

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」に係る変更申請

国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院による患者申出療養「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」について、別紙の通り提出されている研究実施計画の変更を承認して良いか、ご確認いただきたい。

患者申出療養の研究実施計画の変更について

【申請医療機関】

国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院

【患者申出療養の名称】

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

【適応症】

わ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

【試験の概要】

本研究は、保険適用、あるいは評価療養として実施された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を対象に、それぞれの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し、治療経過についてのデータを収集することを目的として行う研究である。

本研究では保険適用が得られていない適応外医薬品が用いられる。そのため、患者申出療養制度に基づき、臨床研究法下で実施する特定臨床研究に該当する。医薬品は契約に基づき製造販売業者から無償提供を受けるか、あるいは患者負担により薬剤費用を支弁する。医薬品の無償提供を受けた場合、本研究で収集された患者背景や治療効果、安全性のデータを、契約に基づき薬剤提供企業に提供することがあり得る。

本研究は、国立がん研究センター中央病院が研究代表医師および全体の調整事務局を担い、がんゲノム医療中核病院を中心に、患者申出療養会議で協力医療機関として認められた施設が参加して行う多施設共同研究である。

【実施期間】

2019 年 9 月 1 日～2030 年 8 月 31 日予定（追跡期間・解析期間を含む）

【予定症例数】

なし

【現在の登録状況】 2024/6/18 時点

施設名	症例数
国立がん研究センター中央病院	74
北海道大学病院	36
東北大学病院	21
国立がん研究センター東病院	54
慶應義塾大学病院	131
東京大学医学部附属病院	42
名古屋大学医学部附属病院	32
京都大学医学部附属病院	120
大阪大学医学部附属病院	44
岡山大学病院	76
九州大学病院	70
静岡県立静岡がんセンター	12
がん研有明病院	1
合計	713

【変更内容および変更理由】

・試験登録期間の2年間の延長

(理由)がんゲノム医療の出口戦略として本研究の継続を医療現場から求められているため。

・腫瘍評価について、16 週時点の評価に加えて、8 週時点の評価を追加。また必要に応じて、腫瘍径を収集することを規定。さらに効果判定の最短期間も規定。
(理由)これまでは任意としてきた 8 週時点の腫瘍評価について、本試験を適切に評価するために 8 週時点の腫瘍評価を必須化した。また、今後薬事申請に利用される可能性がある等、研究代表医師が必要と判断する薬剤においては、効果判定のみならず腫瘍径も収集し、より厳密に解析できるように変更するため。

・許容される併用療法について規定

(理由)標準治療後の患者を対象としていることを踏まえ、本試験の評価に影響がない範囲で許容される併用療法(放射線照射および外科手術)について検討したため

・中止時検査のアロワンスを規定

(理由)これまで規定がなく、実施時期が様々であったため

・本試験結果の外部発表について、筆頭演者等の考え方を見直し、追記
(理由)現行の規定では、登録数の多い施設が外部発表を行うことになっているが、施設に偏りが出してしまうため、登録数だけではなく本試験の実施状況等も踏まえて外部発表を行う施設を検討できる可能性を含めるため。

・研究責任医師の交代(東北大学病院)

(理由)人事異動のため

【研究計画書】

添付資料 1-1, 1-2 参照

【臨床研究実施計画】

添付資料 2-1～2-3 参照

【説明同意文書、別添、別冊、アセント文書】

添付資料 3-1～3-8 参照

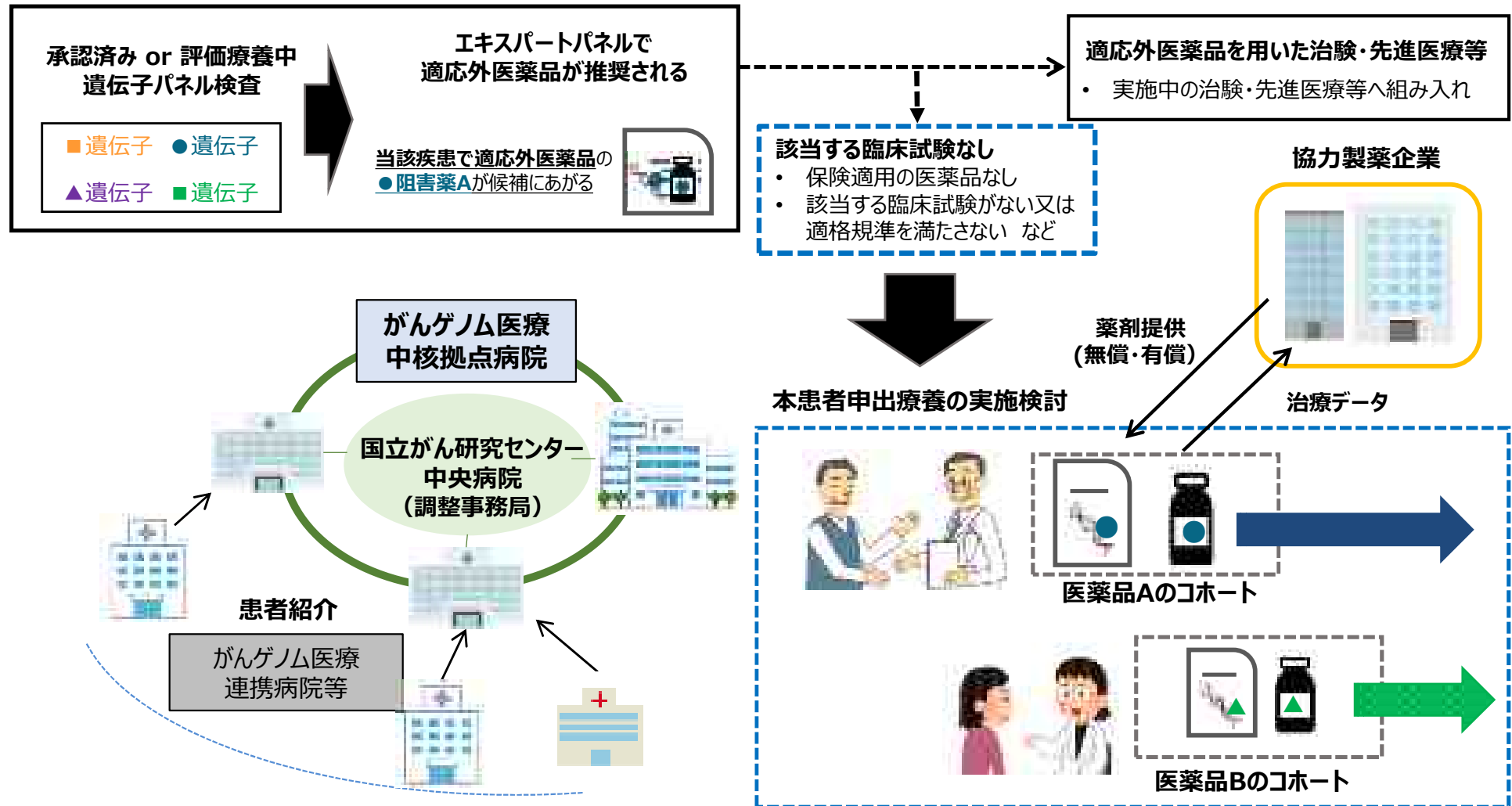
【変更承認状況】

2024 年 6 月 27 日に国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院臨床研究審査委員会において承認済である(添付文書 5 参照)。

医療技術の概要図

(参考資料)

(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：2019年6月1日時点において、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に、それぞれの遺伝子異常に対応する適応外薬を投与すること。

○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
- ・ 年齢が16歳以上
- ・ 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

