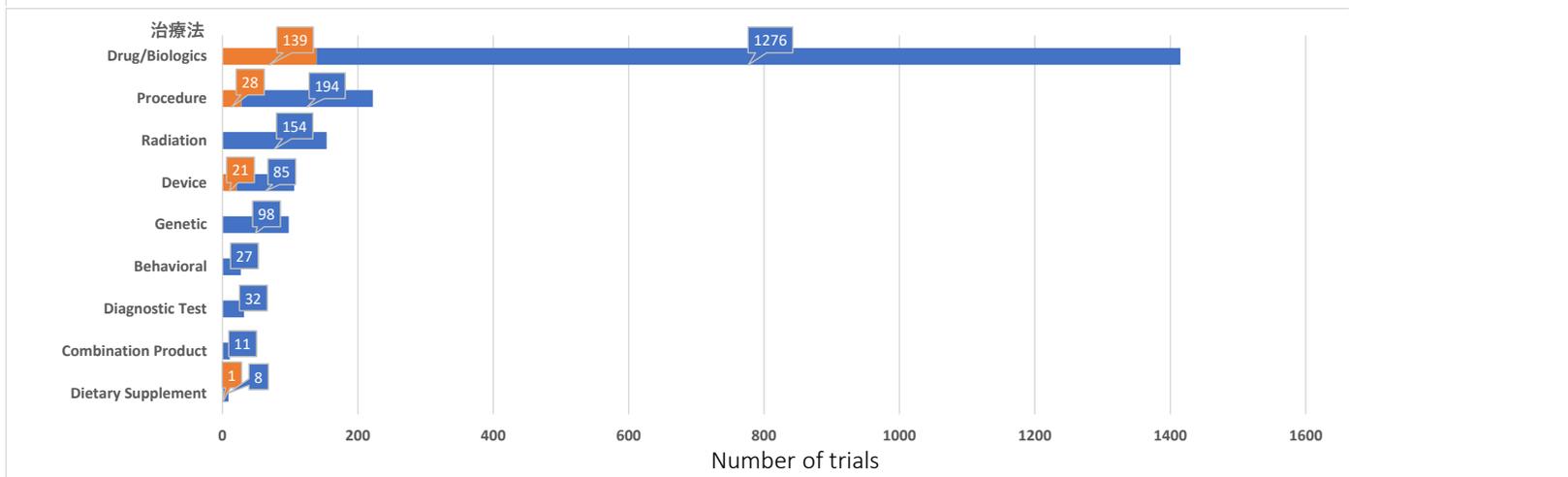
治療法種別試験数

小児・AYA世代のがんはいずれも医薬品、手術、放射線、医療機器の順に試験数が多く実施されている

AYA世代



小児

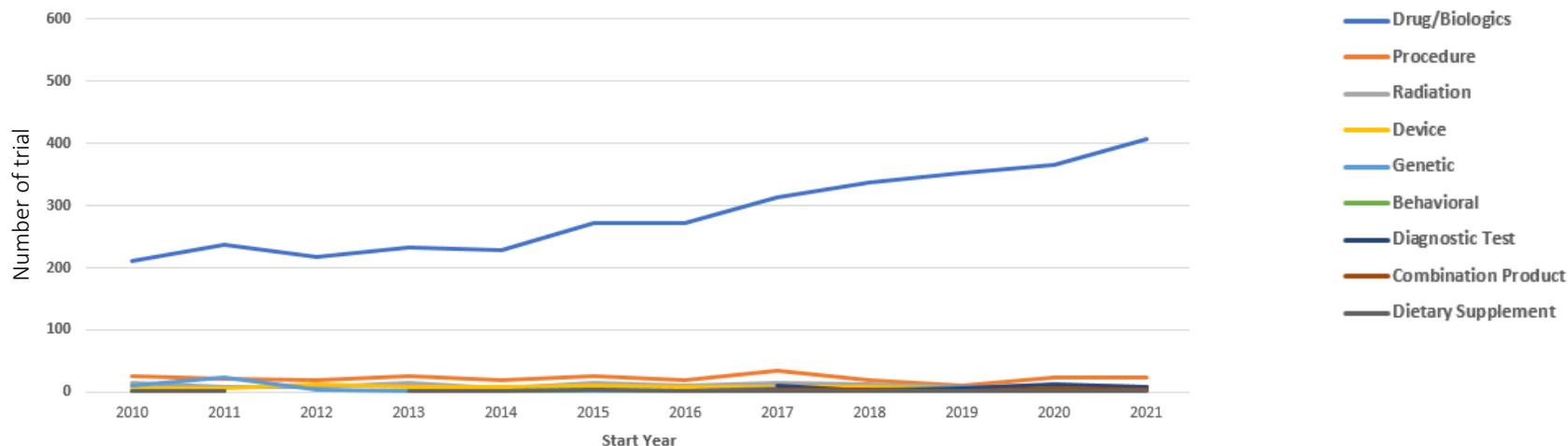


2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

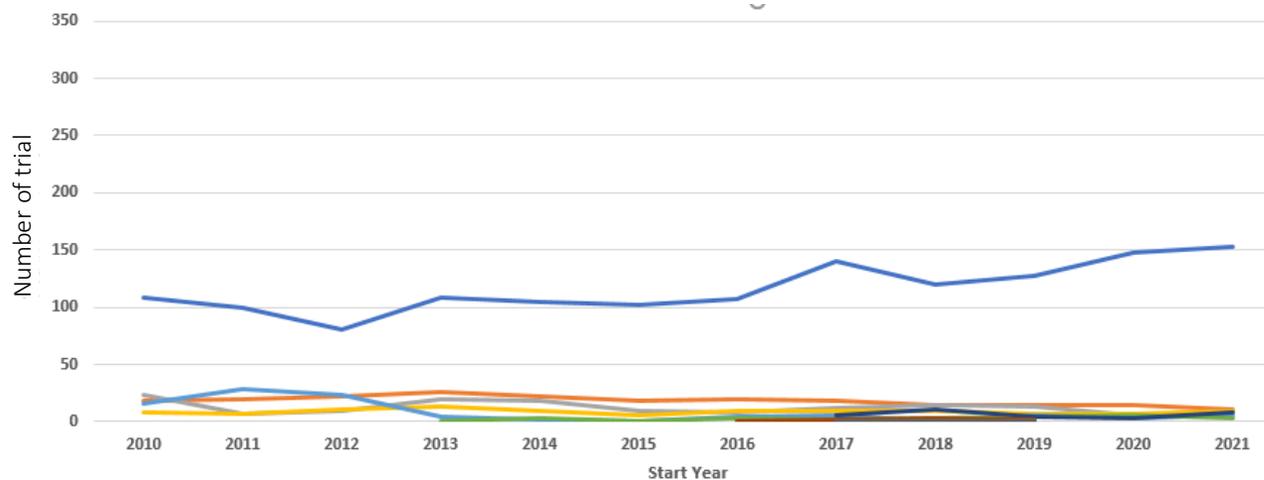
## 治療法種別試験数の経年変化

AYA世代のがんは医薬品を用いた試験数が増加傾向にあるが、小児がんでは比較的增加幅が小さくなっている

AYA世代



小児



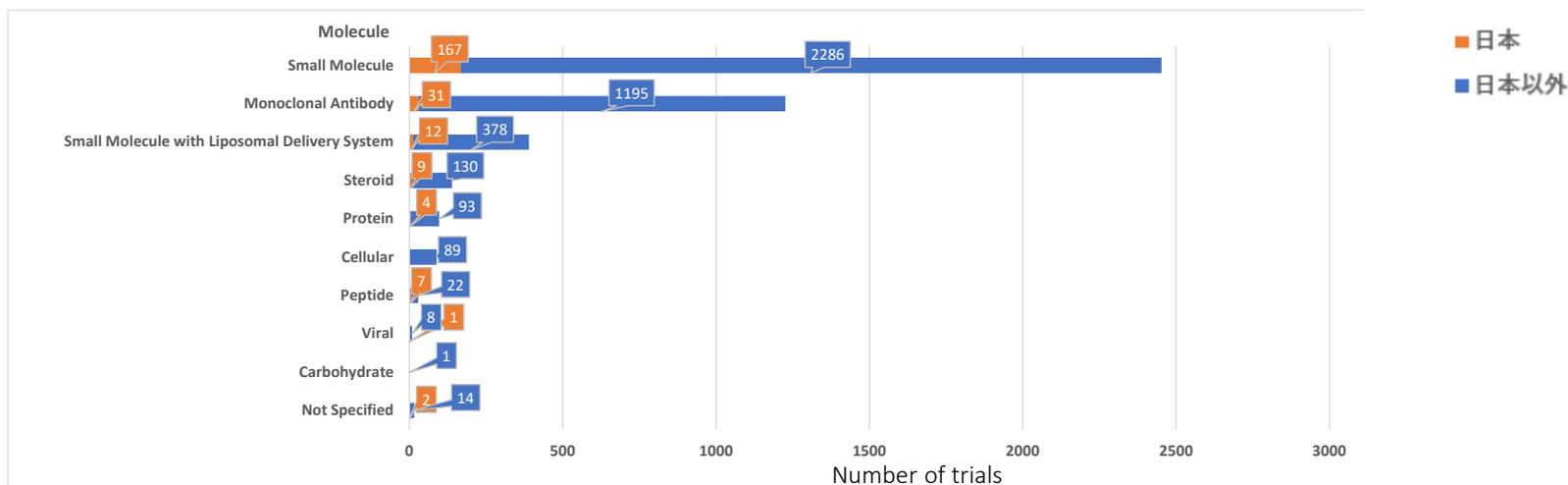
2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

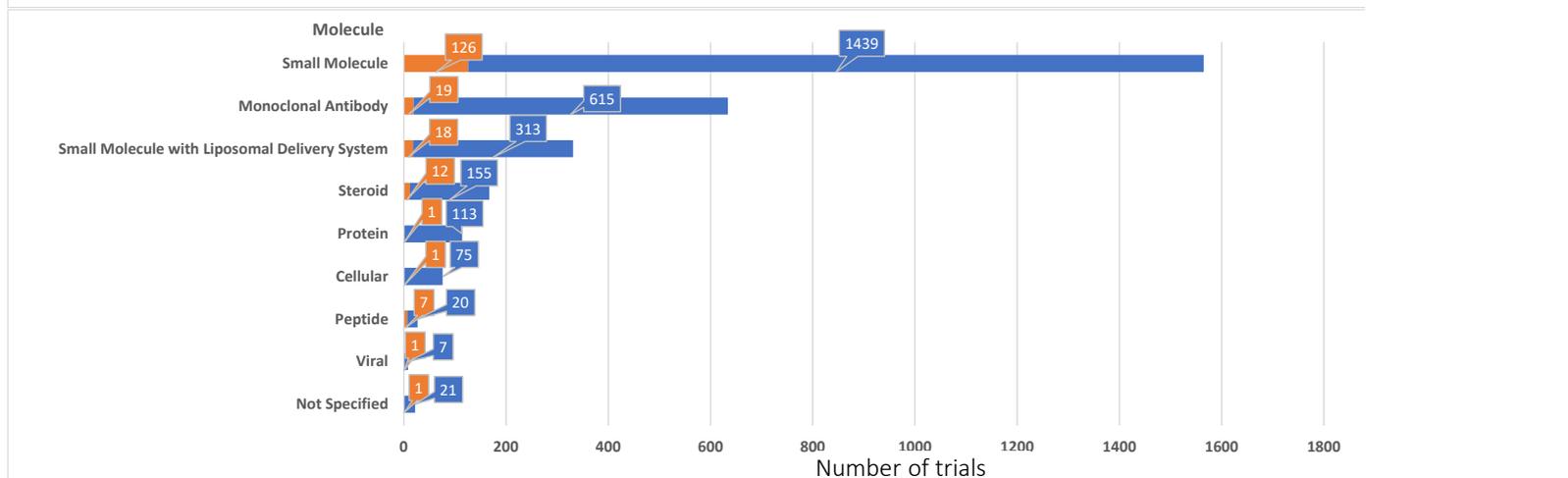
医薬品：分子カテゴリー別の試験数

小児・AYA世代のはいずれも低分子医薬、抗体医薬を使用した試験が多く実施されている

AYA世代



小児

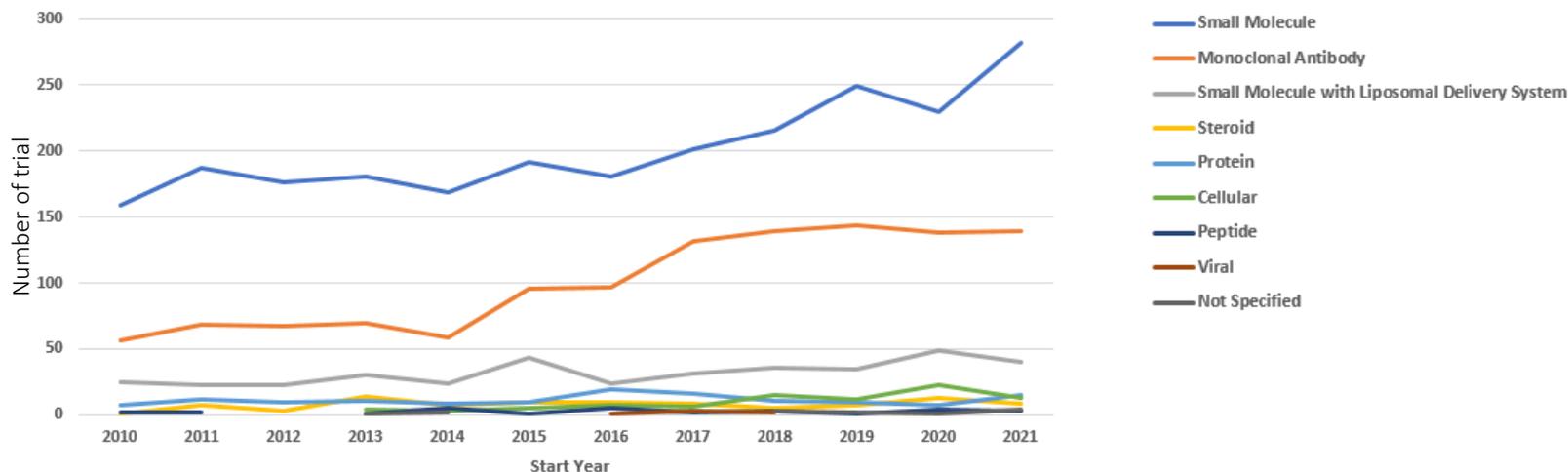


2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

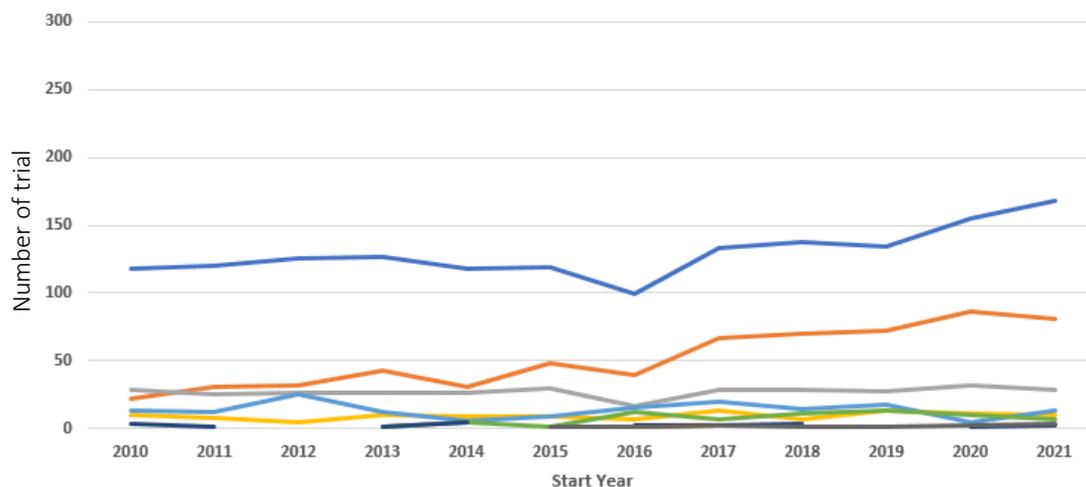
## 医薬品：分子カテゴリー毎の試験数経年変化

小児・AYA世代のがんどちらも抗体医薬の試験数が2014年頃から増加している

AYA世代



小児



2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

医薬品：各国における低分子医薬・抗体医薬の試験数経年変化（小児）

小児がんにおける低分子医薬・抗体医薬の試験数は米国で最も多く、各国で増加傾向にあるが、2019年頃からどちらも中国の試験数が顕著に増加している

	Country	Start Year													
		2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
小児	Small Molecule	United States	85	100	76	109	92	114	93	115	103	111	98	123	16
		France	22	31	28	47	39	41	41	39	33	34	37	46	3
		Italy	18	27	24	36	36	42	41	40	31	32	33	49	4
		Spain	12	24	23	32	26	38	34	46	34	34	38	47	3
		Germany	16	28	27	35	31	38	38	37	32	35	34	32	2
		United Kingdom	19	30	25	32	28	26	32	35	32	24	32	34	2
		China	4	9	11	12	7	15	20	22	37	61	56	65	7
		Australia	13	12	14	26	16	25	25	34	27	21	28	34	4
		Japan	20	26	24	24	17	26	22	27	21	15	22	29	3
		Canada	16	18	20	25	19	25	25	28	17	15	21	32	2
		Korea	7	9	17	19	12	23	21	24	21	19	18	31	4
		Netherlands	11	12	6	17	18	24	28	19	18	8	15	11	2
		India		9	8	6	9	7	2	8	10	10	14	7	2
		Thai		6	4	3	3	6	1	4	2	2		1	
		Iran			1		1	1		1				2	
	Monoclonal Antibody	United States	42	42	49	43	46	73	74	103	88	88	82	75	13
		Spain	8	17	13	12	18	14	22	26	17	22	28	26	2
		France	7	17	18	16	15	18	22	19	17	22	21	22	2
		Italy	7	18	19	15	20	16	19	17	15	20	18	21	2
		Germany	9	14	14	10	15	18	15	17	19	19	22	12	2
		United Kingdom	7	16	8	13	18	13	16	22	15	14	16	15	1
		Australia	6	10	9	6	9	12	12	16	15	13	15	25	2
		Canada	8	10	12	5	10	16	14	13	14	11	10	17	1
		China	2	1	2	3	2	4	5	9	6	27	39	29	3
		Korea	5	5	5	2	7	10	9	9	18	10	15	15	3
		Netherlands	2	12	8	6	7	12	11	9	11	6	7	8	1
		Japan	5	8	2	5	3	11	11	8	8	5	12	16	1
		India	1	4	1	1	3	1	1	1	1		3	1	
		Thai	1	1	2		2	3	1	3	1		1	1	
		Iran				1									
	Small Molecule With Liposomal Delivery System	United States	16	12	11	20	11	28	13	18	22	17	25	21	4
		China	1	2	1	3	1	6	1	5	9	11	12	11	1
		France	4	4	3	7	3	7	5	4	6	3	9	5	1
United Kingdom		2	4	6	4	3	4	2	4	8	4	12	4		
Italy		2	5	6	4	3	7	2	5	5	3	8	5		
Canada		5	3	3	9	3	7	3	5	2	3	7	5		
Australia		5	3	3	6	2	6	3	3	5	2	9	8		
Spain		1	4	3	5	4	4	2	4	6	4	10	6		
Germany			3	3	2	6	5	2	4	6	3	9	3		
Korea		1		2	5	2	5	2	5	6	1	5	3		
Japan		3	3	1	2	3	5	2	4	4	1	3	2		
Netherlands		1	1	1	3	2	6		3	3	2	7	1		
India			1			1	1		1	2		5	2		
Thai		1	2			2	1	3	1			1			
Iran								1							

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

医薬品：各国における低分子医薬・抗体医薬の試験数経年変化（AYA世代）

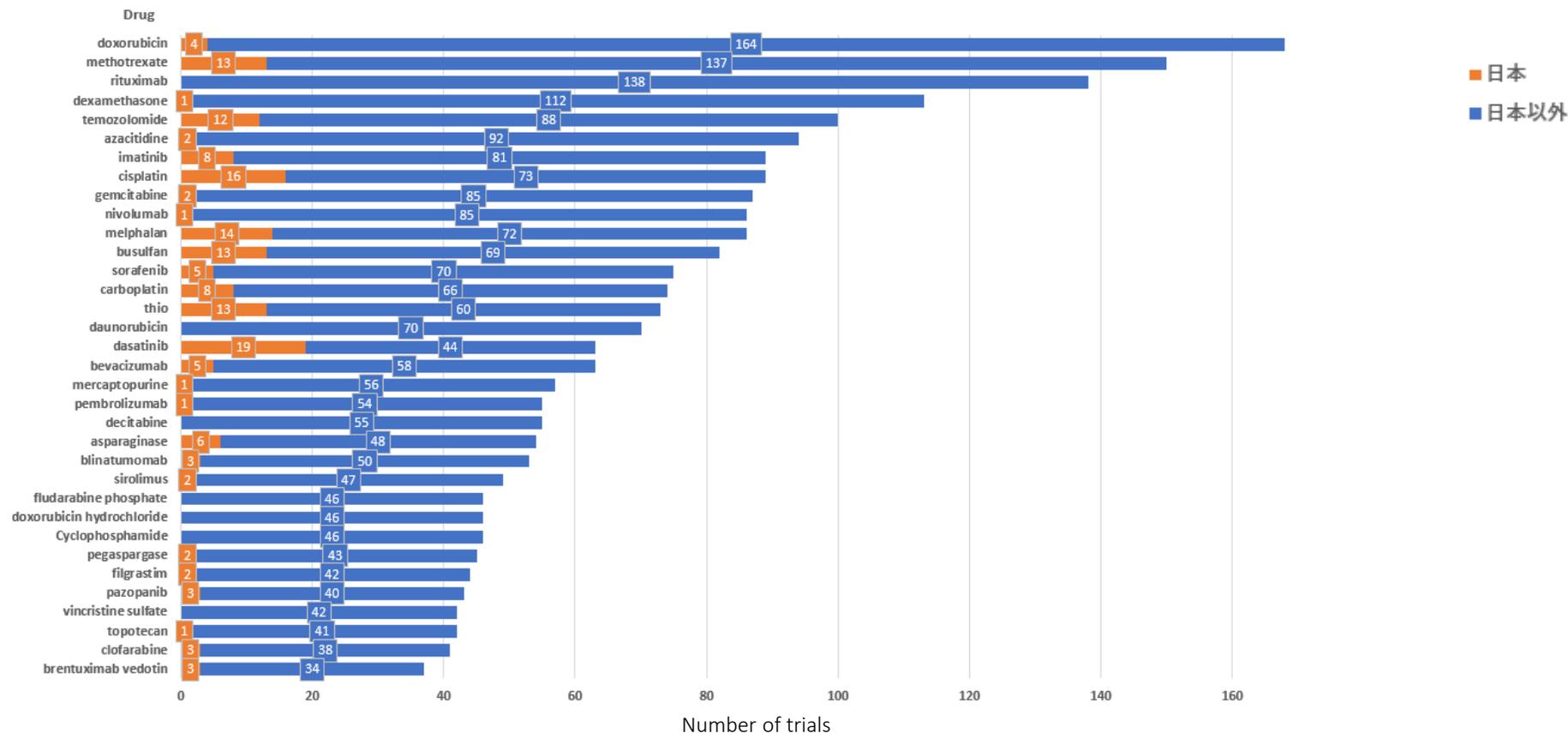
AYA世代のがんにおける低分子医薬・抗体医薬の試験数は米国で最も多く、2014年頃から各国で抗体医薬が増加傾向にある

	Country	Start Year													
		2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
AYA世代	Small Molecule	United States	37	38	36	60	46	49	40	58	47	54	52	67	3
		Germany	19	24	18	21	22	29	23	21	26	25	43	35	2
		Italy	18	25	20	24	23	26	22	23	23	25	31	40	2
		United Kingdom	25	22	21	23	23	21	25	24	25	24	32	29	2
		France	16	15	10	25	29	27	25	21	21	27	38	38	1
		Spain	9	17	15	25	20	24	21	25	21	20	32	40	1
		Canada	12	13	11	24	16	21	17	22	14	18	21	25	1
		Netherlands	11	15	13	20	22	21	13	17	15	10	15	22	2
		Japan	15	15	17	25	12	14	11	19	11	12	18	21	1
		Australia	9	9	13	22	12	11	11	21	11	19	20	18	1
		China	4	5	4	9	2	10	13	6	21	29	33	27	2
		India	3	11	12	8	8	7	4	10	17	12	20	20	4
		Korea	2	6	4	11	7	10	8	8	11	12	15	30	1
		Thai		3	1	4	1	3		3	3	2	1	2	
		Iran	2	1				1	1	3		3	1		
	United States	9	12	12	22	13	23	28	38	29	36	40	38	6	
	Italy	4	11	11	15	13	15	9	14	15	18	23	23	4	
	Germany	5	11	8	10	6	15	13	14	22	18	27	22	3	
	Spain	3	11	7	12	10	10	11	19	16	18	22	24	4	
	France	3	7	7	11	9	12	9	15	12	22	27	24	4	
	United Kingdom	6	12	7	13	9	11	11	14	17	24	16	16	5	
	Canada	4	7	5	8	6	11	8	8	10	16	11	17	3	
	Netherlands	2	12	12	10	9	8	3	5	10	10	11	14	2	
	Australia	4	4	2	7	6	6	7	11	4	17	16	14	2	
	Korea	1	3		3	3	6	6	4	8	9	16	16	4	
	China	1		1	1	1	2	1	1	5	9	19	20	3	
	Japan	1	3	1	4	2	4	4	4	8	6	10	14		
	India		4	4		4	1		3	8	4	7	6		
	Thai		2	1	1	2				3	4	1	2	1	
	Iran									1					
	United States	7	8	5	15	11	9	6	14	11	16	11	11	1	
	Italy	6	7	7	2	3	7	1	6	6	8	6	6		
	Germany	7	5	2	2	2	5		5	8	5	12	8		
Canada	5	4	2	5	7	5	3	8	2	7	6	6			
Australia	8	2	5	5	6	4	1	7	3	7	7	4			
United Kingdom	7	2	6	3	4	6	1	3	5	4	10	4	1		
France	4	3	2	2	4	5	2	2	4	6	9	7			
Spain	2	5	4	5	3	4	1	2	3	4	6	8			
Netherlands	1	1	5	4	6	4		2	4	4	7	6			
Japan	3	1	2	4	4	4		4	1	1	5	3			
China	1	2		2		1	3		3	4	7	3			
India	1	2	2	1	1		1	2	3	1	6	5			
Korea	1			2	1	2	1	2	2	3	4	3			
Iran		1				1		2			1				
Thai								1							

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

医薬品：使用回数が多い医薬品（小児）

小児を対象とした臨床試験で使われている医薬品は低分子が比較的上位にある



2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

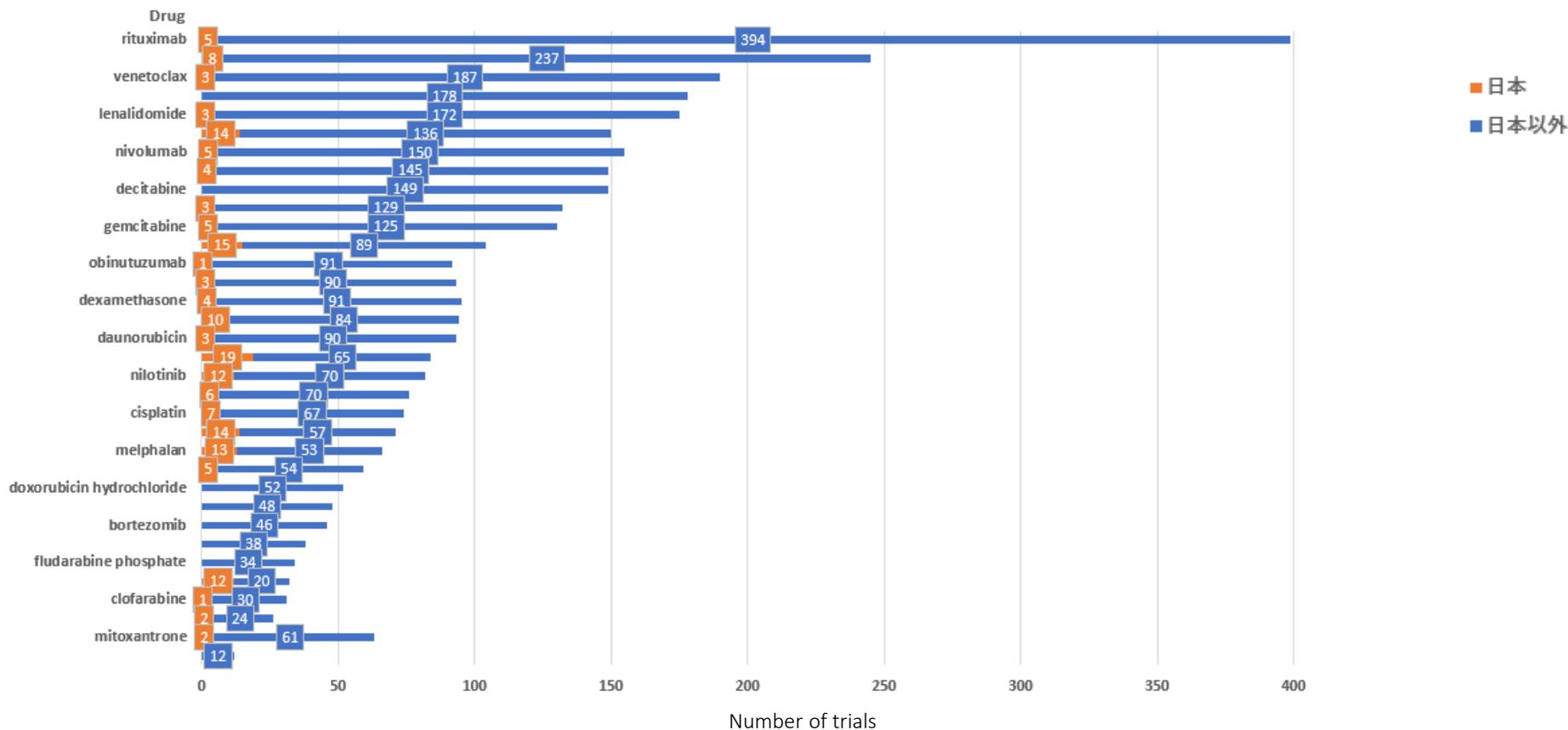
医薬品：使用回数が多い医薬品の試験数経年変化（小児）

小児を対象とした臨床試験では、低分子医薬が長いこと多く用いられており、2017年頃からは免疫チェックポイント阻害剤のNivolumabを使った試験数が増加している

Drug	Start Date												
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
Doxorubicin	18	8	13	15	12	13	10	14	19	20	12	13	1
Methotrexate	14	14	11	10	16	11	9	18	9	19	9	7	3
Rituximab	7	13	15	13	10	16	9	13	12	7	12	10	1
Dexamethasone	10	8	5	10	9	9	7	13	7	13	10	10	2
Temozolomide	11	7	7	13	7	5	5	8	10	4	11	12	
Azacitidine	5	4	4	9	3	7	6	12	6	15	15	6	2
Imatinib	8	6	8	10	8	4	6	8	9	11	6	4	1
Cisplatin	8	8	8	6	10	8	4	7	6	8	9	7	
Gemcitabine	5	10	6	6	12	3	6	6	9	7	7	8	2
Nivolumab				1	3	1	6	14	18	17	14	11	1
Melphalan	5	4	8	12	5	5	7	9	9	4	7	11	
Busulfan	4	10	7	16	9	5	7	5	4	8	2	5	
Sorafenib	6	10	12	9	1	7	4	4	10	2	7	2	1
Carboplatin	5	7	9	3	10	4	5	4	5	6	6	10	
Thio	9	5	4	8	5	4	7	7	4	11	2	6	1
Daunorubicin	7	3	4	7	4	7	3	11	7	6	6	4	1
Dasatinib	4	4	11	7	3	6	8	5		4	7	3	1
Bevacizumab	7	7	4	8	3	6	1	3	2	2	8	12	
Mercaptopurine	6	3	5	3	5	3	6	11	5	5	1	3	1
Pembrolizumab				1	2	3	8	6	4	6	10	12	3
Decitabine	2	3	1	2	2	3	6	7	3	10	11	4	1
Asparaginase	6	5	12	2	2	4	3	5	5	7	3		
Blinatumomab	3	2	2	3	1	2	7	4	9	7	5	7	1
Sirolimus	9	4	7	3	2	7	4	2		5	4	2	
Fludarabine Phosp..	5	5	5	5	3	4	4	4	2	1	3	3	2
Doxorubicin Hydro..	9	1	3	5	5	2	1	5	4	4	4	3	
Cyclophosphamide	3	2	2		5	3	4	4	5	5	10	3	
Pegaspargase	5	3	3	2	3	2	6	8	2	6	2	2	1
Filgrastim	4	2	6	4	2	2	4	7	4	3	1	5	
Pazopanib	2	4	6	5	9	4		3	1	2	4	3	
Vincristine Sulfate	9	3	4	3	3	2	2	5	2	3	3	2	1
Topotecan	2	1	4	8	2	2	1	1	4	3	6	8	
Clofarabine	10	8	6	3	4	1	1	3	2	1	2		
Brentuximab Vedo..	1	3	3	5	5	3	2	4	4	4	3		

