

タフィンラーカプセル及びメキニスト錠 特定使用成績調査 (CDRB436I1401, *BRAF* 遺伝子変異を有する進行・再発の 固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く）の中間集計結果

最新情報に基づき、薬剤を適正かつ安全にご使用いただくために、タフィンラーカプセル及びメキニスト錠 特定使用成績調査 (CDRB436I1401, *BRAF* 遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く）の中間集計結果を、ノバルティスファーマ株式会社 医療関係者向け情報サイト (DR's Net) に掲載致しました。

<留意点>

- 2023年11月～2024年11月の間で収集された情報です
- 中間の結果であるため、今後、結果は更新されます
- 患者背景及び投与状況を掲載しています

添付文書 タフィンラーカプセル：2025年3月改訂（第7版）※ 抜粋

【効能又は効果】

標準的な治療が困難な *BRAF* 遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く）

【用法及び用量】

固形腫瘍

トラメチニブとの併用において、通常、ダブラフェニブとして以下の用量を1日2回、空腹時に経口投与する。なお、患者の状態により適宜減量する。

- 成人には、1回 150mg
- 小児には、体重に合わせて次の用量

| 体重 | 26kg以上 38kg未満 | 38kg以上 43kg未満 | 43kg以上 51kg未満 | 51kg以上 |
|-----------|------------------|------------------|------------------|--------|
| 1回 投与量 | 75mg | 100mg | 125mg | 150mg |

添付文書 メキニスト錠：2025年3月改訂（第7版）※ 抜粋

【効能又は効果】

標準的な治療が困難な *BRAF* 遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く）

【用法及び用量】

固形腫瘍

ダブラフェニブとの併用において、通常、トラメチニブとして以下の用量を1日1回、空腹時に経口投与する。なお、患者の状態により適宜減量する。

- 成人には、2mg
- 小児には、体重に合わせて次の用量

| 体重 | 26kg以上 38kg未満 | 38kg以上 51kg未満 | 51kg以上 |
|-----|------------------|------------------|--------|
| 投与量 | 1mg | 1.5mg | 2mg |

※本剤の使用に際しては、最新の添付文書をご参照ください。

当該調査単位期間終了日：2024 年 11 月 29 日

結果の概要

| | |
|------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 製造販売後調査の標題 | タフィンラー，メキニスト 特定使用成績調査（BRAF 遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く），CDRB436I1401） |
| 調査の課題及び目的 | BRAF 遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く）患者を対象に，小児ではタフィンラー及びメキニストを使用実態下で使用した際の安全性及び有効性，成人では有効性を検討する。 |
| 調査デザイン | 本調査は日本国内のみで実施し，BRAF 遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く）患者を対象に，小児では本剤の安全性及び有効性，成人では本剤の有効性を確認する多施設共同，単群，非介入の調査である。 小児では実施可能性の観点から目標症例数は設定せず，再審査期間中において可能な限り多くの症例を登録する。成人の調査対象者数は 65 例（有効性解析対象症例数）である。 |
| 主要評価項目 | [小児] 成長発達障害の有害事象／副作用発現症例数及び発現割合 [成人] ORR [神経膠腫を除く進行・再発の固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く）の場合は RECIST version1.1（Eisenhauer et al. 2009），神経膠腫の場合は RANO 基準（Wen et al. 2010, Wen et al. 2017）を参考] |
| 結果 | 当該調査開始日（2023 年 11 月 24 日）からデータカットオフ日（2024 年 11 月 29 日）までに成人 66 例が登録され，3 例の調査票データが固定された。小児については，データカットオフ日までに固定症例はいなかった。調査票が固定された成人の全例を有効性解析対象症例とした（Table AS_T001-2）。 本調査では成人の安全性情報は収集していない。以下ではデータカットオフ日までに調査票が固定された成人の患者背景及び投与状況のみ記載した。 タフィンラー及びメキニスト投与開始時点での成人の年齢は，76 歳～82 歳であった。このうち男性は 1 例，女性は 2 例であった（Table DM_T001-2-E）。本剤使用理由は全例が甲状腺癌（乳頭癌：1 例，未分化癌：2 例）であった。 タフィンラー，メキニストの各投与期間は 105 日～131 日，104 日～131 日，本剤投与開始時の 1 日投与量は 300.0 mg，2.000 mg，1 日投与量の平均値は 192.74 mg～300.00 mg，1.388 mg～2.000 mg であった（Table EX_T001-2）。タフィンラー，メキニストの 1 日投与量（各 300 mg，2 mg）を超える用量を投与した症例は認められなかった。 |
| 結論 | 本調査は実施中であり，得られた結果は限定的であるものの，データカットオフ日までに得られた情報から新たに懸念される事象はなかった。 今後も本剤の安全性及び有効性情報を収集し，新たな懸念事項が認められた場合には適切な措置を講じることとする。 |
| 備考 | 添付資料：解析結果 |

Table of Contents

Table AS_T001-2: 症例構成（成人）（登録確定症例）

Table DM_T001-2-E: 人口統計学的特性及び疾患特性（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

Listing DM_L001-2: 患者背景一覧表（1/2）（成人）（調査票固定症例）

Listing DM_L002-2: 患者背景一覧表（2/2）（成人）（調査票固定症例）

Table AS_T001-2: 症例構成（成人）（登録確定症例）

| 解析対象 | n |
|---------------------|----|
| 登録確定症例 | 66 |
| 調査票未収集／未固定症例 | 63 |
| 収集不能 | 0 |
| 調査票収集中（再調査中を含む） | 63 |
| 調査票固定症例（転院紐付け前） | 3 |
| 転院症例 | 0 |
| 転院施設 | 0 |
| 調査票固定症例 | 3 |
| 有効性解析対象外のLGG症例 | 0 |
| 有効性解析対象（最良総合効果）除外症例 | 0 |
| 有効性解析対象症例（最良総合効果） | 3 |
| 有効性解析対象（病勢進行）除外症例 | 0 |
| 有効性解析対象症例（病勢進行） | 3 |

Table DM_T001-2-E: 人口統計学的特性及び疾患特性（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| 有効性解析対象症例（最良総合効果） | | | | | | |
|-----------------------------------------------|------------------------|------|------|------------------|------|--------------------|
| N=3 | | | | | | |
| 甲状腺癌 | | | | | | |
| n=3 (100) | | | | | | |
| 要因 - n (%) | 乳頭癌 | 濾胞癌 | 髄様癌 | 未分化癌 | HGG | 合計 |
| | n'=1 (33.3) | n'=0 | n'=0 | n'=2 (66.7) | n'=0 | n'=3 |
| 性別 - n (%) | | | | | | |
| 男 | 1 (100) | - | - | 0 | - | 1 (33.3) |
| 女 | 0 | - | - | 2 (100) | - | 2 (66.7) |
| 年齢 (歳) | | | | | | |
| 症例数 | 1 | - | - | 2 | - | 3 |
| 平均値 (標準偏差) | 82.0 (NE) | - | - | 79.0 (4.24) | - | 80.0 (3.46) |
| 中央値 (最小値 - 最大値) | 82.0 (82 - 82) | - | - | 79.0 (76 - 82) | - | 82.0 (76 - 82) |
| 年齢*1 - n (%) | | | | | | |
| 55歳未満 | 0 | - | -- | -- | -- | 0 |
| 55歳以上 | 1 (100) | - | -- | -- | -- | 1 (100) |
| 年齢 (高齢者区分) - n (%) | | | | | | |
| 65歳未満 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 65歳以上 | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| 年齢 (後期高齢者区分) - n (%) | | | | | | |
| 75歳未満 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 75歳以上 | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| タフィニラー/メキニスト使用理由 | | | | | | |
| - n (%) | | | | | | |
| 標準的な治療が困難なBRAF遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍 (結腸・直腸癌を除く) | | | | | | |
| 伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍 (結腸・直腸癌を除く) | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| 罹病期間 (ヵ月) | | | | | | |
| 症例数 | 1 | - | - | 2 | - | 3 |
| 平均値 (標準偏差) | 225.02 (NE) | - | - | 0.99 (0.093) | - | 75.66 (129.345) |
| 中央値 (最小値 - 最大値) | 225.02 (225.0 - 225.0) | - | - | 0.99 (0.9 - 1.1) | - | 1.05 (0.9 - 225.0) |
| 罹病期間カテゴリー - n (%) | | | | | | |
| 3ヵ月未満 | 0 | - | - | 2 (100) | - | 2 (66.7) |
| 3ヵ月以上-6ヵ月未満 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 6ヵ月以上-1年未満 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 1年以上-3年未満 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |

Table DM_T001-2-E: 人口統計学的特性及び疾患特性（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| 有効性解析対象症例（最良総合効果） | | | | | | |
|---------------------------------|--------------------|-------------|-------------|---------------------|-------------|------------|
| N=3 | | | | | | |
| 甲状腺癌 | | | | | | |
| n=3 (100) | | | | | | |
| 要因 - n (%) | 乳頭癌 n'=1 (33.3) | 濾胞癌 n'=0 | 髄様癌 n'=0 | 未分化癌 n'=2 (66.7) | HGG n'=0 | 合計 n'=3 |
| 3年以上-5年未満 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 5年以上 | 1 (100) | - | - | 0 | - | 1 (33.3) |
| ECOG Performance Status - n (%) | | | | | | |
| 0 | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| 1 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 2 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 3 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 4 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 病期分類 - n (%) | | | | | | |
| 0期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| I期 | 0 | - | - | -- | -- | -- |
| IA期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IB期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IC期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| II期 | 0 | - | - | -- | -- | -- |
| IIA期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IIB期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IIC期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| III期 | 0 | - | - | -- | -- | -- |
| IIIA期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IIIA1期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IIIA2期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IIIB期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IIIC期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IIIC1期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IIIC2期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IV期 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| IVA期 | 0 | - | - | 0 | -- | -- |
| IVB期 | 0 | - | - | 0 | -- | -- |
| IVC期 | -- | -- | - | 2 (100) | -- | -- |
| その他 | 0 | - | - | 0 | -- | -- |
| 組織型（甲状腺癌）*2 - n (%) | | | | | | |
| 乳頭癌 | -- | -- | -- | -- | -- | 1 (33.3) |

