

開催日時	令和2年1月23日(木) 16:03 ~ 17:52		
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、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、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	小児HSCT患者におけるMK-8228によるCMV感染及び感染症の予防		
	成分記号	MK-8228	開発相 第II相
	治験依頼者	MSD株式会社	
	対象疾患	CMV感染及び感染症のリスクのある小児同種造血幹細胞移植(HSCT)患者	
	審議事項	本治験薬はCMV感染への予防投与であること、CMVが顕在化した場合の治療について確認がされた。また、日本症例は各コホート1症例以上であり、組み入れ手順について確認がされた。	
審議内容	治験の実施の適否		
審議結果	承認		
議題2	クリニジェン株式会社の依頼によるムコ多糖症II型患者を対象としたGC1123(イデュルスルファーゼβ)の第III相試験		
	成分記号	GC1123	開発相 第III相
	治験依頼者	クリニジェン株式会社	
	対象疾患	ムコ多糖症II型	
	審議事項	同意説明文書について以下の点について修正指示があった。 ・植込み型脳脊髄液リザーバの装着に関わる費用負担について同意説明文書に明記すること ・リザーバの不具合等に伴う健康被害は本治験の補償対象かを確認し明記すること	
審議内容	治験の実施の適否		
審議結果	修正の上承認		
議題3	S-877489の小児注意欠陥・多動性障害患者を対象とした第2相臨床試験		
	成分記号	S-877489	開発相 第II相
	治験依頼者	塩野義製薬株式会社	
	対象疾患	小児注意欠陥・多動性障害	
	審議事項	(報告)開発の中止等に関する報告書	
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。	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
議題5	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。	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		

議題6	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)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	治療抵抗性の部分発作がみられる結節性硬化症(TSC)患者の補助療法としてRAD001の2つのトラフ濃度範囲における有効性及び安全性を評価する3群,ランダム化,二重盲検,プラセボ対照比較試験			
	成分記号	RAD001	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社		
	対象疾患	結節性硬化症(TSC)		
	審議事項	(報告)開発の中止等に関する報告書		
	審議内容 審議結果	- -		
議題8	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、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。		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題9	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、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)安全性情報に関するご報告		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題10	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 審議結果	質疑、異論特になし。 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		
議題11	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(措置報告、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3、4の変更		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		

議題12	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(治験実施計画書、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13	高リスクの小児を対象としたMEDI8897の第2/3相臨床試験			
	成分記号	MEDI8897	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験依頼者	IQVIAサービシーズ ジャパン株式会社(治験国内管理人)		
	対象疾患	早産児、慢性肺疾患(CLD)児、及び先天性心疾患(CHD)児またはダウン症児		
	審議事項	・治験に関する変更(契約内容の変更)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題14	早発型重症妊娠高血圧腎症患者を対象としたKW-3357の第Ⅲ相ランダム化プラセボ対照二重盲検比較試験			
	成分記号	KW-3357	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	協和キリン株式会社		
	対象疾患	早発型重症妊娠高血圧腎症		
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(添付文書改訂、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(治験分担医師・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15	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(治験実施計画書、同意説明文書、治験薬の管理に関する手順書の変更) ・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。		
	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	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	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	・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。 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19	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、監査報告書)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題20	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。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題21	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)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22	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	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 福田 晃也		
	対象疾患	先天性尿素サイクル異常症		
	審議事項	・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。 ・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、治験実施計画書別紙1の変更) ・その他(モニタリング報告書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	・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) ・その他(モニタリング報告書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	・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	