

令和3年度第6回あいち小児保健医療総合センター受託研究審査委員会会議記録の概要

開催日時	令和4年3月17日(木)午後5時から午後5時30分まで		
開催場所	あいち小児保健医療総合センター 会議室		
出席委員名	鬼頭委員長*、杉浦副委員長*、北島委員*、高橋委員*、小嶋委員*、深谷委員*、竹内委員*、小林委員、吉川委員*、浅田委員* *WEB 会議システムにより審議および採決に参加		
議題 1	ISIS 396443 試験に参加した脊髄性筋萎縮症患者を対象とする非盲検継続試験		
	成分記号	ISIS 396443	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	サイネオス・ヘルス・クリニカル株式会社	
	対象疾患	脊髄性筋萎縮症	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告書 ・治験実施状況報告書 	
	審議結果	承認	
議題 2	日本人小児肺動脈性肺高血圧症患者を対象とした NS-304 の探索的試験 (第Ⅱ相)		
	成分記号	NS-304	開発相 第Ⅱ相
	治験依頼者	日本新薬株式会社	
	対象疾患	肺動脈性肺高血圧症	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告書 ・治験実施状況報告書 	
	審議結果	承認	
議題 3	ランダム化治療中止、二重盲検、プラセボ対照デザインの Period2 で NLRC4-GOF 患者を対象に MAS825 の臨床的有効性、安全性、及び忍容性を評価する、3 期多施設共同試験		
	成分記号	MAS825	開発相 第Ⅱ相
	治験依頼者	ノバルティス ファーマ株式会社	
	対象疾患	NLRC4-GOF	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・重篤な有害事象等に関する報告書 ・治験に関する変更申請書 ・治験実施状況報告書 	
	審議結果	承認	

議題 4	小児非典型溶血性尿毒症症候群 (aHUS) 患者を対象としてクロバリマブの有効性、安全性、薬物動態及び薬力学を評価する多施設共同、単群、第Ⅲ相臨床試験		
	成分記号	R07112689	開発相 第Ⅲ相
	治験依頼者	中外製薬株式会社	
	対象疾患	小児非典型溶血性尿毒症症候群 (aHUS)	
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・安全性情報等に関する報告書 ・治験に関する変更申請書 ・治験実施状況報告書 	
	審議結果	承認	

議題 5	ネクスピアザイム点滴静注用 100mg 特定使用成績調査 (長期使用に関する調査)	
	治験依頼者	サノフィ株式会社
	対象疾患	ポンペ病
	審議事項	・実施の適否
	審議結果	承認