Table DM_T001-2-E: 人口統計学的特性及び疾患特性（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| 有効性解析対象症例（最良総合効果） | | | | | | |
|--------------------------------------|--------------------|-------------|-------------|---------------------|-------------|------------|
| N=3 | | | | | | |
| 甲状腺癌 | | | | | | |
| n=3 (100) | | | | | | |
| 要因 - n (%) | 乳頭癌 n'=1 (33.3) | 濾胞癌 n'=0 | 髄様癌 n'=0 | 未分化癌 n'=2 (66.7) | HGG n'=0 | 合計 n'=3 |
| 濾胞癌 | -- | -- | -- | -- | -- | 0 |
| 髄様癌 | -- | -- | -- | -- | -- | 0 |
| 未分化癌 | -- | -- | -- | -- | -- | 2 (66.7) |
| その他 | -- | -- | -- | -- | -- | 0 |
| WHO分類（神経膠腫） - n (%) | | | | | | |
| グレード1 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| グレード2 | -- | -- | -- | -- | -- | -- |
| グレード3 | -- | -- | -- | -- | - | -- |
| グレード4 | -- | -- | -- | -- | - | -- |
| 不明 | -- | -- | -- | -- | - | -- |
| 合併症 - n (%) | | | | | | |
| なし | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| あり | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| 不明 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 腎機能障害の合併 - n (%) | | | | | | |
| なし | 0 | - | - | 2 (100) | - | 2 (66.7) |
| あり | 1 (100) | - | - | 0 | - | 1 (33.3) |
| 不明 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 肝機能障害の合併 - n (%) | | | | | | |
| なし | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| あり | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 不明 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 既往歴 - n (%) | | | | | | |
| なし | 0 | - | - | 2 (100) | - | 2 (66.7) |
| あり | 1 (100) | - | - | 0 | - | 1 (33.3) |
| 不明 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| タフィンラー/メキニスト投与開始前に使用した治療ライン数 - n (%) | | | | | | |
| 0（前治療薬なし） | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 1 | 0 | - | - | 2 (100) | - | 2 (66.7) |
| 2 | 1 (100) | - | - | 0 | - | 1 (33.3) |
| 3 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |

Table DM_T001-2-E: 人口統計学的特性及び疾患特性（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| 有効性解析対象症例（最良総合効果） | | | | | | |
|------------------------------------|--------------------|-------------|-------------|---------------------|-------------|------------|
| N=3 | | | | | | |
| 甲状腺癌 | | | | | | |
| n=3 (100) | | | | | | |
| 要因 - n (%) | 乳頭癌 n'=1 (33.3) | 濾胞癌 n'=0 | 髄様癌 n'=0 | 未分化癌 n'=2 (66.7) | HGG n'=0 | 合計 n'=3 |
| 4以上 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 不明 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 原疾患に対する前治療薬 - n (%) | | | | | | |
| なし | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| あり | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| 原疾患に対する前治療薬：切り替え理由*3 - n (%) | | | | | | |
| 患者希望 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 効果不十分 | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| 有害事象 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| その他 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| 原疾患に対するすべての前治療法 - n (%) | | | | | | |
| なし | 0 | - | - | 2 (100) | - | 2 (66.7) |
| あり | 1 (100) | - | - | 0 | - | 1 (33.3) |
| 原疾患に対するすべての前治療法：療法名*4 - n (%) | | | | | | |
| 外科的療法 | 1 (100) | - | - | - | - | 1 (100) |
| 放射線療法 | 0 | - | - | - | - | 0 |
| その他 | 1 (100) | - | - | - | - | 1 (100) |
| BRAF遺伝子陽性の診断方法 - n (%) | | | | | | |
| コンパニオン診断薬 | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| 遺伝子パネル検査 | 0 | - | - | 0 | - | 0 |
| タフィニラー/メキニスト以外の原疾患に対する併用薬剤 - n (%) | | | | | | |
| なし | 0 | - | - | 2 (100) | - | 2 (66.7) |
| あり | 1 (100) | - | - | 0 | - | 1 (33.3) |
| 原疾患に対する併用療法 - n (%) | | | | | | |
| なし | 1 (100) | - | - | 2 (100) | - | 3 (100) |
| あり | 0 | - | - | 0 | - | 0 |

Table DM_T001-2-E: 人口統計学的特性及び疾患特性（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| 有効性解析対象症例（最良総合効果） | | | | | | |
|-------------------|-------------|------|------|-------------|------|------|
| N=3 | | | | | | |
| 甲状腺癌 | | | | | | |
| n=3 (100) | | | | | | |
| | 乳頭癌 | 濾胞癌 | 髄様癌 | 未分化癌 | HGG | 合計 |
| 要因 - n' (%) | n'=1 (33.3) | n'=0 | n'=0 | n'=2 (66.7) | n'=0 | n'=3 |
| 原疾患に対する併用療法：療法名*4 | | | | | | |
| - n (%) | | | | | | |
| 外科的療法 | - | - | - | - | - | - |
| 放射線療法 | - | - | - | - | - | - |
| その他 | - | - | - | - | - | - |

割合の分母は各がん種の有効性解析対象症例（最良総合効果）数（n'）とした。

ヘッダーの各がん種の割合の分母は有効性解析対象症例（最良総合効果）数（N）とした。

*1 甲状腺癌（乳頭癌）及び甲状腺癌（濾胞癌）のみを対象として集計し、合計列の割合の分母は甲状腺癌（乳頭癌）及び甲状腺癌（濾胞癌）の症例数（n'）の合計とした。

*2 合計列の分母は甲状腺癌の症例数（n）とした。

*3 複数の切り替え理由に該当する前治療薬を有する症例は、それぞれの切り替え理由に1例として集計とした。また、割合の分母は前治療薬ありの症例数とした。

*4 複数の療法を有する症例は、それぞれの療法に1例として集計とした。また、割合の分母は前治療法の場合は前治療法あり、併用療法の場合は併用療法ありの症例数とした。

