

小児及びAYA世代のがんの治験情報

2025/4/11現在

治験依頼者	対象疾患名	公開年月日	臨床試験ID	治験名	治験のフェーズ	治験成分記号 (治験薬一般名)	研究・治験の目的	年齢	選択基準	研究種別	実施状況
医師主導治験	急性骨髄性白血病 (FLT3-ITD陽性)	2024年11月29日	JRCT2031240283	幼児再発急性骨髄性白血病に対してフルダビン+シタラビン+グムツマゾノガマイシンにベネトクラクス併用の有無を検証するランダム比較第III相試験	3	BCL2阻害剤 (ベネトクラクス)	ベネトクラクス (VEN) とフルダビン+シタラビン+グムツマゾノガマイシン (FLA+GO) との併用療法の有効性及び安全性を評価する。	生後28日～21歳	(1) 登録時に、日齢28歳を超えて22歳未満である患者。(2) 以下のいずれかに該当するFLT3/ITD変異のないIA/IIの小児、思春期及び若年成人：・第2再発で、再度の強化化学療法を受けるのに十分適格である。・初回再発で、治験責任(分担)医師による、アントライクリンを含む追加の化学療法に反応性がないと判断されている。(3) ECOGスコアが0, 1, 又は2 (≧50% Lansky又はKarnofskyスコア) に該当するPerformance statusを有する患者。(4) 過去の全ての抗がん剤治療の急性毒性作用から完全に回復し、治験治療開始前に過去の抗がん剤治療から少なくとも以下の期間が経過している患者。a.細胞毒性化学療法：治験治療開始前14日以内に細胞毒性化学療法を受けていない。ただし、治験治療開始前の24時間前まで投与可能な副作用低減剤(ドキシタキソール、低用量シタラビン (LDAC)) 又はヒドロキシシタラビンを除く。b.臓器内化学療法：シタラビン、メトトレキサート (MTX)、ヒドロホルメチン(臓器内投与を併用した患者は、ウォッシュアウト期間は不要とする。c.抗体薬：治験治療開始前に抗体薬複合体の最終投与から2日以上が経過していること。未修飾抗体又はT細胞誘導抗体は、治験治療開始前に半減期の2倍の期間が経過していること。過去の抗体療法に関連する毒性は、Grade 1以下に回復していること。d.インターフェロン、インターフェロニン及びサイトカイン(造血成長因子以外)：治験治療開始前にインターフェロン、インターフェロニン、又はサイトカイン(造血成長因子以外)の最終投与から21日以上が経過していること。e.造血成長因子：治験治療開始前に長時間作用型成長因子(例：ペグアルグスタチム)の最終投与から14日以上が経過していること。又は長時間作用型成長因子の場合7日以上が経過していること。f.放射線療法(RT) (治験治療開始前)：・局所緩和的RT(小骨)から14日以上が経過していること。・頭蓋脊髄RTがある場合又は骨髄への放射線照射が≧50%の場合、84日以上が経過していること。・その他の相当量の骨髄照射を実施した場合、42日以上が経過していること。g.幹細胞移植：・治験治療開始前に同様(非自家)骨髄移植又は幹細胞移植(全身放射線照射(TBI)の有無を問わない)又は追加輸注[ドナーリン(移植用)DLI)を除く幹細胞移植]から84日以上が経過していること。・活動性GVHDが認められない。h.造血幹細胞移植後のGVHD又は移植後の臓器拒絶反応のいずれかの治療又は予防を目的としてシクロスポリン、タクロリムス又はその他の薬剤の投与を受けている患者は、本治療に不適格とする。患者は、治験治療開始前少なくとも14日間は、造血幹細胞移植後のGVHD又は移植後の臓器拒絶反応のいずれかの治療又は予防を目的とした薬剤を投薬する。i.細胞療法：治験治療開始前にDLI又は何らかの細胞療法(例：遺伝子改変T細胞、NK細胞、樹状細胞など)の完了から42日以上が経過していること。j.ベネトクラクスの投与歴がある患者は本治療に適格である。(5) 適切な腎機能を有する患者・eGFR (Schwartzの式に基づく)又は放射性同位元素によるGFR ≧60 mL/分/1.73 m ² 、又は・年齢、性別に基づき血清クレアチニン(6) 適切な肝機能を有する患者：・総ビリルビン又は直接(結合)ビリルビン≦1.5 x ULN、かつ・アルカリホスファターゼ≦2.5 x ULN、かつ・SGPT (ALT) ≦2.5 x ULN (7) 以下に定義する最小限の心臓機能を有する患者：・内科的治療を要する、かつ心不全の既往歴がない。・心エコー検査で治療開始前の左室機能低下がない(FS <25%又はEF <40%)。・再発発現時に心不全の既往歴がない。(8) 患者、親又は法的保護者は、スクリーニング又は治療技術の手続きを開始する前に、各回の	医師主導治験	公開中
