

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

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。

【主な変更内容】

- ① 効果・安全性評価委員会の責務を明記
- ② 緊急報告の対象となる重篤な有害事象の範囲の整理
- ③ アカデミア・アセンブリで作成されるエビデンスレベルリストの利用について追記
- ④ C-CAT データ利活用について追記
- ⑤ 新たな遺伝子パネル検査の追記等
- ⑥ その他、記載整備

患者申出療養の研究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】

本研究は、保険適用、あるいは評価療養として実施された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を対象に、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し、治療経過についてのデータを収集することを目的として行う研究である。

本研究では保険適用が得られていない適応外医薬品が用いられる。そのため、患者申出療養制度に基づき、臨床研究法下で実施する特定臨床研究に該当する。医薬品は契約に基づき製造販売業者から無償提供を受けるか、あるいは患者負担により薬剤費用を支弁する。医薬品の無償提供を受けた場合、本研究で収集された患者背景や治療効果、安全性のデータを、契約に基づき薬剤提供企業に提供することがあり得る。

本研究は、国立がん研究センター中央病院が研究代表医師および全体の調整事務局を担い、がんゲノム医療中核病院を中心に、患者申出療養会議で協力医療機関として認められた施設が参加して行う多施設共同研究である。

【実施期間】

2019年9月1日～2030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】 2025/11/30 時点

| 施設名 | 症例数 |
|----------------|-----|
| 国立がん研究センター中央病院 | 89 |
| 北海道大学病院 | 40 |
| 東北大学病院 | 23 |
| 国立がん研究センター東病院 | 62 |
| 慶應義塾大学病院 | 150 |
| 東京大学医学部附属病院 | 50 |
| 名古屋大学医学部附属病院 | 33 |
| 京都大学医学部附属病院 | 146 |
| 大阪大学医学部附属病院 | 49 |
| 岡山大学病院 | 87 |
| 九州大学病院 | 82 |
| 静岡県立静岡がんセンター | 14 |
| がん研有明病院 | 5 |
| 合計 | 830 |

【変更内容】

- ① 効果・安全性評価委員会の責務を明記
- ② 緊急報告の対象となる重篤な有害事象の範囲の整理
- ③ アカデミア・アセンブリで作成されるエビデンスレベルリストの利用について追記
- ④ C-CAT データ利活用について追記
- ⑤ 新たな遺伝子パネル検査の追記等
- ⑥ その他、記載整備

【変更理由】

- ① 臨床研究法改正のため
- ② 緊急報告を行う重篤な有害事象の対象範囲を再考したため
- ③ 本試験の登録に際し、アカデミア・アセンブリで作成される遺伝子異常と治療薬の一覧を参考資料として位置づけるため
- ④ C-CAT データを入手することにしたため
- ⑤ 新たな遺伝子パネル検査の薬事承認等のため
- ⑥ 運用変更、実施体制変更のため

【研究計画書】

添付資料 1-1, 1-2 参照

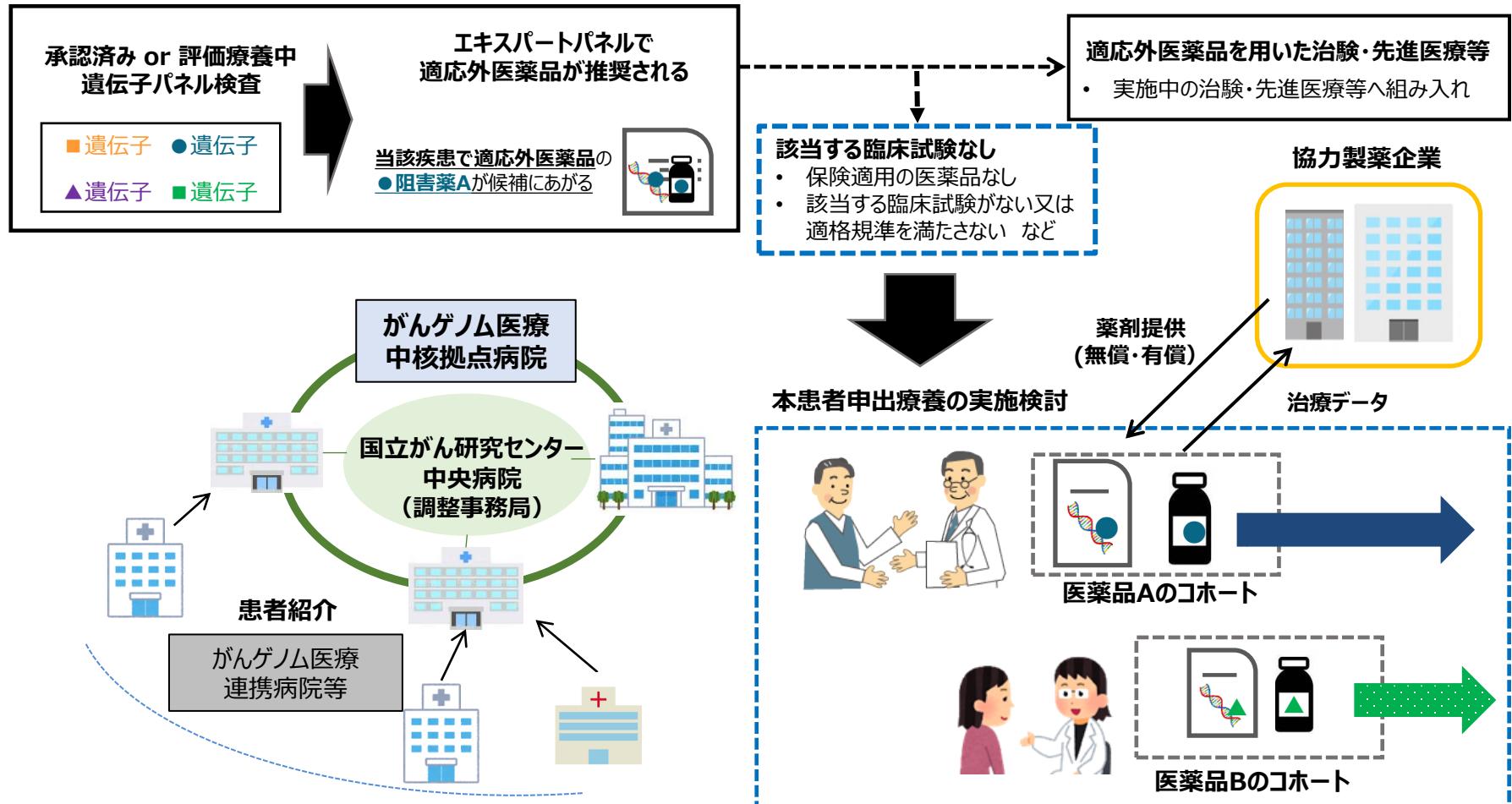
【臨床研究実施計画】

添付資料 2-1～2-3 参照

【変更承認状況】

2025 年 11 月 27 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(添付文書 5 参照)。

(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：2019年6月1日時点において、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に、それぞれの遺伝子異常に対応する適応外薬を投与すること。

○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）
- ・ 治癒切除不能な進行性（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
- ・ 年齢が16歳以上
- ・ 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（患者が申出した医薬品）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

未承認薬・適応外薬検討会議*

関連学会等
からの要望

企業治験・医師主導治験、 公知申請 等

医薬品の無償提供の
製薬企業へはデータ提供

当該医薬品の 研究は終了

高い有効性が認められた
医薬品の場合

有効性が乏しい
医薬品の場合

当該医薬品の
研究は終了

薬事承認

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