

令和4年度 第5回治験審査委員会 議事概要

|                    |                                                 |                                                                                                                                                                                           |           |
|--------------------|-------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| 開催日時               | 令和4年9月22日(木) 15:02~17:12                        |                                                                                                                                                                                           |           |
| 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              | 窪田満、山谷明正、萬弘子、河合利尚、肥沼悟郎、森田英明、加藤浩之、櫻井みぎわ、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                | チオ硫酸ナトリウムの第Ⅱ相試験(医師主導治験)                         |                                                                                                                                                                                           |           |
|                    | 成分記号                                            | チオ硫酸ナトリウム                                                                                                                                                                                 | 開発相 第Ⅱ相   |
|                    | 治験依頼者                                           | 国立成育医療研究センター 清谷 知賀子                                                                                                                                                                       |           |
|                    | 対象疾患                                            | 限局性病期のシスプラチン(CDDP)を用いる固形腫瘍(神経芽腫、肝芽腫、胚細胞腫、骨軟部肉腫、髄芽腫、非定型奇形腫様ラブドイド腫瘍等)                                                                                                                       |           |
|                    | 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<br>審議結果                                    | 治験の実施の適否<br>承認                                                                                                                                                                            |           |
| 継続1                | 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                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>・(報告)別紙1 製造販売後臨床試験実施体制の改訂</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                                                                   |           |
|                    | 審議内容<br>審議結果                                    | -<br>-                                                                                                                                                                                    |           |
| 継続2                | 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                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙の改訂</li> <li>・(報告)モニター一覧の変更</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                      |           |
|                    | 審議内容<br>審議結果                                    | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                                                          |           |
| 継続3                | 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                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul>                                                                          |           |
|                    | 審議内容<br>審議結果                                    | 質疑、異論特になし。<br>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                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>・安全性情報等に関する報告(個別症例、年次報告、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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書付録、添付文書)</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul> |           |
|                    | 審議内容<br>審議結果                                    | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                                                          |           |

|     |                                                                |                                                                                                                                                                                                                      |         |
|-----|----------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------|
| 継続5 | 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"> <li>・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。</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                                                         |         |
|     | 審議内容<br>審議結果                                                   | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                                                                                     |         |
| 継続6 | 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                                                           | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書)</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                      |         |
|     | 審議内容<br>審議結果                                                   | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                                                                                     |         |
| 継続7 | 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"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験薬概要書)</li> </ul>                                                                          |         |
|     | 審議内容<br>審議結果                                                   | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                                                                                     |         |
| 継続8 | 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"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(Patient Retention Materials)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙の改訂</li> <li>・(報告)モニター一覧の変更</li> </ul> |         |
|     | 審議内容<br>審議結果                                                   | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                                                                                     |         |
| 継続9 | 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"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙1の改訂</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                |         |
|     | 審議内容<br>審議結果                                                   | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                                                                                     |         |

|      |                                                                          |                                                                                                                                                                                                                                                                    |           |
|------|--------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| 継続10 | 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                                                                     | <ul style="list-style-type: none"> <li>・安全性情報等に関する報告(個別症例、措置報告、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(治験実施計画書付録)</li> <li>・(報告)治験終了報告書</li> </ul>                                                                                     |           |
|      | 審議内容                                                                     | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                                                                         |           |
|      | 審議結果                                                                     | 承認                                                                                                                                                                                                                                                                 |           |
| 継続11 | 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                                                                     | CNTO1275                                                                                                                                                                                                                                                           | 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                                                                     | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書、治験薬概要書補遺、被験者への支払いについて、患者用説明資料、ePRO補助資料、試験終了時アンケート)</li> <li>・(報告)治験使用薬の導入に伴う医療機関レター</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul> |           |
|      | 審議内容                                                                     | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                                                                         |           |
|      | 審議結果                                                                     | 承認                                                                                                                                                                                                                                                                 |           |
| 継続12 | 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                                                                     | CNTO1275                                                                                                                                                                                                                                                           | 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                                                                     | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書、治験薬概要書補遺、被験者への支払いについて、患者用説明資料、ePRO補助資料、試験終了時アンケート)</li> <li>・(報告)治験使用薬の導入に伴う医療機関レター</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul> |           |
|      | 審議内容                                                                     | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                                                                         |           |
|      | 審議結果                                                                     | 承認                                                                                                                                                                                                                                                                 |           |
| 継続13 | 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ぺ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                                                                     | 小児機能性ディスぺプシア患者                                                                                                                                                                                                                                                     |           |
|      | 審議事項                                                                     | <ul style="list-style-type: none"> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                                                                                                                                                                               |           |
|      | 審議内容                                                                     | -                                                                                                                                                                                                                                                                  |           |
|      | 審議結果                                                                     | -                                                                                                                                                                                                                                                                  |           |
| 継続14 | 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                                                                     | ベドリズマブ(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"> <li>・安全性情報等に関する報告(個別症例、年次報告、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。</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                                                                                             |           |
|      | 審議内容                                                                     | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                                                                         |           |
|      | 審議結果                                                                     | 承認                                                                                                                                                                                                                                                                 |           |