医薬品：使用回数が多い医薬品（AYA世代）

AYA世代を対象とした試験では一部低分子を除き抗体医薬が多く研究されている



2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

医薬品：使用回数が多い医薬品の試験数経年変化（AYA世代）

AYA世代を対象とした臨床試験では抗体医薬が多く用いられている傾向にあるが、2015年頃からチェックポイント阻害剤の使用が大幅に増加している

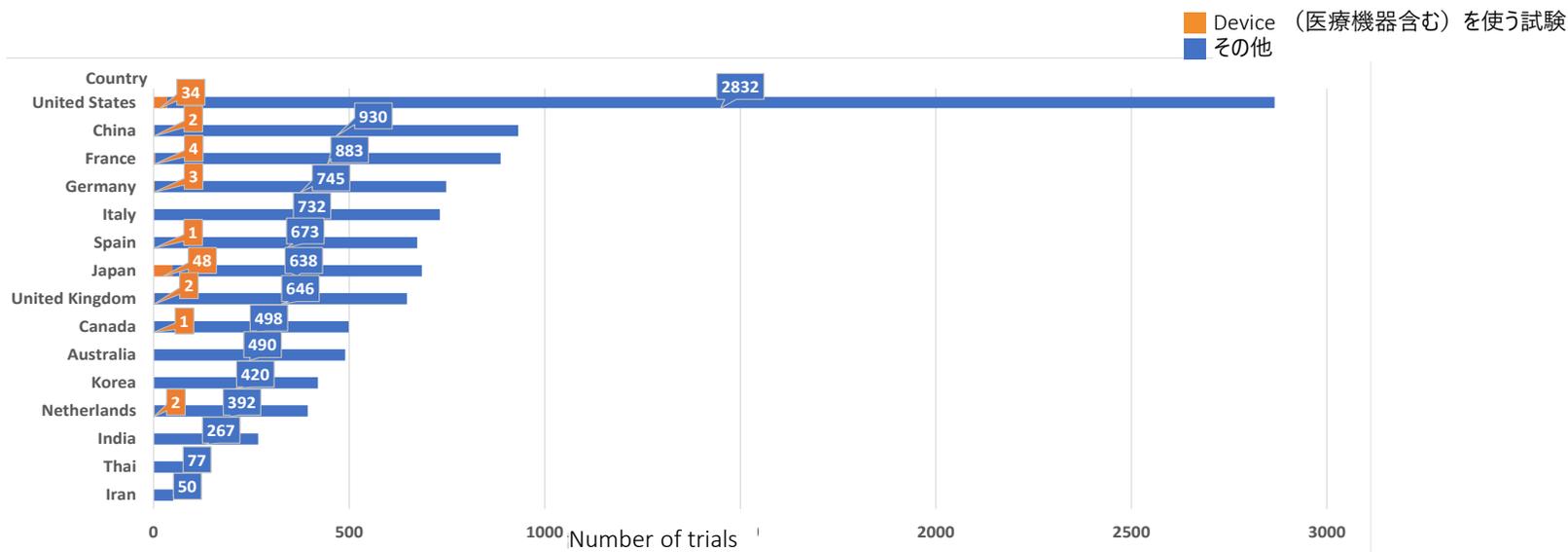
Drug	Start Year												
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
Rituximab	35	43	37	33	28	38	34	22	28	39	38	39	7
Azacitidine	13	10	12	14	8	14	18	24	19	33	40	33	7
Venetoclax			2	1	4	2	8	30	31	30	31	45	7
Doxorubicin	14	11	8	15	11	21	10	14	14	21	15	20	6
Lenalidomide	16	15	21	18	12	13	11	11	7	14	20	16	4
Ibrutinib		1	5	15	17	22	27	17	17	14	11	8	2
Nivolumab			2	2	6	16	14	31	31	21	12	19	1
Imatinib	13	13	19	13	16	7	10	9	12	18	8	11	2
Decitabine	7	5	6	8	10	8	16	17	17	18	18	17	3
Pembrolizumab	1			2	1	8	17	27	28	16	12	20	3
Gemcitabine	6	11	11	11	6	9	8	10	20	12	13	15	2
Temozolomide	10	8	4	12	9	6	8	7	12	4	13	12	
Obinutuzumab	1	2	2	3	6	10	9	16	13	11	13	14	2
Brentuximab Vedo..	4	4	9	14	13	10	9	8	13	8	5	2	1
Dexamethasone	1	8	3	14	9	10	10	9	5	7	13	9	1
Methotrexate	7	13	3	9	10	7	5	6	5	11	8	10	2
Daunorubicin	2	5	4	10	7	10	5	8	11	6	15	10	
Dasatinib	3	7	16	5	5	5	9	4	4	7	12	6	1
Nilotinib	5	11	13	14	3	4	7	1	6	8	7	2	1
Carboplatin	5	8	4	1	7	5	5	8	9	6	9	10	1
Cisplatin	4	5	8	3	7	5	4	7	8	6	11	6	1
Busulfan	8	6	6	11	5	6	9	6	2	6	3	3	
Melphalan	3	7	6	7	5	6	8	7	4	2	6	6	
Mitoxantrone	4	4	3	3	3	11	7	7	7	5	6	2	1
Filgrastim	5	5	3	5	7	5	10	7	4	2	4	4	
Doxorubicin Hydro..	5	3	2	4	4	8	1	6	2	6	6	4	1
Sirolimus	9	9	6	5	5	5	2	2		3	2	1	
Bortezomib	13	10	4	4	2	3	3	2	1	3	1	1	
Vincristine Sulfate	6	3	2	2	2	7	1	3	2	3	3	4	
Fludarabine Phosp..	4	3	1	5	5		5	3		2	2	3	2
Thio	5	2	3	4	3	3	1	3	1	2	4	3	
Clofarabine	8	9	3	2	2	1	1		1		3	1	
Ponatinib			1	4	1	2	3	1	2	8	4		
Blinatumomab			2	1			1	4	3	3			

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

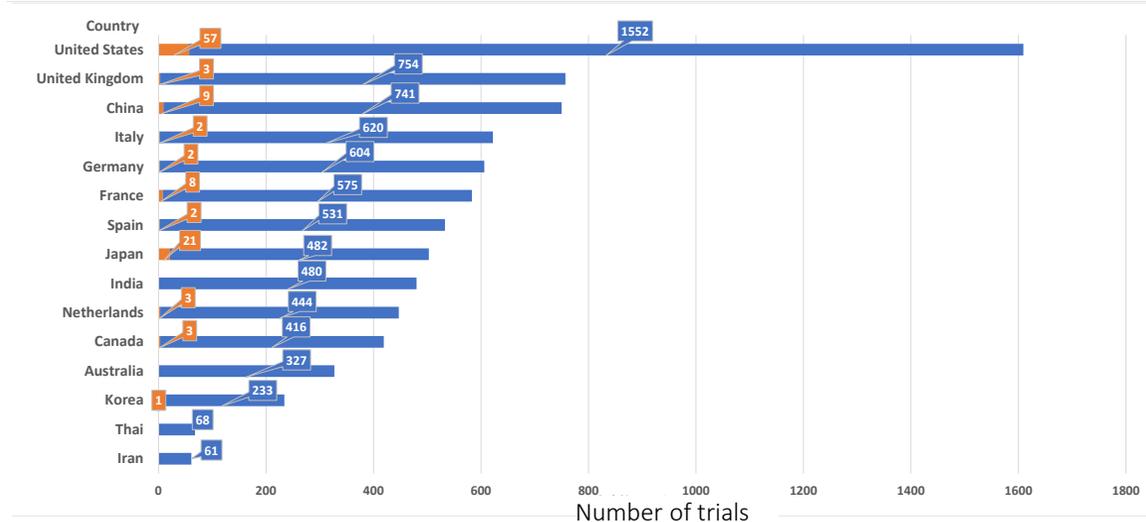
医療機器：国別試験数

日本は他国と比べて小児・AYA世代の医療機器を対象とした臨床研究の割合が高く実施されている

AYA世代



小児



5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

医療機器：国別試験数の経年変化

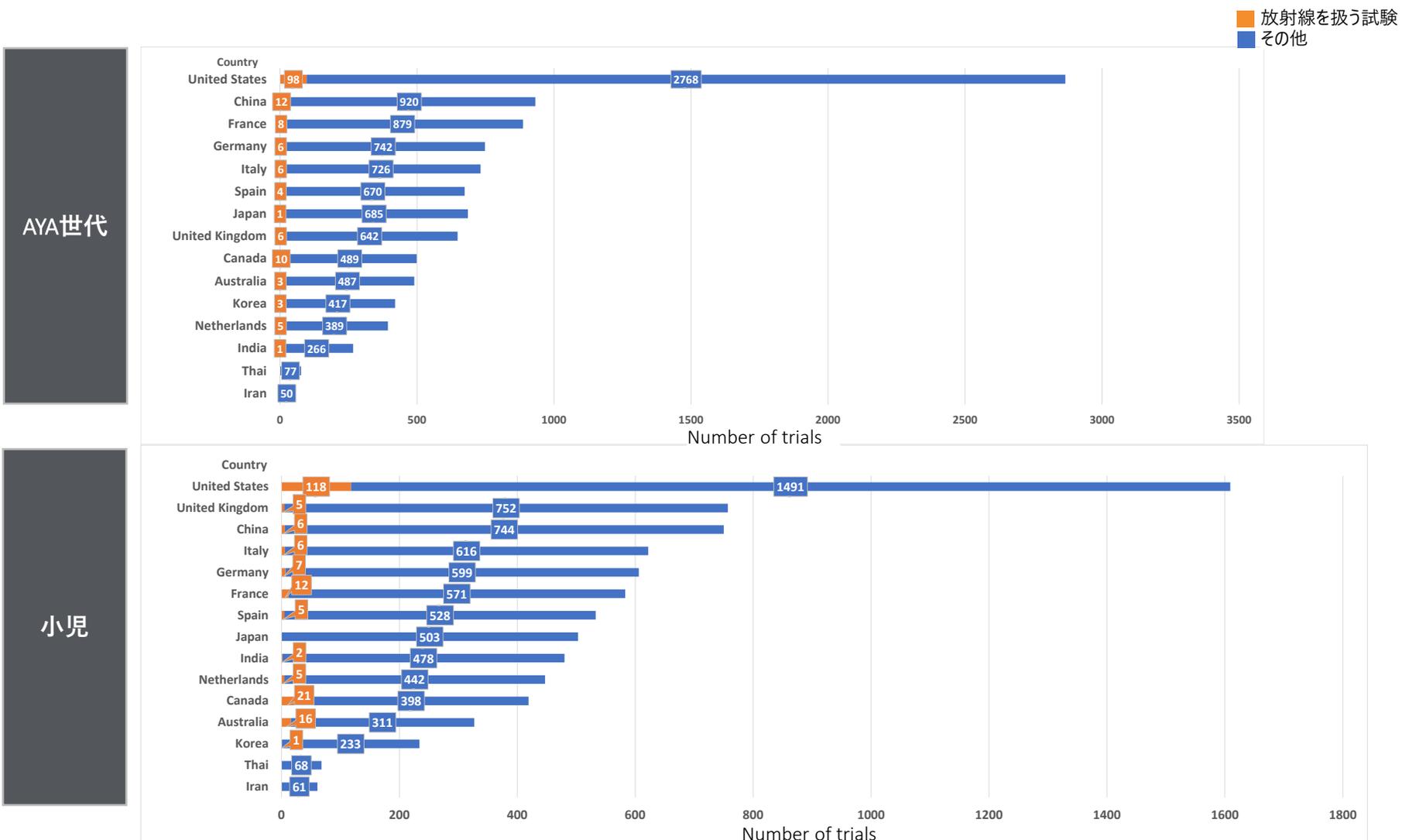
医療機器を使用した小児・AYA世代がんの試験数は一定数上下する傾向にある

Country	Start Year											
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
Japan	5	4	5	3	3	7	4	5	6	3	2	1
United States		1	6	4	5	2	4	1	2	2	2	5
France		1			1	1		1				
Germany								1	1	1		
United Kingdom										1		1
Netherlands								2				
China				2								
Spain												
Canada		1										
Thai												
Korea												
Italy												
Iran												
India												
Australia												

Country	Start Year											
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
United States	1	4	5	9	5	5	4	3	6	4	5	5
Japan	6	2	5		1		2	1	1	2	1	
China				2	1		1	3	1	1		
France		1	1			1	1		1		1	2
United Kingdom						1	2					
Netherlands				1	2							
Canada						2	1					
Spain						1		1				
Italy	1					1						
Germany						1						1
Korea						1						
Thai												
Iran												
India												
Australia												

## 国別がん放射線試験数の経年変化

放射線を使用した小児がんの試験は北米やオーストラリアで多く実施されている



5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

国別AYA世代がん放射線試験数の経年変化

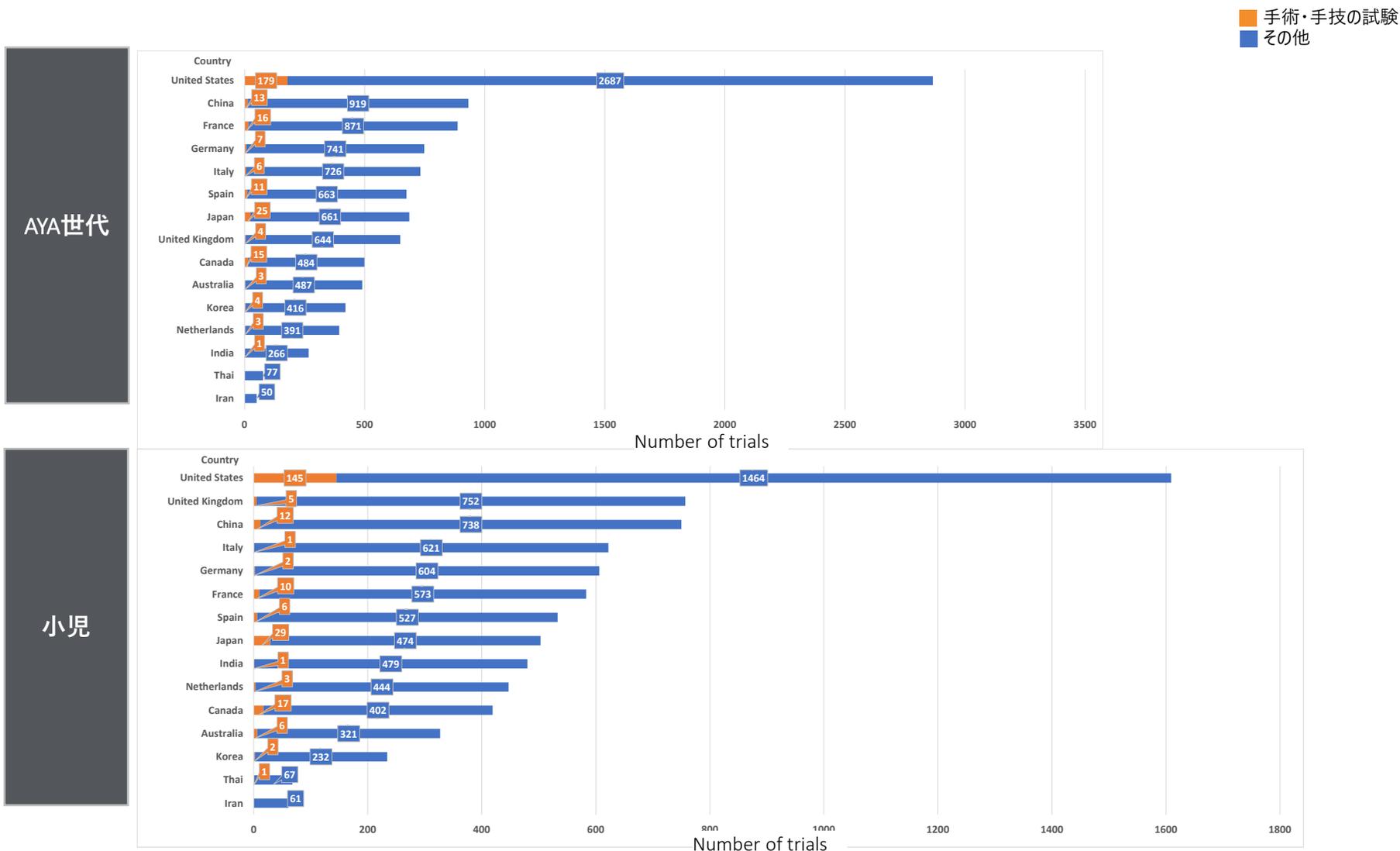
放射線を使用した小児・AYA世代がんの試験は2019年頃まで各国で実施されていたが、2020年からは実施国が減少傾向にある

Country	Start Year												
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	
United States	20	13	17	15	14	15	7	21	15	12	5	12	
Canada			2	1	5	1		3	1	3	1	2	
China	1		1	1		3	3				2	1	
France	1				1	1	1	1	3	1	1		
Australia			1	1	2				1	3		2	
United Kingdom	1		1		1		1		1	2	1		
Italy			1		2				2	2	1		
Netherlands		1			1				2	2	1		
Germany	2		2						1	1	1		
Spain	1				1				1	1			
Korea	1								1	1			
Japan										1			
India							1						
Thai													
Iran													

Country	Start Year												
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	
United States	15	7	9	15	14	8	4	9	14	10	2	9	
Canada	1		2	4	5	1		2	1	3		2	
Australia	2		2	3	2			2		3		2	
France	3		1	2	1	1	1		2	1			
Germany	4			1	1				1				
Italy	1			1	1				1	1		1	
China				1	1		2	1			1		
United Kingdom					1		1		1	1	1		
Spain	1			1	2				1				
Netherlands				1	1				2	1			
India											2		
Korea									1				
Thai													
Japan													
Iran													

## 国別AYA世代がん手術・手技試験数

手術・手技を使用した小児・AYA世代がんの試験は米国に次ぎ、日本で多く実施されている



5. 分析結果・海外臨床研究の傾向

A. 小児・AYA世代のがん 1. 治療法別実施件数

国別AYA世代がん手術・手技試験数

手術・手技を使用した小児・AYA世代がんの試験数は2013年頃から2018年頃がピークであり、2019年以降は緩やかに減少する傾向にある

Country	Start Year												
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	
United States	12	15	11	19	12	20	9	25	14	8	16	16	
Japan	6	3	3	3	1		4	3	1			1	
France	1	1	2		1	1	2	2	4		1	1	
Canada	2	2	1	1	2			1	2	2	1	1	
China	1				2	2			3	1	4		
Spain	1		3	2			1		1	1	1	1	
Germany	1		1		1				1	1	2		
Italy						1		1	1		3		
United Kingdom							1		1		1	1	
Korea	1	2							1				
Netherlands			1		1							1	
Australia				1					1	1			
India								1					
Thai													
Iran													

Country	Start Year												
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	
United States	11	14	13	18	16	10	9	12	11	12	9	7	
Japan	4	3	4	6	3	3	2	2	1			1	
Canada		3		4	3			1	2	2	1	1	
China			2	1		1		1	1		6		
France	2			1	1		1	3	1			1	
Spain	1		2	1	1		1						
Australia		1		1	1			1		2			
United Kingdom				1			2			1		1	
Netherlands				1				1	1				
Korea		1		1									
Germany	1							1					
Thai				1									
Italy								1					
India				1									
Iran													

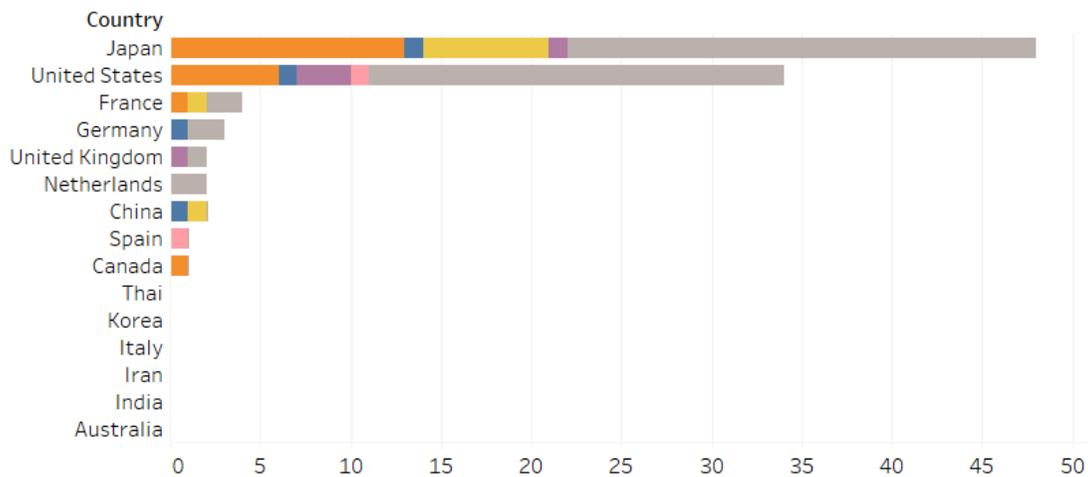
## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

## 小児・AYA世代がんのDevice分類

「Device」に関する試験は世代や国で治療法の種類が大きく異なっている

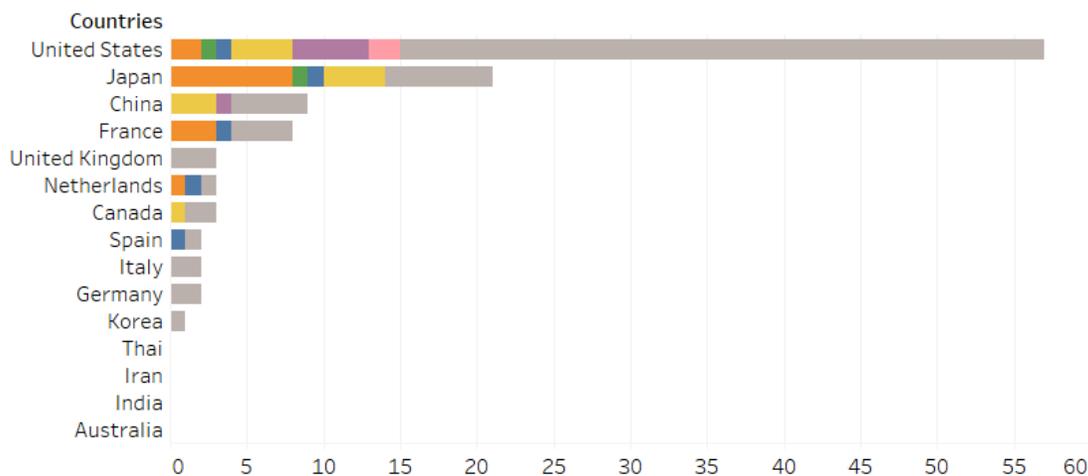
AYA世代



※レジストリー上で「Device」に分類されている試験をキーワードで分類した（詳細はP. 70-72参照）

- 診断
- 放射線治療
- 外科的手術
- その他の治療法
- デジタル技術
- 未分類

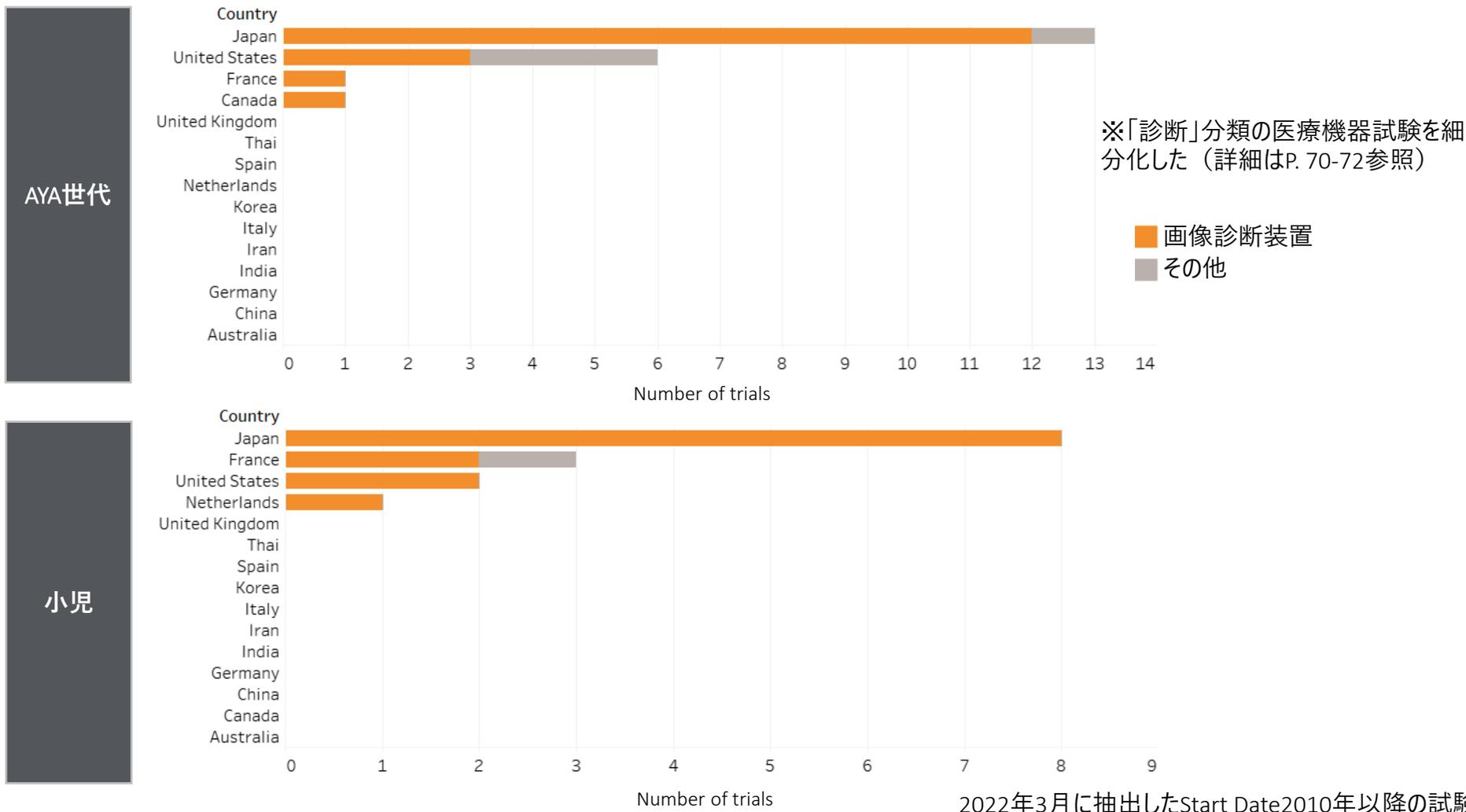
小児



2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

### 小児・AYA世代がんの診断機器に関する試験

診断機器に関する小児・AYA世代がんの臨床研究は日本が最も多く、また多くの試験が放射線科で用いられる画像診断装置を扱っている



2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

## 小児・AYA世代がんの画像診断に関する試験

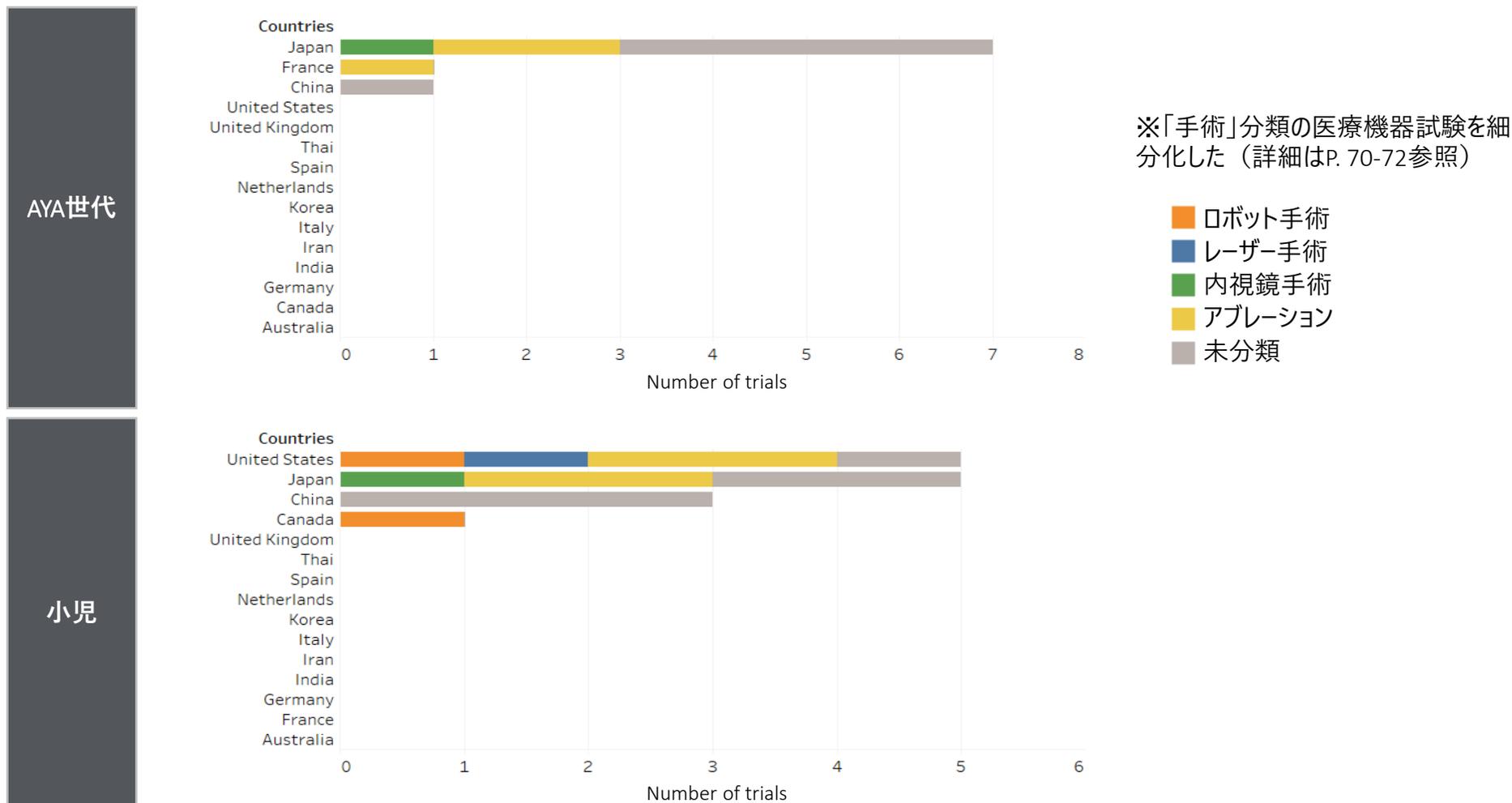
日本の画像診断に関する小児・AYA世代の臨床試験の多くはPETを扱っている

※「画像診断」分類の試験を細分化した（詳細はP. 70-72参照）

	AYA世代							小児						
	CT	Mammography	MRI	PET	SPECT/ Scintigraphy	Ultrasound	X-ray	CT	Mammography	MRI	PET	SPECT/ Scintigraphy	Ultrasound	X-ray
Japan	1	0	2	9	0	1	1	1	0	1	6	0	0	1
US	0	0	1	1	0	1	0	0	0	3	0	0	3	0
Canada	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0
China	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Korea	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Australia	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
UK	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Germany	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
France	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1	1	0	0	0
Netherland	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0
Italy	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Spain	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Thai	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
India	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Iran	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

