

先進医療 B 実施計画等評価表 (番号 B084)

評価委員 主担当：山本
副担当：田島 副担当：大門 技術専門委員：村田

先進医療の名称	個別化医療に向けたマルチプレックス遺伝子パネル検査
申請医療機関の名称	国立研究開発法人 国立がん研究センター中央病院
医療技術の概要	<p>抗悪性腫瘍薬による治療を検討している、またはその可能性がある、治癒切除不能または再発の病変を有するがん患者を対象として、当センター研究所で開発したがん関連遺伝子の変異、増幅、融合を1アッセイで検出可能なマルチプレックス遺伝子パネル検査試薬である NCC オンコパネルを用いて解析し、actionable な遺伝子異常を有する症例の割合を求めることで、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。</p> <p>対象患者は、16 歳以上で全身状態良好 (ECOG performance status 0~1) の治癒切除不能または再発の病変を有する原発不明がん、または、標準治療がない、標準治療が終了している、もしくは終了が見込まれる固形がん（原発不明がんを除く）患者とする。</p> <p>本研究参加について説明し文書同意が得られた患者を登録する。腫瘍組織検体および非腫瘍検体（血液）を外注検査会社（株式会社理研ジェネシス）に提出し、NCC オンコパネルによる解析を行い、解析結果のレポート原案を得る。レポート原案をもとにエキスパートパネルにおいて actionable な遺伝子異常および推奨される治療についての検討を行い、結果を患者に説明する。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 主要評価項目：actionable な遺伝子異常を有する患者の割合とその 95%信頼区間 ・ 副次評価項目：全適格例、全適格検査例、全登録例をそれぞれ分母とした場合の actionable な遺伝子異常を有する患者の割合とその 95%信頼区間、シーケンス成功割合、遺伝子異常に対応する治療薬が投与された割合、承認体外診断薬との結果の一致割合、全生存期間 ・ 予定試験期間：18 か月（登録期間：12 か月、追跡期間：6 か月） ・ 予定症例数：がん種を問わず最低 205 例、最大 350 例（この場合、肉腫 40~70 例の登録が見込まれる）

【実施体制の評価】 評価者：山本

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）		
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）		

【実施体制の評価】 評価者：村田

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 「3. 医療技術の有用性等」については、本研究のエンドポイントが有用性を調べるものである為、評価し難い。しかしながら「研究」としての有用性は十分と考える。		
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）		

【倫理的観点からの評価】 評価者：田島

4. 同意に係る手続き、同意文書	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
5. 補償内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） ○説明文書については事前の指摘に基づき難解な内容に説明が加えられ、患者相談窓口の追記がなされ、補償に関する別添文書の説明文書との一体化が図られたので、適とした。 ○補償についても付保予定で適切に行われることになっているため、適とした。 ○患者相談の対応も整備されている。 （患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。）		
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）		

【試験実施計画書等の評価】 評価者：大門

6. 期待される適応症、効能及び効果	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
7. 予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
9. 治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
10. 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
11. モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
12. 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
13. 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
14. 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
15. 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
16. 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）</p> <p>本試験は、本医療技術を用いて actionable な遺伝子異常を同定される症例の割合はどの程度か、遺伝子異常を同定された症例に対する医療提供としてどのような行動をとったのかを前向きに調査することを目的としています。本試験の結果でもって本医療技術の優劣を直接論じることは困難だと思われませんが、本医療技術がより良い医療の提供の機会を与え得るものになるかを論じることはある程度まで可能だと思われれます。この理解のもとで、本医療技術の検査としての性能及び Expert Panel に関する懸念点について照会を行いました。それに対する申請者の説明は理解可能なものであると思われましたので、上記の通り、評価しました。</p>		
<p>実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）</p>		

【1～16の総評】

総合評価	<input checked="" type="checkbox"/> 適	条件付き適	継続審議	不適
予定症例数	がん種を問わず最低 205 例、最大 350 例（この場合、肉腫 40～70 例の登録が見込まれる）	予定試験期間	18 か月（登録期間：12 か月、追跡期間：6 か月）	
<p>実施条件：（修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。）</p>				

コメント欄（不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。）

本件では、検査結果を臨床応用するための「Expert panel」での意義付け」というステップが含まれ、その品質確保が当該技術の臨床的有用性に関わると考えられる。今回の試験の中で品質を確保するよう努めるのに加えて、今後本技術が商業ベースで実施される際にも同様の品質が確保される体制が組まれるよう、検討していただきたい。