

令和6年度 第9回治験審査委員会 議事概要

|                         |   |  |         |
|-------------------------|---|--|---------|
| 開催日時                    | 令和7年1月16日(木) 15時03分から16時44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、河合利尚、肥沼悟郎、森田英明、河内和彦、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<br>医師主導1<br>C2024002 | 小児期発症のネフローゼ症候群早期再発例における IDEC-C2B8投与の有効性の検討 -多施設共同ランダム化並行群間比較試験 (JSKDC12)-   |  |         |
|                         | 成分記号  | IDEC-C2B8  | 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 亀井 宏一   |         |
|                         | 対象疾患  | 小児期発症の特発性ネフローゼ症候群  |         |
|                         | 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<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |         |
| 継続1<br>A2024007         | サンフィリップ症候群A型(MPS IIIA)患者を対象とした脳室アクセスデバイスを用いる組換えヒトヘパラン-N-スルファターゼ(rhHNS、GC1130A)の安全性、忍容性、有効性、薬物動態及び薬力学を評価する第1相非盲検用量漸増試験 |  |         |
|                         | 成分記号  | GC1130A  | 開発相 第Ⅰ相 |
|                         | 治験依頼者   | (治験国内管理人)メドペイス・ジャパン株式会社  |         |
|                         | 対象疾患  | サンフィリップ症候群A型   |         |
|                         | 審議事項  | ・(報告)治験協力者 リストの更新  |         |
|                         | 審議内容<br>審議結果  | -<br>-   |         |
| 継続2<br>A31009           | 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  | ・治験に関する変更申請(説明文書・同意文書、被験者への支払に関する資料)                           |         |
|                         | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |         |
| 継続3<br>A33003           | 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(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<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |         |
| 継続4<br>A33004           | 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)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<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |         |

|                 |   |  |           |
|-----------------|---|--|-----------|
| 継続5<br>A2023002 | 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<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |           |
| 継続6<br>A34005   | 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。<br>・(報告)治験終了報告書 |           |
|                 | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |           |
| 継続7<br>A2023003 | 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<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |           |
| 継続8<br>A34006   | 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<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |           |
| 継続9<br>A34007   | 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・ジャパン株式会社  |           |
|                 | 対象疾患  | 腎性貧血   |           |
|                 | 審議事項  | ・治験に関する変更申請(治験実施計画書 別紙1、健康被害補償の概要)   |           |
|                 | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |           |
| 継続10<br>A34008  | 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・ジャパン株式会社  |           |
|                 | 対象疾患  | 腎性貧血   |           |
|                 | 審議事項  | ・治験に関する変更申請(治験実施計画書 別紙1、健康被害補償の概要)   |           |
|                 | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認   |           |

|                  |  |  |           |
|------------------|--|--|-----------|
| 継続11<br>A34009   | 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  | アヅヴィ合同会社   |           |
|                  | 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             | 質疑、異論特になし。   |  |           |
| 審議結果             | 承認   |  |           |
| 継続12<br>A34011   | 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。<br>・治験に関する変更申請(治験責任医師、治験分担医師、治験実施計画書 別紙1、説明文書・同意文書) |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。   |  |           |
| 審議結果             | 承認   |  |           |
| 継続13<br>A2023004 | 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。<br>・治験に関する変更申請(説明文書・同意文書、血清妊娠検査について)                |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。   |  |           |
| 審議結果             | 承認   |  |           |
| 継続14<br>A2024002 | 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。   |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。   |  |           |
| 審議結果             | 承認   |  |           |
| 継続15<br>A2024001 | 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CNT01959の第III相試験        |  |           |
|                  | 成分記号   | グセルクマブ(CNT01959)   | 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。   |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。   |  |           |
| 審議結果             | 承認   |  |           |

|                  |   |  |           |
|------------------|---|--|-----------|
| 継続16<br>A2024006 | 中等症から重症の活動期の潰瘍性大腸炎小児患者を対象とするグセルクマブの有効性、安全性及び薬物動態評価を目的とした第3相、ランダム化、非盲検寛解導入、二重盲検寛解維持、並行群間比較、多施設共同試験 |  |           |
|                  | 成分記号  | CNTO1959   | 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"> <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>・治験に関する変更申請(治験実施計画書、説明文書・同意文書、治験薬概要書、治験参加カード)</li> <li>・(報告)治験実施計画書等修正報告(説明文書・同意文書)</li> </ul> |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。  |  |           |
| 審議結果             | 承認  |  |           |
| 継続17<br>A2023005 | 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>・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(治験薬概要書)</li> </ul>  |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。  |  |           |
| 審議結果             | 承認  |  |           |
| 継続18<br>A2024003 | 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  | <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> </ul>  |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。  |  |           |
| 審議結果             | 承認  |  |           |
| 継続19<br>A2024004 | 日本イーライリリー株式会社の依頼による高悪性度神経膠腫患者を対象とした LY2835219(アベマシクリブ)とテモゾロミド併用療法とテモゾロミド単剤療法の第Ⅱ相試験                |  |           |
|                  | 成分記号  | LY2835219(アベマシクリブ)   | 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  | 高悪性度神経膠腫   |           |
|                  | 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> </ul>   |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。  |  |           |
| 審議結果             | 承認  |  |           |
| 継続20<br>A2024005 | JR-446のムコ多糖症ⅢB型を対象とした非盲検第Ⅰ/Ⅱ相試験   |  |           |
|                  | 成分記号  | JR-446   | 開発相 第Ⅰ/Ⅱ相 |
|                  | 治験依頼者   | JCRファーマ株式会社  |           |
|                  | 対象疾患  | ムコ多糖症ⅢB型   |           |
|                  | 審議事項  | <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験に関する変更申請(治験薬概要書)</li> <li>・(報告)治験協力者 リストの更新</li> </ul>   |           |
| 審議内容             | 質疑、異論特になし。  |  |           |
| 審議結果             | 承認  |  |           |

|                   |   |   |     |          |
|-------------------|---|---|-----|----------|
| 継続21<br>A32004    | 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<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認  |     |          |
| 医師主導1<br>C29005   | 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、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。<br>・モニタリング報告(症例、治験薬管理、必須文書)<br>・(報告)治験終了報告書 |     |          |
|                   | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認  |     |          |
| 医師主導2<br>C30001   | 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  | ・治験に関する変更申請(添付文書)   |     |          |
|                   | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認  |     |          |
| 医師主導3<br>C34001   | 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     |
|                   | 自ら治験を実施する者  | 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  | ・モニタリング報告   |     |          |
|                   | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認  |     |          |
| 医師主導4<br>C2023001 | 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(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。<br>・治験に関する変更申請(治験薬概要書)                           |     |          |
|                   | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認  |     |          |

|                   |   |   |         |
|-------------------|---|---|---------|
| 医師主導4<br>C2023002 | 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  | <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(治験薬概要書、治験実施計画書)</li> </ul> |         |
|                   | 審議内容<br>審議結果  | 質疑、異論特になし。<br>承認  |         |
| 医師主導5<br>C31002   | 小児期発症難治性ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群を対象としたIDEC-C2B8とステロイドパルス療法の併用療法の多施設共同単群臨床試験                               |   |         |
|                   | 成分記号  | IDEC-C2B8   | 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 亀井 宏一  |         |
|                   | 対象疾患  | 小児期発症難治性ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群  |         |
|                   | 審議事項  | <ul style="list-style-type: none"> <li>・(報告)開発の中止等に関する報告書</li> </ul>  |         |
|                   | 審議内容<br>審議結果  | -<br>-  |         |
| 備考                |   |   |         |