

| | | | |
|--------------------|---|---|-------------|
| 開催日時 | 平成30年11月29日(木) 16:02 ~ 18:09 | | |
| 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、菊地晃、佐々木孝之 | | |
| 議題及び審議結果を含む主な議論の概要 | | | |
| 議題1 | FLT3変異陽性の初発急性骨髄性白血病(AML)小児患者を対象に、midostaurin(PKC412)1日2回投与の標準化学療法との併用時及び地固め療法後治療として単剤投与時の安全性、有効性、及び薬物動態を評価する第II相、オープンラベル、単群試験 | | |
| | 成分記号 | PKC412 | 開発相 第II相 |
| | 治験依頼者 | ノバルティス ファーマ株式会社 | |
| | 対象疾患 | FLT3変異陽性の初発急性骨髄性白血病(AML)小児患者 | |
| | 審議事項 | 同意説明文書の妥当性が確認され、バイオマーカー検査について、目的と検査内容についてわかりやすく説明を追記するよう指示があった。 | |
| | 審議内容 | 治験の実施の適否 | |
| | 審議結果 | 修正の上承認 | |
| 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 | ・安全性情報等に関する報告(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。 ・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(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。 ・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(年次報告、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 | ノボルディスクファーマ株式会社 | |
| | 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、ヒュミラ添付文書、ヒュミラ添付文書改訂のお知らせ)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 | 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、ヒュミラ添付文書、ヒュミラ添付文書改訂のお知らせ)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 | 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/III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 | ・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8 | 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、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(受託研究積算書(治験)、臨床試験研究経費ポイント算出表、治験薬管理経費ポイント算出表の変更) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題9 | 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。 | | |
| | 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(治験実施計画書、同意説明文書、アセント文書A、B、試験参加カード、ヘムライブラ添付文書の変更) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題11 | 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。 | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題12 | 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(cGVHD) | | |
| | 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13 | ヤンセンファーマ株式会社の依頼による未治療の慢性移植片対宿主病患者を対象としたイブルチニブの第3相試験 | | | |
| | 成分記号 | PCI-32765 | 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(cGVHD) | | |
| | 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14 | ムコ多糖症II型患者を対象としたイデュルスルファーゼβの第I/II相臨床試験 | | | |
| | 成分記号 | GC1123 | 開発相 | 第I/II相 |
| | 自ら治験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 奥山 虎之 | | |
| | 対象疾患 | ムコ多糖症II型 | | |
| | 審議事項 | ・重篤な有害事象等に関する報告(第2報)(第3報)(第1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)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(監査計画書の変更) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題15 | 小児低亜鉛血症患者を対象とした酢酸亜鉛顆粒剤の第III相臨床試験 | | | |
| | 成分記号 | NPC-02 | 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 新井 勝大 | | |
| | 対象疾患 | 小児低亜鉛血症 | | |
| | 審議事項 | その他(モニタリング報告書、監査報告書)(報告)治験終了報告書 | | |
| | 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(医師主導試験) | | | |
| | 成分記号 | JNJ-26866138 | 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 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(当該試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17 | 高リスク神経芽腫に対するdinutuximab、interleukin-2、G-CSF 併用療法の第II相試験 | | | |
| | 成分記号 | Dinutuximab (OP-08) Teceleukin (S-6820) Filgrastim (KRN8601) | 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 | 高リスク神経芽腫 | | |
| | 審議事項 | ・安全性情報等に関する報告(当該試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。 ・その他(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 | 慢性肉芽腫症に関連する腸炎患者を対象としたサリドマイド口腔内崩壊錠のプラセボ対照二重盲検比較試験 | | | |
| | 成分記号 | FPF300-OD | 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 河合利尚 | | |
| | 対象疾患 | 慢性肉芽腫症 | | |
| | 審議事項 | ・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。 ・試験に関する変更(被験者募集資料学会用) ・その他(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19 | ウイスコット・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 | ウイスコット・アルドリッチ症候群 | | |
| | 審議事項 | ・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。 ・試験に関する変更(監査計画書の変更) | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題20 | 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 | ・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、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。 ・試験に関する変更(試験実施計画書別紙1、2の変更) ・(その他)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 | 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 | ・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、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。 ・試験に関する変更(試験薬概要書の変更) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題22 | 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 | ・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、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23 | 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試験 | | | |
| | 成分記号 | HAES | 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 福田 晃也 | | |
| | 対象疾患 | 先天性尿素サイクル異常症 | | |
| | 審議事項 | ・試験に関する変更(試験実施計画書、試験製品概要書、試験薬概要書、同意説明文書、モニタリング手順書、監査手順書、監査計画書、試験製品の管理に関する手順書、試験薬の管理に関する手順書、被験者への支払に関する資料、安全性情報の取扱いに関する手順書、安全性情報の取扱いに関する手順書、試験参加カード、患者日誌の変更)(試験分担医師、協力者リストの変更) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |

| | | | | |
|------|---|--|-----|-----|
| 議題24 | 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 | |
| | 自ら治験を実施する者 | 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 | ・安全性情報等に関する報告(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。 | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題25 | 自閉スペクトラム症患者におけるピリドキサミンの有効性および安全性を評価する探索的医師主導第Ⅱ相試験 | | | |
| | 成分記号 | TM8001 | 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 小枝達也 | | |
| | 対象疾患 | 自閉スペクトラム症 | | |
| | 審議事項 | ・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書の変更) ・その他(モニタリング報告書) (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 | | |