

先進医療 B の継続の可否に係る審議結果について（報告事項）

【申請医療機関】

名古屋大学医学部附属病院

【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号 B50

タミバロテン経口投与及びペムブロリズマブ静脈内投与の併用療法

【適応症】

切除が不可能な膵臓がん（二種類の従来の治療法に抵抗性を有するもの又は薬物療法が困難なものに限る。）

【研究の概要】

本臨床研究では、二次治療抵抗性膵癌患者を対象にタミバロテン（AM80）と免疫チェックポイント阻害剤であるペムブロリズマブ（遺伝子組換え）（以下、単に「ペムブロリズマブ」という）を併用投与した時の有効性を探索的に評価し、安全性を確認することを目的とする。

本臨床研究では、二次治療抵抗性（2 種類の標準的治療に対して抵抗性）又は不耐の治癒切除不能膵癌患者を対象とし、全ての対象者に非盲検下で AM80 として $6\text{mg}/\text{m}^2$ を 1 日 2 回に分けて、ペムブロリズマブの投与 1 週間前から投与開始前まで 7 日間経口投与し、AM80 の投与終了後、ペムブロリズマブとして 1 回 200mg を、3 週間間隔で点滴静注する。3 週間（21 日間）を 1 コースとし、病勢進行、もしくは許容できない有害事象等が発現するまで、最大 8 コース継続する。

【医薬品・医療機器情報】

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	医薬品医療機器法承認又は認証上の適応	医薬品医療機器法上の適応外使用の該当
タミバロテン（AM80）	テムリック株式会社	1mg	-	未承認（同一有効成分としてアムノレイク錠 2mg があるが、当該製品の効能・効果は再発又は難治性の急性前骨	未承認

				髓球性白血病である)	
キイトルー ダ点滴静注 100mg (ペムブロ リズマブ (遺伝子組 換え))	MSD 株式会 社	100mg	22800AMX 00696000	・ 悪性黒色腫 ・ 切除不能な進行・再発 の非小細胞肺癌 ・ 再発又は難治性の古 典的ホジキンリンパ 腫 等	適応外

【実施期間】

被験者登録期間：2024 年 4 月～2025 年 12 月

研究実施期間：2024 年 4 月～2026 年 12 月

【予定症例数】

12 症例

【登録症例数】

3 例（2025 年 1 月時点）

【継続の可否の評価に必要な症例数】

3 例

【継続の可否の評価に必要な評価項目】

本臨床研究は、二次治療抵抗性膵癌患者を対象に AM80 とペムブロリズマブを併用投与した時の有効性を探索的に評価し、安全性を確認することを目的としている。膵癌患者に対し AM80 とペムブロリズマブを併用するのは初めてであるため、安全性（忍容性）の評価を目的とした中間解析を行うこととする。

臨床研究中核病院や国家戦略特区内における先進医療の特例の対象となる医療機関で初期 3 例を登録する。1 コース目の評価が 3 例終了した時点で、2 コース目開始日の評価まで（1 コース目で中止した場合は、治療終了・中止時の評価）の臨床研究実施計画書の「8. 3. 安全性評価項目」の項のデータを纏める。また、3 例目の 2 コース目開始日の評価まで（1 コース目で中止した場合は、治療終了・中止時の評価）に対象者に生じた、疾病等に該当する有害事象で、臨床研究実施計画書の「11. 1. 有害事象等の定義」の「5) 重篤な有害事象」の項に該当する事項、並びに「7. 3. 4. 治療中止基準」の 2) に該当する事項を一覧にする。安全性評価委員会で審議された結果を先進医療技術審査部会に報告し、先進医療

の継続可否について評価を受ける。先進医療技術審査部会による登録初期 3 例の評価が完了するまで、症例登録を一時中断することとする。

【継続の可否に係る確認状況】

安全性評価委員会では 1～3 例目経過を踏まえ、4 例目以降の組入れ（臨床研究の継続）に問題はないと考えるとのことであった。

その結果を受けて、先進医療技術審査部会構成員（主担当および生物統計家）によってご審議いただいた結果、先進医療継続可との評価を得たため、新規症例登録が再開された（※）。

（※）第 59 回先進医療技術審査部会にて、評価に必要な数症例の試験結果および、その結果について独立データモニタリング委員会等で審議された結果を、評価担当構成員（申請時の主担当、副担当（生物統計担当））の先生方にご確認いただき、先進医療継続の可否についてご評価いただくこと、継続可となれば速やかに試験を再開してよいこととし、後日先進医療技術審査部会に報告することが了承されている。

以上