

小児がん患者に治療を：ドラッグ・ラグ解消へ向けた研究に関するクラウドファンディングの分析



HOKKAIDO UNIVERSITY

◎横式沙紀¹、佐久嶋研¹、木下一郎^{2,3}、山口秀⁴、大原克仁^{2,3}、真部淳⁵、磯江敏幸¹、佐藤 典宏¹

1：北海道大学病院医療・ヘルスサイエンス研究開発機構、2：北海道大学病院がん遺伝子診断部、3：北海道大学病院腫瘍内科、4：北海道大学病院脳神経外科、5：北海道大学大学院医学研究院小児科学教室

目的

ダブラフェニブ・トラメチニブは、小児固形腫瘍に対して米国では承認済みであったが、日本では未承認であった(特定臨床研究開始時点)。このドラッグ・ラグ／ロスに対して、北海道大学病院では、製薬企業から薬剤提供を受けて患者申出療養制度による特定臨床研究を開始した。当該特定臨床研究の患者負担の軽減のためクラウドファンディング(CF)を実施したことから、得られた経験を今後活かすことを目的に情報発信と効果を分析した。

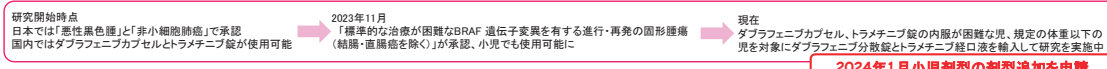
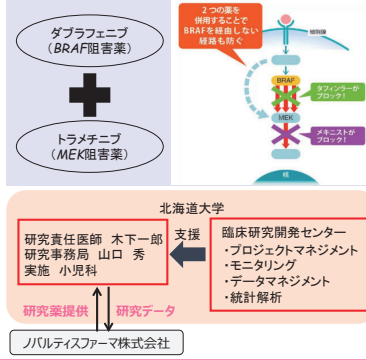
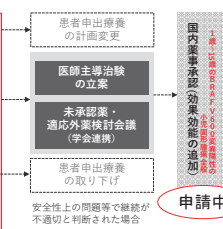
プロジェクト概要

2020年、北海道大学病院の9歳の患者さんのBRAF V600E変異が明らかとなったことが本研究のはじまり。しかし、当院では適応外使用が許可されず、臨床研究を計画することとなったが、計画中に患者さんはなくなってしまう。。別の患者さんからの申出により、患者申出療養制度を利用した特定臨床研究を実施することとなった。

患者申出療養

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・トラメチニブの第II相試験

- 試験デザイン：非盲検単群単施設試験
- 対象：1歳～15歳のBRAF V600 変異陽性局所進行・転移性小児固形腫瘍
 - 選択基準 遺伝子パネル検査によりBRAF V600変異陽性と判明しているなど
 - 除外基準 RASの活性化変異を有する悪性腫瘍又はBRAF-KIAA1549などのBRAF融合を伴う悪性腫瘍の既往があるなど
- 目的：ダブラフェニブ・トラメチニブの有効性及び安全性の評価
- 主要評価項目：測定可能病変を有する患者の治療開始後24週までの確立したRECIST version1.1に基づく奏効率
- 期間：患者申出療養制度承認後～2027年3月31日
- 研究対象者数：測定可能病変を有する者18名、測定可能病変を有さない者0-10名
- 予想される有害事象：QT延長、皮疹など



しかし、患者さんの負担が大きい

- ✓ 薬剤の輸入費用や、北海道への交通費・滞在費
 - ✓ 患者さんの交通費や滞在費の負担軽減のため、日本国内・複数の病院での実施を計画中
 - しかし、多施設で安全に研究を実施するためにモニタリング費用・データマネジメント費用等が必要
- ⇒ **そこで、クラウドファンディングを実施し、研究資金を集めることとした**

方法

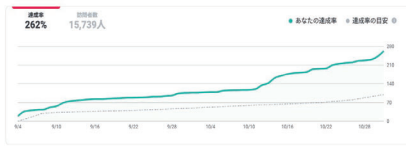
CF期間中に実施した情報発信の具体的な内容を整理し、実施時期とCFサイトへの訪問者数、支援者数との関係、流入経路、寄付者のコメント等を分析した。

