

# 第184回治験審査委員会議事録概要

- 日 時 令和5年4月12日（水）15時00分～15時55分
- 場 所 埼玉県立小児医療センター 6階 6-2, 6-3 会議室
- 出席者（11名）

委員長	科長（医師）	清水 正樹
副委員長	科長（医師）	康 勝好
委員	科長（医師）	藤永 周一郎
委員	科長（医師）	菊池 健二郎
委員	科長（医師）	杉山 正彦
委員	副病院長兼看護部長	中田 尚子
委員	薬剤部副部長	嶋崎 幸也
委員	薬剤部副部長	石井 香織
委員	事務局長	飯澤 真人
委員	会計課長	小澤 正利
外部委員	城西大学教授	関 俊暢

- 欠席者（1名）

外部委員 けやき特別支援学校長 尾上 直也

## I 審議事項

### 1. 変更申請の再審査について（2件）

(1)

管理番号	治 2022-5
治験課題名	武田薬品工業株式会社の依頼によるアラジール症候群患者を対象とした TAK-625 の第3相試験
治験依頼者	武田薬品工業（株）
責任医師	岩間 達
審議事項	<p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 治験実施計画書</li> <li>・ 同意・説明文書 臨床試験への参加の同意</li> <li>・ 中学生以上の未成年の患者さん向け説明・アセント文書</li> <li>・ 小学生用 せつめい文書とアセント文書</li> <li>・ しょうがくせいになるまえのおこさんへ あたらしいおくすりについてのはなし</li> <li>・ 妊娠した女性パートナーのための説明・説明文書</li> <li>・ 被験者/親/介護者向け TAK-625 自己投与マニュアル</li> </ul> <p>以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。</p>
審議結果	修正の上承認

(2)

管理番号	治 2022-6
治験課題名	武田薬品工業株式会社の依頼による進行性家族性肝内胆汁うっ滞症（PFIC）患者を対象とした TAK-625 の第3相試験
治験依頼者	武田薬品工業（株）
責任医師	岩間 達
審議事項	[治験に関する変更]

	<ul style="list-style-type: none"> <li>・治験実施計画書</li> <li>・同意・説明文書 臨床試験への参加の同意</li> <li>・中学生以上の未成年の患者さん向け説明・アセント文書</li> <li>・小学生用 せつめい文書とアセント文書</li> <li>・しょうがくせいになるまえのおこさんへ あたらしいおくすりについてのはなし</li> <li>・妊娠した女性パートナーのための説明・説明文書</li> <li>・被験者/親/介護者向け TAK-625 自己投与マニュアル</li> </ul> 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	修正の上承認

## 2. 新規治験について (1件)

(1)

管理番号	治 2023-1
治験課題名	サノフィ株式会社の依頼による血友病の男性被験者を対象としたフィツシランの第 I I I 相試験
治験依頼者	サノフィ(株)
責任医師	康 勝好
審議事項	[新規審査] 治験責任医師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	修正の上承認

## 3. 重篤な有害事象について (1件)

(1)

管理番号	治 2020-5
治験課題名	中等症から重症の活動期クローン病の小児患者を対象としたウステキスマブの有効性、安全性及び薬物動態試験
治験依頼者	ヤンセンファーマ(株)
責任医師	岩間 達
審議事項	[重篤な有害事象] ・SAE 等報告書 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

## 4. 治験継続に関する審議 (19件)

※) [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)

管理番号	治 2019-5
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慢性移植片対宿主病を発症した小児患者を対象とした INC424 の第 II 相試験
治験依頼者	ノバルティス ファーマ (株)
責任医師	康 勝好
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(2)

管理番号	治 2019-8
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)
責任医師	康 勝好
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(3)

管理番号	治 2019-9
治験課題名	小児 HSCT 患者における MK-8228 による CMV 感染及び感染症の予防
治験依頼者	MSD (株)
責任医師	康 勝好
審議事項	[治験に関する変更] ・治験薬概要書 日本語版 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(4)

管理番号	治 2019-13
治験課題名	ATLAS-OLE: 血友病患者を対象とした fitusiran に関する試験
治験依頼者	サノフィ(株)
責任医師	康 勝好
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(5)

管理番号	治 2021-4
治験課題名	武田薬品工業株式会社の依頼による先天性プロテイン C 欠乏症の日本人患者を対象とした TAK-662 の第 1/2 相試験
治験依頼者	武田薬品工業(株)
責任医師	康 勝好
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(6)

管理番号	治 2022-1
治験課題名	血液凝固第 V I I I 因子インヒビターを保有する又は保有しない小児血友病 A 患者を対象とした NNC0365-3769 (Mim8) 皮下投与による予防治療の安全性、有効性及び暴露量の検討
治験依頼者	ノボ ノルディスク ファーマ(株)

責任医師	康 勝好
審議事項	[治験に関する変更] ・参加者ハンドブック ・被験者説明文書 補助資料 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(7)

管理番号	治 2019-2
治験課題名	軟骨無形成症の小児患者を対象とした BMN111 安全性及び有効性を評価する第Ⅲ相非盲検長期継続投与試験
治験依頼者	BioMarin Pharmaceutical Japan (株)
責任医師	田嶋 朝子
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(8)

管理番号	治 2020-2
治験課題名	軟骨無形成症の小児患者を対象として BMN 111 の安全性と有効性を評価する第 II 相非盲検長期継続投与試験
治験依頼者	BioMarin Pharmaceutical Japan (株)
責任医師	田嶋 朝子
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(9)

