

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】

2019 年 6 月 1 日時点において、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】（2021 年 1 月現在）

施設名	症例数
国立がん研究センター中央病院	17
北海道大学病院	12

東北大学病院	3
国立がん研究センター東病院	15
慶應義塾大学病院	0
東京大学医学部附属病院	1
名古屋大学医学部附属病院	12
京都大学医学部附属病院	12
大阪大学医学部附属病院	10
岡山大学病院	6
九州大学病院	2
合計	90

【変更内容】

- ・ 協力製薬企業として、以下の2企業を追加
大塚製薬株式会社
ファイザー株式会社
- ・ 実施医療機関として、以下の1施設を追加
静岡県立静岡がんセンター
- ・ 小児拡大に関する追記
適格基準を変更（登録時の年齢は問わない。ただし内服製剤の場合は添付文書通りの剤型が内服できること。）
小児患者用アセント文書の追加
- ・ 薬剤追加に伴う医薬品リスト更新
追加薬剤
エストレクチニブ、エンコラフェニブ、ビニメチニブ、クリゾチニブ、ポナチニブ
小児使用可能薬剤（添付文書に小児用法用量のある薬剤）
エベロリムス、ニロチニブ、アレクチニブ、エストレクチニブ

【変更申請する理由】

協力製薬企業追加、医薬品リスト更新を行った。また、本試験を小児へ拡大するにあたり、研究計画を変更した。実施医療機関追加に伴う記載整備を行った。

【変更後の患者申出療養実施届出書】

添付資料 1-2 参照

【患者申出療養実施届出書の変更対比表】

添付資料 1-3 参照

【変更後の研究計画書】

添付資料 2-1 参照

【研究計画書の変更対比表】

添付資料 2-2 参照

【変更前の実施計画および変更事項】

添付資料 3-1、3-2 参照

【実施計画の変更対比表】

添付資料 3-3 参照

【変更後の同意説明文書】

添付資料 4-1 参照

【同意説明文書の変更対比表】

添付資料 4-2 参照

【追加された医薬品に関する同意説明文書別紙】

添付資料 4-3～4-9 参照

【小児拡大に伴う、アセント文書および医薬品に関するアセント文書別紙】

添付資料 4-10～4-24 参照

【変更承認状況】

2020 年 12 月 24 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

医薬品リスト

2020 年 11 月 19 日版

	分類	一般名	販売名	製造販売業者等	小児	備考
	ALK 阻害薬	セリチニブ	ジカディア錠 150mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	BCR/ABL 阻害薬	イマチニブメシル酸塩	グリベック錠 100mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	mTOR 阻害薬	エベロリムス	アフィニートール錠 2.5mg/5mg アフィニートール分散錠 2mg/3mg	ノバルティス ファーマ株式会社	対象	無償提供
	BRAF 阻害薬	ダブラフェニブメシル酸塩	タフィンラーカプセル 50mg/75mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	MEK 阻害剤	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	メキニスト錠 0.5mg/ 2 mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	マルチキナーゼ阻害薬	パゾパニブ塩酸塩	ヴォトリエント錠 200mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
併用療法	BRAF 阻害薬	ダブラフェニブメシル酸塩	タフィンラーカプセル 50mg/75mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	MEK 阻害剤	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	メキニスト錠 0.5mg/ 2 mg			
	マルチキナーゼ阻害薬	ニロチニブ塩酸塩水和物	タシグナカプセル 50mg/150mg/200mg	ノバルティス ファーマ株式会社	対象	無償提供
	JAK 阻害剤	ルキシロチニブリン酸塩	ジャカビ錠 5mg/10mg	ノバルティス ファーマ株式会社	—	無償提供
	ALK 阻害薬	アレクチニブ塩酸塩	アレセンサカプセル 150mg	中外製薬株式会社	対象	無償提供
	抗 HER2 ヒト化モノクローナル抗体	トラスツズマブ（遺伝子組換え）	ハーセプチン注射用 150	中外製薬株式会社	—	無償提供
	PD-L1 ヒト化モノクローナル抗体	アテゾリズマブ（遺伝子組換え）	テセントリク点滴静注 1200mg	中外製薬株式会社	—	無償提供
	チロシキナーゼ阻害剤	エヌトレクチニブ	ロズリートレカプセル 100mg/200mg	中外製薬株式会社	対象	無償提供
	ヒト型抗ヒト PD-1 モノクローナル抗体	ニボルマブ（遺伝子組換え）	オプジーボ点滴静注 240mg	小野薬品工業株式会社	—	無償提供
併用療法	BRAF 阻害剤	エンコラフェニブ	ビラフトビカプセル 50mg/75mg	小野薬品工業株式会社	—	無償提供
	MEK 阻害剤	ビニメチニブ	メクトビ錠 15mg	小野薬品工業株式会社	—	無償提供

医薬品リスト

2020 年 11 月 19 日版

	チロシンキナーゼ阻害剤	クリゾチニブ	ザーコリカプセル 200mg/250mg	ファイザー株式会社	—	無償提供
	チロシンキナーゼ阻害剤	ボナチニブ塩酸塩錠	アイクルシグ 15mg	大塚製薬株式会社	—	無償提供

※小野薬品工業株式会社より、実施医療機関への薬剤搬送費として資金提供を受けている

※大塚製薬株式会社より、実施医療機関への薬剤搬送費として資金提供を受けている