Theme●がんゲノム医療を検証する

# がんゲノム医療 これからの展望 ～患者申出療養, MASTER KEY Projectから MASTER KEY Asiaへの展開～

Future perspectives of cancer genomic medicine
～Patient-proposed health care system, MASTER KEY Project and MASTER KEY Asia～

中島 美穂[1,4]／中村 健一[2,5]／山本 昇[3,6]
*Miho Nakajima　Kenichi Nakamura　Noboru Yamamoto*
国立がん研究センター中央病院臨床研究支援部門[1]／臨床研究支援責任者[2]／部門長[3]
国立がん研究センター中央病院国際開発部門[4]／部門長[5]
国立がん研究センター中央病院先端医療科科長[6]

KEY WORDS
◆遺伝子パネル検査 gene panel testing
◆患者申出療養 patient proposed health care system
◆actionable mutation actionable mutation
◆MASTER KEY Asia MASTER KEY Asia
◆MASTER KEY Project MASTER KEY Project

SUMMARY 日本のみならず世界中でがんゲノム検査が標準的に行われるようになるにつれactionableな遺伝子異常に基づいた分子標的薬が推奨薬として候補に多く挙がるようになった。一方で，推奨薬のある患者のうち実際に治療を受けることができるのは約１割程度であるという問題に現在直面している。患者への治療選択肢を増やすため，治験を立案し，それに続く承認薬の増加および適応拡大につなげることが最も重要であるが，その他の手段としては患者申出を起点とした患者申出療養制度を利用して薬剤を患者に届ける方法なども選択肢として挙げられる。前者に関しては，現在MASTER KEY Projectとして，希少がんに対し効率的な薬剤開発ができる仕組みを国立がん研究センターが中心となって行っている。後者に関しては，全国のがんゲノム医療中核拠点病院で患者申出療養制度に基づく特定臨床試験（NCCH1901）が実施している。これらの試みにより今後actionableな遺伝子異常がみつかったより多くの患者に治療を届けることができるようになることが期待されている。

As tumor gene panel testing has been used more frequently not only in Japan but all over the world, the number of patients found to have an actionable mutation has increased. On the other hand, serious problem that only about 10% of the patients who have recommended treatments based on their identified actionable mutations could actually receive targeted therapy has been revealed. To improve the drug access for those patients, establishing new clinical trials to accelerate drug approval and expanding indication is the most important strategy in Japan. MASTER KEY Project is one of the strategies initiated by National Cancer Center Hospital to establish clinical trials combined with registry system to accelerate the drug development for rare cancers. Another new strategy is prospective trial of patient-proposed healthcare services with multiple targeted agents based on the result of gene profiling by multigene panel test（NCCH1901）which is the clinical trial to administer off-label drugs corresponding to the respective genetic abnormalities based on the patient-proposed healthcare services system and to collect data on the treatment course. These strategies are expected to allow us to give the patient who found to have actionable mutation based on tumor gene panel testing more opportunity to receive targeted therapy in the future.

## はじめに

2019年６月，本邦において２種類の遺伝子パネル検査が成人および小児で保険収載され，2019年６月～2020年１月の間にがんゲノム医療中核拠点病院とその連携病院で1,522件の検査が実施されたと報告されている[1)]。検査数の増加に伴い，actionable mutationがみつかる件数も増加し，治療薬が推奨される件数も増加している。一方で遺伝子パネル検査を受けた患者の数を分母として，何らかの治療薬が推奨され，保険適用薬や治験を含む臨床試験など実際の治療にたどり着いた患者の割合は，１割程度に過ぎない[2)]（**図１**）。この問題は本邦のみの問題ではなく，同じく医療先進国である欧米でも同様の結果が出ており，世界が直面している課題となっている[3)]。また直近では，2021年３月５日の「がんゲノム医療推進コンソーシアム運営会議」では，保険診療として行われた遺伝子パネル検査7,467件のうち，エキスパートパネルで提示された治療薬を投与した患者数は607人（8.1％）にすぎないという数字が報告された。

そもそも遺伝子パネル検査により

SAMPLE



Copyright(c) Medical Review Co.,Ltd.