

国立がん研究センター

「希少がんセンター」

平成26年6月27日

希少がんセンター長 川井 章

希少がんとは？

- **希少がんの定義**

—これまでわが国では定義されたことがない—

- **なぜ今、希少がんの定義/対策が必要か？**

「数が少ないが故に、患者が受けられる医療において他のがんよりも明らかに不利な状況が生じている稀な一群のがん(希少がん)が存在し、今、その状況を改善するための対策が求められている」

どこに行けばいい？



メラノーマ



網膜芽細胞腫



GIST

「〇〇という大変まれな
がんです。うちでは診る
ことができません。早く
専門の先生に診てもらっ
てください。」



「何でものだけ
余命3か月の
ガンが消えた」
個別相談会コチャ

江崎誠
がんもどき
あなたの癌は、
がんもどき

がん治療 横浜
gclinic-yokohama.jp
免疫細胞療法で進行がんを
治療

腫瘍・末期がん
癌転移のプロセス～余命3ヶ月と宣告された…
homepage3.nifty.com/LEXUS-GS/ キャッシュ
末期がん患者、及び末期がん患者を持つ家族の方へ贈る生還へのプロセス(末期がんと宣告された父
が末期がんと闘い、そして手術の必要も無く無事完治した奇跡のプロセスを全て公開)

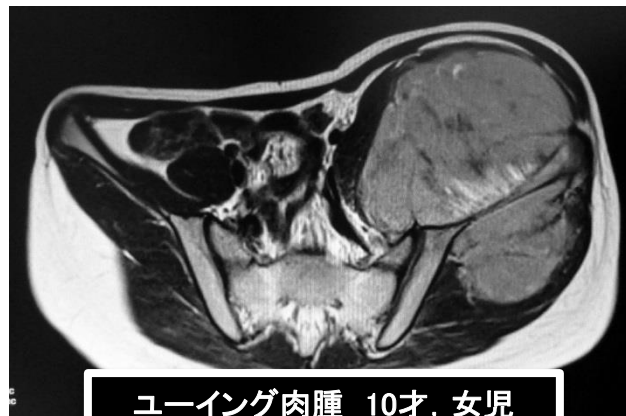
末期がんからの生還・末期がんの食事療法と改善在宅治療 - Google Sites
google.com/site/_/mo-gigankarano-sheng-hai
生還と闘った後...一年を待たずに驚異的生還を果たした男性の場合、末期
がんから闘い、そして手術の必要も無く無事完治した奇跡のプロセスを全て公開

B大学

Aセンター

C病院

どうすればいい？



ユーイング肉腫 10才, 女児



「抗がん剤治療が必要」

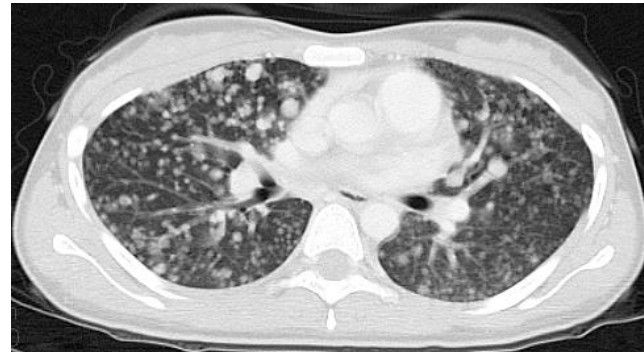
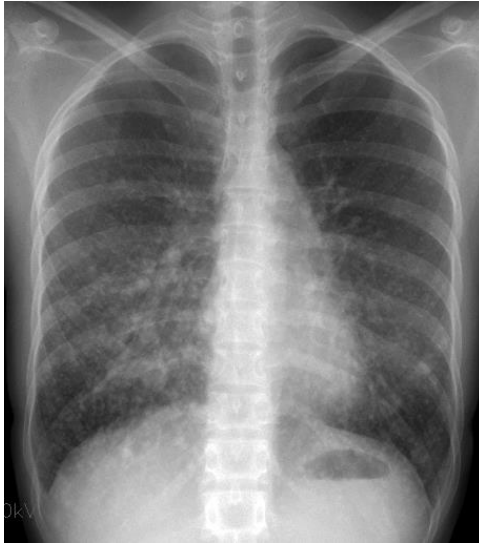


「手術で取るのが一番」



「放射線治療でも治る」

何か治療法は？



22才, 女性
右太ももの腫瘍で受診
診察の結果、“**胞巣状軟部肉腫**”と診断
初診時すでに両肺に多発転移あり

医師...

「この病気に効く薬は残念ながら未だ開発されていません」

がん研究10か年戦略

(平成26年4月2日)

文部科学省研究振興局
厚生労働省健康局
経済産業省商務情報政策局

4. 具体的研究事項

(5) ライフステージやがんの特性に注目した重点研究領域

- ① 小児がんに関する研究
- ② 高齢者のがんに関する研究
- ③ 難治性がんに関する研究
- ④ 希少がん等に関する研究

これまで患者数の多い5大がん等を中心に研究資源が投下されてきたが、今後は民間主導の研究開発が進みにくい、肉腫、悪性脳腫瘍、口腔がん、成人T細胞白血病などをはじめとする希少がんについても、適応外薬や未承認薬の開発ラグの解消をめざした研究を含む治療開発に、積極的に取り組む必要がある。(後略)

希少がん(定義)

- ヨーロッパ (RARECARE)

<http://www.rarecarenet.eu/rarecarenet/>

年間の発生率が人口10万人当たり6例未満のがん

- 米国

NCI workshop (2007)

年間の発生率が人口10万人当たり15例未満のがん

- 日本(希少がん対策WS, 2014.2.16)

年間の発生率が人口10万人当たり6例未満のがん

罹患率からみたがん

がんの種類 推定罹患率* (/10万人年)

胃がん 67.1

肺がん 57.5

大腸がん 41.6

乳がん 40.2

前立腺がん 37.1

--- 6例 (RARECARE/日本) ---

軟部肉腫 3.6

脳グリオーマ 2.5

皮膚メラノーマ 1.1

骨の肉腫 0.6

胎芽性腫瘍(網膜芽細胞腫) 0.3

“5大がん”

数10倍～数100倍の差

“希少がん”

* 院内がん登録(2008～11)より推定した全国推定罹患率

希少がん 何が問題か？

“他のがんよりも不利な医療状況”