### 小児・AYA世代がんの診断手術医療機器に関する試験

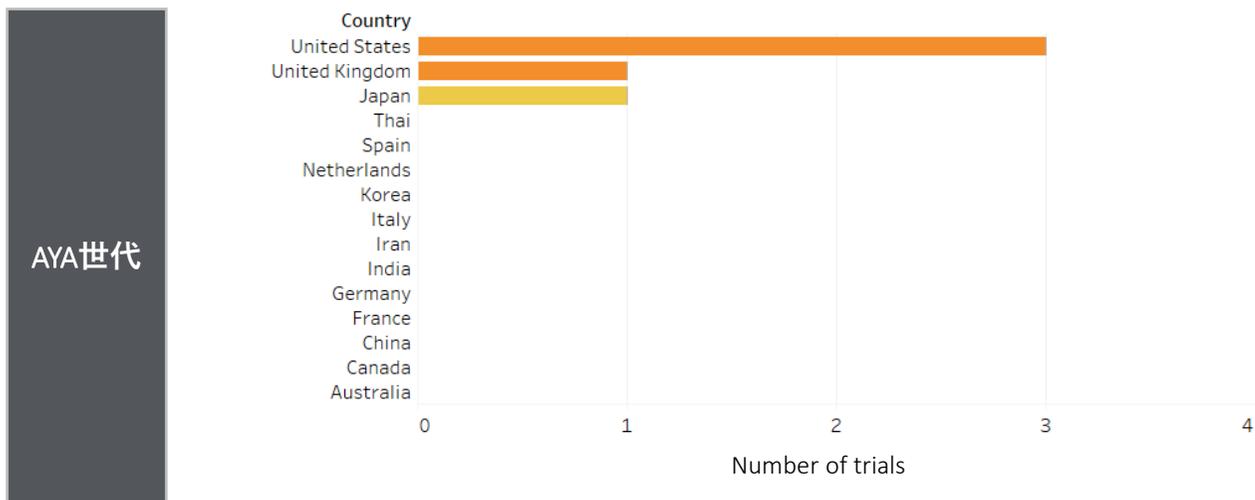
小児・AYA世代がんの手術関連機器関連の試験はアブレーションやロボット手術を扱っている



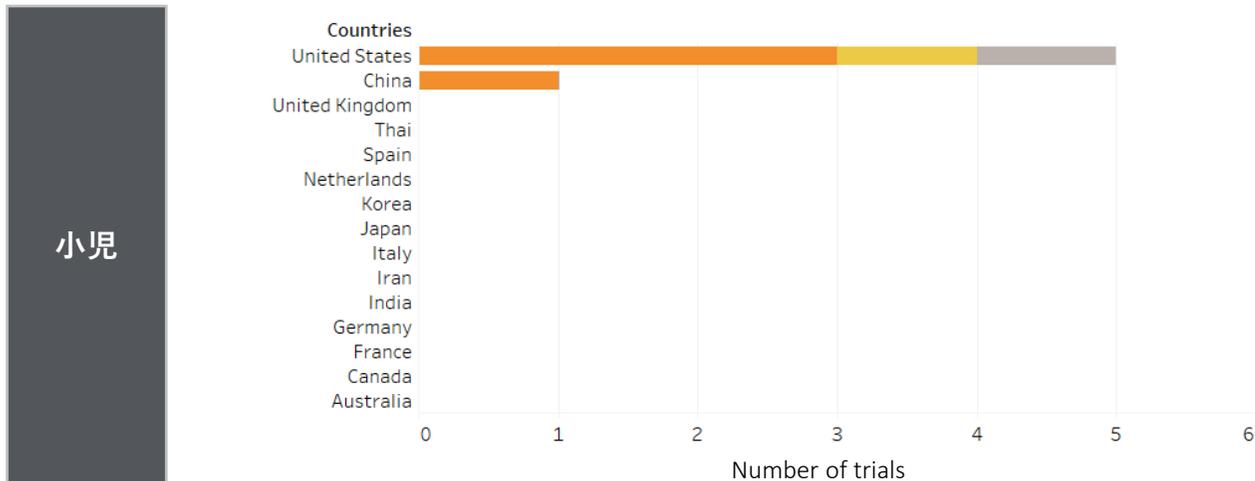
\*当調査ではClinicalTrials.gov及びUMINにおいて、介入の種類として「Device」もしくは「医療器具・機器」が選択されている臨床研究を抽出したが、ロボット手術を扱う試験は介入の種類を限定しなければ日本を含め小児で10件以上、AYA世代で4件確認されている。

### 小児・AYA世代がんその他医療機器に関する試験

その他のDeviceを扱う治療法としてMR-HIFU、tDCS/TMS、インプラント治療が確認されたが、臨床研究の実施国は米国と中国でのみ限定されている

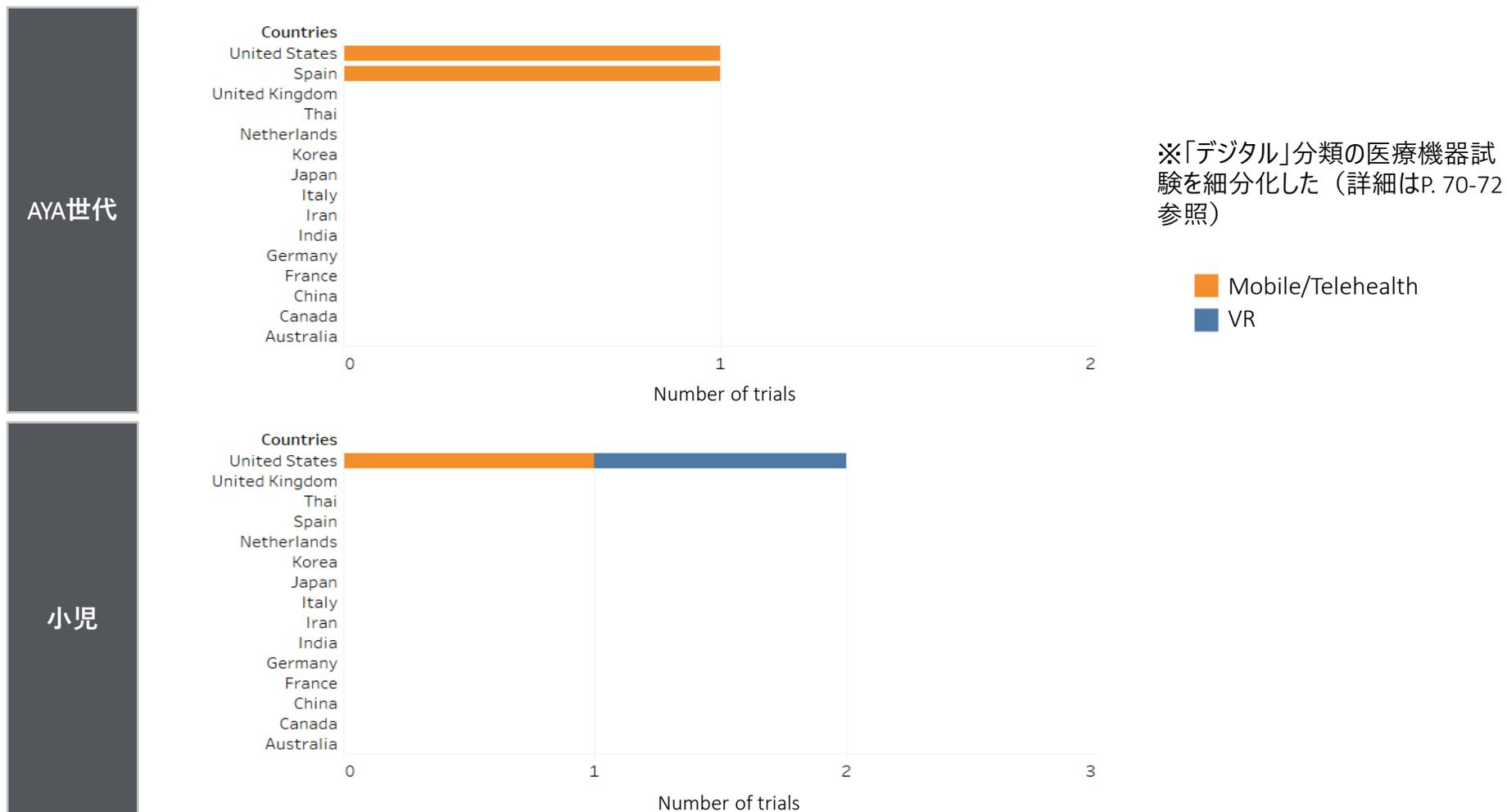


※「その他」分類の医療機器試験を細分化した（詳細はP. 70-72参照）



### 小児・AYA世代がんデジタル医療機器に関する試験

米国では小児・AYA世代を対象としたモバイルヘルス・VRといったデジタル技術を活用したケアを主目的とした臨床研究が実施されている

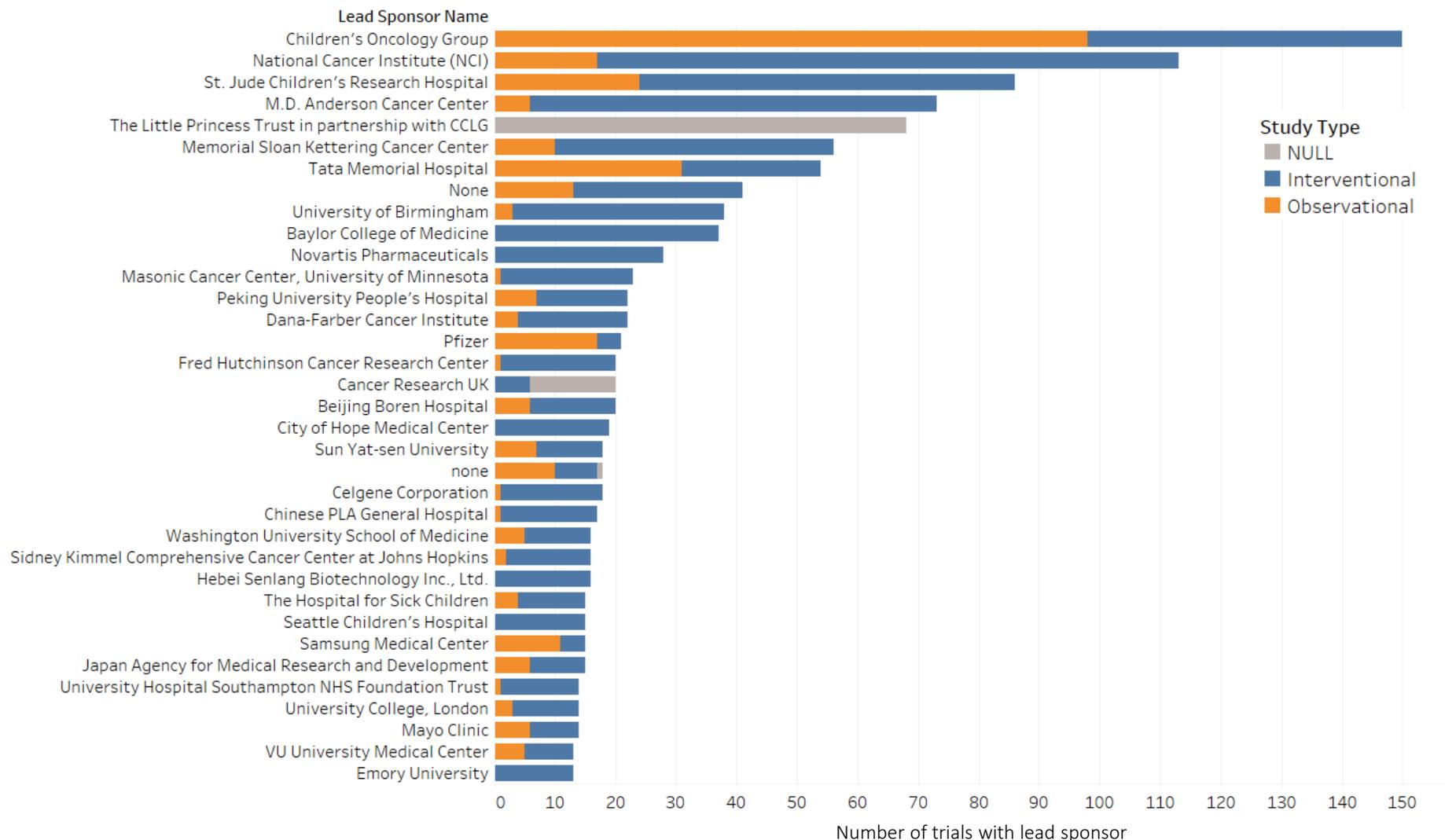


## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

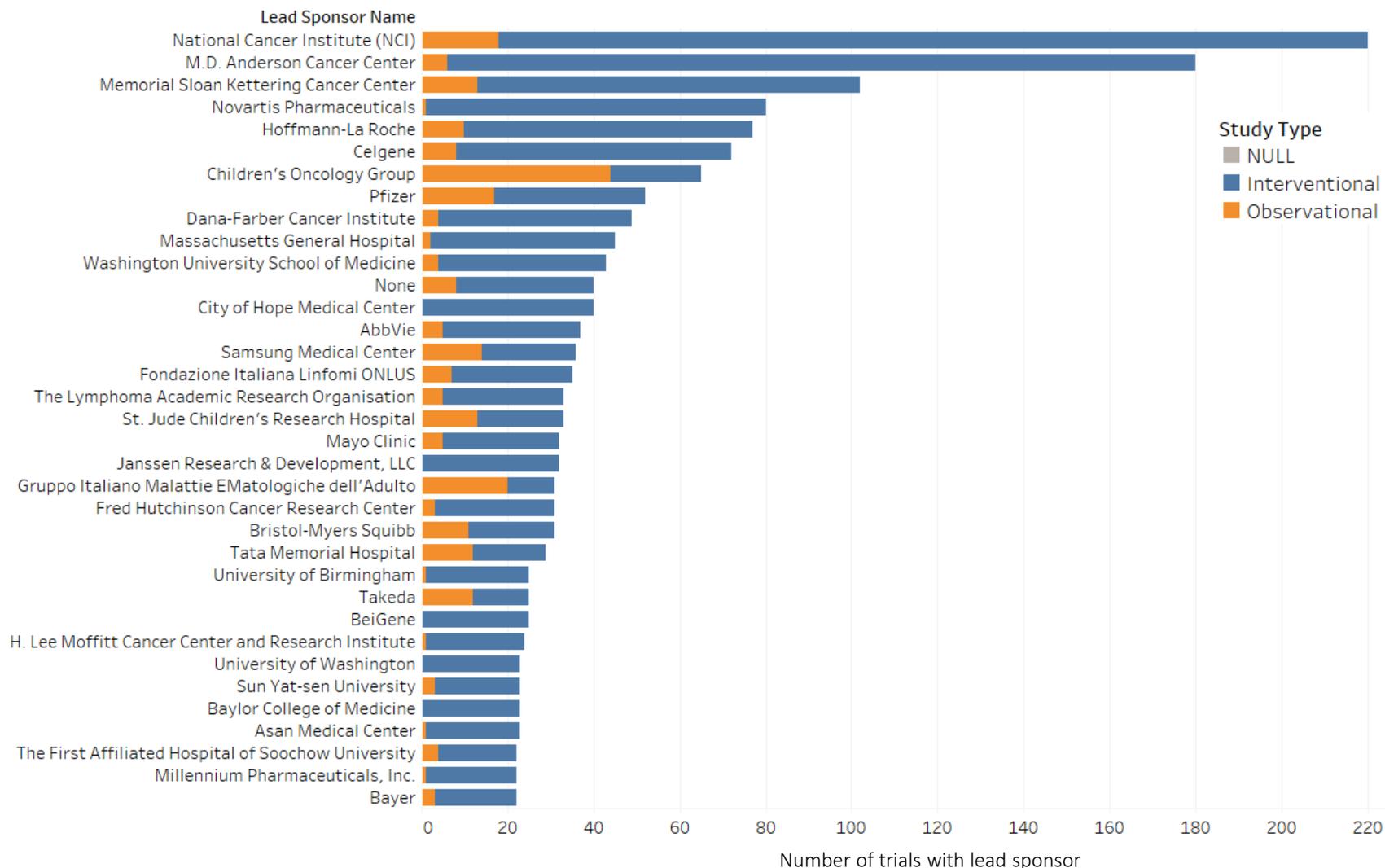
## 小児がんスポンサー毎の試験数

小児がんは小児に特化した研究グループや病院・がんセンターが比較的多くスポンサーとなっている



### AYA世代がんスポンサー毎の試験数

AYA世代のがんはがんセンターや製薬企業が比較的多くスポンサーとなっている



### 小児がん国別スポンサー種別

小児がん試験全体ではスポンサーの半数弱を民間企業が、次いで大学・病院が大きな割合を占めているが、日本では政府機関が他国と比べて大きな割合を占めている

Sponsor Type	Country															総計
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States	
Private Sector	51.1%	53.0%	15.9%	54.4%	48.3%	20.4%	1.6%	48.9%	27.8%	70.5%	41.2%	61.4%	63.2%	38.7%	28.6%	39.2%
University/Hospital	16.2%	12.6%	70.3%	11.8%	29.9%	21.5%	78.7%	13.5%	14.7%	9.0%	25.7%	10.5%	14.7%	29.3%	24.4%	25.1%
Other/Unknown	15.6%	11.9%	10.0%	31.7%	18.6%	52.7%	19.7%	32.0%	36.4%	9.0%	25.3%	26.1%	16.2%	15.7%	15.6%	22.2%
Study/Research Group	11.6%	11.7%	1.2%	1.5%	2.3%	0.8%		4.5%	4.0%	1.3%	1.6%	1.5%	2.9%	14.7%	6.1%	5.0%
Cancer Center	0.6%	2.4%	0.9%	0.2%	0.5%	2.9%		0.3%	0.6%	1.3%	2.9%	0.4%		1.6%	15.5%	4.0%
Government Agency	4.6%	8.1%		0.3%	0.2%	1.3%		0.6%	15.7%			0.2%	1.5%		8.3%	3.5%
Medical Center	0.3%	0.2%	1.7%		0.2%	0.4%		0.2%	0.8%	9.0%	3.4%		1.5%		1.6%	1.1%
総計	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%

### AYA世代がん国別スポンサー種別

AYA世代がん試験全体ではスポンサーの半数弱を民間企業が、次いで大学・病院が大きな割合を占めている

Sponsor Type	Country															総計
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States	
Private Sector	60.9%	66.1%	27.5%	51.9%	51.9%	25.7%	1.9%	53.9%	42.1%	60.6%	48.5%	66.9%	62.0%	59.0%	35.9%	46.9%
University/Hospital	12.7%	10.1%	58.3%	14.2%	25.7%	18.5%	84.9%	9.8%	14.4%	13.5%	21.4%	6.8%	17.7%	20.8%	18.6%	20.2%
Other/Unknown	16.3%	11.9%	9.5%	30.8%	20.2%	51.8%	13.2%	30.7%	29.2%	9.6%	25.2%	24.7%	15.2%	16.6%	13.6%	19.7%
Study/Research Group	5.8%	4.5%	3.1%	2.4%	1.7%	0.4%		5.2%	2.1%	0.7%	1.5%	1.5%	2.5%	2.8%	2.6%	2.7%
Cancer Center	2.4%	1.4%	0.6%		0.4%	2.2%		0.1%	1.3%	2.5%	2.4%			0.7%	19.1%	5.8%
Government Agency	1.8%	5.5%	0.3%	0.8%	0.1%	1.4%		0.1%	10.6%				1.3%		8.2%	3.4%
Medical Center	0.2%	0.6%	0.3%		0.1%			0.1%	0.3%	13.0%	1.0%		1.3%		2.0%	1.2%
Private			0.3%												0.1%	0.0%
総計	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%

## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

## 晩期合併症試験の抽出方法

晩期合併症を扱う試験を抽出するために複数の条件を設定した

### 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"

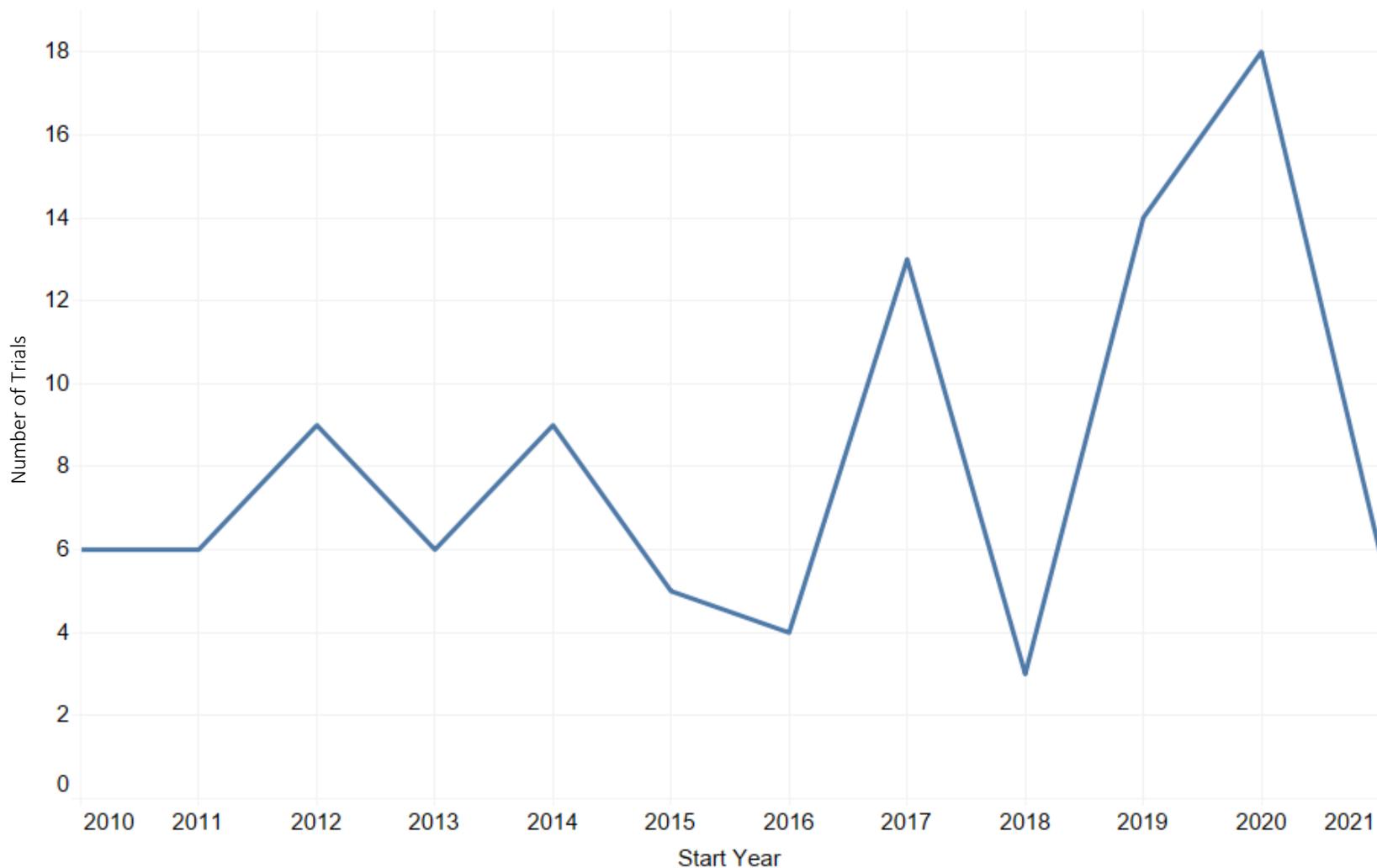
### 条件3

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"

## 晩期合併症を扱う臨床試験の経年推移

晩期合併症を扱う試験は調査の範囲では2016年以降増加傾向にあったが2020年以降減少している



データ対象国：世界全体

2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

### 晩期合併症を扱う臨床試験の経年推移

晩期合併症を扱う試験は、北米や欧州を中心に実施されており、2016年頃から実施する国が増加傾向にある

Country	Start Year													総計
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
United States	5	1	1	4	6	5	1	6	2	7	6	1	1	46
Canada	1	0	3	2	0	0	1	2	0	1	1	0	0	11
France	0	1	0	0	1	0	1	1	0	2	1	0	0	7
United Kingdom	0	1	1	0	1	0	0	0	0	1	1	2	0	7
Australia	0	0	1	0	0	0	1	1	0	0	1	1	0	5
India	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	2	1	0	4
Italy	0	1	0	0	0	0	0	1	0	1	1	0	0	4
Netherlands	0	1	1	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	4
Spain	0	0	1	0	0	0	0	0	0	1	1	1	0	4
China	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	2	0	0	3
Germany	0	1	0	0	0	0	0	1	0	0	1	0	0	3
Japan	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	1
Korea	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Iran	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Thai	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

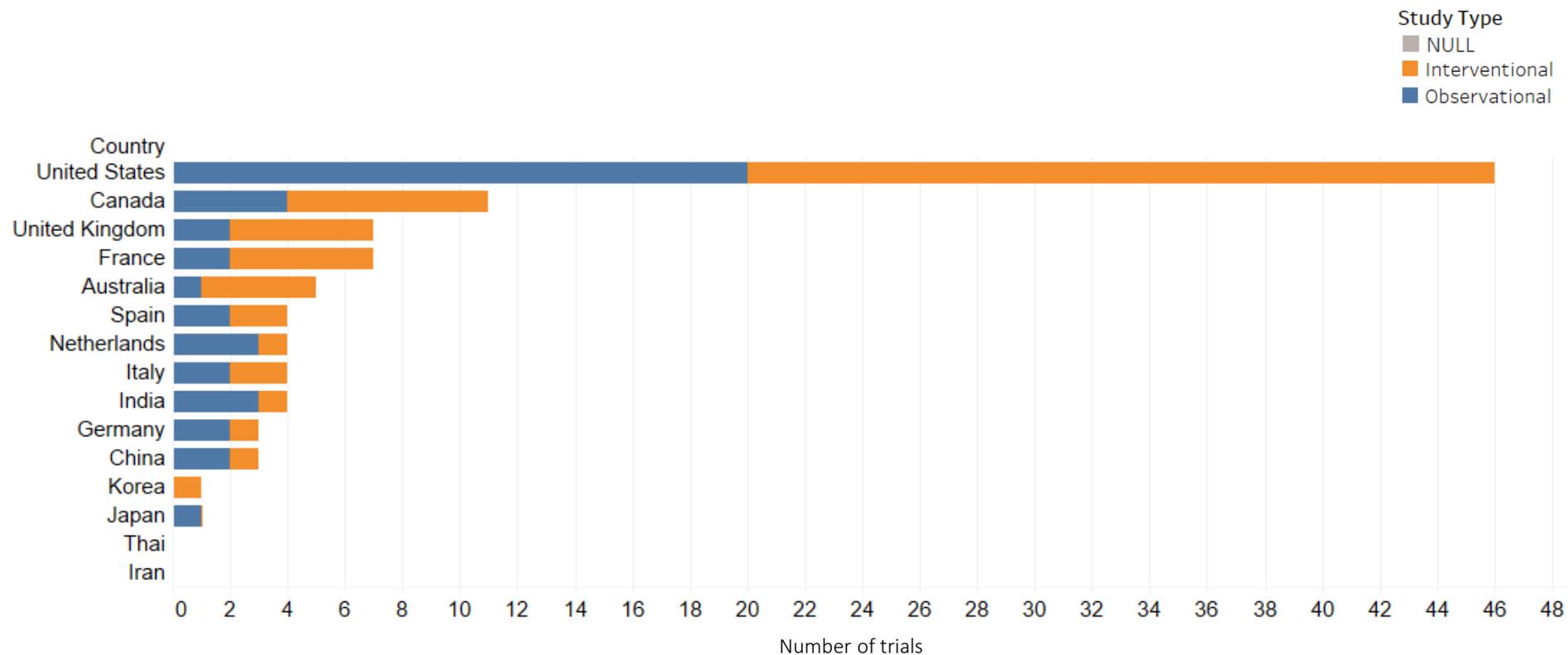
### 晩期合併症を扱う臨床試験（国・疾患別）

晩期合併症を扱う試験は脳腫瘍及びリンパ腫を対象とした研究が最も多く実施されている

Original Disease Name	Country															総計
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States	
Brain Cancer	2	5	2	3	1	1	0	2	1	0	1	2	0	4	22	46
Acute Lymphoblastic Leukaemia	0	1	1	0	0	2	0	0	0	0	0	1	0	1	10	16
Lymphoma	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	12	13
Cancer Of Kidney	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1	0	2	7	12
Neuroblastoma	1	1	0	3	1	2	0	2	0	0	0	0	0	1	0	11
Acute Myeloblastic Leukaemia	1	2	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	3	9
Histiocytosis	0	0	0	1	1	1	0	1	0	0	0	0	0	0	4	8
Soft Tissue Sarcoma	1	1	0	0	0	0	0	0	0	1	1	1	0	1	1	7
Bone Sarcoma	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	2	1	6
Dysmyelopoietic Syndrome	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3	4
Dysmyelopoietic Syndrome	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4	4
Retinal Glioblastoma	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	1	3
Chronic Granulocytic Leukaemia	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3	3
Embryoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1	2
Cancer Of Liver	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	0	0	0	0	2

