

令和2年度 第5回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和2年9月17日(木) 16:02 ~ 17:36		
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	日本イーライリリー株式会社の依頼によるNNS/CANDLE、SAVI、及び AGSを有する患者を対象としたLY3009104の第II/III相試験		
	成分記号	LY3009104	開発相 第II/III相
	治験依頼者	日本イーライリリー株式会社	
	対象疾患	NNS/CANDLE、SAVI、及び AGS	
	審議事項	治験薬の期待される効果、対象患者の重症度と関連、予測される副作用、治験の実施体制(免疫科と呼吸器科)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(外国文献から得られた重篤な副作用)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		
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(外国文献から得られた重篤な副作用)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		
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(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)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	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(治験実施計画書、治験薬概要書、同意説明文書の変更) (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		
継続5	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)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	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	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続7	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。 ・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		
継続8	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	・安全性情報等に関する報告(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	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続9	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	血友病B		
	審議事項	・治験に関する変更(治験実施計画書、分担医師の変更) ・(報告)治験契約承継のお知らせ		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続10	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。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続11	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	・治験に関する変更(学会HP掲載文)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	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。 ・治験に関する変更(責任医師、分担医師、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		
継続13	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	・重篤な有害事象に関する報告書(第1報~第4報) ・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。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続14	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	治験の実施の適否		
	審議結果	承認		
継続15	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、治験薬概要書、同意説明文書、アセント文書、治験参加カード等の変更) (報告)治験契約承継のお知らせ		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続16	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	・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、定期報告)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、治験薬概要書、同意説明文書、参加カード、治験分担医師の変更) (報告)治験契約承継のお知らせ		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続17	日本新薬株式会社の依頼によるNS-304の臨床第II相試験			
	成分記号	NS-304	開発相	第II相
	治験依頼者	日本新薬株式会社		
	対象疾患	日本人小児肺動脈性高血圧症		
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(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。 ・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書、アセント文書の変更) (報告)治験実施計画書別紙3の変更		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続18	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	・治験に関する変更(Patient ID Cardの変更) (報告)治験実施計画書等修正報告		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		

医師主導1	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(年次報告、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。 ・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) ・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2	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(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3	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(被験者募集業務フローの変更、リーフレット) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認			
医師主導4	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"> ・重篤な有害事象及び不具合に関する報告書(第3報) ・重篤な有害事象及び不具合に関する報告書(第3報) ・治験に関する変更(治験実施計画書、安全性情報の取扱いに関する手順書、分担医師の変更) ・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			
医師主導5	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(外国文献から得られた重篤な副作用)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			
医師主導6	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) ・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7	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
	自ら試験を実施する者	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(年次報告、当該試験薬で発生した重篤な有害事象)について試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。 ・試験に関する変更(試験薬の授受・管理・取扱・返却に関する手順書の変更) ・その他(セントラルモニタリング報告書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導8	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
	自ら試験を実施する者	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(年次報告、当該試験薬で発生した重篤な有害事象)について試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。 ・試験に関する変更(試験薬の授受・管理・取扱・返却に関する手順書の変更) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導9	ムコ多糖症Ⅶ型(Sly病)を対象としたbeta-glucuronidase補充療法の長期継続投与試験		
	成分記号	UX003	開発相 第Ⅲ相
	自ら試験を実施する者	国立成育医療研究センター 小須賀 基通	
	対象疾患	ムコ多糖症Ⅶ型(Sly病)	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・試験に関する変更(試験実施計画書、試験薬の管理に関する手順書の変更)(報告)試験実施計画書別紙1の変更 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	