

令和2年度 第6回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和2年10月15日(木) 16:02 ~ 17:42		
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、滝本悦子、加藤浩之、加藤道男、伊吹友秀、池田良彦 *議題2まで出席		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
議題1	JTE-052軟膏 乳幼児アトピー性皮膚炎患者対象の第Ⅲ相試験		
	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	乳幼児アトピー性皮膚炎	
	審議事項	対象となる患者の標準治療、治験参加中に症状が悪化したときの対応について確認がされた。	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 承認	
議題2	ノバルティスファーマ株式会社の依頼によるCTL019(tisagenlecleucel)の非ホジキンリンパ腫(NHL)の小児患者対象第Ⅱ相試験		
	成分記号	CTL019	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	成熟B細胞性非ホジキンリンパ腫	
	審議事項	対象となる年齢、サイトカイン放出症候群への対策がとられているか、費用と補償内容について確認がされた。	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 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(研究報告、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。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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(研究報告、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。	
	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(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	
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	(報告)治験終了報告書	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

議題7	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	・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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題9	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	*女王陛下報告等に関する報告(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)CYTRA999安全性情報における年齢の誤表記について (報告)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題10	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。		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題11	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	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	(報告)治験実施計画書別紙2の変更		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題12	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	・治験に関する変更(治験薬概要書、同意説明文書の変更) (報告)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		

議題13	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)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
議題14	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)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	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)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		
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(治験薬概要書、同意説明文書、契約内容、治験分担医師の変更) (報告)モニタリング計画の見直しについて (報告)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
議題17	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。 (報告)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)	
審議内容	治験の実施の適否		
審議結果	承認		
議題18	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	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		

議題19	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	・治験に関する変更(分散錠懸濁液作成方法、治験実施計画書別紙1、3の変更) (報告)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)		
審議内容	質疑、異論特になし。			
審議結果	承認			
議題20	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(同意説明文書、治験薬概要書の変更) (報告)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)		
審議内容	質疑、異論特になし。			
審議結果	承認			
議題21	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	・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)治験分担医師・治験協力者リストの変更(協力者の追加)		
審議内容	質疑、異論特になし。			
審議結果	承認			
議題22	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	・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、治験薬概要書の変更、被験者の募集の手順(広告等)に関する資料、疾患日誌説明指示書の追加)		
審議内容	質疑、異論特になし。			
審議結果	承認			
議題23	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	・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			
議題24	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	・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25	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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題26	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(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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題27	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	・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(治験実施計画書別紙1の変更)		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題28	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(治験実施計画書の変更)		
	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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題30	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
	自ら治験を実施する者	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	・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		