小野薬品工業株式会社	ラブドイド腫瘍	2024年10月7日	JRCT2051240150	ONO-4538-126：ラブドイド腫瘍を対象としたONO-4538の有効性及び安全性を検討する多施設共同非盲検非対照第II相試験	2	ニボルマブ	ラブドイド腫瘍を対象としたONO-4538の有効性及び安全性を検討する	1歳以上 上限なし	1. 性別：男性 2. 年齢 (同意取得時)：1歳以上 3. ラブドイド腫瘍に対する1レシメン以上のがん化学療法に不応又は不耐の患者 4. 根治的切除の適応と見られない進行又は再発のラブドイド腫瘍患者	企業治験	公開中
ノバルティスファーマ株式会社	慢性期のフィラデルフィア染色体陽性慢性骨髄性白血病	2022年2月1日	JRCT2031210591	慢性骨髄性白血病の小児患者を対象にアシニチブの用量を決定し、安全性を評価する試験	1-2	アシニチブ	成人患者への40 mg 1日2回(空腹時)投与時と同等のアシニチブ曝露量が得られる小児用製剤の用量(食後)を特定することを目標として、小児患者におけるアシニチブの薬物動態(PK)プロファイルを検討することである。	1歳以上 18歳未満	・以下に該当する男女の患者： a. 小児用製剤群：治験組入れ時時点で1歳以上18歳未満 b. 成人用製剤群：治験組入れ時時点で14歳以上18歳未満かつ体重40 kg以上 ・スクリーニング来院時に以下の臨床検査値の基準をすべて満たした患者。骨髄の芽球数及び前骨髄球数が得られている場合は、それらの検査がスクリーニング来院前56日以内に実施されたものであれば、不必要に検査を繰り返すことを避けるため、その検査結果を採用する。 a. 末梢血及び骨髄の芽球が15%未満 b. 末梢血及び骨髄の芽球 + 前骨髄球が30%未満 c. 末梢血の好塩基球が20%未満 d. 好中球数が1.5 × 10E9/L以上(好中球数が得られていない場合は白血球数が3 × 10E9/L以上)かつ血小板数が100 × 10E9/L以上 e. 肝臓腫大以外の臓外病変が認められていないこと ・少なくとも1剤のTKIによる前治療を受けた患者。 ・スクリーニング時点でTKIによる近隣の治療が治療失敗又は不耐の患者 ・スクリーニング時に標準化カルシウム濃度が正常範囲内(RQPQR)定薬法によりBCR-ABL1融合遺伝子の典型的な転写産物[e14a2及び/又はe13a2]が確認された患者。	企業治験	公開中
医師主導治験	ALK遺伝子異常を有する希少がん	2018年7月20日	JRCT2091220364	ALK遺伝子異常を有する希少がんに対するアレクシニブの医師主導試験	2	アレクシニブ	ALK遺伝子異常を有する希少がんの患者を対象にアレクシニブ投与による有効性を評価する。、ALK遺伝子転座または活性化型変異を有する希少がんの患者を対象にアレクシニブ投与による安全性を評価する。	7ヶ月以上 上限なし	1. MASTER KEYレジストリ研究に登録されている。 2. FoundationOne検査にて以下のいずれかを満たすことが確認されている。 ①ALK融合遺伝子を有する ②ALK活性化型変異を有する ③ALK遺伝子コピー数増加を有する 3. 転移性、治療不能、または再発の病変を有する。 4. 有効性が期待できる一次治療がない、または、一次治療が無効または不耐である。 5. Performance Status (ECOG)が0または1である。なお、小児患者でECOGによる評価が難しい場合は、機能状態尺度/スコア換算表(付表5)を用いてECOGが0または1相当であることを確認する。 6. 測定可能な1つ以上有する。 7. 臨床検査が下記の1)~7)を満たす。 1) 好中球数≧1500 / mm ³ 2) 血小板数≧10万 / mm ³ 3) ヘモグロビン≧8.0 g/dL 4) AST (GOT)≦90 U/L 5) ALT (GPT)≦126 U/L (男性)、69 U/L (女性) 6) 総ビリルビン≦1.5 mg/dL 7) 血清クレアチニン≦0.6mg/dL (生後7か月~2歳未満)、0.8 mg/dL (2~6歳未満)、1.0 mg/dL (6~10歳未満)、1.2 mg/dL (10歳以上) 8. 妊娠する可能性のある女性の患者、同意取得後から治療薬最終投与までの避妊に同意している。男性の場合、治療薬投与開始後から治療薬最終投与迄の避妊に同意している。 9. 試験参加について患者本人から文書で同意が得られている。	医師主導治験	公開中
