開催日時	平成30年2月22日(木) 16:00 ~ 18:32						
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、清河信敬、齋藤千恵子、村田俊二、廣部兼児、永島崇子、池田良彦、伊吹友秀						
	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 ー						
	成分記号 自ら治験を実施	HAES 開発相					
	する者	国立成育医療研究センター 福田 晃也					
	対象疾患 審議事項	先天性尿素サイクル異常症					
	審議内容	HAES移植後に肝移植を受けることに同意しない患者が組み入れられることのないよう、選択・除外基準を見直し、本治験製品による治療は橋渡し治療であること、この治験に参加しHAESを移植した場合、途中で同意を撤回した場合も含めて、必ず肝移植によってHAESを移植した肝を取り出す必要があることを同意説明文書に明記すべきであるとの指摘があり、継続審査となった。					
	審議結果	保留(継続審査)					
議題2		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					
	治験依頼者対象疾患	一般社団法人 日本血液製剤機構 原因不明の不育症					
	審議事項	・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・重篤な有害事象に関する報告書 3件					
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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					
	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 ・次年度への継続審査					
	審議事項	引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・重篤な有害事象に関する報告書 5件 「暦 日 元 日 元 日 元 日 元 日 元 日 元 日 元 日 元 日 元 日					
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	ノボノ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	・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認					
議題5							
	成分記号	N9-GP 開発相 第Ⅲ相					
	治験依頼者	ノボノ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	・次年度への継続審査 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。					
議題6	審議結果	承認					
HTA NASO		: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 第Ⅲ相					
	治験依頼者 対象疾患	アッヴィ合同会社 中等症から重症の小児潰瘍性大腸炎患者					
	審議事項	・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・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。					
	審議内容審議結果	質疑、異論特になし。 承認					
議題7	世成和末 「小心 アッ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	アッヴィ合同会社					
	対象疾患 審議事項	中等症から重症の小児潰瘍性大腸炎患者 ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・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。					

議題8	審議結果	承認						
	ONO-1101 後期第Ⅱ相/第Ⅲ相試験							
	小児の心機能低下例における頻脈性不整脈(心房細動, 心房粗動, 上室頻拍)を対象とした多施設共同非盲検非対照試験							
	成分記号	ONO-1101 開発相 後期第Ⅱ相/第Ⅲ相						
	治験依頼者	小野薬品工業株式会社						
	対象疾患	類脈性不整脈 ・次年度への継続審査						
	審議事項	・次年度への継続審査 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(治験分担医師の変更)						
	審議内容審議結果	質疑、異論特になし。 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 対象疾患	ノーベルファーマ株式会社 結節性硬化症に伴う皮膚病変						
		・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。						
	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。 ・治験に関する変更(契約期間延長・治験費用・同意説明文書の変更)						
	審議内容	質疑、異論特になし。 承認						
議題9	審議結果							
	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 対象疾患	帝人ファーマ株式会社 ADA欠損症						
	刈多灰思	・次年度への継続審査						
	審議事項	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。	100/ (212-100)					
	審議結果	承認						
議題10	DSP-7888の小	児悪性神経膠腫患者を対象とした第 I / I	[相臨床試験					
		DSP-7888	開発相	第Ⅰ/Ⅱ相				
	治験依頼者	大日本住友製薬株式会社						
	対象疾患	小児悪性神経膠腫						
	審議事項	・次年度への継続審査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。						
議題11	審議結果 承認 承認 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							
				for much				
	成分記号 治験依頼者	PALO 大鵬薬品工業株式会社	開発相	第Ⅲ相				
	対象疾患							
	審議事項	・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・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。 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更						
		について、治験責任医師からの見解も						
	審議内容	について、治験責任医師からの見解も <報告>治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。						
≘業皇五4○	審議結果	について、治験責任医師からの見解も <報告>治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認	踏まえ、引き続き試験を実施					
議題12	審議結果	について、治験責任医師からの見解も <報告>治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。	踏まえ、引き続き試験を実施					
議題12	審議結果 中外製薬株式 が 成分記号	について、治験責任医師からの見解も <報告>治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab	踏まえ、引き続き試験を実施					
