

開催日時	令和8年7月16日（木） 15時00分から16時25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、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 A34011	尿素サイクル異常症患者を対象としたHPN-100の製造販売後臨床試験			
	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	・（報告）治験終了（中止・中断）報告書		
	審議内容	－		
	審議結果	－		
継続2 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	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続3 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。 ・治験に関する変更申請（受託研究積算書（治験）） ・（報告）治験実施計画書 別紙1の改訂		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続4 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	アッヴィ合同会社		
	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5 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。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		

継続6
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(CNT0 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(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

質疑、異論特になし。

審議結果

承認

継続7
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(当該治験薬で発生した重篤な有害事象、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

質疑、異論特になし。

審議結果

承認

継続8
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

質疑、異論特になし。

審議結果

承認

継続9
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

・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

質疑、異論特になし。

審議結果

承認

継続10
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11
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

・治験に関する変更申請(Notification Letter)

審議内容

質疑、異論特になし。

審議結果

承認

継続12 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、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13 A2025006	ラブドイド腫瘍を対象としたONO-4538の有効性及び安全性を検討する多施設共同非盲検非対照第Ⅱ相試験		
	成分記号	ONO-4538	開発相 第Ⅱ相
	治験依頼者	小野薬品工業株式会社	
	対象疾患	ラブドイド腫瘍	
	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（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14 A2025007	サノフィ株式会社の依頼による慢性移植片対宿主病（cGVHD）の小児患者を対象としたベルモスジルの非盲検第Ⅰ/Ⅱ相試験		
	成分記号	SAR445761	開発相 第Ⅰ／Ⅱ相
	治験依頼者	サノフィ株式会社	
	対象疾患	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	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続15 A2026001	ユーシービージャパン株式会社の依頼によるレット症候群におけるフェンフルラミン塩酸塩の第Ⅲ相試験		
	成分記号	フェンフルラミン塩酸塩	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	ユーシービージャパン株式会社	
	対象疾患	レット症候群	
	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 A2026003	早期発症型異染性白質ジストロフィー患者を対象としたOTL-200の有効性及び安全性を評価する試験		
	成分記号	OTL-200	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	協和キリン株式会社	
	対象疾患	早期発症型異染性白質ジストロフィー	
	審議事項	・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） ・（報告）治験分担医師・治験協力者リスト（協力者の追加）	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続17 A2026002	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又はクローン病を対象としたLY3074828の第Ⅲ相試験		
	成分記号	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	潰瘍性大腸炎又はクローン病	
	審議事項	・治験に関する変更申請（治験分担医師）	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

継続18

A2026004

成人の古典型先天性副腎過形成症患者を対象として atumelnant の安全性及び有効性を評価する無作為化、二重盲検、多施設共同、プラセボ対照試験

成分記号

CRN04894

開発相

第Ⅲ相

治験依頼者

治験国内管理人:シミック株式会社

対象疾患

古典型先天性副腎過形成症

審議事項

・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

医師主導1

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

・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(添付文書)

審議内容

質疑、異論特になし。

審議結果

承認

医師主導2

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

・安全性情報等に関する報告(添付文書(リツキシサン)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。
・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3

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 ー多施設共同ランダム化並行群間比較試験(JSKDC12)ー

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

・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

質疑、異論特になし。

審議結果

承認

医師主導4

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及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

・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(保険証券(変更確認書))
・モニタリング報告書

審議内容

質疑、異論特になし。

審議結果

承認

医師主導5 C2025002	血液悪性疾患及び非悪性疾患を有する18歳未満の男性及び女性を対象とした同種造血幹細胞移植(HSCT)においてトレオスルファン併用移植前処置を施行する際の欧米で確立したトレオスルファン投与量が許容されるかを検証するための第1相、非盲検単一アーム試験			
	成分記号	MJK 301	開発相	第Ⅰ相
	自ら治験を実施する者	国立成育医療研究センター 坂口 大俊		
	対象疾患	血液悪性疾患及び非悪性疾患		
	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		
備考				