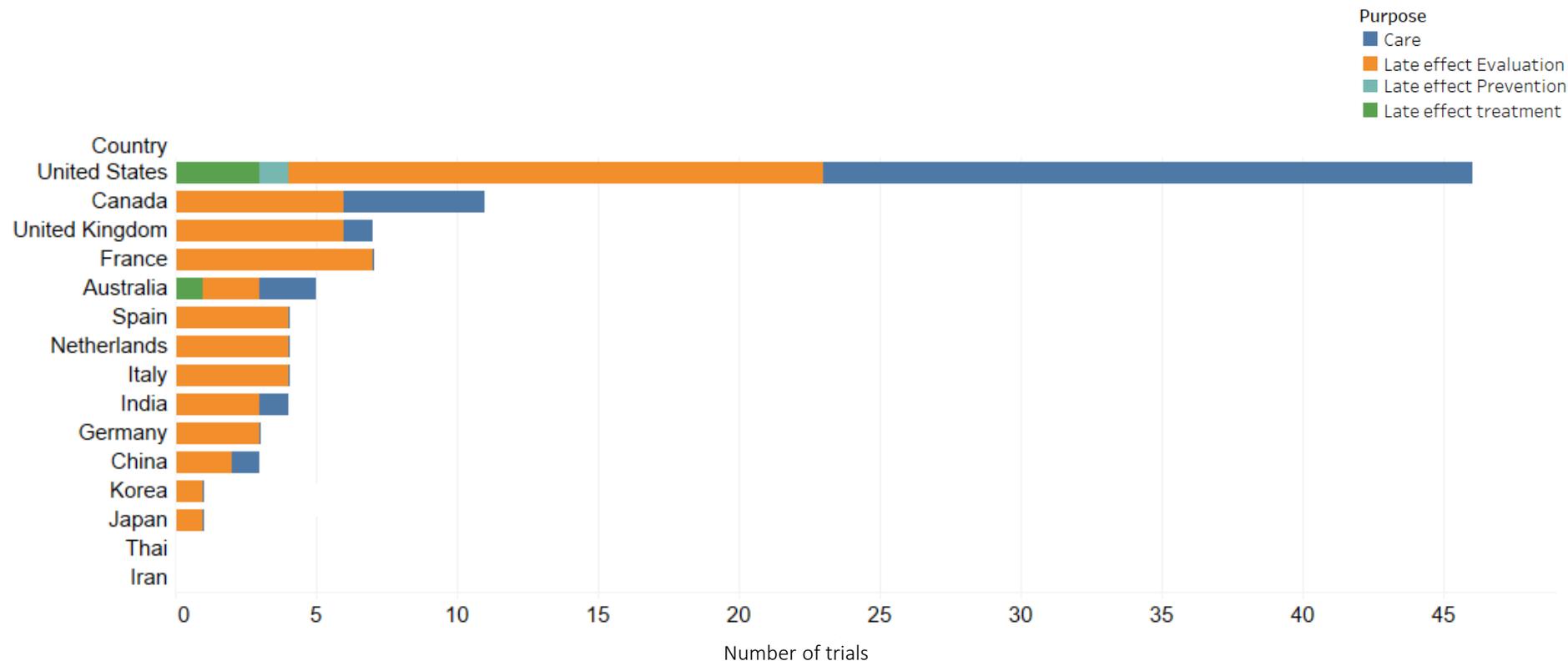
### 晩期合併症を扱う臨床試験（国・Study Type別）

晩期合併症を扱う試験は米国・カナダ・英国・インド・フランス等に多く、介入・観察試験が全世界で見ると同様の割合で実施されている



### 晩期合併症を扱う臨床試験（国・目的別）

晩期合併症を扱う試験の多くは合併症の評価が目的ですが、米国を中心に支持療法（Care）を目的とした試験も実施されている



## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

## 支持療法試験の抽出方法

支持療法を扱う試験を抽出するために複数の条件を設定した

### 条件1

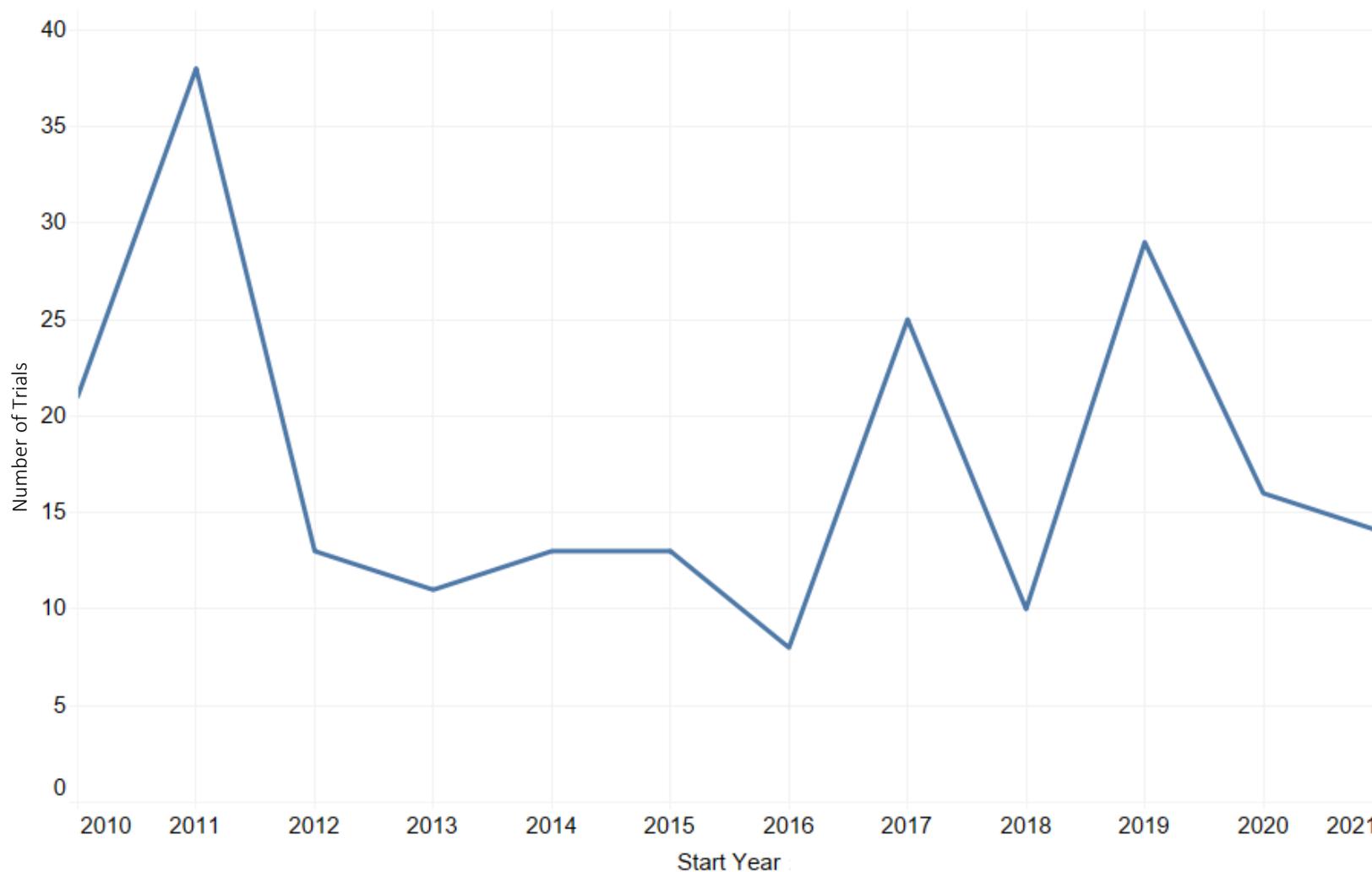
- 調査対象範囲の試験である
- 対象疾患
  - 2010年以降がStart Date
  - 2022年3月にデータ抽出を実施した
  - StatusがRecruiting, Active, Completed

### 条件2

- 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

## 支持療法を扱う小児・AYA世代の臨床試験の経年推移

支持療法を扱う試験数は2011年、2017年、2019年など、特定のタイミングで一時的に急増する傾向にある

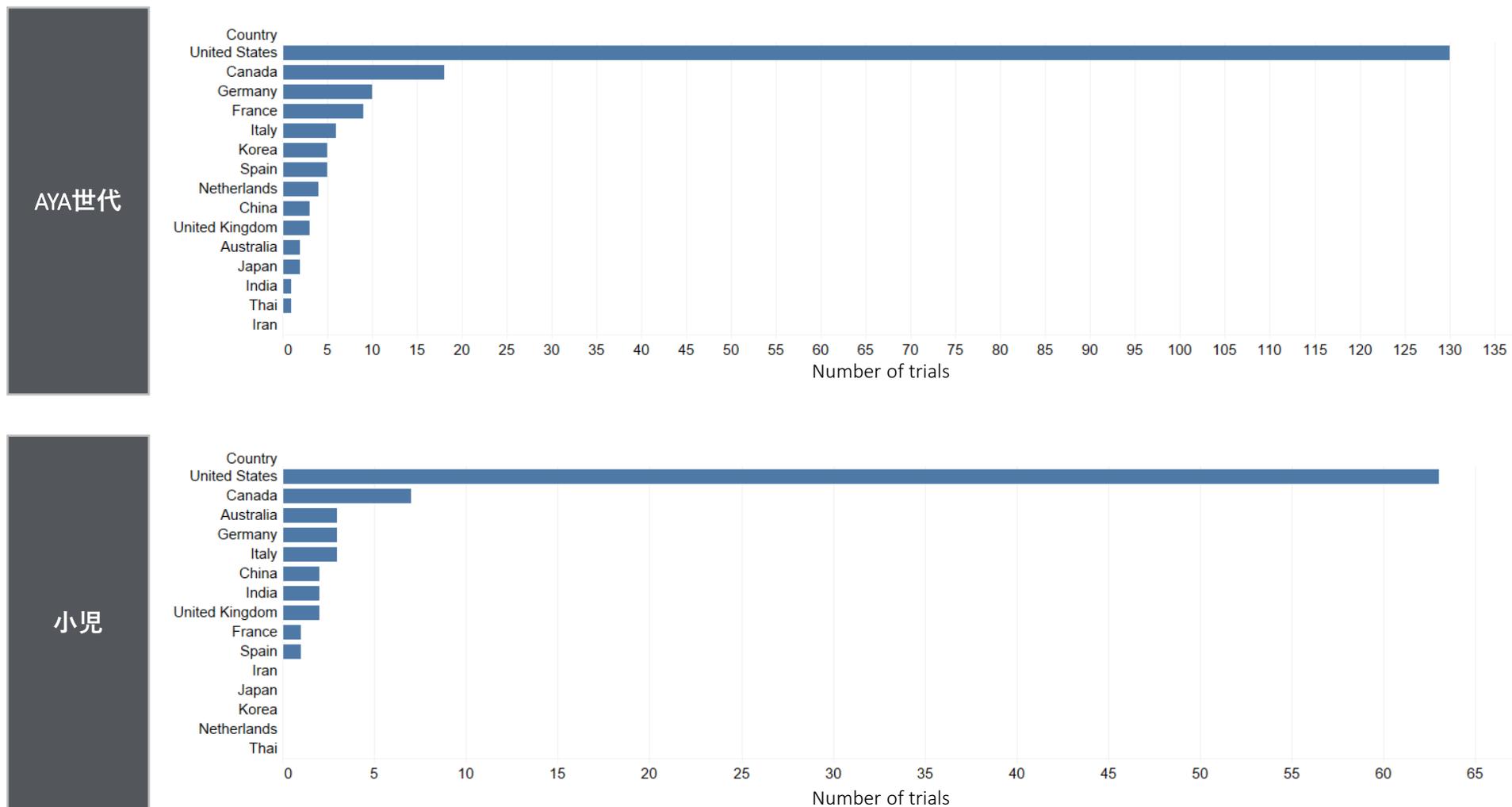


データ対象国：世界全体

2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

## 支持療法を扱う小児・AYA世代の臨床試験（国別）

支持療法を扱う試験はアジアよりも北米で多く実施されている



5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 5.支持療法分析

支持療法を扱う小児・AYA世代の臨床試験（国別）

支持療法を扱う試験は主に米国で行われており、米国以外の国での実施数は少ない傾向にある

Country	Start Year													総計
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
United States	10	13	9	6	10	10	5	16	9	19	12	11	1	131
Canada	2	7	0	3	2	1	0	2	0	1	0	0	0	18
Germany	1	3	1	0	0	0	0	1	0	1	2	1	0	10
France	1	2	1	0	0	0	0	1	0	2	1	1	0	9
Italy	1	2	0	0	0	0	0	1	0	1	0	1	0	6
Korea	1	2	1	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	5
Spain	1	2	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0	0	5
Netherlands	1	2	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4
China	1	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0	0	0	3
United Kingdom	1	0	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0	0	3
Australia	0	1	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	2
Japan	1	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	2
India	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Thai	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Iran	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

Country	Start Year													総計
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
United States	5	8	2	4	9	5	2	6	5	8	4	4	1	63
Canada	0	4	0	2	1	0	0	0	0	0	0	0	0	7
Australia	0	1	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0	0	3
Germany	0	1	0	0	0	0	0	1	0	0	0	1	0	3
Italy	0	0	0	0	0	0	1	1	0	0	0	1	0	3
China	0	0	0	0	0	0	1	1	0	0	0	0	0	2
India	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	2
United Kingdom	0	1	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	2
France	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1
Spain	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1
Iran	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Japan	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Korea	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Netherlands	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Thai	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

## 支持療法を扱う小児臨床試験

小児の支持療法を扱う試験は肉腫やリンパ腫及び急性リンパ性白血病を対象としたものが多く実施されている

Original Disease Name	Country														総計	
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom		United States
Soft Tissue Sarcoma	2	2	0	3	5	0	0	3	1	1	0	3	0	2	30	52
Acute Lymphoblastic Leukaemia	1	6	0	1	0	1	0	1	0	0	0	0	0	1	24	35
Lymphoma	1	5	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	24	31
Acute Myeloblastic Leukaemia	1	5	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	11	17
Brain Cancer	0	1	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	10	13
Dysmyelopoietic Syndrome	1	1	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	5	8
Chronic Granulocytic Leukaemia	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5	7
Rhabdomyosarcoma	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4	5
Neuroblastoma	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3	5
Acute Promyelocytic Leukaemia	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	3
Cancer Of Kidney	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Cancer Of Liver	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	2
Embryoma	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Ewing Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Generalized Histiocytosis	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Synovial Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1

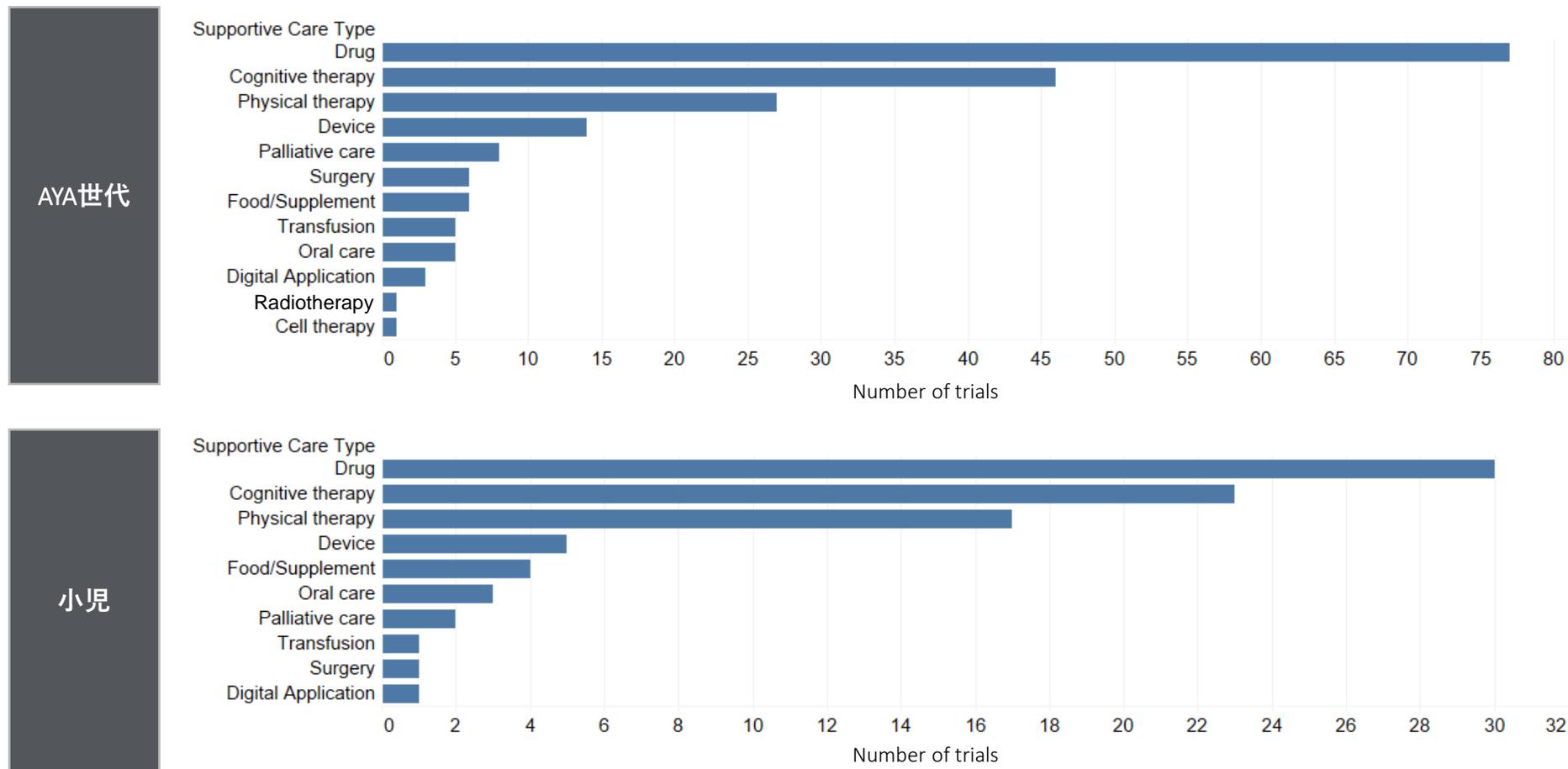
## 支持療法を扱うAYA世代臨床試験

AYA世代の支持療法を扱う試験は脳腫瘍・急性骨髄性白血病を対象としたものが多く実施されている

Original Disease Name	Country														総計	
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom		United States
Brain Cancer	0	6	1	2	2	0	0	0	0	1	0	0	0	0	48	60
Acute Myeloblastic Leukaemia	1	8	0	2	3	0	0	2	0	1	2	2	1	0	31	53
Soft Tissue Sarcoma	2	2	0	3	5	0	0	3	1	1	0	3	0	2	30	52
Dysmyelopoietic Syndrome	1	3	0	3	4	0	0	4	1	2	2	3	1	1	24	49
Lymphoma	1	5	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	26	34
Chronic Granulocytic Leukaemia	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	18	20
Gastrointestinal Stromal Neoplasm	0	1	1	1	1	0	0	1	1	2	2	1	0	1	2	14
Bone Sarcoma	0	1	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5	8
Rhabdomyosarcoma	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	4
Acute Promyelocytic Leukaemia	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Chondrosarcoma	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	2
Cancer Of Kidney	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Cancer Of Liver	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Embryoma	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Ewing Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Malignant Fibrohistiocytic Tumors	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Malignant Neurilemmoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Synovial Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1

## 小児・AYA世代の目的別支持療法を扱う臨床試験

小児・AYA世代いずれにおいても認知行動療法、運動療法が多く実施されている



### 小児・AYA世代の目的別支持療法を扱う臨床試験数の経年変化

小児・AYA世代を対象とする支持療法は、2014年頃まで薬剤を使用する試験が多かった一方で、2015年以降は認知療法を中心に薬剤以外を用いた試験が増加傾向にある

Supportive Care Type	Start Year													総計
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
Drug	15	17	7	4	1	5		10	2	12	3	2		78
Cognitive therapy	3	2	2	4	4	4	4	7	2	6	5	3		46
Physical therapy	3	2	1		4		1	3	1	5	2	4	1	27
Device			2		1	2		2	1	3	1	2		14
Palliative care				1			1	1	1		3	1		8
Surgery		3	1		1							1		6
Food/Supplement		2						1	1	1		1		6
Transfusion		4			1									5
Oral care		5												5
Digital Application									1	1	1			3
Radiotherapy									1					1
Cell therapy		1												1

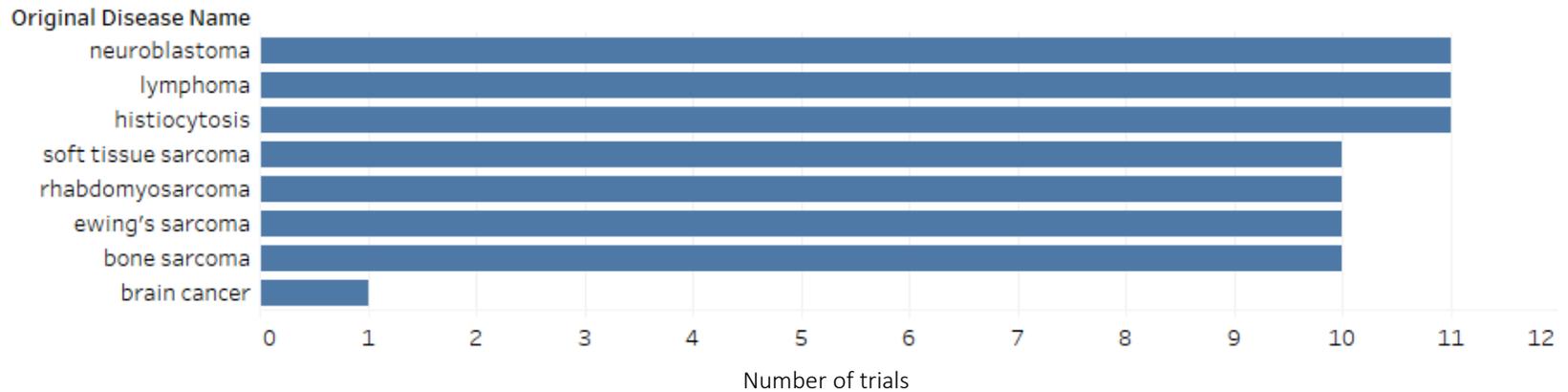
Supportive Care Type	Start Year													総計
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
Drug	1	8	1	3	2			8	1	2	2	1	1	30
Cognitive therapy	3	2		2	3	4	2	4	1	1	1			23
Physical therapy	1	1	1		4		1	1	1	3		3	1	17
Device						1	1		1	2				5
Food/Supplement		2							1	1				4
Oral care		3												3
Palliative care				1								1		2
Transfusion					1									1
Surgery												1		1
Digital Application											1			1

## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

## 疾患別Pediatric Match試験数

Pediatric Matchは脳腫瘍・リンパ腫・組織球症など、限られた疾患で集中的に実施されている

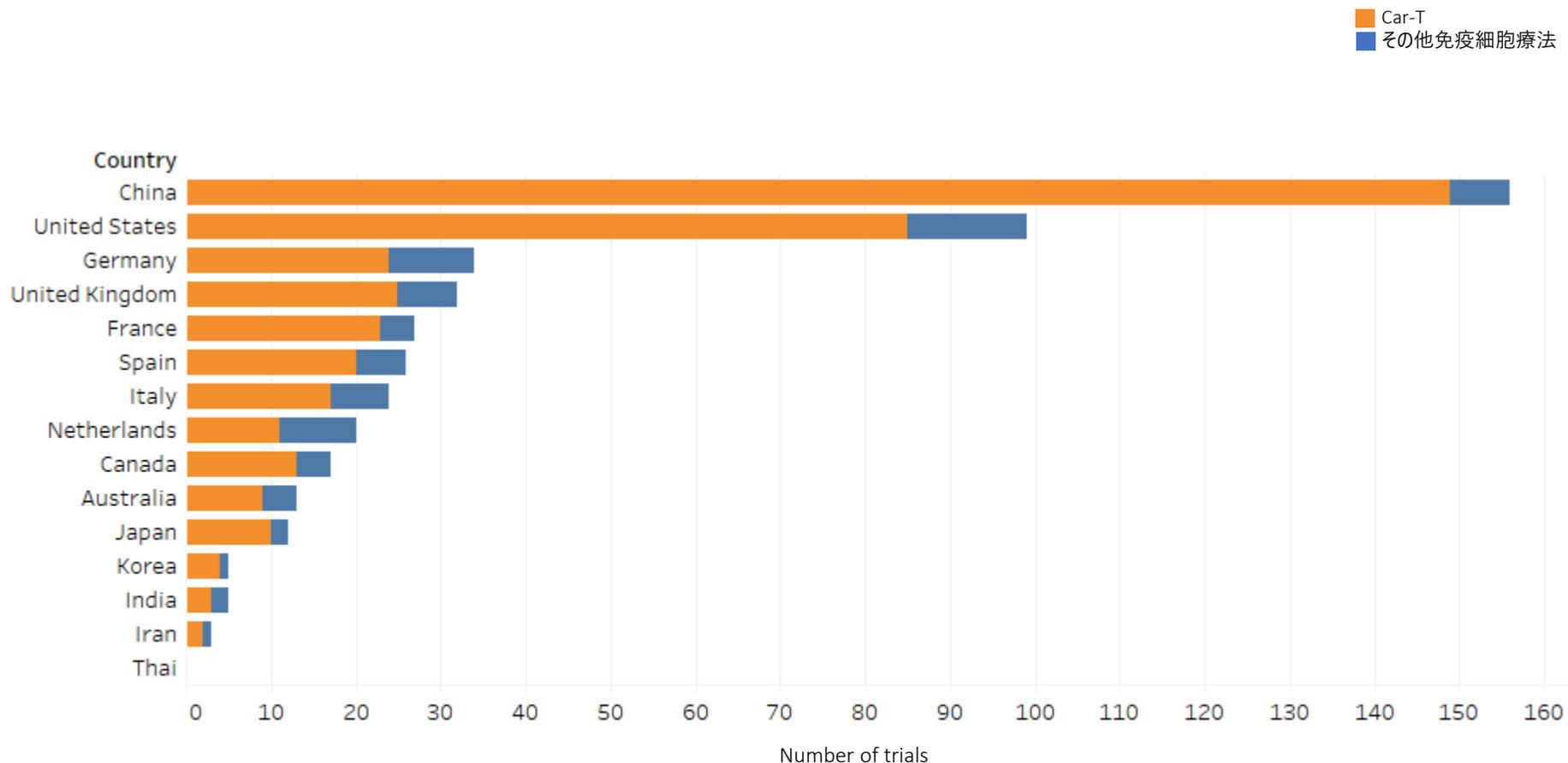


## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

## 国別免疫細胞療法を扱う小児がん試験実施数

小児がんの免疫細胞療法は中国が米国を引き離し多く試験を実施している



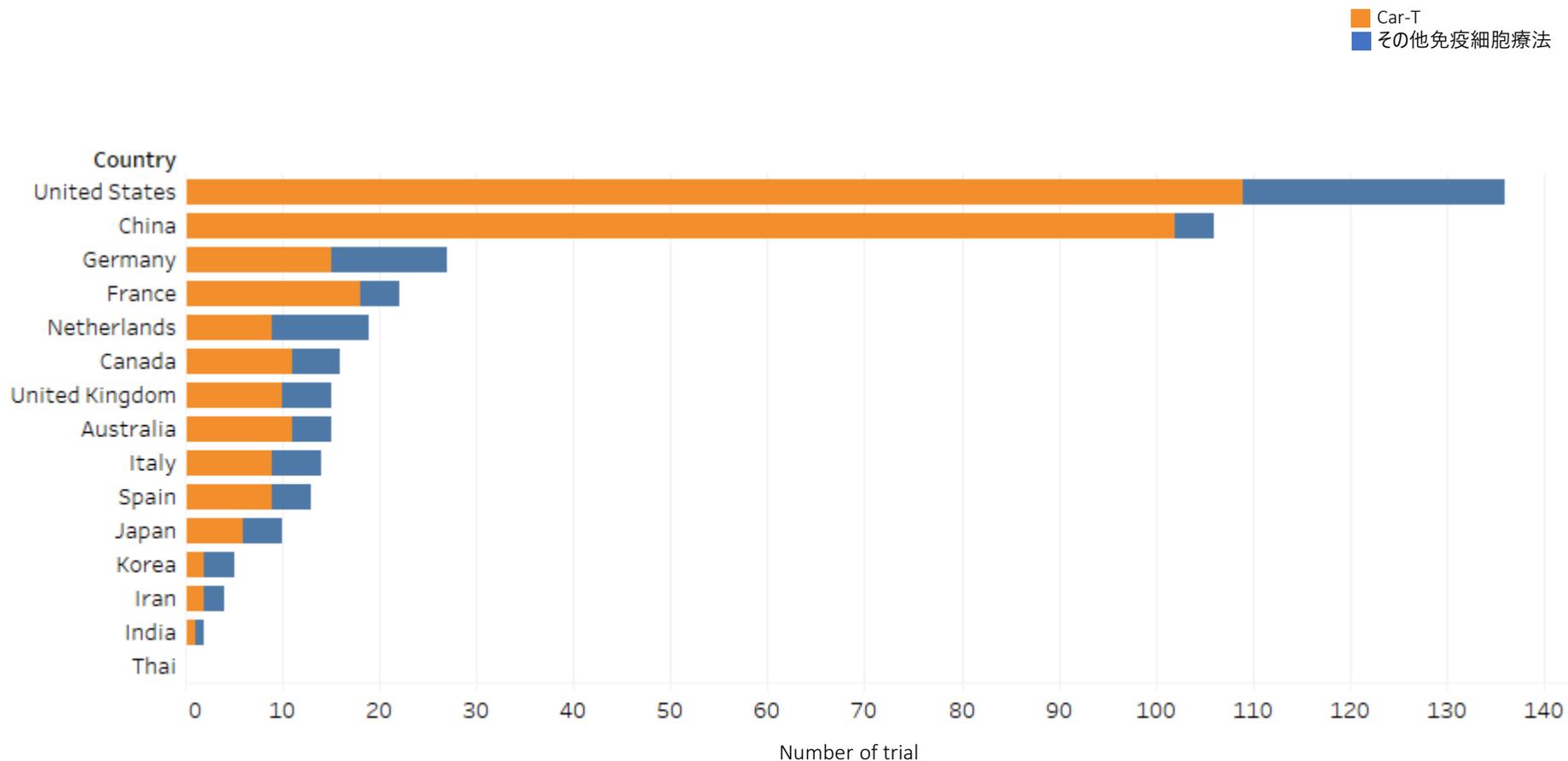
## 国別免疫細胞療法を扱う小児がん試験実施数

小児がんの免疫細胞療法は、2016年頃から実施する国が増え始め、2019年からは中国における試験数が顕著に増加している

Country	Start Year											
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
China	1		1	1	2	3	6	16	14	31	44	34
United States	3	1	3	1	9	5	11	13	11	13	15	12
Germany		1			2		3	4	9	8	3	4
United Kingdom						1	9	4	4	7	3	3
France							7	5	3	8	2	2
Spain					1	1	6	6	3	6	2	1
Italy		2					3	6	4	6	1	2
Netherlands		1			1		2	2	4	6	3	1
Canada							1	4	3	6	1	2
Australia		1		1				2	2	4	1	1
Japan					1		3	3	2	2	1	
Korea				1						1		
India									1		2	2
Iran									1			2
Thai												

## 国別免疫細胞療法を扱うAYA世代がん試験実施数

AYA世代がんの免疫細胞療法は中国と米国で多くの臨床試験が実施されている



### 国別免疫細胞療法を扱うAYA世代がん試験実施数

AYA世代のがんの免疫細胞療法は、2015年から実施する国が増え、2019年からは中国と米国における試験数が顕著に増加している

Country	Start Year											
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
United States		1	1	2	5	6	8	12	13	19	36	30
China		1	1	1	1		2	11	6	26	25	30
Germany					2	4		1	6	6	7	1
France						3		2	3	6	4	4
Netherlands		1				3		1	5	4	4	1
Canada						2		1	3	4	4	2
United Kingdom								1	4	5	2	3
Australia				1		1		1	4	5	2	1
Italy						1		2	4	4	2	1
Spain								1	4	5	2	1
Japan	1					1	2		1	3	2	
Korea				1					3	1		
Iran									1			3
India									1		1	
Thai												

## 免疫細胞療法を扱う小児がん試験実施数

小児がんの免疫細胞療法は米国が広い疾患で臨床試験を実施している

Original Disease Name	Country														総計	
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom		United States
Lymphoma	9	18	116	26	25	2	0	19	8	2	13	25	0	27	68	358
Acute Lymphoblastic Leukaemia	5	10	90	18	17	1	0	14	9	2	7	17	0	18	42	250
Acute Myeloblastic Leukaemia	4	1	27	5	6	1	2	3	1	2	3	3	0	3	11	72
Synovial Sarcoma	2	4	1	4	5	0	0	4	0	0	3	5	0	4	5	37
Brain Cancer	1	0	1	0	4	1	0	1	1	0	3	1	0	3	11	27
Soft Tissue Sarcoma	0	1	4	1	0	0	0	1	1	0	1	1	0	1	14	25
Neuroblastoma	0	0	2	0	0	0	1	2	0	1	0	0	0	1	8	15
Bone Sarcoma	0	0	3	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	8	11
Chronic Granulocytic Leukaemia	1	0	2	1	0	0	0	1	1	0	1	1	0	1	2	11
Cancer Of Liver	0	0	4	0	0	1	0	1	0	0	1	0	0	0	3	10
Dysmyelopoietic Syndrome	0	0	1	1	0	0	0	1	0	0	2	1	0	1	3	10
Ewing'S Sarcoma	0	0	3	0	0	0	1	1	0	0	0	0	0	0	4	9
Cancer Of Kidney	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	1	0	2	1	6
Rhabdomyosa Rcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4	4
Retinal Glioblastoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Embryoma	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1

