

開催日時	令和元年6月20日(木) 16:01 ~ 17:44		
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4F 会議室41		
出席委員名	左合治彦、山谷明正、齋藤千恵子、清河信敬、河合利尚、廣部兼児、菊地晃、池田良彦、伊吹友秀、宮越弘子		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
議題1	小児期発症のネフローゼ症候群に対するIDEC-C2B8の多施設共同二重盲検プラセボ対照ランダム化並行群間比較試験		
	成分記号	IDEC-C2B8	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 亀井 宏一	
	対象疾患	小児期発症のネフローゼ症候群	
	審議事項	同意説明文書p.19〈プラセボ薬を割り当てられた場合の不利益〉の説明で「予想される効果は得られない可能性がある」というのはどのような不利益があるのかという質問があり、早期に再発する可能性があることを明記する必要があるとの指摘があった。したがって、同意説明文書の「プラセボ薬に割り当てられた場合は、予想される効果は得られない可能性があります。」という記載を「プラセボ薬に割り当てられた場合は、早期に再発する可能性があります。」に修正するよう指示があった。	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 修正の上承認	
議題2	小児期発症難治性ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群を対象としたIDEC-C2B8とステロイドパルス療法の併用療法の多施設共同単群臨床試験		
	成分記号	IDEC-C2B8	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 亀井 宏一	
	対象疾患	小児期発症難治性ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群	
	審議事項	ステロイドパルス療法との併用療法による安全性と目標症例数の妥当性について確認された。	
	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	(報告) 治験実施計画書別紙1の変更 (報告) 治験協力者の変更	
	審議内容 審議結果	- -	
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	・治験に関する変更(症例追加に伴う変更) (報告) 治験実施計画書別紙1の変更 (報告) 治験協力者の変更	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
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。 (報告) 治験協力者の変更	
	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	・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	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	・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。(報告)治験協力者の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題8	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、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	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	・治験に関する変更(治験実施計画書、治験薬概要書、同意説明文書及び同意書、分担医師・協力者の変更)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題10	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)(第2報) (報告)治験実施計画書分冊の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題11	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。(報告)治験実施計画書別紙の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題12	DSP-1958の薬物動態試験		
	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	・開発の中止等に関する報告書	
	審議内容	-	
	審議結果	-	

議題13	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	(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14	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	・治験に関する変更(契約期間延長に伴う費用の変更) (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15	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16	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	・治験に関する変更(治験分担医師・治験協力者の変更)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題17	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。 (報告)治験協力者の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題18	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	・重篤な有害事象に関する報告書(第2報)(第3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(PROTOCOL、治験実施計画書の変更) (報告)本社移転に伴う契約書に関するご連絡とお願い (報告)治験協力者の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

議題19	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。 (報告)治験協力者の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題20	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	・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(治験分担医師・治験協力者の変更) (報告)治験実施計画書別紙2、別紙4の変更	
	審議内容	治験の実施の適否	
	審議結果	承認	
議題21	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(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、同意説明文書の変更) (報告)治験協力者の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題22	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。 ・治験に関する変更(治験薬概要書、Investigator's Brochureの変更) (報告)治験協力者の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題23	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24	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)について責任医師の見解も踏まえ、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、試験実施計画書、試験薬の管理・取り扱いに関する手順書の変更) 		
	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(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(監査計画書の変更) ・その他(モニタリング報告書 2019年5月8日 5報告、2019年5月9日 1報告)(報告)試験協力者の変更 		
	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。 ・試験に関する変更(同意説明文書の変更) ・その他(モニタリング報告書 2019年5月14日、2019年5月16日)(報告)試験協力者の変更 		
	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。 (報告)試験協力者の変更 		
	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試験 — 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	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 福田 晃也		
	対象疾患	先天性尿素サイクル異常症		
	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(試験分担医師・試験協力者の変更) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		

議題29	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
	自ら試験を実施する者	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	(報告)試験実施計画書別紙1の変更	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
議題30	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
	試験依頼者	株式会社 富士薬品	
	対象疾患	小児腎疾患患者	
	審議事項	(報告)試験協力者の変更	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
議題31	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
	試験依頼者	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)試験協力者の変更	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
議題32	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
	試験依頼者	中外製薬株式会社	
	対象疾患	血友病A (12歳未満)	
	審議事項	(報告)試験協力者の変更	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
議題33	成人血友病B患者を対象とする試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
	試験依頼者	ファイザー株式会社	
	対象疾患	血友病B	
	審議事項	(報告)試験協力者の変更	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
議題34	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	(報告)試験協力者の変更	
	審議内容	-	
	審議結果	-	