

令和5年度 第10回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和6年3月21日(木) 15:01～16:41		
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		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
新規1	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プ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
	治験依頼者	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	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	治験の実施の適否	
	審議結果	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)開発の中止等に関する報告書	
	審議内容	-	
	審議結果	-	
継続2	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	・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。 ・(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	
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	・治験に関する変更(治験実施計画書・治験参加カード)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	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)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)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)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	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	ベドリズムブ(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(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	ベドリズムブ(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	・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	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ピリズマブ対照試験		
	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	・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	・安全性情報等に関する報告(措置報告・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	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13	Sarepta Therapeutics, Inc, バレクセル・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)バレクセル・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14	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。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続15	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	・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	
継続16	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	・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17	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"> ・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 別紙1) 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続18	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"> ・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) ・(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	
継続19	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"> ・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20	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"> ・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21	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)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	

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)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	
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(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。 ・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	
医師主導3	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・別紙・治験薬概要書・同意説明文書・アセント文書・治験参加カード・治験薬取り扱い手順書・治験参加者募集ポスター) ・(モニタリング)モニタリング報告書(症例・文書)	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
医師主導4	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
	治験依頼者	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	・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(治験実施計画書・同意説明文書・治験薬管理の手順書) ・(報告)治験実施計画書等修正報告書	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
備考			