

薬事承認申請までのロードマップ（先進医療）

試験薬または試験機器：ネシツムマブ（製品名：ポートルーザ）

先進医療での適応疾患：*EGFR*増幅陽性食道・胃・小腸・尿路上皮・乳がん

臨床研究

*EGFR*増幅陽性固形がんに対するネシツムマブ

- ①扁平上皮非小細胞肺癌において、ゲムシタビン+シスプラチンへのネシツムマブの上乗せ効果は、*EGFR*増幅陽性例で高く、陰性例では乏しい（第III相試験サブグループ解析）
- ②*EGFR*増幅陽性胃食道腺がん3例に対するセツキシマブ - 国外：CRとPR各1例
- ③*EGFR*増幅陽性胃腺がんに対するセツキシマブ - 国内：腫瘍マーカー著減、PET-CTで多発骨転移のFDG取り込み低下
- ④*EGFR*増幅陽性乳がんと食道胃接合部がん各1例に対するセツキシマブ+エルロチニブ - 国外：無増悪生存期間は、各々4か月以上、18か月

先進医療

試験名：*EGFR*遺伝子増幅陽性切除不能固形がんに対するネシツムマブの第II相バスケット試験
試験デザイン：単群第II相バスケット相試験
登録期間：1年6か月
追跡期間：最終症例登録日より6か月
被験者数：22例
主要評価項目：客観的奏効割合
副次評価項目：奏効期間、無増悪生存期間、全生存期間、有害事象発生割合など

治験

試験名：*EGFR*遺伝子増幅陽性切除不能固形がんに対するネシツムマブの第II相バスケット試験、もしくは*EGFR*遺伝子増幅陽性切除不能〇〇がんに対するネシツムマブの第II相試験（〇〇は先進医療で有望な有効性を示したがん種）
試験デザイン：単群第II相（バスケット）試験

薬事承認申請

当該先進医療における

選択基準：①FoundationOne CDxもしくはNCCオンコパネルシステム（腫瘍検体）、FoundationOne Liquid CDxもしくはGuardant360（保険収載後）（血液検体）により*EGFR*遺伝子増幅陽性と診断、②PS 0-1、③測定可能病変を有する、④食道・小腸・尿路上皮がん：少なくとも1レジメン以上に不応・不耐、胃がん：少なくとも2レジメン以上に不応・不耐、乳がん：アントラサイクリンとタキサン治療歴がある、⑤臓器機能が保たれている
 除外基準：①HER2陽性であることが判明している、②*EGFR*阻害薬の投与歴がある、③重篤な合併症を有する
 予想される有害事象：皮膚障害（ざ瘡様皮疹、皮膚乾燥、爪困炎）、低マグネシウム血症、注入に伴う反応

欧米での現状

薬事承認：米国（無）
 欧州（無）
 ガイドライン記載：（無）
 進行中の臨床試験（無、他の*EGFR*阻害薬は有）