

対象疾患	試験名	病期等	薬剤種類	実施母体	実施施設	状況	臨床研究登録サイト
急性リンパ性白血病	初発の中間リスク急性リンパ芽球性白血病を有する0から24才の被験者を対象に標準的な強化療法とブリナツモマブを追加した強化療法の有効性と安全性を比較するオープンラベル、ランダム化、第2相、2群試験	初発、中間リスク、強化療法終了時 (生後28日～24歳)	抗CD3/CD19二重抗体（ブリナツモマブ）	医師主導	東京大学i医学部附属病院、他	募集中	JRCT2031230581
CD116陽性骨髄系腫瘍(急性骨髄性白血病、若年性骨髄単球性白血病)	CD116陽性骨髄系腫瘍に対する非ウイルス遺伝子改変キメラ抗原受容体T細胞療法	寛解導入不能・移植後再発 (1歳～)	GMR CAR-T細胞	医師主導	信州大学医学部附属病院	募集中	JRCT2033210029
HER2陽性骨・軟部肉腫、婦人科悪性腫瘍	HER2特異的キメラ抗原受容体（CAR）遺伝子改変T細胞療法の安全性に関する臨床第Ⅰ相試験	再発・難治 (5歳～)	HER2 CAR-T細胞	医師主導	信州大学医学部附属病院	募集中	JRCT2033220088
再発難治神経芽腫あるいは肺転移を有する小児固形悪性腫瘍	再発難治神経芽腫患者、あるいは肺転移を有する小児固形悪性腫瘍に対するNK細胞様CD3陰性細胞（GAIA-102）の安全性を検討する第Ⅰ相試験	転移性・治療切除不能・再発 (1歳～24歳)	NK細胞様CD3陰性細胞	医師主導	九州大学病院	募集中	JRCT2073220054
BRAF融合遺伝子陽性の低悪性度神経膠腫	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膵癌に対するビメチニブの第Ⅱ相医師主導治験	進行・再発 (12歳～、ただし12歳～17歳は40kg～)	MEK阻害剤(ビメチニブ)	医師主導	国立がん研究センター中央病院 北海道大学病院 京都大学医学部附属病院 東北大学病院	募集中	JRCT2031230007
急性骨髄性白血病（FLT3-ITD陰性）	小児再発急性骨髄性白血病に対してフルダラビン+シタラビン+ゲムツズマブオゾ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化比較第Ⅲ相試験	第2再発、第1再発（更なるアントラサイクリン追加が不耐） (生後28日～21歳)	BCL2阻害剤（ベネトクラクス）	医師主導	国立成育医療研究センター 埼玉県立小児医療センター 日本赤十字社愛知医療センター名古屋第一病院 大阪市立総合医療センター 兵庫県立こども病院	募集中	NCT05183035 JRCT2031240283
B細胞性悪性リンパ腫	CD19陽性悪性リンパ腫に対するpiggyBacトランスポゾン法によるキメラ抗原受容体遺伝子改変自己T細胞の第Ⅰ/Ⅱ相医師主導治験	再発・難治 (12歳以上)	CD19.CAR-T細胞（JPCAR019）	医師主導	名古屋大学医学部附属病院 国立がん研究センター東病院 北海道大学病院 京都大学医学部附属病院 九州大学病院	募集中	JRCT2043240071
急性リンパ性白血病	再発又は難治性のCD19陽性B細胞性急性リンパ芽球性白血病に対するpiggyBacトランスポゾン法によるキメラ抗原受容体遺伝子改変自己T細胞JPCAR019の第Ⅰ/Ⅱ相医師主導治験	再発・難治 (1歳以上)	CD19.CAR-T細胞（JPCAR019）	医師主導	名古屋大学医学部附属病院 国立がん研究センター東病院 北海道大学病院 京都大学医学部附属病院 九州大学病院	募集中	JRCT2043240206
血液悪性疾患（ALL、AML、MDS、ML、CML、JMMLなど）または非悪性疾患（原発性免疫不全症候群、先天性代謝異常、遺伝性骨髄不全症など）	血液悪性疾患及び非悪性疾患を有する18歳未満の男性及び女性を対象とした同種造血幹細胞移植（HSCT）においてトレオスルファン併用移植前処置を施行する際の欧米で確立したトレオスルファン投与量が許容されるかを検証するための第1相、非盲検単一アーム試験	再移植を含めて同種移植の適応あり (18歳未満)	トレオスルファン＋フルダラビン（＋ATG）	医師主導	国立成育医療研究センター 東京科学大学病院 東海大学医学部付属病院 名古屋大学医学部附属病院 京都大学医学部附属病院 福井大学医学部附属病院	募集中	JRCT2051250222