- 最適な治療が受けられない可能性
 - 診療の精度・練度の不足
 - 情報の不足
- 新たな治療法の開発の停滞
 - 民間主導の開発が進みにくい(インセンティブ)
 - 研究開発の困難さ

希少がんの年間発生数(全国)

	診断名	2007	2008	2009	2010	2011
骨の肉腫						
	骨肉腫	205	169	191	168	187
	ユーイング肉腫	27	30	31	35	38
軟部肉腫						
	胞巣状軟部肉腫	12	15	13	11	13
	脂肪肉腫	395	324	416	443	526
目の腫瘍						
	網膜芽細胞腫	71	90	68	73	71

全国骨・軟部腫瘍登録一覧表, 網膜芽細胞腫全国登録より

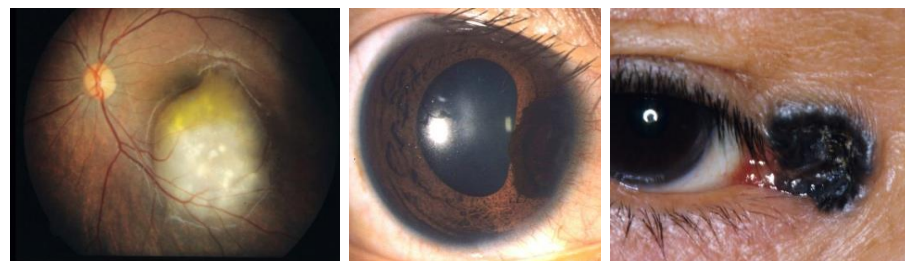
- 全国で、年間数十例～数百例
- 一県あたり、年間数例の発生



希少がんは“多種多様”



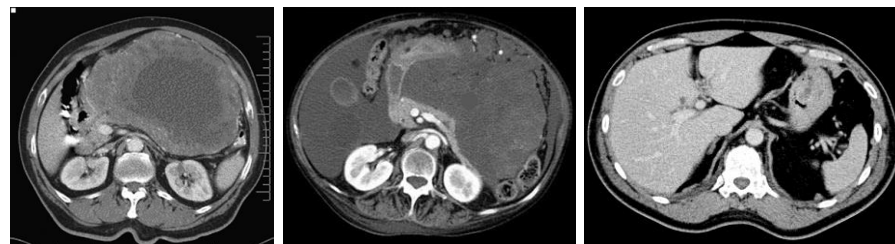
軟部肉腫



眼腫瘍



骨の肉腫



GIST(消化管間質腫瘍)

全身の様々な部位に発生

多彩な組織型

希少がん(肉腫)の診療体制

日本 (人口12,800万人)	アメリカ (人口31,000万人)	イタリア (人口6,000万人)
大学病院	Large size	骨の肉腫
80	5センター	2センター
がんセンター	Medium size	軟部の肉腫
30	8センター	2センター

86*

13

4

*骨・軟部腫瘍相談コーナー



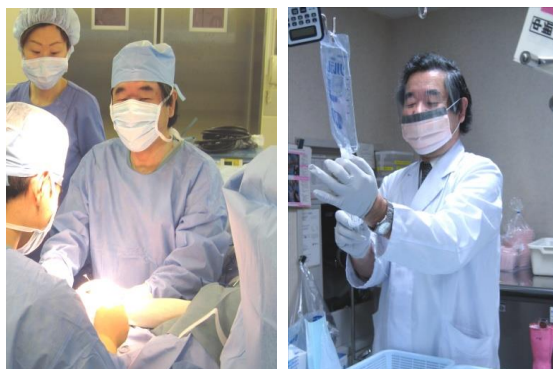
我が国では希少がん(肉腫)の診療は多くの施設に分散



大病院でも年に数人の患者さん

“稀”で“多様”な腫瘍が数人/年

⇒ 診療体制



一人の担当医が外科的治療＋内科的治療

V.S.



抗がん剤治療
(内科)

手術
(外科)

メジャーがんでは病期・治療法による専門化がすすんでいる

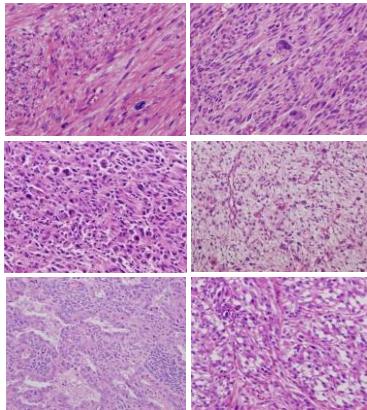
⇒ 診療の精度・練度は？

外科、内科の専門性を生かした治療体制の確立が遅れている

病理診断

“軟部肉腫の診断において、各施設の病理医による診断と軟部肉腫を専門とする病理医の診断の間にどれくらいの不一致があるのか？” -フランス-

Annals of Oncology 23: 2442-9, 2012



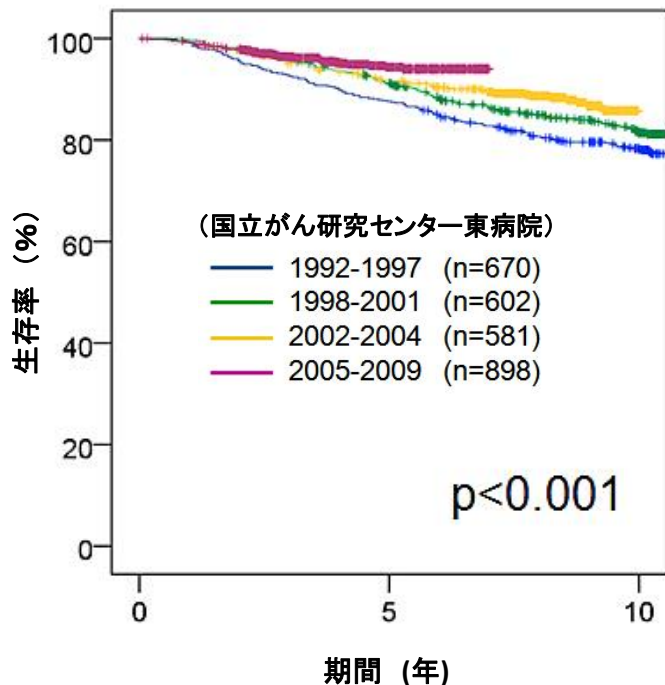
軟部肉腫と診断された1,463例を検討

完全に一致	824例 (56%)
一部不一致	518例 (35%)
完全に不一致	121例 (8%)

