

資料 2-3-4

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する 専門作業班（WG）の評価

＜抗がん WG＞

目 次

＜抗がん剤分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

Avapritinib（AYVAKIT）（要望番号；R6-9）…… 1

要望番号	R6-9	要望者名	
要望された医薬品	一般名	avapritinib（販売名：AYVAKIT）	
	会社名	Blueprint Medicines Corporation	
要望内容	効能・効果	成人の切除不能または転移性の消化管間質腫瘍（GIST）で、血小板由来増殖因子受容体 α （PDGFRA）エクソン 18 に特定の変異（D842V）を有する症例	
	用法・用量	1 日 1 回 300mg を経口投与する	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒ 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） 〔特記事項〕 既存の報告¹⁾によると、下記の無再発生存率及び全生存率であり、生命に重大な影響がある疾患と言える。 5 年無再発生存率：82.3% 10 年無再発生存率：77.9% 5 年全生存率：87.9% 10 年全生存率：79.5% 1) Yanagimoto Y, Takahashi T, Muguruma K, et al., Re-appraisal of risk classifications for primary gastrointestinal stromal tumors (GISTs) after complete resection: indications for adjuvant therapy. Gastric Cancer. 2015 Apr;18(2):426-33. doi: 10.1007/s10120-014-0386-7. Epub 2014 May 23. PMID:24853473.	
		(2) 医療上の有用性についての該当性 ☒ 欧米等において標準的療法に位置付けられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる。 〔特記事項〕 本薬剤は、米国、英国、及び欧州（EMA）において要望する効能・効果での承認を得ている。 本邦における PDGFRA 遺伝子の exon 18 D842V 変異を有する GIST の治療では、既存薬（イマチニブ）以外に選択肢がない。一方で、PDGFRA 遺伝子の exon 18 D842V 変異を有する GIST にはイマチニブの効果が期待できない可能性が高いと言われている。 本薬剤は、NAVIGATOR 試験（NCT02508532）において D842V 変異を有する患者に対して高い奏効率を示した²⁾。 海外のガイドラインとして、米国、欧州、カナダで本薬剤の記載があることを確認している。各ガイドラインにおける記載は下	

	記の通り。 米国³⁾：イマチニブ耐性 PDGFRA D842V 変異またはイマチニブ非感受性であることが知られているその他の PDGFRA エクソン 18 変異を伴う切除不能、進行性、または転移性 GIST 患者に対する好ましい第一選択治療選択肢としてアバプリチニブを推奨している。 欧州⁴⁾：推奨事項：PDGFRA エクソン 18 D842V 変異を有する患者に対する標準的な第一選択治療は、アバプリチニブ 300 mg を毎日投与することである。 カナダ⁵⁾：GIST 治療の医学的推奨事項:PDGFRA-D842V 陽性変異:治療を必要とする転移性疾患に対しては、アバプリチニブ 30～400mg が劇的な効果を示している。NCCN では、進行期および術前補助療法の両方で推奨されている。しかし、2020 年 1 月 9 日に FDA が承認したにもかかわらず、アバプリチニブへのアクセスは国際的に依然として困難である。 2) Heinrich MC, Jones RL, von Mehren M, et al., Avapritinib in advanced PDGFRA D842V-mutant gastrointestinal stromal tumour (NAVIGATOR): a multicentre, open-label, phase 1 trial. Lancet Oncol. 2020 Jul;21(7):935-946. doi: 10.1016/S1470-2045(20)30269-2. PMID: 32615108 3) Gastrointestinal Stromal Tumors, Version 2.2022: Featured Updates to the NCCN Guidelines, J Natl Compr Canc Netw. 2022 Nov;20(11):1204–1214. 4) Gastrointestinal stromal tumours: ESMOeEURACANeGENTURIS Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. Ann Oncol, Volume 33, Issue 1, p20-33 January 2022. 5) Pan-Canadian consensus recommendations for GIST management in high- and low-throughput centres across Canada., Ther Adv Med Oncol. 2024 Aug 2;16:17588359241266179. doi: 10.1177/17588359241266179. eCollection 2024. PMID: 39386314.
備 考	