

令和2年度 第10回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和3年3月18日(木) 16:04 ~ 17:12		
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		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
議題1	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コステロイドを併用した場合とプラセボにコルチコ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。 ・治験に関する変更申請書2021/03/01(治験薬概要書)(報告)代表取締役社長交代に伴う臨床試験及び製造販売臨床試験の契約等の取り扱いに関するお願い	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
議題2	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	・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3	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(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		
議題4	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	・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。 (報告)治験実施計画書別紙2改訂	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
議題5	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MEDI8897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ズマブ対照試験(MEDLEY)		
	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	・治験に関する変更申請書2021/03/02(被験者提供用レター)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		

議題6	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	・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7	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(レテルモビル)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	・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8	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	・重篤な有害事象に関する報告書(第1報)2021/02/17 ・重篤な有害事象に関する報告書(第2報)2021/03/04 ・治験に関する変更申請書2021/03/17(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9	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	・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	
議題10	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及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2021/02/19(治験実施計画書、被験者の健康被害の補償について説明した文書) ・治験に関する変更申請書2021/03/03(被験者への支払に関する資料)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題11	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。	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

議題12	免疫不全を有する月齢24か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か月以下の小児	
	審議事項	・治験に関する変更申請書2021/03/02(治験実施計画書、Thank youカード)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題13	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2021/02/24(疾患日誌作成時の補足説明資料)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題14	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	・重篤な有害事象等に関する報告書(第1報)2021/03/11_心停止 ・重篤な有害事象等に関する報告書(第2報)2021/03/16_心停止 ・重篤な有害事象等に関する報告書(第1報)2021/03/11_意識レベルの低下 ・重篤な有害事象等に関する報告書(第2報)2021/03/12_意識レベルの低下 ・重篤な有害事象等に関する報告書(第3報)2021/03/16_意識レベルの低下 ・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2021/03/01(治験に関する変更申請書2021/03/01(ノバルティス白血球アフェレーシス参照マニュアル)	
	審議内容	治験の実施の適否	
	審議結果	承認	
議題15	JTE-052 軟膏第III相臨床試験 ー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ー		
	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	・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	治験の実施の適否	
	審議結果	承認	
議題16	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	PPF300-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	・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。 ・治験に関する変更申請書2021/03/03(治験薬概要書)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
議題17	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、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	

議題18	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"> <li>・安全性情報等に関する報告(研究報告、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。</li> <li>・治験に関する変更申請書2021/03/08</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題19	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"> <li>・治験に関する変更申請書2021/03/03(監査の実施に関する手順書、監査計画書)</li> <li>・モニタリング報告書2020/12/22実施分</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題20	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"> <li>・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、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。</li> <li>・その他(セントラルモニタリング報告書2021/01/29、モニタリング報告書2021/01/29実施分)</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題21	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"> <li>・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、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。</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
議題22	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	(報告)治験実施計画書 別紙1 改訂		
	審議内容	-		
	審議結果	-		
議題23	静脈奇形に対するモノエタノールアミノオ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オレイン酸塩)	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"> <li>・その他(モニタリング報告書_2020/12/21-2021/01/28実施分)</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		

議題24	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	(報告)開発の中止等に関する報告書		
	審議内容	-		
	審議結果	-		