

## 患者申出療養評価会議事務局からの確認事項に対する回答

患者申出療養技術名： 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

令和2年5月14日

所属・氏名： 国立がん研究センター中央病院・山本 昇

1. 現在実施中の患者申出療養の実施計画では対象外の小児患者からの申出について、実施計画の変更が可能か、またどのように変更が可能か説明してください。

### 【回答】

- ・ 本患者申出療養の対象となる分子標的治療薬は、投与対象となる疾患では薬事承認がない適応外薬を対象としております。そのため、対象患者に対する有効性及び安全性に関するデータが不十分であることから、用法および用量については、添付文書に従った投与方法で行うこととしております。
- ・ 適格規準の年齢を、小児に引き下げの場合についても、対象患者の安全性の担保のため、当該投与方法に関する規定は残し、原則小児に対する用法および用量が存在する適応外薬を対象とすることといたします。
- ・ 一方で、本邦の薬事承認上は小児に対する用法および用量が存在しない医薬品についても、海外における小児データ等をもとに小児に対する用法および用量を個別に定めることで本療養の対象とすることについて、医薬品提供製薬企業との合意が得られた場合には検討いたします。タイムラグを防ぐため、現時点での採用薬に関するデータを各企業と検証し、今後新たに追加される薬剤については追加する時点で小児データの有無を確認し、医薬品提供製薬企業と用法および用量の検討を開始することといたします。
- ・ このような形で、研究計画を変更することは可能です。

以上