

## 患者申出療養「マルチプレックス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分子標的治療」の医薬品コホート（メキニスト錠）の新規登録停止及び統計解析の実施について

### 1. 背景

- 本療養は、遺伝子パネル検査を受け、actionable な遺伝子異常を有することが判明した患者に対し、それぞれの遺伝子異常に対応する医薬品（適応外薬）の投与を行う患者申出療養である。
- 本療養においては、現在、22 種類の医薬品（2 種類の併用療法含む）が対象となっているところ（※ 別紙 1 参照）。
- また、本療法における症例登録数については、研究実施計画書において、
  - ・ 医薬品ごとに登録数に一定の上限を設ける
  - ・ この上限は、医薬品ごとにある程度の探索的な検討が可能になると考えられる 50 例（測定可能病変を有する登録例）を目安とする
  - ・ 登録数に達した時点で、患者申出療養評価会議に諮り、計画変更の要否を検討するとされているところ。

### 2. 報告の概要

- 本療養の対象となっている医薬品のうち、以下の医薬品については、症例登録数が、事前に設定した登録数上限の 50 例に達した旨について、別紙 2 のとおり報告があった。
  - ・ メキニスト錠
- なお、当該医薬品のコホートについては、新規登録を停止し、今後追跡を行った上で、統計解析を実施する予定とのこと。

### 3. 今後の対応について

- 登録数上限に達した医薬品について、新規登録を停止し、予定どおり統計解析を進めることとしてよいか、ご確認いただきたい。

NCCH1901（受け皿試験）医薬品リスト

2022年9月26日版

	分類	一般名	販売名	製造販売業者等	小児	備考
	ALK 阻害薬	セリチニブ	ジカディア錠 150mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	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	—	無償提供
	mTOR 阻害薬	エベロリムス	アフィニトール錠 2.5mg/5mg アフィニトール分散錠 2mg/3mg	ノバルティス ファーマ株式会社	対象	無償提供
	BRAF 阻害薬	ダブラフェニブメシル酸塩	タフィンラーカプセル 50mg/75mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	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/ 2 mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	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	—	無償提供
併用療法	BRAF 阻害薬	ダブラフェニブメシル酸塩	タフィンラーカプセル 50mg/75mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	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/ 2 mg			
	マルチキナーゼ阻害薬	ニロチニブ塩酸塩水和物	タシグナカプセル 50mg/150mg/200mg	ノバルティス ファーマ株式会社	対象	無償提供
	JAK 阻害剤	ルキシロチニブリン酸塩	ジャカビ錠 5mg/10mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	MET 阻害剤	カプマチニブ塩酸塩水和物錠	タブレクタ 150mg/200mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	ALK 阻害薬	アレクチニブ塩酸塩	アレセンサカプセル 150mg	中外製薬株式会社	対象	無償提供
	抗 HER2 ヒト化モノクローナル抗体	トラスツズマブ（遺伝子組換え）	ハーセプチン注射用 150mg	中外製薬株式会社	—	無償提供
	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 1200mg	中外製薬株式会社	—	無償提供
	チロシキナーゼ阻害剤	エヌトレクチニブ	ロズリートレクカプセル 100mg/200mg	中外製薬株式会社	対象	無償提供
	ヒト型抗ヒト PD-1 モノクローナル抗体	ニボルマブ（遺伝子組換え）	オプジーボ点滴静注 240mg	小野薬品工業株式会社	—	無償提供

## NCCH1901（受け皿試験）医薬品リスト

2022年9月26日版

併用療法	BRAF 阻害剤	エンコラフェニブ	ビラフトピカプセル 50mg	小野薬品工業株式会社	—	無償提供
	MEK 阻害剤	ビメチニブ	メクトビ錠 15mg	小野薬品工業株式会社	—	無償提供
	チロシキナーゼ阻害剤	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	—	無償提供
	チロシキナーゼ阻害剤	ボナチニブ塩酸塩錠	アイクルシグ 15mg	大塚製薬株式会社	—	無償提供
	CDK4/6 阻害剤	アベマシクリブ	ベージニオ錠 50mg/100mg/150mg	日本イーライリリー株式会社	—	無償提供
	PARP 阻害剤	ニラパリブ	ゼジューラ錠 100mg	武田薬品株式会社	—	無償提供

