

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(対象薬剤の追加等について)

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。

患者申出療養の試験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】

本療養は、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対し、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することを目的とする。

本療養は、標準治療が存在しない、あるいは、標準治療が既に行われた後の患者を対象としており、そうした患者にはエビデンスレベルが低い全身治療のみしか存在しないことから、本療養により、新規の治療選択肢が増えるという利益が期待される。一方、本療養による有害事象や緩和ケアを十分に受ける機会の喪失の可能性といった不利益が考えられる。この不利益を含めて、本療養実施前に十分な患者説明を行って同意を得る。

【実施期間】

2019 年 9 月 1 日～2028 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】（2023 年 6 月 20 日現在）

施設名	症例数
国立がん研究センター中央病院	62
北海道大学病院	34
東北大学病院	19

国立がん研究センター東病院	46
慶應義塾大学病院	99
東京大学医学部附属病院	33
名古屋大学医学部附属病院	29
京都大学医学部附属病院	93
大阪大学医学部附属病院	32
岡山大学病院	60
九州大学病院	58
静岡県立静岡がんセンター	7
合計	572

【変更内容】

- ① インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社の新規参画、およびペマジュール錠コホートの追加
- ② 研究責任医師の変更(大阪大学医学部附属病院)

【変更申請する理由】

- ① インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社と本試験参加について合意に至り、ペマジュール錠を無償提供されることになったため
- ② 人事異動のため