|      |                                                                               |                                                                                                                                                                                                                   |         |
|------|-------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------|
| 継続15 | 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                                                                          | ベドリズマブ(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"> <li>・安全性情報等に関する報告(個別症例、年次報告、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。</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                                            |         |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。                                                                    |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 審議結果 | 承認                                                                            |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 継続16 | 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                                                                          | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別添2・別添3 改訂</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                     |         |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。                                                                    |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 審議結果 | 承認                                                                            |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 継続17 | RS ウイルス感染症の重症化リスクが高い乳児及び幼児を対象にMK-1654を投与した際の安全性、有効性及び薬物動態を評価するパリズマブ対照試験       |                                                                                                                                                                                                                   |         |
|      | 成分記号                                                                          | MK-1654                                                                                                                                                                                                           | 開発相 第Ⅲ相 |
|      | 治験依頼者                                                                         | MSD株式会社                                                                                                                                                                                                           |         |
|      | 対象疾患                                                                          | RSウイルス感染症                                                                                                                                                                                                         |         |
|      | 審議事項                                                                          | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書・同意説明文書)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙1の改訂</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul> |         |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。                                                                    |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 審議結果 | 承認                                                                            |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 継続18 | サノフィ株式会社の依頼による持続性又は慢性の免疫性血小板減少症(ITP)の成人及び青年を対象としたrilzabrutinib(PRN1008)の第Ⅲ相試験 |                                                                                                                                                                                                                   |         |
|      | 成分記号                                                                          | rilzabrutinib(PRN1008)                                                                                                                                                                                            | 開発相 第Ⅲ相 |
|      | 治験依頼者                                                                         | サノフィ株式会社                                                                                                                                                                                                          |         |
|      | 対象疾患                                                                          | 免疫性血小板減少症(ITP)                                                                                                                                                                                                    |         |
|      | 審議事項                                                                          | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙の改訂</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                          |         |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。                                                                    |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 審議結果 | 承認                                                                            |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 継続19 | 日本人の肺動脈性肺高血圧症小児患者(生後3カ月以上15歳未満)に対するマシテンタンの有効性、安全性、及び薬物動態を評価する多施設共同、非盲検、第3相試験  |                                                                                                                                                                                                                   |         |
|      | 成分記号                                                                          | JNJ-67896062                                                                                                                                                                                                      | 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                                                                          | 肺動脈性肺高血圧症                                                                                                                                                                                                         |         |
|      | 審議事項                                                                          | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験薬概要書・使用上の注意)</li> <li>・(報告)治験使用薬の導入に伴うレター</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>       |         |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。                                                                    |                                                                                                                                                                                                                   |         |
| 審議結果 | 承認                                                                            |                                                                                                                                                                                                                   |         |

|      |                                                                                     |                                                                                                                                                                                                                                              |         |
|------|-------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------|
| 継続20 | 同種幹細胞移植後の急性骨髄性白血病患者を対象としてベネトクラクスとアザシチジンの併用投与の安全性及び有効性を評価する無作為化、非盲検第Ⅲ相試験             |                                                                                                                                                                                                                                              |         |
|      | 成分記号                                                                                | ABT-199(ベネトクラクス)                                                                                                                                                                                                                             | 開発相 第Ⅲ相 |
|      | 治験依頼者                                                                               | アッヴィ合同会社                                                                                                                                                                                                                                     |         |
|      | 対象疾患                                                                                | 急性骨髄性白血病                                                                                                                                                                                                                                     |         |
|      | 審議事項                                                                                | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験分担医師、治験実施計画書・被験者紹介依頼レター)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 分冊 改訂</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                       |         |
|      | 審議内容                                                                                | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                                                   |         |
|      | 審議結果                                                                                | 承認                                                                                                                                                                                                                                           |         |
| 継続21 | 小児被験者におけるウステキヌマブの長期継続投与バスケット試験                                                      |                                                                                                                                                                                                                                              |         |
|      | 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、クローン病                                                                                                                                                                                                                                 |         |
|      | 審議事項                                                                                | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験薬概要書 補遺)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別冊の改訂</li> <li>・(報告)治験使用薬の導入に伴う医療機関レター</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul> |         |
|      | 審議内容                                                                                | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                                                   |         |
|      | 審議結果                                                                                | 承認                                                                                                                                                                                                                                           |         |
| 継続22 | 沢井製薬株式会社の依頼による顆粒剤の生物学的同等性試験                                                         |                                                                                                                                                                                                                                              |         |
|      | 成分記号                                                                                | S797G3                                                                                                                                                                                                                                       | 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"> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙1の改訂</li> </ul>                                                                                                                                                                        |         |
|      | 審議内容                                                                                | -                                                                                                                                                                                                                                            |         |
|      | 審議結果                                                                                | -                                                                                                                                                                                                                                            |         |
| 継続23 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としてSRP-9001の安全性及び有効性を評価する第3相多国籍ランダム化二重盲検プラセボ対照全身遺伝子導入試験(EMBARK) |                                                                                                                                                                                                                                              |         |
|      | 成分記号                                                                                | SRP-9001                                                                                                                                                                                                                                     | 開発相 第Ⅲ相 |
|      | 治験依頼者                                                                               | (治験国内管理人)パレクセル・インターナショナル株式会社                                                                                                                                                                                                                 |         |
|      | 対象疾患                                                                                | デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)                                                                                                                                                                                                                         |         |
|      | 審議事項                                                                                | <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(同意説明文書)</li> <li>・(その他)緊急の危険を回避するための治験実施計画書からの逸脱に関する報告書</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                      |         |
|      | 審議内容                                                                                | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                                                   |         |
|      | 審議結果                                                                                | 承認                                                                                                                                                                                                                                           |         |
| 継続24 | 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"> <li>・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。</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul>                                                                                            |         |
|      | 審議内容                                                                                | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                                                   |         |
|      | 審議結果                                                                                | 承認                                                                                                                                                                                                                                           |         |

