

令和3年度 第4回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和3年7月15日(木) 15:02 ~ 16:41		
開催場所	国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 教育研修棟大講義室及びWeb会議		
出席委員名	窪田満、山谷明正、滝本悦子、河合利尚、清河信敬、肥沼悟郎、加藤浩之、加藤道男、池田良彦、伊吹友秀、石川拓		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
新規1	低流速型脈管奇形患者に対するART-001の有効性及び安全性を検討する第II相臨床試験(ART-001-201)		
	成分記号	ART-001	開発相 第II相
	治験依頼者	ARTham Therapeutics株式会社	
	対象疾患	低流速型脈管奇形	
	審議事項	薬物代謝に係る安全性、選択基準の設定根拠、治験実施の妥当性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 修正の上承認	
継続1	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	・(報告)治験実施計画書別冊の改訂	
	審議内容 審議結果	- -	
継続2	小児を含むムコ多糖症およびムコリピドーシス患者を対象としたNaPPSの第II相試験		
	成分記号	NaPPS	開発相 第II相
	治験依頼者	株式会社レクメド	
	対象疾患	ムコ多糖症およびムコリピドーシス	
	審議事項	・治験終了後に提出された安全性情報等に関する報告(年次報告)について依頼者からの見解も踏まえ、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	
継続3	ヤンセン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(個別症例)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	
継続4	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(個別症例)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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続5	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-55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、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	
継続6	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 第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)安全性情報報告遅延の可能性について ・(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	- -	
継続7	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		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	・(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	- -	
継続8	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(個別症例)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(治験製品概要書) ・(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	
継続9	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 審議結果	- -	
継続10	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(個別症例)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(迅速審査:分担医師の追加) ・(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	

継続11	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	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)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、評価ツール) ・(報告)治験実施計画書別冊の改訂 ・(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		
継続12	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	<ul style="list-style-type: none"> ・(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	-		
継続13	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	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)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		
継続14	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	小児肺動脈性肺高血圧症	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)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		
継続15	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	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・(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	-		
継続16	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	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	神経線維腫症1型	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・(報告)治験実施計画書別紙の改訂 ・(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	-		

継続17	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	・安全性情報等に関する報告(個別症例)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(治験製品概要書)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	承認		
継続18	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	・(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	-		
継続19	中等症から重症の活動期潰瘍性大腸炎小児患者を対象としたウステキヌマブの有効性、安全性及び薬物動態試験		
	成分記号	CNT01275	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	潰瘍性大腸炎	
	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	-		
審議結果	-		
継続20	中等症から重症の活動期クローン病の小児患者を対象としたウステキヌマブの有効性、安全性及び薬物動態試験		
	成分記号	CNT01275	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	クローン病	
	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	-		
審議結果	-		
継続21	大原薬品工業株式会社の依頼による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	神経膠腫	
	審議事項	・(報告)治験実施計画書別紙の改訂 ・(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	-		
継続22	ゼリア新薬工業株式会社の依頼による小児機能性ディスペプシア患者を対象としたZ-338(アコチアミド塩酸塩水和物)の第III相試験		
	成分記号	Z-338	開発相 第III相
	治験依頼者	ゼリア新薬工業株式会社	
	対象疾患	小児機能性ディスペプシア患者	
	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		

継続23	沢井製薬株式会社の依頼による生物学的同等性試験			
	成分記号	S797T1/T2	開発相	
	治験依頼者	沢井製薬株式会社		
	対象疾患	ウィルソン病		
	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) ・(報告)治験実施計画書別紙1の改訂 ・(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		
継続24	武田薬品工業株式会社の依頼による小児活動期潰瘍性大腸炎患者を対象としたMLN0002の第3相試験			
	成分記号	ベドリズムブ(MLN0002)	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	武田薬品工業株式会社		
	対象疾患	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(個別症例)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(IMPACT-Ⅲ、被験者日誌) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続25	武田薬品工業株式会社の依頼による小児活動期クローン病患者を対象としたMLN0002の第3相試験			
	成分記号	ベドリズムブ(MLN0002)	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	武田薬品工業株式会社		
	対象疾患	クローン病		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)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(IMPACT-Ⅲ、被験者日誌) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続26	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	<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、個別症例)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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
医師主導1	ムコ多糖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	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)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。 ・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2	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"> ・治験に関する変更(治験分担医師) ・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3	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(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) ・(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		
医師主導4	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		
	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(個別症例)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。 ・モニタリング報告書 ・(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		
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"> ・治験に関する変更(治験実施計画書、被験者募集資料) ・(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		
医師主導6	自閉スペクトラム症患者におけるピロ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"> ・監査報告書、回答書、回答確認書、監査証明書 	
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(個別症例)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。 ・モニタリング報告書 ・(報告)治験実施計画書別紙1の改訂 	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	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(個別症例)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の改訂 ・(報告)安全性情報等に関する報告の記載漏れの修正 ・(報告)治験実施計画書等修正報告 ・(報告)治験終了報告 	
	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
	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	
	審議事項	・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10	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
	自ら治験を実施する者	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	・治験に関する変更(治験実施計画書(本体、別紙1、別紙2)、モニタリングの実施に関する手順書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
備考			