

開催日時	令和2年3月19日(木) 16:04 ~ 18:11		
開催場所	国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 教育研修棟1階 大講義室		
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、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	ファイザー株式会社の依頼によるインヒビター保有および非保有の青年および成人の血友病患者を対象としたPF-06741086 定期投与第3相試験		
	成分記号	PF-06741086	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A、血友病B	
	審議事項	血栓のリスクと安全性評価のタイミング、標準治療を行う観察期間における費用負担と健康被害への補償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	ファイザー株式会社の依頼による血友病B患者を対象としたPF-06838435の第3相試験		
	成分記号	PF-06838435	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	カルタヘナ法に基づく排泄物の管理や、成人対象のため緊急時対応のICUの受け入れ体制について確認された。	
審議内容	治験の実施の適否		
審議結果	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	・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	・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。 ・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	・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。 ・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書の変更)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		

議題7	ブルトン型チロシナーゼ(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"> ・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)(報告)治験実施計画書別冊の変更(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8	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"> ・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(治験責任医師、治験分担医師・協力者リスト、同意説明文書、治験参加カードの変更) ・治験に関する変更(症例報告書の見本の変更)(報告)イブルチニブ未治療cGVHD試験 CRF v6.0未提出について 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認			
議題9	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	<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、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	<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、アセント文書Cの変更) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認			
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	<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。 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	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ズマブの第IV相試験			
	成分記号	エミズマブ	開発相	第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	・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13	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A、血友病B		
	審議事項	・治験に関する変更(治験実施計画書) (報告)治験実施計画書別紙の変更		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題14	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		
	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15	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	・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)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16	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	・治験に関する変更(治験分担医師の変更) ・治験に関する変更(契約内容の変更)		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		

議題17	重症川崎病患児を対象とした免疫グロブリンと免疫グロブリン+シクロスポリンA併用療法の多施設共同非盲検ランダム化比較試験			
	成分記号	OL27-400MEPC	開発相	第Ⅲ相
	自ら治験を実施する者	益田 博司		
	対象疾患	重症川崎病		
	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	<ul style="list-style-type: none"> ・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)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) ・治験に関する変更(治験分担医師の変更) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	<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。 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題20	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	<ul style="list-style-type: none"> ・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) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題21	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	<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(治験薬概要書Addendum1) ・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22	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 富澤大輔		
	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、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23	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	・その他(安全性情報等に関する報告書、モニタリング報告書) (報告)モニタリング報告書における手順書からの逸脱に関する報告書		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題24	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	・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。 ・治験に関する変更(同意説明文書の変更)		
	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、同意説明文書、治験薬の管理に関する手順書別紙1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27	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(治験薬の授受・管理・取扱・返却に関する手順書の変更)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題28	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	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		