## 免疫細胞療法を扱うAYA世代がん試験実施数

AYA世代がんの免疫細胞療法は比較的限られた疾患に集中的に実施されている

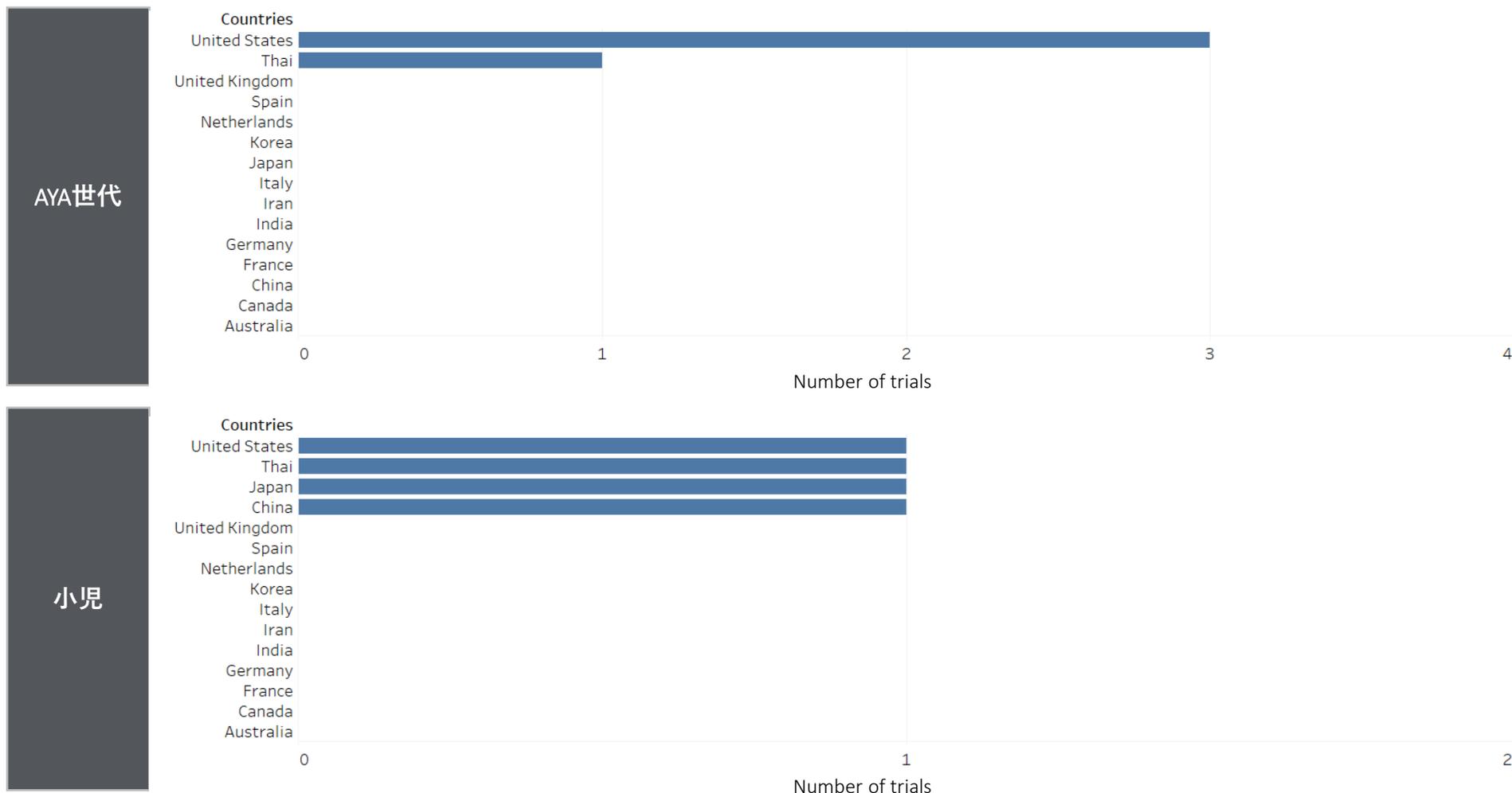
Original Disease Name	Country														総計	
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom		United States
Lymphoma	13	18	140	25	17	0	0	15	11	4	12	17	0	16	153	441
Acute Lymphoblastic Leukaemia	7	11	103	21	18	1	0	16	11	2	8	19	1	18	62	298
Acute Myeloblastic Leukaemia	4	2	32	6	9	1	3	3	2	2	6	3	0	4	29	106
Synovial Sarcoma	2	5	2	5	5	0	0	5	0	0	4	6	0	5	9	48
Atypical Lipomatous Tumor	1	3	0	3	2	0	0	3	0	0	3	3	0	3	5	26
Brain Cancer	1	0	3	0	5	1	0	1	1	0	3	1	0	1	0	17
Chronic Granulocytic Leukaemia	1	0	2	1	0	0	0	1	1	0	1	1	0	1	6	15
Neuroblastoma	0	0	1	1	0	0	0	1	0	1	0	0	0	1	7	12
Bone Sarcoma	0	0	4	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	7	11
Clear Cell Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	2	3
Embryoma	0	0	0	0	2	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	3
Rhabdomyosa Rcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3	3
Fibrosarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Malignant Neurilemmoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Acute Promyelocytic Leukaemia	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Alveolar Soft Part Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	1
Chondrosarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Dysmyelopoietic Syndrome	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1
Malignant Fibrohistiocytic Tumors	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Gastrointestinal Stromal Neoplasm	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

### Precision Medicineに関連した小児・AYA世代がん臨床研究

小児・AYA世代がんの対象疾患ではPrecision Medicineに関連する試験は世界でも少数しか実施されていない



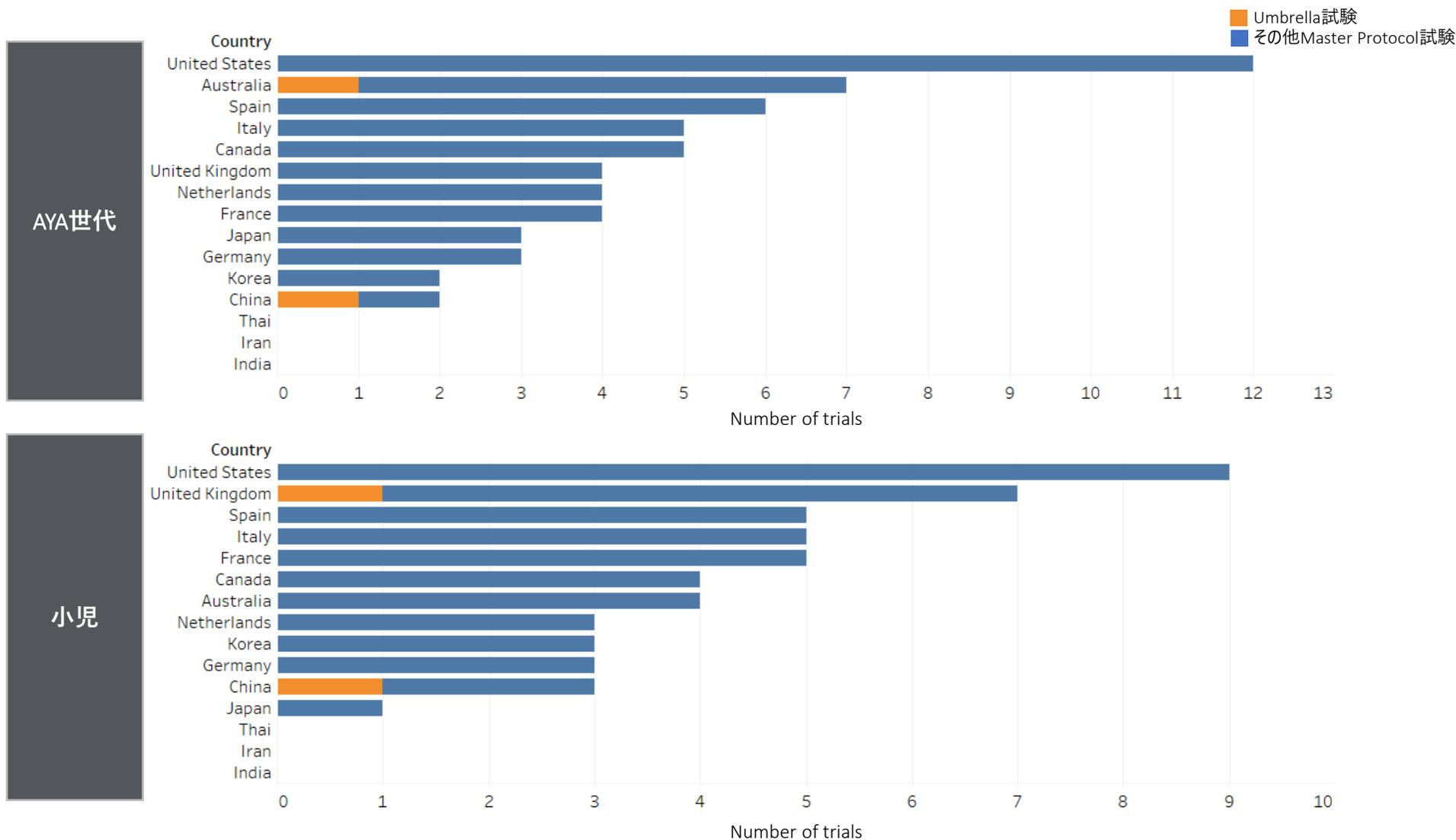
2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. **Master Protocol分析**
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

## 国別Master Protocol小児・AYA世代がん試験数

Master Protocol試験は国際試験が多いこともあり主要国の多くで実施されており、一部Umbrella試験も実施されている



## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 10. RWEを活用した研究分析

RWEを活用した試験を実施している疾患

RWEを活用した試験は小児・AYA世代のがんでは数が少ないものの、主に米国・中国で試験が実施されている

Original Disease Name	Country															総計	
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States		
AYA世代																	
Lymphoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5	5	
Acute Myeloblastic Leukaemia	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3	4	
Bone Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	2	3	
Em Bryoma	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	3	
Brain Cancer	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	
Ewing'S Sarcoma	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	2	
Chondrosarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1	
小児																	
Acute Lymphoblastic Leukaemia	1	0	0	0	1	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	3	
Bone Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	1	2	
Cancer Of Kidney	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1	2	
Cancer Of Liver	0	0	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	
Ewing'S Sarcoma	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	2	
Soft Tissue Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	1	2	
Acute Myeloblastic Leukaemia	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	
Em Bryoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	
Neuroblastoma	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	
Rhabdomyosarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1	

## 小児・AYA世代がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. Pediatric Match試験実施数
7. 免疫細胞療法分析
8. Precision Medicine分析
9. Master Protocol分析
10. RWEを活用した研究分析
11. 疾患別臨床研究実施状況

## 小児がん臨床試験実施数

小児がんを対象とした試験は米国で幅広く実施されている

Original Disease Name	Country														
	Japan	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States
Lymphobia	57	111	151	217	182	161	60	3	190	86	102	163	15	204	609
Acute Lymphoblastic Leukaemia	69	59	67	140	74	82	54	33	88	16	57	64	4	104	300
Acute Myeloblastic Leukaemia	65	51	63	94	88	123	33	8	93	40	61	95	6	103	268
Brain Cancer	93	41	50	54	56	61	125	8	47	16	64	43	3	135	280
Cancer Of Liver	109	24	30	194	63	77	81	9	71	47	63	60	14	69	110
Soft Tissue Sarcoma	22	42	65	54	80	56	9	0	78	13	29	56	2	59	316
Dysmyelopoietic Syndrome	46	35	37	28	70	73	7	0	68	23	38	54	16	69	205
Cancer Of Kidney	47	31	32	27	56	50	66	5	59	22	56	53	2	107	93
Chronic Granulocytic Leukaemia	68	22	34	21	46	46	53	1	45	20	39	43	8	45	107
Neuroblastoma	27	26	54	16	50	43	2	2	41	13	24	41	3	54	194
Synovial Sarcoma	8	21	25	7	43	46	11	2	58	20	29	58	2	56	56
Bone Sarcoma	11	17	25	48	35	17	8	0	38	3	11	24	3	26	156
Ewing'S Sarcoma	23	9	20	16	32	25	2	2	32	2	14	27	3	39	113
Rhabdomyosarcoma	11	12	21	5	20	14	0	0	14	3	8	13	0	29	104
Embryoma	3	10	9	5	15	18	24	1	21	6	16	11	1	33	21
Histiocytosis	3	6	10	10	17	17	5	0	12	2	1	15	1	18	70
Retinal Glioblastoma	1	1	4	16	9	5	9	1	4	4	4	2	1	1	25

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 A. 小児・AYA世代のがん 11.疾患別臨床研究実施状況

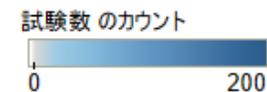
AYA世代がん臨床試験実施数

AYA世代のがんは広く研究されている疾患が多いものの、試験数が多い疾患にはバラつきがあり、一部の国では実施されていない疾患もある

Original Disease Name	Country														
	Japan	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States
Lymphoma	215	221	271	524	471	295	24	1	358	217	138	341	27	312	2,108
Acute Myeloblastic Leukaemia	144	145	151	206	232	263	34	19	196	101	107	205	14	176	964
Acute Lymphoblastic Leukaemia	83	66	76	182	102	107	59	40	109	25	65	91	7	100	516
Chronic Granulocytic Leukaemia	115	47	66	60	103	98	58	2	89	48	58	79	12	74	294
Brain Cancer	184	58	16	111	26	65	124	27	29	28	54	28	9	59	25
Synovial Sarcoma	72	25	34	14	52	51	11	4	64	21	31	65	2	62	97
Dysmyelopoietic Syndrome	60	35	32	38	57	69	8	0	51	25	33	49	12	51	53
Bone Sarcoma	13	23	30	52	48	29	11	0	47	9	16	31	3	28	205
Gastrointestinal Stromal Neoplasm	29	11	18	33	45	34	19	0	31	25	29	36	0	26	66
Neuroblastoma	5	18	45	6	24	15	1	0	17	13	10	15	0	19	177
Ewing'S Sarcoma	20	10	19	15	32	24	2	2	30	1	15	23	3	32	116
Atypical Lipomatous Tumor	2	13	26	4	29	25	0	0	26	6	20	26	0	19	73
Embryoma	20	23	9	10	14	24	24	8	21	14	16	11	4	33	22
Leiomyosarcoma	3	13	17	3	26	17	0	0	25	7	11	22	1	18	62
Rhabdomyosarcoma	11	9	18	6	16	11	0	0	9	2	6	9	0	12	100
Chondrosarcoma	3	10	10	5	20	10	0	0	11	5	9	15	0	14	48
Acute Promyelocytic Leukaemia	7	4	2	14	5	9	3	1	8	1	4	2	1	2	22
fibrosarcoma	2	4	9	2	4	4	1	0	4	3	2	4	0	4	38
Malignant Neurilemmoma	1	4	8	1	3	3	1	0	5	1	2	2	0	5	44
Epithelioid Sarcoma	1	5	10	1	7	5	0	0	8	2	5	6	0	6	22
Angiosarooma	11	1	4	2	4	3	0	0	4	2	5	5	0	6	30
Malignant fibrohistiocytic Tumors	2	2	6	2	4	1	0	0	7	1	3	8	0	3	33
Alveolar Soft Part Sarcoma	3	1	3	2	4	3	0	0	7	0	2	7	0	6	14
Clear Cell Sarcoma	3	1	2	0	4	2	0	0	4	0	5	4	0	3	17
Myxofibrosarooma	0	0	1	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	12
Extraskeletal Ewing Sarcoma	0	2	2	0	2	1	0	0	2	0	0	0	0	1	5

### 上位薬剤別の小児がん試験で扱っている疾患

疾患毎に臨床研究されている治療法は大きく異なり、小児世代で研究されていない組み合わせが多数存在する



Original Disease Name	Intervention																							
	Methotrexate	Doxorubicin	Busulfan	Rituximab	Melphalan	Dexamethasone	Temozolomide	Fludarabine Phosphate	Azacitidine	Nivolumab	Gemcitabine	Sirinlimus	Daurorubicin	Sorafenib	Decitabine	Asparaginase	Bevacizumab	Imatinib	Topotecan	Fludarabine	Dasatinib	Pegaspargase	Pembrolizumab	Gene Expression Analysis
Lymphoma	78	73	36	140	28	67	4	25	6	23	35	20	25	2	12	27		2	4	26	6	30	13	9
Acute Lymphoblastic Leukaemia	85	43	26	19	19	68		21	5	1		10	35	1	3	43		10	1	17	24	36		6
Acute Myeloblastic Leukaemia	31	8	46	8	23	8		32	67	4		8	39	8	44	13		3	1	5	7	4		9
Sfot Tissue Sarcoma	6	51	4	2	9		19	4	1	16	22	18	1	5	1	1	9		6	5	1		12	8
Dysmyelopoietic Syndrome	17		38	5	18			24	46			8	5	2	26	2					9			
Chronic Granulocytic Leukaemia	13	1	22	5	15	1		19	12			5	2	1	9						62		4	28
Cancer Of Liver	1	16	1		7	4		3		19	11	5		60			19				1		17	2
Brain Cancer	9	1	4	1	6	3	67	1	1	12	7	4		2			25		2	3	3		2	2
Neuroblastoma	1	19	12	2	20	2	24	2		6	3	4		3			6		26	4	3		1	4
Bone Sarcoma	12	17	2		4		15	2	1	10	15	10		3			4		8	2			3	2
Ewing'S Sarcoma	1	11	6	1	11	1	22	1		4	7	7		2			6		13		1		1	1
Cancer Of Kidney	2	4	1	1	2	5		2		23	9	7		10		1	8		2				13	6
Rhabdomyosarcoma		6	3		5		9	1		2	3	6		3			2		2		1			4
Retinal Glioblastoma	2	2	1		14							1							11			1		
Histiocytosis	5		4	2	5	6		1			1	2					1					1		
Embryoma	2					3		1		2	4						4						1	1

### 上位薬剤別AYA世代がん試験で扱っている疾患

疾患毎に臨床研究されている治療法は大きく異なり、AYA世代で研究されていない組み合わせが多数存在する

Original Disease Name	Intervention																			
	Rituximab	Azacitidine	Doxorubicin	Venetoclax	Methotrexate	Nivolumab	Decitabine	Lenalidomide	Imatinib	Dexamethasone	Gemcitabine	Pembrolizumab	Busulfan	Ibrutinib	Melphalan	Daunorubicin	Fludarabine Phosphate	Temozolomide	Sirinlimus	Dasatinib
Lymphoma	430	24	167	96	124	107	16	152	12	132	85	103	56	151	68	24	45	6	41	22
Acute Myeloblastic Leukaemia	16	211	10	125	47	17	126	26	6	20		15	64	4	37	96	49	2	19	20
Chronic Granulocytic Leukaemia	12	37	3	23	25	4	19	1	112	6		3	30	2	22	4	27		10	71
Dysmyelopoietic Syndrome		47	1	3	3		33	6					8		3	4	2			2
Bone Sarcoma		2	20		12	11	1				18	4	2	1	4		2	17	10	1
Brain Cancer	2	1			6	11				4	3	3	2		2			66	1	
Synovial Sarcoma	27		8	1	4	6	1	4	1	5	8	7	4	10	5		1	1	2	
Ewing'S Sarcoma	1	1	11	1	1	5				1	7	1	5	1	10		1	23	7	1
Gastrointestinal Stromal Neoplasm						4			55		2	1						1		1
Leiomyosarcoma			19		1	10					19	6						3	1	
Atypical Lipomatous Tumor		1	15			6					7	6								3
Rhabdomyosarcoma			6			2					5		3		5		1	8	6	1
Malignant fibrohistiocytic Tumors			7		1	6					4	7			1					
Chondrosarcoma		4	2	1	1	7					5	3						1	2	
Acute Promyelocytic Leukaemia		1	1	2	4		1	4		2						6		1		
Angiosarcoma			5		2	5					1	5								1
Malignant Neurilemmoma			4			2					2	3			1		1	1	4	
Embryoma					2	2				6	4	2					1			
Fibrosarcoma			3			3					1	1			1		1		4	
Epithelioid Sarcoma			7			3					1	1							1	
Alveolar Soft Part Sarcoma			2		1	3					1	2			1				1	
Clear Cell Sarcoma			2		1	4					1									2
Myxofibrosarcoma			5			1					1	1			1					
Extraskelatal Ewing Sarcoma			1																	

