

第17回患者申出療養評価会議(令和元年9月12日)における患者申出療養の科学的評価結果

整理番号	技術名	適応症等	受理日並びに告示適用日	医薬品・医療機器等情報	臨床研究中核病院	保険給付されない費用※1※2 (「患者申出療養に係る費用」)	保険給付される費用※2 (「保険外併用療養費に係る保険者負担」)	保険外併用療養費分に係る一部負担金	総評	その他(事務的対応等)
008	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	2019年6月1日時点において、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	受理日 令和元年9月2日  告示適用日 令和元年10月1日	・ジカディアカプセル ・グリベック錠 ・アフィニール錠 ・アフィニール分散錠 ・タフィンラーカプセル ・メキニスト錠 ・ヴォトリエント錠 ・タシグナカプセル ・ジャカビ錠 (ノバルティスファーマ株式会社)	国立研究開発法人 国立がん研究センター 中央病院	36万7千円	13万2千円	5万7千円	適	別紙資料

※1 医療機関は患者に自己負担額を求めることができる。

※2 典型的な1症例に要する費用として申請医療機関が記載した額。(四捨五入したもの)

令和元年 10 月 30 日

**「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（整理番号008）」の患者申出療養評価会議における  
評価結果の概要について**

**1. 患者申出療養の概要**

<p>患者申出療養の名称： 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</p>	
<p>適応症：2019年6月1日時点において、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</p>	
<p>内容：</p> <p>（概要）</p> <p>本療養は、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の申出に基づき、当該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することを目的とする。</p> <p>（効果）</p> <p>予想される利益</p> <p>本療養は、標準治療が存在しない、あるいは、標準治療が既に行われた後の患者を対象としており、そうした患者にはエビデンスレベルが低い全身治療のみしか存在しないことから、本療養により、新規の治療選択肢が増えるという利益が期待される。</p> <p>予想される危険と不利益</p> <p>本療養による有害事象や緩和ケアを十分に受ける機会の喪失の可能性といった不利益が考えられる。この不利益を含めて、本療養実施前に十分な患者説明を行って同意を得る。</p> <p>（患者申出療養に係る費用）</p> <p>本医療技術に係る総費用は 556,384 円である。患者申出療養に係る費用は 367,474 円で、薬剤は企業からの無償提供となるため、薬剤費としての患者負担額は 0 円である。よって、患者負担額は、被保険者負担額と患者申出療養に係る費用の合計 424,147 円である。</p>	
臨床研究中核病院	国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院
協力医療機関	なし

