

令和5年度第1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5年5月25日（木）午後5時から午後5時50分まで
開催場所	あいち小児保健医療総合センター 研修室2, 3
出席委員名	鬼頭委員長、小嶋副委員長、小林委員、松井委員、榊原委員、西嶋委員、吉川委員、山田委員

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	バイオジェン (治験国内管理人：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 ・治験に関する変更申請書 	
	審議結果	承認	

議題2	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"> ・安全性情報等に関する報告書 	
	審議結果	承認	

議題3	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 	
	審議結果	承認	

議題 4	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を評価するオープンラベル試験【医師主導治験】		
	自ら治験を実施する者	藤田直也	
	対象疾患	家族性高コレステロール血症	
	審議事項	・ 治験に関する変更申請書	
	審議結果	承認	

議題 5	C3 腎症または免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎の患者を対象とした、Pegcetacoplan の有効性及び安全性を検討する第Ⅲ相、無作為化、プラセボ対照、二重盲検、他施設共同試験			
	成分記号	APL-2	開発相	第Ⅲ相
	治験依頼者	国内治験管理人：Worldwide Clinical Trials Japan 株式会社		
	対象疾患	C3 腎症または免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎		
	審議事項	・ 安全性情報等に関する報告書		
	審議結果	承認		

議題 6	軟骨無形性症患者（小児）に対する塩酸メクリジン製剤の有効性及び安全性を検討する探索的臨床試験（MACH trial）【医師主導治験】		
	自ら治験を実施する者	鬼頭浩史	
	対象疾患	軟骨無形性症	
	審議事項	・ 治験実施申請書	
	審議結果	承認	

議題 7	ゴマアレルゲンコンポーネント特異的 IgE 臨床性能試験		
	研究依頼者	サーモフィッシュヤーダイアグノスティックス株式会社	
	審議事項	・ 実施の適否	
	審議結果	承認	