

**令和6年度 第12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7年3月18日（火）14：00～15：36
開催場所	国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 教育研修棟 会議室
出席委員	鈴木 康之、小崎 里華、赤羽 三貴、三浦 大、柳町 昌克、掛江 直子、村井 清人、 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	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長期投与試験		
治験依頼者	株式会社リボミック		
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	KK2020	開発相	第Ⅱ相
治験課題名	急性リンパ性白血病患者及びリンパ芽球性リンパ腫患者を対象とした KK2020 の第Ⅱ相臨床試験		
治験依頼者	協和キリン株式会社		
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	<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	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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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>		

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者を対象として、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	5 施設		
審議事項	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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>		

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 性低身長症患者を対象として、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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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>		

4)

成分記号	0HB-607	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）の依頼による早産児を対象とした 0HB-607 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	〔継続審査〕 ・治験実施状況報告書 〔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> ・治験実施計画書補遺		
審議結果	承認		

5)

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	5 施設		
審議事項	〔継続審査〕 ・治験実施状況報告書 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		

6)

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	〔継続審査〕 ・治験実施状況報告書 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		

7)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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

8)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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	承認		

9)

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	1 施設		
審議事項	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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		

10)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ 治験実施計画書別紙
審議結果	承認

11)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ 国内版同意説明文書（案）の改訂遅延に関する経緯説明レター ・ 副作用情報の伝達遅延に関する被験者向けレター ・ 同意説明文書 ・ 治験薬概要書 <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		

12)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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> <p>< 報告 ></p> <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	承認
------	----

13)

成分記号	JR-141	開発相	第Ⅳ相
治験課題名	ムコ多糖症Ⅱ型患者を対象としたイブ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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 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		

14)

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	5 施設		
審議事項	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 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		

15)

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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 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		

16)

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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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

17)

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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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	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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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	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	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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

20)

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	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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		

21)

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	3 施設		
審議事項	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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	承認		

22)

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Ⅲ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	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 		

	[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] ・説明書（被験者用、介護者用） [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	<u>承認</u>

23)

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	[継続審査] ・治験実施状況報告書 [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	<u>承認</u>		

24)

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	[継続審査] ・治験実施状況報告書 [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>		

25)

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>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ 治験薬概要書 <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	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	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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	<u>承認</u>		

27)

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	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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>[モニタリング]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ モニタリング報告書 <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>		

28)

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・ジャパン株式会社		

治験実施施設	1 施設
審議事項	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ 治験実施計画書別紙
審議結果	承認

29)

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	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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	承認		

30)

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	<p>[継続審査]</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ 治験実施計画書別紙 		
審議結果	承認		

31)

成分記号	Gadopiclenol	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	<p>Efficacy and safety of gadopiclenol for Magnetic Resonance Imaging (MRI) in Japanese adults and children Phase III Clinical Trial</p> <p>日本人成人及び小児を対象とした磁気共鳴画像法（MRI）における gadopiclenol の有効性及び安</p>		

	全性を評価する第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	4 施設
審議事項	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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> <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>

32)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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 ・ 治験参加同意取得前アニメーション／動画ストーリーボード ・ ポスター、リーフレット、参加者ガイド <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>		

33)

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血友病 A 患者を対象とした Mim8 の長期安全性及び有効性を検討する非盲検試験		
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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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>		

34)

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	1 施設
審議事項	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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

35)

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	1 施設		
審議事項	< 報告 > ・ 治験終了報告書		

36)

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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔治験に関する変更〕 ・ 治験実施計画書別紙 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		

37)

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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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

38)

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	[継続審査] ・治験実施状況報告書 [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		

39)

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	[継続審査] ・治験実施状況報告書 [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 ・治験参加者向け服用方法 ・親/保護者用マニュアル ・同意説明文書、アセント文書、治験参加カード ・治験の費用の負担(被験者への支払)に関する文書 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。 <報告> ・治験実施計画書別紙		
審議結果	承認		

