

平成30年度 第3回治験審査委員会 議事概要

| | | | |
|--------------------|--|--|---------|
| 開催日時 | 平成30年6月21日(木) 16:00 ~ 18:39 | | |
| 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、山谷明正、窪田満、清河信敬、齋藤千恵子、石倉健司、廣部兼児、菊地晃、佐々木孝之、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 | 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2報)(第3報)(第1報)(第2報) | |
| | 審議内容 | 重篤な有害事象に関する報告書(2月22日付)の報告遅延について報告された。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題2 | 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 | ・治験に関する変更(症例数の追加) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題3 | 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。 | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題4 | 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 | 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5 | 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 | 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6 | 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 製造販売後臨床試験 |
| | 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 | ・治験に関する変更(治験実施計画書の変更) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題7 | 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書(第1報) ・治療に関する変更(契約期間延長) | |
| | 審議内容 | 重篤な有害事象に関する報告(5月2日付)の報告遅延について報告された。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題8 | DSP-7888の小児悪性神経膠腫患者を対象とした第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験 | | |
| | 成分記号 | 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 | ADA欠損症 | |
| | 審議事項 | ・安全性情報等に関する報告書(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9 | 小児患者を対象としたPALO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 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(治療実施計画書の変更) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題10 | 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。 <報告> 治験実施計画書別紙1の変更(担当者変更) | |
| | 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(治療実施計画書の変更) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |

| | | | | |
|------|--|--|-----|------|
| 議題12 | 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)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・同意説明文書・アセント文書・症例数の変更) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題13 | 小児を含むムコ多糖症およびムコリポドーシス患者を対象としたNaPPSの第Ⅱ相試験 | | | |
| | 成分記号 | NaPPS | 開発相 | 第Ⅱ相 |
| | 治験依頼者 | 株式会社レクメド | | |
| | 対象疾患 | 小児を含むムコ多糖症およびムコリポドーシス | | |
| | 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・被験者の補償について説明した文書、治験に起因する健康被害発生時の補償について) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題14 | ブルトン型チロシンキナーゼ(BTK)阻害薬イブルチニブのステロイド依存性/抵抗性の慢性移植片対宿主病(cGVHD)患者を対象とした第3相試験 | | | |
| | 成分記号 | イブルチニブ | 開発相 | 第Ⅲ相 |
| | 治験依頼者 | ヤンセンファーマ株式会社 | | |
| | 対象疾患 | 慢性移植片対宿主病 | | |
| | 審議事項 | ・安全性情報等に関する報告書(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(同意説明文書・治験薬概要書・契約内容変更) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題15 | 高リスク肝芽腫に対するイリノテカン、ピンクリスチン、テムシロリムス併用療法の有効性に関する国際共同臨床試験 | | | |
| | 成分記号 | テムシロリムス(CCI-779-2) イリノテカン(CPT-11) フルオロウラシル(5-FU) | 開発相 | 第Ⅲ相 |
| | 自ら治験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 松本公一 | | |
| | 対象疾患 | 肝芽腫 | | |
| | 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。 ・モニタリング報告書 | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題16 | 小児急性リンパ性白血病の再発患者に対するボルテゾミブを含む多剤併用化学療法の第Ⅱ相試験(医師主導治験) | | | |
| | 成分記号 | JNJ-26866138 | 開発相 | 第Ⅱ相 |
| | 自ら治験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 富澤 大輔 | | |
| | 対象疾患 | 小児急性リンパ性白血病 | | |
| | 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。 <報告>治験実施計画書 別紙1(治験実施体制の変更) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題17 | 高リスク神経芽腫に対するdinutuximab、interleukin-2、G-CSF 併用療法の第Ⅱb相試験 | | | |
| | 成分記号 | Dinutuximab(OP-08) Teceleukin(S-6820) Filgrastim(KRN8601) | 開発相 | 第Ⅱb相 |
| | 自ら治験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 松本公一 | | |
| | 対象疾患 | 高リスク神経芽腫 | | |
| | 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・監査計画書) ・モニタリング報告書 | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |

| | | | | |
|------|--|--|-----|--------|
| 議題18 | ウスコット・アルドリッチ症候群患者を対象とした遺伝子治療の臨床第I/II相試験 | | | |
| | 被験製品の識別記号 | LV_WASP/SC | 開発相 | 第I/II相 |
| | 被験薬の識別記号 | IDEC-C2B8 | | |
| | 自ら試験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 小野寺雅史 | | |
| | 対象疾患 | ウスコット・アルドリッチ症候群 | | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(当該試験薬で発生した重篤な有害事象)について、試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。 ・試験に関する変更(試験薬概要書) ・試験製品の投与延期と今後の方向性に関する報告書) | | |
| | 審議内容 | 試験製品の投与延期と今後の方向性について報告された。被験者の症状は安定しており、安全性が確認できるまで試験を継続しフォローされること、WAS遺伝子治療が他社に譲渡され、安全性の観点から試験製品の製造方法の変更が行われ、同製造方法による遺伝子治療が行われるのは平成31年度になる予定であることが確認された。 | | |
| 審議結果 | 承認 | | | |
| 議題19 | 悪性軟部腫瘍に対する地固め療法としてのWT1 ペプチドワクチン(DSP-7888)免疫療法 | | | |
| | 成分記号 | DSP-7888 | 開発相 | 第II相 |
| | 自ら試験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 松本公一 | | |
| | 対象疾患 | 悪性軟部腫瘍 | | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(年次報告)について、試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。 ・試験に関する変更(同意説明文書の変更) ・モニタリング報告書 | | |
| 審議内容 | <ul style="list-style-type: none"> ・4月19日に報告した試験薬調製時の使用期限切れのラクトック使用に関して、改めて経緯と問題点、再発防止策が報告され、本件は適切に原因が特定され、再発防止策がとられており、被験者の試験治療の継続に問題ないと試験調整医師に判断されていることがモニタリング報告書によって確認された。 ・外部検査機関との委受託契約不備の経緯と問題点、再発防止策が報告された。 | | | |
| 審議結果 | 承認 | | | |
| 議題20 | クリゾチニブの再発または難治性ALK(anaplastic lymphoma kinase)陽性未分化大細胞型リンパ腫(anaplastic large cell lymphoma, ALCL)に対する第I/II相および再発または難治性神経芽腫に対する第I相医師主導試験 | | | |
| | 成分記号 | PF-02341066 | 開発相 | 第I/II相 |
| | 自ら試験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 大隅朋生 | | |
| | 対象疾患 | 難治性ALK陽性未分化大細胞型リンパ腫(ALCL) | | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(当該試験薬で発生した重篤な有害事象)について、試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。 ・モニタリング報告書 | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| 審議結果 | 承認 | | | |
| 議題21 | 難治性リンパ管疾患に対するNPC-12T(シロリムス)の有効性及び安全性を検討する多施設共同第III相医師主導試験 | | | |
| | 成分記号 | NPC-12T | 開発相 | 第III相 |
| | 自ら試験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 前川 貴伸 | | |
| | 対象疾患 | 難治性リンパ管疾患 | | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(当該試験薬で発生した重篤な有害事象)について、試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。 ・モニタリング報告書 | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| 審議結果 | 承認 | | | |
| 議題22 | 新生児ヘモクロマトーシスに対する胎内ガンマグロブリン大量静注療法の臨床試験 | | | |
| | 成分記号 | GB-0998 | 開発相 | |
| | 自ら試験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 佐々木 愛子 | | |
| | 対象疾患 | 新生児ヘモクロマトーシス | | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(当該試験薬で発生した重篤な有害事象・研究報告)について、試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。 ・試験に関する変更(試験実施計画書別紙1) ・賠償責任保険契約証明書 | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| 審議結果 | 承認 | | | |
| 議題23 | 結節性硬化症に伴う皮膚病変を対象としたNPC-12Gの第III相試験 | | | |
| | 成分記号 | NPC-12G | 開発相 | 第III相 |
| | 自ら試験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 吉田 和恵 | | |
| | 対象疾患 | 結節性硬化症 | | |
| | 審議事項 | 〈報告〉製造販売承認の取得 | | |
| | 審議内容 | - | | |
| | 審議結果 | - | | |