

令和元年度 第7回小児治験ネットワーク中央治験審査委員会
会議の記録の概要

開催日時	令和元年10月15日(火) 14:00~16:02
開催場所	国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 管理棟2階 会議室21
出席委員	山谷 明正、鈴木 康之、松谷 弘子、安達 昌功、三浦 大、掛江 直子、双川 歳昌、田原 真理、岩田 敏、高橋 尚人、荻谷 夏子 ※但し、当該治験に関係のある委員は審議及び採決に参加しない。

●議題及び審議結果を含む主な議論の概要

1. 新規治験の審査

1)

成分記号	LY3009104	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本イーライリリー株式会社の依頼による全身型若年性特発性関節炎を対象とした LY3009104 の第Ⅲ相二重盲検試験		
治験依頼者	日本イーライリリー株式会社		
治験実施施設	1 施設		
審議事項	〔新規審査〕 治験責任医師から本試験の概要説明後、これまでに得られている非臨床試験・臨床試験成績に基づき、治験実施の適否について審議した。		
審議結果	<u>修正の上で承認</u>		

2)

成分記号	KCI002	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	KCI002 の小児を対象とした第3相臨床試験		
治験依頼者	協和化学工業株式会社		
治験実施施設	5 施設		
審議事項	〔新規審査〕 治験責任医師(代表者)から本試験の概要説明後、これまでに得られている非臨床試験・臨床試験成績に基づき、治験実施の適否について審議した。		
審議結果	<u>修正の上で承認</u>		

3)

成分記号	LCZ696	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	ノバルティス ファーマ株式会社の依頼による小児心不全患者を対象とした LCZ696 の第Ⅲ相長期		

	投与試験
治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社
治験実施施設	1 施設
審議事項	〔新規審査〕 治験責任医師（代表者）から本試験の概要説明後、これまでに得られている非臨床試験・臨床試験成績に基づき、治験実施の適否について審議した。
審議結果	<u>承認</u>

2. 治験継続の審議

1)

成分記号	PF-00695838	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	ファイザー株式会社の依頼による、神経因性排尿筋過活動患者を対象とした PF-00695838 の第Ⅲ相試験		
治験依頼者	ファイザー株式会社		
治験実施施設	7 施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（4 施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
審議結果	<u>承認</u>		

2)

成分記号	LY450190	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本イーライリリー株式会社の依頼による小児肺動脈性肺高血圧症患者を対象とした LY450190 の第Ⅲ相試験		
治験依頼者	日本イーライリリー株式会社		
治験実施施設	2 施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（2 施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
審議結果	<u>承認</u>		

3)

成分記号	N8-GP	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	治療歴のない血友病 A 患者を対象とした turoctocog alfa pegol (N8-GP) の安全性及び有効性の検討		
治験依頼者	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社		

治験実施施設	3 施設
審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（3 施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。
審議結果	承認

4)

成分記号	PF-00695838	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	ファイザー株式会社の依頼による、神経因性排尿筋過活動患者を対象とした PF-00695838 の第Ⅲ相試験（長期継続試験）		
治験依頼者	ファイザー株式会社		
治験実施施設	6 施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（3 施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
審議結果	承認		

5)

成分記号	NNC0195-0092	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象とした NNC0195-0092 の週 1 回投与における有効性及び安全性の検討		
治験依頼者	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（4 施設からの審議依頼による） 〔重篤な有害事象等〕 ・SAE 等報告書（1 施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
審査結果	承認		

6)

成分記号	RFB002	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	ノバルティス ファーマ株式会社の依頼による RFB002 の未熟児網膜症患者を対象とした臨床第Ⅲ相継続試験		
治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社		
治験実施施設	6 施設		

審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（6施設からの審議依頼による） <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施計画書添付資料の変更（6施設からの審議依頼による） ・同意説明文書の変更（6施設からの審議依頼による） ・NW様式5（治験の費用の負担（被験者への支払）について）（6施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>
審査結果	<u>承認</u>

7)

成分記号	OPC-41061	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	過剰な体液貯留を有する小児心不全患者を対象としてトルバプタンの有効性、安全性、薬物動態、及び薬力学的作用を検討する多施設共同、非盲検、用量検討試験（第Ⅲ相試験）		
治験依頼者	大塚製薬株式会社		
治験実施施設	10施設		
審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（10施設からの審議依頼による） <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験分担医師の変更（1施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
審議結果	<u>承認</u>		

8)

成分記号	MOD-4023	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	EPS インターナショナル株式会社（治験国内管理人）の依頼による小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象としたMOD-4023の第Ⅲ相試験		
治験依頼者	（治験国内管理人）EPS インターナショナル株式会社		
治験実施施設	7施設		
審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（7施設からの審議依頼による） <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験薬概要書の変更（7施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
審議結果	<u>承認</u>		

9)

