

**令和2年度 第9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2年12月15日(火) 14:00~15:44
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4階 会議室41
出席委員	金子 剛、山谷 明正、鈴木 康之、前川 貴伸、松谷 弘子、後藤 裕明、三浦 大、掛江 直子、双川 歳昌、田原 真理、岩田 敏、高橋 尚人、赤羽根 秀宜、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	Lonapegsomatropin	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	PRA ヘルスサイエンス株式会社の依頼による日本人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 lonapegsomatropin の第3相試験		
治験依頼者	(治験国内管理人) PRA ヘルスサイエンス株式会社		
治験実施施設	6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>		

2)

成分記号	ALXN1210	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	アレクシオンファーマ合同会社の依頼による造血幹細胞移植(HSCT)後に血栓性微小血管症(TMA)を呈する患者を対象としたラブリズマブの第Ⅲ相試験		
治験依頼者	アレクシオンファーマ合同会社		
治験実施施設	3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	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	1 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（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>

2)

成分記号	N9-GP	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	治療歴のない血友病 B 患者を対象とした nonacog beta pegol (N9-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	1 施設		
審議事項	<報告> ・治験実施計画書別冊（1 施設）		

3)

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	[安全性情報] ・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） [治験に関する変更] ・リーフレット：お子様が心不全のご家族の方へ（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> ・治験実施計画書別添資料（10 施設）		
審議結果	<u>承認</u>		

4)

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	6 施設		

審議事項	<報告> ・ 治験実施計画書別冊、治験安全性最新報告概要（6 施設）
------	---------------------------------------

5)

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	〔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。		
審議結果	<u>承認</u>		

6)

成分記号	R07034067	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	脊髄性筋萎縮症Ⅱ型及びⅢ型患者を対象とした R07034067 の安全性、忍容性、薬物動態、薬力学及び有効性を検討する 2 パートシームレス多施設共同ランダム化プラセボ対照二重盲検試験		
治験依頼者	中外製薬株式会社		
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>		

7)

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	2 施設		
審議事項	<報告> ・ 治験終了報告書（2 施設）		

8)

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>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施計画書、治験実施計画書添付資料、同意説明文書、アセント文書 (3 施設からの審議依頼による) ・治験薬投与に関する説明、治験薬について (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>

9)

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	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 (3 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 (1 施設) 		
審議結果	<u>承認</u>		

10)

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	<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 (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"> ・治験終了報告書 (3 施設) 		
審議結果	<u>承認</u>		

11)

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	<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（2 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"> ・同意説明文書、男性参加者の女性パートナーへの説明文書（2 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（2 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>		

12)

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	<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> <p><報告></p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験実施計画書別紙（5 施設） 		
審議結果	<u>承認</u>		

13)

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>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>		

14)

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	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	承認

15)

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	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（5 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> ・終了報告書（1 施設）		
審議結果	承認		

16)

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児を対象として、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（10 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（4 施設）		
審議結果	承認		

17)

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	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>[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

18)

成分記号	SHP607	開発相	第Ⅱb相
治験課題名	株式会社新日本科学 PPD（治験国内管理人）の依頼による超早産児を対象とした SHP607 の第 2b 相比較試験		
治験依頼者	（治験国内管理人）株式会社新日本科学 PPD		
治験実施施設	2 施設		
審議事項	<p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ Protocol_Administrative_Memo（2 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		

19)

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バ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、措置報告（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"> ・ 治験終了報告書（1 施設） 		
審議結果	承認		

20)

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） 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>

21)

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	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>		

22)

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	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（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>		

23)

成分記号	PF-00914730	開発相	第Ⅲ/Ⅳ相
治験課題名	ファイザー株式会社の依頼による、小児患者を対象とした PF-00914730 の第3/4相試験		
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（6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>		

24)

成分記号	L-105	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	L-105 の小児肝性脳症患者を対象とした第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験		
治験依頼者	あすか製薬株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	[治験に関する変更] ・ 治験実施計画書（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		

25)

成分記号	ベンラリズマブ	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	アストラゼネカ株式会社の依頼による重症の好酸球性喘息の小児を対象としたベンラリズマブの第Ⅲ相試験		
治験依頼者	アストラゼネカ株式会社		
治験実施施設	1 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（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	承認		

26)

成分記号	BAY 86-5321	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	試験 20090 で治験治療を受けた未熟児網膜症患者を対象とした長期経過の評価を目的とした継続試験		
治験依頼者	バイエル薬品株式会社		
治験実施施設	1 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、措置報告（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	承認		

27)

成分記号	nemolizumab	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	nemolizumab の小児アトピー性皮膚炎患者に対する第Ⅲ相試験 -比較/長期継続投与試験-		
治験依頼者	マルホ株式会社		
治験実施施設	7 施設		
審議事項	[治験に関する変更] ・ 治験責任医師の変更、治験分担医師の変更、同意説明文書、治験参加カード（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> ・ 治験実施計画書別紙、治験実施計画書読み替えレター (7 施設)
審議結果	承認

28)

成分記号	OFT-G1	開発相	
治験課題名	心臓修復手術が適応となる先天性心疾患患者を対象とした心・血管修復パッチ OFT-G1 の前向き多施設共同単群試験 (ピボタル試験)		
治験依頼者	帝人ファーマ株式会社		
治験実施施設	2 施設		
審議事項	〔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。		
審議結果	承認		

29)

成分記号	PNU-180307	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本人プラダー・ウィリ症候群 (PWS) 患者を対象にソマトロピンの有効性および安全性を評価する第 3 相, 多施設共同, 非盲検, 多コホート試験		
治験依頼者	ファイザー株式会社		
治験実施施設	3 施設		
審議事項	<報告> ・ 新規審査時の修正対応 (3 施設)		

以上