

平成 28 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 28 年 8 月 16 日 (火) 14 : 00 ~ 14 : 45  |
| 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 | 横谷 進、石川 洋一、金子 剛、鈴木 康之、松谷 弘子、安達 昌功、三浦 大丸山 達也、岩田 敏、荻谷 夏子、赤羽根 秀宜<br>※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 . 治験継続の審議

|     |        |   |     |     |
|-----|--------|---|-----|-----|
| 議題1 | 成分記号   | UK-92,480   | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|     | 治験課題名  | 小児肺動脈性肺高血圧症患者を対象としたシルデナフィル経口投与の多施設共同、一般臨床試験   |     |     |
|     | 治験依頼者  | ファイザー株式会社   |     |     |
|     | 治験実施施設 | 1 施設  |     |     |
|     | 審議事項   | [安全性情報]<br>・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (1 施設からの審議依頼による)<br>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2 | 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]<br>・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)<br>・治験安全性最新報告概要 (6 施設からの審議依頼による)<br>[治験に関する変更]<br>・同意説明文書<br>・アセント文書 (低学年用、高学年用)<br>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。<br><報告><br>・治験実施計画書別紙 |     |     |
|     | 審議結果   | 承認   |     |     |

|     |        |   |     |        |
|-----|--------|---|-----|--------|
| 議題3 | 成分記号   | NN-220  | 開発相 | 第Ⅲ b 相 |
|     | 治験課題名  | ヌーナン症候群の低身長患者を対象としたNN-220の第3相臨床試験   |     |        |
|     | 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 | 9施設   |     |        |
|     | 審議事項   | [安全性情報]<br>・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（9施設からの審議依頼による）<br>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4 | 成分記号   | E2020   | 開発相 | 第Ⅱ相 |
|     | 治験課題名  | E2020の第Ⅱ相試験   |     |     |
|     | 治験依頼者  | エーザイ株式会社  |     |     |
|     | 治験実施施設 | 3施設   |     |     |
|     | 審議事項   | [安全性情報]<br>・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）<br>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5 | 成分記号   | BMS-188667  | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|     | 治験課題名  | 若年性特発性関節炎患者を対象としたアバタセプトの国内第3相試験   |     |     |
|     | 治験依頼者  | ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社  |     |     |
|     | 治験実施施設 | 4施設   |     |     |
|     | 審議事項   | [安全性情報]<br>・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）<br>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6 | 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 | 4施設  |     |     |

|  |      |   |
|--|------|---|
|  | 審議事項 | 〔安全性情報〕<br>・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）<br>・研究報告（3施設からの審議依頼による）<br>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7 | 成分記号   | M703101                      | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|     | 治験課題名  | M703101の乳児血管腫患者を対象とした第Ⅲ相臨床試験 |     |     |
|     | 治験依頼者  | マルホ株式会社                      |     |     |
|     | 治験実施施設 | 8施設                          |     |     |
|     | 審議事項   | <報告><br>・開発の中止等に関する報告書       |     |     |

|     |        |  |     |     |
|-----|--------|--|-----|-----|
| 議題8 | 成分記号   | N8-GP  | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|     | 治験課題名  | 血友病A 患者における予防治療及び出血時治療、及びこれらの患者に対して行われる手術における出血の予防 |     |     |
|     | 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   | <報告><br>・治験実施計画書別紙                                 |     |     |

|     |        |   |     |     |
|-----|--------|---|-----|-----|
| 議題9 | 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   | 〔安全性情報〕<br>・治験安全性最新報告概要（2施設からの審議依頼による）<br>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10 | 成分記号  | BAY 59-7939   | 開発相 | 第Ⅱ相 |
|      | 治験課題名 | 多様な静脈血栓塞栓症の乳幼児におけるリバーロキサバン経口投与の安全性、有効性、及び薬物動態／薬力学的効果特性を検討することを目的とした |     |     |

|  |        |   |
|--|--------|---|
|  |        | 非盲検、非対照、30日間投与試験  |
|  | 治験依頼者  | バイエル薬品株式会社  |
|  | 治験実施施設 | 2施設   |
|  | 審議事項   | 〔安全性情報〕<br>・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）<br>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11 | 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 | 2施設   |     |     |
|      | 審議事項   | 〔安全性情報〕<br>・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）<br>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   | PF-00345101  | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|      | 治験課題名  | てんかん重積状態あるいはてんかん頻発状態の患者にロラゼパムを静脈内投与したときの有効性、安全性および薬物動態を評価する多施設共同、非盲検、無対照試験   |     |     |
|      | 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〕<br>・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）<br>〔重篤な有害事象等〕<br>・SAE等報告書（1施設からの審議依頼による）<br>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   | 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 | 5施設   |     |     |
|      | 審議事項   | <p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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）</li> </ul> <p>[重篤な有害事象等]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・SAE等報告書（1施設からの審議依頼による）</li> </ul> <p>[緊急回避の逸脱]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・緊急回避のための逸脱に対する報告書（1施設からの審議依頼による）</li> </ul> <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>&lt;報告&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験実施計画書別紙</li> </ul> |     |     |
| 審議結果 | 承認     |   |     |     |

