

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】

小児・AYA がんに対する遺伝子パネル検査結果等に基づく複数の分子標的治療に関する患者申出療養

【適応症】

標準治療がない、または標準治療に不応・不耐の 0-29 歳の小児・AYA がん患者

【試験の概要】

本研究は、患者申出療養制度に基づいて本研究に組み込まれている医薬品の投与を希望する小児・AYA がん患者を対象に、小児における一定の安全性情報があり有効性が期待される適応外薬あるいは未承認薬を投与し、安全性および有効性を評価するとともに、必要な場合には PK データを収集し薬物動態を評価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もしくは未承認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。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拠点病院、かつ小児がん中央機関または小児がん拠点病院を中心に、患者申出療養評価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】

2024 年 1 月 18 日～2028 年 12 月 31 日予定（追跡期間・解析期間を含む）

【予定症例数】

100 例(予定)

各コホートにつき、最大 30 例(予定)*

*コホート毎の登録状況やその時点までの解析結果から、適宜症例数変更の要否を

検討する。

【現在の登録状況】（2026年4月24日現在）

施設名	症例数
国立がん研究センター中央病院	36
九州大学病院	7
北海道大学病院	3
岡山大学病院	4
名古屋大学医学部附属病院	11
合計	61

【変更内容】

- ① OP-10 コホートの症例数を 30 例から 60 例へと変更

【変更申請する理由】

- ① 研究計画書において、登録状況や解析結果等に基づき、必要に応じて登録数変更の要否を検討するとしている。現時点で当該コホートは、当初目標の 30 例に至る見込みであるものの、いまだ本邦においては薬事承認を取得しておらず、患者申出療養下で使用するニーズが高い。定期モニタリングや中間解析の結果から、安全性には大きな懸念は認められず最大症例数の引き上げは適切であると判断したため。

【研究計画書および変更対比表】

添付資料参照

【同意説明文書（別紙）および変更対比表】

添付資料参照

【変更承認状況】

2026年4月23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された。