--：算出対象外

NE：not estimable

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|-----------------------------------------|--------------------------|
| 本剤投与期間：タフィンラー（日） | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値（標準偏差） | 120.7 (13.80) |
| 中央値 | 126.0 |
| Q1 - Q3 | 105.0 - 131.0 |
| 最小値 - 最大値 | 105 - 131 |
| 総曝露期間（PY） | 1.0 |
| 本剤投与期間カテゴリー：タフィンラー - n (%) | |
| 1ヵ月未満 | 0 |
| 1ヵ月以上-3ヵ月未満 | 0 |
| 3ヵ月以上-6ヵ月未満 | 3 (100) |
| 6ヵ月以上-9ヵ月未満 | 0 |
| 9ヵ月以上-1年未満 | 0 |
| 1年 | 0 |
| 本剤投与期間：メキニスト（日） | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値（標準偏差） | 120.3 (14.36) |
| 中央値 | 126.0 |
| Q1 - Q3 | 104.0 - 131.0 |
| 最小値 - 最大値 | 104 - 131 |
| 総曝露期間（PY） | 1.0 |
| 本剤投与期間カテゴリー：メキニスト - n (%) | |
| 1ヵ月未満 | 0 |
| 1ヵ月以上-3ヵ月未満 | 0 |
| 3ヵ月以上-6ヵ月未満 | 3 (100) |
| 6ヵ月以上-9ヵ月未満 | 0 |
| 9ヵ月以上-1年未満 | 0 |
| 1年 | 0 |
| 本剤投与期間（休薬除く）：タフィンラー（日） | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値（標準偏差） | 118.3 (11.59) |
| 中央値 | 124.0 |
| Q1 - Q3 | 105.0 - 126.0 |
| 最小値 - 最大値 | 105 - 126 |
| 総曝露期間（PY） | 1.0 |
| 本剤投与期間（休薬除く）カテゴリー：タフィンラー - n (%) | |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|------------------------------------------|--------------------------|
| 1ヵ月未満 | 0 |
| 1ヵ月以上-3ヵ月未満 | 0 |
| 3ヵ月以上-6ヵ月未満 | 3 (100) |
| 6ヵ月以上-9ヵ月未満 | 0 |
| 9ヵ月以上-1年未満 | 0 |
| 1年 | 0 |
| 本剤投与期間（休薬除く）：メキニスト（日） | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値（標準偏差） | 118.3 (12.42) |
| 中央値 | 125.0 |
| Q1 - Q3 | 104.0 - 126.0 |
| 最小値 - 最大値 | 104 - 126 |
| 総曝露期間（PY） | 1.0 |
| 本剤投与期間（休薬除く）カテゴリー：メキニスト - n (%) | |
| 1ヵ月未満 | 0 |
| 1ヵ月以上-3ヵ月未満 | 0 |
| 3ヵ月以上-6ヵ月未満 | 3 (100) |
| 6ヵ月以上-9ヵ月未満 | 0 |
| 9ヵ月以上-1年未満 | 0 |
| 1年 | 0 |
| 本剤投与開始時1日投与量：タフィンラー（mg） | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値（標準偏差） | 300.0 (0.00) |
| 中央値 | 300.0 |
| Q1 - Q3 | 300.0 - 300.0 |
| 最小値 - 最大値 | 300 - 300 |
| 本剤投与開始時1日投与量カテゴリー：タフィンラー（カプセル） - n (%) | |
| 100 mg未満 | 0 |
| 100 mg | 0 |
| 100 mg超-150 mg未満 | 0 |
| 150 mg | 0 |
| 150 mg超-200 mg未満 | 0 |
| 200 mg | 0 |
| 200 mg超-300 mg未満 | 0 |
| 300 mg | 3 (100) |
| 300 mg超 | 0 |
| 本剤投与開始時1日投与量カテゴリー：タフィンラー（小児用分散錠） - n (%) | |

Table EX_T001-2: 服薬状況 (成人) (有効性解析対象症例 (最良総合効果))

