

BRAFV600変異陽性の進行性神経膠腫を有する小児を対象とした ダブラフェニブ・トラメチニブ併用療法に関する患者申出療養 (概要図)

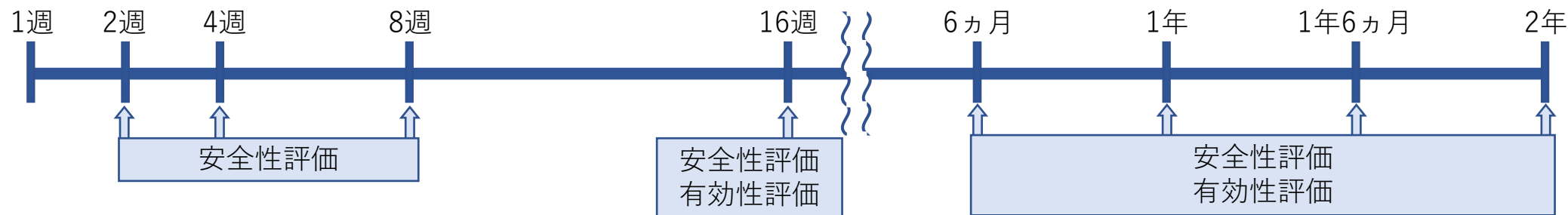
患 - 1
(参考資料1)
6.6.20

◆ 対象と目的

- ・ BRAFV600変異陽性の神経膠腫を有し、かつ実施すべき標準治療が存在しない15歳未満の小児患者
- ・ 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

◆ 投与方法と評価スケジュール

- ・ 年齢及び体重に基づく用量で、ダブラフェニブ1日2回経口投与とトラメチニブ1日1回経口投与
- ・ 安全性評価は、投与開始後16週までは以下の時点、それ以降は6ヶ月、1年、1年6ヶ月、2年で実施。
- ・ 投与期間中は、投与開始後16週、6ヶ月、1年、1年6ヶ月、2年の時点で有効性評価を実施。



◆ 主要評価項目：投与開始後16週までの最良総合効果

◆ 副次評価項目：無増悪生存期間、有害事象

◆ 症例登録予定

1

- ・ 症例数見込み：4症例、登録期間：18カ月、追跡期間：初回投与から少なくとも2年間

日本における 薬事承認状況

効能・効果

- ・ *BRAF*遺伝子変異を有する悪性黒色腫
- ・ *BRAF*遺伝子変異を有する切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌

承認年月（2剤併用として）
2016年3月

米国・欧州における 薬事承認状況

効能・効果

- ・ *BRAFV600E/K*遺伝子変異を有する切除不能または転移性悪性黒色腫
- ・ *BRAFV600E/K*遺伝子変異を有するリンパ節転移のある悪性黒色腫への術後治療
- ・ *BRAFV600E*遺伝子変異を有する非小細胞肺癌
- ・ *BRAFV600E*変異を有する局所進行または転移性未分化甲状腺癌（米国）

承認年月（2剤併用として）
2014年1月(米国)
2015年9月(欧州)

薬事承認までのロードマップ

*BRAFV600*変異陽性の低悪性度神経膠腫（LGG）、若しくは再発又は難治性高悪性度神経膠腫（HGG）を有する小児及び青少年患者を対象にトラメチニブとの併用によるダブラフェニブの効果を評価する第II相、非盲検、国際共同試験

対象： *BRAFV600*変異陽性の低悪性度神経膠腫（LGG）、若しくは再発又は難治性高悪性度神経膠腫（HGG）を有する小児及び青少年患者

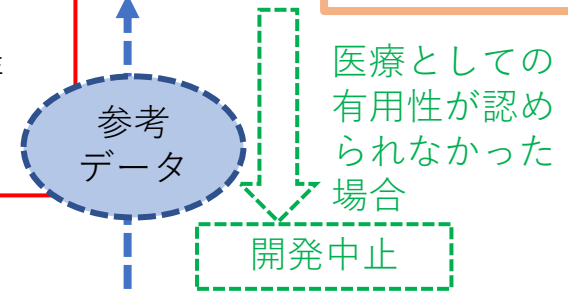
デザイン： 非盲検, LGG 2:1の比率で治験薬群と化学療法群に無作為割付, HGG 単群

登録症例数： LGG 102名、HCG 40名（日本人 13名）

試験期間： 2017年12月～2025年10月（登録期間終了）

有用性が認められた場合

適応追加



【患者申出療養】

*BRAFV600*変異陽性の進行性神経膠腫を有する小児を対象としたダブラフェニブ・トラメチニブ併用療法に関する患者申出療養

対象： *BRAFV600*変異陽性の神経膠腫を有し、かつ実施すべき標準治療が存在しない15歳未満の小児

目的： 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

評価項目： 投与開始後16週までの最良総合効果、無増悪生存期間、有害事象

症例数見込み： 4症例

予定期間： 登録期間 18か月 追跡期間：初回投与から少なくとも2年間

実施医療機関： 九州大学病院

安全性上の問題等で、継続が不適切と考えられた場合

患者②申出療養の取り下げ