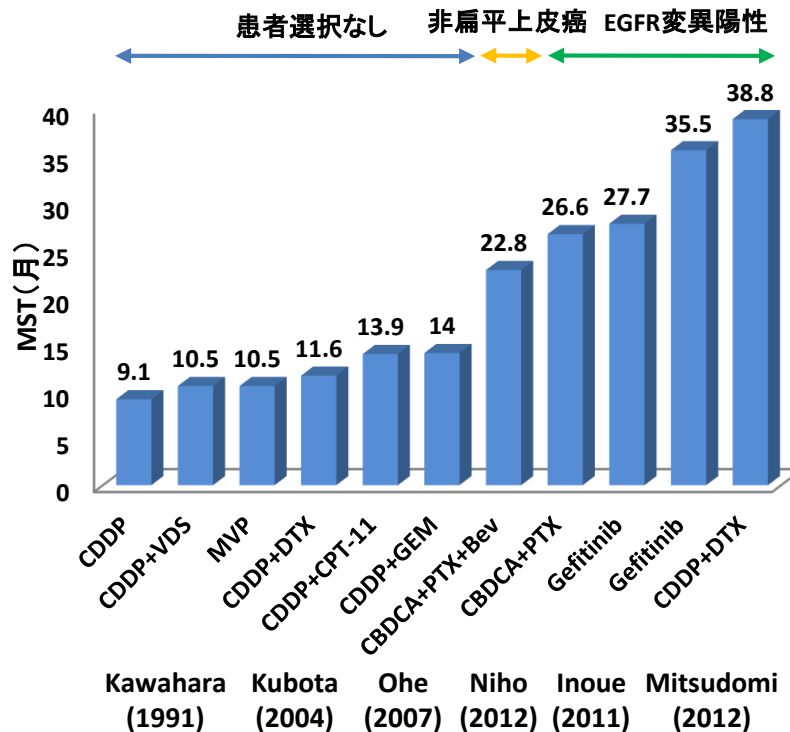
40%以上の症例で診断が不一致

正しい診断に基づいた適切な治療が受けられていない可能性

治療成績の変遷 メジャーがん



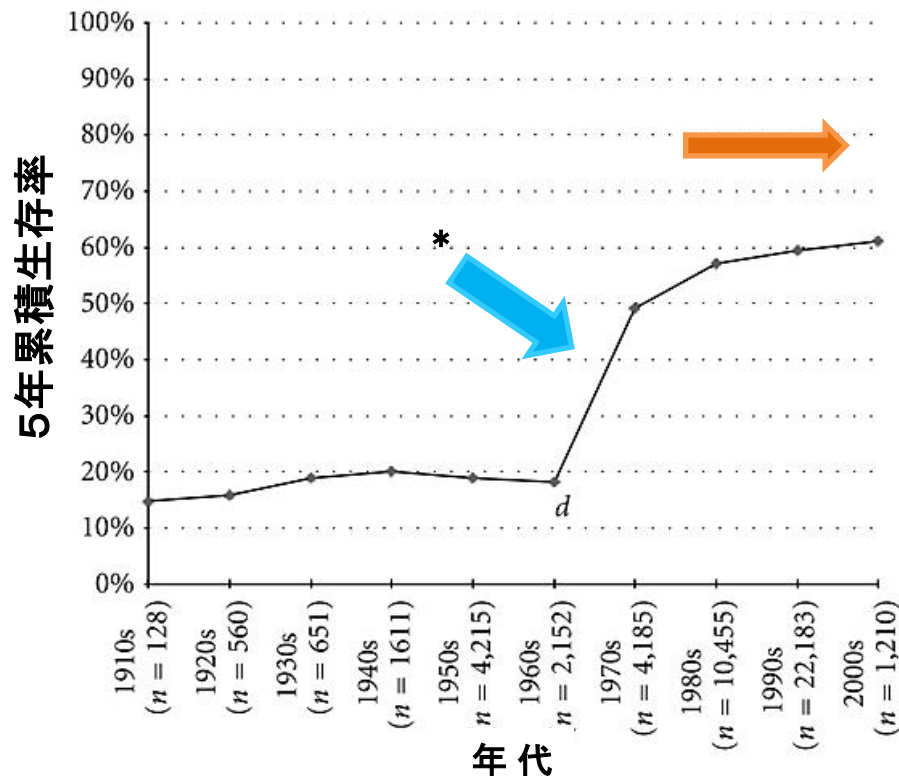
早期乳がん術後の生存率
の変遷



進行非小細胞肺癌における
治療成績の変遷

新たな治療(薬)の開発により、治療成績の着実な改善がみられる

治療成績の変遷 骨肉腫



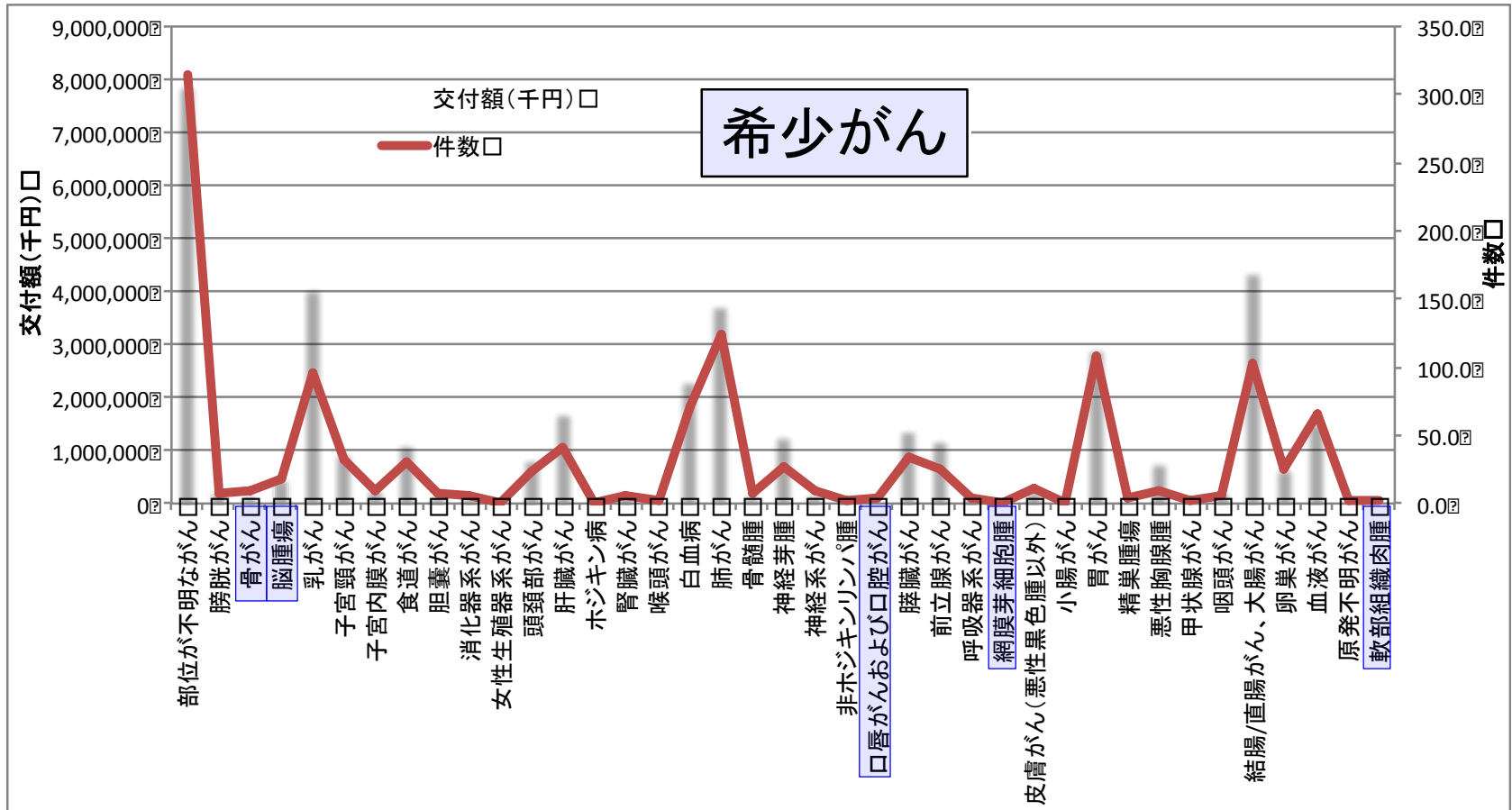
