

開催日時	平成31年4月25日(木) 16:01 ~ 17:13		
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2F 会議室21		
出席委員名	左合治彦、山谷明正、窪田満、齋藤千恵子、河合 利尚、清河信敬、廣部兼児、菊地晃、池田良彦、宮越弘子、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	成人血友病B患者を対象とする治験薬の投与を伴わない第3相試験		
	成分記号	該当なし	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	ファイザー株式会社	
	対象疾患	血友病B	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> <li>・同意説明文書に記載されている遺伝子治療の試験に関する情報と本試験に関する情報が混同しないよう説明する際に注意が必要である。</li> <li>・本試験が承認されても、次の遺伝子治療の試験が必ずしも承認されるとは限らず、承認しなければならないというわけではないことを、次試験の審議で十分留意する必要がある。</li> </ul>	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 承認	
議題2	持田製薬株式会社の依頼による小児うつ病患者を対象としたMLD-5の第Ⅲ相試験		
	成分記号	MLD-55	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	持田製薬株式会社	
	対象疾患	小児うつ病	
	審議事項	前回の指摘事項であった説明同意文書の遺伝子検査と自殺企図に関する記載が適切に修正、追記されていることが確認された。	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 承認	
議題3	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	<ul style="list-style-type: none"> <li>・治験に関する変更(期間延長に伴う契約の変更) (報告)治験実施計画書別紙1、別紙2の変更</li> </ul>	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題4	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	(報告)治験実施計画書別紙1、別紙2の変更	
	審議内容 審議結果	- -	
議題5	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	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul>	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題6	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	(報告)Log of protocol attachment II	
	審議内容 審議結果	- -	

議題7	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、年次報告、添付文書改訂)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	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、年次報告、添付文書改訂)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	・治験に関する変更(添付文書)(報告)開発の中止等に関する報告書(報告)代表取締役社長の交代について	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題10	DSP-7888の小児悪性神経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	小児悪性神経腫	
	審議事項	(報告)治験依頼者の組織名及び代表者職名の変更について	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
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。	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題12	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	(報告)吸収合併に伴う書面上の読替えのお願い	
	審議内容	-	
	審議結果	-	

議題13	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、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(治験薬概要書、同意説明文書、eICFの変更)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題14	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	・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15	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	(報告)治験実施計画書別紙1の変更	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
議題16	ノバルティスファーマ株式会社の依頼による急性骨髄性白血病を対象としたPKC412の第Ⅱ相試験		
	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	・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17	中外製薬株式会社の依頼による血友病A 小児患者を対象としたエミシズマブの第Ⅳ相試験		
	成分記号	エミシズマブ	開発相 IV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	・治験に関する変更(スクリーニング脱落費用に関する資料)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題18	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	・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。	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

議題19	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の変更		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題20	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。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題21	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	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 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	・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		
議題22	ウィスコット・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	ウィスコット・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)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、監査終了通知書)		
審議内容	質疑、異論特になし。			
	審議結果	承認		
議題23	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	・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) ・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24	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)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	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	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 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	・治験に関する変更(治験実施計画書、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26	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(治験薬の管理に関する手順書の変更、治験薬の管理に関する手順書別紙1)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題27	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(監査報告書に対する回答書、回答確認書)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		