

**令和5年度 第4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5年7月18日(火) 14:00~15:21
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、小崎 里華、赤羽 三貴、前川 貴伸、嶋田 せつ子、三浦 大、柳町 昌克、 村井 清人、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	BAY 1747846	開発相	第I/III相
治験課題名	造影MRI検査を受ける小児患者(0歳から18歳未満)を対象に gadoquatrane の薬物動態及び安全性を検討する多施設共同、前向き、非盲検試験		
治験依頼者	バイエル薬品株式会社		
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	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	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 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		
審査結果	承認		

2)

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 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> ・開発中止等に関する報告書		
審議結果	<u>承認</u>		

3)

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	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 [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	<u>承認</u>		

4)

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 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	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。 <報告> ・治験実施計画書別冊
審議結果	承認

6)

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	9 施設		
審議事項	<報告> ・開発の中止等に関する報告書		

7)

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	10 施設		
審議事項	<報告> ・治験実施計画書別冊		

8)

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		

9)

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	7 施設		
審議事項	< 報告 > ・ 開発の中止等に関する報告書		

10)

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 > ・ 治験実施計画書別冊		

11)

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。 < 報告 > ・ 治験実施計画書別冊		
審議結果	<u>承認</u>		

12)

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	承認

13)

成分記号	Evinacumab	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	家族性高コレステロール血症ホモ接合体患者を対象にエビナクマブの長期安全性及び有効性を評価するオープンラベル試験		
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		
治験実施施設	1 施設		
審議事項	<報告> ・ 治験終了報告書		

14)

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	[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。 <報告> ・ 治験実施計画書		
審議結果	承認		

15)

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	[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> ・ 迅速審査：分担医師の変更 ・ 治験実施計画書別紙		
審議結果	承認		

16)

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> <p>・当該治験薬で発生した重篤な有害事象</p> <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		

17)

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	4施設		
審議事項	<p>[安全性情報]</p> <p>・当該治験薬で発生した重篤な有害事象</p> <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	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	8施設		
審議事項	<p>[安全性情報]</p> <p>・当該治験薬で発生した重篤な有害事象</p> <p>[治験に関する変更]</p> <p>・アセント文書、同意説明文書、治験参加カード</p> <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	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〕 ・治験の費用の負担(被験者への支払)に関する文書 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	<u>承認</u>

20)

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	5 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・治験薬概要書補遺 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		
審議結果	<u>承認</u>		

21)

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	1 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・治験薬概要書 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	<u>承認</u>		

22)

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	< 報告 > ・ 治験実施計画書別冊

23)

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	< 報告 > ・ 治験スタッフ等の個人情報の取り扱いに関するレター ・ 治験実施計画書別紙		

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	[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>		

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] ・ 治験実施計画書 ・ 治験に係る補償制度の概要 ・ ePRO ・ 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	<u>承認</u>		

26)

成分記号	RPC1063	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	ブリストル・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	<p>[安全性情報]</p> <p>・当該治験薬で発生した重篤な有害事象</p> <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		

27)

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	<p>[治験に関する変更]</p> <p>・治験薬概要書</p> <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		

28)

成分記号	NN8640	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	Small for Gestational Age 性低身長症、ターナー症候群における低身長、ヌーナン症候群における低身長又は特発性低身長症の患児を対象として、週1回投与のソマプシタンの効果及び安全性を1日1回投与のノルディトロピン®と比較し、ソマプシタンの長期安全性を評価するバスケット試験		
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	7 施設		
審議事項	<p><報告></p> <p>・治験実施計画書別冊</p>		

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	<報告> ・ 治験実施計画書別冊

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 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	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] ・ 治験薬概要書 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		

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。 <報告> ・ 治験実施計画書別紙		

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 サービスーズ 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 サービスーズ 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] ・同意説明文書 ・外出説明文書 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		

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> ・治験実施計画書等管理上の変更のお知らせ ・治験実施計画書別紙		

35)

成分記号	MR19A13A	開発相	第Ⅱ/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> ・治験実施計画書等管理上の変更のお知らせ ・治験実施計画書別紙		

36)

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	[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

37)

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	[治験に関する変更] ・ 治験薬概要書 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		

38)

成分記号	PF-06741086	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インヒビター保有または非保有の小児血友病患者を対象とした marstacimab 定期投与第 3 相試験		
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	[治験に関する変更] ・ 同意説明文書、アセント文書 ・ 治験実施計画書、治験実施計画書の運用及び記載の変更に関するレター ・ 被験者日誌 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> ・ Enrollment Letter ・ 治験実施計画書別冊		
審議結果	承認		

39)

成分記号	CTL019	開発相	第Ⅲ相 b
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 CTL019 の第Ⅲ相 b 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]		

	<ul style="list-style-type: none"> ・ 治験製品概要書 〔新規審査〕 ・ 治験実施施設追加 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>

40)

成分記号	FYU-981	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	痛風を含む高尿酸血症の小児患者を対象とした FYU-981 の長期継続投与試験		
治験依頼者	株式会社富士薬品		
治験実施施設	3 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・ 治験の費用の負担(被験者への支払)に関する文書 〔新規審査〕 ・ 治験実施施設追加 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>		

41)

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	〔重篤な有害事象等〕 ・ SAE 等報告書 〔モニタリング〕 ・ モニタリング報告書 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	<u>承認</u>		

42)

成分記号	Chronocort	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	先天性副腎過形成患者を対象とする Chronocort の長期安全性試験		
治験依頼者	(国内治験管理人) サイネオス・ヘルス・クリニカル株式会社		
治験実施施設	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 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>		

以上