

小児がんのドラッグ・ラグに係る患者申出療養について

現状と課題

- 海外において小児がんを適応として薬事承認されている医薬品が、日本国内で薬事承認されておらず使用できない、いわゆる「ドラッグ・ラグ」が課題とされている。
- 患者申出療養制度を活用し、がん遺伝子パネル検査に基づいた遺伝子異常に対して、適応外薬を投与する臨床研究が開始されている（※）。しかし、当該研究の枠組みは国内で用法・用量が定められている医薬品を対象としており、小児を適応としたものは限られている。
（※）「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」（国立がん研究センター中央病院）
- 国内での小児の用法用量のない医薬品について、海外の添付文書・治験データによる安全性・有効性の確認や、製販企業等との薬剤調達の交渉を行うことが負担となっている。

今後のスケジュールについて

- 上記のような課題を踏まえ、国立がん研究センターにおいて、小児・AYAがんに対し遺伝子パネル検査を実施し、小児において一定の安全性をもつ適応外薬あるいは未承認薬の安全性及び有効性の評価を目的とした臨床研究が開始予定（※）。
（※）「小児・AYA がん患者の薬剤アクセスの改善と薬事承認に利活用可能なデータ収集を目的とした患者申出療養制度に基づく特定臨床研究」（令和5年度～、AMED臨床研究・治験推進研究事業、研究開発代表者：小川千登世先生、国立がん研究センター）
- 本研究は、患者申出療養制度を活用して、同病院が国内での小児の用法用量のない医薬品のプロトコルの確認を担い、同プロトコルをもとに医薬品の投与を多施設において提供を可能とする多施設共同研究を予定（※）。
（※）具体的な研究計画について認定臨床研究審査委員会で審査予定。