

平成 30 年度 第 5 回小児治験ネットワーク中央治験審査委員会
会議の記録の概要

開催日時	平成 30 年 8 月 21 日 (火) 14 : 00～15 : 59
開催場所	国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 管理棟 2 階 会議室 21
出席委員	金子 剛、山谷 明正、鈴木 康之、松谷 弘子、安達 昌功、三浦 大、廣部 兼児、田原 真理、岩田 敏、高橋 尚人、赤羽根 秀宜、荻谷 夏子 ※但し、当該治験に関係のある委員は審議及び採決に参加しない。

●議題及び審議結果を含む主な議論の概要

1 . 新規治験の審査

議題 1	成分記号	JR-141	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	JR-141 のムコ多糖症 II 型患者を対象とした第 II/III 相試験		
	治験依頼者	JCR ファーマ株式会社		
	治験実施施設	6 施設		
	審議事項	〔新規審査〕 治験責任医師（代表者）から本試験の概要説明後、これまでに得られている非臨床試験・臨床試験成績に基づき、治験実施の適否について審議した。		
	審議結果	修正の上で承認：アセント文書 A, B の修正		

議題 2	成分記号	MK-3009	開発相	第Ⅱ相
	治験課題名	MSD 株式会社の依頼による MK-3009 第Ⅱ相試験		
	治験依頼者	MSD 株式会社		
	治験実施施設	4 施設		
	審議事項	〔新規審査〕 治験責任医師（代表者）から本試験の概要説明後、これまでに得られている非臨床試験・臨床試験成績に基づき、治験実施の適否について審議した。		
	審議結果	修正の上で承認：アセント文書 A, B の修正		

2 . 治験継続の審議

議題 1	成分記号	PF-00695838	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	ファイザー株式会社の依頼による、神経因性排尿筋過活動患者を対象とした PF-00695838 の第Ⅲ相試験		
	治験依頼者	ファイザー株式会社		
	治験実施施設	6 施設		

	審議事項	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（6施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・治験安全性最新報告概要（6施設）		
	審議結果	承認		

議題 2	成分記号	LY450190	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	日本イーライリリー株式会社の依頼による小児肺動脈性肺高血圧症患者を対象とした LY450190 の第Ⅲ相試験		
	治験依頼者	日本イーライリリー株式会社		
	治験実施施設	5施設		
	審議事項	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（5施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・治験実施計画書別冊（5施設）		
	審議結果	承認		

議題 3	成分記号	N8-GP	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	治療歴のない血友病 A 患者を対象とした turoctocog alfa pegol (N8-GP) の安全性及び有効性の検討		
	治験依頼者	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社		
	治験実施施設	3施設		
	審議事項	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（3施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・治験実施計画書別冊（3施設）		
	審議結果	承認		

議題 4	成分記号	N9-GP	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	治療歴のない血友病 B 患者を対象とした nonacog beta pegol (N9-GP) の安全性及び有効性の検討		
	治験依頼者	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社		
	治験実施施設	2施設		

	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験安全性最新報告概要 (2 施設からの審議依頼による) <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 添付文書の変更 (2 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p>< 報告 ></p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施計画書別冊 (2 施設) ・ レフィキシア 承認取得報告レター (2 施設)
	審議結果	<u>承認</u>

議題 5	成分記号	BAY 59-7939	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	急性静脈血栓塞栓症の小児における、年齢及び体重で調整した用法・用量によるリバーロキサバン投与の有効性及び安全性を検討することを目的とした多施設共同、無作為化、非盲検、実薬対照試験		
	治験依頼者	バイエル薬品株式会社		
	治験実施施設	5 施設		
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (5 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
	審議結果	<u>承認</u>		

議題 6	成分記号	ACZ885	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	全身型若年性特発性関節炎 (SJIA) 患者を対象とした ACZ885 の第Ⅲ相試験		
	治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社		
	治験実施施設	4 施設		
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (4 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p>< 報告 ></p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 開発の中止等に関する報告書 (2 施設) 		
	審議結果	<u>承認</u>		

議題 7	成分記号	PF-00695838	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	ファイザー株式会社の依頼による、神経因性排尿筋過活動患者を対象とした PF-00695838 の第Ⅲ相試験 (長期継続試験)		
	治験依頼者	ファイザー株式会社		
	治験実施施設	6 施設		

	審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（6施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・治験安全性最新報告概要（5施設）
	審議結果	承認

議題 8	成分記号	NNC0195-0092	開発相	第Ⅱ相
	治験課題名	成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象としたNNC0195-0092の週1回投与における有効性及び安全性の検討		
	治験依頼者	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社		
	治験実施施設	4施設		
	審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（4施設からの審議依頼による） 〔治験に関する変更〕 ・治験薬概要書の変更（4施設からの審議依頼による） ・Norditropin® (Somatropin) 治験薬概要書提出に関するお知らせ（4施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
	審査結果	承認		

