

分担研究報告書

「治療薬アクセスに関する研究」

研究分担者：清井仁、坂田麻実子、加藤元博、李政樹、伊豆津宏二、遠西大輔、前田高宏

研究要旨

パネル検査から判明した遺伝子異常に対して効果が期待される薬剤に対し、本邦での保険適応がないなどの事情から、薬剤へのアクセスに問題が生じる可能性がある。そこで、本研究班では、治療薬へのアクセスを可能とする診療体系およびコンパニオン診断薬としてのあり方に関して、議論を行うとともに、現状での問題点およびこれを解決するための提言について、整理を行った。

A. 研究目的

パネル検査の結果から治療薬へのアクセスを可能とする体制、パネル検査のコンパニオン診断薬としてのあり方を検討する。

B. 研究方法

定例会議を合計3回設けて議論を行った（20210121 第1回、20210218 第2回、20210415 第3回20210304）。さらには、コンパニオン診断薬としての位置づけに関する意見交換会として、東京大学医学部附属病院 トランスレーショナルリサーチセンター 講師・副センター長 東京大学TR機構 兼務永井純正先生先生、レジストリデータを活用した医薬品等の開発の動向に関する意見交換会として、国立研究開発法人国立がん研究センター 研究支援センター生物統計部 柴田大朗先生に講演をいただき、班員とともに議論を行った。

C. 研究結果

永井先生からは、AMED研究班「遺伝子パネル検査によるコンパニオン診断システムの標準化に向けた検討」に取り組まれている段階であり、成果について随時シェアしていただけることとなった

柴田先生からは「治験・臨床試験とレジストリ・その他のRWDの長所・短所を考えたエビデンスの統合」を考えていくことが必要と助言をいただいた。また、製薬協とのヒアリングにより、今後の前向きな協力体制を構築した。

（倫理面への配慮）現時点では該当せず

D. 考察

パネル検査から有効に治療薬へアクセスするには、診療体系、治験情報の集約、公開

方法、薬剤提供体制について引き続き体制構築を目指した議論が必要と考えられた。また、パネル検査のコンパニオン診断薬としてのあり方については、永井班などとの連携も引き続き継続する必要があると考えられた。

E. 結論

1. 治療薬の現状（項目）別に遺伝子変異と薬剤の関連を整理、

①適応内

②適応外（造血器疾患/他の癌腫）

③国内治験実施中（造血器疾患/他の癌腫）

④国内治験未実施海外治験実施中（造血器疾患/他の癌腫）

⑤海外承認国内未承認/治験未実施（造血器疾患/他の癌腫）

⑥移植適応

2. 治験情報の集約・公開方法についての問題点

3. 治療薬を投与できる体制

① 保険償還

② 企業治験

③ 医師主導治験

④ 先進医療

⑤ 患者申し出

について、議論を継続する。

F. 研究発表

1. 論文発表

該当なし

2. 学会発表

該当なし

G. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得

該当なし

2. 実用新案登録

該当なし

3. その他

該当なし