

Access Program for Unapproved and Off-label Drug Use in Pediatric BRAF V600E-mutated Brain Tumors in Japan

鈴木, 麻也

<https://hdl.handle.net/2324/7363922>

出版情報 : Kyushu University, 2024, 博士 (医学), 論文博士
バージョン :

権利関係 : © 2025 The Author(s). Pediatric Blood & Cancer published by Wiley Periodicals LLC.



氏 名： 鈴木 麻也

論文名： Access Program for Unapproved and Off-Label Drug Use in Pediatric *BRAF* V600E-Mutated Brain Tumors in Japan

(日本における小児*BRAF* V600E変異陽性脳腫瘍に対する未承認薬および適応外薬の使用を可能とする制度)

区 分： 乙

論 文 内 容 の 要 旨

小児では新薬の薬事承認が成人に比べて遅れるため、重篤な疾患に対する未承認薬および適応外薬の使用を可能にする制度が、小児がんに対し適用されてきた。今回、日本の患者申出療養制度の下で実施した*BRAF* V600変異を有する小児進行性神経膠腫に対するダブラフェニブ・トラメチニブ併用療法の有効性と安全性を評価する臨床研究 (jRCTs071210071) の結果を報告すると共に、未承認薬および適応外薬への迅速なアクセスを可能とする手順について考察した。

本研究では、低悪性度神経膠腫を有する患者2例、高悪性度神経膠腫を有する患者2例 (年齢中央値: 10.5歳) の計4例が登録され、ダブラフェニブおよびトラメチニブを投与した。主要評価項目である、投与開始後16週までのRANO基準に基づく最良総合効果は、全4例で疾患安定 (SD) であった。低悪性度神経膠腫を有する患者のうち1例は52週時点で部分奏功 (PR) となり、もう1例は腫瘍に起因すると考えられる嘔声や吃逆の軽快を認めた。高悪性度神経膠腫を有する患者2例は、研究終了時まで疾患安定 (SD) を維持した。ダブラフェニブおよびトラメチニブの適応拡大に伴い、全4例が保険診療下で治療可能となったため、本研究を終了した。

本研究では、小児がんの患者に対して、未承認薬および適応外薬を提供することができた。このような制度を小児患者に適用する際、未承認薬または適応外薬の提供までに要する期間、および、制度下で使用した薬剤に関するデータ収集を最適化する必要がある。