

令和2年度 第7回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和2年11月19日(木) 16:06 ~ 17:22		
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			
議題1	静脈奇形に対するモノエタノールアミノレイン酸塩を用いた硬化療法の有効性及び安全性を評価する多施設共同非盲検単群試験		
	成分記号	FO-611(モノエタノールアミノレイン酸塩)	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	国立成育医療研究センター 彦坂 信	
	対象疾患	静脈奇形	
	審議事項	静脈奇形の切除困難例は硬化療法が有効であるとされながらも、硬化療法は手技及び硬化剤がともに保険収載されていないという課題があり、本試験の実施は非常に重要であること、また本薬剤は成人において安全性が確認されているが、小児においては成人に比べ使用経験が少ないため、5歳以下においては治験調整委員会を対象とするかの妥当性を事前に評価がされることが確認された。	
審議内容	治験の実施の適否		
審議結果	承認		
議題2	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の変更 (報告)不育症臨床試験に関する治験薬概要書の提出についてのお知らせ	
審議内容	-		
審議結果	-		
議題3	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	・重篤な有害事象に関する報告書(第1報) ・重篤な有害事象に関する報告書(第2報) ・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の変更	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
議題4	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	(報告)治験終了報告書	
審議内容	-		
審議結果	-		
議題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。 ・治験に関する変更(治験薬概要書補遺の変更)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		

議題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	<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(治験実施計画書付録、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	<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2020/10/30(治験薬概要書の変更)(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		
議題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	治験に関する変更2020/10/19(治験分担医師・協力者リストの変更)		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(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		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(当該治験製品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	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(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)代表者に関するお知らせ	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題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(添付文書の変更)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題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	・治験に関する変更(症例追加に伴う契約内容の変更) ・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書、治験薬概要書、治験使用薬(併用薬)の添付文書、その他)の変更 (報告)「植込み型脳脊髄液リザーバ」に関するPMDAの見解について	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題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 審議結果	治験の実施の適否 承認	
議題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	・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16	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(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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題17	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	・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18	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。 (報告)治験実施計画書別冊の変更		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
議題19	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(治験実施計画書、同意説明文書、モニタリングの実施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		
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	・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A、Bの変更)		
	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	・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	・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23	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	・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		
議題24	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	・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		
議題25	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。 ・その他(モニタリング報告書、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		
議題26	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		
議題27	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	・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		