* 1960年～80年代、有効な抗がん剤(メトレキサート、アドリアマイシン、シスプラチン)の導入により生存率は著明に改善した
= 不治の病から治る病へ

しかし、

1980年代以後、新たな有効薬剤の開発がなく、生存率の向上は頭打ち

新たな治療(薬)開発が遅れ、治療成績の向上がみられない

がん種別の研究費

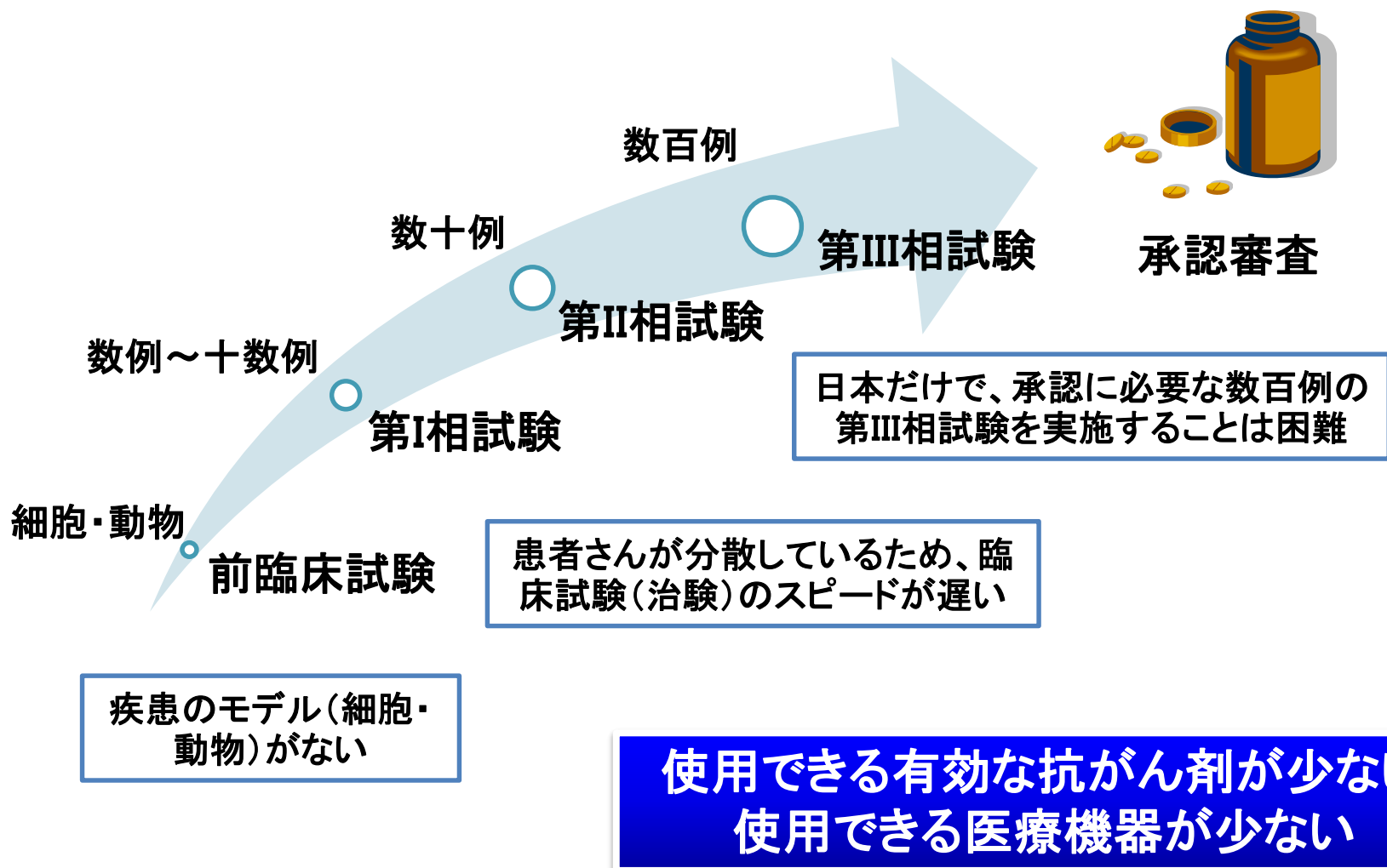


出典：厚生労働省科学研究費補助金がん臨床研究事業指定研究(H25-がん臨床-指定-006)