| | 有効性解析対象症例 (最良総合効果) N=3 |
|----------------------------------------------|---------------------------|
| 20 mg未満 | 0 |
| 20 mg | 0 |
| 20 mg超-40 mg未満 | 0 |
| 40 mg | 0 |
| 40 mg超-60 mg未満 | 0 |
| 60 mg | 0 |
| 60 mg超-80 mg未満 | 0 |
| 80 mg | 0 |
| 80 mg超-120 mg未満 | 0 |
| 120 mg | 0 |
| 120 mg超-140 mg未満 | 0 |
| 140 mg | 0 |
| 140 mg超-160 mg未満 | 0 |
| 160 mg | 0 |
| 160 mg超-180 mg未満 | 0 |
| 180 mg | 0 |
| 180 mg超-220 mg未満 | 0 |
| 220 mg | 0 |
| 220 mg超-260 mg未満 | 0 |
| 260 mg | 0 |
| 260 mg超 | 0 |
| 本剤投与開始時1日投与量：メキニスト (mg) | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値 (標準偏差) | 2.000 (0.0000) |
| 中央値 | 2.000 |
| Q1 - Q3 | 2.000 - 2.000 |
| 最小値 - 最大値 | 2.00 - 2.00 |
| 本剤投与開始時1日投与量カテゴリー：メキニスト (錠剤) - n (%) | |
| 1.0 mg未満 | 0 |
| 1.0 mg | 0 |
| 1.0 mg超-1.5 mg未満 | 0 |
| 1.5 mg | 0 |
| 1.5 mg超-2.0 mg未満 | 0 |
| 2.0 mg | 3 (100) |
| 2.0 mg超 | 0 |
| 本剤投与開始時1日投与量カテゴリー：メキニスト (小児用ドライシロップ) - n (%) | |
| 0.15 mg未満 | 0 |
| 0.15 mg | 0 |
| 0.15 mg超-0.2 mg未満 | 0 |
| 0.2 mg | 0 |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|--------------------|--------------------------|
| 0.2 mg超-0.25 mg未満 | 0 |
| 0.25 mg | 0 |
| 0.25 mg超-0.3 mg未満 | 0 |
| 0.3 mg | 0 |
| 0.3 mg超-0.35 mg未満 | 0 |
| 0.35 mg | 0 |
| 0.35 mg超-0.4 mg未満 | 0 |
| 0.4 mg | 0 |
| 0.4 mg超-0.45 mg未満 | 0 |
| 0.45 mg | 0 |
| 0.45 mg超-0.5 mg未満 | 0 |
| 0.5 mg | 0 |
| 0.5 mg超-0.55 mg未満 | 0 |
| 0.55 mg | 0 |
| 0.55 mg超-0.6 mg未満 | 0 |
| 0.6 mg | 0 |
| 0.6 mg超-0.65 mg未満 | 0 |
| 0.65 mg | 0 |
| 0.65 mg超-0.7 mg未満 | 0 |
| 0.7 mg | 0 |
| 0.7 mg超-0.75 mg未満 | 0 |
| 0.75 mg | 0 |
| 0.75 mg超-0.8 mg未満 | 0 |
| 0.8 mg | 0 |
| 0.8 mg超-0.85 mg未満 | 0 |
| 0.85 mg | 0 |
| 0.85 mg超-0.9 mg未満 | 0 |
| 0.9 mg | 0 |
| 0.9 mg超-0.95 mg未満 | 0 |
| 0.95 mg | 0 |
| 0.95 mg超-1.05 mg未満 | 0 |
| 1.05 mg | 0 |
| 1.05 mg超-1.15 mg未満 | 0 |
| 1.15 mg | 0 |
| 1.15 mg超-1.2 mg未満 | 0 |
| 1.2 mg | 0 |
| 1.2 mg超-1.25 mg未満 | 0 |
| 1.25 mg | 0 |
| 1.25 mg超-1.4 mg未満 | 0 |
| 1.4 mg | 0 |
| 1.4 mg超-1.6 mg未満 | 0 |
| 1.6 mg | 0 |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|---------------------------------------|--------------------------|
| 1.6 mg超 | 0 |
| 本剤1日平均投与量：タフィンラー（mg/日） | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値（標準偏差） | 264.25 (61.925) |
| 中央値 | 300.00 |
| Q1 - Q3 | 192.74 - 300.00 |
| 最小値 - 最大値 | 192.7 - 300.0 |
| 本剤1日平均投与量カテゴリー：タフィンラー（カプセル） - n (%) | |
| 100 mg/日未満 | 0 |
| 100 mg/日 | 0 |
| 100 mg/日超-150 mg/日未満 | 0 |
| 150 mg/日 | 0 |
| 150 mg/日超-200 mg/日未満 | 1 (33.3) |
| 200 mg/日 | 0 |
| 200 mg/日超-300 mg/日未満 | 0 |
| 300 mg/日 | 2 (66.7) |
| 300 mg/日超 | 0 |
| 本剤1日平均投与量カテゴリー：タフィンラー（小児用分散錠） - n (%) | |
| 20 mg/日未満 | 0 |
| 20 mg/日 | 0 |
| 20 mg/日超-40 mg/日未満 | 0 |
| 40 mg/日 | 0 |
| 40 mg/日超-60 mg/日未満 | 0 |
| 60 mg/日 | 0 |
| 60 mg/日超-80 mg/日未満 | 0 |
| 80 mg/日 | 0 |
| 80 mg/日超-120 mg/日未満 | 0 |
| 120 mg/日 | 0 |
| 120 mg/日超-140 mg/日未満 | 0 |
| 140 mg/日 | 0 |
| 140 mg/日超-160 mg/日未満 | 0 |
| 160 mg/日 | 0 |
| 160 mg/日超-180 mg/日未満 | 0 |
| 180 mg/日 | 0 |
| 180 mg/日超-220 mg/日未満 | 0 |
| 220 mg/日 | 0 |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|------------------------------------------|--------------------------|
| 220 mg/日超-260 mg/日未満 | 0 |
| 260 mg/日 | 0 |
| 260 mg/日超 | 0 |
| 本剤1日平均投与量：メキニスト（mg/日） | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値（標準偏差） | 1.7960 (0.35334) |
| 中央値 | 2.0000 |
| Q1 - Q3 | 1.3880 - 2.0000 |
| 最小値 - 最大値 | 1.388 - 2.000 |
| 本剤1日平均投与量カテゴリー：メキニスト（錠剤） - n (%) | |
| 1.0 mg/日未満 | 0 |
| 1.0 mg/日 | 0 |
| 1.0 mg/日超-1.5 mg/日未満 | 1 (33.3) |
| 1.5 mg/日 | 0 |
| 1.5 mg/日超-2.0 mg/日未満 | 0 |
| 2.0 mg/日 | 2 (66.7) |
| 2.0 mg/日超 | 0 |
| 本剤1日平均投与量カテゴリー：メキニスト（小児用ドライシロップ） - n (%) | |
| 0.15 mg/日未満 | 0 |
| 0.15 mg/日 | 0 |
| 0.15 mg/日超-0.2 mg/日未満 | 0 |
| 0.2 mg/日 | 0 |
| 0.2 mg/日超-0.25 mg/日未満 | 0 |
| 0.25 mg/日 | 0 |
| 0.25 mg/日超-0.3 mg/日未満 | 0 |
| 0.3 mg/日 | 0 |
| 0.3 mg/日超-0.35 mg/日未満 | 0 |
| 0.35 mg/日 | 0 |
| 0.35 mg/日超-0.4 mg/日未満 | 0 |
| 0.4 mg/日 | 0 |
| 0.4 mg/日超-0.45 mg/日未満 | 0 |
| 0.45 mg/日 | 0 |
| 0.45 mg/日超-0.5 mg/日未満 | 0 |
| 0.5 mg/日 | 0 |
| 0.5 mg/日超-0.55 mg/日未満 | 0 |
| 0.55 mg/日 | 0 |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|------------------------|--------------------------|
| 0.55 mg/日超-0.6 mg/日未満 | 0 |
| 0.6 mg/日 | 0 |
| 0.6 mg/日超-0.65 mg/日未満 | 0 |
| 0.65 mg/日 | 0 |
| 0.65 mg/日超-0.7 mg/日未満 | 0 |
| 0.7 mg/日 | 0 |
| 0.7 mg/日超-0.75 mg/日未満 | 0 |
| 0.75 mg/日 | 0 |
| 0.75 mg/日超-0.8 mg/日未満 | 0 |
| 0.8 mg/日 | 0 |
| 0.8 mg/日超-0.85 mg/日未満 | 0 |
| 0.85 mg/日 | 0 |
| 0.85 mg/日超-0.9 mg/日未満 | 0 |
| 0.9 mg/日 | 0 |
| 0.9 mg/日超-0.95 mg/日未満 | 0 |
| 0.95 mg/日 | 0 |
| 0.95 mg/日超-1.05 mg/日未満 | 0 |
| 1.05 mg/日 | 0 |
| 1.05 mg/日超-1.15 mg/日未満 | 0 |
| 1.15 mg/日 | 0 |
| 1.15 mg/日超-1.2 mg/日未満 | 0 |
| 1.2 mg/日 | 0 |
| 1.2 mg/日超-1.25 mg/日未満 | 0 |
| 1.25 mg/日 | 0 |
| 1.25 mg/日超-1.4 mg/日未満 | 0 |
| 1.4 mg/日 | 0 |
| 1.4 mg/日超-1.6 mg/日未満 | 0 |
| 1.6 mg/日 | 0 |
| 1.6 mg/日超 | 0 |
| 用量強度：タフィンラー (mg/日) | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値 (標準偏差) | 260.81 (67.872) |
| 中央値 | 300.00 |
| Q1 - Q3 | 182.44 - 300.00 |
| 最小値 - 最大値 | 182.4 - 300.0 |