|      |        |   |     |       |
|------|--------|---|-----|-------|
| 議題14 | 成分記号   | VRS-317   | 開発相 | 第Ⅱ/Ⅲ相 |
|      | 治験課題名  | シミック株式会社（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症を対象としたVRS-317の第Ⅱ/Ⅲ相試験   |     |       |
|      | 治験依頼者  | シミック株式会社（治験国内管理人）   |     |       |
|      | 治験実施施設 | 8施設   |     |       |
|      | 審議事項   | <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・投与方法に関するガイドの変更（8施設からの審議依頼による）</li> <li>・被験者の募集の手順に関する資料（1施設からの審議依頼による）</li> </ul> <p>[重篤な有害事象等]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・SAE等報告書（1施設からの審議依頼による）</li> </ul> <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>&lt;報告&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験実施計画書別紙</li> </ul> |     |       |
| 審議結果 | 承認     |   |     |       |

|      |        |   |     |     |
|------|--------|---|-----|-----|
| 議題15 | 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 | 2施設   |     |     |

|  |      |   |
|--|------|---|
|  | 審議事項 | <p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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）</li> <li>・治験安全性最新報告概要（2施設からの審議依頼による）</li> </ul> <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>&lt;報告&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験実施計画書別紙</li> </ul> |
|  | 審議結果 | 承認  |

|      |        |  |     |     |
|------|--------|--|-----|-----|
| 議題16 | 成分記号   | N8   | 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、出血の抑制及び治療におけるツロクトコグ アルファ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 | 1施設  |     |     |
|      | 審議事項   | <p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（1施設からの審議依頼による）</li> </ul> <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>&lt;報告&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験終了報告書</li> <li>・治験実施計画書別紙</li> </ul> |     |     |
|      | 審議結果   | 承認   |     |     |

|      |        |   |     |     |
|------|--------|---|-----|-----|
| 議題17 | 成分記号   | SJP-0129  | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|      | 治験課題名  | SJP-0129第Ⅲ相試験<br>(未熟児動脈管開存症に対する有効性、安全性及び薬物動態の検討)                                  |     |     |
|      | 治験依頼者  | 千寿製薬株式会社  |     |     |
|      | 治験実施施設 | 6施設   |     |     |
|      | 審議事項   | <p>&lt;報告&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験終了報告書（2施設）</li> </ul> |     |     |

|      |        |  |     |     |
|------|--------|--|-----|-----|
| 議題18 | 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 | <p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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）</li> </ul> <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>&lt;報告&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験実施計画書添付資料</li> </ul> |
|  | 審議結果 | 承認   |

|      |        |   |     |      |
|------|--------|---|-----|------|
| 議題19 | 成分記号   | ALS-008176  | 開発相 | 第Ib相 |
|      | 治験課題名  | Respiratory Syncytialウイルス（RSV）感染症により入院した乳児を対象としたALS-008176の単回漸増及び反復漸増経口投与の安全性、忍容性、薬物動態、及び薬力学検討のためのランダム化、二重盲検、プラセボ対照、2パート試験  |     |      |
|      | 治験依頼者  | ヤンセンファーマ株式会社  |     |      |
|      | 治験実施施設 | 9施設   |     |      |
|      | 審議事項   | <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験参加カードの改訂（7施設からの審議依頼による）</li> <li>・同意説明文書の改訂（7施設からの審議依頼による）</li> </ul> <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>&lt;報告&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験実施計画書の補足説明（修正版）</li> </ul> |     |      |
|      | 審議結果   | 承認  |     |      |

|      |        |   |     |     |
|------|--------|---|-----|-----|
| 議題20 | 成分記号   | NN1218  | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|      | 治験課題名  | 小児及び青少年1型糖尿病患者を対象としたインスリン デグルデク併用下におけるノボラピッド®注に対するfaster aspartの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 | 5施設   |     |     |
|      | 審議事項   | <p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・当該治験薬で発生した重篤な有害事象、研究報告（3施設からの審議依頼による）</li> </ul> <p>[新規審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験実施施設追加（1施設からの審議依頼による）</li> </ul> <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   | 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 | 3施設  |     |     |
|      | 審議事項   | [治験に関する変更]<br>・同意説明文書の変更（1施設からの審議依頼による）<br>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22 | 成分記号   | DA-9501  | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|      | 治験課題名  | 小児患者を対象としたDA-9501（デクスメデトミジン塩酸塩）の第3相試験  |     |     |
|      | 治験依頼者  | ファイザー株式会社、丸石製薬株式会社   |     |     |
|      | 治験実施施設 | 5施設  |     |     |
|      | 審議事項   | [安全性情報]<br>・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）<br>・措置報告書（4施設からの審議依頼による）<br>[治験に関する変更]<br>・リーフレットの追加（1施設からの審議依頼による）<br>[新規審査]<br>・治験実施施設追加（1施設からの審議依頼による）<br>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。<br><報告><br>・治験分担医師の追加（迅速審査の結果報告）<br>・治験実施体制の変更 |     |     |
|      | 審査結果   | 承認   |     |     |

|      |        |  |     |     |
|------|--------|--|-----|-----|
| 議題23 | 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 | 9施設                                      |     |     |
|      | 審議事項   | <報告><br>・治験実施計画書別紙                       |     |     |



|      |        |   |     |     |
|------|--------|---|-----|-----|
| 議題24 | 成分記号   | RO5534262                                 | 開発相 | 第Ⅲ相 |
|      | 治験課題名  | 中外製薬株式会社の依頼による血友病A患者を対象としたRO5534262の第Ⅲ相試験 |     |     |
|      | 治験依頼者  | 中外製薬株式会社                                  |     |     |
|      | 治験実施施設 | 1施設                                       |     |     |
|      | 審議事項   | <報告><br>・同意説明文書修正報告                       |     |     |

以上