

# 令和5年度 第12回臨床試験審査委員会議事要旨概要

日時:令和6年03月21日(木) 16:30 ~ 17:15

場所:国立研究開発法人精神・神経医療研究センター IBIC 棟 2F 臨床研究・治験推進室会議室

オンライン会議システム併用(使用システム:Teams)

出席委員名:別表の通り

- ・ 高橋祐二臨床試験審査委員会委員長より開催が宣言され、出欠委員の確認がなされた。
- ・ 本委員会の審議及び採決の要件が満たされていることが確認された。
- ・ 治験事務局より配付資料の確認がなされた。

## (1) 前回議事要旨について

- ・ 配付された議事要旨について、承認された。その他意見なし。

## (2) 新規申請(3件)

| 整理番号  | 研究課題                                                   | 審議事項       | 審議結果 |
|-------|--------------------------------------------------------|------------|------|
| 治-402 | 痙性斜頸患者を対象とした NT 201 の非盲検、非対照、単群試験                      | 新規申請の受入の可否 | 承認   |
| 治-403 | 眼瞼痙攣患者を対象とした NT 201 の非盲検、非対照、単群試験                      | 新規申請の受入の可否 | 承認   |
| 治-404 | アステラス製薬株式会社の依頼による遅発型ポンペ病患者を対象とした、血中の抗体及びバイオマーカーを評価する試験 | 新規申請の受入の可否 | 承認   |

## (3) 継続審議(治験実施状況報告0件、重篤な有害事象報告6件、安全性情報等報告57件、治験に関する変更17件、逸脱報告0件)

| 整理番号  | 研究課題                                                                             | 審議事項                                      | 審議結果 |
|-------|----------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------|------|
| 治-368 | バイオジェン・ジャパン株式会社の依頼による再発寛解型多発性硬化症患者を対象とした BG00002 の第Ⅲ相試験                          | 重篤な有害事象に関する報告<br>安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-277 | ユーシービー・ジャパン株式会社の依頼によるてんかん患者を対象とした Brivar acetam(ucb34714)の第Ⅲ相長期継続投与試験            | 安全性情報等に関する報告                              | 承認   |
| 治-329 | バイオジェン・ジャパン株式会社の依頼によるアルツハイマー病患者を対象とした BII037 の第Ⅲb 相試験                            | 安全性情報等に関する報告                              | 承認   |
| 治-338 | サノフィ株式会社の依頼による一次性進行型多発性硬化症(PPMS)患者を対象とした SAR442168 の第Ⅲ相試験                        | 安全性情報等に関する報告                              | 承認   |
| 治-340 | argenx BVBA の依頼による慢性炎症性脱髄性多発神経炎(CIDP)成人患者を対象とした ARGX-113 PH20 SC の第2相試験(非盲検延長試験) | 安全性情報等に関する報告                              | 承認   |
| 治-341 | エーザイ株式会社の依頼によるプレクリニカル AD の被験者を対象とした BAN2401 の第Ⅲ相試験                               | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更                  | 承認   |

| 整理番号  | 研究課題                                                                                             | 審議事項                     | 審議結果 |
|-------|--------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------|------|
| 治-343 | サノフィ株式会社の依頼による再発型多発性硬化症(RMS)患者を対象とした SAR442168 の第Ⅲ相試験                                            | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-345 | シミック株式会社(治験国内管理人)の依頼による PTC743 のリー脳症患者を対象とした臨床試験[継続投与試験]                                         | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-347 | メドベイス・ジャパン株式会社(治験国内管理人)の依頼によるナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレンの第Ⅲ相試験                          | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-352 | ファイザー株式会社の依頼による歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー男児を対象とした PF-06939926 の第 3 相試験                                 | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-354 | 日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社の依頼による Iclepertin の統合失調症患者を対象とした第Ⅲ相試験(CO NNEX-1)                              | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-356 | ノボ ノルディスクファーマ株式会社の依頼による早期アルツハイマー病患者を対象とした NN9924 の効果及び安全性を検討する第 3a 相試験(EVOKE plus)               | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-357 | ノボ ノルディスクファーマ株式会社の依頼による早期アルツハイマー病患者を対象とした NN9924 の効果及び安全性を検討する第 3a 相試験(EVOKE)                    | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-360 | ユーシービー・ジャパン株式会社の依頼による抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質(MOG)抗体関連疾患(MOG-AD)に対する Rozanolixizumab の第Ⅲ相試験         | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-361 | 武田薬品工業株式会社の依頼によるドラベ症候群患者を対象とした TAK-935(s oticlestat)の第 3 相試験                                     | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-363 | 武田薬品工業株式会社の依頼による慢性炎症性脱髄性多発根神経炎患者及び多巣性運動ニューロパチー患者を対象とした TAK-771 の第3相試験                            | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-365 | バイオジェン・ジャパン株式会社の依頼による再発型多発性硬化症患者を対象とした BII098 の第Ⅲ相試験                                             | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-366 | ユーシービー・ジャパン株式会社の依頼による Stereotypical prolonged seizure を有する患者を対象とした Staccato alp razolam の第Ⅲ相試験   | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-367 | ユーシービー・ジャパン株式会社の依頼による Stereotypical prolonged seizure を有する患者を対象とした Staccato alp razolam の第Ⅲ相継続試験 | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-370 | 武田薬品工業株式会社の依頼によるドラベ症候群及びレノックス・ガストー症候群患者を対象とした TAK-935(s oticlestat)の第 3 相試験                      | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |

| 整理番号  | 研究課題                                                                                                                                                                                                                                                                                            | 審議事項                     | 審議結果 |
|-------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------|------|
| 治-371 | 小野薬品工業株式会社の依頼によるてんかんを対象とした ONO-2017(cenobamate)の第Ⅲ相試験                                                                                                                                                                                                                                           | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-372 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象として SRP-9001 の安全性及び有効性を評価する第 3 相多国籍ランダム化二重盲検プラセボ対照全身遺伝子導入試験(EMBARK)                                                                                                                                                                                                         | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-374 | ヤンセンファーマ株式会社の依頼による成人の慢性炎症性脱髄性多発根神経炎(CIDP)患者を対象とした Nipocalimab の第Ⅱ/Ⅲ相試験                                                                                                                                                                                                                          | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-375 | A Phase 1-3, Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled Study to Evaluate the Efficacy, Safety, Pharmacokinetics and Pharmacodynamics of Intrathecally Administered ION373 in Patients with Alexander Disease / アレキサンダー病患者を対象に ION373 の髄腔内投与の有効性、安全性、薬物動態及び薬力学を評価する第 1～3 相、二重盲検、無作為化、プラセボ対照試験 | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-377 | 日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社の依頼による Iclepertin の統合失調症患者を対象とした第Ⅲ相継続試験(CONNEX-X)                                                                                                                                                                                                                            | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-378 | (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 3 相試験                                                                                                                                                                                        | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-380 | バイオジェン・ジャパン株式会社の依頼によるアルツハイマー病患者を対象とした BIIIB037 の第Ⅲb/Ⅳ相試験                                                                                                                                                                                                                                        | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-381 | 日本人ナルコレプシー患者を対象として、BF2.649 を経口投与したときの有効性及び安全性を評価する、二重盲検、無作為化、プラセボ対照、並行群間比較、多施設共同試験(パート 1)と、その後の非盲検、長期投与試験(パート 2)からなる第 3 相試験                                                                                                                                                                     | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-384 | 大塚製薬の依頼による急性期の統合失調症患者を対象としたブレクスピプラゾール週 1 回製剤(QW 製剤)の第Ⅲ相試験                                                                                                                                                                                                                                       | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-385 | 大塚製薬の依頼による統合失調症患者を対象としたブレクスピプラゾール週 1 回製剤(QW 製剤)の第Ⅲ相長期投与試験                                                                                                                                                                                                                                       | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |

| 整理番号  | 研究課題                                                                                                                                               | 審議事項                     | 審議結果 |
|-------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------|------|
| 治-388 | nCPAP 療法を受けても日中の過度の眠気が認められる日本人閉塞性睡眠時無呼吸症候群患者に BF2.649 を経口投与したときの有効性及び安全性を評価する、二重盲検、無作為化、プラセボ対照、並行群間比較、多施設共同試験（パート1）と、その後の非盲検、長期投与試験（パート2）からなる第3相試験 | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-389 | ノバルティス ファーマ株式会社の依頼による多発性硬化症を対象とした LOU064 の第Ⅲ相試験                                                                                                    | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-395 | LEMS 患者を対象とした DYD-301 錠の継続投与試験（拡大治験）                                                                                                               | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 治-396 | 歩行不能及び歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象として SRP-9001 の安全性及び有効性を評価する第3相多国籍ランダム化二重盲検プラセボ対照全身遺伝子導入療法試験（ENVISION）                                               | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-399 | 大塚製薬の依頼による統合失調症患者を対象としたブレクスピプラゾール週1回製剤（QW 製剤）の薬物動態に対する食事の影響検討試験（第Ⅰ相試験）                                                                             | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-400 | アッヴィ合同会社の依頼による統合失調症患者を対象とした Cariprazine の第Ⅲ相試験                                                                                                     | 安全性情報等に関する報告             | 承認   |
| 医-017 | 限局性皮質異形成Ⅱ型のでんかん発作に対するシロリムスの有効性と安全性の検討を目的とする第Ⅲ相試験（医師主導治験）                                                                                           | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 医-018 | 筋痛性脳脊髄炎/慢性疲労症候群（ME/CFS）に対するリツキシマブ（遺伝子組換え）の有効性及び安全性を探索的に検討するプラセボを対照とする二重盲検試験（第Ⅱ相試験）                                                                 | 安全性情報等に関する報告<br>治験に関する変更 | 承認   |
| 治-401 | 歩行可能な男児のデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）患者を対象とした NS-050/NCNP-03 の安全性、忍容性、薬物動態及び薬力学を検討する第Ⅰ/Ⅱ相、ヒト初回投与、反復投与、2 パート試験                                               | 治験に関する変更                 | 承認   |

**（3）治験実施の適切性（医師主導治験等モニタリング結果報告1件、監査報告件）**

| 整理番号  | 研究課題                                                     | 審議事項       | 審議結果 |
|-------|----------------------------------------------------------|------------|------|
| 医-017 | 限局性皮質異形成Ⅱ型のでんかん発作に対するシロリムスの有効性と安全性の検討を目的とする第Ⅲ相試験（医師主導治験） | モニタリング結果報告 | 承認   |

**（4）報告（治験実施計画書等軽微な変更等17件、安全性情報等に関する報告1件、治験終了等報告4件、治験実施計画書等修正報告0件、迅速審査済み報告1件、逸脱に関する通知0件）**

| 整理番号 | 研究課題 | 報告事項 |
|------|------|------|
|------|------|------|

| 整理番号  | 研究課題                                                                       | 報告事項             |
|-------|----------------------------------------------------------------------------|------------------|
| 治-329 | バイオジェン・ジャパン株式会社の依頼によるアルツハイマー病患者を対象とした BII037 の第 IIIb 相試験                   | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-341 | エーザイ株式会社の依頼によるプレクリニカル AD の被験者を対象とした BAN2401 の第 III 相試験                     | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-345 | シミック株式会社(治験国内管理人)の依頼による PTC743 のリー脳症患者を対象とした臨床試験[継続投与試験]                   | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-352 | ファイザー株式会社の依頼による歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー男児を対象とした PF-06939926 の第 3 相試験           | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-361 | 武田薬品工業株式会社の依頼によるドラベ症候群患者を対象とした TAK-935(soticlestat)の第 3 相試験                | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-362 | 武田薬品工業株式会社の依頼によるレノックス・ガストー症候群患者を対象とした TAK-935(soticlestat)の第 3 相試験         | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-363 | 武田薬品工業株式会社の依頼による慢性炎症性脱髄性多発根神経炎患者及び多巣性運動ニューロパチー患者を対象とした TAK-771 の第 3 相試験    | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-365 | バイオジェン・ジャパン株式会社の依頼による再発型多発性硬化症患者を対象とした BII098 の第 III 相試験                   | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-370 | 武田薬品工業株式会社の依頼によるドラベ症候群及びレノックス・ガストー症候群患者を対象とした TAK-935(soticlestat)の第 3 相試験 | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-391 | 小野薬品工業株式会社の依頼による部分発作を有する日本人てんかん患者を対象とした ONO-2017 (Cenobamate) の第 II 相試験    | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-399 | 大塚製薬の依頼による統合失調症患者を対象としたブレクスピプラゾール週 1 回製剤(QW 製剤)の薬物動態に対する食事の影響検討試験(第 I 相試験) | 治験に関する変更[軽微な変更等] |
| 治-386 | ノバルティスファーマ株式会社の依頼による大うつ病性障害を対象とした MIJ821sc の第 II 相試験                       | 安全性情報等に関する報告     |
| 治-376 | アキュリスファーマ株式会社の依頼によるてんかん重積状態もしくはそのリスクを有する日本人小児患者を対象とした NRL-1 の第 III 相試験     | 治験終了に関する報告       |
| 治-386 | ノバルティスファーマ株式会社の依頼による大うつ病性障害を対象とした MIJ821sc の第 II 相試験                       | 治験終了に関する報告       |
| 治-216 | 富山化学工業株式会社の依頼によるアルツハイマー型認知症患者を対象とした T-817MA の臨床第 II 相試験                    | 治験中止に関する報告       |

| 整理番号  | 研究課題                                                                        | 報告事項             |
|-------|-----------------------------------------------------------------------------|------------------|
| 治-359 | 住友ファーマ株式会社の依頼による統合失調症患者を対象としたSEP-363856の第Ⅱ/Ⅲ相試験                             | 治験中止に関する報告       |
| 治-392 | 多系統萎縮症患者を対象としてTAK-341 静注製剤の有効性、安全性、忍容性、薬物動態及び薬力学を評価する第2相、無作為化、二重盲検、プラセボ対照試験 | 治験に関する変更[迅速審査報告] |

#### (5) 監査・モニタリング申請・結果報告

| 報告事項            | 件数                       |
|-----------------|--------------------------|
| 監査・モニタリング申請件数   | 直接閲覧 31 件、リモートモニタリング 2 件 |
| 監査・モニタリング結果報告件数 | 0 件                      |

#### (6) その他の報告(6 件)

| 整理番号                                                                                                                                                      | 研究課題                                                                 | 報告事項             |
|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------|------------------|
| 治-331                                                                                                                                                     | 第一三共株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたDS-5141bの第Ⅱ相長期継続投与試験            | 付保証明書の提出         |
| 治-374                                                                                                                                                     | ヤンセンファーマ株式会社の依頼による成人の慢性炎症性脱髄性多発根神経炎(CIDP)患者を対象としたNipocalimabの第Ⅱ/Ⅲ相試験 | 保険契約証明書の提出       |
| 治-384                                                                                                                                                     | 大塚製薬の依頼による急性期の統合失調症患者を対象としたブレクスピラゾール週1回製剤(QW製剤)の第Ⅲ相試験                | 治験に関するお知らせ       |
| 治-385                                                                                                                                                     | 大塚製薬の依頼による統合失調症患者を対象としたブレクスピラゾール週1回製剤(QW製剤)の第Ⅲ相長期投与試験                | 治験に関するお知らせ       |
| 治-399                                                                                                                                                     | 大塚製薬の依頼による統合失調症患者を対象としたブレクスピラゾール週1回製剤(QW製剤)の薬物動態に対する食事の影響検討試験(第Ⅰ相試験) | 治験に関するお知らせ       |
| 治-329、338、340、341、343、354、355、356、357、360、361、362、363、365、366、367、368、370、371、372、374、377、378、380、381、384、385、388、389、390、391、392、394、395、396、398、399、400 |                                                                      | SMOの社名変更に関するお知らせ |

=

[ 別 表 ]

## 臨床試験審査委員会委員出欠リスト

|       | 氏名    | 職業、資格及び所属                           | 委員区 | 出欠 |
|-------|-------|-------------------------------------|-----|----|
| 委員長   | 高橋 祐二 | 医師<br>病院 特命副院長<br>病院 脳神経内科診療部 部長    | ④   | ○  |
| 副委員長  | 勝海 学  | 薬剤師<br>病院 薬剤部 部長                    | ④   | ○  |
| 専門委員  | 瀬川 和彦 | 医師<br>病院 臨床研究・教育研修部門 教育<br>研修部 部長   | ④   | ×  |
| 専門委員  | 岩崎 真樹 | 医師<br>病院 脳神経外科診療部 部長                | ④   | ○  |
| 専門委員  | 大町 佳永 | 医師<br>病院 司法精神診療部 第一司法精<br>神科 医長     | ④   | ○  |
| 専門委員  | 本橋 裕子 | 医師<br>病院 脳神経小児科診療部 第二脳<br>神経小児科 医長  | ④   | ○  |
| 専門委員  | 中村 直子 | 看護師<br>病院 看護部 部長                    | ④   | ○  |
| 専門委員  | 青木 吉嗣 | 医師<br>神経研究所 遺伝子疾患治療研究部<br>部長        | ④   | ○  |
| 専門委員  | 住吉 太幹 | 医師<br>精神保健研究所 児童・予防精神医<br>学研究部 部長   | ④   | ○  |
| 専門委員  | 成田 瑞  | 医師<br>精神保健研究所 行動医学研究部<br>精神機能研究室 室長 | ④   | ○  |
| 非専門委員 | 河原 諭  | 財務経理部 部長                            | ①   | ○  |
| 非専門委員 | 高畑 朋哉 | 総務部 人事課 労務管理室 室長                    | ①   | ×  |
| 専門委員  | 松井 佑樹 | 医師<br>企画経営部 企画医療研究課 課長              | ④   | ○  |
| 非専門委員 | 藤山 大輔 | 財務経理部 医事課 課長                        | ①   | ○  |
| 外部委員  | 小林 麻理 | 都立学校 副校長                            | ②③  | ×  |
| 外部委員  | 松井 勝彦 | 大学 教授                               | ②③  | ○  |
| 外部委員  | 中澤 栄輔 | 大学院 講師                              | ②③  | ○  |

注) 委員区分については以下の区分により番号で記載する。

- ①非専門委員
- ②実施医療機関と利害関係を有しない委員（①の委員を除く）
- ③治験審査委員会の設置者と利害関係を有しない委員（①の委員を除く）
- ④①～③以外の委員

また、出欠については以下の区分により記号で記載する。

- （出席した委員）
- ×