「第3次対がん総合戦略研究事業の全体報告と、がん研究の今後のあり方について」研究代表者：堀田知光(平成26年3月31日)

市場規模が小さく、企業にとっては開発のインセンティブに乏しい

希少がん開発 実際上の困難



情報の不足



• 患者さん

- 「どの医療機関に受診すればよいか分からない」
- 「現在受けている治療が最適な治療なのか不安だが、問い合わせる場所が分からない」
- 「稀な病気に罹ってしまったが、遺伝しないか心配」

• 医師

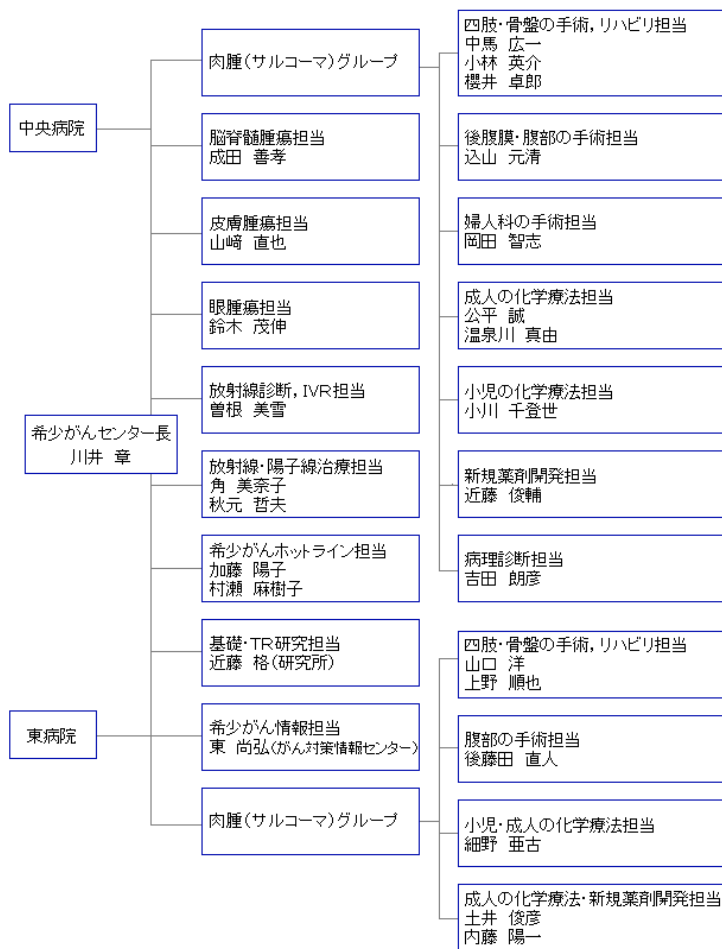
- 「この病気の患者さんを診るのは初めて」
- 「手術をしたが、化学療法を追加すべきか分からない」
- 「治験などの新しい情報が入手できない」

病気に関する正確かつ最新の情報が入手困難

希少がんの課題 2014

1. 各腫瘍の実情に応じた最適な治療体制が不明・未確立
(診療施設が分散, 内科・外科の専門性が未分離・・・)
2. 正しい診断に基づいた適切な治療が受けられていない可能性
3. 新たな治療(薬)開発が遅れ、治療成績の向上がみられない
4. 使用できる有効な抗がん剤・治療法が少ない
研究費・市場規模が小さく、インセンティブに乏しい
疾患のモデル(細胞・動物)が少ない
臨床試験(治験)のスピードが遅い
日本だけで第III相試験を実施することは現実的に困難
5. 病気に関する正確かつ最新の情報が入手困難

希少がんセンター



中央病院(築地)



東病院(柏)



希少がんセンター

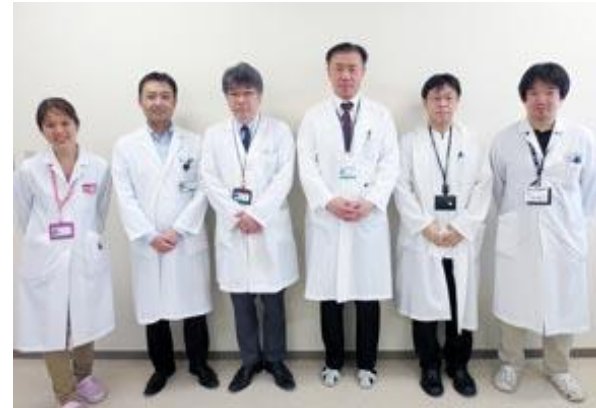
1. 希少がんに対する診療・研究を迅速かつ適切に遂行可能なネットワークを国立がん研究センター内に確立する。
2. 我が国の希少がん医療の望ましい形を検討し、提言し、実行する。

2013年12月1日 設立準備室
2014年6月23日 開設

対象と機能



中央病院スタッフ



東病院スタッフ

対象とする腫瘍

肉腫（サルコーマ）、GIST（消化管間質腫瘍）、
脳腫瘍、メラノーマ（悪性黒色腫）、眼腫瘍、
小児がん、胚細胞性腫瘍（精巣、卵巣、性腺外）、
その他の希少がん

担当する機能

病理診断、画像診断、外科的治療
内科的治療、IVR、TR、臨床開発

MISSION

1. 診療科の枠を越えた最適な診療の提供
院内ネットワーク, サルコーマ・カンファレンス
2. 情報発信 希少がんセンターホームページ
3. 情報提供・診療支援 希少がんホットライン
4. 研究開発支援 バイオバンク, 疾患モデル作成
5. 希少がんネットワークの構築
6. 患者団体との交流・支援

