

令和7年度 第9回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和8年2月19日(木) 15時01分から16時54分		
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、赤羽三貴、癸生川順子、河合利尚、森田英明、成田真作満、荻原剛之、櫻井みぎわ、伊吹友秀、笹淵真子		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
新規1 A2025005	日本新薬株式会社の依頼による小児芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍を対象としたNS-401(タグラキソフスプ)の製造販売後臨床試験		
	成分記号	NS-401	開発相 第IV相
	治験依頼者	日本新薬株式会社	
	対象疾患	小児芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍(BPDCN)	
	審議事項	薬物代謝に係る安全性、選択基準の設定根拠、治験実施の妥当性について確認がされた。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
新規2 A2025006	ラブドイド腫瘍を対象としたONO-4538の有効性及び安全性を検討する多施設共同非盲検非対照第II相試験		
	成分記号	ONO-4538	開発相 第II相
	治験依頼者	小野薬品工業株式会社	
	対象疾患	ラブドイド腫瘍	
	審議事項	薬物代謝に係る安全性、選択基準の設定根拠、治験実施の妥当性について確認がされた。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続1 A31009	ファイザー株式会社の依頼による血友病B患者を対象としたPF-06838435の第3相試験		
	成分記号	PF-06838435	開発相 第III相
	治験依頼者	ファイザー株式会社	
	対象疾患	血友病B	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・治験に関する変更申請(説明文書、同意文書) ・継続審査(治験実施状況報告書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続2 A33004	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"> ・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。 ・継続審査(治験実施状況報告書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続3 A2023002	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および小児活動期クローン病患者を対象としたMLN0002の第3b相継続投与試験		
	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、クローン病	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・継続審査(治験実施状況報告書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続4 A34003	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	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、クローン病		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・継続審査(治験実施状況報告書) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続5 A34006	症候性かつ手術不能なPNを有する1歳以上7歳未満の小児のNF1患者を対象としたセルメチニブ顆粒剤の薬物動態、安全性及び有効性評価試験(SPRINKLE)			
	成分記号	Selumetinib(AZD6244)	開発相	第Ⅰ/Ⅱ相
	治験依頼者	アレクシオンファーマ合同会社		
	対象疾患	症候性かつ手術不能な叢状神経線維腫(PN)を有する1歳以上7歳未満の小児の神経線維腫症1型(NF1)患者		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・継続審査(治験実施状況報告書) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続6 A34009	再発又は難治性のアグレッシブ成熟B細胞性腫瘍の小児患者を対象としたエプコリタマブの単群、非盲検、第Ⅰb相試験			
	成分記号	ABBV-GMAB-3013(Epcoritamab)	開発相	第Ⅰ相
	治験依頼者	アツヴィ合同会社		
	対象疾患	再発又は難治性の小児成熟B細胞性リンパ腫		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・継続審査(治験実施状況報告書) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続7 A34011	尿素サイクル異常症患者を対象としたHPN-100の製造販売後臨床試験			
	成分記号	HPN-100	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	株式会社オーファンパシフィック		
	対象疾患	尿素サイクル異常症		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例、添付文書)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。 ・継続審査(治験実施状況報告書) ・(報告)開発中止等に関する報告書(製造販売承認取得) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続8 A2023003	Sarepta Therapeutics, Inc, パレクセル・インターナショナル株式会社(国内治験管理人)によるDMD患者を対象としたSRP-9001の第3相試験			
	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		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例、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。 ・継続審査(治験実施状況報告書) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続9 A2023004	日本イーライリリー株式会社の依頼による潰瘍性大腸炎患者を対象としたLY3074828の第Ⅲ相試験			
	成分記号	ミリキズマブ(LY3074828)	開発相	第Ⅲ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"> ・(報告)治験終了(中止・中断)報告書 		
	審議内容	-		
	審議結果	-		