小児悪性固形腫瘍	難治性小児悪性固形腫瘍に対する単剤投与およびCPT-11との併用投与におけるE7070の第Ⅰ相医師主導治験	再発・難治 (2歳～19歳, 単剤拡大パートは2歳～29歳)	E7070（Indisulam）単剤 / E7070+CPT-11併用	医師主導	国立がん研究センター中央病院	募集中	JRCT2031260508
芽球性形質細胞様樹状細胞腫（BPDCN）	小児芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍（BPDCN）患者を対象としたNS-401（タグラキソフスブ）の臨床第Ⅳ相試験	2～17歳	IL-3-ジフテリア毒素融合蛋白質（NS-401: タグラキソフスブ（販売名：エルゾンリス®））	企業 （製造販売後臨床試験）	国立成育医療研究センター 北海道大学病院 名古屋大学医学部附属病院 大阪市立総合医療センター 九州大学病院	募集中	JRCT2011250059
慢性GVHD	活動性の中等症から重症の慢性移植片対宿主病（cGVHD）に対する全身治療を要する1歳以上18歳未満の小児を対象としたベルモスジルの非盲検、第Ⅰ/Ⅱ相、多施設共同試験	2ライン以上の全身療法にて難治性又は再発した中等症～重症 (1歳～18歳未満)	ROCK2阻害剤（DFI17893: ベルモスジル経口懸濁液）	企業	国立成育医療研究センター 名古屋大学医学部附属病院	募集中	NCT07116031 JRCT2031260072
KMT2A（MLL）融合AML/ALL又はNPM1変異AML	Mixed Lineage Leukemia（MLL）再構成又はNucleophosmin 1（NPM1）変異が陽性又は陰性の成人急性白血病患者を対象としたDSP-5336の非盲検、用量漸増、用量拡大第1/2相臨床試験	再発・難治 (12歳体重40kg以上)	Menin阻害剤（DSP-5336）	企業	東海大学医学部付属病院 大阪大学医学部附属病院 九州大学病院 長崎大学病院 岡山大学病院 福井大学医学部附属病院 日本医科大学付属病院 東北大学病院 北海道大学病院	募集中 (KMT2A融合AML患者の登録停止)	JRCT2031210594
ユーイング肉腫	再発性または難治性ユーイング肉腫の参加者を対象に、イリノテカンおよびテモゾロミドと組み合わせたアベマシクリブを評価する無作為化非盲検第2相試験	再発・難治 (体重10kg～、1歳～17歳)	CPT-11/TMZ±CDK4/6阻害剤（アベマシクリブ）	企業	国立がん研究センター中央病院 兵庫県立こども病院	登録終了前 （要相談、12歳未満1例のみ募集中）	NCT05440786 JRCT2071220043
慢性骨髄性白血病	フィラデルフィア染色体陽性慢性骨髄性白血病の小児患者を対象にアシミニブの安全性及び有効性を評価する試験	慢性期 (1歳～18歳未満) ①新規診断例 ②T3151変異陽性例 ③既治療 抵抗性/不耐容例	STAMP阻害剤（アシミニブ）	企業	神奈川県立こども医療センター 埼玉県立小児医療センター 九州大学病院	募集中	JRCT2031260265
ラブドイド腫瘍（AT/RTを含む）	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	再発・進行（1レジメン以上に不応・不耐） (1歳～)	抗PD-1抗体（ニボルマブ）	企業	国立がん研究センター中央病院 大阪市立総合医療センター 名古屋大学医学部附属病院 東北大学病院 兵庫県立こども病院 北海道大学病院	募集中	JRCT2051240150
ALK変異陽性腫瘍（血液がんは除く）	進行性非小細胞肺癌（NSCLC）患者及びその他の固形がん患者を対象とした選択的未分化リンパ腫キナーゼ（ALK）阻害薬NVL-655の第Ⅰ/Ⅱ相試験（ALKOVE-1）	局所進行・転移性 (12歳以上・体重40Kg超)	NVL-655（ALK阻害剤）	企業	国立がん研究センター中央病院	募集中	JRCT2031240335
悪性神経膠腫（DIPGを除く）	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+テモゾロミドとテモゾロミド単剤を比較検討する試験	初発・放射線治療後 (21歳未満) (Bevacizumab前治療は不適格)	TMZ±CDK4/6阻害剤（アベマシクリブ）	企業	大阪市立総合医療センター 国立成育医療研究センター	募集中	JRCT2051240121
小児固形がん	CBA-1205第Ⅰ相臨床試験	標準治療がない・標準治療に不応・不耐 (2～20歳) (特に肝芽腫・肝腫瘍)	抗DLK-1抗体（CBA-1205）	企業	国立がん研究センター中央病院	募集中	JRCT2080225288
