

## ゲノム情報に基づくUmbrella型臨床研究(患者申出療養)

朴 成和[司会]

国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 消化管内科科長  
Narikazu Boku

後藤 功一

国立研究開発法人国立がん研究センター東病院 呼吸器内科科長  
Koichi Goto

下井 辰徳

国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 乳腺・腫瘍内科医長  
Tatsunori Shimoi

武藤 学

京都大学大学院医学研究科腫瘍薬物治療学 教授  
Manabu Muto

(発言順)

ゲノム情報に基づいた個別化医療の実装化が進んでいる。自由診療や臨床研究での実施に続き、2019年にはがん遺伝子パネル検査が保険適用となり、がんゲノム医療中核拠点病院を中心に全国でがんゲノム医療が行われるようになった。しかし遺伝子を解析し、遺伝子異常が認められたとしても治療薬にたどり着く患者は一部に過ぎない。既存の治療薬がない場合は、治験や臨床試験への参加が検討されるが、特に発現頻度の低い希少フラクションに対する試験は少なく、患者の薬剤へのアクセスは限定されている。

そこで患者の治療機会を増やすことを目的に、2019年10月から国立がん研究センター中央病院を中心に、患者申出療養制度に基づく臨床研究が開始された。既承認の適応外薬を用いた治療に対して、患者の申出を起点とした患者申出療養制度を活用して、その有効性と安全性を確認する臨床試験(いわゆる受け皿試験)である。がん遺伝子パネル検査(がん遺伝子プロファイリング検査)を受けて、遺伝子異常が認められ、該当する治験および先進医療がない患者が対象となる。

ただし現状では、受け皿試験で得られたデータに基づいて承認申請を行う仕組みにはなっていない。また遺伝子変化と紐付けされた薬剤が少ないことから、薬事承認を目指すための新薬の治験をどのように活性化していくかは課題となっている。

### 実地医療としてのゲノム医療の現状

朴 本日は、ゲノム情報に基づくUmbrella型臨床研究をテーマに、各施設での取り組みと問題点、そして今後の展望についてご意見をお聞かせいただければと思います。

#### 1. 国立がん研究センター東病院の取り組み

朴 後藤先生から国立がん研究センター東病院(以下、東病院)での取り組みについてご紹介をお願いします。

後藤 われわれは2013年に「LC-SCRUM-Japan」(現：LC-SCRUM-Asia)という希少肺がんの遺伝子スクリーニングネットワークを立ち上げました。当初は公的研究費のみで行っていましたが、2015年から企業の参加を得て

「SCRUM-Japan」という組織になりました。消化器がんの「GI-SCREEN-Japan」(現：MONSTAR-SCREEN)とともに臓器横断的にスクリーニングを実施し、現在までに1万1,000例以上の肺がんの遺伝子スクリーニングを行っています。

われわれの目的は治療薬を開発し、それを患者さんに届けることであり、そのためのスクリーニング基盤を構築したということです。たとえば肺腺がんにおいてEGFR遺伝子変異はおよそ50%の頻度がありますので、各施設の検査で患者さんをスクリーニングして治験に登録することが可能です。しかしALK肺がんは3%、そのほかの希少肺がんはいずれも1~2%です。こういった基盤がないと治療開発は進みません。

ゲノム情報に基づいたUmbrella型の臨床試験も進めて