

BRAF V600 変異陽性局所進行・転移性小児固形腫瘍に対するダブラフェニブ・トラメチニブの第II相試験 (jRCTs011220017)

当院単施設、患者申出療養で実施予定

患-2参考1
5.9.21

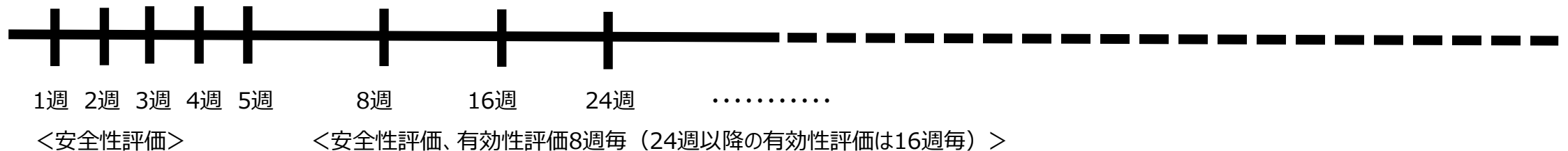
患-1別紙1
4.12.22

◆対象と目的

- BRAF V600E変異陽性の切除不能かつ標準治療に抵抗性の1才から15才の小児固形腫瘍
- ダブラフェニブ・トラメチニブ併用療法の有効性と安全性を評価する。

◆投与方法と評価スケジュール

- 年齢および体重に基づく用量で、ダブラフェニブを1日2回、トラメチニブを1日1回経口投与する。錠剤やカプセルが内服できない児には経口服液と分散錠を輸入し投与する。
- 安全性の評価は5週目まで週1回、以降8週目からは8週に1回。有効性の評価は24週目まで8週に1回、以降24週からは16週に一回。



◆主要評価項目：測定可能病変を有する患者の治療開始後24週までの確定したRECIST version1.1に基づく奏効率

◆副次評価項目：測定可能病変を有する患者の継続投与に伴う確定したRECIST version1.1に基づく奏効率、無増悪生存期間 (PFS)、生存期間 (OS)、腫瘍測定の径和 (sum of diameters) の最良パーセント変化、有害事象等

◆症例登録予定：測定可能病変を有する患者18名、測定可能病変を有さない患者0 - 10名

登録期間：患者申出療養制度承認後から2026年3月31日まで、実施期間：2027年3月31日まで