

報道関係各位

**ALK 融合遺伝子陽性の固形がんに対し、
成人・小児を対象とした臓器横断での治療薬が薬事承認
中央病院「MASTER KEY プロジェクト」での医師主導治験の成果**

2026 年 5 月 18 日

国立研究開発法人国立がん研究センター

発表のポイント

- ALK 阻害薬アレクチニブが、成人および小児の希少がんを含む多様な ALK 融合遺伝子陽性固形がんに対し、臓器横断的に薬事承認されました。
- ALK 阻害薬として、世界で初めて、臓器横断での小児を含む適応拡大の薬事承認です。
- 本承認は、国立がん研究センター中央病院が主導する希少がんの産学共同プロジェクト MASTER KEY プロジェクトによる国内 4 施設共同の第 II 相医師主導治験の成果です。
- 今後も、遺伝子異常などバイオマーカーの結果に応じた効率的な研究開発を推進し、小児を含む希少がん患者さんに、より早く、より多くの新薬を届けてまいります。

概要

国立研究開発法人国立がん研究センター(所在地:東京都中央区、理事長:間野 博行)中央病院(病院長:瀬戸 泰之、以下 中央病院)は、希少がんの産学共同プロジェクト MASTER KEY プロジェクトの枠組みで、ALK 遺伝子異常を有する固形がんに対する ALK 阻害薬アレクチニブ塩酸塩(以下、アレクチニブ)の有効性と安全性を検討する第 II 相医師主導治験(試験略称:TACKLE;以下 TACKLE 試験、試験番号:NCCH1712/MK003)を中央病院、京都大学医学部附属病院、九州大学病院、北海道大学病院で実施しました。

この度、TACKLE 試験の成績および中央病院が小児を対象に行った第 I 相医師主導治験(試験略称:PANDA、試験番号:NCCH1708)等の成績をもとに、体重 6kg 以上の小児を含む ALK 融合遺伝子(Anaplastic Lymphoma Kinase fusion)陽性の進行・再発の固形がんに対してアレクチニブが 2026 年 5 月 18 日に薬事承認されました。

希少がんは患者数が極めて少ないため、臓器ごとのがんに対して実施される従来の臨床試験では十分なデータを収集することが困難です。こうした課題に対応するため、MASTER KEY プロジェクトでは、臓器ごとのがんによらず腫瘍組織における遺伝子異常に着目した新たな臨床試験手法を導入し、研究を推進しています。これまで、ALK 融合遺伝子陽性の非小細胞肺癌や血液腫瘍である未分化大細胞リンパ腫の患者さんに対しては、アレクチニブが保険診療として使用されてきました。一方で、ALK 融合遺伝子はこれらのがんにとどまらず、希少がんを含む多様ながんや小児がんにも存在することが明らかとなっており、臓器を問わない治療薬の開発が求められていました。今回、MASTER KEY プロジェクトによる臨床試験の成果に基づき、ALK 融合遺伝子を標的とした臓器横断的な治療が新たに実現しました。

なお、本薬事承認にあたっては、ALK 融合遺伝子が臓器を超えて日本人がん患者さんの腫瘍に存在することを示すエビデンスとして、国立がん研究センターがんゲノム情報管理センター(C-CAT)に蓄積されたデータが、申請資料の一部として活用されました。

背景

希少がんとは、人口 10 万人あたり 6 例未満の「まれ」な「がん」であり、患者さんの数が極めて少ないために治療薬の開発が難しく臨床試験が進まない領域です。国立がん研究センター中央病院ではこのような アンメットメディカルニーズに対応すべく、センター内のがんゲノム情報管理センター(C-CAT)に集約されたがんパネル検査や臨床情報も利活用し、希少がんの研究開発およびゲノム医療を推進する MASTER KEY プロジェクトで、希少がん領域でのバイオマーカー(遺伝子異常、タンパク発現等)に基づいた、複数の臨床試験を実施してきました。

近年、がんゲノム医療の進展により、治療効果を予測するバイオマーカーが同定・活用されるようになり、臓器ごとのがんに関わらず遺伝子異常に基づく、臓器横断的な治療薬開発が発展してきました。臓器横断的な治療薬の開発においては、臓器ごとに特定の遺伝子変異を有する患者さんがどの程度存在するのかを把握することが重要です。日本では、これまでにがん遺伝子パネル検査を受けた 13 万人以上(2026 年 5 月時点)の患者さんのデータが、C-CAT に集約されています。これにより、まれな遺伝子変異であっても、該当する患者さんの把握を効率的に行うことが可能となっています。

