

令和4年度 第7回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和4年11月17日(木) 15:05~17:04		
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、鈴木和也、櫻井みぎわ、石川拓		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
新規1	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	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	治験の実施の適否 修正の上承認	
継続1	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	・(報告)治験終了(中止・中断)報告書	
	審議内容 審議結果	- -	
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	・治験に関する変更(説明文書・同意文書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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(GLD)児、及び先天性心疾患(CHD)児またはダウン症児	
	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(治験薬概要書(添付文書))	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	・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	・治験に関する変更(治験薬概要書、説明文書・同意文書、同意説明補助資料、本治験に係る費用)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	・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	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	・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 審議結果	質疑、異論特になし。 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	・治験に関する変更(説明文書・同意文書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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	・(報告)治験終了(中止・中断)報告書	
	審議内容 審議結果	- -	
継続10	手術不能かつ症候性のPNを有するNF1の日本人小児患者におけるセルメチニブの安全性、忍容性、薬物動態及び有効性を検討する非盲検第Ⅰ相試験		
	成分記号	AZD6244	開発相 第Ⅰ相
	治験依頼者	アストラゼネカ株式会社	
	対象疾患	神経線維腫症Ⅰ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。 ・治験に関する変更(治験実施計画書、説明文書・同意文書、治験薬概要書、添付文書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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"> ・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(治験分担医師) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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"> ・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(治験分担医師) ・(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13	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。 ・治験に関する変更(治験分担医師) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続14	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ペ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	小児機能性ディスペプシア患者		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(治験分担医師) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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"> ・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。 ・治験に関する変更(治験分担医師) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続16	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、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。 ・治験に関する変更(治験分担医師) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		

継続17	低流速型脈管奇形患者に対するART-001の有効性及び安全性を検討する第II相臨床試験(ART-001-201)		
	成分記号	ART-001	開発相 第II相
	治験依頼者	ARTham Therapeutics株式会社	
	対象疾患	低流速型脈管奇形	
	審議事項	・(報告)治験終了(中止・中断)報告書	
	審議内容 審議結果	- -	
継続18	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	・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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続19	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ビズマブ対照試験		
	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	・治験に関する変更(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20	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	・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(服薬日誌)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続21	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	・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(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22	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	・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(治験実施計画書の日本版補遺)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続23	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"> ・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(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24	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	<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。 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続25	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	<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)治験実施計画書 別紙1、別紙2の改訂 ・(報告)治験終了(中止・中断)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	<ul style="list-style-type: none"> ・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)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	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	<ul style="list-style-type: none"> ・(その他)監査報告書、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		
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相医師主導治験			
	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	<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	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(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。 ・治験に関する変更(治験薬概要書) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
医師主導5	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	<ul style="list-style-type: none"> ・(その他)モニタリング報告書 ・(報告)治験終了(中止・中断)報告書、開発の中止等に関する報告書 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
医師主導6	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およ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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(治験実施計画書) ・(報告)治験実施計画書 別紙1、別紙2の改訂 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
医師主導7	小児・AYA悪性固形腫瘍に対するEZHI/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"> ・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8	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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更(治験実施計画書・治験に関する説明文書・アセント文書A・治験薬取り扱い手順書) ・(報告)治験実施計画書 別紙1の改訂 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
備考				