

先進医療審査の事前照会事項に対する回答

先進医療技術名：固形がん患者における初回治療時の包括的ゲノムプロファイル検査の実現性と治療選択への有用性を評価する前向き研究

2020年 2月 5日

所属・氏名：国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院
内科／呼吸器内科 山本 昇

1. ロードマップにおいて、当該先進医療と別に 400 例の患者を対象とする前向き観察研究が計画され、これら 2 つの研究で登録された症例計 600 例を別途解析する予定もあると記載されている。先進医療と前向き観察研究では同じ医療行為に対する患者の経済負担が異なると思われる、また、科学的な品質にも差異が生じる可能性があることから、これら 2 つの研究を別々に実施する理由を説明してください。

【回答】

ご指摘いただきありがとうございます。

先進医療の研究計画書内、2.5.2章に記載しておりますように、理想的には、初回治療時に包括的ゲノムプロファイル検査を行う患者と行わない患者とのランダム化比較試験が科学的な品質を担保する上で有用と思われませんが、早い時期での包括的ゲノムプロファイル検査を希望した患者が対照群に割り付けられた場合、研究用等の他のゲノムプロファイル検査を受ける可能性があることや、経済負担の差が大きいなどの理由からランダム化は困難と判断しております。

可能な限り初回治療時の包括的ゲノムプロファイル検査の臨床的有用性を、標準治療終了後に行う場合と比較検討ができるように、標準治療終了後に包括的ゲノムプロファイル検査を行った患者のデータを後ろ向きに収集するのではなく、本先進医療の登録期間と同時期に初回治療を開始し、その治療開始時点では包括的ゲノムプロファイル検査を行わない患者を対象として前向きに臨床情報を収集する別の観察研究を並行して行うこととしました。観察研究では、先進医療に登録された患者のがん種・年齢などの背景因子と調整することで、科学的な品質の差異をできる限り少なくするように計画しております。当該先進医療と観察研究を比較することで、初回治療時の臨床的有用性をはじめ、経済的負担（費用対効果）や QOL の比較を行いたいと考えております。

2. 前回、同技術を標準治療が終了または治療選択の少ない癌腫の患者に対して使用した先進医療 B において、症例登録終了間際に一部の施設が無理に登録しようとするなどの問題事例が観察された。今回はさらに対象が広いため、前回同様の混乱が生じることも想定されるため、前回のような問題事例の発生予防措置について説明してください。

【回答】

ご指摘いただきありがとうございます。

前回の事案を踏まえ、協力医療機関の選定につきましては、体制整備や運用方法等を具体的に確認いたします。

その上で本研究に参加する協力医療機関に対しキックオフミーティングの実施を必須とすること、また、そのキックオフミーティングには当院の関係者（研究代表者、研究事務局、調整事務局いずれかのうち複数名）が必ず訪問または Web 会議等にて参加し、本研究の実施体制の確認や本研究を実施する際の注意点等について、直接確認および説明する機会を設けることといたします。

さらに、定期的に協力医療機関との会議を実施し、問題点や本研究の進捗状況を直接共有する機会を設けます。

症例登録終了間際の手続きにつきましては、全協力医療機関での同意取得見込み患者数を事前に把握し、申請医療機関において登録可能な医療機関をコントロールしながら登録手続きを行う等、手順を明確化して実施して参ります。