## 5. 分析結果・海外臨床研究の傾向

A. 小児・AYA世代のがん

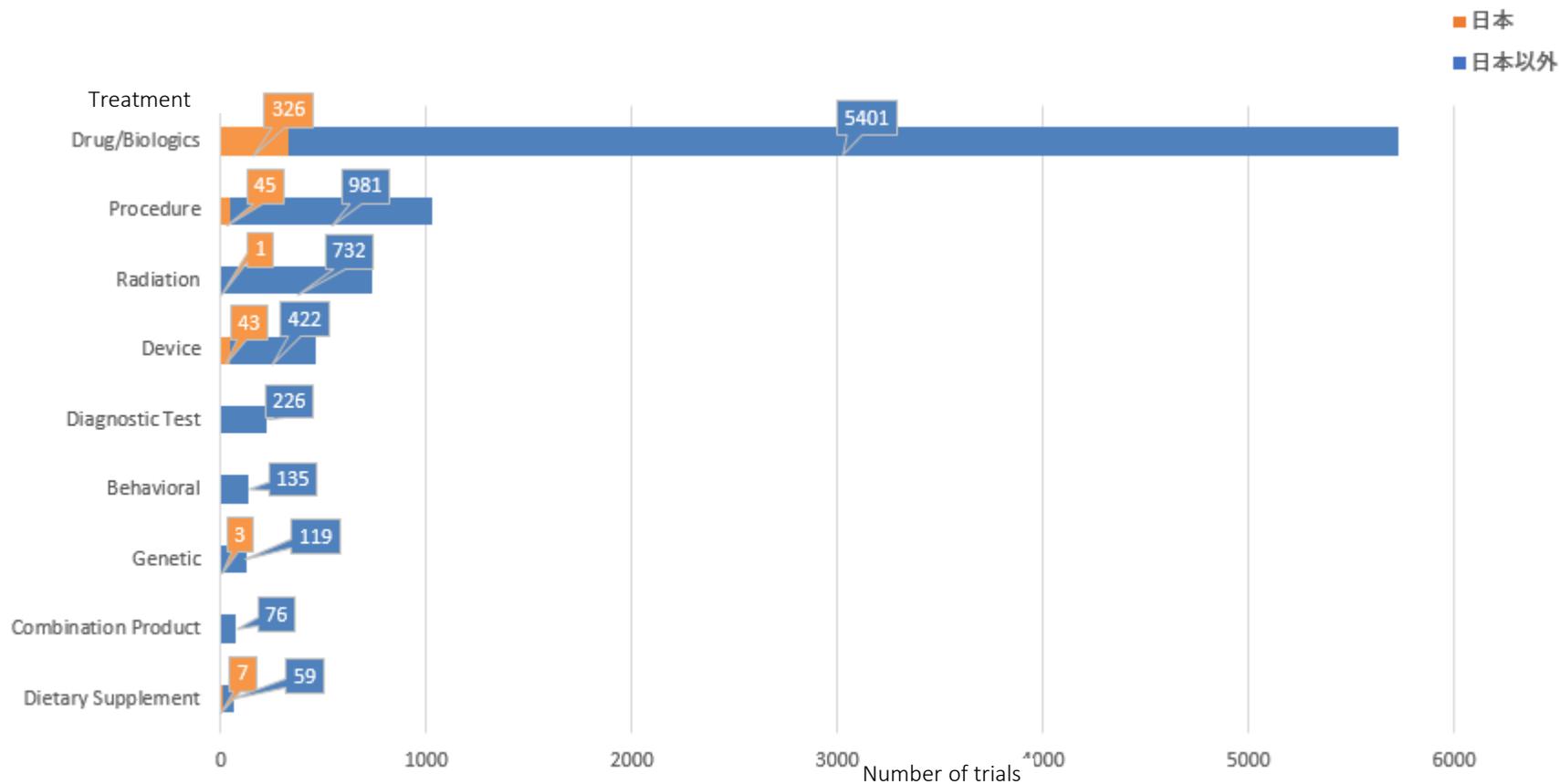
B. 希少がん

## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

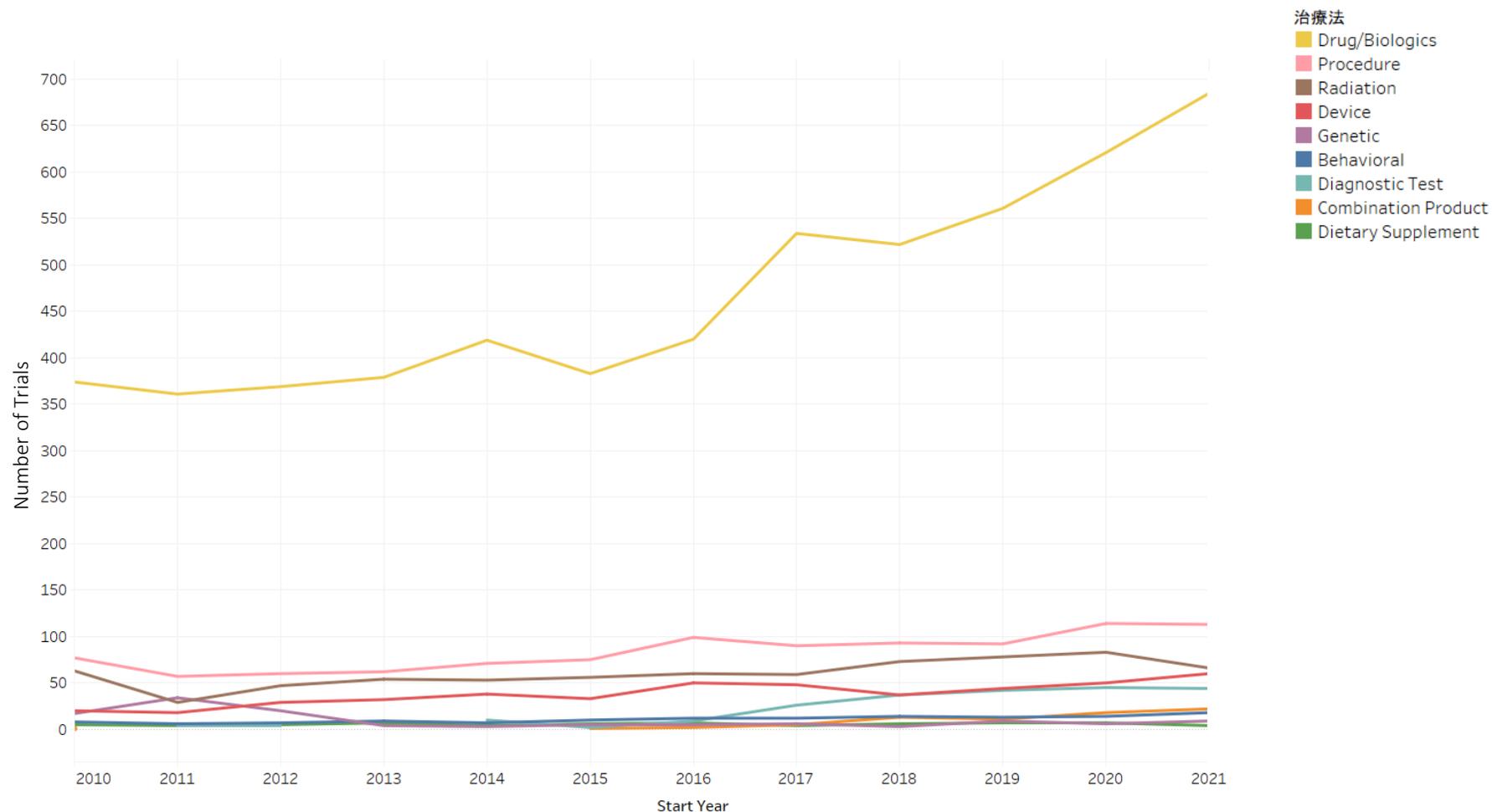
## 治療法種別試験数

希少がんでは医薬品を扱う試験が半数以上を占めており、手術、放射線、医療機器を使用した試験が多く実施されている



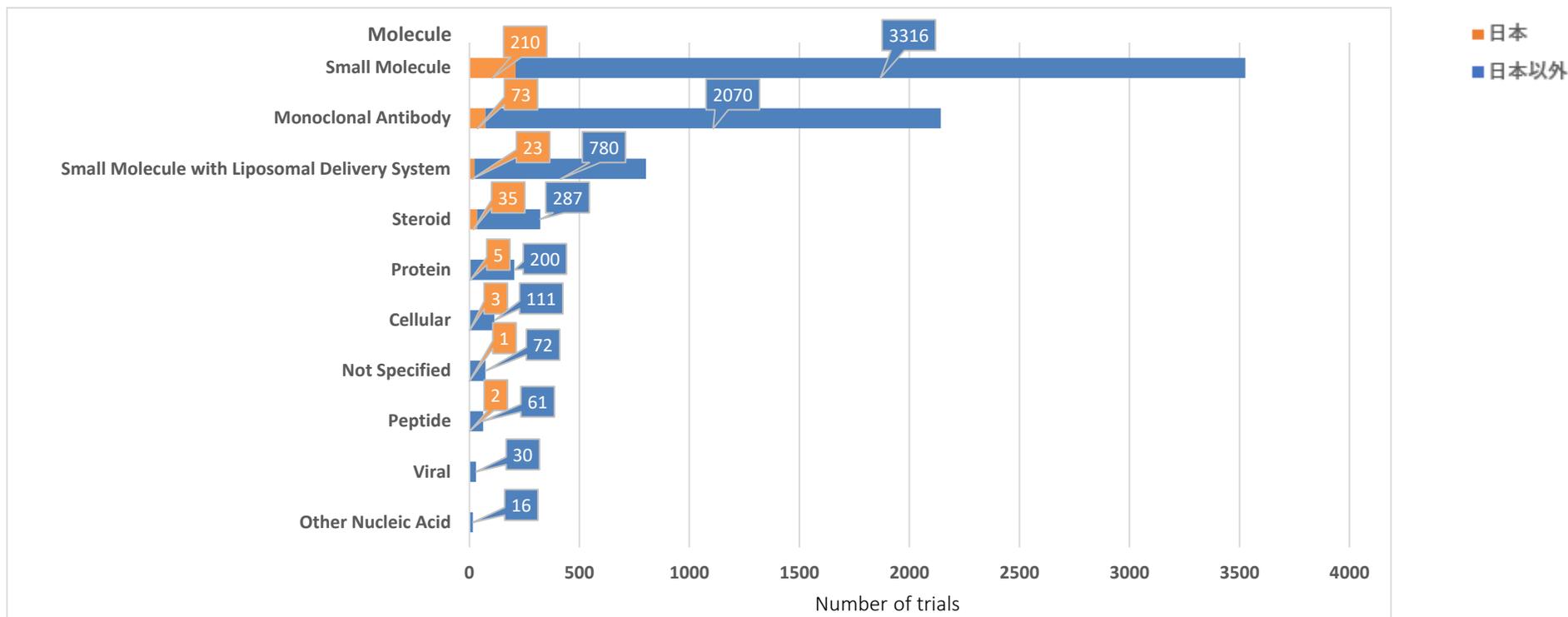
## 治療法種別試験数の経時変化

希少がんでは医薬品を用いた試験数が増加傾向にあり、その他手技、医療機器、放射線などの治療法についても緩やかな増加傾向にある



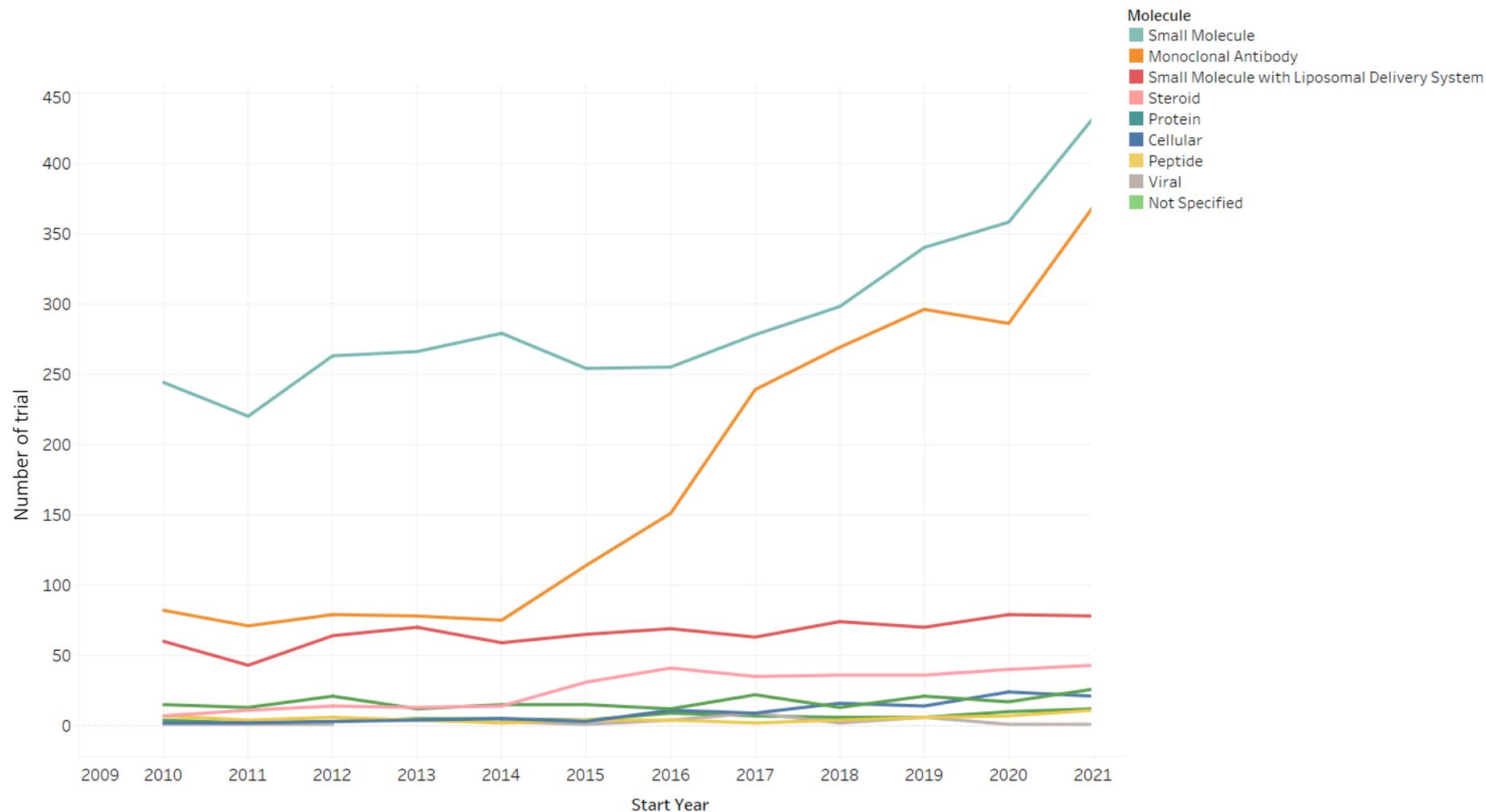
## 医薬品：分子カテゴリー別の試験数

希少がんの医薬品は低分子と抗体が多く研究されている一方、タンパク質・細胞医療等の治療法も研究されている



## 医薬品：分子カテゴリー毎の試験数経年変化

希少がんの試験数は2012年以降に全体的に上昇しており、特に抗体医薬が2010年頃と比較し大幅に伸びている



5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 B. 希少がん 1.治療法別実施件数

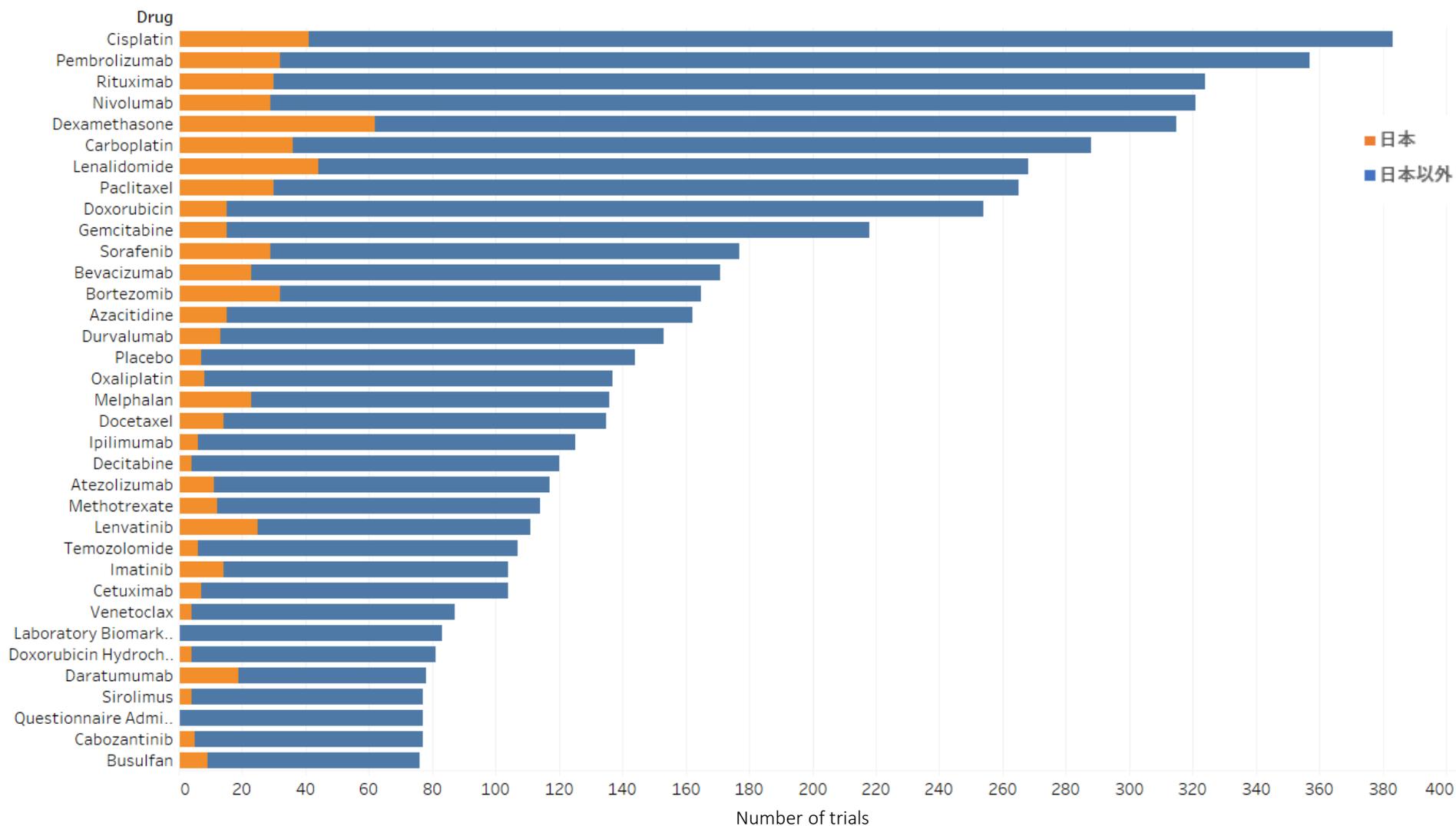
医薬品：各国における低分子医薬・抗体医薬の試験数経年変化（希少がん）

希少がんにおける低分子医薬・抗体医薬の試験数は米国で最も多く、各国で増加傾向にあります。2019年頃から中国の試験数が顕著に増加している

	Country	Start Year												
		2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
Small Molecule	United States	143	124	133	140	152	135	129	162	143	131	151	188	24
	France	23	29	47	51	64	42	45	51	49	47	51	55	1
	China	12	15	20	30	21	23	30	39	43	68	107	115	8
	Germany	19	25	59	39	57	48	46	45	47	49	48	45	
	Italy	21	30	49	42	60	38	42	41	41	41	40	67	1
	Spain	14	27	37	34	50	33	43	49	46	42	46	55	1
	United Kingdom	28	35	44	42	47	37	38	45	41	36	40	42	
	Japan	21	26	40	35	29	32	33	36	32	39	34	48	2
	Canada	28	25	36	39	36	32	34	38	38	27	39	33	1
	Korea	14	12	22	29	27	24	23	28	32	47	34	48	2
	Australia	20	14	26	30	22	29	29	27	35	32	37	34	1
	Netherlands	16	14	36	19	37	34	30	19	20	19	20	17	
	India	6	11	11	14	17	9	4	11	15	22	23	16	1
	Thai	2	2	6	10	7	3	3	6	8	3	4	3	
Iran			1	1	2	2	3	1	2	3		1		
Monoclonal Antibody	United States	44	42	45	42	43	83	105	161	163	156	149	169	25
	France	13	10	21	15	15	23	32	45	47	50	49	54	1
	Spain	9	8	15	15	17	17	32	47	47	42	45	56	1
	Italy	8	8	21	16	17	18	30	30	34	31	38	67	1
	Germany	9	7	23	10	16	21	25	36	41	36	41	44	1
	China	3	3	4	3	2	7	9	16	20	52	82	103	4
	Canada	14	9	18	9	9	20	22	30	40	26	35	36	
	United Kingdom	8	6	11	17	16	24	16	23	39	32	31	29	
	Japan	7	7	9	6	8	17	16	32	28	24	29	40	2
	Australia	9	5	9	6	7	17	20	22	29	27	36	34	
	Korea	5	3	6	4	6	12	12	17	28	39	38	41	2
	Netherlands	5	4	13	8	10	14	17	13	23	19	18	20	
	India	2	1	4	1	2	1	3	6	9	7	5	5	
	Iran		1				1		1	10	8	1	2	
Small Molecule With Liposomal Delivery System	United States	33	18	26	34	32	36	35	34	38	23	46	38	4
	Germany	7	5	16	4	9	6	5	8	10	14	16	8	
	France	5	7	11	7	9	4	4	5	15	12	15	12	1
	China	1	1	7	7	7	4	4	11	9	16	19	18	3
	United Kingdom	8	8	12	9	12	3	10	8	10	9	13	4	
	Canada	10	5	6	8	8	10	4	8	10	7	14	9	
	Italy	7	3	12	6	7	4	2	3	13	10	13	10	
	Spain	4	5	6	5	7	2	5	4	12	10	15	11	
	Australia	8	2	4	7	6	6	4	4	9	9	12	6	
	Korea	2		2	3	5	2	4	3	11	17	12	7	
	Japan	2	2	4	4	5	5	2	7	10	6	9	5	
	Netherlands	4	2	12	2	7	4	4		2	5	8	3	
	India	2	2	2	3	2	4	1	1	4	3	10	6	1
	Iran			1	1		1	1		2	1	1	1	

医薬品：使用回数が多い医薬品

世界では低分子医薬品だけでなくPembrolizumab/Nivolumabの免疫チェックポイント阻害剤が多く扱われている



5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 B. 希少がん 1.治療法別実施件数

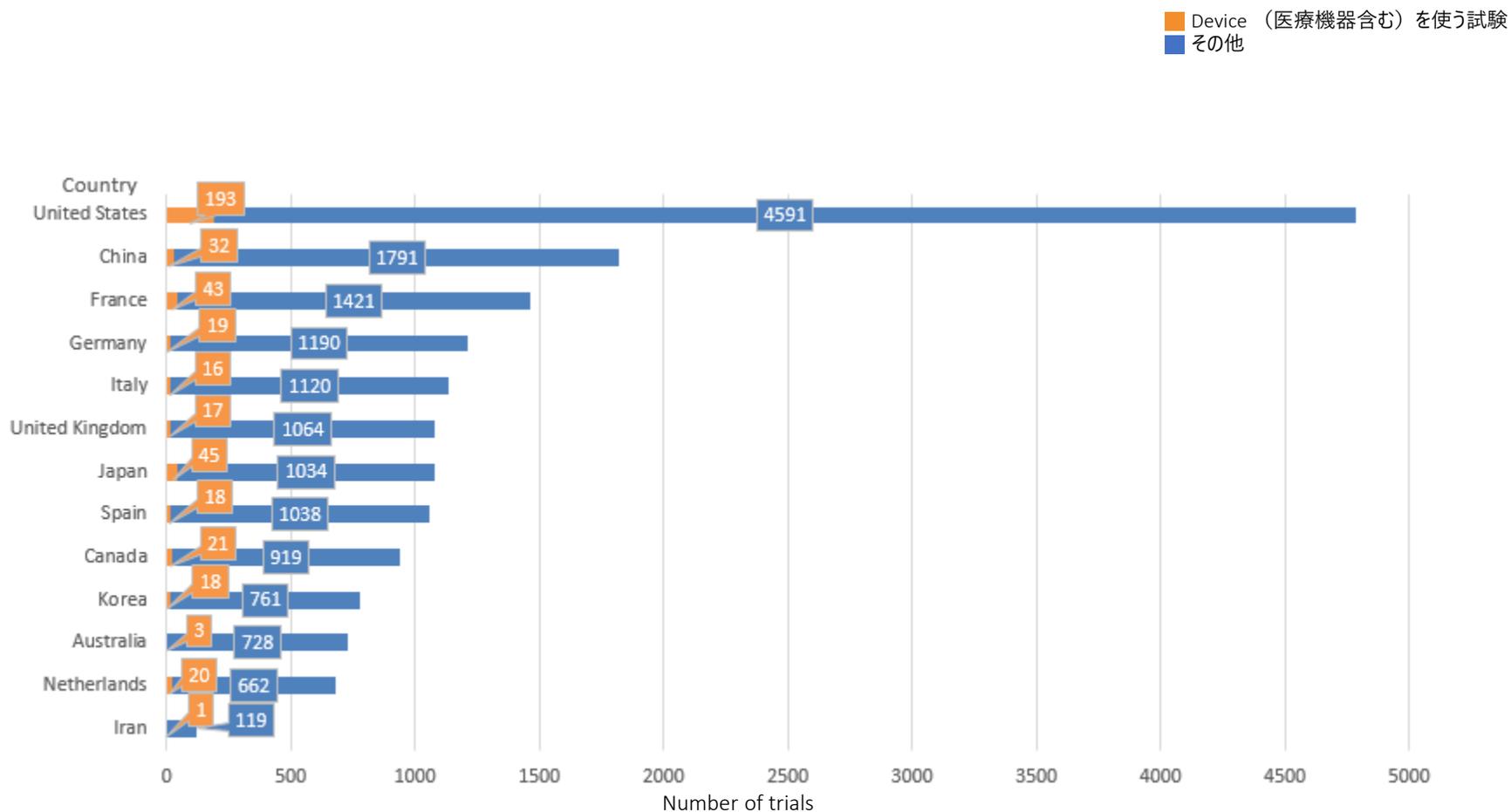
医薬品：使用回数が多い医薬品

低分子医薬品の臨床試験数が増加傾向にありますが、2017年頃から免疫チェックポイント阻害剤のPembrolizumab、Nivolumabが多く扱われる傾向にある

Drug	Start Year												
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
Cisplatin	24	20	27	37	26	35	27	34	42	38	33	38	2
Pembrolizumab	2	1		3	6	24	38	44	56	54	53	65	11
Rituximab	24	21	33	21	22	20	27	23	27	27	40	33	6
Nivolumab		1	3	3	7	18	24	54	55	63	43	48	2
Dexamethasone	7	11	13	12	14	30	39	35	36	36	39	42	1
Carboplatin	25	19	27	19	18	17	19	18	24	30	31	39	2
Lenalidomide	19	11	17	13	16	25	21	16	23	29	40	35	3
Paclitaxel	19	17	17	16	21	22	22	17	23	21	24	42	4
Doxorubicin	19	10	21	21	14	23	24	21	19	27	21	29	5
Gemcitabine	14	11	15	22	16	16	16	13	28	19	26	19	3
Sorafenib	18	20	16	23	17	15	15	17	10	9	7	9	1
Bevacizumab	22	13	9	18	6	7	4	9	14	15	17	36	1
Bortezomib	13	10	9	3	3	13	7	17	16	31	22	21	
Azacitidine	12	5	9	9	8	11	10	13	14	18	27	24	2
Durvalumab	1				4	4	8	29	28	27	21	27	4
Placebo	4	13	10	11	15	7	8	21	14	11	13	15	2
Oxaliplatin	12	11	11	12	10	6	10	9	13	7	23	11	2
Melphalan	7	3	14	10	7	13	12	11	12	17	14	16	
Docetaxel	15	11	7	16	13	11	9	6	17	7	8	13	2
Ipilimumab	1	2	6	6	4	11	7	25	10	18	20	14	1
Decitabine	6	6	7	8	12	6	8	14	9	17	7	17	3
Atezolizumab				1	2	3	6	16	22	11	20	33	3
Methotrexate	5	8	11	8	14	10	6	9	6	15	7	14	1
Lenvatinib			1	1	2	3	6	9	15	20	17	34	3
Temozolomide	14	5	5	15	8	3	9	9	11	4	10	11	3
Imatinib	11	9	11	12	14	4	7	4	10	10	6	6	
Cetuximab	13	14	5	10	7	6	6	9	9	5	9	10	1
Venetoclax			1		2	1	2	13	9	13	20	22	4
Doxorubicin Hydro..	9	3	9	7	7	7	7	8	3	3	7	9	2
Daratumumab					1	2	5	11	17	13	7	22	
Sirolimus	12	4	12	6	6	6	4	8	3	3	8	5	
Questionnaire Ad..	1	2	2	2	1	3	7	6	8	14	21	8	2
Cabozantinib			6	6	4	5	1	4	10	11	21	8	1
Busulfan	9	9	8	11	5	4	3	4	5	10	3	5	

## 国別医療機器試験数

日本は他国に比べて希少がんの医療機器に関する臨床研究の割合が高く、件数も米国に次いで2番目に多く実施されている



- 5. 分析結果・海外臨床研究の傾向
- B. 希少がん 1.治療法別実施件数

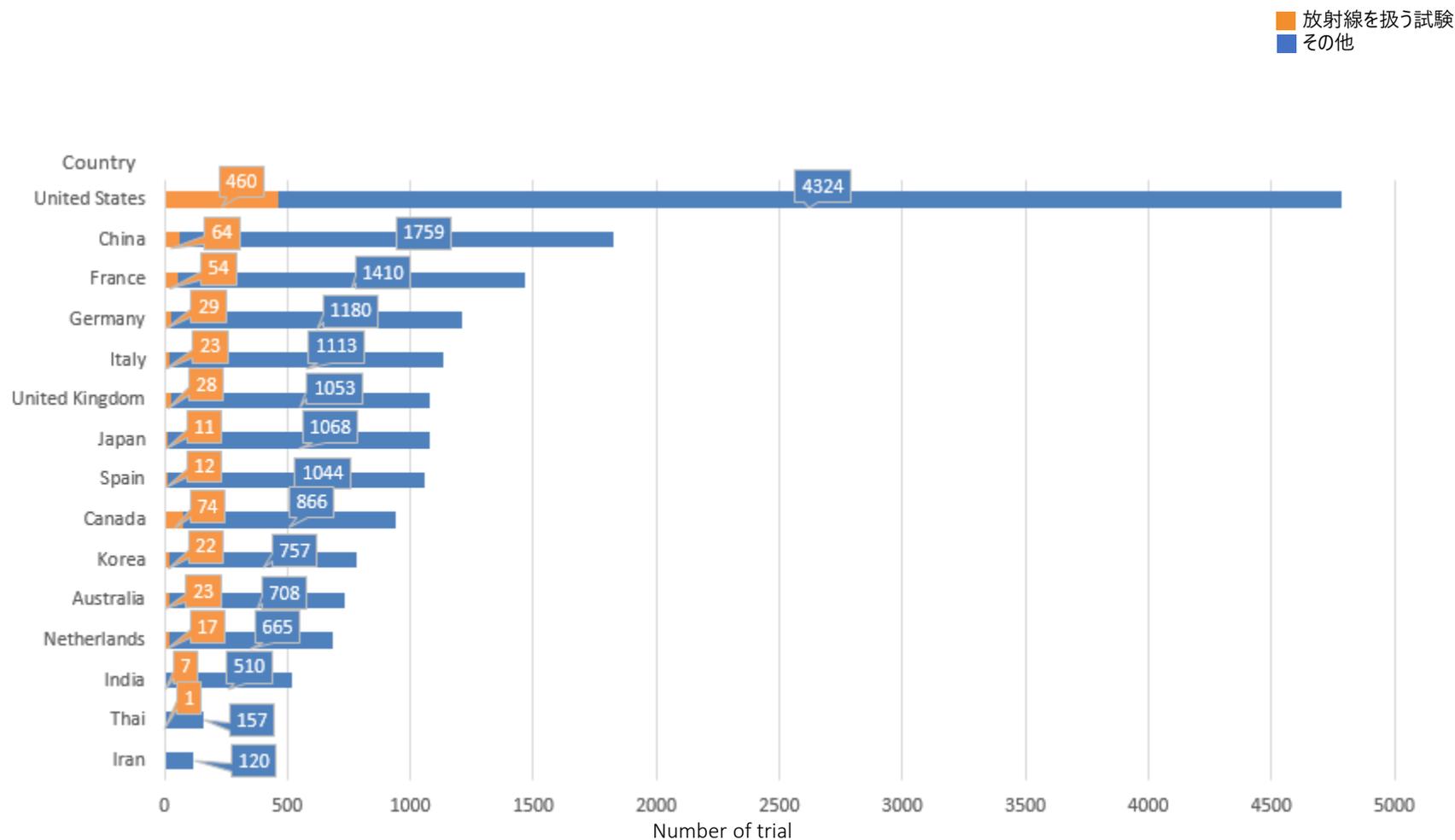
## 国別医療機器試験数の経年変化

希少がんの医療機器に関する試験は米国が最も多く、日本は2014年から2018年までは米国に次ぐ実施数があったが近年は減少傾向にある

Country	Start Year											
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
United States	9	6	10	21	14	13	21	13	15	15	20	32
Japan	3	3	3	3	7	4	6	6	4	3	1	2
France	3	3	4	3	3	3	5	4	3	5	4	2
China			2	1	1	4	3	5		5	7	4
Canada		1	3		3	1	3	3	2	3	1	1
Netherlands		1	1		2		2	4	2	3	3	2
Germany		1	4	1		1	2	1		2	2	3
Spain	2		2	1	2	1	1	2	2	1	1	2
Korea		2	2	2	2	2	3	2	2			1
United Kingdom	1		3		2	1	4	2	2	1		1
Italy	1		2	1	1		3		1	4	1	2
Australia				2							1	
Iran												1
Thai												
India												

## 国別放射線試験数

放射線を使用した希少がんの試験は北米で多く実施されている反面、フランスを除く欧州では比率が低くなっている



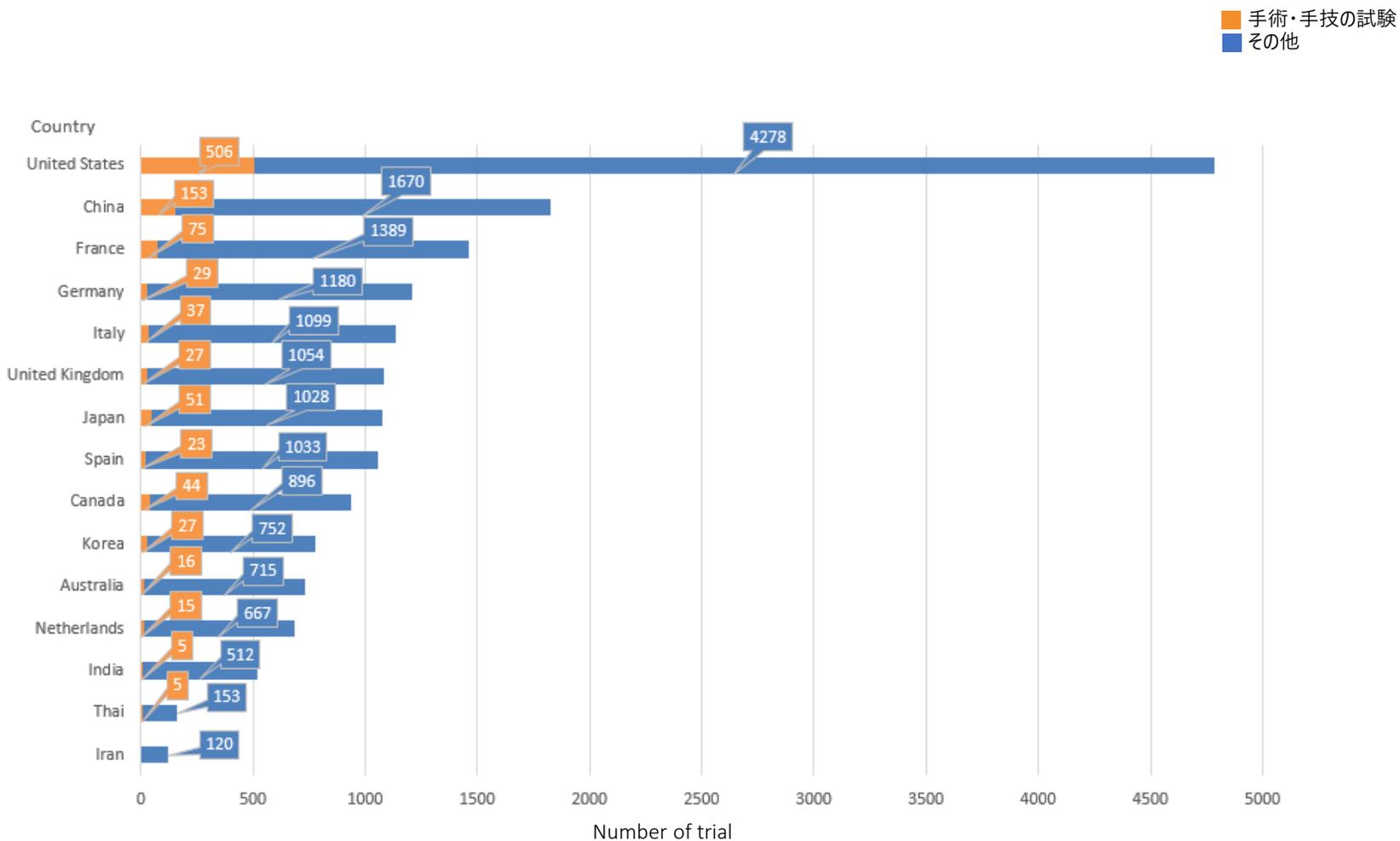
## 国別放射線試験数の経年変化

放射線を使用した希少がんの試験は北米で多く実施されている一方で、2019年頃から中国の実施数が増加傾向にある

Country	Start Year											
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
United States	45	23	34	34	31	27	38	39	49	44	48	38
Canada	2	4	6	6	10	9	5	7	6	5	6	8
China	1	1	3	3	3	6	3	4	4	9	17	9
France	4	1	2	5	3	7	5	7	5	7	7	1
Germany	6	1	3	1	2	2	3	2	1	3	4	1
United Kingdom	2		3	1	3	3	6	4	2	3	1	
Italy	1	1	1	2	2	1	2	3	3	3	3	1
Australia	2		3	4	1		3	1	2	2	2	3
Korea	2		3	4	2	3	1	1		1	3	2
Netherlands	1				4	2	2	2	1	1	2	2
Spain	2				2	1	2	3	1		1	
Japan	1	1					3	2		1	3	
India					1		1	1	1		2	1
Thai								1				
Iran												

## 国別手術・手技試験数

手術・手技を使用した希少がんの試験は米国に次ぎ、中国、フランス、日本で多く実施されている



## 国別手術・手技試験数の経年変化

手術・手技を使用した希少がんの試験は米国の実施数が多い一方で、2017年頃から中国の実施数が増加傾向にある

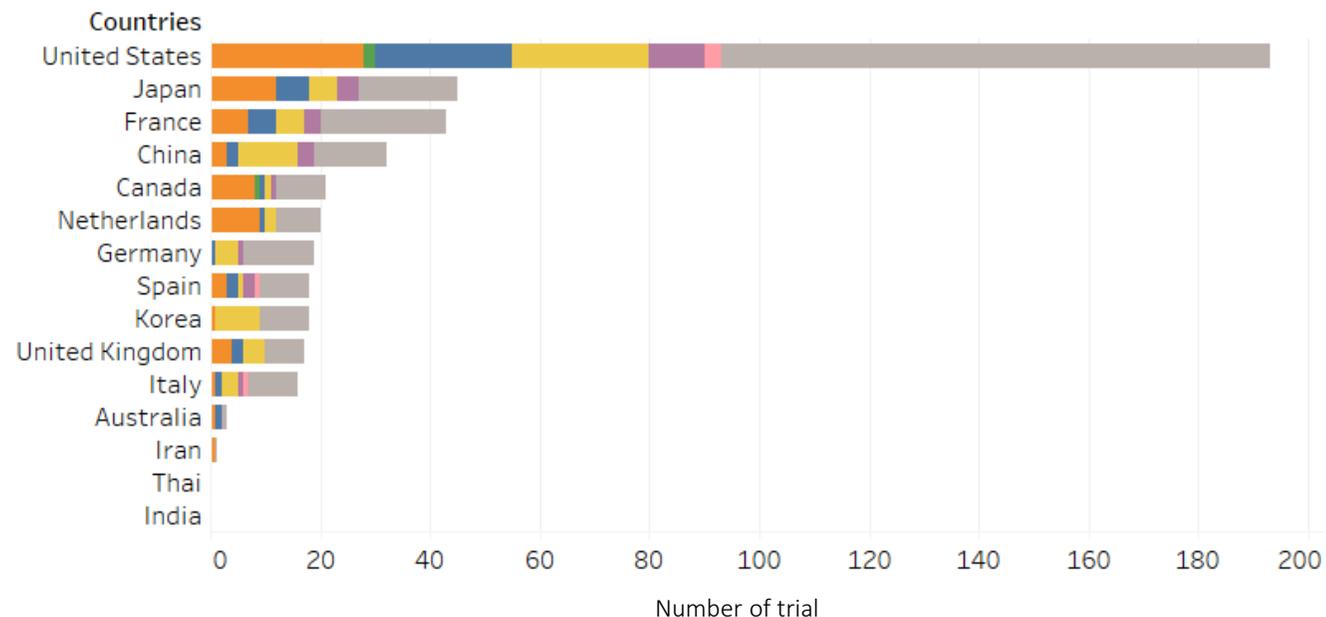
Country	Start Year											
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
United States	40	34	32	33	40	29	45	55	46	38	49	54
China	5	3	5	5	6	9	11	13	17	21	26	26
France	9	5	3	3	2	6	6	10	10	5	7	8
Japan	1	3	4	8	8	5	5	1	6	2	5	3
Canada	2	5	5	5	3	2	3	2	6	2	7	2
Italy	1	1	1	2	2		2	5	8	4	8	2
Germany	4		2	1		2	3	4	3	3	5	2
United Kingdom	4	1	1	2	1	2	4	4	2	2	4	
Korea	5	5	2	3		1	2	1	4		3	
Spain	3		3	3	2		1	2	2	2	3	2
Australia		1	1	3	1			1	4	2	3	
Netherlands			2	2	1		2	2	1	2	3	
Thai				1			1		2		1	
India	1		1	1	1				1			
Iran												

## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. **Device試験分析**
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