40)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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	<u>承認</u>

41)

成分記号	CNS7056	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	全身麻酔を施行する日本人小児手術患者を対象に CNS7056 の有効性、安全性及び薬物動態を検証するための第Ⅲ相医師主導治験 (P-REMI trial)		
治験依頼者	医師主導治験		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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>〔モニタリング〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ モニタリング報告書 <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>		

42)

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	<p>< 報告 ></p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験終了報告書 		

43)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ ポスター、リーフレット、参加者ガイド <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>

44)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ 治験薬概要書 <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>		

45)

成分記号	Axatilimab (INCA034176)	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社の依頼による慢性移植片対宿主病を対象とした Axatilimab の第Ⅲ相試験		
治験依頼者	インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社		
治験実施施設	1 施設		
審議事項	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ 治験実施計画書の管理上の変更 <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>		
審議結果	<u>承認</u>		

46)

成分記号	JR-142	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象として、JR-142 の週 1 回投与とグロウジェクトの連日投与とを比較する第Ⅲ相臨床試験		
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	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔治験に関する変更〕 ・ 治験啓発カード ・ 治験説明動画絵コンテ（治験啓発カード用） ・ 被験者の募集手順に関する資料 〔新規審査〕 ・ 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。		
審議結果	承認		

47)

成分記号	該当なし	開発相	第Ⅳ相
治験課題名	An observational study of real-world outcomes in Japanese children with achondroplasia initiating Voxzogo® before the age of 2 years ボックスゾゴ®を 2 歳未満で開始する軟骨無形成症を有する日本人小児を対象としたリアルワールド転帰の観察試験		
治験依頼者	BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社		
治験実施施設	3 施設		
審議事項	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 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		

48)

成分記号	Vedolizumab (MLN0002)	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中等症から重症の活動期潰瘍性大腸炎又はクローン病の小児患者を対象としたベドリズマブ皮下注製剤の第 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	1 施設		
審議事項	〔継続審査〕 ・ 治験実施状況報告書 〔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>
------	-----------

49)

成分記号	アニフロルマブ	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全身性エリテマトーデスに罹患した5歳以上18歳未満の小児患者を対象としたアニフロルマブの第Ⅲ相試験		
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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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"> ・ 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	<u>承認</u>		

50)

成分記号	NPC-25	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	NPC-25の小児低亜鉛血症患者に対する第Ⅲ相試験		
治験依頼者	ノーベルファーマ株式会社		
治験実施施設	1施設		
審議事項	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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>		

51)

成分記号	ABBV-066 (Risankizumab)	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リサンキズマブの第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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <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	<u>承認</u>		

52)

成分記号	KK8398	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	軟骨無形成症患者を対象とした KK8398 の有効性及び安全性を評価する第Ⅲ相臨床試験 (AOBA study)		
治験依頼者	協和キリン株式会社		
治験実施施設	4 施設		
審議事項	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <p>〔治験に関する変更〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施計画書 ・ 被験者質問票 ・ 同意説明文書、アセント文書 ・ 補償制度の概要（病院長宛、患者様向け） ・ Thank you letter（患者様用、保護者用） ・ 同意撤回書 <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>		

53)

成分記号	NT 201	開発相	第Ⅲ相
治験課題名	痙縮を有する小児患者を対象とした NT 201 の非盲検、非対照、単群試験		
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	<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"> ・ 治験実施計画書分冊 <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"> ・ 新規審査結果に対する修正対応報告 		
審議結果	<u>承認</u>		

54)

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	<p>〔継続審査〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治験実施状況報告書 <p>〔安全性情報〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 添付文書の改訂 <p>〔治験に関する変更〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 添付文書の改訂 ・ 治験実施計画書補遺 ・ 欧州製品概要 ・ 説明文書・同意書、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	<u>承認</u>

以上