

令和3年度 第11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4年2月15日(火) 14:00~15:22
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1階 会議室12
出席委員	鈴木 康之、山谷 明正、小崎 里華、前川 貴伸、嶋田 せつ子、三浦 大、柳町 昌克、掛江 直子、菊池 耕徳、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	CC-93538	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本人の成人及び青年の好酸球性胃腸炎患者を対象とした CC-93538 の有効性及び安全性を評価する第3相、多施設共同、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照、導入・維持試験		
治験依頼者	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社		
治験実施施設	2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. 治験継続の審議

1)

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	〔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	<u>承認</u>		

2)

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	〔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（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>

3)

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	〔治験に関する変更〕 ・転院時の治験に関する資料の取扱いに関する同意書（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	<u>承認</u>		

4)

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>		

5)

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。 <報告> ・治験実施計画書別紙（4施設）
審議結果	承認

6)

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	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） ・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> ・対照薬の緊急安全性対策レター（3施設）		
審議結果	承認		

7)

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） ・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		

8)

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	〔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〕 ・同意説明文書（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	<u>承認</u>

9)

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） 〔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、治験参加カード（1施設からの審議依頼による） ・アセント文書（1施設からの審議依頼による） ・同意説明文書（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>		

10)

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儿を対象として、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	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） 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>		

11)

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性低身長症患儿を対象として、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	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>

12)

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	<報告> ・外部パートナーとの協議に関するレター（2施設）		

13)

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	5 施設		
審議事項	[治験に関する変更] ・治験責任医師の変更、治験の費用の負担（被験者への支払）について、治験実施計画書別冊（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> ・治験実施計画書別冊（4施設）		
審議結果	<u>承認</u>		

14)

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	[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。 <報告> ・治験実施計画書別冊（3施設）		
審議結果	<u>承認</u>		

15)

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	<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"> ・治験責任医師の変更、治験分担医師の変更（1施設からの審議依頼による） ・アセント文書（1施設からの審議依頼による） ・同意説明文書、治験参加カード（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>		

16)

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	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>		

17)

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	1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（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	<u>承認</u>		

18)

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	<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>		
審議結果	承認		

19)

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	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"> ・治験薬概要書（6 施設からの審議依頼による） ・治験責任医師の変更（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"> ・治験実施計画書読み替えレター（6 施設） 		
審議結果	承認		

20)

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	<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"> ・治験実施計画書（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	承認		

21)

成分記号	PNU-180307	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本人ブラダー・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	<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"> 治験実施計画書 (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	承認		

22)

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	<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、治験安全性最新報告概要 (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、治験薬概要書 (6施設からの審議依頼による) 被験者の募集手順(広告等)に関する資料/パンフレット (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"> 治験実施計画書別紙 (6施設) 		
審議結果	承認		

23)

成分記号	CP-690, 550	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、潰瘍性大腸炎を有する小児患者を対象とした CP-690, 550 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	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、措置報告 (5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		

24)

成分記号	TAK-536	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	武田薬品工業株式会社の依頼による 2 歳以上 6 歳未満の小児高血圧症患者を対象とした TAK-536 の第 3 相試験		
治験依頼者	武田薬品工業株式会社		
治験実施施設	8 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・ 治験薬概要書（8 施設からの審議依頼による） ・ 同意説明文書（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		

25)

成分記号	CC-93538	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	成人及び青年の好酸球性食道炎患者を対象とした CC-93538 の有効性及び安全性を評価する第 3 相、多施設共同、国際共同、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照、導入・維持試験		
治験依頼者	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社		
治験実施施設	2 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・ 健康被害補償の概要について（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		

26)

成分記号	JR-141	開発相	製販後
治験課題名	ムコ多糖症 II 型患者を対象としたイズカーゴの製造販売後臨床試験		
治験依頼者	JCR ファーマ株式会社		
治験実施施設	6 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・ 治験責任医師の変更、治験実施計画書別冊（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> ・ 治験実施計画書別冊（5 施設）		
審議結果	承認		

27)

成分記号	Cx601	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	クローン病を伴う小児患者の肛門周囲複雑瘻孔の治療における darvadstrocel の有効性及び安全		

	性を、24 週間及び最長 52 週間の継続観察期にわたり検討する第 3 相多施設共同非盲検試験
治験依頼者	武田薬品工業株式会社
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） 〔治験に関する変更〕 ・治験製品概要書、治験製品概要書補遺（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。 <報告> ・治験実施計画書別紙（2 施設）
審議結果	承認

28)

成分記号	QGE031	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	ピーナッツアレルギー患者を対象に ligelizumab (QGE031) の有効性及び安全性を評価する試験		
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	〔治験に関する変更〕 ・被験者の募集手順に関する資料、リーフレット（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	Chronocort	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	先天性副腎過形成を有する 16 歳以上の患者を対象として Chronocort を標準治療であるヒドロコルチゾン補充療法と比較する二重盲検試験		
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		
治験実施施設	2 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・ePRO、検体採取手順書（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	承認		

30)

成分記号	JR-142	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	JR-142 の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第Ⅱ相試験の継続投与試験		

治験依頼者	JCR ファーマ株式会社
治験実施施設	1 施設
審議事項	<報告> ・ 治験実施計画書別冊 (1 施設)

以上