京都大学医学部附属病院 KYOTO UNIVERSITY HOSPITAL　NCCJ National Cancer Center Japan　国立研究開発法人 国立がん研究センター

2026 年 11 月 18 日
京都大学医学部附属病院
国立がん研究センター

小児・AYA 世代がんを対象とする患者申出療養「PARTNER 試験」の患者受け入れを京都大学医学部附属病院で開始

― 近畿地方における小児・AYA 世代がん患者さんのドラッグアクセス向上へ ―

■発表のポイント

・京都大学医学部附属病院は、国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院が実施する小児・AYA（Adolescents and Young Adults：思春期・若年成人）世代のがん患者さんを対象とした患者申出療養制度[注 1)]を利用した「PARTNER 試験（NCCH2220)」について、2026 年 9 月 29 日に当院での実施が許可され、患者さんの受け入れを開始しました。
・本試験の実施医療機関は全国で 6 施設となり、近畿地方では当院が初めての実施医療機関となります。
・これにより、近畿地方の小児・AYA 世代のがん患者さんが、より身近な地域で、適応外薬[注 2)]または未承認薬[注 3)]による治療を受ける機会が広がることが期待されます。

■概要

「PARTNER 試験（NCCH2220)」は、標準治療がない、または標準治療に抵抗性である 0 歳から 29 歳までの小児・AYA 世代のがん患者さんを対象に、患者申出療養制度を活用して適応外薬または未承認薬の使用を可能とする医師主導臨床研究で、国立がん研究センター中央病院において 2024 年 1 月より実施されています。

京都大学医学部附属病院は、2026 年 4 月に本試験の実施医療機関として追加され、その後、院内の実施体制の整備を進めてきました。2026 年 9 月 29 日付で当院における本試験の実施が許可され、患者さんの受け入れを開始しました。近畿地方では初めての実施医療機関となります。

これまで本試験の実施医療機関は近畿地方にはなく、対象となる患者さんは遠方の実施医療機関への受診が必要となる場合がありました。当院で患者さんの受け入れを開始することにより、近畿地方の患者さんとご家族が、通院や移動に伴う負担を抑えながら、本試験による治療を受ける機会が広がることが期待されます。

本試験で使用する医薬品は、試験の趣旨に賛同いただいた製薬企業から無償で提供されており、試験の実施に必要な費用は 2026 年 11 月現在、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の研究費により賄われています。患者さんに試験薬の薬剤費のご負担はありませんが、経過中の検査費用や入院費用等は通常の保険診療と同様にご負担いただきます。

※ 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED） 「臨床研究・治験推進研究事業」
「小児・AYA がん患者の薬剤アクセスの改善と薬事承認に利活用可能なデータ収集を目的とした患者申出療養制度に基づく特定臨床研究」

■背景 ― なぜ PARTNER 試験が重要か

小児がんに対して国内で承認されている医薬品は欧米に比べて少なく、小児や AYA 世代のがん患者さんが参加できる治験や臨床試験も多くありません。近年、がん遺伝子パネル検査の普及により、効果が期待される治療薬の候補が見つかる機会は増えていますが、その薬剤が国内で承認されていない（未承認薬）、ほかのがん種にしか承認されていない（適応外薬）といった理由から、保険診療の中では使用できないことが少なくありませんでした。

こうしたドラッグロスへの対応として、国立がん研究センター中央病院は、患者さんやご家族の申し出を起点として適応外薬・未承認薬を使用できるようにする患者申出療養制度を活用し、PARTNER 試験を 2024 年 1 月に開始しました。本試験での実施医療機関は現在、全国 6 施設に拡大し、対象の医薬品も製薬企業 7 社の協力により 10 医薬品に拡大しています。

■京都大学医学部附属病院で患者受け入れを開始する意義

京都大学医学部附属病院は、がんゲノム医療中核拠点病院として、小児がん患者さんのがん遺伝子パネル検査の結果を専門家会議（エキスパートパネル）で検討するとともに、小児がん拠点病院として近畿地方の小児がん診療の中心的な役割を担ってきました。これまでは、検査によって治療薬の候補が見つかっても、その薬剤を使用できる体制が近畿地方にはありませんでした。

本試験の実施により、検査で見つかった遺伝子異常に対応する治療薬の候補を、実際の治療へとつなげる体制が整います。院内では小児科と脳神経外科を中心に、臨床研究支援部門、薬剤部など多診療科・多職種が連携して本試験を実施します。また、近畿地方の医療機関からのご紹介にも対応し、地域全体で小児・AYA 世代のがん患者さんの治療機会を広げていきたいと考えています。

