

令和7年度 第7回治験審査委員会 議事概要

| | | | |
|--------------------|--|---|-------------|
| 開催日時 | 令和7年11月20日(木) 15時00分から16時18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、発生川順子、河合利尚、肥沼悟郎、成田真作満、荻原剛之、櫻井みぎわ、伊吹友秀、笹渕真子 | | |
| 議題及び審議結果を含む主な議論の概要 | | | |
| 継続1 A32002 | 治験国内管理人 IQVIAサービス ジャパン株式会社の依頼による免疫不全を有する月齢24ヶ月以下の小児を対象としたMEDI8897の第2相臨床試験 | | |
| | 成分記号 | MEDI8897 | 開発相 第Ⅱ相 |
| | 治験依頼者 | IQVIAサービス ジャパン株式会社(治験国内管理人) | |
| | 対象疾患 | 免疫不全 | |
| | 審議事項 | ・(報告)迅速審査_治験に関する変更(受託研究積算書(治験))_2023/3/20 | |
| | 審議内容 | - | |
| | 審議結果 | - | |
| 継続2 A33001 | 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 | ・(報告)迅速審査_治験に関する変更(受託研究積算書(治験))_2024/3/4 ・(報告)迅速審査_治験に関する変更(受託研究積算書(治験))_2025/3/3 | |
| | 審議内容 | - | |
| | 審議結果 | - | |
| 継続3 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 | ・(報告)迅速審査_治験に関する変更(受託研究積算書(治験))_2023/12/4 | |
| | 審議内容 | - | |
| | 審議結果 | - | |
| 継続4 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 | ・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 | ・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)迅速審査_治験に関する変更(受託研究積算書(治験))_2024/7/25 | |
| | 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)迅速審査_治験に関する変更(受託研究積算書(治験))_2024/11/22 | | | | | |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | | | | |
| 審議結果 | 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ロリタマブの単群、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 | アップヴィ合同会社 | | | | | |
| 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、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。 ・(報告)迅速審査_治験に関する変更(受託研究積算書(治験))_2024/9/30 | | | | | |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | | | | |
| 審議結果 | 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 | <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(受託研究積算書(治験)) | | | | | |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | | | | |
| 審議結果 | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・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 | 質疑、異論特になし。 | | | | | |
| 審議結果 | 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 | <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 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・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、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、説明文書・同意文書、Scales&Questionnaires、被験者の募集の手順(広告等)に関する資料) | | | |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | | |
| 審議結果 | 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・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、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、治験薬概要書、説明文書・同意文書、Scales&Questionnaires、被験者の募集の手順(広告等)に関する資料) | | | |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | | |
| 審議結果 | 承認 | | | |
| 継続13 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"> ・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(治験薬概要書) | | | |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | | |
| 審議結果 | 承認 | | | |
| 継続14 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"> ・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。 ・治験に関する変更申請(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15 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"> ・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、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 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テ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 | ・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17 A2024008 | ムコ多糖症IIIA型患者を対象としたJR-441週1回点滴投与の第I相試験 | | | |
| 成分記号 | JR-441 | 開発相 | 第 I 相 | |
| 治験依頼者 | JCRファーマ株式会社 | | | |
| 対象疾患 | ムコ多糖症IIIA | | | |
| 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18 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 | ・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19 A2025001 | 小児患者を対象としたナルデメジンの薬物動態及び安全性を評価する第1/2相試験 | | | |
| 成分記号 | ナルデメジン | 開発相 | 第 I / II 相 | |
| 治験依頼者 | 塩野義製薬株式会社 | | | |
| 対象疾患 | オピオイド誘発性便秘症 | | | |
| 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 | 質疑、異論特になし。 | | | |
| 審議結果 | 承認 | | | |
| 継続20 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 | ・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 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 | ・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 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 | <ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更申請(添付文書) ・監査報告書 | | | | | |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | | | | |
| 審議結果 | 承認 | | | | | |
| 医師主導2 C2023001 | 小児静脈栄養関連胆汁うつ滞(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 | | | |
| 自ら治験を実施する者 | 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つ滞(腸管不全関連肝障害) | | | | | |
| 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、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 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 | | | |
| 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 | 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"> ・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(説明文書・同意文書、アセントABC) | | | | | |
| 審議内容 | 質疑、異論特になし。 | | | | | |
| 審議結果 | 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 α βT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"> ・(報告)治験分担医師・治験協力者リスト | | | | | |
| 審議内容 | - | | | | | |
| 審議結果 | - | | | | | |
| 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(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6 C2025001 | 先天性サイトメガロウイルス感染児の遅発性難聴を対象としたバルガンシクロビル塩酸塩ドライシロップの有効性および安全性を評価する多施設共同プラセボ対照ランダム化並行群間比較試験(VGCV-3) | | | | | |
| 成分記号 | VGCV-3 | 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 大宜見 力 | | | | | |
| 対象疾患 | 先天性CMV感染症(遅発性難聴) | | | | | |
| 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、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 | | | | | |

備考