

先進医療の内容 （概要）

先進医療の名称：進行期乳房外パジェット病に対するトラスツズマブ、ドセタキセル併用療法

適応症：HER2 陽性の進行期乳房外パジェット病

内容：

（先進性）

乳房外パジェット病に対する治療は、乳癌における化学療法を流用して行われているのが現状で、ガイドラインに明記された治療もなく、症例報告を頼りにした個別の治療が実施されている。近年ではドセタキセルを用いた化学療法の有効性が報告されているが、後方視的な研究のみであり、その効果も十分とは言い難い。

HER2 蛋白陽性である乳癌、胃癌に対する最新治療として、HER2 阻害薬と抗癌剤を併用した治療が実施され、その有効性と安全性が示されている。同じ HER2 蛋白陽性である乳房外パジェット病に対するトラスツズマブ(HER2 阻害薬)の有効性は、日本のみならず世界的にも前向き研究が実施されていない。その点において、本治療は先進性がある治療である。

（概要）

切除不能な進行期乳房外パジェット病に対して、トラスツズマブ、ドセタキセル 2 剤を投与し、その効果と安全性を評価する。いずれも乳癌における治療と同様に 21 日を 1 クールとし、3 クール時に評価する。11 例を対象とした単群・オープン試験である。

（効果）

切除不能な進行期乳房外パジェット病に対するドセタキセルの有効性については、後ろ向き研究において 54%(13 例中 7 例)と報告されている。前向き研究が実施されていないため明確な予測ができないが、HER2 陽性症例においてはトラスツズマブの併用による上乗せ効果により、75%の奏功率が期待される。本先進医療の主要評価項目は、この奏功率を明らかにすることにある。

（先進医療にかかる費用）

本技術に係る総費用は702,434円である。先進医療にかかる費用は575,208円（検査および3回の治療につき）であり、このうち企業負担は346,234円となり、よって患者負担額は228,974円である。

様式第 3 号

先進医療の実施計画

1. 先進医療技術の名称

進行期乳房外パジェット病に対するトラスツズマブ、ドセタキセル併用療法

2 - 1. 使用する医薬品、医療機器又は再生医療等製品について

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	医薬品医療機器法承認又は 認証番号 (16桁)	医薬品医療機器法承認 又は 認証上の適応 (注1)	医薬品医療機器法上の 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	医薬品医療機器法承認 又は 認証番号 (16桁)	医薬品医療機器法承認 又は 認証上の適応 (注1)	医薬品医療機器法上の 適応外使用 の該当 (注2)
ハーセプチン	中外製薬	60mg 150mg	21600AMY00065 21300AMY00128	乳癌、胃癌	適応外
ドセタキセル	サノフィ	20mg 80mg	22100AMX01407 22100AMX01369	乳癌、非小細胞肺癌、 胃癌、頭頸部癌など	適応外

③使用する再生医療等製品（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	医薬品医療機器法承認 又は 認証番号 (16桁)	医薬品医療機器法承認 又は 認証上の適応 (注1)	医薬品医療機器法上の 適応外使用 の該当 (注2)

④医療機器、医療材料、医薬品又は再生医療等製品が医薬品医療機器法上の適応外使用に該当する場合の医薬品医療機器法承認一部変更申請状況

医療機器名又は品目名	医薬品医療機器法承認一部変更申請状況
②に記載した全ての医薬品	乳房外パジェット病への使用のための適応拡大申請はなされていない。

⑤医療機器、医療材料、医薬品又は再生医療等製品が医薬品医療機器法上の未承認又は適応外使用に該当する場合の使用方法等

--

⑥未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・再生医療等製品について、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) 医薬品医療機器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) 医薬品医療機器法において適応外使用に該当する場合は「適応外」、医薬品医療機器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

適応外（他の疾患に対しては承認されている）

欧州での薬事承認の状況

適応外（他の疾患に対しては承認されている）