

**令和4年度 第2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4年5月17日(火) 14:00~15:27
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、山谷 明正、小崎 里華、前川 貴伸、嶋田 せつ子、三浦 大、柳町 昌克、 菊池 耕徳、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	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	4施設		
審議事項	〔新規審査〕 治験分担医師(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、治験実施の適否について審議した。		
審議結果	<u>修正の上で承認</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	N9-GP	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	治療歴のない血友病B患者を対象としたnonacog beta pegol(N9-GP)の安全性及び有効性の検討		
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	1施設		
審議事項	〔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>		

2)

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	〔治験に関する変更〕 ・ ソグルーヤ®添付文書の改訂 ・ 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。
審査結果	承認

3)

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	6 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・ 治験実施計画書 事務的変更に関するレター ・ 治験分担医師の変更、治験責任医師の変更 ・ 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	承認		

4)

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	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 〔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> ・ 治験終了報告書		
審議結果	承認		

5)

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	[治験に関する変更] ・治験分担医師の変更 ・同意説明文書 ・治験の費用の負担（被験者への支払）について 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	LCZ696	開発相	第Ⅱ/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心不全を有する小児患者を対象とした LCZ696 の第Ⅱ/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	[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> ・治験終了報告書		
審議結果	<u>承認</u>		

7)

成分記号	DRB436、TMT212	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依頼による DRB436/TMT212 の第Ⅱ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	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>		

8)

成分記号	D961H	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本人小児患者を対象とした D961H の第Ⅲ相オープン試験		
治験依頼者	アストラゼネカ株式会社		
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		

9)

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。 <報告> ・ 治験実施計画書別冊 ・ 治験終了報告書		
審議結果	承認		

10)

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 ・ 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		

11)

成分記号	JR-401	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	SHOX 異常症における低身長に対する JR-401 の第Ⅲ相試験		
治験依頼者	JCR ファーマ株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	[治験に関する変更] ・ 治験薬概要書 ・ 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>		

12)

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	[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] ・ ソグルーヤ® 添付文書の改訂 ・ ノルディトロピン®フレックス プロ® 添付文書の改訂 ・ 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>		

13)

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	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] ・ ソグルーヤ® 添付文書の改訂 ・ ノルディトロピン®フレックス プロ® 添付文書の改訂 ・ 治験実施計画書 ・ 質問票 ・ 同意説明文書、アセント文書		

	<ul style="list-style-type: none"> ・ 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

14)

成分記号	SHP607	開発相	第Ⅱb相
治験課題名	株式会社新日本科学 PPD（治験国内管理人）の依頼による超早産児を対象とした SHP607 の第 2b 相比較試験		
治験依頼者	（治験国内管理人）株式会社新日本科学 PPD		
治験実施施設	2 施設		
審議事項	[安全性情報] <ul style="list-style-type: none"> ・ 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] <ul style="list-style-type: none"> ・ 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		

15)

成分記号	JR-141	開発相	第Ⅲ相
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 ファーマ株式会社		
治験実施施設	6 施設		
審議事項	[治験に関する変更] <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施計画書、治験実施計画書別冊 ・ 同意説明文書 ・ 製造販売後臨床試験責任医師の変更、製造販売後臨床試験分担医師の変更 ・ 製造販売後臨床試験参加カード [新規審査] <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施施設追加 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"> ・ 治験実施計画書別冊 		
審議結果	承認		

16)

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	〔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

17)

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 〔治験に関する変更〕 ・ 治験実施計画書 改訂 ・ 同意説明文書、治験参加カード ・ 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		

18)

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 〔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。		

19)

成分記号	L-105	開発相	第Ⅱ/Ⅲ相
治験課題名	L-105の小児肝性脳症患者を対象とした第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験		
治験依頼者	あすか製薬株式会社		
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、治験実施計画書別冊
審議結果	承認

20)

成分記号	BAY 86-5321	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	試験 20090 で治験治療を受けた未熟児網膜症患者を対象とした長期経過の評価を目的とした継続試験		
治験依頼者	バイエル薬品株式会社		
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		

21)

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-		
治験依頼者	マルホ株式会社		
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		

22)

成分記号	Evinacumab	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	家族性高コレステロール血症ホモ接合体患者を対象にエビナクマブの長期安全性及び有効性を評価するオープンラベル試験		
治験依頼者	(治験国内管理人) パレクセル・インターナショナル株式会社		
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〕 ・ 治験実施計画書 補遺		

	・ 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

23)

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 [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 > ・ 治験実施計画書分冊		
審議結果	承認		

24)

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 [治験に関する変更] ・ 同意説明文書、アセント文書、治験参加通知書 ・ 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 > ・ 国内における追加事項別紙		
審議結果	承認		

25)

成分記号	PNU-180307	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	日本人プラダー・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	<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>[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	<u>承認</u>

26)

成分記号	JR-401	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	SHOX 異常症における低身長に対する JR-401 の継続投与試験		
治験依頼者	JCR ファーマ株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	<p>[治験に関する変更]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・治験薬概要書 ・同意説明文書 <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>		

27)

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	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"> ・治験実施報告書 ・治験分担医師の変更 ・同意説明文書 <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> <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>		

28)

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

29)

成分記号	TAK-536	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 2 歳以上 6 歳未満の小児高血圧症患者を対象とした TAK-536 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	8 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 <ul style="list-style-type: none"> ・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 > <ul style="list-style-type: none"> ・治験安全性最新報告概要 		
審議結果	承認		

30)

成分記号	JR-142	開発相	第Ⅱ相 (Ⅱa・Ⅱb 含む)
治験課題名	JR-142 の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第Ⅱ相試験		
治験依頼者	JCR ファーマ株式会社		
治験実施施設	7 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 <ul style="list-style-type: none"> ・治験薬概要書 ・同意説明文書、被験者募集用ポスター ・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 > <ul style="list-style-type: none"> ・迅速審査：治験分担医師の変更 		
審議結果	承認		

31)

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	[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

32)

成分記号	JR-141	開発相	製販後
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、治験実施計画書別冊 ・ 同意説明文書、アセント文書 ・ 治験分担医師の変更、治験責任医師の変更 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		

33)

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] ・ 治験分担医師の変更 ・ 治験薬概要書正誤表 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	QGE031	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	ピーナッツアレルギー患者を対象に ligelizumab (QGE031) の有効性及び安全性を評価する試験		

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>

35)

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	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 ・検査システム取扱説明書		
審議結果	<u>承認</u>		

36)

成分記号	JR-142	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	JR-142 の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第Ⅱ相試験の継続投与試験		
治験依頼者	JCR ファーマ株式会社		
治験実施施設	1 施設		
審議事項	〔治験に関する変更〕 ・治験薬概要書 ・同意説明文書 ・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	<u>承認</u>		

37)

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istol・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>〔治験に関する変更〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施計画書、PROTOCOL ADMINISTRATIVE LETTER、治験薬概要書、各種質問票 ・ 同意説明文書、アセント文書、治験参加カード ・ 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"> ・ 治験実施計画書別冊
審議結果	<u>承認</u>

以上