

**令和5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5年10月17日(火) 14:00~15:35
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、掛江 直子、村井 清人、田原 真理、岩田 敏、高橋 尚人、赤羽根 秀宜 ※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	タクロリムス水和物	開発相	製販後
治験課題名	タクロリムス軟膏0.03%の乳幼児アトピー性皮膚炎患者に対する第IV相試験ー長期投与試験ー		
治験依頼者	マルホ株式会社		
治験実施施設	2施設		
審議事項	〔新規審査〕 製造販売後臨床試験分担医師(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、試験実施の適否について審議した。		
審議結果	承認		

2)

成分記号	RBM-007	開発相	第II相
治験課題名	軟骨無形成症の小児を対象とした観察試験		
治験依頼者	株式会社リボミック		
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	承認		

3)

成分記号	RBM-007	開発相	第II相
治験課題名	RBM-007の軟骨無形成症の小児を対象とした前期第II相試験		
治験依頼者	株式会社リボミック		
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>

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	〔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。		
審査結果	<u>承認</u>		

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	3 施設		
審議事項	<報告> ・治験終了報告書		

3)

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 〔治験に関する変更〕 ・治験実施計画書 ・質問票（タナー段階）		

	・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	<u>承認</u>

4)

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	[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	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	[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	<u>承認</u>		

6)

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] ・治験実施計画書 ・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	<u>承認</u>

7)

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	<u>承認</u>		

8)

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>		

9)

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	[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>		

10)

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。
審議結果	承認

11)

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	[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 ・治験の費用の負担(被験者への支払)に関する文書 [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		

12)

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	[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		

13)

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 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	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	[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>		

15)

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] ・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	<u>承認</u>		

16)

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	<p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施計画書別紙 ・ 治験分担医師の変更 <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
審議結果	承認

17)

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	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 <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 		
審議結果	承認		

18)

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> <ul style="list-style-type: none"> ・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象 <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 被験者募集に関する資料 ・ 治験参加カード <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	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>[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>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験分担医師の変更 <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>
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	<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	承認		

21)

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	<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	承認		

22)

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 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	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	< 報告 > ・ 治験実施計画書別紙		

24)

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 [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		

25)

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	[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。 < 報告 > ・ 治験薬概要書 ・ 治験実施計画書別紙		
審議結果	承認		

26)

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 [治験に関する変更] ・介護者のための用法用量ガイド 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。		
審議結果	承認		

27)

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] ・治験実施計画書 ・同意説明文書 ・治験薬使用説明書 ・質問票 ・Study Drug Exposure-Subject 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		

28)

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	<報告> ・治験実施計画書の運用および記載の変更に関するレター ・被験者提供資材一覧 ・治験実施計画書別冊		

29)

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 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 <p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・同意説明文書 ・妊娠時の追跡調査に関する説明文書 <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>
審議結果	<u>承認</u>

30)

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	<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>[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 ・同意説明文書 ・治験分担医師の変更 <p>[モニタリング]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・モニタリング報告書 <p>[監査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・監査報告書 <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>		
審議結果	<u>承認</u>		

31)

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

32)

成分記号	QGE031	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食物アレルギー患者を対象とした QGE031 の第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	2 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・実施医療機関外での自己投与に関する説明書等 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	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 gadopentate 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	〔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 Note to File 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	nemolizumab	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	nemolizumab の乳幼児及び小児アトピー性皮膚炎患者を対象とした第Ⅲ相試験—比較/長期投与試験—（治験実施計画書番号：M525101-06）		
治験依頼者	マルホ株式会社		
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 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		

35)

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血友病 A 患者を対象とした Mim8 の長期安全性及び有効性を検討する非盲検試験		
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> ・新規審査結果に対する修正報告		

以上