B細胞性急性リンパ性白血病	再発又は難治性のB細胞性急性リンパ性白血病の小児及び成人患者を対象にAZD0486の安全性及び有効性を評価する第Ⅰ/Ⅱ相試験	再発・難治 (12歳以上)	AZD0486（CD19×CD3 T Cell Engager）	企業	国立がん研究センター中央病院 京都大学医学部附属病院 大阪公立大学医学部附属病院* *成人例のみに対応	募集中	JRCT2051240250
・古典的ホジキンリンパ腫 ・原発性縦隔大細胞型B細胞リンパ腫 ・悪性黒色腫 ・マイクロサテライト不安定性（MSI）-High又はミスマッチ修復機能欠損（dMMR）陽性を有する固形癌 ・腫瘍遺伝子変異量（TMB）-High（10 mut/Mb以上）を有する固形癌（TMBはF1CDx検査要） ・メルケル細胞癌	特定の固形癌若しくはリンパ腫を有する小児患者、又は進行性メルケル細胞癌を有する成人患者を対象とした、MK-3475の第Ⅰ／Ⅱ相試験（KEYNOTE-G21）	リンパ腫：再発・難治（一次治療のnon-CRも含む） その他：局所進行・転移（悪性黒色腫は完全切除後も対象） 年齢：生後6ヵ月～18歳未満 ※ただし悪性黒色腫は12歳以上18歳未満	抗PD-1抗体（ペムブロリズマブ）	企業	九州がんセンター 国立がん研究センター中央病院 名古屋大学医学部附属病院 京都府立医科大学附属病院 札幌北榆病院 兵庫県立こども病院	募集中	NCT07302347 JRCT2041250120
MET増幅を有する固形癌	[M25-279]MET増幅を有する局所進行又は転移性固形癌患者の治療におけるTelisotuzumab Adizutecanの安全性及び有効性を評価する第Ⅱ相試験	局所進行又は転移性 (12歳以上)	c-Met標的ADC（Telisotuzumab adizutecan）	企業	東北大学病院	募集中	JRCT2031250443
小児悪性固形腫瘍及び類上皮肉腫	ONO-4538HSC-04：小児悪性固形腫瘍及び類上皮肉腫を対象にONO-4538HSCの有効性、安全性、薬物動態及び小児における忍容性を評価する、多施設共同非盲検非対照第Ⅰ/Ⅱ相試験	小児悪性固形腫瘍： ①標準治療なし・不応・不耐 ②成人でニボルマブ単剤適応の切除不能 (12～18歳未満) 類上皮肉腫：切除不能な進行・再発 (12～18歳未満)	抗PD-1抗体（ニボルマブ皮下注製剤）	企業	大阪国際がんセンター* 国立がん研究センター中央病院 横浜市立大学附属病院* 静岡県立静岡がんセンター* 北海道大学病院 広島大学病院* 九州大学病院* 千葉大学医学部附属病院* 京都大学医学部附属病院	募集中（*企業あるいは各施設の治験相談窓口へ）	JRCT2031260289

対象疾患	試験名	病期等	薬剤種類	実施母体	実施施設	状況	臨床研究登録サイト
・B細胞性急性リンパ性白血病（B-ALL） ・びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL） ・パーキットリンパ腫 ・神経芽腫 ・ユーイング肉腫	LIGHTBEAM-U01サブ試験01A：血液がん又は固形がんを有する小児及び若年成人治験参加者を対象にMK-2140の安全性及び有効性を評価する第Ⅰ／Ⅱ相サブ試験	再発又は難治性 （6カ月～18歳未満，ユーイング肉腫は6カ月～25歳未満）	ROR1標的ADC（MK-2140）	企業	国立がん研究センター中央病院	募集開始前	JRCT2031250824
深在性真菌症の発症リスクの高い日本人小児患者	日本人小児患者を対象としたAK1820の第Ⅱ相試験	白血病の治療や、悪性腫瘍の化学療法、骨髄移植、ステロイドや免疫抑制剤による治療等で深在性真菌症の発症の可能性が高く、医師からAK1820による予防的治療が有効と判断された患者	AK1820（イサブコナゾニウム）	企業	国立成育医療研究センター 埼玉県立小児医療センター 神奈川県立こども医療センター 静岡県立こども病院 日本赤十字社愛知医療センター名古屋第一病院 大阪市立総合医療センター 兵庫県立こども病院 広島大学病院 北海道大学病院	募集中	JRCT2021260026
サイトメガロウイルス（CMV）感染／感染症	小児及び青年期の造血幹細胞移植（HSCT）患者又は固形臓器移植（SOT）患者におけるサイトメガロウイルス（CMV）感染／感染症を対象にマリバビルの安全性及び忍容性、薬物動態並びに抗ウイルス活性を評価する第3相非盲検単群反復投与試験	造血幹細胞移植/固形臓器移植後のCMV感染/感染症陽性の患者	TAK-620-2004（マリバビル）	企業	兵庫県立こども病院 国立成育医療研究センター 埼玉県立小児医療センター 大阪母子医療センター 静岡県立こども病院	募集中	JRCT2031230753
