

開催日時	令和元年9月12日(木) 16:01 ~ 17:28		
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		
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	・治験に関する変更(同意説明文書の変更) (報告)同意説明文書の改訂に関するお知らせ	
	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	・治験に関する変更(同意説明文書の変更) (報告)同意説明文書の改訂に関するお知らせ	
	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	・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、同意説明文書の変更、NN7088-3908試験に関連する安全性情報につきまして) (報告)turoctocog alfa pegol(N8-GP)製造販売承認日以降のNN7088-3908試験の契約書及び関連文書等の読み替えについて	
	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	・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(同意説明文書の変更)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題5	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)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題6	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 審議結果	- -	

議題7	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	（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8	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	・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9	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	・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10	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"> ・重篤な有害事象に関する報告書(第1報)(第2報)(第3報)(第4報)(第5報) ・重篤な有害事象に関する報告書(第1報)(第2報)(第3報) ・重篤な有害事象に関する報告書(第1報)(第2報) ・重篤な有害事象に関する報告書(第1報)(第2報) ・重篤な有害事象に関する報告書(第1報) ・重篤な有害事象に関する報告書(第1報)(第2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、研究報告、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。 (報告)治験実施計画書別冊の変更	
	審議内容	重篤な有害事象に関する報告書「腎機能障害」第5報において、「治験薬休薬後も症状悪化傾向であることから、治験薬との因果関係はなし」と判断されているが、治験責任医師へ治験薬との因果関係を再考いただき、その結果を次回IRBで報告するよう指示があった。因果関係再考の理由として以下の点が挙げられた。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験薬投与開始約1年後の2019/08/06に腎機能障害が発生していること ・ 2019/08/14に治験薬を休薬してから2019/08/28症状悪化まで約2週間と短期間であること ・ 不可逆的な腎機能障害が発現していたため、治験薬を休薬しても症状が悪化した可能性があること 	
	審議結果	承認	
議題11	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、研究報告、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(被験者への支払いに関する資料の変更)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題12	JTE-052軟膏第Ⅲ相臨床試験 －小児アトピー性皮膚炎患者を対象としたJTE-052軟膏の比較試験及び継続長期投与試験－		
	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	・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13	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14	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、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15	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ズマブの第IV相試験			
	成分記号	エミズマブ	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(治験実施計画書、出血エピソード記録表、血液凝固因子製剤記録表、活動状況に関する質問票の変更) (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。 ・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 b 相試験			
	成分記号	Dinutuximab (OP-08) Teceleukin (S-6820) Filgrastim (KRN8601)	開発相	第II b 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。 (報告)治験実施計画書別冊の変更		
	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	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	・重篤な有害事象に関する報告書(第1報)(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、措置報告、サレドカプセル添付文書改訂)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。 ・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、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。		
	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)		
	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)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、試験実施計画書別紙、同意説明文書、試験薬概要書の変更)		
	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、研究報告、措置報告)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。		
	審議結果	承認		
議題23	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	・その他(モニタリング報告書) (報告)試験実施計画書別紙1の変更		
	審議結果	承認		
議題24	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	・試験に関する変更(試験実施計画書別紙1、試験薬の管理に関する手順書別紙1、申請用紙の変更) ・その他(モニタリング報告書)		
	審議結果	承認		

議題25	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
	自ら試験を実施する者	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	<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(安全性情報の取扱いに関する手順書の変更) ・その他(モニタリング報告書) (報告)試験実施計画書別紙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	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
	自ら試験を実施する者	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	<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。 ・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27	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	該当なし
	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)試験分担医師・試験協力者リスト(試験協力者の変更)		
	審議内容	-		
審議結果	-			