

患者申出療養の中間報告について

1. 背景

- 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」については、研究実施計画書の規定に従い、医薬品コホート毎に中間解析を実施し、その結果に応じてコホート毎の有効中止や無効中止の要否を検討することとされている。

2. 報告の概要

- 以下の医薬品に中間解析を実施したところ、無効中止の要否を検討する閾値を下回った場合に該当したとの報告があった。
 - ・ グリベック錠
 - ・ ベージニオ錠
 - ・ ゼジューラ錠
- 上記の医薬品のうち、別紙の見解に基づき、グリベック錠及びベージニオ錠については新規患者登録を終了し、今後追跡を行った上で統計解析を実施し、ゼジューラ錠については新規患者登録を継続する予定とのこと。

3. 今後の対応について

- 中間解析の結果に基づき、グリベック錠及びベージニオ錠については新規患者登録を終了し、今後追跡を行った上で統計解析を実施し、ゼジューラ錠については新規患者登録を継続することとしてよいか、ご確認いただきたい。

2024 年 1 月 29 日

国立がん研究センター中央病院 先端医療課
NCCH1901 試験 研究代表医師
山本昇

「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(NCCH1901)」
中間解析結果について

NCCH1901 試験では、研究実施計画書の規定に従って、医薬品コホート毎に中間解析を実施し、その結果に応じてコホート毎の有効中止や無効中止の要否を検討することとしています。

2023 年 10 月 10 日、グリベック錠、ページニオ錠、ゼジューラ錠において、中間解析を実施しました。その結果、いずれのコホートも、無効中止の要否を検討する閾値を下回った場合に該当しました(別紙 1 参照)。

これらのコホートの取扱いについて検討し、見解を取りまとめましたので、報告します。

【グリベック錠・ページニオ錠】

中間解析結果からは、懸念すべき有害事象は発生していないが、本試験においてこれ以上症例登録を継続しても、主要評価項目を満たすだけの有効性は期待できないと考えた。以上を踏まえ、当該コホートは中止し、新規患者登録は終了する。ただし、現在も投与を継続している症例においては、一律試験治療を中止することが患者の不利益につながることから、試験治療の継続を許容する。

また、これらのコホートにおいても研究計画書の規定に従って追跡調査を行い、解析を実施する予定である。

【ゼジューラ錠】

一部の症例で奏効が得られており、また懸念すべき有害事象は発生していないことから、当該コホートへの新規患者登録は継続する。

中間解析結果を受けて、NCCH1901 試験全参加施設と協議し上記の見解で合意しています。

なお、この見解について、効果・安全性評価委員会に諮問し、妥当な見解である判定を得

ました。

今後、当該コホートへの新規患者登録の可否について、ご審議お願いいたします。

以上