

開催日時	令和2年2月20日(木) 16:05 ~ 17:26		
開催場所	国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 管理棟2F 会議室21		
出席委員名	左合治彦、山谷明正、窪田満、清河信敬、齋藤千恵子、河合利尚、廣部兼児、菊地晃、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	日本イーライリリー株式会社の依頼による中等症から重症の活動性潰瘍性大腸炎の小児患者を対象としたLY3074828の第Ⅱ相試験		
	成分記号	LY3074828	開発相 第Ⅱ相
	治験依頼者	日本イーライリリー株式会社	
	対象疾患	活動性潰瘍性大腸炎	
	審議事項	既存の同種同効薬との違い、中等症から重症の活動性潰瘍性大腸炎への標準的な治療、小児うつ病評価の必要性について確認がなされた。	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 承認	
議題2	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"> ・安全性情報等に関する報告(研究報告、添付文書改訂のお知らせ)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) ・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	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	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(研究報告、添付文書改訂のお知らせ)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) ・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"> ・治験に関する変更(治験薬概要書) ・実施状況報告書(継続審査) (報告)Log of protocol attachment I&II 	
	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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(治験薬概要書の変更) ・実施状況報告書(継続審査) (報告)Log of protocol attachment I&II 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

議題6	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) (報告)治験実施計画書別冊1の変更		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
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)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、措置報告、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。 ・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、措置報告、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。 ・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10	JTE-052軟膏第Ⅲ相臨床試験 ー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ー			
	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	・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11	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。 ・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12	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。 ・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13	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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(治験分担医師の変更) ・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	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"> ・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書、治験参加カード、治験説明補助資料、患者さんへの治験協力費について、治験に起因する健康被害発生時の補償についての変更、電子日誌、受託研究積算書) ・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15	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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(治験実施計画書) ・実施状況報告書(継続審査) (報告)契約署名者 変更のお知らせ 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題16	ノバルティスファーマ株式会社の依頼によるCTL019の第Ⅲb相試験		
	成分記号	CTL019	開発相 第Ⅲb相
	治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社	
	対象疾患	CD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病、CD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫	
	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)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17	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	<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)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(被験者の募集の手順(広告等)に関する資料) ・治験に関する変更(治験分担医師の変更) ・実施状況報告書(継続審査) (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	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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(Investigator letter) ・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	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	・実施状況報告書(継続審査) (報告)治験実施計画書等修正報告書		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	・重篤な有害事象に関する報告書(第1報) ・治験に関する変更(治験分担医師の変更) ・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。 ・治験に関する変更(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 審議結果	質疑、異論特になし。 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	その他(安全性情報等に関する報告書)		
	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	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) 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) ・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24	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(監査計画書の変更) ・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25	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	<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)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(治験責任医師、治験分担医師の変更) ・治験に関する変更(同意説明文書、治験参加カードの変更) ・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26	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	<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、HAES-M治験薬概要書の変更) ・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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題27	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	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(研究報告、添付文書改訂のお知らせ)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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題28	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	<ul style="list-style-type: none"> ・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29	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	<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)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(セントラルモニタリング報告書、モニタリング報告書) ・緊急の危険を回避するための治験実施計画書からの逸脱に関する報告書 ・実施状況報告書(継続審査) (報告)損害保険付保証明書 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題30	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	<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)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) ・実施状況報告書(継続審査) (報告)損害保険付保証明書 (報告)治験実施計画書別紙1の変更 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	