

開催日時	令和3年2月18日(木) 16:04 ~ 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	山谷明正、窪田満、清河信敬、河合利尚、滝本悦子、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	再発又は増悪した神経膠腫に対するOP-10の第I/II相臨床試験		
	成分記号	OP-10	開発相 第I/II相
	治験依頼者	大原薬品工業株式会社	
	対象疾患	再発又は増悪した神経膠腫	
	審議事項	本治験は国際共同治験ではなく、日本での開発を大原薬品工業がライセンスを獲得し、日本単独で実施される治験であること、主要評価項目はRANOにより腫瘍の縮小が目標となっており、効果が得られれば最大2年の服用継続が可能であることが確認された。本治験薬の脱カプセルの可否とカプセルが服用できない場合に治験参加が可能であるかの確認がされた。	
	審議内容	治験の実施の適否	
	審議結果	承認	
議題2	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	治験実施状況報告書2021/01/26	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題3	未治療の慢性移植片対宿主病(cGVHD)患者を対象としてイブルチニブにコルチステロイドを併用した場合とプラセボにコルチステロイドを併用した場合を比較するランダム化、二重盲検、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。 治験実施状況報告書2021/01/22	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題4	FLT3変異陽性の初発急性骨髄性白血病(AML)小児患者を対象に、midostaurin(PKC412)1日2回投与の標準化学療法との併用時及び地固め療法後治療として単剤投与時の安全性、有効性、及び薬物動態を評価する第II相、オープンラベル、単群試験		
	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	治験実施状況報告書2021/01/22	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題5	MLD-55 小児うつ病に対するプラセボ対照試験		
	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。 ・治験に関する変更申請書2021/02/01(治験実施計画書、同意説明文書) ・治験実施状況報告書2021/01/26	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題6	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エミズマブ投与の長期安全性及び関節に与える影響を評価する製造販売後臨床試験		
	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	・治験に関する変更申請書2021/02/02(契約期間延長) ・治験実施状況報告書2021/01/18 (報告)製造販売後臨床試験実施計画書別紙1変更	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

議題7	「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:C 2%以下)の日常診療における血液凝固第IX因子(FIX)定期補充療法の有効性及び特定の安全性データを6ヵ月間以上前向きに評価することを目的とした治験薬の投与を伴わない、非盲検、多施設共同、リードイン試験」		
	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"> ・治験に関する変更申請2021/02/03(治験実施計画書、同意説明文書、治験参加カード、患者さんへの治験協力費について、治験に起因する健康被害発生時の補償について、電子日誌) ・治験実施状況報告書2021/01/18 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題8	高リスクの小児を対象とした、RSウイルスに対する、半減期を延長したモノクローナル抗体であるMED18897の安全性を評価するための第2/3相無作為化二重盲検バリビズマブ対照試験(MEDLEY)		
	成分記号	MED18897	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(GLD)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"> ・治験に関する変更申請2021/01/22(治験実施計画書) ・治験実施状況報告書2021/01/21 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題9	添付文書の適応症患者を対象としたCTL019(市販用の製造時)の安全性及び有効性を評価する第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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験実施状況報告書2021/01/19 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更申請書2021/02/02(被験者の募集の手順(広告等)に関する資料) ・治験実施状況報告書2021/01/28 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題11	サイトメガロウイルス(CMV)感染及び感染症のリスクのある18歳未満の小児同種造血幹細胞移植(HSCT)患者を対象にMK-8228(レテモビル)を投与した際の薬物動態、有効性、安全性及び忍容性を評価する単群非盲検後期第Ⅱ相試験		
	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	<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。 ・治験に関する変更申請2021/02/02(治験薬概要書) ・治験実施状況報告書2021/01/22 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題12	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の長期投与試験		
	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	<ul style="list-style-type: none"> ・重篤な有害事象に関する報告書(第2報)2021/01/27 ・治験実施状況報告書2021/01/27 (報告)イデュルスルファーゼβの製造販売承認取得のご報告2021年1月22日 (報告)開発中止等に関する報告書2021/01/22 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題13	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するmirikizumabの多施設共同非盲検薬物動態試験		
	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。 ・治験に関する変更申請書2021/02/05(治験分担医師) ・治験実施状況報告書2021/01/19 	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 承認	

議題14	インヒビター保有および非保有の青年および成人の重症(凝固因子活性が1%未満)の血友病Aまたは血友病B患者を対象として標準治療とPF-06741086 定期投与を比較する非盲検試験		
	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	・治験実施状況報告書2021/01/18	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題15	中等症から重症の血友病B 成人男性患者(FIX:C 2%以下)を対象としてPF-06838435(rAAV-Spark100-hFIX-Padua)によるFIX 遺伝子導入の有効性および安全性を評価する非盲検、単群、第3相試験(BeneGene-2 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(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。 ・治験に関する変更申請書2021/02/02(同意説明文書) ・治験実施状況報告書2021/01/18	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題16	日本人小児肺動脈性高血圧症患者を対象としたNS-304の探索的試験(第Ⅱ相)		
	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。 ・治験実施状況報告書2021/01/21	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題17	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、Nirsevimabの安全性および忍容性、薬物動態ならびに抗薬物抗体の発現を評価するための、第2相非盲検非対照単回投与試験		
	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	・治験実施状況報告書2021/01/21	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題18	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)の日本人小児患者を対象としたセルメチニブ[選択的分裂促進因子活性化タンパク質キナーゼキナーゼ(MEK)1阻害薬]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1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	・治験実施状況報告書2021/01/19 (報告)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19	NNS/CANDLE、SAVI、及び AGSを有する成人及び小児の日本人患者を対象としてパリシチニブの有効性及び安全性を評価する多施設共同非盲検第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。 ・治験に関する変更申請書2021/02/01(治験実施計画書、同意説明文書) ・治験実施状況報告書2021/01/21	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題20	再発又は難治性の成熟B細胞性非ホジキンリンパ腫(NHL)の小児患者を対象とするtisagenlecleucelの安全性及び有効性を評価する第Ⅱ相単群多施設非盲検試験(BIANCA 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	・治験実施状況報告書2021/01/22	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 承認	

議題21	JTE-052 軟膏第Ⅲ相臨床試験 －乳幼児アトピー性皮膚炎患者を対象としたJTE-052 軟膏の長期投与試験－		
	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	・治験実施状況報告書2021/01/19 (報告)治験実施計画書 別紙1 改訂	
	審議内容 審議結果	治験の実施の適否 承認	
議題22	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	・治験実施状況報告書2021/01/27	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題23	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	・治験実施状況報告書2021/02/08	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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。 ・治験実施状況報告書2021/01/22 ・その他(モニタリング報告書、監査報告書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	・治験に関する変更申請書(治験実施計画書、治験製品概要書、治験薬概要書) ・治験実施状況報告書2021/01/27 ・その他(モニタリング報告書) (報告)治験実施計画書・別紙1 改訂	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
議題26	新生児へ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	新生児へモクロマトーシス	
	審議事項	・治験実施状況報告書2021/02/08	
	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ロキキサミンの有効性及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	・治験実施状況報告書2021/02/08	
	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	<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。 ・治験実施状況報告書2021/01/25 ・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		
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	<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。 ・治験実施状況報告書2021/01/25 	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験実施状況報告書2021/01/25 ・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		
議題31	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およ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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更申請書2021/02/03(治験実施計画書、同意説明文書、アセント文書C) ・治験実施状況報告書2021/01/25(報告)治験実施計画書別紙1、別紙2改訂 	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		