

令和2年度 第2回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和2年5月21日(木) 16:01 ~ 17:43		
開催場所	国立研究開発法人 国立成育医療研究センター Web会議		
出席委員名	左合治彦、山谷明正、窪田満、清河信敬、河合利尚、滝本悦子、加藤浩之、加藤道男、伊吹友秀*、池田良彦、秋本友美 *治験継続審議7から出席		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
継続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	(報告)治験実施計画書別紙1、2の変更	
	審議内容 審議結果	- -	
継続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	(報告)治験実施計画書別紙1、2の変更	
	審議内容 審議結果	- -	
継続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	・治験に関する変更(治験薬概要書の変更)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続4	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(治験薬概要書、治験分担医師の変更) (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	
継続5	FVIIIインヒビターを保有しない12歳未満の血友病A小児患者を対象としてemicizumabの2週間及び4週間に1回投与の有効性、安全性及び薬物動態を評価する多施設共同、非盲検、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)開発の中止等に関する報告書	
	審議内容 審議結果	- -	
継続6	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	・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。 ・治験に関する変更(治験薬概要書の変更)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続7	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、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		
継続8	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-55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(年次報告、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、協力者の変更)		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続9	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(治験薬概要書の変更) (報告)治験実施計画書別紙1、2の変更 (報告)代表取締役社長の交代、及び契約者名の取り扱いのご報告とお願い		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続10	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(Protocol Clarification Letter、治験依頼者による治験実施計画書を明確化するための文書) ・治験に関する変更(治験分担医師の変更) (報告)治験実施計画書別紙1、3の変更		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続11	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	・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)治験実施計画書付録の変更		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続12	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)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		

継続13	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	Mirikizumab(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	<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(被験者への支払いに関する資料の変更) ・治験に関する変更(治験分担医師の変更) (報告)重要なお知らせ(ご一読ください)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
継続14	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	(報告)B7841005試験におけるCOVID-19に伴う被験者組み入れの一時見送りについて	
審議内容	-		
審議結果	-		
継続15	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	・治験に関する変更(被験者説明資料の変更)	
審議内容	治験の実施の適否		
審議結果	承認		
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
継続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)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
医師主導1	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"> ・その他(モニタリング報告書) ・治験に関する変更(治験分担医師の変更) 	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
医師主導2	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	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		

医師主導3	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"> ・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、アセント文書Cの変更) ・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)(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			
医師主導4	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"> ・治験に関する変更(監査計画書の変更) ・その他(モニタリング報告書、監査証明書) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認			
医師主導5	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)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(治験薬の管理に関する手順書の変更)(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			
医師主導6	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"> ・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(治験実施計画書の変更) ・治験に関する変更(治験分担医師の変更) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認			
医師主導7	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(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(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			
医師主導8	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"> ・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書の変更) ・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			

医師主導9	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、リツキサン添付文書の改訂) 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。 ・治験に関する変更(治験薬概要書の変更) ・その他(セントラル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			
医師主導10	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、リツキサン添付文書の改訂) 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。 ・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			
その他	(報告)国立研究開発法人 国立成育医療研究センターにおける治験手続きの電磁化に係る標準業務手順書(案)			