

令和5年度第4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9月21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 地下1階 会議室
出席委員名	鬼頭委員長、小嶋副委員長、小林委員、高橋委員、伊藤委員、松井委員、栗本委員、榊原委員、西嶋委員、吉川委員、山田委員、酒井委員

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	・安全性情報等に関する報告書	
	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の臨床の有効性、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	・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	・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	男女の進行性骨化性線維異形成症の小児患者と成人患者を対象として fidrisertib(IPN60130)を2種類の用法・用量で経口投与したときの有効性及び安全性を評価する第Ⅱ相試験		
	成分記号	IPN60130	開発相 第Ⅱ相
	治験依頼者	Ipsen 社 (国内治験管理人：株式会社アイコン・ジャパン)	
	対象疾患	進行性骨化性線維異形成症	
	審議事項	・ 治験に関する変更申請書	
	審議結果	承認	

議題5	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 (拡大治験) 【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	・ 安全性情報等に関する報告書 ・ モニタリング報告書
	審議結果	承認

議題6	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 ・ 治験に関する変更申請書	
	審議結果	承認	

議題7	軟骨無形成症患者 (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	軟骨無形成症
	審議事項	・ モニタリング報告書
	審議結果	承認

議題 8-1	ボックスゾゴ®皮下注用 0.4mg/0.56mg/1.2mg 使用成績調査 軟骨無形成症患者における長期安全性及び有効性【内分泌科】	
	研究依頼者	BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社
	審議事項	・実施の適否
	審議結果	承認

議題 8-1	ボックスゾゴ®皮下注用 0.4mg/0.56mg/1.2mg 使用成績調査 軟骨無形成症患者における長期安全性及び有効性【整形外科】	
	研究依頼者	BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社
	審議事項	・実施の適否
	審議結果	承認

議題 8-2	日常診療下でヒト成長ホルモン(hGH)治療を受けている患者を対象とした多国籍、 非介入前向きコホート研究	
	研究依頼者	IQVIA サービスーズ ジャパン株式会社
	審議事項	・研究に関する変更申請書
	審議結果	承認