

2022年4月30日

治験・臨床試験を機動的かつ円滑に実施するためのサポート機能に関する研究
研究開発代表者 猪口雄二 殿

NPO 法人脳腫瘍ネットワーク
小児脳腫瘍の会
小児脳幹部グリオーマの会
「小児脳幹部グリオーマ」シンポジウム開催実行委員会
トルコキキョウの会
にじいろ電車(東京女子医大病院脳神経外科家族の会)

ダブラフェニブメシル酸塩カプセル及びトラメチニブジメチルスルホキシド付加物錠の
適応拡大を目的とした医薬品開発リスト掲載に関する要望書

我々は、希少がんであり難治性がんでもある脳腫瘍の患者団体であり、全国の脳腫瘍に苦しむ患者と家族を支援することを目的に活動しています。このたびの日本脳腫瘍学会及び日本脳神経外科学会からの医薬品開発の候補品の推薦に関し、神経膠腫に対する適応拡大を目的として、ダブラフェニブメシル酸塩カプセル(以下、ダブラフェニブ)及びトラメチニブジメチルスルホキシド付加物錠(以下、トラメチニブ)を追加いただきますよう、下記の理由とともに要望いたします。

希少がんの1つである神経膠腫のうち、BRAF 遺伝子異常がその発生病態にかかわるものが存在することが明らかにされており、本邦において保険適応済みの遺伝子パネル検査によって、BRAF 遺伝子変異が確認される例も少なくありません。しかしながら、当該遺伝子変異が確認された場合でも、現時点で神経膠腫の標準治療に用いられる薬剤はテモゾロミド及びベバシズマブに限られており、再発時には有効な治療法が確立されておらず、治療選択肢の拡大が切望されています。

ダブラフェニブとトラメチニブによる併用療法は、多くの臨床試験の結果から BRAF 遺伝子異常を有する癌腫で有効性が確認され、BRAF 遺伝子変異を有する悪性黒色腫、BRAF 遺伝子変異を有する切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌に対して国内外ですでに薬事承認されています。一方、BRAF 変異を有する低悪性度・高悪性度神経膠腫患者 58 人における、ダブラフェニブとトラメチニブによる併用療法の第2相臨床試験が、日本を含む国際共同試験として実施され、低悪性度神経膠腫において 69%、高悪性度神経膠腫において 33%と極めて良好な奏効率が示されています¹。同試験では投与後の安全性も他の適応症と同等であり、BRAF 遺伝子異常を有する神経膠腫の患者に対して光明をもたらす治療になり得ると期待されています。

以上より、日本脳腫瘍学会及び日本脳神経外科学会から開発候補医薬品として推薦のありましたダブラフェニブとトラメチニブに関して、BRAF 遺伝子異常を有する神経膠腫に対する早期承認を一日でも早く実現すべく、医薬品開発の候補品として推薦をお願いします。

¹Wen P. Y. et al. (2022) *Lancet Oncol.* 23(1) 53-64.

記

・ダブラフェニブメシル酸塩カプセル及びトラメチニブジメチルスルホキシド付加物錠の適応症を、BRAF 遺伝子異常を有する神経膠腫に拡大するため、医薬品開発の候補品として推薦をお願いします。

以上