

令和7年度 第10回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和8年3月19日(木) 15時03分から16時43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、肥沼悟郎、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 A2025007	サノフィ株式会社の依頼による慢性移植片対宿主病(cGVHD)の小児患者を対象としたベルモスジルの非盲検I/II相試験		
	成分記号	SAR445761	開発相 第I/II相
	治験依頼者	サノフィ株式会社	
	対象疾患	慢性移植片対宿主病	
	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	同意説明文書、アセント文書について質疑あり。 修正の上承認	
	修正指示内容	<ul style="list-style-type: none"> 同意説明文書 p20「治験中に副作用が生じた場合、副作用を記録し、研究者がそこから学ぶことができます。」を削除すること。 アセントA p3「しょうじょうがへる」の文言とイラストを削除すること。 アセントB p9「あなたが治験に参加すると、よりよい病気の治療ができるようになるかもしれません。」を削除すること。 アセントC p9「治験中に副作用が起こった場合、副作用を記録し、研究者がそこから学ぶことができます。」を削除すること。 	
新規2 C2025002	血液悪性疾患及び非悪性疾患を有する18歳未満の男性及び女性を対象とした同種造血幹細胞移植(HSCT)においてトレオスルファン併用移植前処置を施行する際の欧米で確立したトレオスルファン投与量が許容されるかを検証するための第1相、非盲検単一アーム試験		
	成分記号	MJK 301	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 坂口 大俊	
	対象疾患	血液悪性疾患及び非悪性疾患	
	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 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		安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。	
審議内容 審議結果		質疑、異論特になし。 承認	
継続2 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	安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続3 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	アヅビ合同会社	
	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。 ・治験に関する変更申請(治験薬概要書、治験実施計画書 事務的変更3) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続4 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"> ・治験に関する変更申請(治験実施計画書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続5 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)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続6 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(CNT01959)	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	<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。 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続7 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	CNT01959	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"> ・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) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続8 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。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続9 A2024003	インサイト・バイオサイエンズ・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・バイオサイエンズ・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。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続10 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	・治験に関する変更申請(治験薬概要書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続11 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。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続12 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	・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続13 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"> ・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(患者日誌、学校へのレター(付録2補助資料)) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続14 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"> ・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(被験者向け留意事項) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導1 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、年次報告)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導2 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"> ・安全性情報等に関する報告(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。 ・治験に関する変更申請(治験機器の管理に関する手順書) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導3 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 一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)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

医師主導4 G2025001	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およ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	・安全性情報等に関する報告(個別症例)について治験責任医師からの見解も踏まえ、引き続き試験を実施することの妥当性を審議した。	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
備考			