|       |                                                                                                                                  |                                                                                                                                                             |     |       |
|-------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----|-------|
| 継続25  | 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。                                                                                              |     |       |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                                                                                     | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                            |     |       |
| 継続26  | 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                                                                                                                             | ・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。<br>・治験に関する変更(治験実施計画書・説明文書、同意文書・補償の概要・ePro 被験者用簡易マニュアル)<br>・(報告)分担医師協力者リストの更新            |     |       |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                                                                                     | 質疑、異論特になし。<br>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                                                                                                                             | ・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。<br>・治験に関する変更(治験総括報告書作成に関する手順書)<br>・(報告)分担医師協力者リストの更新                                    |     |       |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                                                                                     | 質疑、異論特になし。<br>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                                                                                                                             | ・(その他)モニタリング報告書                                                                                                                                             |     |       |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                                                                                     | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                            |     |       |
| 医師主導3 | 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                                                                                                                             | ・安全性情報等に関する報告(個別症例、措置報告、Dear Health Care Provider Letter)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。<br>・治験に関する変更(治験実施計画書・治験薬の管理に関する手順書)<br>・(その他)モニタリング報告書 |     |       |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                                                                                     | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                                                                                            |     |       |

|       |                                                                     |                                                                                           |     |     |
|-------|---------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------|-----|-----|
| 医師主導4 | 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                                                                | ・(報告)分担医師協力者リストの更新                                                                        |     |     |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                        | -<br>-                                                                                    |     |     |
| 医師主導5 | 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(個別症例、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。<br>・(その他)モニタリング報告書 |     |     |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                        | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                          |     |     |
| 医師主導6 | 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                                                                | ・(その他)監査証明書                                                                               |     |     |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                        | 質疑、異論特になし。<br>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                                                                | ・(その他)モニタリング報告書<br>・(報告)分担医師協力者リストの更新                                                     |     |     |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                        | 質疑、異論特になし。<br>承認                                                                          |     |     |
| 医師主導8 | 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                                                                | ・(報告)分担医師協力者リストの更新                                                                        |     |     |
|       | 審議内容<br>審議結果                                                        | -<br>-                                                                                    |     |     |

|        |                                                                                                                                                                |                                                                                                                                                                                                                         |           |
|--------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| 医師主導9  | 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"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書・治験薬概要書・服薬日誌・説明文書、同意文書)</li> <li>・(その他)モニタリング報告書</li> <li>・(報告)分担医師協力者リストの更新</li> </ul> |           |
|        | 審議内容                                                                                                                                                           | 質疑、異論特になし。                                                                                                                                                                                                              |           |
|        | 審議結果                                                                                                                                                           | 承認                                                                                                                                                                                                                      |           |
| その他の審議 | SOP改訂 <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験等に係る標準業務手順書</li> <li>・医師主導治験に係る標準業務手順書</li> <li>・モニタリング等の受入れに係る標準業務手順書</li> <li>・治験手続きの電磁化に係る標準業務手順</li> </ul> |                                                                                                                                                                                                                         |           |
|        | 審議結果                                                                                                                                                           | 承認                                                                                                                                                                                                                      |           |