1-1. 院内ネットワーク

何科を受診？



どこへ紹介？



脳脊髄腫瘍科

眼腫瘍科

皮膚腫瘍科

骨軟部腫瘍科

後腹膜腫瘍科

乳腺・腫瘍内科

小児腫瘍科

希少がんセンター

Rare Cancer Center

カンファレンス

診療
支援

1-2. サルコーマ・カンファレンス

一人一人の肉腫(サルコーマ)患者さんの治療方針について、診療科の枠を超えた集学的な検討を行う

参加スタッフ がん研究センターで肉腫(サルコーマ)診療に関わる全医師
(約30名)

- ・骨軟部腫瘍科・腫瘍内科・小児腫瘍科・後腹膜腫瘍科
- ・頭頸部腫瘍科・胸腹部外科・放射線科・病理科・看護師
- ・リハビリテーションスタッフ・基礎研究者

定時カンファ 毎月第2水曜日



2. ホームページ

独立行政法人 国立がん研究センター

Home 概要 中央病院 東病院 研究所 早期・探索臨床研究センター がん予防・検診研究センター がん対策情報センター

がんにならない、がんに負けない、がんと生きる社会をめざす

中央病院 (東京都・郷地) TEL: 03-3542-2511

東病院 (千葉県・柏の葉) TEL: 04-7133-1111

最新情報 >> 一覧へ

- 2014年06月18日 職員募集情報を掲載しました。
- 2014年06月13日 【プレスリリース】13種類のがんを1回の採血で見える次世代診断システム開発が始動
- 2014年06月12日 国立がん研究センターの新ビジョンを掲載しました。内視鏡センターを公開しました。平成27年度がん専門研修薬剤師・薬剤師レジデント募集開始しました。
- 2014年06月11日 【プレスリリース】医師向けのコミュニケーション技術研修に関する研究
- 2014年06月10日 平成26年度レジデント短期コース募集開始しました。
- 2014年06月09日 中央病院 若手医師・薬剤師および医・薬学部生向けオープンキャンパス
- 2014年06月06日 【プレスリリース】胆道がんで国内初の臨床試験開始 平成27年度薬剤師レジデント・がん専門研修薬剤師募集見学・説明会
- 2014年06月03日 バイオバンクを公開しました。がん患者さんの暮らしが広がるアイデア展2014を掲載しました。
- 2014年05月22日 東病院 第8回レジデント1日体験プログラムを公開しました。

がん対策情報センター ganjoho.jp

独立行政法人 国立がん研究センター

Home 国立がん研究センターについて 情報公開 研究推進 お知らせ 法人に関する情報

Home > 希少がんセンター

患者さんとともに、希少がんの克服に挑む **希少がんセンター** Rare Cancer Center

希少がんについて
希少ながん、それぞれについて解説。肉腫・GIST・小児がん・脳腫瘍・眼腫瘍・皮膚腫瘍。

希少がんホットライン 詳しく見る
03-3542-2511 におかけいただき、「希少がんホットラインにつないで」とおっしゃってください。

診断と治療
希少がんの診断や外科手術、薬物療法、放射線治療、IVRを紹介。

リハビリテーション
希少がんの治療過程や治療後にあられる障害に対するリハビリテーションについて解説。

希少がんセンターについて
がんに関する正しい情報と医療機関検索

治験情報
新しい治療方法を開発するための基礎研究

がん対策情報センター
研究所

最新情報
2014年05月28日 【プレスリリース】脳神経内分泌腫瘍の新規がん抑制遺伝子を見発見
2014年04月28日 希少がんセンターのページを掲載しました
2014年02月16日 希少がん対策に関するワークショップを開催しました

▲このページの先頭へ

2014年4月28日
ホームページ掲載

http://www.ncc.go.jp/jp/rcc/index.html

ホームページ

希少がんセンターTOP

希少がんについて

希少がんホットライン

診断と治療

リハビリテーション

希少がんセンターについて

治験情報

がん対策情報センター

研究所

中央病院

東病院

受診のご案内

セカンドオピニオン

治験と臨床試験

医療関係者の方へ

ホーム > 希少がんセンター > 希少がんについて > 肉腫（サルコーマ） > 骨の肉腫

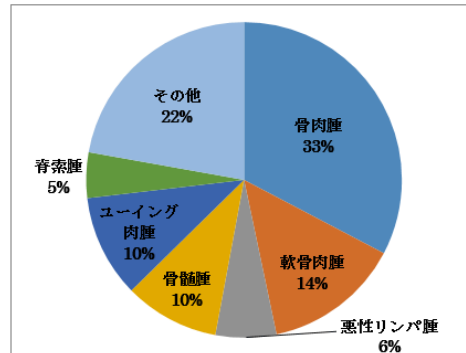
骨の肉腫

1. 骨の肉腫について
2. 症状について
3. 診断について
4. 治療について

1. 骨の肉腫について

骨に発生するがんには他の臓器に発生したがんが骨に転移する「転移性骨腫瘍」と骨自体からがんが発生する「原発性骨悪性腫瘍」の2種類があり、後者は主に肉腫と呼ばれる腫瘍がほとんどです。肉腫は体中のどこにでもできるがんの一種ですが、そのうちの肉腫は全体の約25%です。骨軟部腫瘍登録によると、日本全体で年間500～800人程度の骨に発生する肉腫の患者さんがいると推定され、年間40～50例の骨発生の肉腫の新規患者さんが国立がん研究センターを受診しています（表1）。まさに骨に発生する肉腫は非常に数の少ない、いわゆる希少がんの代表です。主な種類としては、下記の3種類があげられます。

表1 骨に発生する原発性悪性腫瘍の内訳（国立がん研究センター 2006～2011年の257例）



ホーム > 希少がんセンター > 診断と治療 > 薬物療法

薬物療法

一肉腫の薬物療法について一

1. はじめに
2. 一般的な薬物療法
3. 確立された集学的治療の一部として薬物療法が実施される肉腫
4. 特定の治療に対して有効な可能性が示唆されている個別の組織型に対する薬物療法