議題 9	成分記号	TAK-536	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	6歳以上16歳未満の小児高血圧患者を対象としたTAK-536の第3相長期投与試験		
	治験依頼者	武田薬品工業株式会社		
	治験実施施設	13施設		
	審議事項	<報告> ・治験実施計画書別紙（11施設） ・治験終了報告書（2施設）		

議題 10	成分記号	RFB002	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	ノバルティス ファーマ株式会社の依頼によるRFB002の未熟児網膜症患者を対象とした臨床第Ⅲ相継続試験		
	治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社		
	治験実施施設	6施設		
	審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（6施設からの審議依頼による） 〔重篤な有害事象等〕		

		<ul style="list-style-type: none"> ・SAE 等報告書 (2 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。
	審査結果	承認

議題 11	成分記号	OPC-41061	開発相	第Ⅲ相	
	治験課題名	過剰な体液貯留を有する小児心不全患者を対象としてトルバプタンの有効性、安全性、薬物動態、及び薬力学的作用を検討する多施設共同、非盲検、用量検討試験 (第Ⅲ相試験)			
	治験依頼者	大塚製薬株式会社			
	治験実施施設	11 施設			
	審議事項	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (11 施設からの審議依頼による) [治験に関する変更] ・治験分担医師の変更 (2 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。			
	審議結果	承認			

議題 12	成分記号	MOD-4023	開発相	第Ⅲ相	
	治験課題名	EPS インターナショナル株式会社 (治験国内管理人) の依頼による小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象とした MOD-4023 の第Ⅲ相試験			
	治験依頼者	(治験国内管理人) EPS インターナショナル株式会社			
	治験実施施設	10 施設			
	審議事項	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (10 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。			
	審議結果	承認			

議題 13	成分記号	L059/L059IV	開発相	第Ⅲ相	
	治験課題名	ユーシービージャパン株式会社の依頼によるレベチラセタムの第Ⅲ相試験			
	治験依頼者	ユーシービージャパン株式会社			
	治験実施施設	5 施設			
	審議事項	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (5 施設からの審議依頼による) [治験に関する変更] ・治験実施計画書の変更 (3 施設からの審議依頼による)			

		<ul style="list-style-type: none"> ・同意説明文書の変更 (3 施設からの審議依頼による) [重篤な有害事象等] ・SAE 等報告書 (1 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。
	審議結果	<u>承認</u>

議題 14	成分記号	R07034067	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	脊髄性筋萎縮症Ⅰ型患者を対象とした R07034067 の安全性、忍容性、薬物動態、薬力学及び有効性を検討する 2 パートシームレス非盲検多施設共同試験		
	治験依頼者	中外製薬株式会社		
	治験実施施設	2 施設		
	審議事項	[治験に関する変更] <ul style="list-style-type: none"> ・治験薬概要書の変更 (2 施設からの審議依頼による) ・治験実施計画書国内追加事項 (2 施設からの審議依頼による) ・Note to File (2 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施計画書別紙 (2 施設) 		
	審議結果	<u>承認</u>		

議題 15	成分記号	MHOS/SHP615	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	Shire の依頼によるけいれん性てんかん重積状態を有する小児患者を対象とした MHOS/SHP615 の第 3 相非盲検試験		
	治験依頼者	(治験国内管理人) IQVIA サービスーズ ジャパン株式会社		
	治験実施施設	6 施設		
	審議事項	[安全性情報] <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (6 施設からの審議依頼による) [治験に関する変更] <ul style="list-style-type: none"> ・治験薬概要書の変更 (2 施設からの審議依頼による) ・同意説明文書の変更 (2 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
	審議結果	<u>承認</u>		

議題 16	成分記号	MHOS/SHP615	開発相	第Ⅲ相
-------	------	-------------	-----	-----

	治験課題名	Shire の依頼によるけいれん性てんかん重積状態を有する小児患者を対象とした MHOS/SHP615 の第 3 相非盲検継続試験
	治験依頼者	(治験国内管理人) IQVIA サービスズ ジャパン株式会社
	治験実施施設	6 施設
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (6 施設からの審議依頼による) <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> 治験薬概要書の変更 (2 施設からの審議依頼による) 同意説明文書の変更 (2 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>
審議結果	承認	

議題 17	成分記号	LCZ696	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	ノバルティスファーマ株式会社の依頼による心不全を有する小児患者を対象とした LCZ696 の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
	治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社		
	治験実施施設	4 施設		
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (4 施設からの審議依頼による) <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> 治験分担医師の変更 (1 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> 治験実施計画書別紙 (4 施設) 		
	審議結果	承認		