医師主導治験	標準治療が無い、または標準治療に不応・不耐の0-29歳の小児・AYA固形腫瘍患者	2024年1月18日	JRCTs031230544	小児・AYAがんに対する遺伝子パネル検査結果等に基づく複数の分子標的治療に関する患者申出療養	1	イマチニブメシル酸塩、バロニチニブ塩酸塩、ルキソチニブリン酸塩、トラスメチニブメシル酸塩水合物、トラメチニブメシル酸塩水合物、アザチオプリン、アザチオプリンナトリウム、アザチオプリンナトリウム(遺伝子組換え)注、アザチオプリン(遺伝子組換え)注、カボザチニブリン酸塩塩酸塩、バネモシニブリン酸塩塩酸塩	患者申出療養制度に基づいて本研究に組み込まれている医薬品の投与を希望する小児・AYAがん患者を対象に、小児における一定の安全性情報があり有効性が期待される適応外薬あるいは未承認薬を投与し、安全性および有効性を評価するとともに、必要な場合にはPKデータを取得し薬物動態を評価することを目的とする。また、小児がん患者の薬剤アクセス改善の要望に応えるため、医薬品の適応拡大などに活用可能な形で本研究内での情報を収集することも目的とする。	0歳以上 29歳以下	1) 組織診によって小児がん国際分類 (ICCC-3, International Classification of Childhood Cancer, third edition) に含まれる腫瘍 (I-IIを除く) と診断されている ※施設内で病理組織検査が実施されていた場合は、病理標本を取寄せ、実施医療機関の病理診断で規準を満たすことが確認されなければならない 2) 切除不能 (四肢切断など重大な機能損失を伴う切除以外は国際的な場合を含む) な進行性 (転移性および/または局所進行) の病変を有し、以下の1)のいずれかに該当する (前治療レジメン数は問わない) ①標準治療 (もしくは標準治療に準じる治療) が存在しない ②標準治療 (もしくは標準治療に準じる治療) が存在する場合には、当該標準治療 (もしくは標準治療に準じる治療) が無効中止または毒性中止された 3) 登録時の年齢が0-29歳である (ただし各医薬品コホートにおける年齢の除外規準に該当しないこと)。 4) 治療薬において、当該疾患において患者の年齢またはがん種に対して我が国では承認されていない (治療薬が患者にとって適応外薬あるいは未承認薬となる) 5) 以下のいずれかを満たす ①登録前28日以内の造影CTまたはMRI (頭部・胸部・腹部・骨盤：スライス厚5 mm以下) に腫瘍性病変を確認できる (測定可能病変の有無を問わない) ②登録前28日以内の骨髄検査 (骨髄穿刺または骨髄生検) にて腫瘍細胞を認める。 6) 以下のいずれかを満たす ①患部で保険適用済み、または評価療養として実施されている遺伝子パネル検査を受け、actionableな遺伝子異常を有することが判明している。かつ、エビデンスレベルD以上と判定されたactionableな遺伝子異常とそれに基づく治療選択を提示したエキスパートパネル報告書、および/または患部 (FDAまたはEMA) において薬事承認された分子標的薬がある。 ②患部または患部外 (FDAまたはEMA) において薬事承認された分子標的薬※の適応がん種と病理学的に診断されている。 ※具体的には、以下の通り ・分子標的薬の有効性が示されているがん種に対して、本邦で成人において薬事承認されているが小児では承認されていない (小児の用法用量の記載がない) 医薬品 ・分子標的薬の有効性が示されているがん種に対して、海外 (FDAまたはEMA) で小児において薬事承認されているが、本邦で小児におい	特定臨床研究 (患者申出療養制度)	公開中