1. はじめに

肉腫は、骨や軟骨、線維組織、脂肪組織、血管・リンパ管組織、筋肉組織、滑膜組織、さらには神経組織などの組織から発生します。成人に発症する肉腫は、発症頻度が低く希少疾患であることに加え、多彩な形態や性質を示すことから、薬物療法の治療体系が複雑になっています。成人に発生する肉腫の多くは、抗がん剤への感受性の低い肉腫です。ドキソルビシン (DXR)、イフォスファミド (IFM) などを中心としたランダム化比較臨床試験が行われ、その結果に基づいて実地診療ではDXRやIFMを用いた単剤あるいは併用化学療法が行われています。一部の組織型では、上記以外の特定の治療方法を用いる場合もあります。このような組織型として、血管肉腫、胞巣状軟部肉腫、炎症性筋繊維芽細胞性腫瘍、隆起性皮膚線維肉腫、孤立性線維性腫瘍、デスマイド腫瘍などがあげられます。

また、小児や若年成人に発生頻度の高い、骨肉腫、ユーイング肉腫／原始神経外胚葉性腫瘍、横紋筋肉腫などは薬物療法のみならず、外科手術や放射線治療などを用いた集学的治療が必要な肉腫です。

[▲このページの先頭へ](#)

2. 一般的な薬物療法

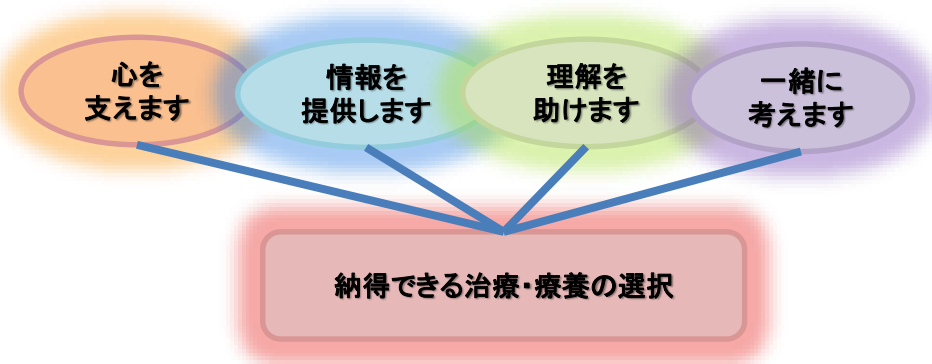
成人の切除が困難あるいは転移している場合の肉腫に対しては、根治は困難であることが多く、治療の目標は延命と症状緩和となり、抗がん剤治療が中心となる治療となります。抗がん剤治療は、体に対して負担がかかる副作用があらわれるため、全身の状態や内臓の機能を考慮しながら適切に薬剤を選択することが重要です。

希少がんに関する最新・最良の情報を発信

3. 希少がんホットライン

希少がんの患者さんが、最良・最適な医療を受けられるよう、専任の看護師が電話相談でお手伝いします。

希少がん患者さんとご家族のために



平日 9:00～16:00

~~03-3542-2511(大代表)~~ → 「希少がんホットラインへ」

2014年7月18日～ ホットライン直通電話開通

03-3543-5601



個々の患者さん・医療関係者
に対する情報提供・お手伝い

相談内容



【患者 Aさん】 20才代男性、関東地方

大腿ユーイング肉腫

3か月前から太ももにできものができて、2か月前から急に大きくなった。近医で検査を行い、ユーイング肉腫の疑いと言われた。手術、抗がん剤治療が必要なため、経験のある専門病院を至急受診するように言われた。

【患者 Bさん】 60才代男性、北海道地方

後腹膜脂肪肉腫疑い

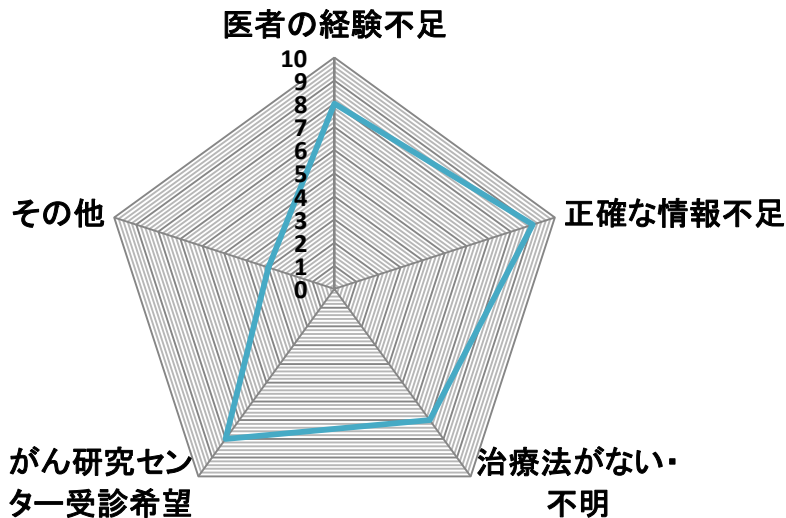
後腹膜の脂肪肉腫疑いで、まれな大きな手術が必要と言われた。症例数の多い病院で手術を受けたい。

【患者 Cさん】 30才代女性、九州地方（担当医より）

小腸GIST(消化管間質腫瘍)

小腸の腫瘍を手術したらGISTという稀な腫瘍であった。患者さんは結婚を控えていて、将来は妊娠、出産も希望。この患者さんに、今後、どのような治療を行うのが適切か、専門家の意見を聞きたい。

相談内訳



のべ163件(2014年1月～5月)

- 病気のことを尋ねても、まれな病気だからわからないと言われる。
- 稀なので病理診断がつかないと言われた。
- 担当医が教科書を開きながら治療している。
- インターネットには色々なことが載っていて何を信用してよいのか分からない。
- 手術後抗がん剤の治療は必要ですか。
- 薬がもうないと言われたが本当でしょうか。
- 自分が参加できる治験を知りたい。
- セカンドオピニオンを聞きたい。
- 症例数の多い施設で診てもらいたい。
- 担当医からがん研究センターに行くように言われた。
-

