

先進医療の内容 （概要）

先進医療の名称：ゲムシタビン耐性胆道癌患者を対象としたアキシチニブ単剤療法の第Ⅱ相試験

適応症：胆道癌

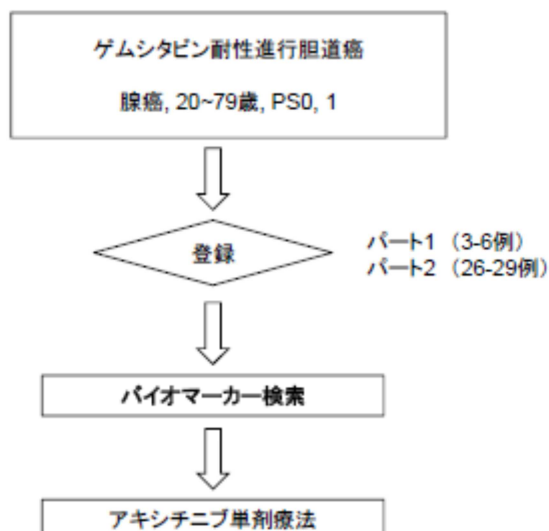
内容：

（先進性）

現在、わが国で胆道癌に保険適用のある薬剤は、ゲムシタビン、S-1 およびシスプラチン（ゲムシタビンとの併用）に限られており、ゲムシタビン+シスプラチン併用療法（GC 療法）が切除不能または再発胆道癌の標準 1 次療法として広く用いられている。また、ゲムシタビン+S-1 併用療法（GS 療法）も同等以上の効果が期待され、1 次治療として臨床試験が行われている。これらのゲムシタビンベースによる一次治療の有効性は確認されているものの、ほとんどの患者で病勢増悪あるいは有害事象により治療を中止せざるを得ないのが現状である。

胆道癌患者の予後改善には有効な 2 次治療の開発が急務であるが、これまで有用性が確認された 2 次治療は確立していない。本試験によるアキシチニブはマウスを用いた前臨床試験で胆道癌に対する有効性が示唆されている。現在、アキシチニブは胆道癌に保険適用に未承認であり、本研究では有効性と安全性を探索的に評価するため、小規模な第Ⅱ相試験を実施し、保険適用の承認を目指した今後の臨床開発を実施するか否かを判断する。

（概要）



目的

ゲムシタビンベースの化学療法が耐性となった切除不能または再発胆道癌患者（肝内胆管癌、肝外胆管癌、胆嚢癌、乳頭部癌）を対象として、分子標的治療薬アキシチニブの有効性と安全性を検討する。主要評価項目は無増悪生存期間、副次評価項目は奏効割合、全生存期間、有害事象発生割合、重篤な有害事象発生割合、血管新生に係わるバイオマーカーの発現とする。

対象

ゲムシタビンベースの化学療法が耐性となった切除不能または再発胆道癌患者。

治療法

アキシチニブ（開始用量）として1回 5mg を1日2回経口投与する。

予定登録数と研究期間

予定登録数：32 例

パート部分1： 3 例（先行臨床研究として杏林大学医学部附属病院で実施）

パート2 部分： 29 例

登録期間：2 年、追跡期間：登録終了後 6 ヶ月

（効果）

主要評価項目である無増悪生存期間（PFS）について、閾値 PFS 中央値を2 ヶ月、期待 PFS 中央値を3.0 ヶ月と設定する。

（先進医療にかかる費用）

アキシチニブはファイザー株式会社から無償提供となり、患者の負担はない。

それ以外の費用は保険診療で実施する。本試験治療は外来通院で実施する。

典型的な場合の例は以下の通りである。

治療期間 62 日として、

保険者負担	118,440 円
先進医療にかかる費用（アキシチニブ薬剤費、人件費）	1,131,905 円
保険外併用療法費分に係る一部負担金	50,780 円
合計	1,301,125 円
（患者負担	50,780 円）

様式第 3 号

先進医療の実施計画

1. 先進医療技術の名称

ゲムシタビン耐性胆道癌患者を対象としたアキシチニブ単剤療法の第Ⅱ相試験

2 - 1. 使用する医薬品又は医療機器について

① 使用する医療機器（未承認又は適応外のものから記載すること。）

医療機器名	製造販売業者名及び連絡先	型式	薬事法承認又は認証番号（16桁）	薬事法承認又は認証上の適応（注1）	薬事法上の適応外使用の該当（注2）

② 使用する医療材料（ディスポーザブル）及び医薬品

（未承認又は適応外のものから記載すること。）

品目名	製造販売業者名及び連絡先	規格	薬事法承認又は認証番号（16桁）	薬事法承認又は認証上の適応（注1）	薬事法上の適応外使用の該当（注2）
アキシチニブ	ファイザー株式会社 （連絡先は2-3の項に記載）	1 mg錠	22400AMX00737000	根治切除不能又は転移性の腎細胞癌	適応外
アキシチニブ	ファイザー株式会社 （連絡先は2-3の項に記載）	5 mg錠	22400AMX00738000	根治切除不能又は転移性の腎細胞癌	適応外

③ 医療機器、医療材料又は医薬品が薬事法上の適応外使用に該当する場合の薬事法承認一部変更申請状況

医療機器名又は品目名	薬事法承認一部変更申請状況
アキシチニブ	現在のところ一部変更申請は行っていない。

④ 医療機器、医療材料又は医薬品が薬事法上の未承認又は適応外使用に該当する場合の使用等方法

アキシチニブとして1回5 mgを1日2回経口投与する。なお、患者の状態により適宜増減するが、1回10 mg 1日2回まで増量できる。

⑤ 承認又は適応外の場合は、□にレと記載する。



当該医薬品・医療機器について、薬事承認の申請時及び取得時において、申請企業から情報提供がなされることとなっている。

注 1) 薬事法承認又は認証上の使用目的、効能及び効果を記入すること。

注 2) 薬事法において適応外使用に該当する場合は「適応外」、薬事法で承認された適応の範囲内の使用の場合は「適応内」と記載すること。

2－2．海外での承認に関する情報

米国での薬事承認の状況

「一次治療（全身療法）に抵抗性を示した進行腎細胞癌」の適応症で承認されている。胆道癌の適応症では承認されていない。

欧州での薬事承認の状況

「スニチニブまたはサイトカインに抵抗性を示した進行腎細胞癌」の適応症で承認されている。胆道癌の適応症では承認されていない。