

令和6年度 第3回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和6年6月20日(木) 15時01分から16時27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、小野裕子、肥沼悟郎、河合利尚、森田英明、渡邊博幸、鈴木和也、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	インサイト・バイオサイエンシズ・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・バイオサイエンシズ・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	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	治療歴のない血友病B患者を対象としたnonacog beta pegol(N9-GP)の安全性及び有効性の検討		
	成分記号	N9-GP	開発相 第Ⅲa相
	治験依頼者	ノボ ノルディスクファーマ株式会社	
	対象疾患	治療歴のない血友病B患者	
	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3	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4	小児被験者におけるウスチ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"> ・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(治験の費用の負担について説明した文書) ・(報告)Note to file(SAE取り下げについて) 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続5	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"> ・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	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続6	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)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7	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)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8	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"> ・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9	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(EMBARC)		
	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10	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11	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(治験実施計画書、安全性評価のガイダンス)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続12	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13	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	アヴィンタ株式会社	
	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、年次報告、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。 ・治験に関する変更(治験実施計画書、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14	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	・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	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	・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	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	・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	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CNTO1959の第Ⅲ相試験		
	成分記号	グセルクマブ(CNTO 1959)	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	・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)治験実施計画書等修正報告	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続18	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。 ・治験に関する変更(治験分担医師) ・(報告)治験実施計画書等修正報告	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続19	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、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(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	
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	<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2	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(メモランダム3) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

医師主導3	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	・治験に関する変更(治験実施計画書、治験薬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4	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
	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	・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。 ・(モニタリング)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	
備考			