

「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」の患者申出療養評価会議における事前評価等の取扱いについて

1. 小児がん治療薬に係る患者申出療養の治療について

- 海外において小児がんを適応として薬事承認されている医薬品が、日本国内で薬事承認されておらず使用できない、いわゆる「ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロス」が顕在化している。
- 患者申出療養制度を活用し、がん遺伝子パネル検査に基づいた遺伝子異常に対して、適応外薬を投与する臨床研究が開始されている（※）。しかし、当該研究の枠組みは国内で用法・用量が定められている医薬品を対象としており、小児を適応としたものは限られている。

（※）「マルチプレックス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分子標的治療」（国立がん研究センター中央病院）

- 国内で小児の用法・用量のない医薬品について、海外の添付文書・治験データによる安全性・有効性の確認や、製販企業等との薬剤調達交渉を行うことが医療機関の負担となっている。
- 上記のような課題を踏まえ、国立がん研究センター中央病院において、小児・AYA がんに対し遺伝子パネル検査を実施し、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の安全性及び有効性の評価を目的とした特定臨床研究の実施が計画されている（※）。

（※）「小児・AYA がん患者の薬剤アクセスの改善と薬事承認に利活用可能なデータ収集を目的とした患者申出療養制度に基づく特定臨床研究」（令和5年度～、AMED 臨床研究・治験推進研究事業、研究開発代表者：小川千登世先生、国立がん研究センター）

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、「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」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、患者からの申出が提出される前に、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

ご意見をいただきたい。

- 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、本会議においてご審議いただく。