ALK 融合遺伝子を有する固形がんは、ALK 遺伝子が別の遺伝子(EML4、KIF5B など)と異常に結合することで発生するドライバー変異により、腫瘍の増殖が促進されると考えられています。アレクチニブは、ALK 融合遺伝子陽性の非小細胞肺癌および未分化大細胞リンパ腫に対する治療薬として薬事承認されていましたが、ALK 遺伝子異常は、炎症性筋繊維芽細胞性腫瘍、神経芽腫、組織球症などの成人や小児の様々な希少がんの患者さんでも確認されていました。そこで中央病院では、成人および小児の ALK 遺伝子異常を持つ固形がん患者さんへ臓器横断的に使用できるよう薬事承認を目指し、中外製薬株式会社の協力の元、医師主導治験を行いました。

TACKLE 試験

TACKLE 試験(試験番号:NCCH1712/MK003、jRCT2091220364)は、2018 年から中央病院が主導で行った国内 4 施設(中央病院、京都大学医学部附属病院、九州大学病院、北海道大学病院)による、ALK 遺伝子異常を有する固形がんに対するアレクチニブの有効性と安全性を検討した第 II 相医師主導治験です。26 名(16 歳以上:14 名、16 歳未満:12 名)の ALK 遺伝子異常(融合遺伝子、活性化型遺伝子変異、遺伝子コピー数増加)を有する成人および小児の患者さんを対象に実施しました。本試験の主たる解析の結果、主要評価項目である画像中央判定による奏効割合は、本体コホートの最大の解析対象集団(FAS)において 43.8%(7/16 名、95%信頼区間:19.8%~70.1%)、その内、ALK 融合遺伝子陽性の部分集団において 70.0%(7/10 名、95%信頼区間:34.8%~93.3%)でした。また、全てのコホートの FAS を合わせた FAS 全体の ALK 融合遺伝子陽性の部分集団において 76.5%(13/17 名、95%信頼区間:50.1%~93.2%)となり、本試験の ALK 融合遺伝子陽性例の有効性データが薬事承認の主な根拠として評価されました。副作用は、これまで知られているアレクチニブの安全性プロファイルと同様でした。

TACKLE 試験は MASTER KEY プロジェクトの枠組みを用い、中外製薬株式会社(以下 中外製薬)から資金および薬剤の提供を受けて実施しました。

PANDA 試験

PANDA 試験(試験番号:NCCH1708、jRCT2091220354)は、2018 年から中央病院で行った 3 歳以上 18 歳以下の ALK 遺伝子異常を有する難治性悪性固形腫瘍又は悪性リンパ腫の小児に対するアレクチニブの第 I 相医師主導試験です。本試験において 9 名の患者さんを対象にアレクチニブの投与を行い、アレクチニブの日本の小児悪性固形腫瘍患者における安全性を確認し、TACKLE 試験での小児に対する投与量を決定しました。

PANDA 試験は国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)および中外製薬から資金の提供を、中外製薬から薬剤の提供を受けて実施しました。

小児悪性固形腫瘍と小児悪性リンパ腫の医師主導試験を開始(2018 年 11 月 9 日プレスリリース)

https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2018/1109/index.html

MASTER KEY プロジェクト

希少がんは、一つ一つのがんの患者数が少なく臨床試験もあまり行われてこなかったため、標準治療が十分に確立されておらず、患者さんにとっては新しい薬を受けられる機会が限られていることが問題となってきました。



2017 年から開始した MASTER KEY プロジェクトは、この世界共通の課題に国立がん研究センターと製薬企業が共同で取り組み、希少がんの患者さんに、より早く、より多くの新薬を届けることを目指しています。

MASTER KEY プロジェクトでは、2026 年 4 月 30 日時点で、固形がん 4,903 例、血液がん 709 例の遺伝子情報や診療情報、予後データなどを網羅的に収集し、希少がんにおける日本最大のデータベースを構築しています。このデータベースは治療開発の参考資料とされ、将来の患者さんのための重要な情報となっています。またデータベースを活用し 44 件(うち実施中 12 件)の医師主導試験・企業試験を実施しています。解析終了した臨床試験から、希少な遺伝子異常に対する臓器横断的治療薬が日本で薬事承認され、希少がんの治療開発を加速させる基盤となっています。

MASTER KEY プロジェクトの詳細はこちらをご覧ください。

<https://www.ncc.go.jp/jp/ncch/masterkeyproject/index.html>

お問い合わせ先

- 研究に関するお問い合わせ

国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院

TACKLE 試験調整事務局

E メール:ncch1712_office@ml.res.ncc.go.jp

- 広報窓口

国立研究開発法人国立がん研究センター

企画戦略局 広報企画室

電話番号:03-3542-2511(代表)

Eメール:ncc-admin@ncc.go.jp