

令和3年度 第8回治験審査委員会 議事概要

| | | | |
|--------------------|---|--|-----------|
| 開催日時 | 令和4年1月20日(木) 15:10~16:35 | | |
| 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 | 窪田満、山谷明正、滝本悦子、清河信敬、肥沼悟郎、加藤道男、加藤浩之、伊吹友秀*、石川拓 *継続20より出席 | | |
| 議題及び審議結果を含む主な議論の概要 | | | |
| 継続1 | アツヴィ合同会社の依頼による中等症から重症の小児潰瘍性大腸炎患者を対象としたアダリムマブの第Ⅲ相試験 | | |
| | 成分記号 | D2E7 | 開発相 第Ⅲ相 |
| | 治験依頼者 | アツヴィ合同会社 | |
| | 対象疾患 | 小児潰瘍性大腸炎 | |
| | 審議事項 | ・(報告)開発の中止等に関する報告 | |
| | 審議内容 審議結果 | — — | |
| 継続2 | M11-290試験を完了した小児潰瘍性大腸炎患者を対象としたヒト抗TNFモノクローナル抗体アダリムマブの反復投与時の長期安全性及び忍容性を検討する多施設共同非盲検試験 | | |
| | 成分記号 | D2E7 | 開発相 第Ⅲ相 |
| | 治験依頼者 | アツヴィ合同会社 | |
| | 対象疾患 | 小児潰瘍性大腸炎 | |
| | 審議事項 | ・(報告)開発の中止等に関する報告 | |
| | 審議内容 審議結果 | — — | |
| 継続3 | 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)迅速審査 治験に関する変更申請(契約期間延長) ・(報告)治験終了(中止・中断)報告 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続4 | 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)医師含む医療機関関係者に対するレター(不正アクセス攻撃について) | |
| | 審議内容 審議結果 | — — | |
| 継続5 | 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 | ・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(治験薬概要書) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |

| | | | |
|------|--|--|----------|
| 継続6 | 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。 | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 継続7 | 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 | ・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。 ・治験に関する変更(治験分担医師、被験者募集の手順) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 継続8 | 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。 ・治験に関する変更(治験実施計画書) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 継続9 | 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(個別症例、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、治験分担医師) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 継続10 | 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(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 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |
| 継続11 | 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(治験実施計画書、治験薬概要書、同意説明文書) | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | |
| | 審議結果 | 承認 | |

| | | | |
|------|---|---|---------|
| 継続12 | 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 | ・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13 | 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 | ・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14 | 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。 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続15 | 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 | ・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。 ・試験に関する変更(治験分担医師) ・(報告) 治験実施計画書別冊の改訂 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続16 | 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 | ・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。 ・試験に関する変更(治験分担医師) ・(報告) 治験実施計画書別冊の改訂 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |

| | | | |
|------|--|--|-----------|
| 継続17 | 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 | ・治験に関する変更(治験分担医師) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続18 | 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 Mab (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 | ・安全性情報等に関する報告(個別症例、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。 ・治験に関する変更(治験分担医師) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続19 | 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 Mab (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 | ・安全性情報等に関する報告(個別症例、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。 ・治験に関する変更(治験分担医師) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続20 | Meiji Seika ファルマ株式会社の依頼による慢性移植片対宿主病を対象としたME3208の第Ⅲ相試験 | | |
| | 成分記号 | ME3208 | 開発相 第Ⅲ相 |
| | 治験依頼者 | Meiji Seika ファルマ株式会社 | |
| | 対象疾患 | 慢性移植片対宿主病 | |
| | 審議事項 | ・安全性情報等に関する報告(個別症例、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)治験実施計画書別添2改訂 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続21 | 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(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(治験薬概要書、同意説明文書) ・(報告)治験実施計画書別冊改訂 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |

| | | | |
|-------|---|---|-----------|
| 継続22 | 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"> ・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(治験薬概要書) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続23 | 武田薬品工業株式会社の依頼による原発性免疫不全症候群(PID)日本人患者を対象としたTAK-771の第3相試験 | | |
| | 成分記号 | TAK-771 | 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 | 原発性免疫不全症候群 | |
| | 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。 ・治験に関する変更(被験者日誌、投与データワークシート) ・(報告)治験実施計画書等修正報告 ・(報告)IRB委員事前質問に対する追加回答 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 医師主導1 | 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(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。 ・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 | 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"> ・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 | 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"> ・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。 ・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、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。 ・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"> ・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。 ・治験に関する変更(治験薬概要書、監査計画書) ・(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 | |
| 医師主導6 | 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。 ・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書) ・セントラルモニタリング報告書 ・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7 | 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 | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・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 | |
| 医師主導8 | 小児・AYA悪性固形腫瘍に対するEZH1/2阻害薬DS-3201bの第Ⅰ相試験 | | |
| | 成分記号 | DS-3201b | 開発相 第Ⅰ相 |
| | 自ら治験を実施する者 | 国立成育医療研究センター 寺島 慶太 | |
| | 対象疾患 | 悪性固形腫瘍 | |
| | 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、同意説明文書) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 備考 | | | |