

平成30年度 第9回治験審査委員会 議事概要

| | | | |
|--------------------|--|---|---------|
| 開催日時 | 平成31年2月28日(木) 16:05 ~ 16:59 | | |
| 開催場所 | 国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 病院棟12F 特別会議室1 | | |
| 出席委員名 | 左合治彦、窪田満、清河信敬、齋藤千恵子、菊地晃、池田良彦、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 | 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 | ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 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 | ・重篤な有害事象等に関する報告(第3報) ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 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。 ・治験に関する変更(治験薬概要書の変更) <報告>Log of protocol attachment I,I&II ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 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 | ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 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 | 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 | ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 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 | ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題7 | 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 | 頻脈性不整脈 | |
| | 審議事項 | ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題8 | 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 | ・安全性情報等に関する報告(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。 (報告)治験実施計画書分冊の変更 ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題9 | 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 | ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題10 | 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、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(治験実施計画書の変更) <報告>治験実施計画書別紙の変更 ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・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、措置報告)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(治験実施計画書、ヘムライブラ添付文書の変更)(報告)治験実施計画書別紙1の変更 ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・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、措置報告)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(ヘムライブラ添付文書の変更)(報告)治験実施計画書別紙1の変更 ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・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、C、被験者への支払いに関する資料の変更) ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 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 | 小児腎疾患患者 | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(治験責任医師、同意説明文書、治験参加カード、治験実施計画書別紙1、治験分担医師、治験協力者リストの変更) ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 議題15 | 小児を含むムコ多糖症およびムコリピ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ピドーシス | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(期間延長に伴う契約内容、治験実施計画書の変更) ・実施状況報告書(継続審査) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |

| | | | | |
|------|--|---|-----|-------|
| 議題16 | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・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。 ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題17 | ヤンセ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 | <ul style="list-style-type: none"> ・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。 ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題18 | JTE-052軟膏 小児アトピー性皮膚炎患者対象の第Ⅲ相臨床試験(QBB4-1) | | | |
| | 成分記号 | JTE-052A | 開発相 | 第Ⅲ相 |
| | 治験依頼者 | 日本たばこ産業株式会社 | | |
| | 対象疾患 | 小児アトピー性皮膚炎患者 | | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(被験者への支払いに関する資料の変更) ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題19 | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(被験者の募集に関する資料) ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題20 | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・重篤な有害事象等に関する報告(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。 ・その他(監査報告書、監査報告書に対する回答書、回答確認書) ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |

| | | | | |
|------|--|---|-----|--------|
| 議題21 | 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。 ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題22 | 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。 ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題23 | 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 | |
| | 自ら治験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 河合利尚 | | |
| | 対象疾患 | 慢性肉芽腫症に関連する腸炎 | | |
| | 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、相違報告)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。 ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題24 | 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 | | |
| | 自ら治験を実施する者 | 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(当該治験薬で発生した重篤な有害事象、年次報告、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 | 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 | 悪性軟部腫瘍 | | |
| | 審議事項 | ・その他(モニタリング報告書) ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |

| | | | | |
|------|---|---|-----|--------|
| 議題26 | 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相医師主導治験 | | | |
| | 成分記号 | PF-02341066 | 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 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(当該治験薬で発生した重篤な有害事象、措置報告)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。 ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題27 | 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相医師主導治験 | | | |
| | 成分記号 | NPC-12T | 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 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。 ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題28 | 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 | ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題29 | 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 | ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 議題30 | 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及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(同意説明文書の変更、治験実施計画書、被験者募集用フライヤーの変更) ・その他(モニタリング報告書) ・実施状況報告書(継続審査) | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |