

令和4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5年 3月16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、杉浦副委員長、北島委員、高橋委員、小嶋委員、深谷委員、西嶋委員、近藤委員、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 ・治験実施状況報告書 	
	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"> ・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 ・治験実施状況報告書 	
	審議結果	承認	

議題4	5歳以上の男女の進行性骨化性線維異形成症を対象として 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2パートプラセボ対照並行群間二重盲検試験		
	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	<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	
	治験依頼者	国立循環器病研究センター (治験調整委員会)
	対象疾患	家族性高コレステロール血症
	審議事項	<ul style="list-style-type: none"> ・治験実施状況報告書
	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	<ul style="list-style-type: none"> ・治験依頼書 	
	審議結果	修正の上承認	