議題 18	成分記号	MD-0901	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	持田製薬株式会社の依頼による活動期の小児潰瘍性大腸炎患者を対象とした MD-0901 の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
	治験依頼者	持田製薬株式会社		
	治験実施施設	6 施設		
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (6 施設からの審議依頼による) <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> 治験分担医師の変更 (1 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> 治験実施計画書別紙 (6 施設) 		
	審議結果	承認		

	審議結果	承認
--	------	----

議題 19	成分記号	MD-0901	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	持田製薬株式会社の依頼による寛解期の小児潰瘍性大腸炎患者を対象としたMD-0901の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
	治験依頼者	持田製薬株式会社		
	治験実施施設	6施設		
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> 当該治験薬で発生した重篤な有害事象（6施設からの審議依頼による） <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> 治験分担医師の変更（1施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> 治験実施計画書別紙（6施設） 		
審議結果	承認			

議題 20	成分記号	HFT-290	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	小児がん患者を対象としたHFT-290の第Ⅲ相試験		
	治験依頼者	久光製薬株式会社		
	治験実施施設	9施設		
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> 措置報告、研究報告（9施設からの審議依頼による） <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> 治験実施計画書の変更（9施設からの審議依頼による） 同意説明文書の変更（9施設からの審議依頼による） 治験分担医師の変更（1施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
審議結果	承認			

議題 21	成分記号	DRB436、TMT212	開発相	第Ⅱ相
	治験課題名	ノバルティスファーマ株式会社依頼によるDRB436/TMT212の第Ⅱ相試験		
	治験依頼者	ノバルティスファーマ株式会社		
	治験実施施設	2施設		

審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（2施設からの審議依頼による） <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・同意説明文書（各種）の変更（2施設からの審議依頼による） ・アセント文書の変更（2施設からの審議依頼による） ・治験参加カード（各種）の変更（2施設からの審議依頼による） ・質問票（各種）、添付文書、治験薬服用方法の変更（2施設からの審議依頼による） <p>[重篤な有害事象等]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・SAE等報告書（1施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>
	審議結果

議題 22	成分記号	AW-PD01	開発相	第Ⅱ相
	治験課題名	小児の気道狭窄病変に伴う呼吸不全に対するヘリウム・酸素混合ガス(AW-PD01)の第Ⅱ相臨床試験		
	治験依頼者	医師主導治験		
	治験実施施設	2施設		
	審議事項	<p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・モニタリングの実施に関する手順書（2施設からの審議依頼による） ・安全性情報の取扱いに関する手順書（2施設からの審議依頼による） <p>[その他]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・モニタリング報告書（1施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
	審議結果	<u>承認</u>		

議題 23	成分記号	BAY59-7939	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	Fontan 手術施行後の2～8歳の小児における血栓予防を目的とした、リバーロキサバン投与の薬物動態、薬力学的効果、安全性及び有効性を検討する前向き、非盲検、実薬対照試験		
	治験依頼者	バイエル薬品株式会社		
	治験実施施設	3施設		
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（3施設からの審議依頼による） <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・リーフレット（2施設からの審議依頼による） ・被験者負担軽減費及び保険外併用療養費等の取り扱いについての変更（1施設からの審議依頼による） ・同意説明文書の変更（1施設からの審議依頼による） ・治験分担医師の変更（1施設からの審議依頼による） 		
	審議結果	<u>承認</u>		

		以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。
	審議結果	承認

議題 24	成分記号	D961H	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	日本人小児患者を対象とした D961H の第Ⅲ相オープン試験		
	治験依頼者	アストラゼネカ株式会社		
	治験実施施設	5 施設		
	審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> 当該治験薬で発生した重篤な有害事象、研究報告、治験安全性最新報告概要（4 施設からの審議依頼による） <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> 治験実施計画書の変更（4 施設からの審議依頼による） 同意説明文書の変更（4 施設からの審議依頼による） アセント文書の変更（4 施設からの審議依頼による） 治験分担医師の変更（1 施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> 治験実施計画書別紙（5 施設） 「安全性情報提供遅れ」に関するお詫び（4 施設） 		
	審議結果	承認		

議題 25	成分記号	D961H	開発相	第Ⅰ/Ⅲ相
	治験課題名	アストラゼネカ株式会社の依頼による胃酸関連疾患の小児患者を対象とした D961H の第Ⅰ/Ⅲ相試験		
	治験依頼者	アストラゼネカ株式会社		
	治験実施施設	5 施設		
	審議事項	<p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> 開発の中止等に関する報告（1 施設） 		

以上