管理番号	治 2019-7
治験課題名	ドラベ症候群患者を対象とした ZX008 の第Ⅲ相試験
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)
責任医師	菊池 健二郎
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(10)

管理番号	治 2019-12
治験課題名	協和キリン株式会社(治験国内管理人)の依頼による慢性腎臓患者を対象とした RTA402(Bardoxolone methyl)の継続試験
治験依頼者	協和キリン(株)
責任医師	藤永 周一郎
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(11)

管理番号	治 2022-7
治験課題名	慢性腎臓病に伴う貧血に関する包括的コホート研究
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)
責任医師	藤永 周一郎
審議事項	[治験に関する変更] <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 治験実施計画書</li> <li>・ 同意説明文書</li> <li>・ 同意説明文書 (保護者/代諾者用)</li> <li>・ 小児アセント文書</li> </ul> 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(12)

管理番号	治 2022-8
治験課題名	CKD に伴う貧血に関する試験：新規 PHI ダプロデュスタットによる赤血球造血-小児
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)
責任医師	藤永 周一郎
審議事項	[治験に関する変更] <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 治験実施計画書</li> <li>・ 治験薬概要書補遺</li> <li>・ 同意説明文書</li> <li>・ 同意説明文書 (保護者/代諾者用)</li> <li>・ 小児アセント文書</li> </ul> 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(13)

管理番号	治 2020-4
治験課題名	中等症から重症の活動期潰瘍性大腸炎小児患者を対象としたウステキヌマブの有効性、安全性及び薬物動態試験
治験依頼者	ヤンセンファーマ(株)
責任医師	岩間 達
審議事項	[安全性情報] <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象</li> </ul> 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(14)

管理番号	治 2020-5
治験課題名	中等症から重症の活動期クローン病の小児患者を対象としたウステキヌマブの有効性、安全性及び薬物動態試験
治験依頼者	ヤンセンファーマ(株)
責任医師	岩間 達
審議事項	[安全性情報] <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 当該治験薬で発生した重篤な有害事象</li> </ul> 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(15)

管理番号	治 2022-5
治験課題名	武田薬品工業株式会社の依頼によるアラジール症候群患者を対象とした TAK-625 の第 3 相試験
治験依頼者	武田薬品工業 (株)
責任医師	岩間 達
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(16)

管理番号	治 2022-6
治験課題名	武田薬品工業株式会社の依頼による進行性家族性肝内胆汁うっ滞症 (PFIC) 患者を対象とした TAK-625 の第 3 相試験
治験依頼者	武田薬品工業 (株)
責任医師	岩間 達
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(17)

管理番号	治 2021-5
治験課題名	武田薬品工業株式会社の依頼による原発性免疫不全症候群 (PID) 日本人患者を対象として TAK-771 の第 3 相試験
治験依頼者	武田薬品工業 (株)
責任医師	菅沼 栄介
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 別紙 3 以上について、引き続き治験を実施する事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(18)

管理番号	医治 2022-1
治験課題名	小児・AYA 世代に好発する悪性腫瘍に対するシスプラチン投与による内耳毒性を軽減するチオ硫酸ナトリウムの第 II 相試験
治験依頼者	医師主導治験
責任医師	森 麻希子
審議事項	[治験に関する変更] ・治験実施計画書 ・治験実施計画書 別紙 3 ・同意説明文書 [モニタリング・監査] ・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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

(19)

管理番号	治 2022-4
治験課題名	シミック株式会社（治験国内管理人）の依頼による日本人のステル病（SJIA 及び AOSD）患者を対象とした anakinra の第Ⅲ相試験
治験依頼者	シミック（株）
責任医師	佐藤 智
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事の妥当性について審議した。
審議結果	承認

## II 報告事項

### 1. 開発の中止等に関する報告について（2件）

①

管理番号	治 2019-2
治験課題名	軟骨無形成症の小児患者を対象とした BMN111 安全性及び有効性を評価する第Ⅲ相非盲検長期継続投与試験
治験依頼者	BioMarin Pharmaceutical Japan（株）
責任医師	田嶋 朝子
審議事項	<報告> ・開発の中止等に関する報告書

②

管理番号	治 2020-2
治験課題名	軟骨無形成症の小児患者を対象として BMN 111 の安全性と有効性を評価する第 II 相非盲検長期継続投与試験
治験依頼者	BioMarin Pharmaceutical Japan（株）
責任医師	田嶋 朝子
審議事項	<報告> ・開発の中止等に関する報告書

### 2. 製造販売承認取得の報告について（2件）

①

管理番号	治 2021-3
治験課題名	沢井製薬株式会社の依頼による生物学的同等性試験
治験依頼者	沢井製薬（株）
責任医師	岩間 達
審議事項	<報告> ・開発の中止等に関する報告書

②

管理番号	治 2020-1
治験課題名	ONO-1101 後期第Ⅱ相/第Ⅲ相試験 小児の心機能低下例における頻脈性不整脈（心房細動、心房粗動、上室頻脈）を対象とした多施設共同非盲検非対照試験
治験依頼者	小野薬品工業（株）
責任医師	星野 健司

審議事項	<報告> ・開発の中止等に関する報告書
------	------------------------

### 3. 軽微な報告について (1件)

被験薬等	依頼者	診療科 責任医師	報告内容	備考、主な報告理由
TAK-662試験	武田薬品工業 (株)	血液・腫瘍科 康 勝好	TAK-662 IB Annual Review Letter (2023年2月24日)	治験薬概要書 改訂しない旨を通知する ためのレター