結果

基本データ

実施期間 57日間 2023年9月4日(月)～2023年10月31日(火)	訪問者数 15,739人
第1目標 100,000,000円 第2目標 250,000,000円	支援数 1,301件
All or Nothing型	支援金額 26,241,000円 第2目標達成
プラットフォーム READYFOR	支援率 8% (READYFORの平均は、3%)
	1人あたりの支援額 20,893円
	第三者支援数(人数) 77.63%
	(知り合い数291 第三者数 1,010)
	第三者支援数(金額) 62.97%
	(知り合い数9,717,000 第三者数 16,524,000)

※支援時アンケートで「実行者を知り合っている」にチェックをつけなかった方を集計



2023/9/28 第一目標達成 ⇒ 1回目ピーク (2023/10/6) ⇒ インフルエンサーによるX(旧Twitter)でのシェア後 ⇒ 4,800人を超える訪問

2回目ピーク (2023/10/13) ⇒ テレビのニュース番組放映とそれに続くネットニュース掲載後 ⇒ 約3,700人の訪問

実施した情報発信

北海道大学および北海道大学病院のWEBサイトの掲載、ラジオ放送3回(北海道内)、テレビ放送3回(北海道内2回、全国1回)、新聞掲載2回(道内1回、全国1回)



⇒通常の大型プロジェクトとは異なり、メディアに取り上げられたことにより、個人からの支援の増加が顕著にみられた

閲覧者の流入経路ランキング		閲覧者の地域カテゴリーランキング	
参照元/メディア	セッション数	地域	セッション数
1 直接流入(もしくは参照元不明)	11,158	1 東京都	9,202
2 X(旧Twitter)	5,836	2 北海道	8,786
3 READYFORメール	5,141	3 大阪府	1,539
4 Google検索	2,328	4 千葉県	1,132
5 Yahoo!検索	1,295	5 埼玉県	946
6 北海道大学 HP	1,184	6 神奈川県	868
7 北海道大学 HP	684	7 兵庫県	620
8 Facebook	544	8 京都府	612
9 READYFORメールマガジン	482	9 愛媛県	595
10 QRコード(配布チラシ)	477	10 栃木県	541

⇒直接流入(直接知り合いに連絡をし、閲覧があったもの)が最多
⇒直接流入や検索エンジン流入が多いことから、元々興味関心があった相にしかりアプローチできた
⇒北海道よりも東京の閲覧が多かったことからメディアの影響が大きかったことがうかがえる

ご寄付いただいた方からの応援コメント

小児がん患者さん・そのご家族の方

息子もこの病気でお空に旅立ちました。有効な薬があれば何度か思いました。なので、一人で多くのお子様、ご家族さまがこの研究により笑顔でいられますように願っております。

おなしてくれてありがとう。つかえる薬やすやすのをがんばってください。おうえんします！

子どもも小児がん経験者です。ドラッグラグを経て承認された薬を服用することができました。どうか必要な薬が届きますように。

一般の方

子ども達がやりたい事、したい事が出来たように、またドラッグ・ラグの問題が良い方向に進む事を願っています！

二人の子供を持つ父親です。小児がんの記事を読むと、いつも、いたたまれない複雑な心境になります。医学には全く貢献できない職種ですが、小児がん治療の更なる進歩を願って少額ですが寄附いたします。

ニュースでこちらのクラウドファンディングについて知り、寄付させていただきました。子どもたちの未来のために少しでも役に立てましたら幸いです。治療の成功を祈念しております。

小児がん経験者や患者のご家族からの寄付が一定数みられた
メディアからの訪問者や全く関係のない一般の方からの寄付も多かった

考察・結論

予定した情報発信に加え、実際に課題に直面している医師・インフルエンサーから小児医療に強く関心のある層への情報発信や、テレビ放映がネットニュースに取り上げられるといった複合的なメディア展開が、訪問者数に対して大きな効果があったと考えられた。