※小野薬品工業株式会社より、実施医療機関への薬剤搬送費として資金提供を受けている

※大塚製薬株式会社より、実施医療機関への薬剤搬送費として資金提供を受けている

## 医薬品コホートの登録数に関する報告

「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)

2023年3月31日

国立研究開発法人 国立がん研究センター中央病院 先端医療科

山本 昇

本試験の対象となっている医薬品のうち、以下の2医薬品については、測定可能病変を有する登録数が、研究実施計画書において事前に設定した登録数上限の50例に達したため、報告致します。

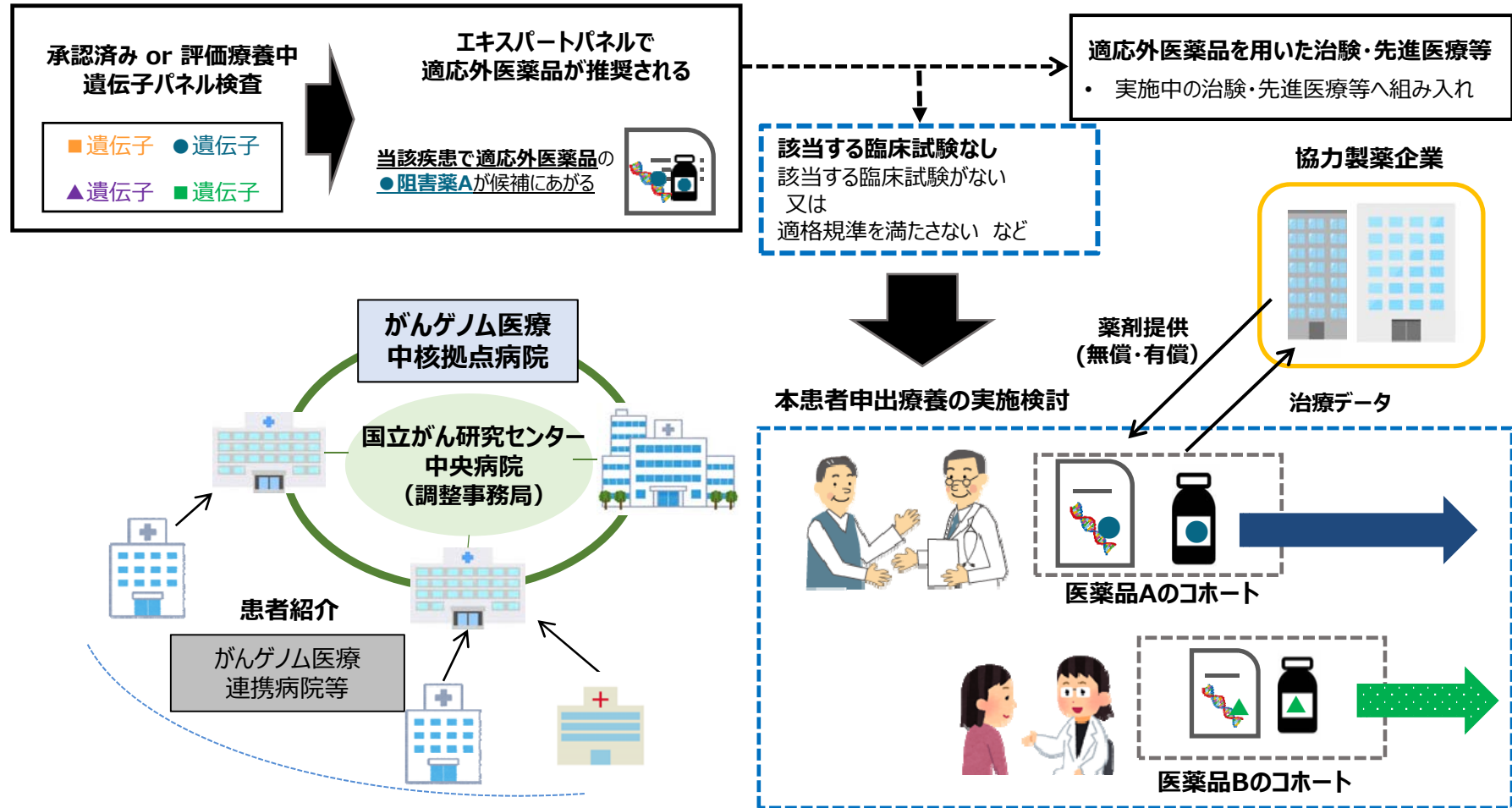
- メキニスト錠

当該コホートについては、新規登録を停止し、今後追跡を行い、統計解析を実施致します。

以上

# 医療技術の概要図

(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)



- 国立がん研究センター中央病院が全体の調整事務局となり、**がんゲノム医療中核拠点病院で行う多施設共同研究。**
- 賛同が得られた製薬企業からは**医薬品の提供を受けて実施する。**
- 遺伝子パネル検査の結果に基づいてエキスパートパネルが推奨した治療（医薬品）ごとに、複数コホートで適応外医薬品の治療を行うバスケット型・アンブレラ型の臨床研究として実施する。

# 薬事承認に向けたロードマップ

## 【患者申出療養】

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

○対象：我が国で保険適用済み、あるいは評価療養として実施された遺伝子パネル検査でactionableな遺伝子異常を有する固形腫瘍

○目的：遺伝子パネル検査を受け、actionableな遺伝子異常を有することが判明した患者の申出に基づき、当該遺伝子異常に対応する適応外薬を患者申出療養制度に基づいて投与すること。

○評価項目：

主要：各医薬品コホートにおける、測定可能病変を有する患者の治療開始後16週までの最良総合効果に基づく奏効割合  
副次：全生存期間、無増悪生存期間、病勢制御割合、有害事象発現割合

