

平成 29 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	平成 29 年 10 月 17 日 (火) 14 : 00~16 : 36
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 2 階 会議室 21
出席委員	金子 剛、石川 洋一、鈴木 康之、松谷 弘子、安達 昌功、三浦 大、掛江 直子、廣部 兼 児、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

議題 1	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	4 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	保留		

議題 2	成分記号	R07034067	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	脊髄性筋萎縮症 I 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 パートシームレス非盲検多施設共同試験		
	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	〔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	保留		

議題 3	成分記号	MHOS/SHP615	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	Shire の依頼によるけいれん性てんかん重積状態を有する小児患者を対象とした MHOS/SHP615 の第 3 相非盲検試験		
	治験依頼者	(治験国内管理人) クインタイルズ・トランスナショナル・ジャパン株式会社		
	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	承認		

議題 4	成分記号	MHOS/SHP615	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	Shire の依頼によるけいれん性てんかん重積状態を有する小児患者を対象とした MHOS/SHP615 の第 3 相非盲検継続試験		
	治験依頼者	(治験国内管理人) クインタイルズ・トランスナショナル・ジャパン株式会社		
	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	承認		

## 2. 治験継続の審議

議題1	成分記号	UK-92, 480	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	小児肺動脈性肺高血圧症患者を対象としたシルデナフィル経口投与の多施設共同、一般臨床試験		
	治験依頼者	ファイザー株式会社		
	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、措置報告（1 施設からの審議依頼による） 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		

議題2	成分記号	PF-00695838	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、神経因性排尿筋過活動患者を対象としたPF-00695838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	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（6 施設からの審議依頼による） 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（6 施設）		
	審議結果	<u>承認</u>		

議題3	成分記号	NN-220	開発相	第Ⅲ b 相
	治験課題名	ヌーナン症候群の低身長患児を対象としたNN-220の第3 相臨床試験		
	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	[安全性情報] ・当該治験薬で発生した重篤な有害事象（9 施設からの審議依頼による） [治験に関する変更] ・治験薬概要書の改訂（9 施設からの審議依頼による） [重篤な有害事象等] ・SAE 等報告書（1 施設からの審議依頼による） 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>		

議題4	成分記号	BMS-188667	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	若年性特発性関節炎患者を対象としたアバタセプトの国内第3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	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（4 施設からの審議依頼による） 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>		

議題5	成分記号	LY450190	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小児肺動脈性肺高血圧症患者を対象としたLY450190の第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	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（5 施設からの審議依頼による） 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>		

議題6	成分記号	BAY 59-7939	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	急性静脈血栓塞栓症の小児における、年齢及び体重で調整した用法・用量によるリバーロキサバン投与の有効性及び安全性を検討することを目的とした多施設共同、無作為化、非盲検、実薬対照試験		
	治験依頼者	バイエル薬品株式会社		
	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、措置報告（4 施設からの審議依頼による） 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>		

議題7	成分記号	ACZ885	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	全身型若年性特発性関節炎（SJIA）患者を対象としたACZ885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	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（4 施設からの審議依頼による） 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>		

議題8	成分記号	VRS-317	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	シミック株式会社（治験国内管理人）の依頼による小児成長ホルモン分泌不全症を対象としたVRS-317の第Ⅱ/Ⅲ相試験		
	治験依頼者	シミック株式会社（治験国内管理人）		

	治験実施施設	9 施設
	審議事項	<報告> ・治験実施計画書別紙 (9施設)

議題9	成分記号	PF-00695838	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、神経因性排尿筋過活動患者を対象としたPF-00695838の第Ⅲ相試験 (長期継続試験)		
	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 (5 施設からの審議依頼による) 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/別冊 (5 施設)		
	審議結果	<u>承認</u>		

議題10	成分記号	RFB002	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RFB002の未熟児網膜症患者を対象とした臨床第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	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 (7 施設からの審議依頼による) 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> ・治験終了報告書 (1 施設)		
	審議結果	<u>承認</u>		

