

令和5年度 第7回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和5年11月16日(木) 15:01~15:59		
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、森田英明、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			
継続1	中外製薬株式会社の依頼による血友病A小児患者を対象としたエミシズマブの第IV相試験		
	成分記号	エミシズマブ	開発相 第IV相
	治験依頼者	中外製薬株式会社	
	対象疾患	血友病A(12歳未満)	
	審議事項	・(報告)製造販売後臨床試験実施計画書 別紙1の改訂	
	審議内容 審議結果	- -	
継続2	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(同意説明文書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続3	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	CNT01275	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)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4	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	CNT01275	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)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	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	CNT01275	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"> <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(積算書)</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続6	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"> <li>・(報告)治験実施計画書 別紙2の改訂</li> </ul>	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
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	<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(治験薬概要書補遺)</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	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	<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(治験薬概要書補遺)</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	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)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(治験薬概要書補遺)</li> </ul>	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

継続10	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。	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続11	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	アツヴィ合同会社	
	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。	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続12	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	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続13	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	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続14	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	・治験に関する変更(治験薬概要書)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

継続15	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・最新の科学的知見を記載した文書)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。</li> <li>・治験に関する変更(同意説明文書・被験者への支払いに関する資料)</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続16	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> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続17	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> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続18	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"> <li>・治験に関する変更(eCOAの被験者向けスクリーンショット)</li> <li>・(報告)治験実施計画書等修正報告書</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続19	AJG555の1歳児慢性便秘症患者を対象とした一般臨床試験			
	成分記号	AJG555	開発相	第III相
	治験依頼者	EAファーマ株式会社		
	対象疾患	慢性便秘症		
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> <li>・治験に関する変更(ePROデバイス壁紙)</li> </ul>		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		

継続20	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	・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1	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	・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。 ・(モニタリング)モニタリング報告書(症例)(事務局)(治験薬管理)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導2	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	・安全性情報等に関する報告(研究報告・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3	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	・(その他)監査証明書	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導4	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	・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B/C・治験参加カード)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
備考			