

第185回治験審査委員会議事録概要

- 日 時 令和5年5月10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 |
| 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 |
| 外部委員 | けやき特別支援学校長 | 尾上 | 直也 |

- 欠席者（1名）

| | | | |
|------|--------|---|----|
| 副委員長 | 科長（医師） | 康 | 勝好 |
|------|--------|---|----|

I 審議事項

1. 新規治験について（2件）

(1)

| | |
|-------|--|
| 管理番号 | 治 2023-2 |
| 治験課題名 | 武田薬品工業株式会社の依頼による小児活動期潰瘍性大腸炎患者を対象とした MLN0002 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 | [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 |

(2)

| | |
|-------|--|
| 管理番号 | 治 2023-3 |
| 治験課題名 | 武田薬品工業株式会社の依頼による小児活動期クローン病患者を対象とした MLN0002 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 | [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 |

2. 重篤な有害事象について (1件)

(1)

| | |
|-------|---|
| 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 | [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 |

3. 治験継続に関する審議 (26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 30-7 |
| 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急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 I /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 | [治験に関する変更] ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 2019-5 |
| 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 [治験に関する変更] ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 | 製 30-10 |
| 治験課題名 | 中外製薬株式会社の依頼による血友病 A 患者を対象としたエミシズマブの第 IV 相試験 |
| 治験依頼者 | 中外製薬 (株) |
| 責任医師 | 康 勝好 |
| 審議事項 | [治験に関する変更] ・ 治験分担医師・治験協力者リスト |

| | |
|------|----------------------------------|
| | 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 2019-8 |
| 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 [治験に関する変更] ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 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 [治験に関する変更] ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 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 [治験に関する変更] ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 2021-7 |
| 治験課題名 | サノフィ株式会社の依頼による持続性又は慢性の免疫性血小板減少症 (ITP) の成人及び青年を対象とした rilzaburutinib (PRN1008) の第Ⅲ相試験 |
| 治験依頼者 | サノフィ (株) |
| 責任医師 | 康 勝好 |
| 審議事項 | [治験に関する変更] ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 2022-1 |
| 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] ・ 治験薬概要書 ・ 参加者ハンドブック [治験に関する変更] ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 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ⅠⅠⅠ相試験 |
| 治験依頼者 | サノフィ(株) |
| 責任医師 | 康 勝好 |
| 審議事項 | [治験に関する変更] ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 2019-2 |
| 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 [治験に関する変更] ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 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 [治験に関する変更] |

| | |
|------|--|
| | ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 2019-6 |
| 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) |
| 責任医師 | 田嶋 朝子 |
| 審議事項 | [治験に関する変更] ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 2021-2 |
| 治験課題名 | ムコ多糖症Ⅱ型患者を対象としたイズカーゴの製造販売後臨床試験 |
| 治験依頼者 | JCR ファーマ (株) |
| 責任医師 | 田嶋 朝子 |
| 審議事項 | [治験に関する変更] ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 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 |

(15)

| | |
|-------|---|
| 管理番号 | 治 2022-2 |
| 治験課題名 | ヤンセンファーマ株式会社の依頼による小児全身型重症筋無力症患者を対象とした Nipocalimab の第Ⅱ/Ⅲ相試験 |
| 治験依頼者 | ヤンセンファーマ (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 |

(16)

| | |
|-------|--|
| 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 | [治験に関する変更] ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 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] ・ CoCoA-CKD 試験について ・ CoCoA-CKD 試験に関する青少年向け情報 ・ CoCoA-CKD 試験についての小児向け情報 ・ Dr to caregiver letter ・ 小児向けガイドおよびアクティビティブック ・ 青年向けガイドおよびアクティビティブック ・ Child assent tool ・ Flipchart ・ 検査と評価 ・ 来院リマインダーカード ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 | 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] ・ ASCEND-P 治験に関する保護者向け情報 ・ ASCEND-P 治験に関する青年向け情報 ・ ASCEND-P 治験についての小児向け情報 ・ 小児向けガイドおよびアクティビティブック ・ 青年向けガイドおよびアクティビティブック ・ ASCEND-P 治験について ・ Flipchart ・ 検査と評価 ・ 来院リマインダーカード ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 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] ・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・治験協力者リスト 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 |

(20)

| | |
|-------|---|
| 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] ・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/質問票の記入方法 ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 |

(21)

| | |
|-------|---|
| 管理番号 | 治 2022-3 |
| 治験課題名 | ゼリア新薬工業株式会社の依頼による小児機能性ディスペプシア患者を対象とした Z-338 (アコチアミド塩酸塩水和物) の第 I I I 相試験 |
| 治験依頼者 | ゼリア新薬工業 (株) |
| 責任医師 | 岩間 達 |
| 審議事項 | [治験に関する変更] ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 |

(22)

| | |
|-------|--|
| 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 | [治験に関する変更] ・治験分担医師・治験協力者リスト 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 |

(23)

| | |
|-------|---|
| 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] ・ 治験分担医師・治験協力者リスト 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 |

(24)

| | |
|-------|--|
| 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] ・ 契約内容変更に関する覚書 ・ 受託研究費積算書 ・ 治験に要する費用内訳 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 |

(25)

| | |
|-------|---|
| 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 | [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・治験協力者リスト 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 |

(26)

| | |
|-------|---|
| 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 [治験に関する変更] ・ 治験実施計画書 ・ 治験実施計画書別紙 1 ・ 治験薬概要書 ・ 治験参加者の保護者用の同意説明文書 ・ アセント文書 B ・ アセント文書 C |

| | |
|------|---|
| | ・NOTO TO FILE 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. 変更申請の再審査に対する修正対応報告について (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 | <報告> ・ 治験実施計画書等修正報告書 |

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 | <報告> ・ 治験実施計画書等修正報告書 |

2. 新規審査結果に対する修正対応報告について (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 | <報告> ・ 治験実施計画書等修正報告書 |

3. 治験終了報告について (1件)

①

| | |
|-------|---|
| 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 | <報告> ・ 治験終了報告書 |

4. 迅速審査の報告について (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 | <報告> ・治験に関する変更申請書(症例追加) |

5. 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 | 治験分担医師・協力者リスト(2023年4月3日) | 治験協力者の追加及び削除 |