議題11	成分記号	ALS-008176	開発相	第Ⅰb相
	治験課題名	Respiratory Syncytialウイルス (RSV)感染症により入院した乳児を対象としたALS-008176の単回漸増及び反復漸増経口投与の安全性、忍容性、薬物動態、及び薬力学検討のためのランダム化、二重盲検、プラセボ対照、2パート試験		
	治験依頼者	ヤンセンファーマ株式会社		
	治験実施施設	8 施設		

	審議事項	〔治験に関する変更〕 ・ 治験薬概要書、治験実施体制の変更（8施設からの審議依頼による） 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>

議題12	成分記号	NN1218	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	小児及び青少年1型糖尿病患者を対象としたインスリン デグルデク併用下におけるノボラピッド®注に対するfaster aspartの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	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（5施設からの審議依頼による） 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>		

議題13	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（4施設からの審議依頼による） 〔治験に関する変更〕 ・ 治験薬概要書の改訂（4施設からの審議依頼による） ・ 添付文書、使用上の注意の改訂（4施設からの審議依頼による） 〔重篤な有害事象等〕 ・ SAE 等報告書（1施設からの審議依頼による） 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>		

議題14	成分記号	RFB002	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RFB002の未熟児網膜症患者を対象とした臨床第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	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（6施設からの審議依頼による） 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	承認

議題15	成分記号	VRS-317	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	シミック株式会社（治験国内管理人）の依頼による小児成長ホルモン分泌不全性低身長症を対象としたSomavaratanの第Ⅲ相試験		
	治験依頼者	（治験国内管理人）シミック株式会社		
	治験実施施設	5施設		
	審議事項	<報告> ・治験実施計画書別紙（5施設）		

議題16	成分記号	OPC-41061	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	過剰な体液貯留を有する小児心不患者を対象としてトルバプタンの有効性、安全性、薬物動態、及び薬力学的作用を検討する多施設共同、非盲検、用量検討試験（第Ⅲ相試験）		
	治験依頼者	大塚製薬株式会社		
	治験実施施設	11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（6施設からの審議依頼による） [新規審査] ・治験実施施設追加（1施設からの審議依頼による） 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		

議題17	成分記号	MOD-4023	開発相	第Ⅲ相
	治験課題名	EPS インターナショナル株式会社（治験国内管理人）の依頼による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 MOD-4023 の第Ⅲ相試験		
	治験依頼者	（治験国内管理人）EPS インターナショナル株式会社		
	治験実施施設	9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（7施設からの審議依頼による） [治験に関する変更] ・同意説明文書、治験実施計画書、治験薬使用説明書、患者日誌の変更（7		

		施設からの審議依頼による) <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 治験分担医師の変更 (2 施設からの審議依頼による)</li> </ul> [新規審査] <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 治験実施施設追加 (2 施設からの審議依頼による)</li> </ul> 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"> <li>・ 治験実施計画書について (7 施設)</li> </ul>
	審議結果	承認

議題 18	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	5 施設		
	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 (5 施設からの審議依頼による)</li> </ul> [治験に関する変更] <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 同意説明文書の変更 (1 施設からの審議依頼による)</li> </ul> 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		

議題 19	成分記号	S-877503	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	塩野義製薬株式会社の依頼による第 2/3 相試験		
	治験依頼者	塩野義製薬株式会社		
	治験実施施設	11 施設		
	審議事項	<報告> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 開発の中止等に関する報告書 (1 施設)</li> </ul>		

議題 20	成分記号	S-877503	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
	治験課題名	塩野義製薬株式会社の依頼による第 2/3 相試験 (継続長期投与試験)		
	治験依頼者	塩野義製薬株式会社		
	治験実施施設	11 施設		
	審議事項	<報告> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 開発の中止等に関する報告書 (1 施設)</li> </ul>		

以上