## 希少がんのDevice分類

希少がんのDevice関連では診断や外科手術を扱う試験が多く実施されている

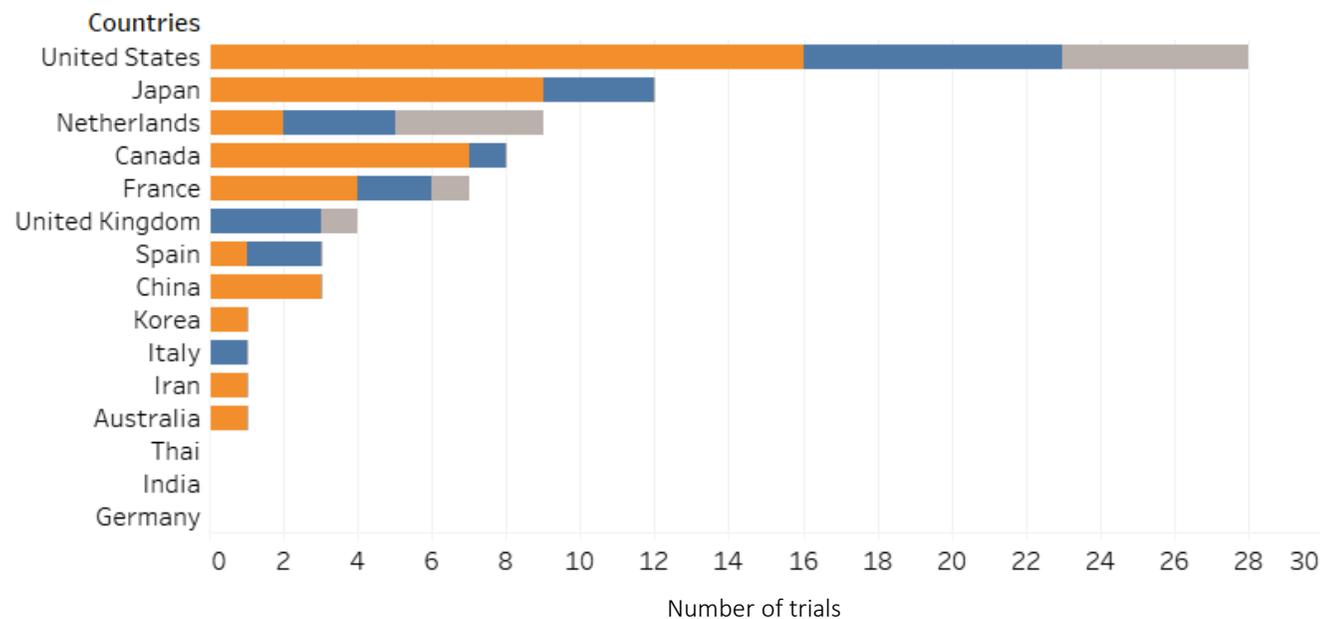


※レジストリー上で「Device」に分類されている試験をキーワードで分類した（詳細はP. 70-72参照）

- 診断
- 放射線治療+外科的手術
- 放射線治療
- 外科的手術
- その他の治療法
- デジタル技術
- 未分類

## 希少がんの診断機器に関する試験

診断に関する試験の大部分は放射線科で用いられる画像診断装置と内視鏡等のカメラデバイスを扱っている



※「診断」分類の医療機器試験を細分化した（詳細はP. 70-72参照）

- 画像診断装置
- カメラデバイス
- 未分類

### 希少がんの画像診断に関する試験

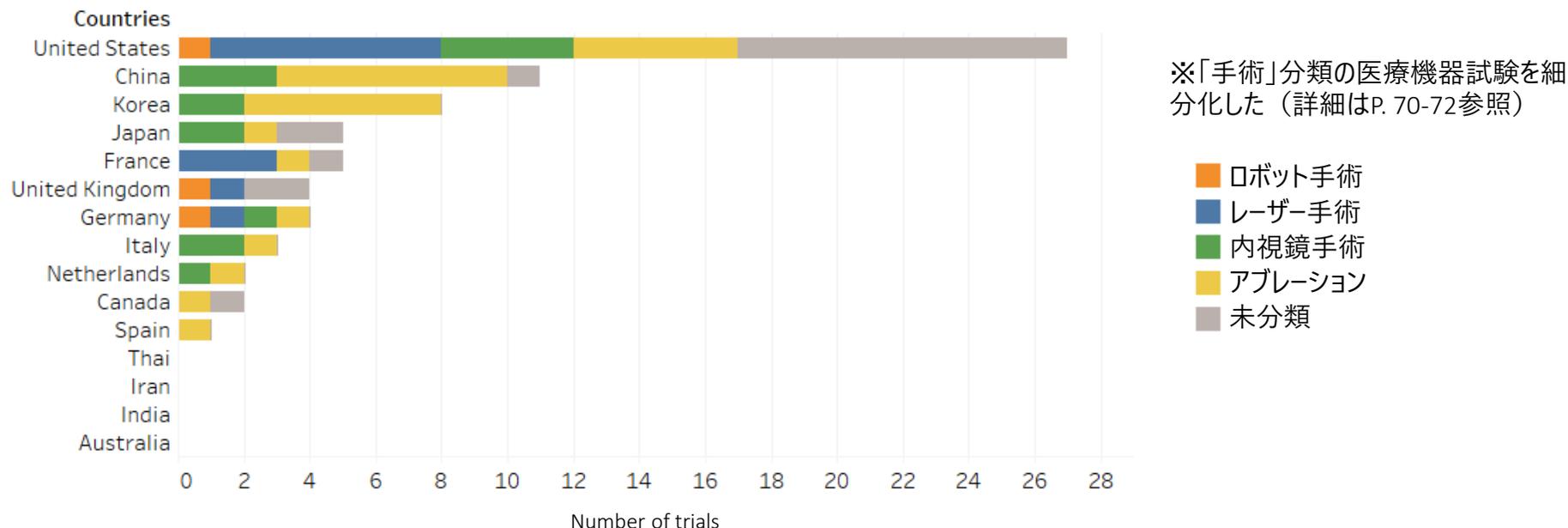
希少がんを対象とした画像診断装置を扱う試験ではMRIとPETが多く用いられており、米国ではCTが、カナダでは超音波診断装置も用いられている

※「画像診断」分類の試験を細分化した（詳細はP. 70-72参照）

	CT	Mammography	MRI	PET	SPECT/ Scintigraphy	Ultrasound	X-ray
Japan	2	0	4	5	2	0	0
US	4	0	9	6	0	2	0
Canada	0	0	2	2	0	4	0
China	0	0	2	1	0	0	0
Korea	0	1	0	0	0	0	0
Australia	0	0	1	0	0	0	0
UK	0	0	0	0	0	0	0
Germany	0	0	0	2	0	0	0
France	0	0	4	3	0	0	0
Netherland	0	0	2	0	0	0	0
Italy	0	0	0	0	0	0	0
Spain	0	0	0	0	0	1	0
Thai	0	0	0	0	0	0	0
India	0	0	0	0	0	0	0
Iran	0	0	0	0	0	1	0

## 希少がんの診断手術医療機器に関する試験

希少がんに関する外科的手術ではロボットやレーザーを活用した臨床研究が実施されている

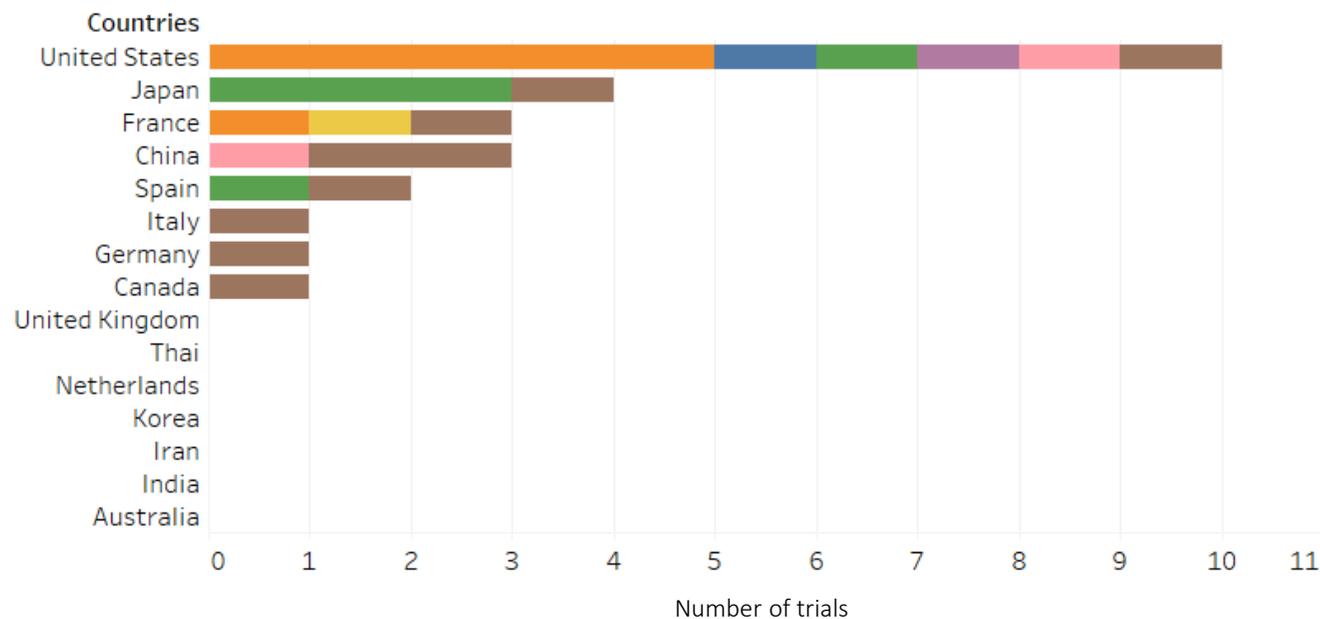


※「手術」分類の医療機器試験を細分化した（詳細はP. 70-72参照）

\*今回はClinicalTrials.govとUMINにおいて、介入の種類として「Device」もしくは「医療器具・機器」が選択されている臨床研究に限り調査を実施したが、ロボット手術については介入の種類を限定しなければ34件の臨床研究が確認されている。なお、日本においては介入の有無を問わず、ロボット手術は確認されなかった。

## 希少がんその他医療機器に関する試験

その他のDevice関連治療法としてナノナイフを利用した治療や、日本では光療法を扱う試験が実施されている

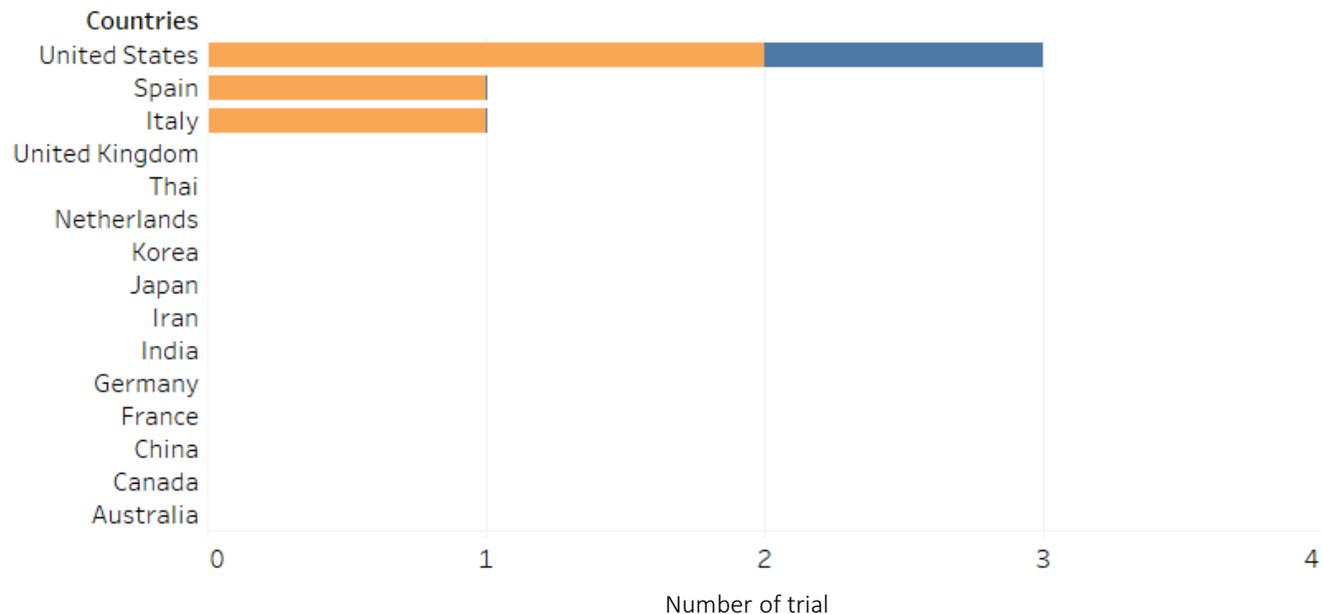


※「その他」分類の医療機器試験を細分化した（詳細はP. 70-72参照）

- MR-HIFU
- Historipsy
- 光療法
- tDCS/TMS
- tDCS/TMS以外の神経刺激装置
- 電気化学療法
- ナノナイフ治療

### 希少がんデジタル医療機器に関する試験

希少がんではアプリケーション、モバイルヘルス、VRを活用したケアが主目的の臨床研究が複数国で実施されている



※「デジタル」分類の医療機器試験を細分化した（詳細はP. 70-72参照）

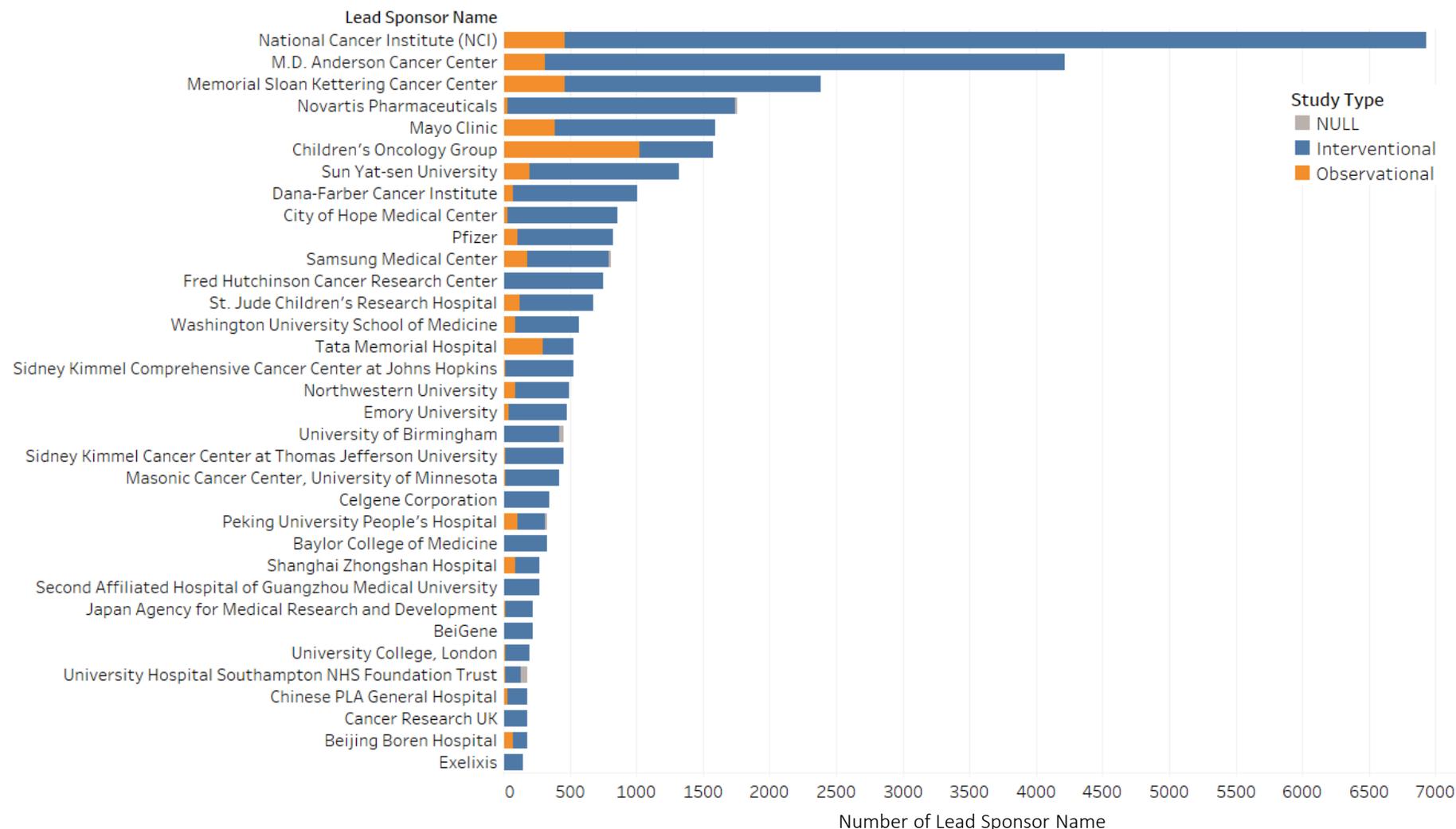
Mobile/Telehealth  
VR

## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

### スポンサー毎の試験数

希少がんはNCIが非常に多くの試験をスポンサーしており、スポンサーしている団体の上位はがんセンターや製薬企業が多くなっている



### 国別スポンサー種別

希少がん試験全体ではスポンサーの半数弱を民間企業が、次いで大学・病院が大きな割合を占めていますが、日米では他国と比べて政府機関が大きな割合を占めている

Sponsor Type	Country															総計
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States	
Private Sector	57.2%	54.3%	18.8%	44.9%	50.5%	30.4%	0.8%	54.1%	42.8%	54.0%	45.2%	65.7%	63.9%	52.7%	28.2%	41.1%
University/Hospital	11.8%	15.5%	69.7%	14.6%	23.4%	18.4%	87.5%	12.0%	14.4%	20.7%	21.8%	5.8%	17.1%	21.7%	23.5%	24.2%
Other/Unknown	18.7%	15.2%	8.8%	37.0%	23.2%	43.5%	10.8%	30.5%	29.7%	10.8%	27.9%	26.5%	17.1%	21.6%	15.6%	21.2%
Study/Research Group	7.9%	6.3%	1.4%	2.7%	1.9%	1.4%		2.4%	3.4%	1.2%	1.0%	1.4%		2.1%	3.3%	2.8%
Cancer Center	2.5%	0.9%	0.2%	0.1%	0.7%	2.5%		0.4%	0.2%		2.6%	0.1%		1.6%	17.2%	5.2%
Government Agency	1.9%	7.8%	0.4%	0.6%	0.3%	3.1%	0.8%	0.6%	8.9%	2.4%		0.5%	1.9%	0.3%	10.5%	4.3%
Medical Center		0.1%	0.3%			0.8%			0.6%	10.9%	1.5%				1.7%	1.1%
Private			0.5%												0.0%	0.1%
総計	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%	100.0%

2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

※レジストリーによってスポンサー種別が登録されていないケースやカテゴリーが異なる

## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

## 晩期合併症試験の抽出方法

晩期合併症を扱う試験を抽出するために複数の条件を設定し試験を特定した（再掲）

### 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"

### 晩期合併症を扱う臨床試験（一部上位を抜粋）

希少がんでは、晩期合併症に関する試験の数は少ないが、神経系に関連するがん種においては比較的实施されている

Original Disease Name	Country															総計
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States	
Neuroblastoma And Ganglioneuroblastoma	1	2	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	3	9
Astrocytic Tumours Of CNS	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	3	7
Oligodendroglial Tumours Of CNS	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	1	5
Histiocytic Malignancies	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	1	5
Soft Tissue Sarcoma Of Head And Neck	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	3	4
AML	0	0	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	2	4
Carcinoma Of Pituitary Gland	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	3
Vascular Sarcomas	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Non Seminomatous Germ Cell Tumours	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Germ Cell Tumors Of Central Nervous System	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	2
Endocrine Carcinoma Of Thyroid Gland	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	2
Adenocarcinoma With Variants Of Vulva And Vagina	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1	2
Well Differentiated Functioning Endocrine Carcinoma Of Pancreas And Digestive Tract	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Testicular Sex Cord Cancer	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Rectum	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Colon	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Sex Cord Tumours Of Ovary	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Retinoblastoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1
Neuronal And Mixed Neuronal-Glial Tumors	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Malignant Thymoma	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	1

## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

## 支持療法試験の抽出方法

支持療法を扱う試験を抽出するために複数の条件を設定し試験を特定した

### 条件1

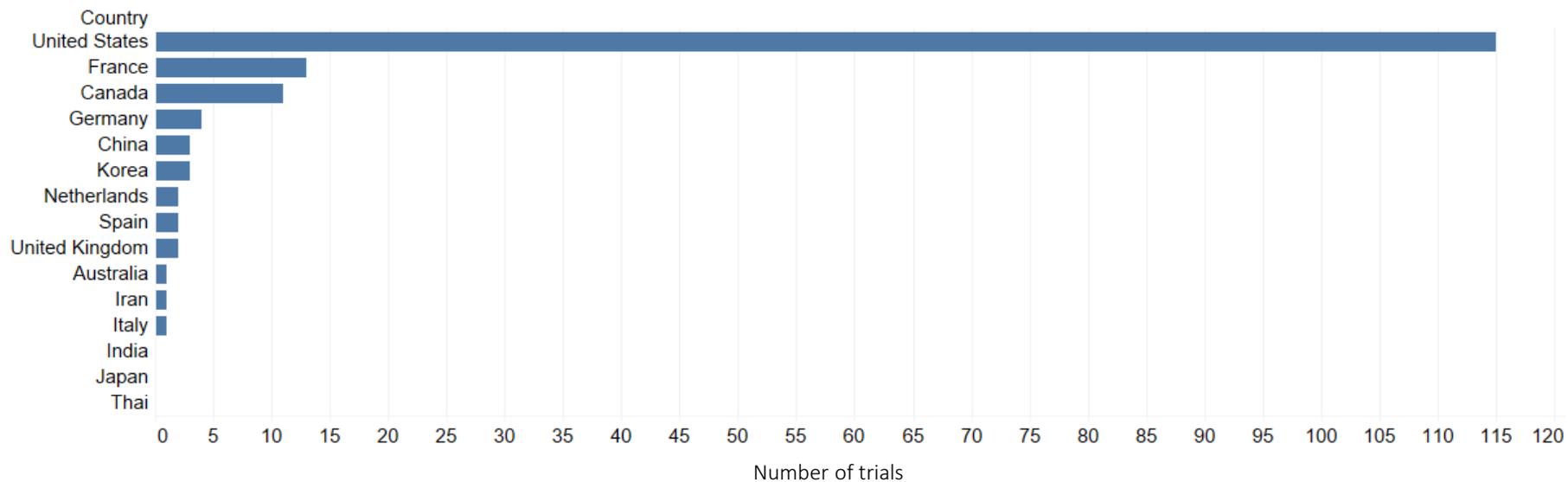
- 調査対象範囲の試験である
- 対象疾患
  - 2010年以降がStart Date
  - 2022年3月にデータ抽出を実施した
  - StatusがRecruiting, Active, Completed

### 条件2

- 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

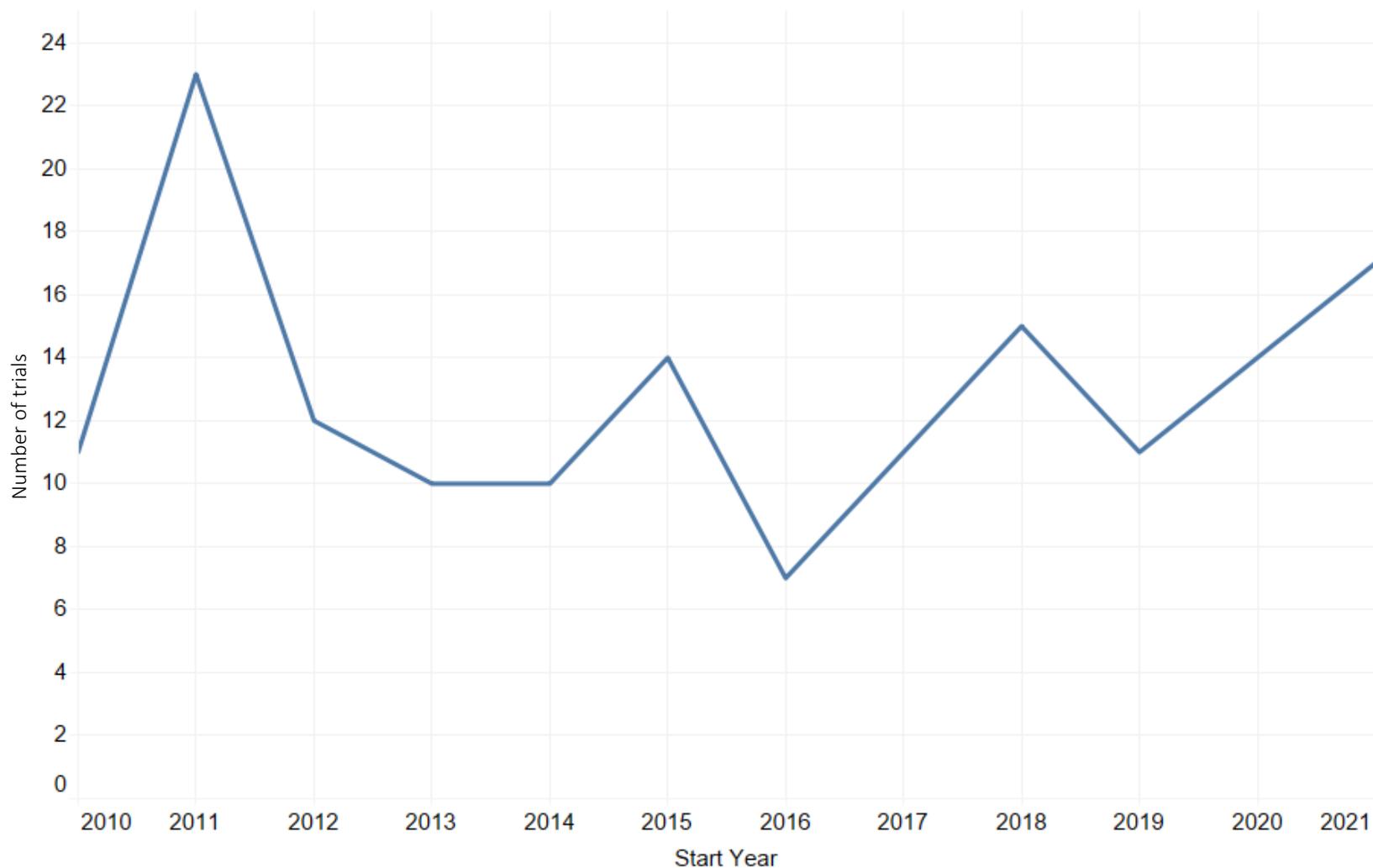
## 支持療法を扱う臨床試験（国別）

希少がんの支持療法を扱う試験数は米国が他国を引き離しており、特にアジアでは少ない傾向にある



## 支持療法を扱う希少がん臨床試験の経年推移

希少がんを対象に支持療法を扱う試験は2011年より減少傾向にありましたが、2016年から2021年にかけて増加している



## 国別希少がん支持療法試験数

希少がんの支持療法を扱う試験数は米国が他国を引き離しており、アジアの試験数は近年特に少ない傾向にある

Country	Start Year													総計
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
United States	10	9	8	9	8	10	7	10	12	7	12	11	2	115
France	0	2	1	0	0	1	0	0	2	2	1	4	0	13
Canada	1	6	0	1	0	2	0	1	0	0	0	0	0	11
Germany	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	1	1	0	4
China	0	0	0	0	0	1	0	0	1	1	0	0	0	3
Korea	0	1	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	3
Netherlands	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Spain	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	2
United Kingdom	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1	0	0	0	2
Australia	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Iran	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Italy	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
India	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Japan	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Thai	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

データ対象国：世界全体

2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

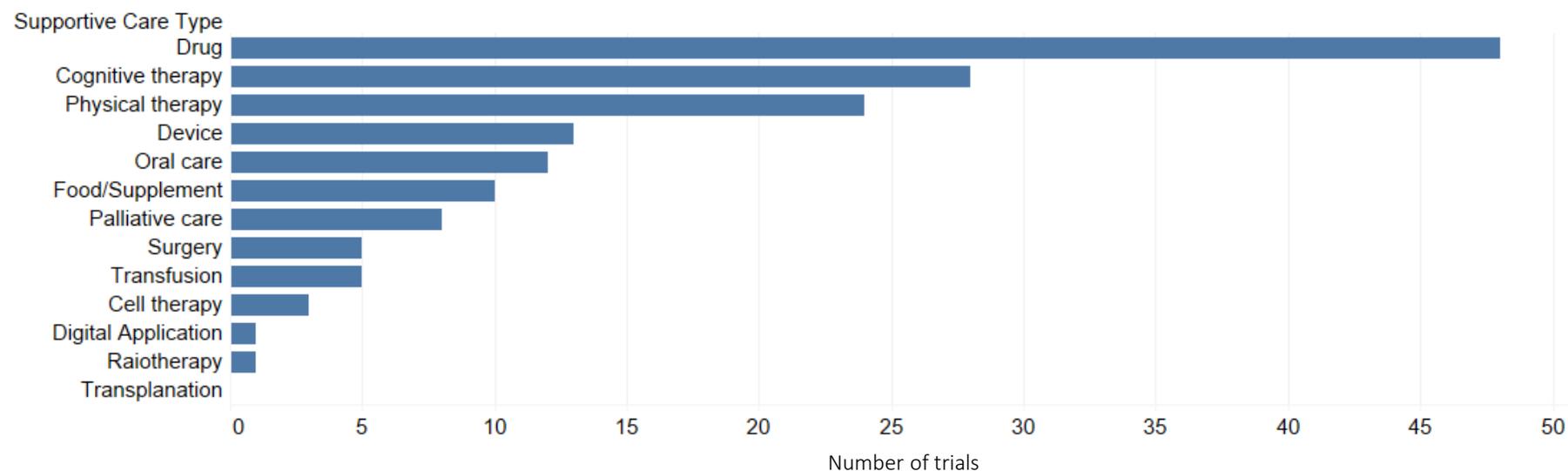
## 疾患別希少がん支持療法試験数（一部抜粋）

支持療法については急性骨髄性白血病に関連した試験が多く実施されている

Original Disease Name	Country														United States	総計
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom		
AML	1	4	0	1	1	0	0	1	0	0	0	1	0	0	17	26
hepatocellular carcinoma of liver and ibt	0	2	2	1	0	0	0	0	0	2	1	0	0	1	10	19
squamous cell carcinoma with variants of oropharynx	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	13	15
soft tissue sarcoma of head and neck	0	0	0	0	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	11	13
astrocytic tumours of cns	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	8	10
lymph node accessory cell tumors	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	8	10
chronic myelomonocytic leukemia	1	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	6	9
salivary gland type tumours of head and neck	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	8	9
non seminomatous germ cell tumours	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	6	8
vascular sarcomas	0	0	0	1	1	0	0	1	0	0	1	0	0	0	4	8
adenocarcinoma with variants of eye and adnexa	0	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5	7
other myeloproliferative neoplasms	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5	7
well differentiated functioning endocrine carcinoma of pancreas and digestive tract	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	6	7
adnexal carcinoma of skin	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	6	6
other high grade sarcomas (fibrosarcoma, malignant fibrous histiocytoma)	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4	6
squamous cell carcinoma with variants of larynx	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	6	6
t cutaneous lymphoma (sezary syn, mycosis fung)	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	6	6
myelodysplastic syndrome with 5q syndrome	0	0	0	1	1	0	0	0	0	0	1	0	0	0	2	5
squamous cell carcinoma with variants of hypopharynx	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5	5
squamous cell carcinoma with variants of lip	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5	5

## 目的別希少がん支持療法試験数

希少がんの支持療法は薬剤に関連する試験が多く、運動療法や認知療法に関する試験も多く実施されている



データ対象国：世界全体

2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

### 目的別希少がん支持療法試験数

希少がんの支持療法は薬剤に関連する試験が多く、2018年以降は認知療法を中心に薬剤以外を用いた試験が増加傾向にある

Supportive Care Type	Start Year													総計
	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	
Drug	1	8	1	3	2			8	1	2	2	1	1	30
Cognitive therapy	3	2		2	3	4	2	4	1	1	1			23
Physical therapy	1	1	1		4		1	1	1	3		3	1	17
Device						1	1		1	2				5
Food/Supplement		2							1	1				4
Oral care		3												3
Palliative care				1									1	2
Transfusion					1									1
Surgery													1	1
Digital Application											1			1

