小児におけるがん遺伝子パネル検査後の患者申出療養に係る対応について（案）

1. 現状

- 患者申出療養「マルチプレックス遺伝子パネル検査による遺伝子プロファイリングに基づく分子標的治療」（以下、パネル後患者申出療養という。）については、がん遺伝子パネル検査後に既承認薬として流通している分子標的薬の適応外使用を希望するも、該当する臨床試験等がなく治療が受けられない患者からの申出に迅速に対応するため、複数のがん種や遺伝子異常に対応可能な療養として令和元年10月1日より適用開始となったところ。
- 一方、がん遺伝子パネル検査については小児患者も保険適用となっているため、パネル後患者申出療養の対象患者と同様の状況にある小児患者から、患者申出療養の希望がなされることが想定されるが、パネル後患者申出療養の対象年齢は16歳以上となっており、当該療養の対象外となる。
- 仮に、こうした小児患者からの申出があった場合には、既に告示されている患者申出療養の実施計画対象外患者からの申出として、まずはパネル後患者申出療養の実施計画の変更で対応できないかどうか、臨床研究としての適切性の観点（※）等から申請医療機関である国立がん研究センター中央病院で検討いただくことになる。そのうえで、当該実施計画の変更では対応できないと判断された場合には、新たな患者申出療養としての申請が必要となる。（参考資料）
 - （※）・当該療養が依拠したエビデンスの範囲から逸脱しない
 - ・当初の計画の骨子が大きく変わらない

2. 課題

- パネル後患者申出療養の実施計画対象外の小児患者から申出があった場合、当該療養の実施計画の変更に係る検討等に一定程度の期間が必要となるが、当該療養が開始となった経緯も踏まえ、申出から治療開始までの期間をできるだけ短縮することが望まれる。

3. 対応（案）

- パネル後患者申出療養の実施計画対象外の小児患者からの申出を想定した実施計画の変更について、申請医療機関である国立がん研究センター中央病院において、予め検討を進めていただくこととしてはどうか。
- なお、当該療養の実施計画変更の適切性・妥当性については、本会議でご審議いただくこととなる。