医師主導治験	固形腫瘍	2019年10月1日	JRCTs031190104	遺伝子パネル検査による遺伝子プロファイリングに基づく複数の分子標的治療に関する患者申出療養 (NCCH1901)	2	イマチニブメシル酸塩、エペルリムス、ダラフェニブメシル酸塩、トラメチニブ シメチルスルホキシド付加物、バロニチニブリン酸塩、ロシニチニブリン酸塩水合物、ルキソチニブリン酸塩、セチニブ、カマメチニブ、アレクシニブ、トラメチニブ、アザチオプリン、ニボルマブ、エンツタラニン、ニボルマブ、エヌトキニブ、ボナチニブ、クリチニブ、アバマシタニブ、ニロバリン、ベガチニブ	わが国で薬事承認済み、あるいは、評価療養として実施されている遺伝子パネル検査を受け、actionableな遺伝子異常を有することが判明した患者を対象に、それぞれの遺伝子異常に対応する適応外薬を患者申出療養制度に基づいて投与し、治療経過についてのデータを収集することを目的とする。	下限なし 上限なし	1) 組織診によって固形腫瘍と診断されている(原発不明がんを含む)。 2) 切除不能(または進行性)な進行性(転移性および/または局所進行)の病変を有し、以下の1)のいずれかに該当する(前治療レジメン数は問わない) ①標準治療(もしくは標準治療に準じる治療)が存在しない ②標準治療(もしくは標準治療に準じる治療)が存在する場合は、当該標準治療が無効中止または毒性中止された 3) 登録時の年齢は問わない。ただし、内臓臓器の病変は論文通りの割合が内臓であること。 4) 登録前28日以内の造影CTまたはMRIにて腫瘍性病変を確認できる(測定可能病変の有無を問わない) 5) わが国で保険適用済み、あるいは評価療養として実施されている遺伝子パネル検査を受け、actionableな遺伝子異常を有することが判明している 6) 当該患者において、actionableな遺伝子異常とそれに基づく治療選択を検討したエキスパートパネルの検討結果を証する書類を有している(レポートや、診療録、会議録の写しを含む) 7) 研究責任医師あるいは研究分担医師が患者の相談により、治療薬(患者が申出た医薬品)を選定したことについて診療録に記載されている 8) 治療薬について、当該疾患で薬事承認が得られていない(治療薬が患者にとって適応外薬となる) 9) 日本国内医療機関において実施中の企業治験、医師主導治験、先進医療の対象ではない、ただし、地理的理由など、これらの臨床試験への参加が困難である正当理由がある場合には本研究へ参加してもよい。その場合には患者登録の際にEDCCに理由を記載すること。 10) 以下のすべてについて患者が同意している。 ・がんゲノム情報管理センター(C-CAT)へ患者情報を登録し、本研究のために利用すること ・本研究のために収集したデータを、当該医薬品を無償提供した製薬企業に提供すること ・C-CATに登録された当該患者の情報を本研究のために利用し、当該医薬品を無償提供した製薬企業に提供すること 11) がん性腫瘍又は症状のある臓器転移を有さない 12) 定期的な腎機能を要する心臓薬、脱水、脱水の許容を認めない 13) Performance Status(ECOG)が0または1 (なお、15歳未満でECOGによる評価が難しい場合は、機能状態尺度/スコア換算表(付録))を用いてECOGが0または1相当であることを確認する。 14) 登録日時点でがん医薬品(化学療法、分子標的療法、免疫療法、内分泌療法など)の投与や全身麻酔を伴う手術を受けていない	特定臨床研究 (患者申出療養制度)	公開中

小児及びAYA世代のがんの試験情報

2025/4/11現在

試験依頼者	対象疾患名	公開年月日	臨床試験ID	試験名	試験のフェーズ	試験成分記号(試験薬一般名)	研究・試験の目的	年齢	選択基準	研究種別	実施状況
医師主導試験	B前駆細胞型ALL	2024年1月22日	JRCT2031230581	B細胞性急性リンパ芽球性白血病に対するプリナツマブのオープンラベルランダム化比較試験	2	プリナツマブ	B前駆細胞型ALLと診断されている被験者においてプリナツマブを含んだ治療の優越性を評価することである。	0歳4週以下 24歳以下	1. 同意説明文書 (ICF) への署名時の年齢が日齢28以上24歳以下の被験者。 2. B前駆細胞型ALLと診断されている被験者。 3. リスク分類がRである。 4. 強化療法終了後に血液学的寛解を維持している。 5. 投与開始から治療薬投与終了後28日の避妊期間において避妊する意思がある。 6. 文書による同意取得が得られている	医師主導試験	公開中