議題12	審議結果 中外製薬株式等 成分記号 治験依頼者	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社	踏まえ、引き続き試験を実施 たR05534262の第Ⅲ相試験	ですることの妥当性を審議した。				
議題12	審議結果 中外製薬株式 が 成分記号	について、治験責任医師からの見解も <報告>治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab	踏まえ、引き続き試験を実施たR05534262の第皿相試験 開発相 開発相を審議した。	(事工相) 事象・年次報告)				
議題12	審議結果 中外製薬株式等 成分記号 治験依頼者 対象疾患	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性 ・安全性情報等に関する報告(当該治)	踏まえ、引き続き試験を実施 たR05534262の第皿相試験 開発相 開発相 を審議した。 検薬で発生した重篤な有害導 踏まえ、引き続き試験を実施	第Ⅲ相 「第Ⅲ相 「第Ⅲ相 「「「「「「「「「」」」」 「「」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「」 「				
議題12	審議結果 中外製薬株式等 成分記号 治験依頼者 対象疾患 審議事項	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性 ・安全性情報等に関する報告(当該治師について、治験責任医師からの見解も ・治験に関する変更(契約期間延長・治 質疑、異論特になし。	踏まえ、引き続き試験を実施 たR05534262の第皿相試験 開発相 開発相 を審議した。 検薬で発生した重篤な有害導 踏まえ、引き続き試験を実施	第Ⅲ相 「第Ⅲ相 「第Ⅲ相 「「「「「「「「「」」」」 「「」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「」 「				
	審議結果 中外製薬株式会成分記号 治験依頼者 対象疾患 審議事項	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性 ・安全性情報等に関する報告(当該治師について、治験責任医師からの見解も ・治験に関する変更(契約期間延長・治	踏まえ、引き続き試験を実施 たR05534262の第皿相試験 開発相 開発相 を審議した。 検薬で発生した重篤な有害導 踏まえ、引き続き試験を実施	第Ⅲ相 「第Ⅲ相 「第Ⅲ相 「「「「「「「「「」」」」 「「」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「「」」 「」 「				
	審議結果 中外製薬株式 成分記号 治験疾患 審議 内容 審議 内容 審議 表	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性 ・安全性情報等に関する報告(当該治師について、治験責任医師からの見解も ・治験に関する変更(契約期間延長・治 質疑、異論特になし。	踏まえ、引き続き試験を実施たまでをである。	事象・年次報告) はすることの妥当性を審議した。 司意説明文書・アセント文書Cの変更)				
	審議結果 中外製薬株式 成分記号 治験疾患 審議 内容 審議 内容 審議 表	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性 ・安全性情報等に関する報告(当該治能について、治験責任医師からの見解も ・治験に関する変更(契約期間延長・治 質疑、異論特になし。 承認	踏まえ、引き続き試験を実施たまでをである。	事象・年次報告) はすることの妥当性を審議した。 司意説明文書・アセント文書Cの変更)				
	審議結果 中 成治験 事 中 成治験 不	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性・安全性情報等に関する報告(当該治院について、治験責任医師からの見解も・治験に関する変更(契約期間延長・治質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社	踏まえ、引き続き試験を実施たR05534262の第Ⅲ相試験 開発相 開発相 を審議した。 族薬で発生した重篤な有害事務を実施 踏まえ、引き続き試験を実施 験費用・治験実施計画書・同	第Ⅲ相 第Ⅲ相 「事業・年次報告) 「ですることの妥当性を審議した。 「司意説明文書・アセント文書Cの変更)				
	審議結果 中 成分験 表	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性 ・安全性情報等に関する報告(当該治院について、治験責任医師からの見解も ・治験に関する変更(契約期間延長・治 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab	踏まえ、引き続き試験を実施たR05534262の第Ⅲ相試験 開発相 開発相 を審議した。 族薬で発生した重篤な有害事務を実施 踏まえ、引き続き試験を実施 験費用・治験実施計画書・同	第Ⅲ相 第Ⅲ相 「事業・年次報告) 「ですることの妥当性を審議した。 「司意説明文書・アセント文書Cの変更)				
議題12	審議結果 中 成治験 事 中 成治験 不	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性・安全性情報等に関する報告(当該治院について、治験責任医師からの見解も・治験に関する変更(契約期間延長・治質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社	踏まえ、引き続き試験を実施 たR05534262の第Ⅲ相試験 開発相 を審議した。 検薬で発生した重篤な有害施験費用・治験実施計画書・同 たR05534262の第Ⅲ相臨床 を審議した。 検薬で発生した重篤な有害 がまえ、引き続き試験を実施 踏まえ、引き続き試験を実施	第				
	審議結果 中 成治教 審議議 外 分験象 議議議 外 分験象 議議議 外 分験疾事 内結 製 記依疾事 内結 製 記依疾表 東 号 和 放験疾患	について、治験責任医師からの見解も 〈報告〉治験実施計画書別紙の変更 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性・安全性情報等に関する変更(契約期間延長・治 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし を発生して、治験責任医師からの見解も ・治験に関する変更(契約期間延長・治 質疑、異論特になし。 承認 会社の依頼による血友病A患者を対象とし Emicizumab 中外製薬株式会社 血友病A(12歳未満) ・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性・安全性情報等に関する報告(当該治 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 たR05534262の第Ⅲ相試験 開発相 を審議した。 検薬で発生した重篤な有害施験費用・治験実施計画書・同 たR05534262の第Ⅲ相臨床 を審議した。 検薬で発生した重篤な有害 がまえ、引き続き試験を実施 踏まえ、引き続き試験を実施	第				

議題14	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	・次年度への継続審査 引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・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。					
議題15	審議内容	質疑、異論特になし。					
	審議結果	承認					
	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	・次年度への継続審査 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					