用量強度カテゴリー：タフィンラー（カプセル） - n (%)

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|----------------------------------|--------------------------|
| 100 mg/日未満 | 0 |
| 100 mg/日 | 0 |
| 100 mg/日超-150 mg/日未満 | 0 |
| 150 mg/日 | 0 |
| 150 mg/日超-200 mg/日未満 | 1 (33.3) |
| 200 mg/日 | 0 |
| 200 mg/日超-300 mg/日未満 | 0 |
| 300 mg/日 | 2 (66.7) |
| 300 mg/日超 | 0 |
| 用量強度カテゴリー：タフィンラー（小児用分散錠） - n (%) | |
| 20 mg/日未満 | 0 |
| 20 mg/日 | 0 |
| 20 mg/日超-40 mg/日未満 | 0 |
| 40 mg/日 | 0 |
| 40 mg/日超-60 mg/日未満 | 0 |
| 60 mg/日 | 0 |
| 60 mg/日超-80 mg/日未満 | 0 |
| 80 mg/日 | 0 |
| 80 mg/日超-120 mg/日未満 | 0 |
| 120 mg/日 | 0 |
| 120 mg/日超-140 mg/日未満 | 0 |
| 140 mg/日 | 0 |
| 140 mg/日超-160 mg/日未満 | 0 |
| 160 mg/日 | 0 |
| 160 mg/日超-180 mg/日未満 | 0 |
| 180 mg/日 | 0 |
| 180 mg/日超-220 mg/日未満 | 0 |
| 220 mg/日 | 0 |
| 220 mg/日超-260 mg/日未満 | 0 |
| 260 mg/日 | 0 |
| 260 mg/日超 | 0 |
| 用量強度：メキニスト (mg/日) | |
| 症例数 | 3 |
| 平均値 (標準偏差) | 1.7748 (0.39004) |
| 中央値 | 2.0000 |
| Q1 - Q3 | 1.3244 - 2.0000 |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|-------------------------------------|--------------------------|
| 最小値 - 最大値 | 1.324 - 2.000 |
| 用量強度カテゴリー：メキニスト（錠剤） - n (%) | |
| 1.0 mg/日未満 | 0 |
| 1.0 mg/日 | 0 |
| 1.0 mg/日超-1.5 mg/日未満 | 1 (33.3) |
| 1.5 mg/日 | 0 |
| 1.5 mg/日超-2.0 mg/日未満 | 0 |
| 2.0 mg/日 | 2 (66.7) |
| 2.0 mg/日超 | 0 |
| 用量強度カテゴリー：メキニスト（小児用ドライシロップ） - n (%) | |
| 0.15 mg/日未満 | 0 |
| 0.15 mg/日 | 0 |
| 0.15 mg/日超-0.2 mg/日未満 | 0 |
| 0.2 mg/日 | 0 |
| 0.2 mg/日超-0.25 mg/日未満 | 0 |
| 0.25 mg/日 | 0 |
| 0.25 mg/日超-0.3 mg/日未満 | 0 |
| 0.3 mg/日 | 0 |
| 0.3 mg/日超-0.35 mg/日未満 | 0 |
| 0.35 mg/日 | 0 |
| 0.35 mg/日超-0.4 mg/日未満 | 0 |
| 0.4 mg/日 | 0 |
| 0.4 mg/日超-0.45 mg/日未満 | 0 |
| 0.45 mg/日 | 0 |
| 0.45 mg/日超-0.5 mg/日未満 | 0 |
| 0.5 mg/日 | 0 |
| 0.5 mg/日超-0.55 mg/日未満 | 0 |
| 0.55 mg/日 | 0 |
| 0.55 mg/日超-0.6 mg/日未満 | 0 |
| 0.6 mg/日 | 0 |
| 0.6 mg/日超-0.65 mg/日未満 | 0 |
| 0.65 mg/日 | 0 |
| 0.65 mg/日超-0.7 mg/日未満 | 0 |
| 0.7 mg/日 | 0 |
| 0.7 mg/日超-0.75 mg/日未満 | 0 |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|-------------------------------------|--------------------------|
| 0.75 mg/日 | 0 |
| 0.75 mg/日超-0.8 mg/日未満 | 0 |
| 0.8 mg/日 | 0 |
| 0.8 mg/日超-0.85 mg/日未満 | 0 |
| 0.85 mg/日 | 0 |
| 0.85 mg/日超-0.9 mg/日未満 | 0 |
| 0.9 mg/日 | 0 |
| 0.9 mg/日超-0.95 mg/日未満 | 0 |
| 0.95 mg/日 | 0 |
| 0.95 mg/日超-1.05 mg/日未満 | 0 |
| 1.05 mg/日 | 0 |
| 1.05 mg/日超-1.15 mg/日未満 | 0 |
| 1.15 mg/日 | 0 |
| 1.15 mg/日超-1.2 mg/日未満 | 0 |
| 1.2 mg/日 | 0 |