医師主導試験	低悪性度神経膠腫、脳癌	2023年4月4日	JRCT2031230007	BRAF融合遺伝子陽性の進行・再発の低悪性度神経膠腫または脳癌に対するビニメチニブの第Ⅱ相医師主導試験	2	ビニメチニブ	BRAF融合遺伝子または遺伝子再構成陽性の切除不能または再発の低悪性度神経膠腫(コホート A)および脳癌(コホート B)を対象にビニメチニブ単剤療法の有効性及び安全性を評価する。	12歳以上 18歳未満	コホートA、コホートB共通の選別基準 1) 登録時時点で、治療を要する心臓病、肺病、腫瘍の貯留を認めない(既往はあってもよい) 2) 登録時時点で、症状のある脳転移、がん性髄膜炎、放射線照射や外科的処置を要する脊髄転移のいずれも有さない(治療により無症状となつた既往はあってもよい) 3) 登録時時点で、治療を要する心臓病、肺病、腫瘍の貯留を認めない(既往はあってもよい) 4) 登録前14日以内の抗がん薬(化学療法など)や、登録前21日以内の他の治療薬(化学療法、分子標的療法、免疫療法など)の投与を受けていない 5) 登録前14日以内に全身麻酔を伴う手術を受けていない 6) 登録前28日以内に放射線治療(ガンマナイフ、サイバーナイフを含む)を受けていない 7) 登録前28日以内の心エコーまたはMUGA(心臓スキャンルチゲート収集法)にて左室駆出率(LVEF)が50%以上である 8) 登録前14日以内に実施した臨床検査が下記①-⑦を満たす。ただし、採血日前14日以内に顆粒球コロニー刺激因子(G-CSF製剤)の投与または輸血を受けていないこと。 ①軽中球数≧1,500/mm3 ②血小板数≧10.0×1000/mm3 ③ヒモグロビン≧8.0 g/dL ④ビリルビン≦1.5 mg/dL ⑤AST≦100 U/L ⑥ALT≦100 U/L ⑦クレアチニン≦1.5 mg/dL 10) 経口薬の投与が可能である 以下の基準をすべて満たす必要がある -生検によって、以下に示す2016年WHO分類グレード3~4に分類される悪性神経膠腫 -過形成星細胞腫 -過形成性神経膠腫 -過形成性突起神経膠腫 -過形成性多形性星細胞腫 -膠芽腫 又は2021年WHO分類によって分子特性により定義される悪性神経膠腫 -びまん性橋脚腫を除くびまん性正中神経膠腫、H3 K27 遺伝子異常 -びまん性半球性神経膠腫、H3 G34 変異型 -びまん性小児高悪性度グリオーマ、H3/IDH 野生型 -乳児半球性グリオーマ -毛様細胞様高悪性度星細胞腫 -高悪性度多形性星細胞腫 -IDH 変異型(びまん性神経膠腫、CDKN2A/B 希有接合性欠失 -びまん性神経膠腫、IDH 変異およびp19/q 共欠失 -IDH 変異型星細胞腫、CDKN2A/B 希有接合性欠失 -治療基準を満たす効果の高い避妊法を使用することに同意する。 -放射線療法が診断後6週間(±1週間)以内に開始され、施設基準に従って6週間(±1週間)以上実施されている。放射線療法に満たないと考えられる3歳未満の被験者は、治療依頼者のメディカルモニターと相談の上、組み入れが許可される場合がある。 -放射線療法終了から初回投与日(Cycle1 Day1(以下C1D1))までの期間が少なくとも4週間。 -放射線療法終了からC1D1までの期間が最長8週間。例外的な状況については、治療依頼者のメディカルモニターと協議することができる。 -以前の治療の急性効果は、治療責任(分担)医師が臨床的に重要ではないと判断した場合を除き、グレード1以下でなければならない。 -C1D1前7日以内に十分な血液学的機能および臓器機能を有する。 -余命が8週間以上あり、投与を少なくとも1サイクル完了できる可能性が高いと判断される。	医師主導試験	公開中