■コメント

・京都大学大学院医学研究科 発達小児科学 教授 滝田 順子

小児・AYA 世代のがんでは、がんゲノム医療の進歩により、遺伝子異常に対応する治療薬の候補が見つかる機会が増えています。一方で、国内で承認されていない、あるいは小児への適応がないため、治療薬が見つかっても実際の治療につなげることが難しい場合があります。今回、当院で PARTNER 試験の患者さんの受け入れを開始することで、近畿地方をはじめとする小児・AYA 世代のがん患者さんがより身近な地域で新たな治療選択を検討できる機会が広がることを期待しています。当院がこれまで培ってきたがんゲノム医療と小児がん診療の体制を生かし、院内の多診療科・多職種、さらに近隣の医療機関とも連携しながら、治療を必要とする患者さんを安全かつ円滑に本試験へつなげられる体制を整えてまいります。

・京都大学大学院医学研究科 脳神経外科学 教授 荒川 芳輝

小児の脳腫瘍では、遺伝子解析によって治療の標的となりうる遺伝子異常が見つかることが少な

くありません。しかし、その異常に対応する薬剤が国内では小児に承認されていないなどの理由から、解析結果を実際の治療につなげることが難しい場合があります。当院では、脳神経外科と小児科が緊密に連携し、小児脳腫瘍に対する手術、放射線治療、薬物療法を一体的に提供しています。今回、PARTNER 試験を開始することで、こうした標準的な治療に加えて、患者さん一人ひとりの腫瘍の遺伝子異常に基づいた薬物療法をご提案できる可能性が広がります。本試験を通じて、遺伝子解析の結果を実際の治療へとつなぐ体制をさらに充実させるとともに、近畿地方をはじめとする医療機関とも連携し、治療を必要とする小児脳腫瘍の患者さんに新たな治療の機会を届けられるよう努めてまいります。

・国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 小児腫瘍科 科長　荒川 歩

小児がんでは、がん遺伝子パネル検査[注 4)]によって治療薬の候補が見つかっても、保険診療で使用できる薬剤が限られていることや、参加可能な治験・臨床試験が少ないことなどから、ドラッグアクセスの改善が課題となっています。こうした課題の解決を目指して開始した PARTNER 試験に、今回、近畿地方で初めて京都大学医学部附属病院が実施医療機関として加わり、とてもうれしく思っています。小児・AYA 世代の小児がんの患者さんが、居住地域にかかわらず、ご自宅の近くで必要な薬剤にアクセスできる体制を広げるため、今後も対象医薬品や実施医療機関の拡大を進めてまいります。

■PARTNER 試験について

本試験は、難治性の小児・AYA 世代のがん患者さんを対象に、患者申出療養制度を利用して適応外薬あるいは未承認薬を投与する医師主導臨床研究です。使用する医薬品は、すでに国内または海外で小児を対象とした臨床試験が行われ、小児における一定の安全性情報がある医薬品を対象としています。

● 試験名

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（Protocol No. NCCH2220；PARTNER 試験）

● 対象となる患者さん（以下のほかにも対象となるための規準があります）

・標準治療がない、または標準治療に抵抗性である 0～29 歳の小児・AYA 世代のがん患者さん（対象年齢は医薬品によって変わることがあります）
・保険適用等で実施されたがん遺伝子パネル検査により、専門家会議（エキスパートパネル）および担当医から適応外薬の推奨がなされていること、または、国内成人もしくは海外小児で薬事承認された医薬品の適応がん種と診断されていること
・適格規準を満たさないなどの理由により、治験や先進医療に参加できないこと　等