| 1.2 mg/日超-1.25 mg/日未満 | 0 |
| 1.25 mg/日 | 0 |
| 1.25 mg/日超-1.4 mg/日未満 | 0 |
| 1.4 mg/日 | 0 |
| 1.4 mg/日超-1.6 mg/日未満 | 0 |
| 1.6 mg/日 | 0 |
| 1.6 mg/日超 | 0 |
| 本剤最頻投与量カテゴリー：タフィンラー（カプセル） - n (%) | |
| 100 mg未満 | 0 |
| 100 mg | 0 |
| 100 mg超-150 mg未満 | 0 |
| 150 mg | 0 |
| 150 mg超-200 mg未満 | 0 |
| 200 mg | 1 (33.3) |
| 200 mg超-300 mg未満 | 0 |
| 300 mg | 2 (66.7) |
| 300 mg超 | 0 |
| 本剤最頻投与量カテゴリー：タフィンラー（小児用分散錠） - n (%) | |
| 20 mg未満 | 0 |
| 20 mg | 0 |
| 20 mg超-40 mg未満 | 0 |
| 40 mg | 0 |

Table EX_T001-2: 服薬状況 (成人) (有効性解析対象症例 (最良総合効果))

| | 有効性解析対象症例 (最良総合効果) N=3 |
|-----------------------------------------|---------------------------|
| 40 mg超-60 mg未満 | 0 |
| 60 mg | 0 |
| 60 mg超-80 mg未満 | 0 |
| 80 mg | 0 |
| 80 mg超-120 mg未満 | 0 |
| 120 mg | 0 |
| 120 mg超-140 mg未満 | 0 |
| 140 mg | 0 |
| 140 mg超-160 mg未満 | 0 |
| 160 mg | 0 |
| 160 mg超-180 mg未満 | 0 |
| 180 mg | 0 |
| 180 mg超-220 mg未満 | 0 |
| 220 mg | 0 |
| 220 mg超-260 mg未満 | 0 |
| 260 mg | 0 |
| 260 mg超 | 0 |
| 本剤最頻投与量カテゴリー：メキニスト (錠剤) - n (%) | |
| 1.0 mg未満 | 0 |
| 1.0 mg | 0 |
| 1.0 mg超-1.5 mg未満 | 0 |
| 1.5 mg | 1 (33.3) |
| 1.5 mg超-2.0 mg未満 | 0 |
| 2.0 mg | 2 (66.7) |
| 2.0 mg超 | 0 |
| 本剤最頻投与量カテゴリー：メキニスト (小児用ドライシロップ) - n (%) | |
| 0.15 mg未満 | 0 |
| 0.15 mg | 0 |
| 0.15 mg超-0.2 mg未満 | 0 |
| 0.2 mg | 0 |
| 0.2 mg超-0.25 mg未満 | 0 |
| 0.25 mg | 0 |
| 0.25 mg超-0.3 mg未満 | 0 |
| 0.3 mg | 0 |
| 0.3 mg超-0.35 mg未満 | 0 |
| 0.35 mg | 0 |
| 0.35 mg超-0.4 mg未満 | 0 |
| 0.4 mg | 0 |
| 0.4 mg超-0.45 mg未満 | 0 |
| 0.45 mg | 0 |
| 0.45 mg超-0.5 mg未満 | 0 |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|---------------------------------|--------------------------|
| 0.5 mg | 0 |
| 0.5 mg超-0.55 mg未満 | 0 |
| 0.55 mg | 0 |
| 0.55 mg超-0.6 mg未満 | 0 |
| 0.6 mg | 0 |
| 0.6 mg超-0.65 mg未満 | 0 |
| 0.65 mg | 0 |
| 0.65 mg超-0.7 mg未満 | 0 |
| 0.7 mg | 0 |
| 0.7 mg超-0.75 mg未満 | 0 |
| 0.75 mg | 0 |
| 0.75 mg超-0.8 mg未満 | 0 |
| 0.8 mg | 0 |
| 0.8 mg超-0.85 mg未満 | 0 |
| 0.85 mg | 0 |
| 0.85 mg超-0.9 mg未満 | 0 |
| 0.9 mg | 0 |
| 0.9 mg超-0.95 mg未満 | 0 |
| 0.95 mg | 0 |
| 0.95 mg超-1.05 mg未満 | 0 |
| 1.05 mg | 0 |
| 1.05 mg超-1.15 mg未満 | 0 |
| 1.15 mg | 0 |
| 1.15 mg超-1.2 mg未満 | 0 |
| 1.2 mg | 0 |
| 1.2 mg超-1.25 mg未満 | 0 |
| 1.25 mg | 0 |
| 1.25 mg超-1.4 mg未満 | 0 |
| 1.4 mg | 0 |
| 1.4 mg超-1.6 mg未満 | 0 |
| 1.6 mg | 0 |
| 1.6 mg超 | 0 |
| 剤型（本剤投与開始時） | |
| タフィンラー（カプセル）及びメキニスト（錠剤） | 3 (100) |
| タフィンラー（カプセル）及びメキニスト（小児用ドライシロップ） | 0 |
| タフィンラー（小児用分散錠）及びメキニスト（錠剤） | 0 |

