



# びすけっと

243号—2023年5月—

埼玉県立小児医療センター

血液・腫瘍科

親の会 びすけっと

もっとみなさんつながれるように…

Instagram始めました！

[https://www.instagram.com/biscuit\\_oyanokai/](https://www.instagram.com/biscuit_oyanokai/)



## 小児がんゲノム医療フォーラム第2部「ゲノム医療による新たな小児がん治療開発に向けて～私たちに今できることは何か～」

1月21日(土)に開催されたフォーラムに、オンラインで参加しました。最新の研究で難しい内容を想像していましたが、例え話などを交えて一般の参加者にもわかりやすくお話ししてくださいました。

細胞の設計図であるDNAの中には遺伝子の使い方も書き込まれていて、その全ての情報をゲノムと言うそうです。そもそもがんというのは細胞のコピーミスによって起こるゲノムの異常による病気です。ゲノムを見ればがんの診断や治療に活かすことが出来るということです。以前からゲノム検査を治療に利用することは行っていましたが、最近の研究で新しいことは、パネル検査によって効率的に検査できるようになったことです。現在はまだゲノム医療にも限界があり、治療に活かせるゲノム異常が必ず見つかるとは限らなかつたり、治療に使える薬が無かつたり、既存の治療法に対してそれだけでは特効薬でなかつたりする場合があります。ゲノムがわかれば治療や予後予測に有効ではあるので、今後の開発が期待されるとのことでした。

ゲノム検査によって異常がわかれば、その異常に対応した分子標的薬が必要です。小児で検査を受けた人の内、標的治療の可能性のある人が半程度いたそうですが、実際に標的薬を使ったのは全体の5.8%(保険診療・治験・患者申出診療などで薬の適応だった人は2%)だったそうです。保険診療の適応で無かつたり、治験が実施されていなかつたり、小児の用量の記載が無かつたりして使いにくいのが現状だそうです。法的な問題や治験の環境や予算などの問題で、日本での開発がなかなか進まないのではないかということでした。薬が使用できるまでの年数に30年も差があるものもあるという話には驚きました。アメリカでは成人の薬を開発するときに小児での開発も義務づける法律ができたそうです。国際共同治験に参加すれば日本でも使える可能性が出てくるのではないかということでした。

遺伝子パネル検査で遺伝子の変異が見つかり、海外では分子標的薬が開発されているにも関わらず、あらゆる方法を尽くしても日本でその薬を使うことが出来なかつたというご家族からのお話は、この辛く悲しい状況を改善したいという強い思いが伝わってきました。

日本で医薬品が承認されるまでの話では医薬品が開発され使用されるまでには9~17年かかり、実際に承認されて使えるようになる医薬品は全体の3万分の1程度だという説明がありました。それ程薬の開発は難しいものなのだとわかりました。

最後に研究への患者・市民参画についてのお話がありました。患者や市民の視点を取り入れることでより良い研究を目指すということでした。(柳戸)

PMDA (独立行政法人 医薬品医療機器総合機構) <https://www.pmda.go.jp/>

PMDA ↓



PPI ↓



PPI (患者・市民参画) <https://www.youtube.com/watch?v=2wkUVj41e9w&list=WL&index=1&t=18s>

次回のびすけっとは、**6/13(火) 11:00~**

相談室B (2F 総合受付奥)

- ※びすけっとの参加のためだけに病院に来られた場合、
- ・駐車料金は一般料金になりますので、病院外の駐車場をご利用することをおすすめします。
- ・入館時の健康チェックシートは、外来・面会用ではなく、来客・業者用をご使用ください。

※変更の場合があるため、  
来る前にインスタや  
LINEで確認してね。

びすけっと連絡先：代表 柳戸 民子

〒350-2224 鶴ヶ島市町屋112-5

TEL 049-271-4708 (留守電)

e-mail [yanagido@t.zag.jp](mailto:yanagido@t.zag.jp)

柳戸LINE、QRコード  
ラインでのご連絡もOK!

