

難治性褐色細胞腫を対象とした  $^{131}\text{I}$ -MIBG 内照射療法に関する研究  
総括報告書について先進医療評価委員からの照会事項に対する回答書

2018年12月10日

回答者：実施責任医師 金沢大学附属病院 核医学診療科 若林 大志

【照会事項①】

照会事項1の回答では、患者の治療中止理由として12例中8例で「試験期間終了のため次コース治療に進めず」とされています。治療計画では MIBG の総投与量が全生存期間に影響するとされていますが、試験期間延長による試験治療や生存期間観察の継続に関する検討内容と試験終了に至った理由を説明してください。また、後治療について、終了後に私費診療を行った例数や有効性・安全性上の情報について収集している情報があれば説明してください。

<回答>

貴重なご指摘をいただき、誠にありがとうございます。

本先進医療は、研究計画書に示す通り、2017年10月末までの試験期間内で、前コースの  $^{131}\text{I}$ -MIBG 内照射療法実施12週後に増悪がなければ、24週後に次コースの内照射療法を実施する計画(登録時期により治療コース数が異なりうる計画)として立案し、貴評価委員会でご承認をいただいております。ご指摘の通り、MIBG の総投与量が全生存期間に影響すると考えられます(参考文献26)が、新たな研究費の獲得が困難であったため、当初の研究計画を変更することなく予定通り先進医療を終了いたしました。

なお、試験期間終了のため次コース治療に進めなかった8名のうち同意の得られた研究対象者2名については、試験期間終了後に私費診療として内照射療法を実施しております(1名は病変を部分切除後に1回内照射療法施行:画像評価で増悪、安全性に問題なし、もう1名は内照射療法を1回施行後私費診療困難なため経過観察:画像評価増悪なし 安全性に問題なし)。患者の経済的負担も大きく、本先進医療および現在進行中の企業治験(照会事項5)の成果により、 $^{131}\text{I}$ -MIBG 内照射療法が薬事承認・保険償還に至ることを願っております。

上記の2名以外に、本先進医療でCRになった後に再発し本年秋に1回内照射療法をした患者(安全性に問題なし)と、本先進医療で3コース終了後に本年春に1回内照射療法を行い画像評価(CT,  $^{123}\text{I}$ -MIBG シンチグラフィ,  $^{18}\text{F}$ -FDG-PET)で無増悪も、尿中カテコラミンが上昇したため経過観察となった患者(治療後 grade1 の貧血あり)がおります。