【研究計画書および変更対比表】

添付資料 2-1、2-2 参照

【医薬品リストおよび変更対比表】

添付資料 2-3、2-4 参照

【臨床研究実施計画書および変更対比表】

添付資料 3-1、3-2、3-3 参照

【同意説明文書(別紙)および医薬品の概要を記載した書類】

添付資料 4-1、5-2 参照

【同意説明文書(別添)】

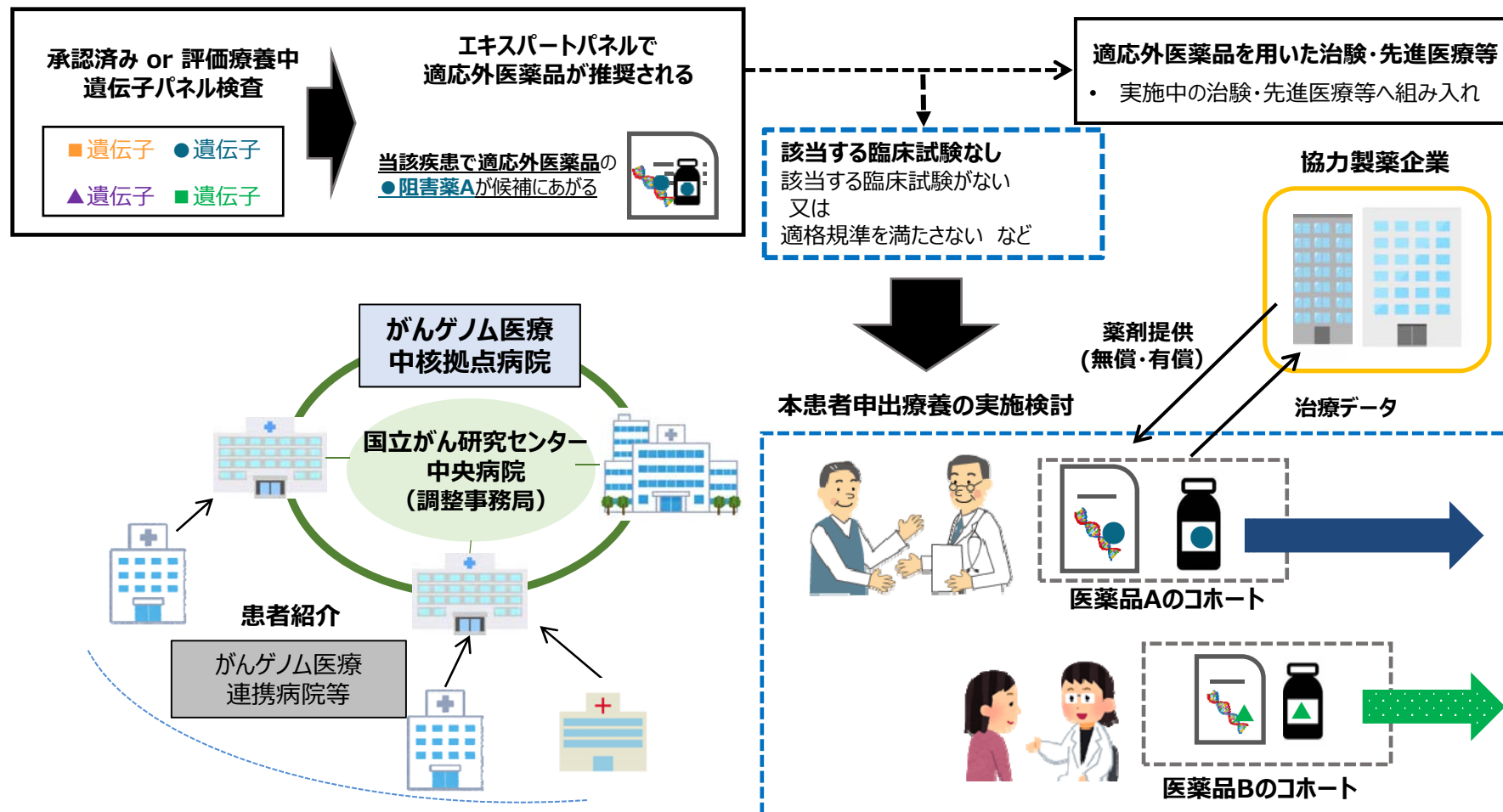
添付資料 4-2 参照

【変更承認状況】

2023 年 6 月 22 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。添付資料 5-1 参照

医療技術の概要図

(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：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の申出に基づき、当該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

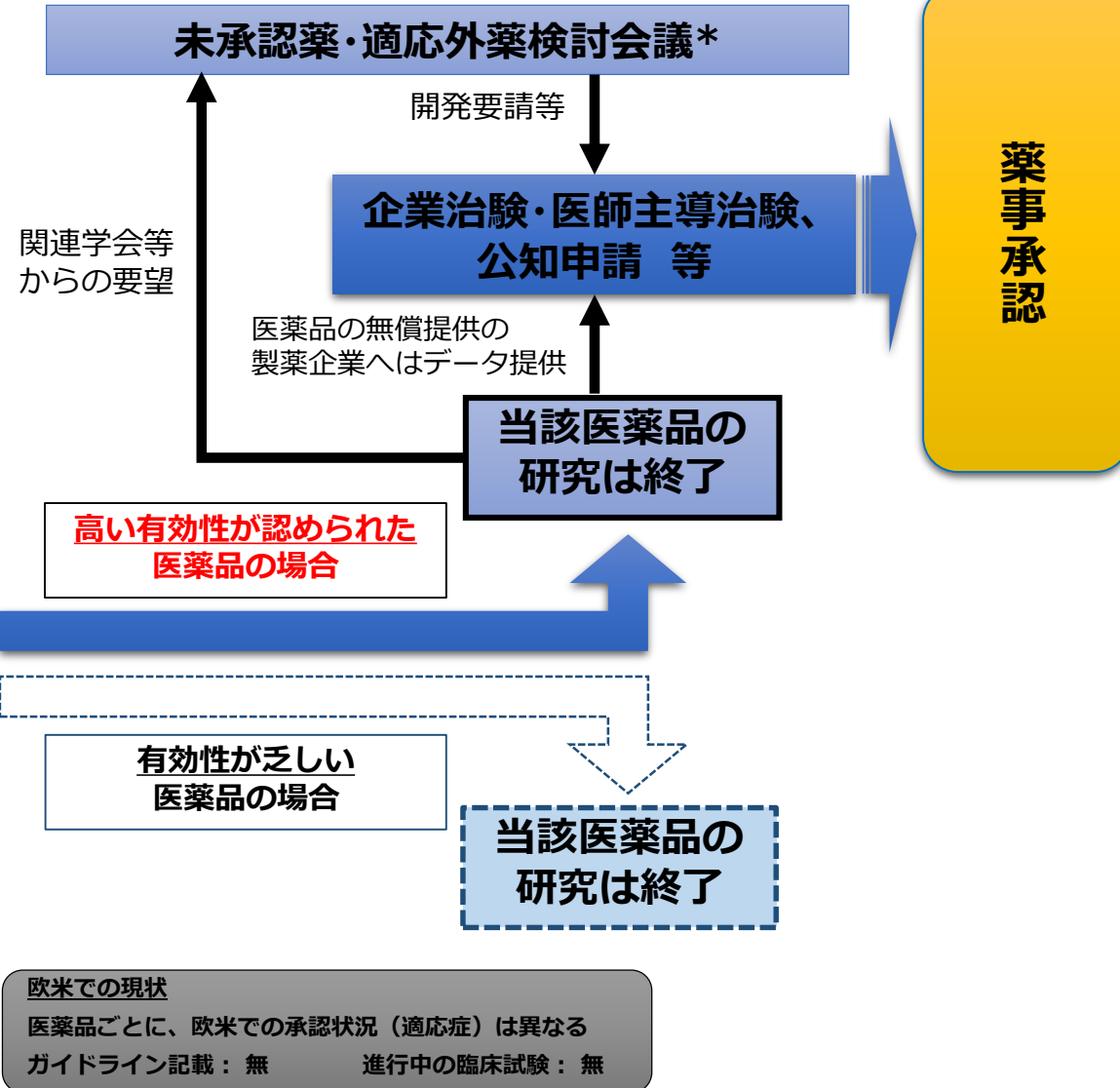
○予定登録期間：5年間

○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）
- ・治療切除不能な進行性（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
- ・年齢制限なし
- ・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



欧米での現状

医薬品ごとに、欧米での承認状況（適応症）は異なる
ガイドライン記載： 無 進行中の臨床試験： 無