

令和6年度 第5回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和6年9月19日(木) 15時01分から16時53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、小野裕子、河合利尚、渡邊博幸、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 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	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	治験分担医師の構成、同意説明文書の不利益に関して質疑あり。 修正の上承認	
	修正指示内容	①治験分担医師・治験協力者リストを以下の通り修正すること Ph1/2試験であり、緊急時の院内体制整備のために、治験分担医師に総合診療部医師及び集中治療科医師を加えること。 ②同意説明文書の以下の箇所を修正すること ・p23【6. 予測される利益と起こり得る不利益】の起こり得る不利益へp.20に記載の脳脊髄液検査の不利益の記載を追記すること。 ・p24【6. 予測される利益と起こり得る不利益】の、この治験に関連するリスクのある事象について、事象名のみでなく具体的な症状及び治験を行う上での対策を追記すること。	
継続1 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	・(報告)治験実施計画書等修正報告書	
	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	・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(治験薬概要書、治験実施計画書の管理上の変更と明確化について)	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続3 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4 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。		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続5 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(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	重篤な有害事象についての同意説明文書の内容に関して質疑あり。		
	審議結果	修正の上承認		
	修正指示内容	同意説明文書にイレウスが発現したことを追記する。		
継続6 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、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7 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(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 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、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9 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	・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(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 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	<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(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11 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 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
継続12 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(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 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・クリニカル株式会社	
	対象疾患	腎性貧血	
	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)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 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・クリニカル株式会社	
	対象疾患	腎性貧血	
	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。 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続15 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、添付文書、使用上の注意改訂のお知らせ)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、説明文書・同意文書、治験参加カード) 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続16 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17 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18 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(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(リポートライアルガイドにおける施設情報公開について) 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	
継続19 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"> ・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(治験実施計画書、説明文書・同意文書、電子日誌操作・入力マニュアル) 	
	審議内容	質疑、異論特になし。	
	審議結果	承認	

継続20 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	<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(抄録集への治験情報掲載について) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
継続21 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)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22 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	<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		
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	<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(治験薬の管理に関する手順書) 		
	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	<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プ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"> ・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				