

令和6年度 第10回治験審査委員会 議事概要

開催日時	令和7年2月20日(木) 15時01分から17時14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		
議題及び審議結果を含む主な議論の概要			
新規1 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
	自ら治験を実施する者	JCRファーマ株式会社	
	対象疾患	ムコ多糖症ⅢA	
	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	同意説明文書について質疑あり。	
	審議結果	修正の上承認	
修正指示内容	同意説明文書p19「この治験は、JR-441に関する情報を調べることにより、治験を依頼している製薬会社に利益をもたらすことが期待されます。」の一文を削除すること。		
継続1 A33007	武田薬品工業株式会社の依頼による原発性免疫不全症候群(PID)日本人患者を対象としたTAK-771の第3相試験		
	成分記号	TAK-771	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	原発性免疫不全症候群	
	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	-		
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(治験責任医師、治験分担医師、説明文書・同意文書、治験参加カード) ・継続審査(治験実施状況報告書)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	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	・継続審査(治験実施状況報告書)	
審議内容	質疑、異論特になし。		
審議結果	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	・継続審査(治験実施状況報告書)	
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	CNTO1275	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	・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		
継続6 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	・治験に関する変更申請(治験薬概要書) ・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		
継続7 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・研究報告)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) ・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		
継続8 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・研究報告)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) ・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		
継続9 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・研究報告)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) ・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		

継続10 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(治験責任医師、治験分担医師) ・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	
継続11 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取伏神経鞘腫(NF1)を有する1歳以上7歳未満の小児の神経鞘腫(NF1)患者	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・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	
継続12 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・ジャパン株式会社	
	対象疾患	腎性貧血	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・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	
継続13 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・ジャパン株式会社	
	対象疾患	腎性貧血	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・(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	- -	
継続14 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	<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・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。 ・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	
継続15 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。 ・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	

継続16 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・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、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) ・継続審査(治験実施状況報告書) ・(報告)治験実施計画書 別紙 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 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。 ・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	
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。 ・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	
継続19 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"> ・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	
継続20 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"> ・継続審査(治験実施状況報告書) ・(報告)Week 20以降の効果消失に関する用量調節についての説明のレター 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	

継続21 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。 ・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		
継続22 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	<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、治験薬概要書、説明文書・同意文書、治験薬投与実施日の起点に関するレター) ・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		
継続23 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(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(被験者アンケート) ・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		
継続24 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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更申請(治験分担医師) ・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		
継続25 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)メドペース・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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験に関する変更申請(治験実施計画書管理上の変更に関する通知) ・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		

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	<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(治験薬概要書) ・継続審査(治験実施状況報告書) 		
	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	質疑、異論特になし。		
	審議結果	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	<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(監査計画書) ・継続審査(治験実施状況報告書) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
医師主導3 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	・継続審査(治験実施状況報告書)		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		
医師主導4 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"> ・治験に関する変更申請(治験実施計画書、治験薬の管理に関する手順書) ・継続審査(治験実施状況報告書) 		
	審議内容	質疑、異論特になし。		
	審議結果	承認		

医師主導5 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	<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。 ・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6 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"> ・安全性情報等に関する報告(添付文書改訂)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) 	
	審議内容 審議結果	質疑、異論特になし。 承認	
医師主導7 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・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	
備考			