成分記号	L059/L059IV	開発相	第Ⅲ相
------	-------------	-----	-----

治験課題名	ユーシービージャパン株式会社の依頼によるレベチラセタムの第Ⅲ相試験
治験依頼者	ユーシービージャパン株式会社
治験実施施設	7 施設
審議事項	<p>〔安全性情報〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（7 施設からの審議依頼による） <p>〔治験に関する変更〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験分担医師の変更（1 施設からの審議依頼による） <p>〔重篤な有害事象等〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・SAE 等報告書（1 施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>
審議結果	<u>承認</u>

10)

成分記号	MHOS/SHP615	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	Shire の依頼によるけいれん性てんかん重積状態を有する小児患者を対象としたMHOS/SHP615 の第3 相非盲検試験		
治験依頼者	（治験国内管理人）IQVIA サービスーズ ジャパン株式会社		
治験実施施設	5 施設		
審議事項	<p>〔安全性情報〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（4 施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験終了報告書（2 施設） 		
審議結果	<u>承認</u>		

11)

成分記号	MHOS/SHP615	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	Shire の依頼によるけいれん性てんかん重積状態を有する小児患者を対象としたMHOS/SHP615 の第3 相非盲検継続試験		
治験依頼者	（治験国内管理人）IQVIA サービスーズ ジャパン株式会社		
治験実施施設	5 施設		
審議事項	<p>〔安全性情報〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（4 施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験終了報告書（2 施設） 		
審議結果	<u>承認</u>		

12)

成分記号	LCZ696	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	ノバルティスファーマ株式会社の依頼による心不全を有する小児患者を対象とした LCZ696 の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (4 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
審議結果	<u>承認</u>		

13)

成分記号	MD-0901	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	持田製薬株式会社の依頼による活動期の小児潰瘍性大腸炎患者を対象とした MD-0901 の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
治験依頼者	持田製薬株式会社		
治験実施施設	7 施設		
審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (7 施設からの審議依頼による) <p>[重篤な有害事象等]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・SAE 等報告書 (1 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施計画書別紙 (7 施設) 		
審議結果	<u>承認</u>		

14)

成分記号	MD-0901	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	持田製薬株式会社の依頼による寛解期の小児潰瘍性大腸炎患者を対象とした MD-0901 の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
治験依頼者	持田製薬株式会社		
治験実施施設	7 施設		

審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（7施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・治験実施計画書別紙（7施設）
審議結果	承認

15)

成分記号	HFT-290	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	小児がん患者を対象とした HFT-290 の第Ⅲ相試験		
治験依頼者	久光製薬株式会社		
治験実施施設	9施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・同意説明文書、被験者負担軽減費および保険外併用療養費等の取り扱いについて、被験者への支払いについて（1施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・治験終了報告書（1施設）		
審議結果	承認		

16)

成分記号	DRB436、TMT212	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	ノバルティスファーマ株式会社依頼による DRB436/TMT212 の第Ⅱ相試験		
治験依頼者	ノバルティスファーマ株式会社		
治験実施施設	2施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（2施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
審議結果	承認		

17)

成分記号	AW-PD01	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	小児の気道狭窄病変に伴う呼吸不全に対するヘリウム・酸素混合ガス(AW-PD01)の第Ⅱ相臨床試験		
治験依頼者	医師主導治験		

治験実施施設	2 施設
審議事項	〔その他〕 ・モニタリング報告書（2 施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。
審議結果	<u>承認</u>

18)

成分記号	BAY59-7939	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	Fontan 手術施行後の 2～8 歳の小児における血栓予防を目的とした、リバーロキサバン投与の薬物動態、薬力学的効果、安全性及び有効性を検討する前向き、非盲検、実薬対照試験		
治験依頼者	バイエル薬品株式会社		
治験実施施設	3 施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（3 施設からの審議依頼による） 〔治験に関する変更〕 ・治験分担医師の変更（1 施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
審議結果	<u>承認</u>		

19)

成分記号	D961H	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本人小児患者を対象とした D961H の第Ⅲ相オープン試験		
治験依頼者	アストラゼネカ株式会社		
治験実施施設	5 施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象、研究報告（5 施設からの審議依頼による） 〔重篤な有害事象等〕 ・SAE 等報告書（1 施設からの審議依頼による） 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・安全性報告に関するレター（5 施設）		
審議結果	<u>承認</u>		

20)

成分記号	JR-141	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	JR-141 のムコ多糖症 II 型患者を対象とした第Ⅱ/Ⅲ相試験		

治験依頼者	JCR ファーマ株式会社
治験実施施設	7 施設
審議事項	<報告> ・ 治験実施計画書別冊 (7 施設)

21)

成分記号	MK-3009	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	MSD 株式会社の依頼による MK-3009 第Ⅱ相試験		
治験依頼者	MSD 株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (4 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
審議結果	<u>承認</u>		

22)

成分記号	TS-071	開発相	第Ⅰ相
治験課題名	TS-071 の第Ⅰ相臨床薬理試験		
治験依頼者	大正製薬株式会社		
治験実施施設	3 施設		
審議事項	〔安全性情報〕 ・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (3 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		
審議結果	<u>承認</u>		