アンメット・メディカルニーズ

相談者

本人 67人, 家族 76人, 医師 20人

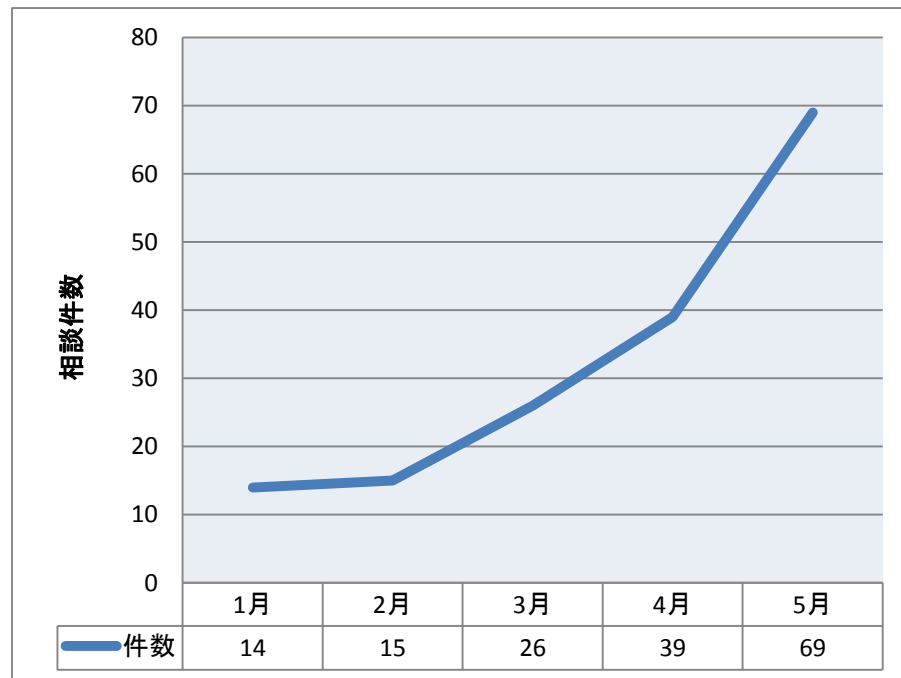
居住地

関東地方 92人, 他の地域 61人
海外 10人

疾患別

肉腫 126人, その他 37人

のべ163件(2014年1月~5月)



希少がん患者さんの抱える
不安・悩みの多さを反映
アンメット・メディカルニーズ

4. 研究開発の支援



希少がん検体

病理診断



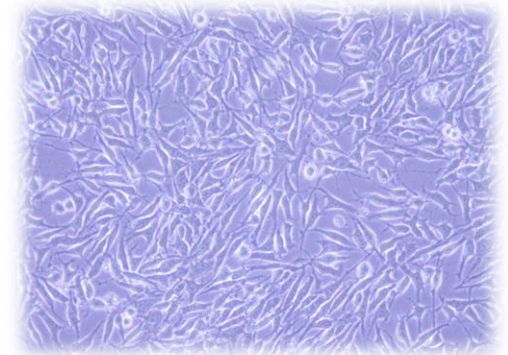
マウス移植



バイオバンク

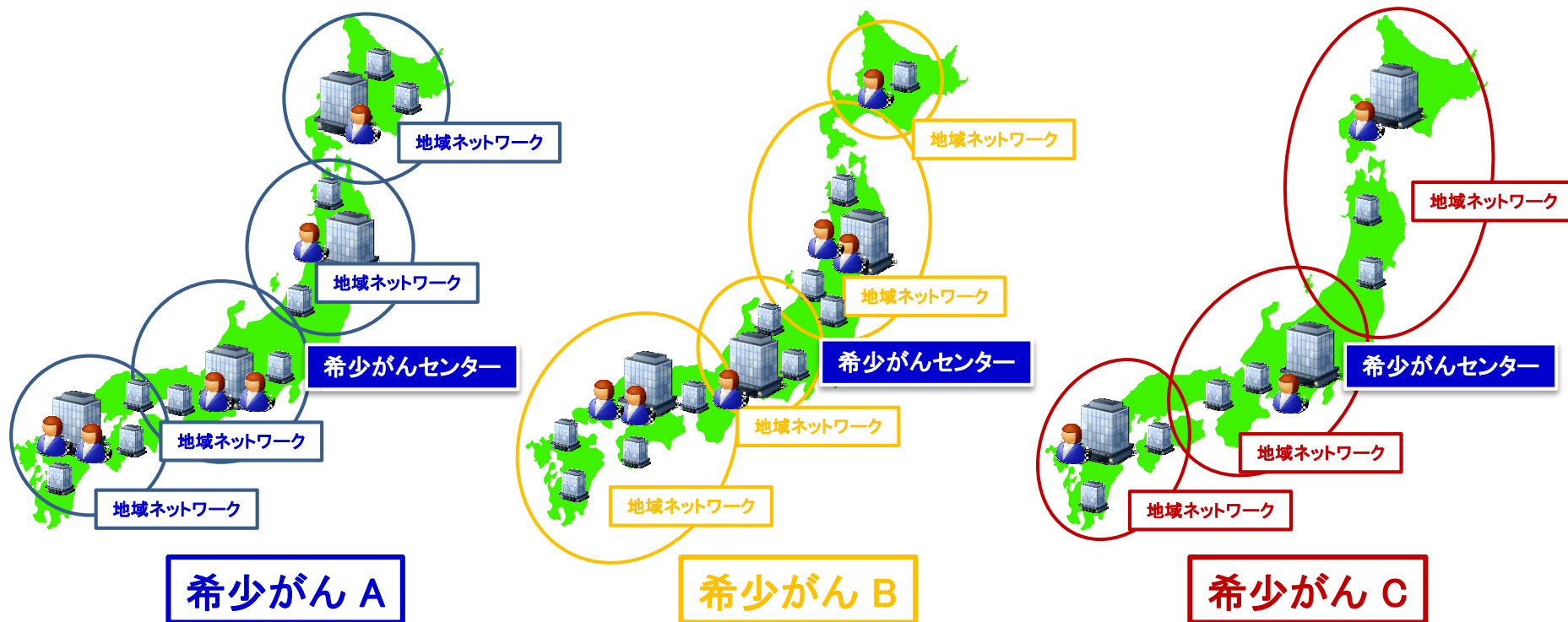


検体採取



細胞培養

5. 希少がんネットワーク



それぞれの希
少がんの実情
にあった

- I. 希少がん診療の支援
- II. 診療情報・知見の共有
- III. 研究・臨床試験(治験)の促進
- IV. 診療体制の最適化

6. 患者団体との交流



国立がん研究センター 希少がんセンター

稀な腫瘍であるがゆえに、診療において不利な状況に置かれている全ての希少がん患者さんのために国立がん研究センターの英知を結集して、臨床の現場から、その解決に挑みます。

みなさまのご支援、ご協力をよろしくお願い申し上げます。

希少がんセンター 一同