● 実施期間

2024 年 1 月より 4 年間（予定）

● 予定人数

1 医薬品あたり最大 30 人（医薬品により最大人数は拡大することがあります）

● 実施医療機関（2026 年 9 月時点）

国立がん研究センター中央病院、北海道大学病院、九州大学病院、岡山大学病院、名古屋大学医学部附属病院、京都大学医学部附属病院

● **対象医薬品リスト（2026 年 10 月時点、10 医薬品）**

分類	一般名	商品名	製造販売業者等
BCR/ABL 阻害薬	イマチニブメシル酸塩	グリベック®錠 100mg	ノバルティス ファーマ株式会社
マルチキナーゼ阻害薬	パゾパニブ塩酸塩	ヴォトリエント®錠 200mg	ノバルティス ファーマ株式会社
JAK 阻害剤	ルキソリチニブリン酸塩	ジャカビ®錠 5mg/10mg	ノバルティス ファーマ株式会社
MEK 阻害剤	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	メキニスト®錠 0.5mg/2mg Mekinist for oral solution メキニスト®小児用ドライシロップ 4.7mg	ノバルティス ファーマ株式会社
抗 PD-L1 ヒト化モノクローナル抗体	アテゾリズマブ（遺伝子組換え）	テセントリク®点滴静注 840mg/1200mg	中外製薬株式会社
マルチキナーゼ阻害剤	カボザンチニブリンゴ酸塩	カボメティクス®錠 20mg	武田薬品工業株式会社
EZH1/2 阻害剤	バレメトスタットトシル酸塩	エザルミア®錠 50mg/100mg	第一三共株式会社
チロシンキナーゼ阻害剤	クリゾチニブ	ザーコリ®カプセル 200mg/250mg	ファイザー株式会社
ドパミン D2 受容体拮抗薬	ドルダビプロン塩酸塩	OP-10	大原薬品工業株式会社
ODC 阻害薬	エフロルニチン塩酸塩	IWILFIN™	USWM, LLC

本試験で使用する医薬品は医薬品提供企業から無償提供されています。

※実施医療機関および対象医薬品は今後変更がある見込みです。最新の情報は、臨床研究等提出・公開システム（jRCT、研究番号：jRCTs031230544）または国立がん研究センターのウェブサイト（https://www.ncc.go.jp/）をご確認ください。

■今後の展望

本試験は、小児・AYA 世代のがん患者さんから使用したいという申し出があると想定される適応外薬・未承認薬をあらかじめ準備し、医師の管理のもとで迅速に使用できる体制を整えることを目

指しています。試験の中で収集される国内の小児・AYA 世代における治療効果や副作用のデータは、将来的に薬事承認や保険適用を検討する際の参考となることが期待されます。

また、本試験では 2026 年 7 月より分散型臨床試験（DCT）の運用も開始されており、対象医薬品や連携医療機関の拡大が進められています。京都大学医学部附属病院としても、近畿地方の医療機関と連携しながら、一人でも多くの小児・AYA 世代のがん患者さんに治療の機会をお届けできるよう取り組んでまいります。

（用語説明）

注 1）患者申出療養制度

困難な病気と闘う患者さんの思いに応え、先進的な治療を受けたいという患者さんの申し出を起点として、身近な医療機関で迅速に受けられるようにする制度です。患者さんの申し出をもとに臨床研究中核病院が臨床研究を立案し、国の患者申出療養評価会議の承認を受けたうえで、安全性・有効性等を確認しながら臨床研究として実施します。

厚生労働省「患者申出療養」制度とは？　https://www.mhlw.go.jp/moushideryouyou/

注 2）適応外薬

医薬品は、使用する病気に対する効能・効果や用法・用量等が定められたうえで承認され、公的保険での投与が可能となっています。承認されている効能・効果や用法・用量以外で使用される医薬品を「適応外薬」といいます。適応外薬の使用は、原則として保険外診療として実施する必要があります。

注 3）未承認薬

日本において薬機法（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）で承認されていない医薬品のことをいいます。未承認薬を使用する場合、基本的には臨床試験のもとで使用することが必要となります。

注 4）がん遺伝子パネル検査

がんにかかわる遺伝子の変化（遺伝子異常）を 1 度に多数調べる検査で、見つかった遺伝子異常に合う治療薬を選び、その後の治療に役立てることを目的としています。がんゲノムプロファイリング検査とも呼びます。検査を受けても、遺伝子異常や対応する医薬品が見つからない場合もあります。

（本件問合せ先）

窪田 博仁
京都大学医学部附属病院 小児科 助教
TEL：075-751-3111(代表)
E-mail：hirohito＠kuhp.kyoto-u.ac.jp

（患者さん問合せ先）

京都大学医学部附属病院 がん相談支援センター
TEL：075-366-7505（9:00～12:00／13:30～16:00、当院休診日を除く）
※本試験への参加をご希望の場合は、まず主治医の先生にご相談ください。

（広報窓口）
京都大学医学部附属病院 総務課企画・広報掛
TEL：075-751-4334（平日 8:30～17:15）
E-mail：koho＠kuhp.kyoto-u.ac.jp

国立研究開発法人国立がん研究センター 企画戦略局 広報企画室
TEL：03-3542-2511（代表）
E-mail：ncc-admin@ncc.go.jp