日本イーライリール株式会社	悪性神経膠腫	2024年9月5日	JRCT2051240121	放射線療法後の悪性神経膠腫の小児および若年成人を対象に、アベマシクリブ+テモロロシド+テモロロシド併用療法を比較検討する試験	2	アベマシクリブ、テモロロシド	放射線療法後の悪性神経膠腫を有する小児および若年成人を対象に、アベマシクリブ+テモロロシドの併用療法の有効性及び安全性をテモロロシド単剤療法と比較すること	下限なし 21歳未満	以下は2021年WHO分類によって分子特性により定義される悪性神経膠腫 -びまん性橋脚腫を除くびまん性正中神経膠腫、H3 K27 遺伝子異常 -びまん性半球性神経膠腫、H3 G34 変異型 -びまん性小児高悪性度グリオーマ、H3/IDH 野生型 -乳児半球性グリオーマ -毛様細胞様高悪性度星細胞腫 -高悪性度多形性星細胞腫 -IDH 変異型(びまん性神経膠腫、CDKN2A/B 希有接合性欠失 -びまん性神経膠腫、IDH 変異およびp19/q 共欠失 -IDH 変異型星細胞腫、CDKN2A/B 希有接合性欠失 -治療基準を満たす効果の高い避妊法を使用することに同意する。 -放射線療法が診断後6週間(±1週間)以内に開始され、施設基準に従って6週間(±1週間)以上実施されている。放射線療法に満たないと考えられる3歳未満の被験者は、治療依頼者のメディカルモニターと相談の上、組み入れが許可される場合がある。 -放射線療法終了から初回投与日(Cycle1 Day1(以下C1D1))までの期間が少なくとも4週間。 -放射線療法終了からC1D1までの期間が最長8週間。例外的な状況については、治療依頼者のメディカルモニターと協議することができる。 -以前の治療の急性効果は、治療責任(分担)医師が臨床的に重要ではないと判断した場合を除き、グレード1以下でなければならない。 -C1D1前7日以内に十分な血液学的機能および臓器機能を有する。 -余命が8週間以上あり、投与を少なくとも1サイクル完了できる可能性が高いと判断される。	企業治験	公開中
医師主導試験	BRAF V600 mutation陽性進行・転移性固形腫瘍の生後12か月以上15歳以下の小児	2022年9月1日	JRCTs011220017	BRAF V600変異陽性局所進行・転移性小児固形腫瘍に対するダブラフェニブメシル塩化物、トラメチニブメシル塩化物付加物、ダブラフェニブメシル塩化物10mg分散錠、トラメチニブメシル塩化物付加物0.05mg/mL経口液	2	ダブラフェニブメシル塩化物、トラメチニブメシル塩化物付加物、ダブラフェニブメシル塩化物10mg分散錠、トラメチニブメシル塩化物付加物0.05mg/mL経口液	標準治療のない、または治療抵抗性のBRAF V600変異陽性の局所進行・転移性小児固形腫瘍に対するダブラフェニブメシル塩化物、トラメチニブメシル塩化物付加物併用療法の有効性及び安全性を検討すること。	12ヶ月以上 15歳以下	1) 登録時の年齢が生後12か月以上15歳以下 2) 組織診によって小児固形腫瘍(組織球腫を含む、結節・直線型を除く)と確定診断されている。(試験実施施設又はJCCG中央診断にて(過形成腫瘍(組織球腫を含む、結節・直線型を除く)と確定診断されている)。 3) 腫が国で保険適用済みの遺伝子パネル検査の結果、BRAF V600変異陽性と判明している。組織球腫の場合はJCCG中央検査機関でBRAF V600と判明している。 4) 切除不能(再発、局所進行または転移性)で、標準治療がない、または標準治療に抵抗性である。 5) ECOGのPerformance status (PS) が0~2 6) 登録時時点で抗がん薬(化学療法、分子標的療法、免疫療法、内分泌療法)の投与や脳以外の放射線治療を受けておらず、それらに伴う急性毒性が回復していること。 7) 登録時時点での最新検査の日付が7日以上経過していること。 8) 登録前14日以内の最新の検査値(登録日の2週間前の同一曜日とは可)が、以下のすべてを満たす。 ①軽中球数≧1,000/mm3 ②ヒモグロビン≧8.0 g/dL (登録に用いた検査の採血日前14日以内に輸血を行っていないこと) ③血小板数≧7.5×10 ⁴ /mm3 ④ビリルビン≦ULN x 1.5 mg/dL ⑤ALT (GPT) ≦ULN x 3 IU/L ⑥血清クレアチニン値が年齢別に以下を満たすもの(5歳未満: 0.8 mg/dl 以下, 5歳以上10歳未満: 1.2 mg/dl 以下, 10歳以上: 1.5 mg/dl以下) ⑦心電図(ECG)測定 QTcF≦480 ms 9) 研究参加について代理人(親権者、後見人)に準ずるもので、研究対象者の最善の利益を図る者)から文書で同意が得られていること。7歳以上については原則として研究対象者本人から、年齢に応じたアセント文書で同意取得が得られていること。	特定臨床研究(患者申出療養制度)	終了
