

開催日時	平成30年1月18日(木) 16:07 ~ 18:17		
開催場所	国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 管理棟2F 会議室21		
出席委員名	左合治彦、石川洋一、窪田満、清河信敬、齋藤千恵子、石倉健司、廣部兼児、池田良彦、伊吹友秀		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
議題1 (新規)	先天性尿素サイクル異常症に対するHAES移植治療の医師主導治験 — 新生児期発症型患者を対象とした探索的試験 —		
	成分記号	HAES	開発相
	自ら治験を実施する者	国立成育医療研究センター 福田 晃也	
	対象疾患	先天性尿素サイクル異常症	
	審議事項	治験の実施の適否	
	審議内容	治験実施体制、緊急対応の手順について見直す必要があるため、継続審議となった。	
	審議結果	保留(継続審査)	
議題2	原因不明の不育症を対象としたGB-0998の二重盲検群間比較試験		
	成分記号	GB-0998	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	一般社団法人 日本血液製剤機構	
	対象疾患	原因不明の不育症	
	審議事項	・重篤な有害事象に関する報告書(第1報)(第2報) ・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象・研究報告) について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 <報告> 治験実施計画書 別紙1の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題3	原因不明の不育症を対象としたGB-0998の一般臨床試験		
	成分記号	GB-0998	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	一般社団法人 日本血液製剤機構	
	対象疾患	原因不明の不育症	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象・研究報告) について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 <報告> 治験実施計画書 別紙1の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題4	治療歴のない血友病A患者を対象としたturoctocog alfa pegol(N8-GP)の安全性及び有効性の検討		
	成分記号	N8-GP	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	ノボルディスクファーマ株式会社	
	対象疾患	治療歴のない血友病A患者	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象) について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・治験に関する変更(治験薬概要書の変更)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題5	治療歴のない血友病B患者を対象としたnonacog beta pegol(N9-GP)の安全性及び有効性の検討		
	成分記号	N9-GP	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	ノボルディスクファーマ株式会社	
	対象疾患	治療歴のない血友病B患者	
	審議事項	・治験に関する変更(治験薬概要書の変更)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題6	アツヴィ合同会社の依頼による中等症から重症の小児潰瘍性大腸炎患者を対象としたアダリムマブの第Ⅲ相試験		
	成分記号	D2E7	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	アツヴィ合同会社	
	対象疾患	中等症から重症の小児潰瘍性大腸炎患者	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象) について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題7	アツヴィ合同会社の依頼による中等症から重症の小児潰瘍性大腸炎患者を対象としたアダリムマブの第Ⅲ相継続投与試験		
	成分記号	D2E7	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	アツヴィ合同会社	
	対象疾患	中等症から重症の小児潰瘍性大腸炎患者	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象) について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題8	結節性硬化症に伴う皮膚病変を対象としたNPC-12Gの長期投与試験		

	成分記号	NPC-12G	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	ノーベルファーマ株式会社		
	対象疾患	結節性硬化症に伴う皮膚病変		
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象)について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題9	帝人ファーマ株式会社の依頼によるSTM-279のアデノシンデアミナーゼ欠損症患者を対象とした第Ⅲ相試験			
	成分記号	STM-279	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	帝人ファーマ株式会社		
	対象疾患	ADA欠損症		
	審議事項	・重篤な有害事象に関する報告(第1報)(第2報)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題10	パロノセトロン塩酸塩(PALO)の小児患者に対する第Ⅲ相試験			
	成分記号	PALO	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	大鵬薬品工業株式会社		
	対象疾患	-		
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象)について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題11	中外製薬株式会社の依頼による血友病A患者を対象としたR05534262の第Ⅲ相試験			
	成分記号	Emicizumab	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	中外製薬株式会社		
	対象疾患	血友病A		
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象)について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・治験に関する変更(治験実施計画書・治験薬概要書、追補の変更) <報告> 治験実施計画書別紙1の改訂		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題12	中外製薬株式会社の依頼による血友病A患者を対象としたR05534262の第Ⅲ相臨床試験			
	成分記号	Emicizumab	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	中外製薬株式会社		
	対象疾患	血友病A (12歳未満)		
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象)について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・治験に関する変更(治験実施計画書・治験薬概要書、追補の変更) <報告> 治験実施計画書別紙1の改訂		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題13	DSP-1958の拡大治験			
	成分記号	DSP-1958	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	大日本住友製薬株式会社		
	対象疾患	悪性リンパ腫、小児固形腫瘍・小児脳腫瘍		
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象・年次報告)について、治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題14	小児腎疾患患者を対象としたFFI-1010の第Ⅲ相試験			
	成分記号	FFI-1010	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	株式会社 富士薬品		
	対象疾患			
	審議事項	・治験に関する変更(治験実施計画書・同意説明文書・アセント文書ABCの変更)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		