

**令和4年度 第8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11月15日(火) 14:00~15:54
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、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	SPJ-101CA	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	新規発症高リスク神経芽腫の維持療法としてのSPJ-101CAの安全性・有効性および薬物動態試験		
治験依頼者	医師主導治験		
治験実施施設	4施設		
審議事項	〔新規審査〕 治験調整医師(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	DRB436 / TMT212	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	ノバルティス ファーマ株式会社依頼によるDRB436/TMT212のロールオーバー試験		
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	〔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>		

3)

成分記号	CC-93538	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	好酸球性食道炎患者を対象としたCC-93538の第3相継続投与試験		
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	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	承認

2. 治験継続の審議

※) 〔安全性情報〕の「当該治験薬で発生した重篤な有害事象」には個別症例報告、年次報告（治験安全性最新報告概要）、研究報告、措置報告、使用上の注意改訂のお知らせを含む。

1)

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> ・ 治験終了報告書		

2)

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	5 施設		
審議事項	<報告> ・ 治験薬概要書 ・ 治験実施計画書別冊 ・ 治験終了報告書		

3)

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	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 〔治験に関する変更〕 ・ 治験分担医師の変更 〔重篤な有害事象等〕 ・ SAE 等報告書		

	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	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 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		
審議結果	承認		

5)

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 [治験に関する変更] ・治験分担医師の変更 [重篤な有害事象等] ・SAE 等報告書 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		

6)

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 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
------	----

7)

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	6 施設		
審議事項	<報告> ・ 治験実施計画書別冊		

8)

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	[治験に関する変更] ・ 治験薬概要書 ・ 治験分担医師の変更 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> ・ 治験安全性最新報告概要		
審議結果	承認		

9)

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	<報告> ・ 開発等に関する報告書		

10)

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	6 施設
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・ 治験分担医師の変更 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

11)

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 〔治験に関する変更〕 ・ 同意説明文書 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		

12)

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 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		

13)

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	〔安全性情報〕 ・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 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>
------	-----------

14)

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 ・治験使用薬添付文書の改訂 <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"> ・治験使用薬の適応追加承認取得に関するお知らせ 		
審議結果	<u>承認</u>		

15)

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	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 <p>[重篤な有害事象等]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・SAE 等報告書 <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 		

16)

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	<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 <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	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	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 [治験に関する変更] ・治験分担医師の変更 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		

18)

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] ・治験実施計画書の運用に関するレター 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		

19)

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		
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	[治験に関する変更] ・治験実施計画書 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		

20)

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istol・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	〔安全性情報〕 ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 〔治験に関する変更〕 ・治験分担医師の変更 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

21)

成分記号	NN7769	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	血液凝固第 VIII 因子インヒビターを保有する又は保有しない成人及び青年血友病 A 患者を対象とした NNC0365-3769 (Mim8) の有効性及び安全性を検討する国際共同、非盲検、無作為化、比較対照試験		
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	2 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・治験実施計画書（レター含む）、治験薬概要書 ・治験薬添付文書の発行 ・被験者日誌 ・治験薬使用説明書等 ・同意説明文書、アセント文書 ・治験分担医師の変更 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		

22)

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 〔治験に関する変更〕 ・同意説明文書 ・治験分担医師の変更 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		

23)

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	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 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		

24)

成分記号	SZC	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小児の高カリウム血症を対象とした SZC の第 3 相臨床試験		
治験依頼者	アストラゼネカ株式会社		
治験実施施設	6 施設		
審議事項	[治験に関する変更] ・同意説明文書、アセント文書 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	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	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 [治験に関する変更] ・治験の費用の負担(被験者への支払)について ・被験者募集のポスター 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-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	〔治験に関する変更〕 ・ 治験実施計画書 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	RPC1063	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社の依頼による活動性潰瘍性大腸炎小児患者を対象とした RPC1063 の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
治験依頼者	ブリistol・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	<報告> ・ 新規審査結果に対する修正報告		

28)

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istol・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	〔安全性情報〕 ・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 〔治験に関する変更〕 ・ 治験分担医師の変更 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	NN7415	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	インヒビターを保有する又は保有しない 12 歳未満の小児血友病 A 又は B 患者を対象とした concizumab による予防治療の有効性、安全性及び薬物動態を検討する非盲検試験 (NN7415-4616)		
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	〔安全性情報〕 ・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 〔治験に関する変更〕 ・ お子様への支援-血液検査に関するガイドブック 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	ABT-494 (Upadacitinib)	開発相	第Ⅰ相
治験課題名	アッヴィ合同会社の依頼による ABT-494 (Upadacitinib) の第Ⅰ相試験		
治験依頼者	アッヴィ合同会社		
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 ・治験使用薬添付文書の改訂 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		

31)

成分記号	NRL-1	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	てんかん重積状態もしくはそのリスクを有する日本人小児患者に対する治験薬(鼻腔内投与)の有効性及び安全性を検討する第Ⅲ相、多施設共同、非盲検試験		
治験依頼者	アキュリスファーマ株式会社		
治験実施施設	6 施設		
審議事項	[治験に関する変更] ・治験実施計画書 ・同意説明文書、治験参加カード 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 ・ePRO 利用ガイド		
審議結果	承認		

32)

成分記号	BAX602	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	バクスター株式会社の依頼による小児先天性心疾患患者を対象とした BAX602 の安全性及び有効性に関する試験		
治験依頼者	バクスター株式会社		
治験実施施設	3 施設		
審議事項	[治験に関する変更] ・治験実施計画書 ・治験機器概要書 ・同意説明文書 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		

33)

成分記号	GWP42003-P	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	(治験国内管理人) IQVIA サービスズ ジャパン株式会社の依頼によるレノックス・ガストー症候群、ドラベ症候群または結節性硬化症患者を対象としたカンナビジオール経口液剤 (GWP42003-P) の第3相試験		
治験依頼者	(治験国内管理人) IQVIA サービスズ ジャパン株式会社		
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 [治験に関する変更] ・電子日誌、質問票 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		

34)

成分記号	MR19A13A	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	丸石製薬株式会社の依頼による MR19A13A の第Ⅱ相試験		
治験依頼者	丸石製薬株式会社		
治験実施施設	6 施設		
審議事項	< 報告 > ・新規審査結果に対する修正報告		

35)

成分記号	MR19A13A	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	丸石製薬株式会社の依頼による小児患者を対象とした MR19A13A の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
治験依頼者	丸石製薬株式会社		
治験実施施設	10 施設		
審議事項	< 報告 > ・新規審査結果に対する修正報告		

以上