

第21回患者申出療養評価会議(令和2年5月21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※2	総評	その他(事務的対応等)
009	トラスツズマブ エムタンシン 静脈内投与療法	乳房外パジェット病 (HER2が陽性であって、切除が困難な進行性のものであり、かつ、トラスツズマブ静脈内投与が行われたものに限る)	受理日 令和2年5月8日 告示適用日 令和2年6月18日	トラスツズマブ エムタンシン (中外製薬株式会社)	慶應義塾大学病院	249万7千円 (企業負担が179万9千円であり、患者負担は69万8千円)	6万4千円	2万7千円	適	別紙資料1

※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。

令和 2 年 7 月 22 日

**「トラスツズマブ エムタンシン静脈内投与療法（整理番号009）」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**

患者申出療養の名称： トラスツズマブ エムタンシン静脈内投与療法	
適応症：乳房外パジェット病（HER2が陽性であって、切除が困難な進行性のものであり、かつ、トラスツズマブ静脈内投与が行われたものに限る）	
内容： （概要） HER2 陽性の手術不能又は再発乳房外パジェット病の患者のうち、本患者申出療養の治療を希望し、適格性を満たした患者に対してトラスツズマブ エムタンシンを用いた単剤療法を 1 サイクル 21 日間として行い、有効性 (RECIST v1.1 による 3 サイクル後の奏効率) について評価する。その他、無増悪生存期間、全生存期間、全期間での最良総合効果、病勢コントロール率、腫瘍径変化率、奏効期間、奏効に至るまでの期間を評価する。安全性については、投与開始時を起点として有害事象の種類、頻度及び重症度 (CTCAE ver. 4.0) を評価する。  （効果） 上記疾患に対し、原発巣又は転移巣の縮小効果が期待される。  （患者申出療養に係る費用） 本医療技術に係る総費用は 2,588,064 円である。患者申出療養にかかる費用は 2,496,962 円で、このうち企業負担は 1,799,367 円となり、患者負担額は 697,595 円である。	
臨床研究中核病院	慶應義塾大学病院
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2年5月21日（木）

### 第21回患者申出療養評価会議

#### (2) 審議概要及び審議結果

慶應義塾大学病院を介して、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、本会議からの指摘に対して適切な回答がなされたことをうけ、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)

- ・ 当該医療技術が治験や先進医療等の他の制度で実施できない理由について、医療機関に確認したところ、申出のあった時点では、治験・拡大治験また先進医療といったほかの制度でこの技術については実施されておらず、資金面や企業の協力などを考慮すると、ほかの制度で本技術を実施する計画を立てた場合の開始時期が見通せないため同制度の利用は困難との回答を得た。
- ・ 事前評価担当構成員からは試験実施計画書の修正等の必要性につき指摘があったものの、いずれも事前に適切な回答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、当該医療技術に伴う合併症として起こる可能性のある間質性肺炎について、現在流行している新型コロナウイルス感染症との鑑別が必要になるとの意見があり、合併症発症時には適切に対応しながら実施することとした上で、「適」と判断された。

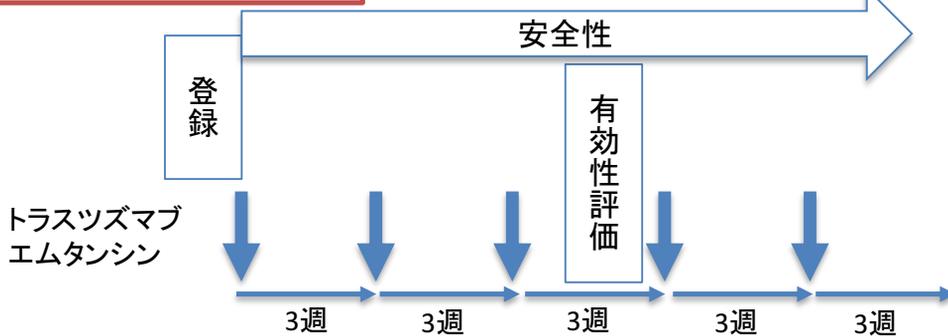
# 概要図

HER2陽性の進行期乳房外パジェット病に対するHER2阻害薬療法の安全性  
及び有効性評価試験 [TEMENOS trial] (患者申出療養)

## 対象症例(主なもの)

- ・ HER2陽性かつトラスツズマブ既治療の乳房外パジェット病患者
- ・ ECOGのPerformance Statusが0又は1の患者
- ・ RECIST 1.1に定義される標的病変を1つ以上有する患者
- ・ 主要臓器機能が保たれている患者
- ・ 年齢 20歳以上
- ・ 重篤が合併症がない患者

## HER2阻害薬治療



- ・ HER2阻害薬(トラスツズマブ エムタンシン) 3.6mg/kgの点滴投与と3週間の休薬を1サイクルとし、繰り返し投与する。3サイクル後の奏効率を評価する。
- ・ 有効であれば、最長2年間の治療継続を許容する
- ・ 患者1人当たり約70万円(薬剤無償提供あり)

- ・ 試験期間 患者申出制度承認から2025年3月31日(予定)
- ・ 予定症例数 16例
- ・ 参加施設 1施設
- ・ 主要評価項目
  - ・ 奏効率\*
- ・ 副次的評価項目
  - ・ 無増悪生存期間、全生存期間など
  - ・ 安全性

\*有効性に関する評価にはRECIST v1.1を用いる

# 薬事承認申請までのロードマップ

患者申出の試験薬:トラスツズマブエムタンシン(遺伝子組換え)

医師主導治験の治験薬:①トラスツズマブエムタンシン(遺伝子組換え)、②トラスツズマブデルクステカン(遺伝子組換え)

適応疾患:HER2陽性の進行期乳房外パジェット病

## 患者申出療養

試験名:HER2陽性の進行期乳房外パジェット病に対するHER2阻害薬療法の安全性及び有効性評価試験 [TEMENOS trial]

- ・試験デザイン:オープンラベル、シングルアーム、単施設
- ・主要評価項目:奏効率
- ・予定期間:2020年4月より2025年3月まで
- ・被験者数:最大16例
- ・対象:進行期乳房外パジェット病の治療のため、研究実施期間中に当院皮膚科外来を受診する患者のうち、HER2陽性かつトラスツズマブ既治療の患者

## 医師主導治験

試験名:HER2陽性の進行期乳房外パジェット病に対するトラスツズマブエムタンシン又はトラスツズマブデルクステカン治療のランダム化第Ⅱ相臨床試験 [RandomHER2 trial]

- ・試験デザイン:オープンラベル、多施設共同
- ・主要評価項目:奏効率
- ・予定期間:2020~2021年度より5年間
- ・被験者数:33例(HER2陽性22例、HER2低発現11例)
- ・対象:進行期乳房外パジェット病の治療のため、研究実施期間中に治験実施施設の皮膚科外来を受診する患者のうち、HER2陽性/低発現の患者

薬事承認申請検討

## 適格基準(主なもの)

- ・HER2陽性かつトラスツズマブ既治療の乳房外パジェット病患者
- ・ECOGのPerformance Statusが0又は1の患者
- ・RECIST 1.1に定義される標的病変を1つ以上有する
- ・主要臓器機能が保たれている患者
- ・年齢 20歳以上
- ・重篤な合併症がない患者

## 投与スケジュール

投与はday1に行い、21日(3週)を1コースとして、「研究薬投与の中止基準」のいずれかに該当するまで投与を繰り返す。最大2年間。

## 欧米での現状

保険収載:米国(無) 欧州(無) ガイドライン記載:(無)

進行中の臨床試験(無)