褐色細胞／パラガングリオーマ	進行褐色細胞腫／パラガングリオーマ、進行膵神経内分泌腫瘍、フォン・ヒッペル・リンドウ病関連腫瘍、進行野生型消化管間質腫瘍、又はHIF-2α関連遺伝子変異を有する進行固形癌の患者を対象にMK-6482（belzutifan）単独療法の有効性及び安全性を評価する第Ⅱ相試験	進行（切除不能及び／又は転移性） 12歳以上（12～17歳の小児の場合は体重40 kg以上）	MK-6482（belzutifan）	企業	北海道大学病院 東北大学病院 名古屋大学医学部附属病院 京都医療センター 国立がん研究センター中央病院 国立国際医療センター 国立成育医療研究センター 九州大学病院	募集中	NCT04924075 JRCT2011220024
骨肉腫又は軟部肉腫	治療歴を有する切除不能な進行又は転移を有する肉腫患者を対象としたRisvutatug Rezetecanの有効性及び安全性を評価する第1b/2相試験	治療歴を有する切除不能な進行又は転移を有する（12歳以上）	Risvutatug Rezetecan（B7-H3 ADC）	企業	北海道がんセンター 国立がん研究センター中央病院 岡山大学病院 九州大学病院	募集中	NCT07602777 JRCT2011260016
小児・AYA固形がん （遺伝子パネル検査結果でActionableな遺伝子異常を有する、本邦または海外で薬事承認された分子標的薬の適応がん腫と診断される）	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	標準治療がない・標準治療に不応・不耐（0～29歳※） ※医薬品コホートにより異なる	BCR/ABL阻害剤（イマチニブ） MK阻害剤（バゾバニブ） JAK阻害剤（ルキシリチニブ） MEK阻害剤（トラメチニブ） 抗PD-L1抗体（アテゾリズマブ） MK阻害剤(カボザンチニブ) EZH1/2阻害剤(パレメトスタット) ALK/ROS1阻害剤（クリゾチニブ） ドーパミンD2受容体拮抗薬（OP-10） ODC阻害剤（エフロルニチン）	特定臨床研究（患者申出療養制度）	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	募集中	JRCTs031230544
悪性固形腫瘍 （保険適応済みまたは評価療養として実施している遺伝子パネル検査でActionableな遺伝子異常を有する）	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）	治癒切除不能・進行性（15歳～）	mTOR阻害剤（エベロリムス） JAK阻害剤（ルキシリチニブ） ALK阻害剤（アレクチニブ） MK阻害剤（ニロチニブ、バゾバニブ） FGFR阻害剤（フチバチニブ）	特定臨床研究（患者申出療養制度）	国立がん研究センター中央病院 北海道大学病院 東北大学病院 国立がん研究センター東病院 東京大学医学部附属病院 静岡県立静岡がんセンター 名古屋大学医学部附属病院 京都大学医学部附属病院 大阪大学医学部附属病院 岡山大学病院 慶應義塾大学病院 九州大学病院 がん研究会有明病院	募集中	JRCTs031190104
悪性固形腫瘍 （保険適応済みまたは評価療養として実施している遺伝子パネル検査でActionableな遺伝子異常を有する）	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）	治癒切除不能・進行性（～14歳）	ALK阻害剤(アレクチニブ) mTOR阻害剤(エベロリムス) TRK阻害剤(エヌトレクチニブ) MK阻害剤（ニロチニブ） JAK阻害剤（ルキシリチニブ）	特定臨床研究（患者申出療養制度）	国立がん研究センター中央病院 北海道大学病院 東北大学病院 名古屋大学医学部附属病院 京都大学医学部附属病院 九州大学病院	募集中	JRCTs031190104
初発ユーイング肉腫	初発ユーイング肉腫の成績向上のための国際臨床研究プログラム－Trial 1（NCCH2411）	限局性又は転移性 ※ランダム化コホートにより異なる	MK阻害剤（レゴラフェニブ） ピノレルビン酒石酸塩	特定臨床研究（先進医療B）	国立がん研究センター中央病院 京都大学医学部附属病院 九州大学病院 北海道大学病院	募集中	JRCTs031260085