

# 薬事承認申請までのロードマップ

患者申出の試験薬:トラスツズマブエムタンシン(遺伝子組換え)

医師主導治験の試験薬:①トラスツズマブエムタンシン(遺伝子組換え)、②トラスツズマブデルクステカン(遺伝子組換え)

適応疾患: HER2陽性の進行期乳房外パジェット病

## 患者申出療養

試験名: HER2陽性の進行期乳房外パジェット病に対する  
HER2阻害薬療法の安全性及び有効性評価試験

[TEMENOS trial]

- ・試験デザイン: オープンラベル、シングルアーム、単施設
- ・主要評価項目: 奏効率
- ・予定期間: 2020年4月より2025年3月まで
- ・被験者数: 最大16例
- ・対象: 進行期乳房外パジェット病の治療のため、研究実施期間中に当院皮膚科外来を受診する患者のうち、HER2陽性かつトラスツズマブ既治療の患者

## 適格基準(主なもの)

- ・HER2陽性かつトラスツズマブ既治療の乳房外パジェット病患者
- ・ECOGのPerformance Statusが0又は1の患者
- ・RECIST 1.1に定義される標的病変を1つ以上有する
- ・主要臓器機能が保たれている患者
- ・年齢 20歳以上
- ・重篤な合併症がない患者

## 投与スケジュール

投与はday1に行い、21日(3週)を1コースとして、「研究薬投与の中止基準」のいずれかに該当するまで投与を繰り返す。最大2年間。

## 医師主導治験

試験名: HER2陽性の進行期乳房外パジェット病に対する  
トラスツズマブエムタンシン又はトラスツズマブデルクステカン  
治療のランダム化第Ⅱ相臨床試験[RandomHER2 trial]

- ・試験デザイン: オープンラベル、多施設共同
- ・主要評価項目: 奏効率
- ・予定期間: 2020~2021年度より5年間
- ・被験者数: 33例(HER2陽性22例、HER2低発現11例)
- ・対象: 進行期乳房外パジェット病の治療のため、研究実施期間中に治験実施施設の皮膚科外来を受診する患者のうち、HER2陽性/低発現の患者

## 欧米での現状

保険収載: 米国(無) 欧州(無) ガイドライン記載: (無)

## 進行中の臨床試験(無)

薬事承認申請検討

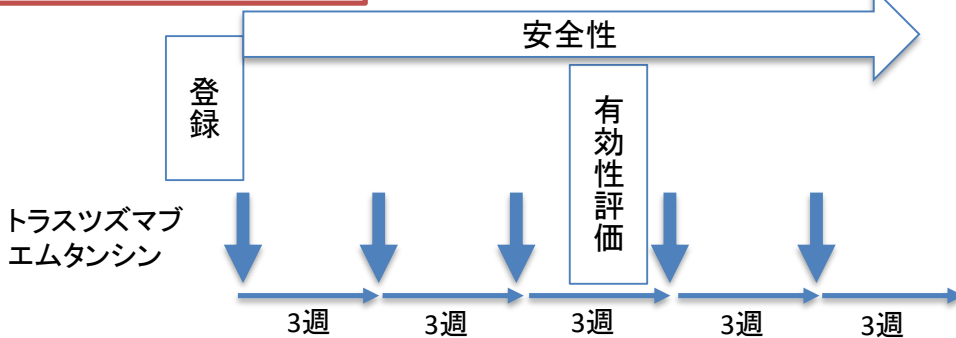
# 概要図

HER2陽性の進行期乳房外パジェット病に対するHER2阻害薬療法の安全性  
及び有効性評価試験 [TEMENOS trial] (患者申出療養)

## 対象症例(主なもの)

- ・ HER2陽性かつトラスツズマブ既治療の乳房外パジェット病患者
- ・ ECOGのPerformance Statusが0又は1の患者
- ・ RECIST 1.1に定義される標的病変を1つ以上有する患者
- ・ 主要臓器機能が保たれている患者
- ・ 年齢 20歳以上
- ・ 重篤が合併症がない患者

## HER2阻害薬治療



- ・ HER2阻害薬(トラスツズマブ エムタンシン) 3.6mg/kgの点滴投与と3週間の休薬を1サイクルとし、繰り返し投与する。3サイクル後の奏効率を評価する。
- ・ 有効であれば、最長2年間の治療継続を許容する
- ・ 患者1人当たり約70万円(薬剤無償提供あり)

- ・ 試験期間 患者申出制度承認から2025年3月31日(予定)
- ・ 予定症例数 16例
- ・ 参加施設 1施設
- ・ 主要評価項目
  - ・ 奏効率\*
- ・ 副次的評価項目
  - ・ 無増悪生存期間、全生存期間など
  - ・ 安全性

\*有効性に関する評価にはRECIST v1.1を用いる