

**令和6年度 第3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6年6月18日（火）14：00～15:56
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、赤羽 三貴、前川 貴伸、嶋田 せつ子、三浦 大、柳町 昌克、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	JNJ-80202135	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	重度の胎児新生児溶血性疾患のリスクを有する妊娠を対象に Nipocalimab の有効性と安全性を評価する第Ⅲ相、多施設共同、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照試験		
治験依頼者	ヤンセンファーマ株式会社		
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	<u>承認</u>		

2)

成分記号	ABT-199/CMA-676/シタラビン/アザシチジン	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	小児再発急性骨髄性白血病に対してフルダラビン+シタラビン+ゲムツズマブオゾガマイシンにベネトクラクス併用の有無を検証するランダム化比較第Ⅲ相試験		
治験依頼者	医師主導治験		
治験実施施設	5 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	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] ・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		

2)

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	<報告> ・治験実施計画書別冊		

3)

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	5 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、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。 <報告> ・治験実施計画書別冊		
審議結果	承認		

4)

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 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

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		

6)

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- (治験実施計画書番号: M525101-04)		
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	< 報告 > ・開発報告書		

7)

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	2 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 >		

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

8)

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及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 > ・ 治験終了報告書		

9)

成分記号	Lonapegsomatropin	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	ICON クリニカルリサーチ合同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) ICON クリニカルリサーチ合同会社		
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>		

10)

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>		

11)

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	[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>

12)

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	[治験に関する変更] ・被験者募集手順 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>		

13)

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] ・治験実施計画書別紙 ・治験参加カード、アセント文書、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>		

14)

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	[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
------	----

15)

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	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	承認		

16)

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	9 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。		
審議結果	承認		

17)

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 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	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	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		

19)

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・ジャパン株式会社		
治験実施施設	5 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。		
審議結果	承認		

20)

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 ジャパン合同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 ジャパン合同会社		
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 ・クロバザムに係る科学的知見を記載した文書 ・同意説明文書、アセント文書、妊娠時の追跡調査に関する説明文書 ・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		

21)

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	<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 ・同意説明文書、アセント文書 <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	承認

22)

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	<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		

23)

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	<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"> ・外部データモニタリング委員会からのレター 		
審議結果	承認		

24)

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Ⅲb 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	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] ・治験製品概要書 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

25)

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	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象 [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	承認		

26)

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 [治験に関する変更] ・同意説明文書、妊娠したパートナーの方への説明文書 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		

27)

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	[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

28)

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 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	ABT-494	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	活動性潰瘍性大腸炎を有する小児患者を対象としたウパダシチニブの第 III 相試験		
治験依頼者	アッヴィ合同会社		
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		

30)

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—長期投与試験—		
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	[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> ・治験実施計画書別紙		
審議結果	承認		

31)

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	〔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 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	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	〔治験に関する変更〕 ・ 治験実施計画書 ・ 治験責任医師の変更、治験分担医師の変更、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		

33)

成分記号	AMG 785	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	アムジェン株式会社の依頼による骨形成不全症の小児及び青年患者を対象とした AMG 785 の第Ⅲ相試験		
治験依頼者	アムジェン株式会社		
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。 < 報告 > ・ 治験実施計画書別紙		
審議結果	承認		

34)

成分記号	LCZ696	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	ノバルティス ファーマ株式会社の依頼による長期投与試験完了後の小児心不全患者を対象とした LCZ696 の第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	〔治験に関する変更〕 ・添付文書 〔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

35)

成分記号	APD334 / PF-07915503	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	ファイザー株式会社の依頼による APD334 / PF-07915503 の第Ⅱ相試験		
治験依頼者	ファイザー株式会社		
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、アセント文書、妊娠時の追跡調査に関する説明文書 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		

36)

成分記号	PF-07321332	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	重症化リスクの高い症候性の小児 COVID-19 外来患者を対象にニルマトレルビル/リトナビルの安全性、薬物動態および有効性を評価する第 2/3 相試験		
治験依頼者	ファイザー株式会社		
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	TAK-620	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小児及び青年期の造血幹細胞移植 (HSCT) 患者又は固形臓器移植 (SOT) 患者におけるサイトメガロウイルス (CMV) 感染/感染症を対象とした TAK-620 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	〔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〕 ・健康被害補償の概要 ・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

38)

成分記号	ABT-494	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	活動性クローン病を有する小児患者を対象としたウパダシチニブの第Ⅲ相試験		
治験依頼者	アッヴィ合同会社		
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	承認		

39)

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血友病治験参加者を対象とした marstacimab 非盲検延長第3相試験		
治験依頼者	ファイザー株式会社		
治験実施施設	2 施設		
審議事項	<報告> ・新規審査結果に対する修正対応報告		

以上