

令和5年度 第5回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和5年9月21日(木) 15:02~17:18		
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、楯朋子、河合利尚、肥沼悟郎、鈴木和也、渡邊博幸、櫻井みぎわ、伊吹友秀、藤嶋奈美		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
新規1	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	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	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	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・(報告)治験終了報告書</li> </ul>	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続2	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	<ul style="list-style-type: none"> <li>・(報告)安全性情報等に関する報告書(個別症例)</li> <li>・(報告)治験終了報告書</li> </ul>	
	審議内容 審議結果	- -	
継続3	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"> <li>・安全性情報等に関する報告(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。</li> <li>・(報告)モニター一覧 Ver.5、Ver.6</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙の改訂</li> </ul>	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続4	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	・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5	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	・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6	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	・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。 ・(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7	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	・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、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。 ・(報告)個人情報についてのレター	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続8	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、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。 ・(報告)個人情報についてのレター	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続9	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"> <li>・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。</li> <li>・(報告)個人情報についてのレター</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続10	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	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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、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。</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続11	サノフィ株式会社の依頼による持続性又は慢性の免疫性血小板減少症(ITP)の成人及び青年を対象としたrilzabrutinib(PRN1008)の第Ⅲ相試験		
	成分記号	rilzabrutinib(PRN1008)	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	サノフィ株式会社	
	対象疾患	免疫性血小板減少症(ITP)	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・(報告)治験分担医師・治験協力者リスト(訪問看護師追加)</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続12	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	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・(報告)治験に関する変更報告書(同意説明文書の補遺の廃版)</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続13	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	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書、被験者日誌)</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

継続14	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。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続15	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	・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16	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	・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(被験者募集の手順(広告等)に関する資料)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続17	慢性腎臓病に伴う貧血に関する包括的コホート研究		
	成分記号	-	開発相 -
	治験依頼者	(治験国内管理人)サイネオス・ヘルス・クリニカル株式会社	
	対象疾患	腎性貧血	
	審議事項	・治験に関する変更申請(被験者への支払いに関する資料)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続18	CKDに伴う貧血に関する試験:新規 PHI ダプロデュスタットによる赤血球造血- 小児		
	成分記号	GSK1278863	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	(治験国内管理人)サイネオス・ヘルス・クリニカル株式会社	
	対象疾患	腎性貧血	
	審議事項	・安全性情報等に関する報告(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	

継続19	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epcoritamab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	アッヴィ合同会社		
	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"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更申請(治験実施計画書、同意説明文書、治験薬概要書、自己管理の口腔温度測定体温記録表)</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続20	尿素サイクル異常症患者を対象としたHPN-100の第III相試験			
	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"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更申請(治験実施計画書、同意説明文書)</li> <li>・(報告)ブフェニール添付文書の様式変更</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙1の改訂</li> <li>・(報告)迅速審査_2023/7/10_8/21</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続21	中外製薬の依頼による小児特発性ネフローゼ症候群患者を対象としたRO5072759の第III相試験			
	成分記号	RO5072759	開発相	第III相
	治験依頼者	中外製薬株式会社		
	対象疾患	小児特発性ネフローゼ症候群		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・治験に関する変更申請(治験実施計画書、同意説明文書、質問票、治験に関するアンケート)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙2の改訂</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続22	KCI002の小児を対象とした第3相臨床試験2			
	成分記号	KCI002	開発相	第III相
	治験依頼者	マグミット製薬株式会社		
	対象疾患	便秘症小児		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> <li>・治験に関する変更(治験薬概要書 別添1)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙1の改訂(2件)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙2の改訂</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続23	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"> <li>・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。</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	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"> <li>・治験に関する変更(電子添付文書、治験実施計画書)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙1の改訂</li> </ul>		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
医師主導2	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"> <li>・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。</li> <li>・(モニタリング)モニタリング報告書(症例)(治験薬管理)</li> <li>・(報告)治験薬概要書に関するレター</li> </ul>		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
医師主導3	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"> <li>・安全性情報等に関する報告(個別症例、研究報告、添付文書の改訂)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。</li> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書、同意説明文書)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙1の改訂</li> </ul>		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
医師主導4	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"> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書)</li> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙1、別紙2の改訂</li> <li>・(報告)治験終了報告書</li> </ul>		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
医師主導5	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"> <li>・治験に関する変更(治験実施計画書、被験者募集広告)</li> <li>・(モニタリング)モニタリング報告書(症例管理)</li> </ul>		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
備考				