

未定稿

小児・AYAがんに対する遺伝子パネル検査結果等に基づく 複数の分子標的治療に関する患者申出療養(PARTNER試験) (概要図)

患-2 (参考資料)
5. 3. 17

※ 国立がん研究センター中央病院からの提供資料

<対象> わが国で保険適用済み、または評価療養として実施されている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、患者申出療養制度に基づき、本研究に組み込まれている医薬品の投与を希望する小児・AYA患者 (0-29歳)

<目的> それぞれの対象に対し推奨された小児において一定の安全性をもつ適応外薬あるいは未承認薬を患者申出療養制度に基づいて投与し、安全性および探索的有効性を評価するとともに、必要な薬剤では同意が得られた患者に、PKデータを収集することを目的とする。

<主要評価項目> 各医薬品コホートにおける用量制限毒性 (Dose Limiting Toxicity, DLT) 相当の有害事象発現割合

<副次評価項目>

各医薬品コホートにおける

1. 安全性のエンドポイント：有害事象発現割合
2. 薬物動態パラメータ (必要な場合のみ)
3. 探索的有効性のエンドポイント：奏効割合 (施設判定)、16週病勢制御割合 (施設判定)、無増悪生存期間、全生存期間

<投与方法と評価スケジュール>

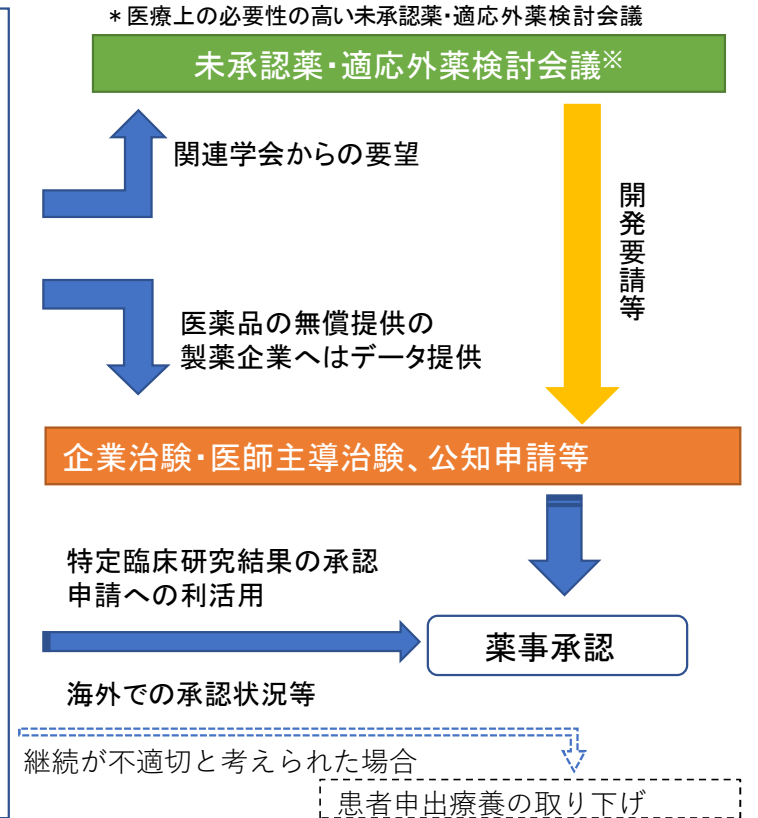
- 各医薬品毎に別紙を作成し、実施する。

<中間解析の実施>

- 本試験では、各コホート6例が登録され16週までの追跡が行われた時点で、中間解析を行う。

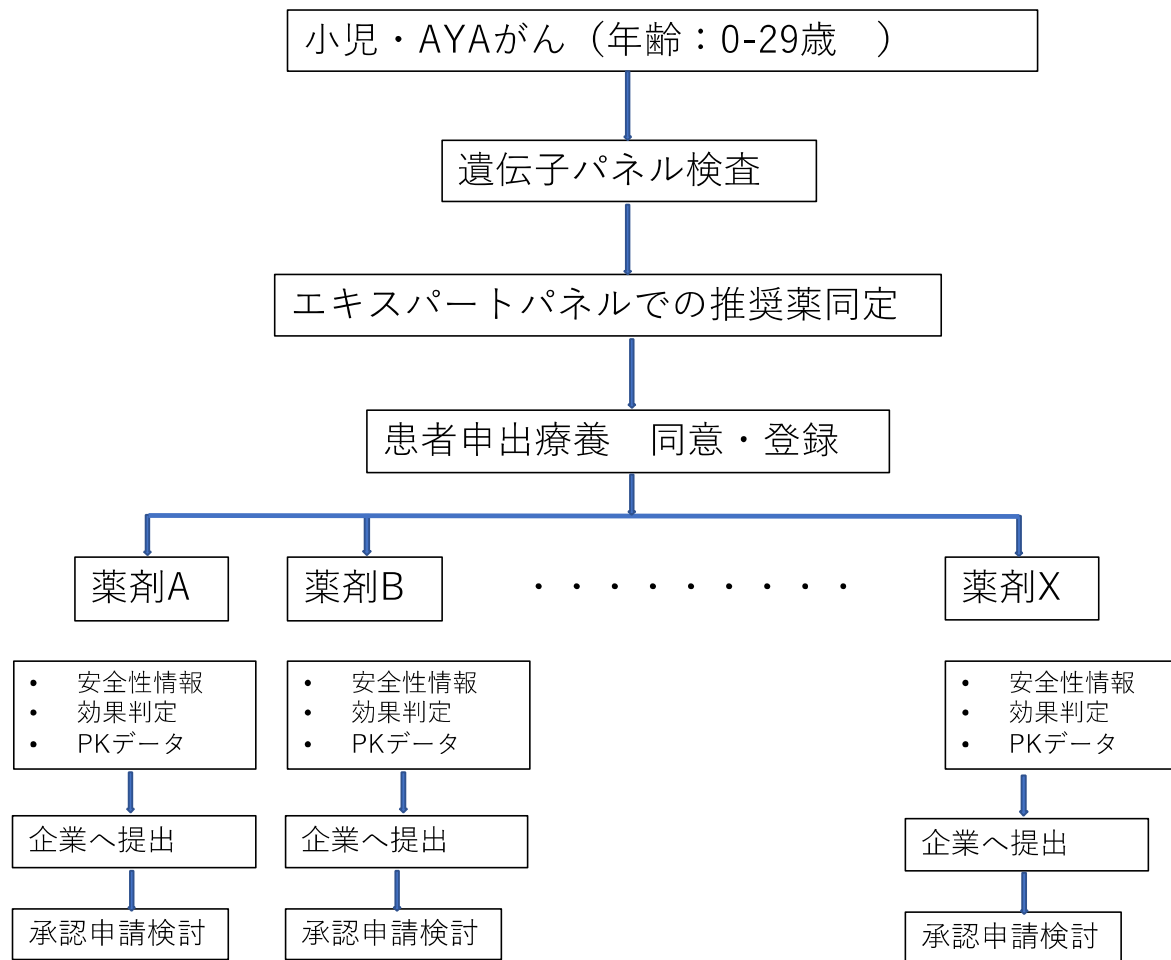
<症例登録予定>

- 症例数見込み：コホート毎6症例 (max 30例)
- 試験全体の登録期間：3年
- 追跡期間：登録終了後1年



小児・AYAがんに対する遺伝子パネル検査結果等に基づく 複数の分子標的治療に関する患者申出療養(PARTNER試験) (概要図)

※ 国立がん研究センター中央病院からの提供資料



各薬剤コホート6例の登録を目安にデータを企業へ提供する。