



2026 年 7 月 21 日

報道関係者各位

慶應義塾大学医学部

希少皮膚がん「進行期乳房外パジェット病」に対する新しい治療の光 ～HER2 標的抗体薬物複合体(ADC)を用いた国内多施設共同の医師主導 治験で良好な有効性と安全性を確認～

慶應義塾大学医学部皮膚科学教室の舩越建准教授、新川紗由香助教らの研究グループは、標準治療が確立されていない希少な皮膚がん「進行期乳房外パジェット病（EMPD）：注 1」において、がん細胞の表面にある「HER2（ヒト表皮増殖因子受容体 2）：注 2」というタンパク質を標的とした抗体薬物複合体（ADC：注 3）である「トラスツズマブ エムタンシン（T-DM1）：注 4」の有効性と安全性を評価する、国内多施設共同の第Ⅱ相医師主導治験（TEMENOS-2 試験：注 5）を実施しました。

治験の結果、独立中央判定委員会による判定で奏効率（腫瘍が縮小した割合）92.9%という高い治療効果を達成し、良好な生存期間の推移と、管理可能な安全性プロファイルを確認しました。本研究は、進行期乳房外パジェット病に対する HER2 標的 ADC の治療効果を前向き（プロスペクティブ）に評価した世界で初めての臨床試験（治験）であり、これまで有効な全身化学療法が限られていた患者にとって、新たな治療選択肢となる可能性を示す重要な成果です。

本研究成果は、2026 年 7 月 21 日（日本時間）に欧州臨床腫瘍学会（ESMO）の公式オープンアクセスジャーナルである *ESMO Open* に掲載されました。

1. 研究の背景と概要

進行期乳房外パジェット病（Extramammary Paget's Disease : EMPD）は、主に高齢者の外陰部などに発生する希少な皮膚悪性腫瘍（がん）です。初期の段階であれば手術による切除で根治が期待できますが、他の臓器やリンパ節に転移した「進行期・転移性」の段階になると、科学的根拠（エビデンス）に基づいた標準的な全身化学療法（抗がん剤治療）が確立されておらず、極めて予後不良な疾患として知られています。

近年の研究から、進行期乳房外パジェット病患者の約 40%において、がん細胞の増殖に関与する「HER2」というタンパク質が過剰に発現（陽性）していることがわかっていました。このことから、HER2 を標的とする強力な薬剤、例えば「抗体薬物複合体（ADC）」が、進行期乳房外パジェット病に効果を示すのではないかと考えました。

しかし、これまで HER2 を標的とした強力な薬剤である「抗体薬物複合体（ADC）」の有効性を、臨床試験（治験）として前向きに検証したデータは存在していませんでした。

そこで研究グループは、HER2 陽性の転移性乳房外パジェット病患者を対象に、乳がんな

どで広く使用されている HER2 標的 ADC「トラスツズマブ エムタンシン (T-DM1)」の有効性と安全性を評価する、国内 11 施設の共同による前向き第Ⅱ相医師主導治験 (TEMENOS-2 試験、jRCT2031210436) を立ち上げ、2021 年 12 月から 2024 年 7 月にかけて実施しました。

2. 研究の成果と意義・今後の展開

本治験には、HER2 陽性の転移性乳房外パジェット病を抱え、過去に HER2 標的治療を受けたことのない日本人患者 14 名（年齢中央値 65 歳）が参加しました。患者は 3 週間ごとに T-DM1 の点滴投与を受け、最長で 2 年間治療を継続しました。その結果、T-DM1 は、良好な有効性と安全性を示しました。その主な結果を示します。

- 腫瘍縮小効果（奏効率 92.9%）：第三者の専門家で構成される独立中央判定委員会の厳格な判定により、14 名中 13 名（92.9%）で顕著な腫瘍の縮小（完全奏効 2 名、部分奏効 11 名）が確認されました。
- 長期の病勢コントロール（無増悪生存期間の中央値 16.95 ヶ月）：がんが進行せずに安定していた期間（無増悪生存期間：PFS）の中央値は 16.95 ヶ月であり、過去の報告等と比較しても、良好な長期コントロールを達成しました。また、全生存期間（OS）の中央値にはまだ達しておらず、多くの患者で長期生存が維持されています。
- 良好な安全性（管理可能な副反応）：重篤な副反応（グレード 4 以上）の発生はなく、高齢の患者が多い集団（42～80 歳）において十分な安全性が確認されました。軽度の間質性肺疾患により 1 名が治療を中断したものの、全体として副反応は予測可能であり、外来通院での治療継続が可能な範囲でした。