Table EX_T001-2: 服薬状況（成人）（有効性解析対象症例（最良総合効果））

| | 有効性解析対象症例（最良総合効果） N=3 |
|-----------------------------------|--------------------------|
| タフィンラー（小児用分散錠）及びメキニスト（小児用ドライシロップ） | 0 |

本剤投与期間：本剤最終投与日 - 本剤投与開始日 + 1

本剤投与期間（休薬除く）：本剤最終投与日 - 本剤投与開始日 + 1 - 休薬期間

本剤投与期間に対する PY（Patient-Year）= 全症例の本剤投与期間の総和 / 365.25

本剤投与期間（休薬除く）に対する PY（Patient-Year）= 全症例の本剤投与期間（休薬除く）の総和 / 365.25

割合の分母は有効性解析対象症例（最良総合効果）数（N）とした。

複数の本剤最頻投与量を有する場合は、それぞれの本剤最頻投与量に含めて集計した。

Data cut-off date: 29NOV2024

Page 1 of 1
CDRB436I1401/Tafinlar / Mekinist

Listing DM_L001-2: 患者背景一覧表 (1/2) (成人) (調査票固定症例)

| 症例番号 | 施設名 | 有効性解析対象 (最終総合効果) | 有効性解析対象 (病勢進行) | 年齢/性別 | タフィンラー/メキニストの使用理由 | タフィンラー/メキニストの使用理由_がん(ヵ月) | 罹病期間 | ECOG PS | 病期分類 | 組織型 | WHO分類 | 既往歴 | 合併症 | | |
|------|-----|------------------|----------------|-------|-------------------|--------------------------|-------|---------|------|------|-------|-----|-----|-------|-------|
| | | | | | | | | | | | | | 有無 | 腎機能障害 | 肝機能障害 |
| ■ | ■ | 採用 | 採用 | ■ | 1 | 甲状腺癌 | 225.0 | 0 | IV期 | 乳頭癌 | - | 有 | 有 | 有 | 無 |
| ■ | ■ | 採用 | 採用 | ■ | 1 | 甲状腺癌 | 0.9 | 0 | IVC期 | 未分化癌 | - | 無 | 有 | 無 | 無 |
| ■ | ■ | 採用 | 採用 | ■ | 1 | 甲状腺癌 | 1.1 | 0 | IVC期 | 未分化癌 | - | 無 | 有 | 無 | 無 |

タフィンラー/メキニストの使用理由：1=標準的な治療が困難なBRAF遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍（結腸・直腸癌を除く），2=BRAF遺伝子変異を有する低悪性度神経膠腫

-: 非該当，算出不能

Data cut-off date: 29NOV2024

Page 1 of 1
CDRB436I1401/Tafinlar / Mekinist

Listing DM_L002-2: 患者背景一覧表 (2/2) (成人) (調査票固定症例)

| 症例番号 | BRAF遺伝子陽性の診断方法 | タフィンラー/メキニスト投与開始前に使用した治療ライン数 | 原疾患に対する前治療薬 | | 原疾患に対する前治療法 | | 原疾患に対する併用療法 | | |
|------|----------------|------------------------------|-------------|--------|-------------|------------|-------------|----|-----|
| | | | 有無 | 切り替え理由 | 有無 | 療法名 | 原疾患に対する併用薬剤 | 有無 | 療法名 |
| ■ | 1 | 2 | 有 | 効果不十分 | 有 | 外科的療法, その他 | 有 | 無 | - |
| ■ | 1 | 1 | 有 | 効果不十分 | 無 | - | 無 | 無 | - |
| ■ | 1 | 1 | 有 | 効果不十分 | 無 | - | 無 | 無 | - |

BRAF遺伝子陽性の診断方法：1=コンパニオン診断薬, 2=遺伝子パネル検査

-: 非該当