

令和7年度 第4回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和7年7月17日(木) 15時01分から17時01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、癸生川順子、河合利尚、肥沼悟郎、成田真作満、荻原剛之、櫻井みぎわ、笹渕真子		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
新規1 A2025002	日本たばこ産業株式会社による乳幼児アトピー性皮膚炎患者を対象としたJTE-061クリームの第Ⅲ相試験		
	成分記号	JTE-061	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	日本たばこ産業株式会社	
	対象疾患	アトピー性皮膚炎	
	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	
新規2 A2025003	大塚製薬の依頼による児童・青少年ADHD患者を対象としたEB-1020の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
	成分記号	EB-1020	開発相 第Ⅱ/Ⅲ相
	治験依頼者	大塚製薬株式会社	
	対象疾患	注意欠如・多動症(ADHD)	
	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	
新規3 A2025004	大塚製薬の依頼による児童・青少年ADHD患者を対象としたEB-1020の第Ⅲ相長期投与試験		
	成分記号	EB-1020	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	大塚製薬株式会社	
	対象疾患	注意欠如・多動症(ADHD)	
	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	・(報告)治験終了(中止・中断)報告書	
	審議内容 審議結果	- -	
継続2 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(治験薬概要書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続3 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	<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) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続4 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。 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続5 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。 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続6 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	<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。 ・治験に関する変更申請(治験実施計画書別紙3、説明文書・同意文書、被験者の健康被害の補償について説明した文書) 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続7 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。 		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		

継続8 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。		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続9 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、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。 ・治験に関する変更申請(治験製品概要書)		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		
継続10 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、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		
継続11 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、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		
継続12 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、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。		
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認		

継続13 A2024003	インサイト・バイオサイエンス・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・バイオサイエンス・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。	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続14 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15 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(治験実施計画書の明確化のレター)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続16 A2024007	サンフィリップ症候群A型(MPSⅢA)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Ⅰ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)メドベイス・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	・治験に関する変更申請(治験薬概要書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続17 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Ⅰ/Ⅱ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	・治験に関する変更申請(被験者の募集手順に関する資料、募集ポスター)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続18 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	・治験に関する変更申請(受託研究積算書(治験))	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

医師主導1 C29002	慢性肉芽腫症に関連する腸炎患者を対象としたサリドマイド口腔内崩壊錠のプラセボ対照二重盲検比較試験		
	成分記号	FPF300-OD	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 河合 利尚	
	対象疾患	慢性肉芽腫症に関連する腸炎	
	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	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(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 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	・モニタリング報告書 ・(報告)治験終了(中止・中断)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4 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	・治験に関する変更申請(治験実施計画書、モニタリングの実施に関する手順書)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
備考			