本研究は、治療法が極めて限られていた「進行期乳房外パジェット病」に対して、HER2 標的 ADC が有効性と安全性を持つことを前向き臨床試験によってデータを示した、学術的に重要な成果です。今回の医師主導治験において良好な結果が得られたことは、この希少皮膚がんに対する新たな治療選択肢の確立に向けた強力な足がかりとなります。今後、保険適用や診療ガイドラインへの反映へ向けた動きが進むことで、日本国内のみならず世界中の乳房外パジェット病患者に新しい治療の選択肢を届けることができると期待されます。

3. 特記事項

本研究（治験）は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の革新的がん医療実用化研究事業「HER2 陽性進行・再発乳房外パジェット病に対する trastuzumab emtansine (T-DM1)療法の有効性と安全性を評価する多施設共同第Ⅱ相医師主導治験（TEMENOS-2）」の支援、および中外製薬株式会社からの試験薬の提供を受けて実施されました。

4. 論文

英文タイトル：Efficacy and safety of trastuzumab emtansine in patients with advanced human epidermal growth factor receptor 2-positive extramammary Paget's disease: An investigator-initiated, open-label, single-arm, multicentre, prospective, phase II clinical trial (TEMENOS-2)

タイトル和訳：HER2 陽性進行期乳房外パジェット病患者におけるトラスツズマブ エムタン

シンの有効性と安全性：医師主導、オープンラベル、単群、多施設共同、前向き第Ⅱ相臨床試験（TEMENOS-2）

著者名（日本語表記）： 新川紗由香、平井郁子、中村善雄、内博史、大江秀一、爲政大幾、竹之内辰也、森章一郎、高井利浩、吉川周佐、藤村卓、山本有紀、尾崎達郎、竹村亮、舩越建

掲載誌：ESMO Open (Original Article / Skin Cancers)

DOI：https://doi.org/10.1016/j.esmoop.2026.108282

【用語解説】

- （注 1）進行期乳房外パジェット病（EMPD）：主に高齢者の外陰部や肛門周囲、腋窩（わきの下）などのアポクリン汗腺が豊富な皮膚に発生する希少な腺がん（皮膚がんの一種）。初期は赤い湿疹やタムシに似た外見をしており、見過ごされやすい特徴があります。
- （注 2）HER2（ヒト表皮増殖因子受容体 2）：細胞の表面に存在するタンパク質。がん細胞でこれが過剰に増えると、細胞の増殖スピードが加速します。乳がんや胃がんで重要な治療標的となっており、乳房外パジェット病の一部でも陽性になることが知られています。
- （注 3）抗体薬物複合体（ADC）：がん細胞の特定の目印（今回の場合は HER2）に結合する「抗体」に、強力な「抗がん剤（薬物）」を結合させた新しいお薬。狙ったがん細胞に直接強力な薬を届けることができるため、効果が高く、正常な細胞への影響（副反応）を抑えられるメリットがあります。
- （注 4）トラスツズマブ エムタンシン：がん細胞の HER2 を標的として効率的に薬を届ける抗体薬物複合体（ADC）です。乳がん等に対して承認されていますが、進行期乳房外パジェット病に対しては現時点で国内未承認（保険適用外）であり、本研究は医師主導治験として実施されたものです。
- （注 5）医師主導治験：従来の製薬企業が主導する治験とは異なり、希少疾患などで開発が進みにくい場合などに、医師自らが治験実施計画を企画・立案し、自らの責任において実施する臨床試験（治験）のこと。

※ご取材の際には、事前に下記までご一報くださいますようお願い申し上げます。

※本リリースは文部科学記者会、科学記者会、厚生労働記者会、厚生日比谷クラブ、各社科学部等に送信しております。

【本発表資料のお問い合わせ先】

慶應義塾大学医学部 皮膚科学教室

准教授 舩越 建（ふなこし たける）

TEL：03-5363-3823 FAX：03-3351-6880 E-mail：takeruf@keio.jp

<https://derma.med.keio.ac.jp/>

【本リリースの配信元】

慶應義塾大学信濃町キャンパス総務課：奈良・加納

〒160-8582 東京都新宿区信濃町 35

TEL : 03-5363-3611 FAX : 03-5363-3612 E-mail : med-koho@adst.keio.ac.jp

<https://www.keio.ac.jp/ja/med/>