## 2. 患者申出療養評価会議における審議概要及び審議結果

(1) 開催日時：令和元年9月12日（木）

### 第17回患者申出療養評価会議

(2) 審議概要及び審議結果

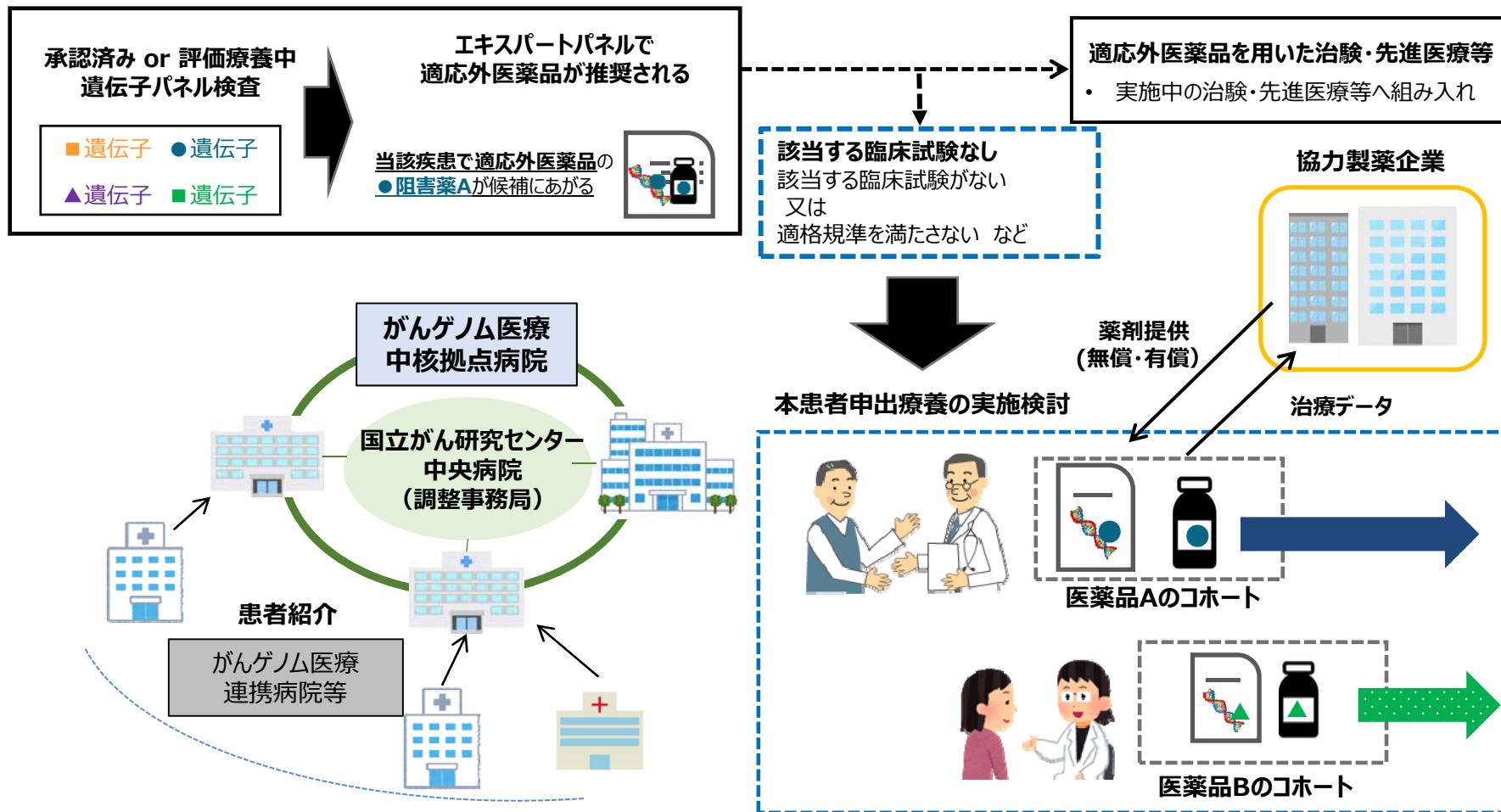
国立がん研究センター中央病院を介して、前例のない患者申出療養として患者より申出のあった新規医療技術に関して、患者申出療養評価会議において有効性・安全性、技術的妥当性、保険給付との併用の適否等にかかる観点から論点整理を進め、当会議からの指摘事項が意見書等に適切に反映されたことをうけ、当該新規技術の申請内容が患者申出療養として妥当であると判断した。

(議論の概要等)

- ・ がん遺伝子パネル検査としては、令和元年6月1日に2種類の製品が保険償還され、また、先進医療としても別途2種類のがん遺伝子パネル検査が実施されている。がん遺伝子パネル検査の結果、効果が期待できる治療薬が見つかりながら、治療が受けられない患者（希少がんや既存の治験等の適格基準を満たさない患者等）が生じた場合には、患者申出療養としての申請がなされる可能性があり、こうした患者からの申請に迅速に対応するため、第12回患者申出療養評価会議（平成30年11月22日）での協議結果を踏まえ、厚生労働省健康局がん疾病対策課から国立がん研究センター中央病院に研究計画書等の作成を予め依頼した。
- ・ 今回の患者申出療養は、がん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の申出に基づき、当該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することを希望し、上記の研究計画書等に基づき、申請がなされたもの。
- ・ 事前評価担当構成員から研究計画書や患者説明文書の修正等の必要性につき指摘があったものの、いずれも適切な回答・対応が得られたため事前の総合評価としては「適」と判断された。
- ・ 患者申出療養評価会議においては、患者の利便性等の観点から実施施設を拡大する方向で検討すること、また、患者が正しく理解できるよう丁寧な説明をすることとして「適」とされた。

# 医療技術の概要図

(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の申出に基づき、当該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（患者が申出た医薬品）を選定したことについて診療録に記載されている
- ・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