継続10 A2024001	ヤンセンファーマ株式会社の依頼による活動期クローン病の小児患者を対象としたCNT01959の第Ⅲ相試験		
	成分記号	グセルクマブ(CNT0 1959)	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	中等症から重症の活動期クローン病	
	審議事項	・継続審査(治験実施状況報告書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続11 A2024002	日本イーライリリー株式会社の依頼による小児クローン病患者を対象としたLY3074828の第Ⅲ相試験		
	成分記号	ミリキズマブ(LY3074828)	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	日本イーライリリー株式会社	
	対象疾患	中等症から重症の活動期クローン病	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・治験に関する変更申請(治験薬概要書) ・継続審査(治験実施状況報告書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続12 A2024003	インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社の依頼による慢性移植片対宿主病を対象としたAxatilimabの第Ⅲ相試験		
	成分記号	Axatilimab	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社	
	対象疾患	2種類以上の全身治療を受けた再発/難治性の活動性慢性移植片対宿主病	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(個別症例)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。 ・継続審査(治験実施状況報告書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続13 A2024004	日本イーライリリー株式会社の依頼による高悪性度神経膠腫患者を対象とした LY2835219(アベマシクリブ)とテモゾロミド併用療法とテモゾロミド単剤療法の第Ⅱ相試験		
	成分記号	LY2835219(アベマシクリブ)	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	高悪性度神経膠腫	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(当該治験薬で発生した重篤な有害事象、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。 ・継続審査(治験実施状況報告書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続14 A2024005	JR-446のムコ多糖症ⅢB型を対象とした非盲検第Ⅰ/Ⅱ相試験		
	成分記号	JR-446	開発相 第Ⅰ/Ⅱ相
	治験依頼者	JCRファーマ株式会社	
	対象疾患	ムコ多糖症ⅢB型	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・継続審査(治験実施状況報告書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続15 A2024006	中等症から重症の活動期の潰瘍性大腸炎小児患者を対象とするグセルクマブの有効性、安全性及び薬物動態評価を目的とした第3相、ランダム化、非盲検寛解導入、二重盲検寛解維持、並行群間比較、多施設共同試験		
	成分記号	CNTO1959	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"> ・治験に関する変更申請(治験参加カード) ・継続審査(治験実施状況報告書) ・(報告)治験実施計画書 別冊の改訂 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続16 A2024008	ムコ多糖症ⅢA型患者を対象としたJR-441週1回点滴投与の第Ⅰ相試験		
	成分記号	JR-441	開発相 第Ⅰ相
	治験依頼者	JCRファーマ株式会社	
	対象疾患	ムコ多糖症ⅢA	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・継続審査(治験実施状況報告書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続17 A2024009	プロピオン酸血症患者を対象とするmRNA-3927の安全性、薬力学及び薬物動態を評価する第1/2相、国際共同、非盲検、用量最適化試験		
	成分記号	mRNA-3927	開発相 第Ⅰ/Ⅱ相
	治験依頼者	(治験国内管理人)株式会社新日本科学PPD	
	対象疾患	プロピオン酸血症	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・継続審査(治験実施状況報告書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続18 A2025001	小児患者を対象としたナルデメジンの薬物動態及び安全性を評価する第1/2相試験		
	成分記号	ナルデメジン	開発相 第Ⅰ/Ⅱ相
	治験依頼者	塩野義製薬株式会社	
	対象疾患	オピオイド誘発性便秘症	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・継続審査(治験実施状況報告書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続19 A2025003	大塚製薬の依頼による児童・青少年ADHD患者を対象としたEB-1020の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
	成分記号	EB-1020	開発相 第Ⅱ/Ⅲ相
	治験依頼者	大塚製薬株式会社	
	対象疾患	注意欠如・多動症(ADHD)	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更申請(治験の費用の負担(被験者への支払い)について) ・継続審査(治験実施状況報告書) ・(報告)治験実施計画書 別添資料2の改訂 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続20 A2025004	大塚製薬の依頼による児童・青少年ADHD患者を対象としたEB-1020の第Ⅲ相長期投与試験			
	成分記号	EB-1020	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	大塚製薬株式会社		
	対象疾患	注意欠如・多動症 (ADHD)		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更申請 (治験の費用の負担 (被験者への支払い) について) ・継続審査 (治験実施状況報告書) ・(報告) 治験実施計画書 別添資料2の改訂 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
医師主導1 C30001	新生児ヘモクロマトーシスに対する胎内ガンマグロブリン大量静注療法の臨床試験			
	成分記号	GB-0998	開発相	第Ⅲ相
	自ら治験を実施する者	国立成育医療研究センター 佐々木 愛子		
	対象疾患	新生児ヘモクロマトーシス		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告 (個別症例) について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・(報告) 治験終了 (中止・中断) 報告書 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
医師主導2 C2023001	小児静脈栄養関連胆汁うっ滞 (腸管不全関連肝障害) に対する魚油由来静注用脂肪乳剤の有効性と安全性に関する医師主導治験 (第Ⅲ相オープン検証試験)			
	成分記号	FLE-Omega	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 新井 勝大		
	対象疾患	小児静脈栄養関連胆汁うっ滞 (腸管不全関連肝障害)		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・継続審査 (治験実施状況報告書) ・モニタリング報告書 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
医師主導3 C2023002	初発の中間リスク急性リンパ芽球性白血病を有する0から24才の被験者を対象に標準的な強化療法とブリナツモマブを追加した強化療法の有効性と安全性を比較するオープンラベル、ランダム化、第2相、2群試験			
	成分記号	AMG 103	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 富澤 大輔		
	対象疾患	B前駆細胞型急性リンパ芽球性白血病		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告 (個別症例、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。 ・継続審査 (治験実施状況報告書) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
医師主導4 C2024001	移植後大量シクロホスファミド (PT-CY) が困難な患者を対象としたリツキシマブと $\alpha\beta$ T細胞およびB細胞除去を用いたHLA半合致移植法の安全性と有効性を評価する単群非盲検第Ⅱ相試験 (医師主導治験)			
	成分記号	MB-002	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 井口 晶裕		
	対象疾患	PT-CYを用いたHLA半合致移植が困難な患者		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・継続審査 (治験実施状況報告書) ・モニタリング報告書 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		

医師主導5 C2024002	小児期発症のネフローゼ症候群早期再発例における IDEC-C2B8投与の有効性の検討 -多施設共同ランダム化並行群間比較試験 (JSKDC12)-		
	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	小児期発症の特発性ネフローゼ症候群	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例、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。 ・継続審査(治験実施状況報告書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導6 C2025001	先天性サイトメガロウイルス感染児の遅発性難聴を対象としたバルガンシクロビル塩酸塩ドライシロップの有効性及び安全性を評価する多施設共同プラセボ対照ランダム化並行群間比較試験(VGCV-3)		
	成分記号	VGCV-3	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 大宜見 力	
	対象疾患	先天性CMV感染症(遅発性難聴)	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 ・治験に関する変更申請(治験実施計画書、同意説明文書) ・継続審査(治験実施状況報告書) ・モニタリング報告書 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
備考			