

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について

1. がん遺伝子パネル検査後の治療について

- 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、何らかの遺伝子異常が見つかったがん患者に対しては、該当する治験又は臨床試験等が実施されている場合には、その紹介を各医療機関が行っているところ。
- しかしながら、上記のような対応を行っても、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(希少がんや上記試験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る。
- こうした患者からの申請に迅速に対応するため、平成30年11月22日の患者申出療養評価会議での協議結果を踏まえ、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の作成をあらかじめ依頼することとなった。

2. 研究計画書の状況について

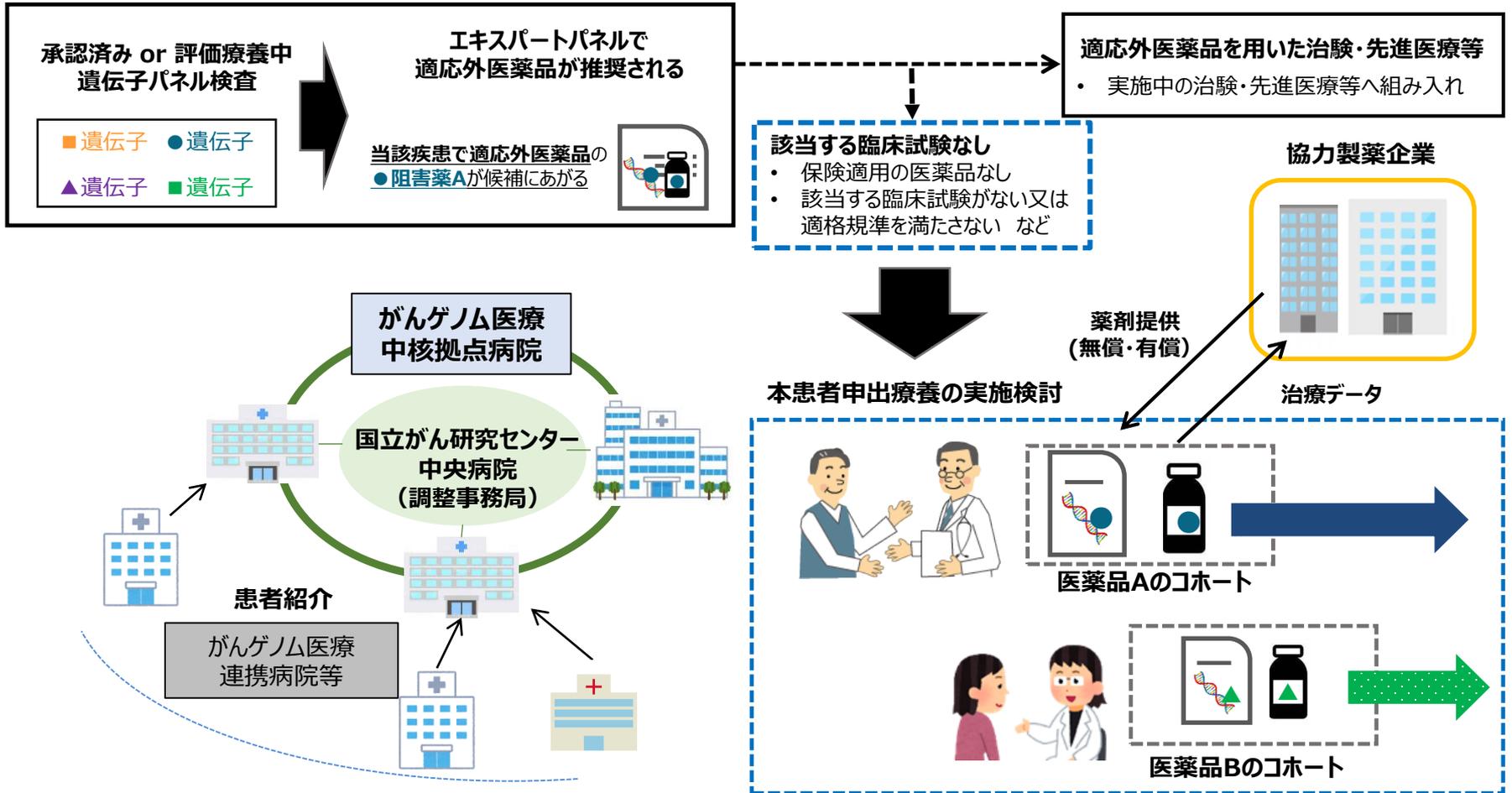
- 国立がん研究センター中央病院において、「遺伝子パネル検査による遺伝子プロファイリングに基づく複数の分子標的治療に関する患者申出療養」に係る研究計画書等が作成され、認定臨床研究審査委員会で承認されたところ。
- また、本技術に係る審査を迅速化するため、患者申出療養評価会議座長の了承のもと、担当構成員に研究計画書等の事前評価をお願いしているところ。

3. 今後の対応について

- 審査期間の短縮を図るため、担当構成員の事前評価結果をもとに、現時点での研究計画書等の妥当性について、今回の患者申出療養評価会議においてご審議いただきたい。
- 本会議からの指摘事項については、速やかに国立がん研究センター中央病院に照会した上で、研究計画書等の見直しについて検討していただく。
- 実際に患者からの申請がなされた際には、当該研究計画書等に基づき、本会議において再度ご審議いただく。

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に、それぞれの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し、治療経過についてのデータを収集すること。

○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録がされている
- ・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