23)

成分記号	LY3009104	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本イーライリリー株式会社の依頼による若年性特発性関節炎を対象とした LY3009104 の第Ⅲ相二重盲検試験		
治験依頼者	日本イーライリリー株式会社		
治験実施施設	3 施設		

審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (3 施設からの審議依頼による) <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施報告書補遺 (3 施設からの審議依頼による) ・治験サポートコンテンツ、A. 治験とは-新薬ができるまで、2. この病院で実施中の治療について、B. 新しいお薬「バリシチニブ」、4. 治験期間中サポート (1 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施計画書別冊 (3 施設)
審議結果	承認

24)

成分記号	LY3009104	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本イーライリリー株式会社の依頼による若年性特発性関節炎を対象とした LY3009104 の長期第Ⅲ相試験		
治験依頼者	日本イーライリリー株式会社		
治験実施施設	3 施設		
審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (3 施設からの審議依頼による) <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験サポートコンテンツ、A. 治験とは-新薬ができるまで、2. この病院で実施中の治療について、B. 新しいお薬「バリシチニブ」、4. 治験期間中サポート (1 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施計画書別冊 (3 施設) 		
審議結果	承認		

25)

成分記号	TMX-67	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	帝人ファーマ株式会社の依頼による痛風を含む高尿酸血症の小児患者を対象とした TMX-67 の第Ⅱ相試験		
治験依頼者	帝人ファーマ株式会社		
治験実施施設	8 施設		
審議事項	<p>[安全性情報]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・措置報告 (8 施設からの審議依頼による) ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (8 施設からの審議依頼による) <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
審議結果	承認		

26)

成分記号	JR-401	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	SHOX 異常症における低身長に対する JR-401 の第Ⅲ相試験		
治験依頼者	JCR ファーマ株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	[治験に関する変更] ・投薬記録表の変更 (3 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・治験実施計画書別紙 (4 施設)		
審議結果	<u>承認</u>		

27)

成分記号	somapacitan	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象として、somapacitan の週 1 回投与の有効性及び安全性を 1 日 1 回投与の Norditropin® と比較検討する		
治験依頼者	ノボ ノルディスクファーマ株式会社		
治験実施施設	14 施設		
審議事項	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (14 施設からの審議依頼による) [治験に関する変更] ・治験実施計画書、Protocol-amendment、同意説明文書 (14 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。 <報告> ・治験実施計画書別冊 (14 施設)		
審議結果	<u>承認</u>		

28)

成分記号	somapacitan	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	2 歳又はそれ以上の年齢においても成長の catch-up がみられなかった Smallfor Gestational Age 性低身長症患者を対象として、somapacitan の週 1 回投与の有効性及び安全性を 1 日 1 回投与の Norditropin® と比較検討する用量設定試験		
治験依頼者	ノボ ノルディスクファーマ株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 (4 施設からの審議依頼による) [治験に関する変更] ・治験実施計画書、Protocol-amendment、同意説明文書 (4 施設からの審議依頼による) 以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。		

審議結果	承認
------	----

29)

成分記号	TMX-67	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	帝人ファーマ株式会社の依頼による痛風を含む高尿酸血症の小児患者を対象とした TMX-67 の第Ⅱ相試験（継続試験）		
治験依頼者	帝人ファーマ株式会社		
治験実施施設	5 施設		
審議事項	<p>〔安全性情報〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象、研究報告、措置報告、（1 施設からの審議依頼による） ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象、措置報告（4 施設からの審議依頼による） <p>〔治験に関する変更〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験薬概要書（1 施設からの審議依頼による） <p>〔新規審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施施設追加（1 施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
審議結果	承認		

30)

成分記号	BAY 86-5321	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	未熟児網膜症患者（ROP）を対象としたアフリベルセプトの硝子体内（IVT）投与による有効性、安全性及び忍容性について、網膜光凝固術を対照に検討する非遮蔽、無作為化、2 群比較試験		
治験依頼者	バイエル薬品株式会社		
治験実施施設	3 施設		
審議事項	<p>〔安全性情報〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（3 施設からの審議依頼による） <p>〔治験に関する変更〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験分担医師の変更（1 施設からの審議依頼による） <p>以上について、引き続き治験を実施することの妥当性について審議した。</p>		
審議結果	承認		

31)

成分記号	JR-141	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	JR-141 のムコ多糖症Ⅱ型患者を対象とした継続投与試験		
治験依頼者	JCR ファーマ株式会社		
治験実施施設	7 施設		

審議事項	<報告> ・治験実施計画書別冊（7施設）
------	-------------------------

32)

成分記号	NN7415	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	インヒビターを保有しない血友病 A 及び B 患者を対象とした concizumab の予防治療における有効性及び安全性の検討		
治験依頼者	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社		
治験実施施設	3施設		
審議事項	<報告> ・新規審査結果に対する修正対応報告（3施設）		

以上