

PARTNER試験と  
OP-10(ONC201)  
についての  
解説

# PARTNER試験概要

- 国立がん研究センター主導の薬剤試験
- 患者申出療養制度を活用した、小児・AYA世代（0～29歳）のがん患者向け臨床研究
- 遺伝子パネル検査などに基づき、未承認薬や適応外薬の投与を可能にし、安全性と有効性を評価するための試験
- 様々な製薬企業から薬剤提供され各種のがんに試験
- 2025年5月より新たに「OP-10（ドルダビプロン塩酸塩）」が9番目のコホートとして追加されました
- DIPGを含むH3 K27M変異を有するDMG 患者へのアクセスを広げる目的があり、治験に参加できないが投与を希望する患者へ門戸を開いている

# PARTNER試験の費用と実施施設

- 薬剤は多くの場合、製薬企業から無償提供
- 治療費は患者申し出療養の制度を用い、  
入院・検査費は保険適用

現時点で実施可能な施設は以下のとおり：

- 国立がん研究センター中央病院
- 北海道大学病院
- 九州大学病院
- 岡山大学病院
- 名古屋大学病院（OP-10追加時に新規）

# PARTNER試験の意義とポイント

- 小児がん患者の遺伝子変異データなどで根拠ある治療ができるようにし、薬剤アクセスの改善を図るもの
- 未承認薬・適応外薬でも、安全性がある程度確認されている薬剤が対象
- 患者申し出療養を利用した薬剤費の自己負担なしでの提供体制
- 地域拠点を拡充することで、全国どこからでも参加可能な体制を目指している

OP-10  
(ONC201)  
という治験薬

# OP-10(ONC201)という治験薬

- 米国Chimerix社が開発した分子標的薬。(ドルビダブロン塩酸塩)
- 日本輸入は大原薬品工業
- 3月に米国の製薬企業 ジャズ・ファーマス्यूティカルズ Jazz Pharmaceuticalsが買収
- H3 K27M変異がある悪性脳腫瘍に効果。  
30%の患者に、従来の倍の余命延長効果？

## 作用

### ① ドパミンD2受容体 (DRD2) 阻害

→ がん細胞のシグナル伝達を乱し、細胞死（アポトーシス）を誘導

### ② ClpP（ミトコンドリア内プロテアーゼ）の活性化

→ ミトコンドリア機能を破壊し、がん細胞のエネルギー供給を断つ

### ③ Akt/ERK経路の抑制

→ 細胞の増殖・生存シグナルを抑え、がんの進行を遅らせる

PARTNER試験  
参加の問題点と  
アンケートへの  
ご協力をお願い

# PARTNER試験までの経緯

- 2015年から2020年まで日本でフェーズ1、2を実施
- 近々の患者さんはフェーズ3の実施を待っていたが、2024年11月に開始された国際共同治験フェーズ3では、参加基準からDIPG患者は除外された
- 米国でも同様の措置。しかし人道的拡大治験の制度によってアクセスの道は確保されている
- 日本のDIPG患者がアクセスできる方法を模索。
- 2024年10月 国立がん研究センターからの助け舟。PARTNER試験でのOP-10の採用申し出がされる
- 2024年12月 議員を通じての厚労省への拡大治験制度の改善を求めた要望書提出
- 約半年後の2025年4月30日に試験が開始される

# LINEグループでの投票

7/17終了

現在、お子様がPARTNER試験を受けられている方はいらっしゃいますか？ ※匿名アンケートになります。

作成者: boro | 匿名投票

14人が投票済み



LINEグループでの投票結果。  
試験実施から2ヶ月が過ぎたが、参加できていない方が多い

# PARTNER試験の問題点

- 保険適用された遺伝子パネル検査による遺伝子変異の証明。すなわち、H3 K27Mの変異データの提出が必要
- C-CAT登録必須(遺伝子パネル検査の結果を登録したデータベース)
- 一般的にはDIPGの診断は、MRIによる画像診断のみ
- 脳幹橋部という発症部位の重要性から、侵襲性を避けるため、外科的処置による生検は推奨されていない
- H3 K27Mの変異は、DIPG患者の80~90%に必ず発現。よって患者への致命的な合併症の危険を冒しても証明する必要性は希薄である

# DIPGに於ける生検/検査問題

- 生検は安全性の高い定位生検術がベスト  
(実施施設は限られる)
- 治療への突破口を開くために、侵襲性を避け、  
血液からの遺伝子パネル検査に挑戦する患者さん  
もいる(患者会や医師の推奨)
- しかし、血液からではほとんど有用性のある結  
果は得られないことが判明
- 公認された遺伝子検査は一生に一度だけ
- 生検にてやり直すとしても自由診療となる

→自由診療での検査データは保険診療には使用  
できない。混合診療禁止の法律

# 調査の必要性

- 以上の経緯と事実から、現在かなりの患者様がPARTNER試験への期待とは裏腹に、参加を逡巡している。または、もう諦めてしまっているのではないか？
- 生検のハードル
- 混合診療禁止のハードル
- お子様の体調
- 寛解期の生活を見送ってまでの価値があるか
- 問題点は多くは厳しすぎる参加条件に由来する？

# アンケート調査結果をもとに 嘆願書を作成

- PARTNER試験の本来の目的は、遺伝子パネル検査のデータを用いた他臓器横断的な薬剤試験
- 検査を参加条件とするのは一定の理解はする  
プロトコル変更にも時間がかかる
- しかし、DIPG患者の生検実施がどんなに高いハードルか
- 生検実施から遺伝子パネル検査の結果が判明するまで2ヶ月。そこから試験参加で準備期間1ヶ月。最短でも決断してから治療まで3ヶ月もの時間。  
→ **患者の体調維持は困難**

# 嘆願書作成のためアンケートへのご協力をお願いします

- 1年間の発症数50例と仮定すると、少なくとも25例程の患者様の実際の声を収集できれば、かなり説得力の伴う資料となり得るのではないかと  
それを根拠とした「嘆願書」の国への提出により、
- 参加条件から生検を外してほしい  
→画像診断での参加を求める
- 少なくとも自由診療の検査データでも採用してほしい
- このままでは、参加者が限られDIPG患者の救済という目的から程遠い結果となる。

# OP-10をの巡る今後のこと

- 2025年8月18日に米国薬事規制当局FDAにて早期承認申請の結果が判明。
- ついに「治験薬」から正式承認された「薬品」へ
- 日本の輸入元の大原薬品工業ではそれを受けて早期の国内承認を目指す
- しかし、**どんなに早くても正式承認は1年後。**  
つまり、1年間のドラッグラグは避けられない
- **しかし !!**  
その間、PARTNER試験がしっかりと機能さえすれば、かつてない理想的な形で新薬にアクセスできる道を残しながら正式承認までの時間を繋ぐことが可能

# だが!!

- もし、嘆願書の効果が発揮されても、実際の条件変更にはかなり長い時間を要するのではないか。少なくともまた半年から1年後？
- 良心的な医療機関による条件を緩めた別の臨床試験の立ち上げによるOP-10へのアクセスの道は、PARTNER試験の実施中は事実上困難
- 残された可能性は個人輸入による自由診療。推定1,000万円はかかる？・・・。
- 大原薬品工業からの購入は法律上禁止
- 米国Jazz社の供給能力はいかほどか？
- すぐに日本人が手に入るか？
- 現在、調査中。

# まずは、アンケート この収集が決め手

お一人でも多くの  
ご闘病中の皆様のご協力をお願い致します。



<https://forms.gle/qtuvqbTF9iwf3C3T6>