データ対象国：世界全体

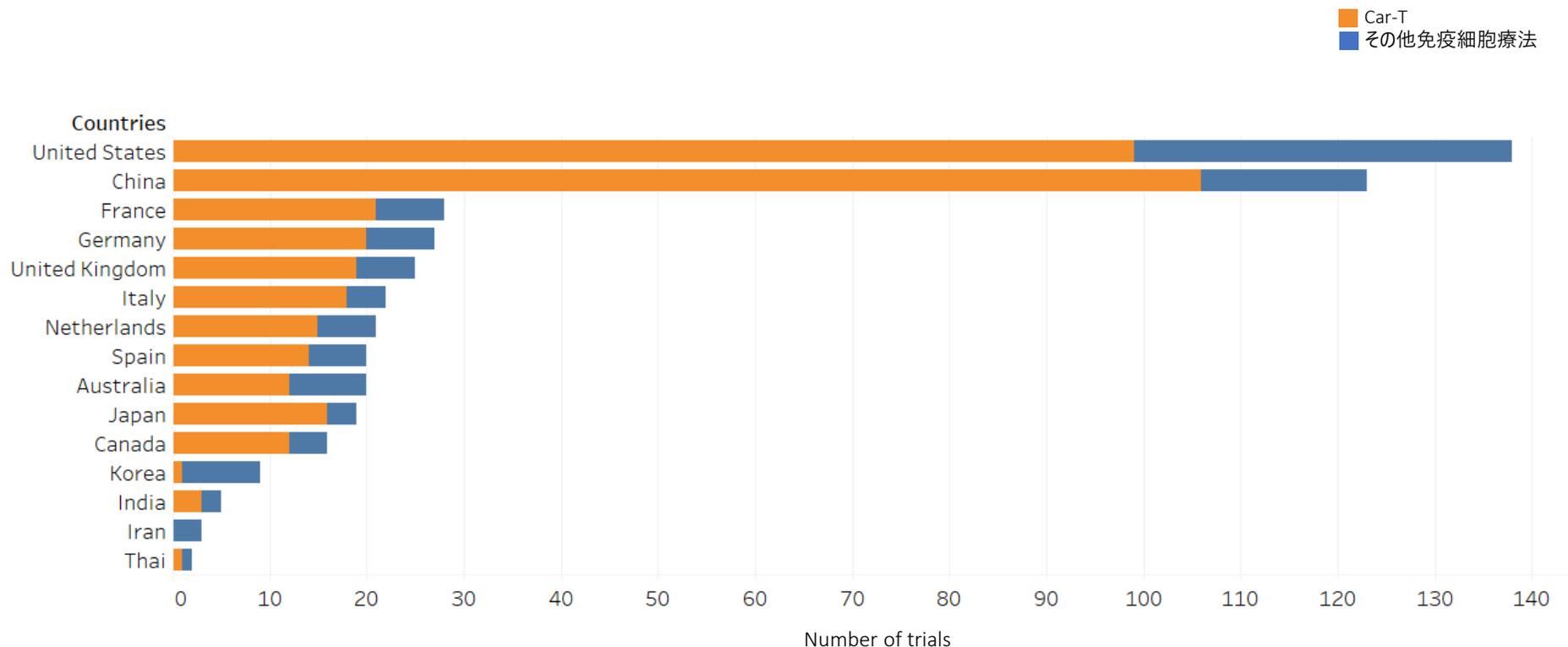
2022年3月に抽出したStart Date2010年以降の試験

## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

### 国別免疫細胞療法を扱う試験実施数

希少がんの免疫細胞療法は中国と米国で多く行われており、CAR-T療法に関しては中国の試験数が米国の試験数よりも多く実施されている



### 免疫細胞療法を扱う試験実施数（試験数上位疾患のみ）

免疫細胞療法は米国が広い疾患で試験を実施している一方、中国は多発性骨髄腫などの限られた疾患に注力して試験を実施している

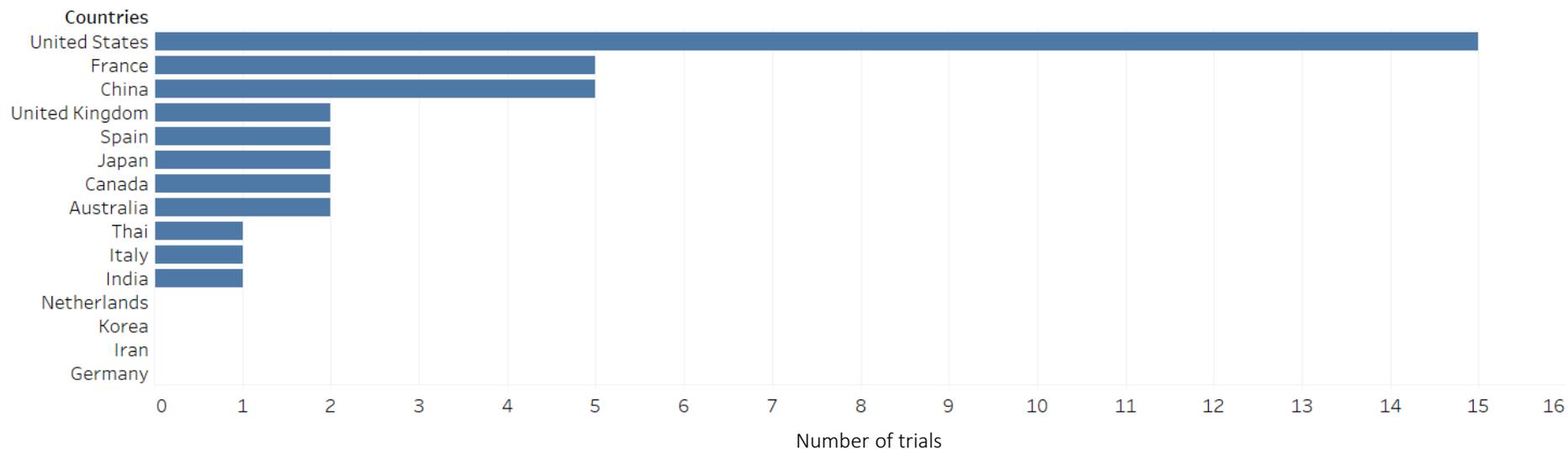
Original Disease Name	Country														総計
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	
Lymph Node Accessory Cell Tumors	12	20	13	14	1	0	10	4	1	9	8	0	9	50	162
Other T Cell Lymphomas And Nk Cell Neoplasms	8	5	10	10	0	0	8	10	0	11	8	1	9	9	95
Plasmacytoma/Multiple Myeloma	3	33	4	6	0	0	5	5	0	4	5	0	5	6	80
Precursor B/T Lymphoblastic Leukaemia/Lymphoblastic Lymphoma	2	26	6	6	2	0	6	2	1	2	4	1	6	5	71
Diffuse B Lymphoma	6	4	7	11	1	0	6	1	1	5	5	0	6	7	64
Hepatocellular Carcinoma Of Liver And IBT	0	22	0	0	0	0	0	0	5	0	0	1	0	13	41
AML	0	7	2	2	0	0	0	1	0	2	0	0	0	15	29
Osteogenic Sarcoma	0	3	1	0	1	0	1	1	0	1	2	0	1	7	20
Neuroblastoma And Ganglioneuroblastoma	0	2	1	0	0	1	2	0	1	0	0	0	1	8	16
Large Cell Carcinoma Of Lung	0	0	2	2	0	0	0	0	0	0	2	0	2	4	13
Adenosquamous Carcinoma Of Lung	0	0	2	2	0	0	0	0	0	0	2	0	2	4	12
Embryonal Tumors Of CNS	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	9	10
Adenocarcinoma With Variants Of Eye And Adnexa	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	9	10
Non Seminomatous Germ Cell Tumours	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	9	9
Carcinoma Of Thyroid Gland	0	5	0	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	2	9
Well Differentiated Functioning Endocrine Carcinoma Of Pancreas And Digestive Tract	0	2	0	0	0	0	0	0	4	0	0	0	0	1	7
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Stomach	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	7	7

## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

### Precision Medicineに関連した希少がん臨床研究

希少がんの分野にてPrecision Medicineであることが臨床試験レジストリ等に明記されている試験は限られているが、米国、フランス、中国にて実施している試験で比較的多く報告されている

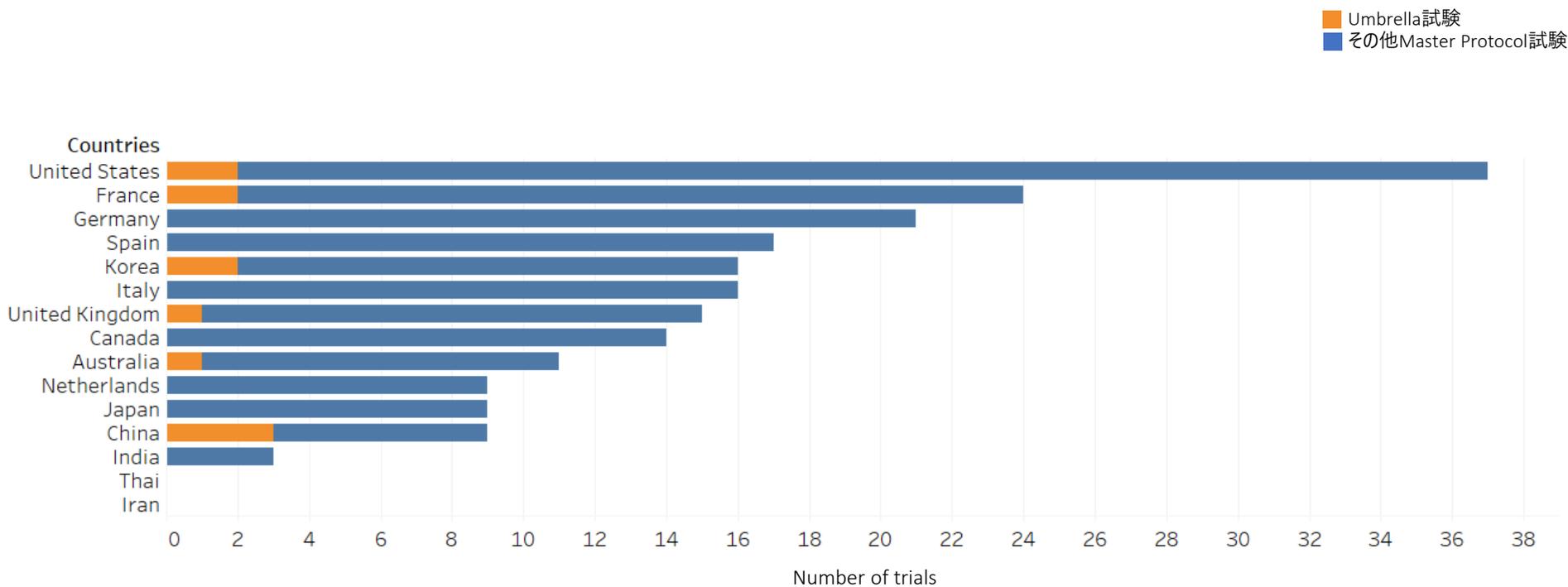


## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. **Master Protocol分析**
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

### 国別希少がんMaster Protocol試験数

希少がんの領域にてMaster Protocol試験は主要国の多くで実施されているが、その中でUmbrella研究であることが臨床試験レジストリに明記されている試験は少数である



## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

## RWEを活用した試験を実施している疾患

RWEを活用した試験は希少がんでは数が少ないものの、米国・オーストラリアで複数の疾患で実施されている

Original Disease Name	Country														総計	
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom		United States
Hepatocellular Carcinoma Of Liver And Ibt	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3	3
Salivary Gland Type Tumours Of Head And Neck	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Plasmacytoma/Multiple Myeloma	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Epithelial Tumours, Adamantinoma	0	0	1	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	2
Endocrine Carcinoma Of Thyroid Gland	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2	2
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Anal Canal	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Spermatocytic Seminoma	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Seminomatous Testicular Cancer	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Seminomatous Germ Cell Tumors	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Osteogenic Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Notochordal Sarcomas, Chordoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Non Seminomatous Testicular Cancer	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Non Seminomatous Germ Cell Tumours	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Lymph Node Accessory Cell Tumors	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Infiltrating Duct Carcinoma Of Prostate	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Ewing'S Sarcoma Of Soft Tissue	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Ewing'S Sarcoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Chondrogenic Sarcomas	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Cholangiocarcinoma Of Ibt	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	1
Carcinoma Of Thyroid Gland	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	1

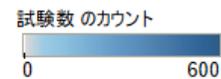
## 希少がんの臨床研究実施状況分析

1. 治療法別実施件数
2. Device試験分析
3. スポンサー分析
4. 晩期合併症分析
5. 支持療法分析
6. 免疫細胞療法分析
7. Precision Medicine分析
8. Master Protocol分析
9. RWEを活用した研究分析
10. 疾患別臨床研究実施状況

### 希少がん別臨床試験実施数（1/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

Original Disease Name	Country														
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States
Hepifilar Carcinoma Of Liver And Ibt	61	111	622	209	154	58	1	146	140	196	48	130	43	95	583
Lymph Node Accessory Cell Tumors	95	98	151	174	126	34	5	156	71	96	73	133	15	144	430
Plasmacytoma/Multiple Myeloma	83	66	129	81	112	52	45	89	138	67	72	96	8	78	174
AML	41	68	55	94	90	13	4	75	39	36	46	70	6	61	506
Other Myeloproliferative Neoplasms	69	79	30	122	127	10	0	117	58	49	43	93	15	113	185
Osteogenic Sarcoma	64	32	71	53	55	55	16	57	89	22	34	44	8	65	121
Other Myelodysplastic Syndrome	45	31	56	55	67	12	0	51	65	27	46	46	8	48	106
Non Seminomatous Germ Cell Tumours	31	36	22	57	34	3	1	37	14	17	24	39	1	32	281
Neuroblastoma And Ganglioneuroblastoma	29	58	18	52	43	3	2	43	32	17	21	41	3	49	206
Diffuse B Lymphoma	40	36	52	54	53	26	4	60	35	40	29	48	11	58	59
Carcinoma Of Thyroid Gland	18	21	127	31	42	45	21	33	56	31	27	26	9	33	78
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Oral Cavity	29	25	41	37	49	80	7	29	59	34	32	39	15	29	78
Endocrine Carcinoma Of Thyroid Gland	19	30	40	51	30	14	1	40	17	31	24	37	5	33	136
Chronic Myeloid Leukaemia	22	25	29	33	37	56	2	33	90	18	34	34	8	30	32
Chronic Myelomonocytic Leukaemia	18	25	9	36	35	3	0	30	18	13	11	31	3	32	173
Adenocarcinoma With Variants Of Eye And Adnexa	9	36	13	14	7	1	0	10	9	16	11	8	2	16	235
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Ompharynx	12	23	11	29	13	38	3	15	10	6	14	17	1	20	161
Metaplastic Carcinoma Of Breast	14	30	9	26	13	4	0	18	15	17	7	31	3	22	148
Soft Tissue Sarcoma Of Head And Neck	21	26	19	24	24	5	0	17	15	15	14	21	3	24	128
Salivary Gland Type Tumours Of Head And Neck	15	25	31	33	21	3	0	19	20	19	17	22	1	18	111



## 希少がん別臨床試験実施数（2/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

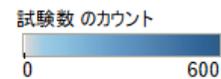
Original Disease Name	Country														試験数のカウント
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	
Well Differentiated Functioning Endocrine Carcinoma Of Pancreas And Digestive Tract	12	29	45	22	13	1	0	12	11	26	6	20	4	21	129
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Kidney	19	14	15	40	16	5	0	17	15	17	7	29	4	19	118
Squamous Cell Carcinoma Spindle Cell Type Of Kidney	19	14	15	40	16	5	0	17	15	17	7	29	4	19	118
Infiltrating Duct Carcinoma Of Prostate	20	18	8	24	17	0	0	15	8	13	6	26	0	27	150
Vascular Sarcomas	14	26	15	26	17	1	0	15	8	7	14	16	2	14	154
T Cutaneous Lymphoma	9	10	5	29	22	3	0	23	17	7	9	29	0	23	136
Ewing'S Sarcoma	13	18	8	35	22	2	0	28	6	2	14	24	1	27	120
Ewing'S Sarcoma Of Soft Tissue	13	18	8	35	22	2	0	28	6	2	14	23	1	27	120
Astrocylic Tumours Of CNS	8	21	6	22	9	2	0	14	5	1	16	12	0	13	184
Mantle Cell Lymphoma	23	21	13	36	34	4	1	32	20	24	14	30	2	26	30
Other High Grade Sarcomas	12	25	19	30	16	1	0	23	6	7	9	22	0	16	118
Adenocarcinoma With Variants Of Gallbladder	16	11	24	24	27	4	0	23	22	22	12	22	1	22	68
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Stomach	10	12	29	22	14	1	0	17	15	13	11	25	1	20	104
Large Cell Carcinoma Of Lung	10	17	22	22	17	4	1	11	9	9	6	17	5	20	91
Well Differentiated Not Functioning Endocr'Ne Carcinoma Of Pancreas And Digeslive Tract	9	13	10	26	15	1	0	23	6	9	12	19	2	17	68
Precursor Blt Lymphoblastic Leukaemia/Lymphoblastic Lymphoma	15	6	41	14	23	19	2	18	15	5	17	14	1	21	15
Gastrointestinal Stromal Sarcoma	5	11	18	26	19	2	0	15	8	20	17	19	0	12	54
Embryonal Tumors Of CNS	11	21	5	14	14	1	0	9	2	1	6	10	0	10	121
Adenocarcinoma With Variants Of Bladder	9	15	8	18	9	0	0	9	4	8	7	13	0	13	101
Adenocarcinoma With Variants Of Oesophagus	7	5	10	22	16	3	1	6	3	8	15	4	1	23	82

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 B. 希少がん 10.疾患別臨床研究実施状況

希少がん別臨床試験実施数（3/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

Original Disease Name	Country														
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States
Melanoma Of Uvea	7	13	1	20	17	0	1	6	1	1	11	15	0	14	77
Other Cell Lymphomas And Nk Cell Neoplasms	10	9	10	17	19	4	2	20	20	6	15	15	2	17	16
Epithelial Tumours, Adamantinoma	13	10	11	11	15	24	7	11	23	8	4	12	0	9	13
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Larynx	2	8	12	15	7	6	1	6	4	4	7	8	0	8	77
Transitional Cell Carcinoma Of Pelvis And Ureter	5	13	9	10	10	4	0	10	6	6	7	13	1	9	59
Adnexal Carcinoma Of Skin	1	9	9	12	5	1	0	6	3	2	4	9	0	10	89
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Pancreas	5	11	4	9	6	0	0	8	8	9	2	13	1	14	67
Chondrogenic Sarcomas	9	9	5	19	11	0	0	12	3	3	11	13	0	12	46
Adenocarcinoma With Variants Of Pelvis And Ureter	3	11	7	17	7	5	0	6	3	8	2	4	0	6	73
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Eye And Adnexa	5	11	7	8	6	1	0	4	4	3	8	2	2	12	77
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Anal Canal	8	8	2	24	9	0	0	8	6	1	4	17	1	17	45
Hodgkin Lymphoma, Classical	1	8	5	16	7	6	1	7	0	2	8	7	1	6	68
Germ Cell Tumors Of Central Nervous System	4	12	5	8	1	0	0	2	1	3	4	1	0	4	91
Neuroendocrine Carcinoma Of Other Sites	7	3	6	11	14	3	0	13	23	4	8	11	1	10	20
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Hypopharynx	2	7	8	12	7	4	3	5	6	5	5	8	0	6	51
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Oesophagus	2	4	25	13	7	2	0	6	6	8	6	6	2	9	28
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Bladder	6	5	2	12	3	0	0	6	4	5	4	8	0	13	56
Carcinoma Of Pituitary Gland	0	9	8	11	7	2	1	8	2	7	5	1	1	3	49
Nephroblastoma	6	8	3	7	7	4	1	3	1	3	1	4	1	7	56
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Cervix Uteri	1	9	5	10	5	4	0	5	10	8	4	6	0	8	35



### 希少がん別臨床試験実施数（4/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

Original Disease Name	Country														試験数のカウント
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	
Carcinomas Of Parathyroid Gland	1	2	17	12	4	2	0	9	5	4	1	4	4	5	40
Malignant Melanoma Of Mucosa And Extracutaneous	7	7	19	3	5	0	0	4	12	5	2	6	0	5	32
Adenocarcinoma With Variants Of Ovary	2	10	5	6	4	0	0	6	12	9	5	7	0	6	35
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Liver And Ibt	6	7	6	9	7	2	0	6	5	8	3	7	0	5	35
Acute Promyelocytic Leukaemia	3	3	18	8	12	3	0	12	6	2	4	4	2	2	24
Special Types Of Adenocarcinoma Of Breast	4	8	7	10	6	1	0	4	4	7	5	7	0	5	34
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Prostate	6	6	2	7	9	1	0	2	0	4	1	7	0	12	44
Cholangiocarcinoma Of Ibt	5	3	10	6	6	1	0	8	9	7	1	5	0	3	36
Adenocarcinoma With Variants Of Ebt	5	4	9	7	7	1	1	9	5	12	0	7	0	4	29
Soft Tissue Sarcomas Of Other Genitourinary Heat	11	9	0	11	12	1	0	10	8	0	10	7	0	10	9
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Nasopharynx	3	4	19	5	2	1	3	2	0	3	2	2	3	3	44
Transitional Cell Carcinoma Of Prostate	3	5	1	7	6	1	0	4	4	4	3	8	0	8	39
Ependymal Tumours Of CNS	3	7	0	6	6	0	0	3	0	0	3	3	0	3	58
Transitional Cell Carcinoma Of Urethra	3	6	1	6	6	1	0	6	4	3	3	8	1	5	37
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Lip	3	2	2	2	2	29	2	2	1	1	1	2	0	4	36
Notochordal Sarcomas, Chordoma	3	5	6	9	9	0	0	8	5	0	7	2	0	8	26
Embryonal Rhabdomyosarcoma Of Soft Tissue	10	15	0	8	3	0	0	4	1	1	3	4	0	6	32
Poorly Differentiated Endocrine Carcinoma Of Pancreas And Digestive Tract	3	5	4	5	2	0	0	3	4	6	2	5	0	3	44
Histiocytic Malignancies	4	5	12	4	3	3	0	1	3	1	1	4	1	4	38
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Colon	1	11	2	6	2	1	0	4	0	0	2	5	0	1	48

## 希少がん別臨床試験実施数（5/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

試験数のカウント  

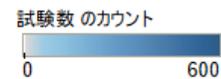

Original Disease Name	Country														United States
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	
Malignant Thymoma	1	2	13	7	2	1	1	7	0	2	3	4	0	3	36
Mast Cell Tumour	1	6	1	11	8	0	0	7	0	0	5	8	0	9	25
Hairy Cell Leukaemia	0	5	0	7	6	2	0	7	2	2	2	2	0	1	42
Carcinoma Of Adrenal Cortex	1	2	4	9	7	0	0	5	1	0	3	2	0	1	43
Adenocarcinoma With Variants Of Cervix Uteri	2	10	5	3	1	0	0	3	7	6	2	4	0	3	32
Epithelial Tumour Of Male Breast	2	5	0	5	2	0	0	4	1	2	2	4	0	3	47
Adenocarcinoma With Variants Of Anal Canal	2	4	1	7	3	0	0	7	1	2	4	11	1	6	28
Soft Tissue Sarcoma Of Retroperitoneum And Peritoneum	8	8	1	7	8	2	0	8	1	0	9	7	0	7	8
Salivary Gland Type Tumours Of Breast	3	6	3	7	4	1	0	5	4	6	4	7	0	4	20
Oligodendroglial Tumours Of CNS	1	7	0	3	2	0	0	2	1	0	5	2	0	3	47
Salivary Gland Type Tumours Of Lung	4	4	4	6	4	1	0	6	4	4	4	5	0	4	19
Adenocarcinoma With Variants Of Small Intestine	0	4	0	10	4	1	0	3	7	3	3	2	0	4	28
Soft Tissue Sarcoma Of Pelvis	8	7	0	7	7	1	0	7	2	0	7	7	0	7	7
Adenocarcinoma With Variants Of Fallopian Tube	4	4	1	8	5	1	0	3	2	3	2	2	0	6	24
Kaposi'S Sarcoma	2	1	1	4	3	1	0	6	1	0	2	2	2	1	38
Soft Tissue Sarcoma Of Limbs	11	2	5	5	4	6	1	5	2	2	5	4	1	6	4
Retinoblastoma	0	4	9	6	2	5	0	1	0	4	2	0	0	1	27
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Nasal Cavity And Sinuses	2	0	1	4	4	0	3	1	2	3	0	2	1	3	31
Typical And Atypical Carcinoid Of The Lung	1	4	2	3	3	0	0	5	3	2	2	6	1	2	20
Polymorphocytic Leukaemia, B Cell	0	1	1	2	2	1	0	1	0	0	0	0	0	1	44

5. 分析結果・海外臨床研究の傾向  
 B. 希少がん 10.疾患別臨床研究実施状況

希少がん別臨床試験実施数（6/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

Original Disease Name	Country														
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States
Paraganglioma	0	3	3	7	2	4	0	3	0	0	2	4	0	2	22
Myelodysplastic Syndrome With 5Q Syndrome	1	1	0	8	5	0	0	3	3	1	1	4	0	2	23
Seminomatous Germ Cell Tumors	6	2	0	4	8	1	0	2	1	0	3	3	0	5	11
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Pelvis And Ureter	0	2	3	4	1	3	0	0	4	2	0	0	0	3	18
Neuroendocrine Carcinoma Of Skin	4	1	0	7	1	1	0	0	0	0	0	2	1	0	23
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Penis	1	1	0	5	0	0	0	3	0	1	1	6	1	5	15
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Vulva And Vagina	1	4	1	5	1	0	0	0	1	1	2	2	0	1	18
Adenocarcinoma With Variants Of Vulva And Vagina	0	3	3	1	0	0	0	0	0	1	1	0	0	3	24
Squamous Cell Carcinoma Of Gallbladder And Ebt	2	2	0	4	3	0	0	4	3	3	3	3	0	2	6
Soft Tissue Sarcoma Of Breast	1	3	2	1	3	0	1	3	5	0	5	4	0	2	5
Adenosquamous Carcinoma Of Lung	1	2	2	3	3	0	0	1	2	1	2	3	1	2	12
Mesothelioma Of Pleura And Pericardium	1	2	0	3	0	0	0	4	1	0	1	1	0	5	10
Mesothelioma Of Peritoneum And Tunica Vaginalis	1	2	0	3	0	0	0	4	1	0	1	1	0	5	10
Soft Tissue Sarcoma Of Brain And Other Parts Of The Nervous System	2	0	0	4	4	0	0	3	0	0	3	3	0	5	2
Salivary Gland-Type Tumours Of Stomach	0	2	1	2	1	0	0	3	2	2	0	2	0	1	10
Clear Cell Adenocarcinoma	0	4	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	21
Adenocarcinoma With Variants Of Urethra	1	1	0	2	2	0	0	1	1	0	1	2	0	2	11
Adenocarcinoma With Variants Of Penis	1	2	1	1	0	0	0	0	1	1	0	0	1	1	15
Undifferentiated Carcinoma Of Stomach	2	2	0	3	2	0	0	1	2	2	2	1	0	1	5
Neuronal And Mixed Neuronal—Glial Tumors	0	3	0	9	0	0	0	0	0	1	1	1	0	0	8



## 希少がん別臨床試験実施数（7/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

Original Disease Name	Country														試験数のカウント
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	
Clear Cell Adenocarcinoma Of Ovary	1	1	1	0	2	0	0	1	5	2	0	0	0	0	10
Sarcomatoid Carcinoma Of Lung	0	1	2	1	0	0	0	0	4	2	0	1	0	1	10
Non Seminomatous Testicular Cancer	2	1	0	1	0	1	0	1	2	0	0	0	0	3	11
Malignant Teratomas Of Ovary	2	1	0	2	2	0	0	2	0	0	1	1	0	3	8
Acinar Cell Carcinoma Of Pancreas	0	0	3	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	18
Malignant Meningiomas	0	0	2	1	2	0	0	1	0	0	1	1	0	1	12
Epithelial Tumours Of Major Salivary Glands	0	3	2	1	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	12
Adenocarcinoma With Variants Of Thymus	1	0	0	2	1	0	0	1	0	0	1	2	0	2	10
Mucinous Adenocarcinoma Of Ovary	1	2	0	0	0	0	0	0	1	3	0	0	0	0	12
Heptatoblastoma	1	1	3	0	0	0	0	0	5	0	0	0	0	1	7
Pheochromocytoma, Malignant	0	0	2	2	1	1	0	2	0	0	1	1	0	0	7
Spennatocytic Seminoma	3	2	0	0	3	1	0	0	1	0	0	0	0	1	5
Seminomatous Testicular Cancer	3	2	0	0	3	1	0	0	1	0	0	0	0	1	5
Atypical Chronic Myeloid Leukaemia Bcr1bl Negative	0	3	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	12
Germ Cell Tumour Of Ovary	2	1	0	2	1	0	0	1	0	0	0	0	0	1	6
Adenocarcinoma With Variants Of Liver And Ibt	3	0	3	0	2	0	1	0	0	0	1	0	0	2	1
Olfactory Neuroblastoma	0	0	1	0	0	0	0	2	3	0	0	0	0	0	6
Soft Tissue Sarcoma Of Utems	0	0	0	1	2	0	0	0	4	0	1	0	0	1	1
Intestinal Type Adenocarcinoma Of Nasal Cavity And Sinuses	0	1	0	1	1	0	0	1	1	1	1	1	0	0	2
Fibromixoma And Low Grade Mucinous Adenocarcinoma Of The Appendix	2	0	0	1	1	0	0	1	0	0	1	1	0	1	2

## 希少がん別臨床試験実施数（8/10）

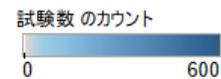
希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

Original Disease Name	Country														試験数のカウント
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	
Hepatocellular Carcinoma, fibrolamellar	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	7
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Rectum	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	6
Paratesticular Adenocarcinoma With Variants	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	7
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Corpus Uteri	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	7
Soft Tissue Sarcoma Of Skin	0	1	0	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	2	2
Serous Cystadenocarcinoma Of Pancreas	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	3
Mammary Paget'S Disease Of Breast	1	0	0	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	4
Choroid Plexus Carcinoma Of CNS	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	7
Basal Cell Adenocarcinoma Of Prostate	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	5
Salivary Gland Type Tumours Of Bladder	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	6
Testicular Sex Cord Cancer	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Small Intestine	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5
Sex Cord Tumours Of Ovary	1	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Adenocarcinoma With Variants Of Trachea	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Trachea	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4
Squamous Cell Carcinoma Of Thymus	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	2
Pleuropulmonary Blastoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4
Mullelian Mixed Tumour	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4
Undifferentiated Carcinoma Of Liver And Ibt	0	0	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	1
Solid Pseudopapillary Carcinoma Of Pancreas	0	0	1	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1

## 希少がん別臨床試験実施数（9/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

Original Disease Name	Country														
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States
Paget'S Disease Of Vulva And Vagina	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	2
Paget'S Disease Of Anal Canal	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Intraductal Papillary Mucinous Carcinoma Invasive Of Pancreas	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Undifferentiated Carcinoma Of Oesophagus	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	1
Undifferentiated Carcinoma Of Nasal Cavity And Sinuses	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Squamous Cell Carcinoma With Variants Of Urethra	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Soft Tissue Sarcoma Of Heart	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Mullerian Mixed Tumour Of Ovary	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Lymphoepithelial Carcinoma Of Nasal Cavity And Sinuses	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	2
Squamous Cell Carcinoma With Variants Middle Ear	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0
Salivary Gland Type Tumours Of Trachea	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Salivary Gland Type Tumours Of Oesophagus	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Mullerian Mixed Tumour Of Cervix Uteri	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Mucinous Cystadenocarcinoma Of Pancreas	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Choriocarcinoma Of Placenta	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Bile Duct Cystadenocarcinoma Of Ibt	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1
Adenocarcinoma With Variants Of Middle Ear	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0
Undifferentiated Carcinoma Of Vulva And Vagina	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Undifferentiated Carcinoma Of Thymus	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Undifferentiated Carcinoma Of Cervix Uteri	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0



## 希少がん別臨床試験実施数（10/10）

希少がん、国別に臨床試験実施件数は以下に抽出した

Original Disease Name	Country														
	Australia	Canada	China	France	Germany	India	Iran	Italy	Japan	Korea	Netherlands	Spain	Thai	United Kingdom	United States
Teratoma With Malignant Transformation	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Soft Tissue Sarcoma Of Viscera	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Soft Tissue Sarcoma Of Paratestis	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Soft Tissue Sarcoma Of Paraorbit	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Soft Tissue Sarcoma Of Mediastinum	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Serous (Papillary) Carcinoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Primary Peritoneal Serouspapillary Carcinoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Papillary Adenocarcinoma Of Nasopharynx	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Pancreatoblastoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Odontogenic Malignant Tumours	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Mixed Endocrine-Exocrine Carcinoma Of Pancreas And Digestive Tract	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Lymphoepithelial Carcinoma Of Thymus	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Hodgkin Lymphoma Nodular Lymphocyte Predominance	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Follicular B Lymphoma	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Carcinoma With Osteoclast—Like Giant Cells Of Pancreas	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Alveolar Rhabdomyosarcoma Of Soft Tissue	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Adenoid Cystic Carcinoma Of Corpus Uteri	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

