

**第98回先進医療会議(令和3年4月9日)における先進医療Bの科学的評価結果**

整理番号	技術名	適応症等	医薬品・医療機器等情報	申請医療機関 1	保険給付されない費用 1 2 (「先進医療に係る費用」)	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)
149	化学療法未施行の切除不能進行・再発固形癌に対するマルチプレックス遺伝子パネル検査	全身化学療法未施行の切除不能進行・再発癌(消化器・肺・乳腺・婦人科・悪性黒色腫)	・FoundationOne@CDx がんゲノムプロファイル (中外製薬株式会社)	京都大学医学部附属病院	48万7千円 (一部企業負担のため患者負担は2万5千円)	1千円	4百円	適	別紙資料

- 1 医療機関は患者に自己負担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)

**【備考】**

先進医療A

- 1 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴わない医療技術(4に掲げるものを除く。)
- 2 以下のような医療技術であって、当該検査薬等の使用による人体への影響が極めて小さいもの
  - (1) 未承認等の体外診断薬の使用又は体外診断薬の適応外使用を伴う医療技術
  - (2) 未承認等の検査薬の使用又は検査薬の適応外使用を伴う医療技術

先進医療B

- 3 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴う医療技術(2に掲げるものを除く。)
- 4 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴わない医療技術であって、当該医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの。

評価者 構成員：横井 香平

先進技術としての適格性

先進医療の名称	化学療法未施行の切除不能進行・再発固形癌に対するマルチプレックス遺伝子パネル検査
社会的妥当性 (社会的倫理的問題等)	<input checked="" type="radio"/> A. 倫理的問題等はない。 <input type="radio"/> B. 倫理的問題等がある。
現時点での普及性	<input type="radio"/> A. 罹患率、有病率から勘案して、かなり普及している。 <input type="radio"/> B. 罹患率、有病率から勘案して、ある程度普及している。 <input checked="" type="radio"/> C. 罹患率、有病率から勘案して、普及していない。
効率性	既に保険導入されている医療技術に比較して、 <input checked="" type="radio"/> A. 大幅に効率的。 <input type="radio"/> B. やや効率的。 <input type="radio"/> C. 効率性は同程度又は劣る。
将来の保険収載の必要性	<input checked="" type="radio"/> A. 将来的に保険収載を行うことが妥当。なお、保険導入等の評価に際しては、以下の事項について検討する必要がある。 <div style="border: 1px solid black; border-radius: 15px; padding: 10px; margin: 10px 0;">           保険導入にあたっては、primary endpoint である「Actionable な遺伝子異常に対応する分子標的薬による治療を受ける患者の割合」のみならず、secondary endpoint の結果、さらにはその後に予定されている観察研究および医師主導治験の結果も含めて総合的な検討を行い、本技術ががんの治療成績の向上に役立つことを明らかにする必要がある。         </div> <input type="radio"/> B. 将来的に保険収載を行うべきでない。
総評	総合判定： <input checked="" type="radio"/> 適 ・ 条件付き適 ・ 否 コメント：

「化学療法未施行の切除不能進行・再発固形癌に対するマルチプレックス遺伝子パネル検査（整理番号B115）」の有効性・安全性にかかる評価について

先進医療技術審査部会

座長 山口 俊晴

京都大学医学部附属病院から申請のあった新規技術について、先進医療技術審査部会で安全性・有効性について検討を行い、その結果を以下の通りとりまとめたので報告いたします。

1. 先進医療の概要

先進医療の名称：化学療法未施行の切除不能進行・再発固形癌に対するマルチプレックス遺伝子パネル検査

適応症：全身化学療法未施行の切除不能進行・再発癌（消化器・肺・乳腺・婦人科・悪性黒色腫）

内容：

（概要）

がん遺伝子パネル検査は2019年6月から保険診療で実施できるようになったが、その適応は標準治療がない、もしくは終了した（終了見込み含む）症例に限られている。一方で、Precision Medicineのコンセプトからは、初回治療の段階から症例毎にがん細胞の遺伝子異常に合わせた治療を選択したほうが、より効果的である可能性が考えられてきた。

本研究では、腫瘍組織検体から作成されたホルマリン固定パラフィン包埋（FFPE）検体を米国 Foundation medicine 社に提出し解析を行い、解析結果のレポートを得る。レポートをもとにエキスパートパネルにおいて、Actionable/Druggable な遺伝子異常の割合等を求め、初回治療法選択における遺伝子プロファイリング検査の臨床的有用性を検証する。

・主要評価項目：

コンパニオン診断を含む Actionable な遺伝子異常を有する症例の割合

・副次評価項目：

1) エクスパートパネルによる推奨治療が提示できる症例の割合、2) 遺伝子異常に基づく推奨治療のマッチングスコア、3) Druggable な遺伝子異常を有する症例の割合、4) コンパニオン診断の遺伝子異常を有する症例の割合、5) シークエンス成功割合、6) エクスパートパネルによる推奨治療を実際に受けた症例の割合、7) 全生存期間