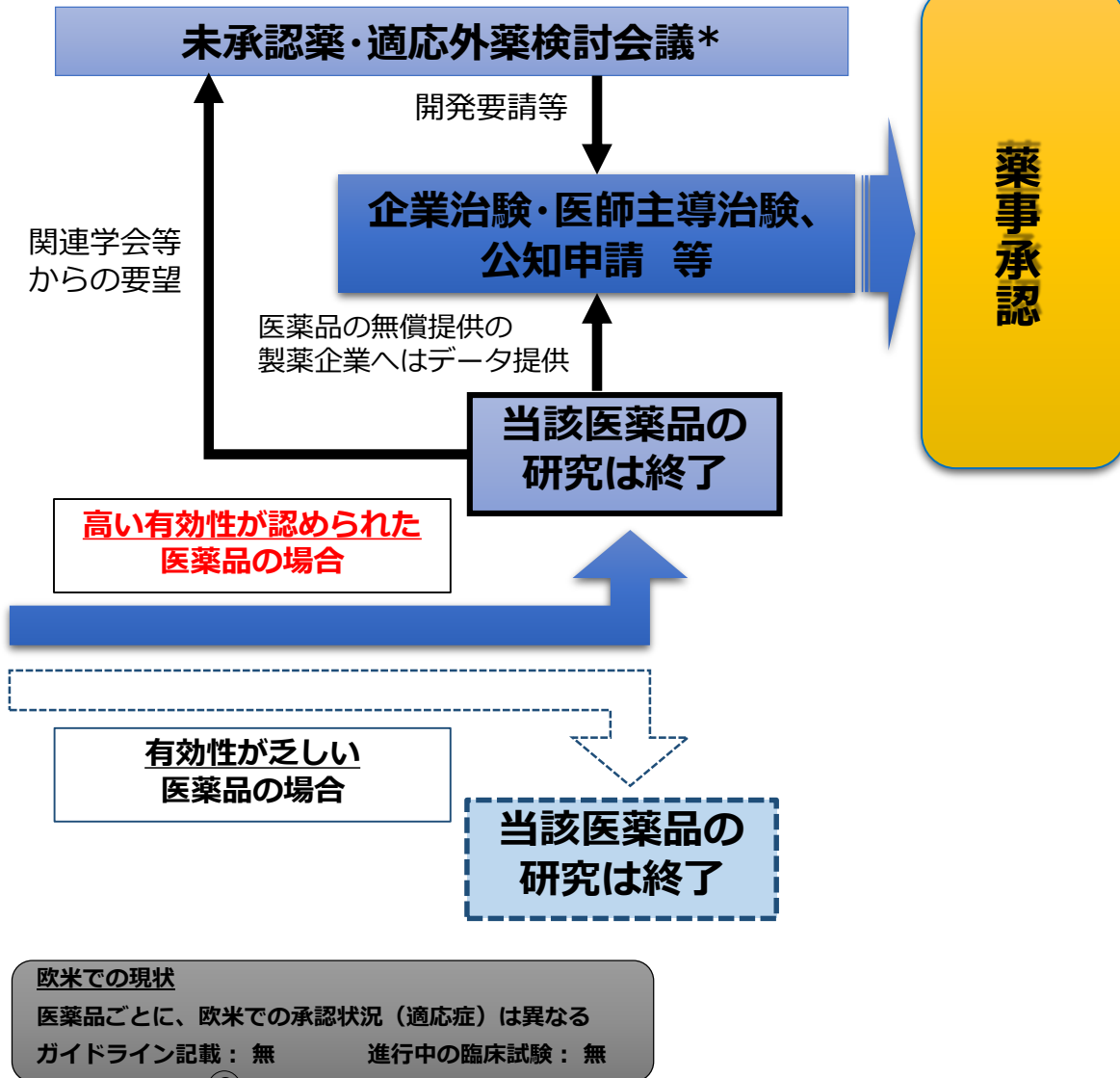
○予定登録期間：5年間

○実施医療機関：1) がんゲノム医療中核拠点病院、2) 重篤な有害事象が発生した場合、24時間、365日適切に対応できる体制が確保されている

○主な選択基準：

- ・固形腫瘍と診断されている（原発不明がんを含む）
- ・治癒切除不能な進行性（転移性および/または局所進行）の病変を有し、標準治療（もしくは標準治療に準じる治療）が存在しない又は当該標準治療が中止された
- ・年齢制限なし
- ・遺伝子パネル検査を受け、actionableな遺伝子異常を有することが判明している
- ・当該患者において、actionableな遺伝子異常とそれに基づく治療選択肢を検討したエキスパートパネルの検討結果を証する書類を有している（レポートや、診療録、会議録の写しを含む）
- ・研究責任医師あるいは研究分担医師と患者の相談により、治療薬（患者が申出た医薬品）を選定したことについて診療録に記録がされている
- ・治療薬について、当該疾患では薬事承認が得られていない（治療薬が患者にとって適応外薬となる）
- ・日本国内の医療機関において実施中の企業治験、医師主導治験、先進医療の対象ではない
- ・がんゲノム情報管理センター（C-CAT）へ患者情報を登録し、本研究のために利用することへ同意している
- ・本研究のために収集したデータを、当該医薬品を無償提供した製薬企業に提供することへ同意している

\*医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議



### 欧米での現状

医薬品ごとに、欧米での承認状況（適応症）は異なる  
ガイドライン記載： 無      進行中の臨床試験： 無