

令和2年度 第4回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和2年7月16日(木) 16:03 ~ 17:56		
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		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
新規1	治験国内管理人 IQVIAサービシーズ ジャパン株式会社の依頼による免疫不全を有する月齢24ヵ月以下の日本人小児を対象としたMEDI8897の第2相臨床試験		
	成分記号	MEDI8897	開発相 第II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	免疫不全を有する月齢24ヵ月以下の小児	
	審議事項	以下の点について同意説明文書修正の指示があった。 ・8.治験に参加しない場合の予防薬におけるシナジスに関する記載を適切な表現に修正 ・その他、保健当局、デイケア、法的権利、ベネフィットなどの用語を日本における適切な表記に修正	
審議内容	治験の実施の適否		
審議結果	修正の上承認		
新規2	手術不能かつ症候性のPNを有するNF1の日本人小児患者におけるセルメチニブの安全性、忍容性、薬物動態及び有効性を検討する非盲検第I相試験		
	成分記号	セルメチニブ(selumetinib,AZD6244)	開発相 第I相
	治験依頼者	アストラゼネカ株式会社	
	対象疾患	手術不能かつ症候性の叢状神経線維腫(PN)を有する神経線維腫症1型(NF1)	
	審議事項	プロトコルの内容について、有効だった場合の服薬期間、休薬期間の確認、カプセルの大きさ、遺伝子検査の有無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		
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	・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		
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	・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		
継続3	NPC-15の第III相試験 -神経発達障害を有する小児の睡眠障害を対象とした有効性及び安全性の検討-		
	成分記号	NPC-15	開発相 第III相
	治験依頼者	ノーベルファーマ株式会社	
	対象疾患	神経発達障害を有する小児の睡眠障害	
	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	-		

継続4	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、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(症例報告書の見本の変更) 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続5	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。 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続6	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、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(被験者の募集の手順(広告等)に関する資料)(報告)治験実施計画書別紙2、3、4の変更 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続7	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 該当なし
	治験依頼者	ファイザー株式会社	
	対象疾患	アデノ随伴ウイルス(AAV)-Spark100 ベクターに対する中和抗体を保有しない中等症から重症の成人血友病B患者(FIX:C2%以下)	
	審議事項	(報告)C0371004 試験 施設ID 1098 における被験者組み入れの再開について (報告)代表者変更のご連絡および契約書に関するお願い	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
継続8	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"> ・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	

継続9	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。 ・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	
継続10	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	(報告)治験実施計画書及び治験実施計画書別冊 読み替えのお願い	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
継続11	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。 (報告)治験実施計画書別紙の変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続12	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	(報告)代表取締役交代に伴う契約書等及び関連文書等の読み替え	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
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	・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	
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	・治験に関する変更(治験実施計画書) (報告)代表者変更のご連絡および契約書に関するお願い	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

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	(報告)代表者変更のご連絡および契約書に関するお願い	
	審議内容 審議結果	- -	
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"> ・治験に関する変更(治験実施計画書、治験調整医師の業務に関する手順書の変更) ・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(2020年7月15日付) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導2	小児低亜鉛血症患者を対象とした酢酸亜鉛顆粒剤の第Ⅲ相臨床試験		
	成分記号	NPC-02	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 新井 勝大	
	対象疾患	小児低亜鉛血症	
	審議事項	その他(治験安全性最新報告 2018年6月12日)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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。(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	
医師主導4	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。 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

医師主導5	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、同意説明文書の変更) ・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(2020年6月29日付) ・その他(モニタリング報告書) ・重篤な有害事象に関する報告書(第1報) ・重篤な有害事象及び不具合に関する報告書(第1報) ・重篤な有害事象に関する報告書(第2報) ・重篤な有害事象及び不具合に関する報告書(第2報) 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
医師主導6	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)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1の変更 ・治験に関する変更(被験者募集資料の変更) 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
医師主導7	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(治験実施計画書の変更) (報告)新型コロナウイルス感染拡大の影響による今後の方針について 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
医師主導8	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。 (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9	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。 (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	
その他	(報告)組織改変に伴う部署名変更のお知らせ		