アンプイ合同会社	成熟B細胞性リンパ腫	2022年10月4日	JRCT2041220067	成熟B細胞性リンパ腫の小児患者を対象としたepcoritamabの第Ⅰb相試験	1	epcoritamab	本試験の目的は、再発又は難治性のB細胞性リンパ腫/白血腫、DLBCL、又はその他のCD20陽性アグレッシブ成熟B細胞性リンパ腫を有し、再寛解導入療法で寛解に達しなかった、又は細胞療法による更なる地獄め療法を受けることのできない小児患者(及び若年成人)を対象に、epcoritamab併用療法の有効性及び安全性を評価することである。	1歳以上 25歳以下	-初回診断時に1歳以上18歳未満で、B細胞性若しくはB細胞様リンパ腫/白血腫、DLBCL、又はその他のCD20陽性アグレッシブ成熟B細胞性リンパ腫を有する患者(MBL患者)、25歳以下のB細胞性若しくはB細胞様リンパ腫/白血腫患者も組み入れ可とする。 -実施医療機関での検査により疾患が病理学的に確認された患者 -以下のいずれかの基準を満たす再発又は一次治療に抵抗性のMBL患者: --二次治療の免疫化学療法(CTT)施行中のいずれかの時点において疾患進行がみられた。 --二次治療のCTTの2サイクル以上施行後において、最良効果が安定(SD)である。 --二次治療のCTTの3サイクル以上施行後において、最良効果がPRである。 --二次治療のCTTの3サイクル以上施行後においてCRを達成したが、細胞療法による地獄め療法に不適合又は不適格とされる。 -CRに達しておらず、かつ、二次治療としてのCTTが開始不能又は忍容不能である。 -地獄め療法として細胞療法(同種若しくは自家移植又はCAR-T療法)を受けたが、CRを達成していない又は維持していない。 -過去の治療による毒性が回復している患者 -Lanskyスコア(評価時に16歳未満の場合)若しくはKarnofskyスコア(評価時に16歳以上の場合)が50点以上又はECOGスコアが2以下のパフォーマンスステータスを示す患者 -十分な骨髄、肝及び腎機能を有する患者	企業治験	終了
医師主導試験	悪性腫瘍に対するシスプラチン投与による内耳毒性	2022年5月19日	JRCT2061220018	小児・AYA世代に好発する悪性腫瘍に対するシスプラチン投与による内耳毒性を軽減するチオ硫酸ナトリウムの第Ⅱ相試験	2	無水チオ硫酸ナトリウム	シスプラチンを投与される小児・AYA世代固形腫瘍の患者を対象として、シスプラチンによる内耳毒性を軽減するチオ硫酸ナトリウムの有効性及び安全性を探索的に評価する。	1ヶ月以上 30歳以下	(1)組織学的又は臨床的に限局性病期の固形腫瘍(神経芽腫、肝芽腫、胚嚢胞腫、骨軟部肉腫、髄芽腫、非定型奇形腫様マテド腫瘍等)と診断された患者 (2)原疾患に対する薬物療法としてシスプラチン(1回の投与時間が6時間以内で、総投与量200 mg/m ² 以上)を含む治療を受ける予定である (3)本試験への参加について、本人あるいは未成年の場合は代理人から書面での同意が得られている。なお、未成年者に対して可能な限りのアセント文書を用いて説明し、文書によるアセントを取得する。 (4)同意取得時年齢が、主要コホートは3才以上18才以下、探索コホートは生後1か月以上2才以下と19才以上30才以下である。 (5)以下の聴力検査に係る基準を満たすこと -3才以上の患者は純音聴力検査(気導)で500Hz、1000Hz、2000Hz、4000Hz、8000Hzでの評価のすべてが20dB以下であること。純音聴力検査の種類は、標準純音聴力検査を原則とするが、3才から5才までの標準純音聴力検査ができない場合には聴音での遊戯聴力検査(気導)の測定も可とする。なお、上記の純音聴力検査での基準を満たさなかった3才から5才までの患者に限り、下記①~③の順に実施可能な検査を実施し、その評価が20dB以下であれば登録可能とする。 ①聴性脳幹反響(ABR) tone burst (気導) 500Hz、1000Hz、2000Hz、4000Hz、8000Hzで評価 ②ABR tone burst (気導) 500Hz、1000Hz、2000Hz、4000Hzで評価 ③ASSR (気導) 500Hz、1000Hz、2000Hz、4000Hzで評価 -2才以下の患者は、 ○条件付き聴覚反応聴力検査(COR: Conditioned Orientation Response audiometry)が測定した音域のいずれかで25dB以下 ○視覚強化聴力検査(VRA: Visual Reinforcement Audiometry)が測定した音域のいずれかで25dB以下 ○ASSR (気導)が測定した音域のいずれかで20dB以下 のいずれかを満たし、試験責任医師等により十分な聴力障害がないと判断されていること。 (6)PSが良好であること。 (7)登録前14日以内の最新の検査にて基準を満たしている。 (8)登録前28日以内の心機能検査にて異常を認めない。 (9)妊娠可能な女性患者では、登録から14日以内の検査にて妊娠反応陰性であることが確認されていること。妊娠可能な女性患者又は妊娠可能な女性パートナーを有する男性患者は、試験の期間に適切な避妊法を使用することの同意を得ていること	医師主導試験	終了

小児及びAYA世代のがんの治験情報

2025/4/11現在

治験依頼者	対象疾患名	公開年月日	臨床試験ID	治験名	治験のフェーズ	治験成分記号（治験薬一般名）	研究・治験の目的	年齢	選択基準	研究種別	実施状況
日本イーライリリ-株式会社	再発性／難治性固形腫瘍を有する小児及び若年成人患者を対象とした化学療法を併用するアベマシクリブの第1b相試験	2022年1月19日	JRCT2031210562	再発性／難治性固形腫瘍を有する小児及び若年成人患者を対象とした化学療法を併用するアベマシクリブの第1b相試験	1	アベマシクリブ、デモソロミド、イリテカン	再発性／難治性固形腫瘍を有する小児及び若年成人患者を対象とした化学療法を併用するアベマシクリブの第1b相試験	下限なし 18歳以下	体重10 kg以上かつBSA 0.5 m ² 以上であること。 中枢神経腫瘍を含む再発性／難治性悪性固形腫瘍（リンパ腫を除く）を認め、標準治療で進行が認められ、治験責任医師又は治験分担医師が、現在組み入れられている治験のパートでの試験的併用療法に適した候補であると判断する患者であること。 患者には測定可能な病変【RECISTバージョン1.1（Eisenhauer et al. 2009）又はCNS腫瘍はRANO基準（Wen et al. 2010）に基づき】もしくは評価可能な病変が一つ以上あること。 以下の場合を除き、患者は初回診断時又は再発時に悪性腫瘍の組織学的検査を実施していなければならない。 i. 頭蓋外胚細胞性腫瘍があり、血清中の腫瘍マーカー（α-フェトプロテイン又はβ-HCG）の値が上昇している。 ii. 内因性脳幹腫瘍患者又はCNS胚細胞性腫瘍患者であり、CSF又は血清中の腫瘍マーカー（α-フェトプロテイン又はβ-HCG）の値が上昇している。 16歳以下の患者ではLanskyスコア50以上、16歳を超える患者ではKarnofskyスコア50以上であること。 組み入れ時に対するすべての前治療又は治験薬投与を中止しており、特に規定のない限り、急性作用はグレード1以下まで回復している必要がある。 飲み込みができる患者であること。	企業治験	終了
医師主導治験	神経芽腫	2023年3月7日	JRCT2031220687	新規発症高リスク神経芽腫の維持療法としてのSPJ-101CAの安全性・有効性及び薬物動態試験	2	イソトレチニン	新規発症高リスク神経芽腫を対象として、SPJ-101CA内服による維持療法の安全性と有効性を評価するとともに、血中薬物動態について検討する。	1歳0ヶ月以上 18歳0ヶ月未満	(1) 同意取得日の年齢が1歳以上18歳未満である患者 (2) 病理組織学的に神経芽腫または神経節芽腫と診断された患者 (3) International Neuroblastoma Risk Grouping (INRG) リスク分類で高リスクに分類される患者 (4) 高リスク神経芽腫に対する一次療法として、寛解導入化学療法、造血幹細胞移植を併用した大量化学療法、および必要な放射線治療を完了し、臨床的および画像的に明らかな増悪を認めない患者 (5) 最近の抗腫瘍治療終了日（薬物療法の場合は最終投与日）から100日以内の患者 (6) 対トコール治療の妨げとなる重篤な臓器障害がない患者 (7) 活動性感染症がない患者 (8) 治験参加について、代読者から文書による同意が得られている症例	医師主導治験	終了