

令和6年度 第11回治験審査委員会 議事概要

| | | | |
|--------------------|--|---|-----------|
| 開催日時 | 令和7年3月13日(木) 15時00分から16時37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1 A2024009 | プロピオン酸血症患者を対象とするmRNA-3927の安全性、薬力学及び薬物動態を評価する第1/2相、国際共同、非盲検、用量最適化試験 | | |
| | 成分記号 | mRNA-3927 | 開発相 第Ⅰ/Ⅱ相 |
| | 治験依頼者 | (治験国内管理人)株式会社新日本科学PPD | |
| | 対象疾患 | プロピオン酸血症 | |
| | 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 A32007 | 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2 A32008 | 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。 ・(報告)治験終了(中止・中断)に関する報告書 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続3 A34003 | 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 | ・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 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。 ・(報告)2025年2月IRBでの安全性情報(研究報告)に関する質問に対する依頼者見解について | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |

| | | | | |
|------------------|---|---|-----|-----|
| 継続5 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 | <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。 ・(報告)2025年2月IRBでの安全性情報(研究報告)に関する質問に対する依頼者見解について | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 継続6 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 | <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。 ・(報告)2025年2月IRBでの安全性情報(研究報告)に関する質問に対する依頼者見解について | | |
| | 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | |
| | 審議結果 | 承認 | | |
| 継続7 A33009 | 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"> ・治験に関する変更申請(治験実施計画書 別紙別添1、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8 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エプコリタマブの単群、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 | アツヴィ合同会社 | | |
| | 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"> ・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(治験実施計画書、治験実施計画書 事務的変更、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9 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 | <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10 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 | <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11 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。 | | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | | |
| 継続12 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 | ・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 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。 ・治験に関する変更申請(治験実施計画書書(マスター、グセルクマブ ISA)、治験薬概要書、説明文書・同意文書、親/保護者向け治験ガイド、PCDAI患者日記) | | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | | |
| 継続14 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。 ・治験に関する変更申請((治験実施計画書書(マスター、ミリキズマブ ISA)、治験薬概要書、説明文書・同意文書、親/保護者向け治験ガイド、PCDAI患者日記) | | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | | |
| 継続15 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 | ・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(治験実施計画書の管理上の変更) | | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | | |
| 継続16 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 | ・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 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 | ・治験に関する変更申請(説明文書・同意文書、被験者への支払について) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 継続18 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ゲ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 | ・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26 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。 ・(報告)治験終了(中止・中断)に関する報告書 ・(報告)開発の中止等に関する報告書 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 医師主導1 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 | ・モニタリング報告 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 医師主導2 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 | ・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 | |
| 医師主導3 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 | ・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。 | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |

| | | | |
|-------------------|---|---|-----------|
| 医師主導4 C2024001 | 移植後大量シクロホスファミド(PT-CY)が困難な患者を対象としたリツキシマブと $\alpha\beta$ T細胞およびB細胞除去を用いたHLA半合致移植法の安全性と有効性を評価する単群非盲検第II相試験(医師主導治験) | | |
| | 成分記号 | MB-002 | 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 井口 晶裕 | |
| | 対象疾患 | PT-CYを用いたHLA半合致移植が困難な患者 | |
| | 審議事項 | <ul style="list-style-type: none"> ・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、治験機器概要書、治験機器の管理に関する手順書、安全性情報の取り扱いに関する手順書、保険契約証明書) ・継続審査(治験実施状況報告書) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 医師主導5 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告(プレドニン錠5mg 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。 ・治験に関する変更申請(説明文書・同意文書) ・継続審査(治験実施状況報告書) | |
| | 審議内容 審議結果 | 質疑、異論特になし。 承認 | |
| 備考 | | | |