予定試験期間：承認日から15か月（登録期間：承認日から6か月）

予定症例数：180例

（先進医療にかかる費用）

本技術に係る総費用は487,130円である。このうち、遺伝子解析にかかる費用462,000円は企業が負担するため、患者負担額は25,130円となる。

申請医療機関	京都大学医学部附属病院
協力医療機関	なし

## 2．先進医療技術審査部会における審議概要

(1) 開催日時：令和3年3月11日（木） 16:00～  
（第115回 先進医療技術審査部会）

(2) 議事概要

京都大学医学部附属病院から申請のあった新規医療技術について、申請書を基に、有効性・安全性等に関する評価が行われた。

その結果、当該技術を「適」とし、本会議において指摘された条件が適切に反映されたことが確認されれば、了承とし、先進医療会議に報告することとした。

（本会議での評価結果）

第115回先進医療技術審査部会資料2-1, 2-2参照

（本会議での指摘事項及び回答）

第115回先進医療技術審査部会からの指摘事項回答参照

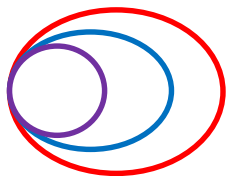
## 3．先進医療技術審査部会での検討結果

京都大学医学部附属病院からの新規医療技術に関して、先進医療技術審査部会は、主として有効性・安全性等にかかる観点から論点整理を進め、それらの結果を申請書に適切に反映させ、その内容については全構成員が確認を行った結果、当該新規技術の申請内容が先進医療として妥当であると判断した。

# 技術概要図

申請医療機関からの提出資料

初回治療時におけるがんゲノムプロファイル検査の実現性と患者毎の適正な治療の振り分けの有用性を評価する前向き研究



Actionableな遺伝子変異あり  
(がんに関連する遺伝子変異)  
Druggableな遺伝子変異あり  
(薬剤到達可能な遺伝子変異)  
コンパニオン診断遺伝子変異あり

専門家による結果の解釈

エキスパートパネル

推奨治療あり

推奨治療なし

エキスパートパネルに基づく治療  
(治験など)

全身化学療法未施行の切除不能進行・再発固形癌  
(消化器、肺、乳腺、婦人科、悪性黒色腫)

がん遺伝子パネル検査 (F1CDx)

Actionableな遺伝子変異あり

Actionableな遺伝子変異なし

Druggableな遺伝子変異あり

Druggableな遺伝子変異なし

Druggableな遺伝子変異なし

コンパニオン診断遺伝子変異あり

コンパニオン診断遺伝子変異なし

コンパニオン診断に基づく治療

標準治療

早い段階でゲノムプロファイル検査を行うことでより高い治療効果が期待できる集団を振り分けられる

ゲノムプロファイルやCDx検査が陰性であっても標準治療をうけることができる

がんゲノムプロファイル検査による治療選択の最適化に貢献

# 保険適用拡大までのロードマップ

試験機器: マルチプレックス遺伝子パネル検査 (FoundationOne® CDx がんゲノムプロファイル)

先進医療での適応疾患: 全身化学療法未施行の切除不能進行・再発癌 (消化器・肺・乳腺・婦人科・悪性黒色腫)

## 先進医療

- 試験名: 化学療法未施行の切除不能進行・再発固形癌に対するマルチプレックス遺伝子パネル検査の有用性評価に関する臨床研究
- 試験デザイン: 単群試験
- 期間: 登録期間-6ヶ月、追跡期間-6ヶ月、総研究期間-倫理委員会承認日から15ヶ月
- 被験者数: 合計180例 (各原発臓器別に最低でも5例/最大40例までの登録とする。)
- 主要評価項目: コンパニオン診断を含むActionableな遺伝子異常を有する症例の割合
- 副次評価項目: 1) エキスパートパネルによる推奨治療が提示できる症例の割合  
2) 遺伝子異常に基づく推奨治療のマッチングスコア  
3) Druggableな遺伝子異常を有する症例の割合  
4) コンパニオン診断の遺伝子異常を有する症例の割合  
5) シークエンス成功割合  
6) エキスパートパネルによる推奨治療を実際に受けた症例の割合  
7) 全生存期間

学会からの  
要望

保険適用拡大

## 当該先進医療における主な選択基準

- 登録時年齢が20歳以上である。
- 登録時にECOG Performance Status 0～1である。
- 治癒切除不能または再発の病変を有する下記臓器原発の腫瘍。  
消化器 (食道、胃、大腸、胆道、膵) 肺 乳腺 婦人科 (卵巣、子宮) 皮膚 (悪性黒色腫)
- がん種に関わらず薬物療法歴および放射線治療歴がない。

## 欧米での現状

薬事承認: 米国 2017年11月30日FDAより承認、  
2018年3月には米国においてStage III/IVのすべての固形がんで公的医療保険 (Medicare, Medicaid) の給付対象になった。  
欧州2018年4月17CEマークを取得  
ガイドライン記載: (有)  
→ESMOガイドライン2020  
進行中の臨床試験 (無)