

## 令和7年度 第12回臨床試験審査委員会 議事要旨概要

日時：令和8年3月26日（木） 16:30～17:40

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

- ・ 中川栄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及び議事要旨概要について承認された。その他意見なし。

### (2) 新規申請（計4件）

整理番号	議題名	審議事項	審議結果
治-441	（治験国内管理人）株式会社新日本科学 PPD の依頼による筋強直性ジストロフィー1型患者を対象とした DYNE-101 の第3相試験	新規申請の受け入れの可否	承認
治-442	日本新薬株式会社の依頼による NS-035 の第II相試験	新規申請の受け入れの可否	承認
治-443	ノバルティス ファーマ株式会社の依頼による進行性核上性麻痺患者を対象とした NI075 2 の第Ⅲ相試験	新規申請の受け入れの可否	承認
治-444	PSEN1 (Presenilin1) 遺伝子変異アルツハイマー患者を対象とした TW-012R の有効性及び安全性を評価する第Ⅱ/Ⅲ相試験（二重盲検並行群間比較試験）	新規申請の受け入れの可否	承認

### (3) 治験継続（治験実施状況報告0件、重篤な有害事象等報告4件、安全性情報等報告49件、治験に関する変更申請18件、緊急危険回避のための逸脱報告0件）

整理番号	議題名	審議事項	審議結果
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）	安全性情報等報告	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）	安全性情報等報告	承認

整理番号	議題名	審議事項	審議結果
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	安全性情報等報告	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 alprazolam の第Ⅲ相試験	安全性情報等報告	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 alprazolam の第Ⅲ相継続試験	安全性情報等報告	承認
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	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認
治-375	アレキサ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	重篤な有害事象等報告 安全性情報等報告	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	安全性情報等報告	承認
治-390	株式会社カネカの依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する KA-301 の安全性及び有効性を検討する第Ⅰ/Ⅱ相試験	治験に関する変更申請	承認
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	安全性情報等報告	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)	安全性情報等報告	承認
治-398	A Phase 1/2a Study to Evaluate the Safety, Tolerability, Pharmacokinetics and Pharmacodynamics of Intrathecally Administered ION717 in Patients with Prion Disease プリオン病患者を対象に ION717 の髄腔内投与の安全性、忍容性、薬物動態及び薬力学を評価する第1/2a相試験	治験に関する変更申請	承認

整理番号	議題名	審議事項	審議結果
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/N CNP-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	治験に関する変更申請	承認
治-408	先行する SRP-9001 臨床試験の 1 試験で SRP-9001 の投与を受けた被験者を対象として、SRP-9001 の長期安全性及び有効性を評価する第 3 相多国籍追跡調査試験	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認
治-410	サノフィ株式会社の依頼による CIDP における riliprubart の有効性及び安全性を IVIg と比較評価する第 III 相試験	治験に関する変更申請	承認
治-411	サノフィ株式会社の依頼による難治性慢性炎症性脱髄性多発ニューロパチー患者を対象とした riliprubart の第 III 相試験	治験に関する変更申請	承認
治-412	A Phase 3 Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Global Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Intravenous AOC 1001 for the Treatment of Myotonic Dystrophy Type 1 筋強直性ジストロフィー 1 型治療薬としての AOC 1001 静注用の有効性及び安全性を評価する第 III 相、無作為化、二重盲検、プラセボ対照、国際共同試験	安全性情報等報告	承認
治-413	サノフィ株式会社の依頼による再発型多発性硬化症の成人患者を対象とした frexalimab (SAR441344) の第 III 相試験	安全性情報等報告	承認
治-414	サノフィ株式会社の依頼による再発を伴わない二次性進行型多発性硬化症の成人を対象とした frexalimab (SAR441344) の有効性及び安全性試験	安全性情報等報告	承認
治-416	中外製薬株式会社の依頼による RAY121 の第 I 相試験	治験に関する変更申請	承認
治-418	多系統萎縮症患者を対象とした Lu AF82422 の介入、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照、任意の非盲検継続試験	重篤な有害事象等報告 安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認
治-419	ユーシービー・ジャパン株式会社の依頼による小児てんかん患者に対する BRIVARACETAM 併用投与における長期安全性及び忍容性を評価する、非盲検、単群、多施設共同試験	安全性情報等報告	承認
治-423	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社の依頼による双極 I 型障害の躁病エピソードの治療における KarXT の有効性及び安全性を評価する第 3 相試験	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認

整理番号	議題名	審議事項	審議結果
治-424	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社の依頼による双極 I 型障害における躁状態エピソード治療のための KarXT の長期安全性を評価する第 3 相、非盲検長期継続投与試験	安全性情報等報告	承認
治-425	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社の依頼による統合失調症と診断された急性精神病症状を有する日本人成人患者を対象とした KarXT の有効性及び安全性を評価する第 3 相、2 パート試験	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認
治 427	アンジェルマン症候群の小児及び成人患者を対象とした ION582 の有効性及び安全性に関する第 III 相試験	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認
治-428	大塚製薬の依頼による児童・青少年 ADHD 患者を対象とした EB-1020 の第 II/III 相試験	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認
治-429	大塚製薬の依頼による児童・青少年 ADHD 患者を対象とした EB-1020 の第 III 相長期投与試験	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認
治-431	Longboard 社の依頼による小児及び成人の Dravet 症候群患者を対象とした LP352 の第 3 相試験	安全性情報等報告	承認
治-433	中外製薬株式会社の依頼による早期症候性アルツハイマー病患者（AD による MCI から軽度認知症）を対象とした R07126209 (trontinemab) の第 III 相試験	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認
治-435	Longboard 社の依頼による小児及び成人の発達性てんかん性脳症患者を対象とした LP352 の第 3 相試験	安全性情報等報告	承認
治-436	Longboard 社の依頼による小児及び成人の発達性てんかん性脳症患者を対象とした LP352 の第 3 相非盲検試験	安全性情報等報告	承認
治-437	ノバルティス 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 VHB937 の有効性及び安全性試験	安全性情報等報告	承認
治-438	A Global Phase 3 Open-Label Extension Study to Assess the Long-Term Safety, Tolerability, and Efficacy of Intravenous AOC 1001 for the Treatment of Myotonic Dystrophy Type 1 / 筋強直性ジストロフィー1 型治療薬としての AOC 1001 静注用の長期投与の安全性、忍容性及び有効性を評価する国際共同、第 III 相、非盲検継続投与試験	安全性情報等報告	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)	重篤な有害事象等報告 安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認

整理番号	議題名	審議事項	審議結果
医-019	10歳以上のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象とした、Tranilastの運動機能、呼吸機能、心機能への有効性・安全性を評価するための無作為化二重盲検プラセボ対照第II相試験	安全性情報等報告	承認
医-021	多系統萎縮症に対するMSA-01の多施設共同プラセボ対照二重盲検ランダム化第III相試験	安全性情報等報告 治験に関する変更申請	承認

(4) 治験実施の適切性（医師主導治験 モニタリング/監査報告 2件）

整理番号	議題名	審議事項	審議結果
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）	モニタリング報告	
医-020	パーキンソン病に対するGT0003Xの第I/II相臨床試験	モニタリング報告	

(5) 報告（治験終了等報告1件、開発中止等報告0件、修正報告0件、迅速審査報告0件、治験実施計画書等の軽微な変更等・その他31件、緊急危険回避のための逸脱通知0件）

整理番号	議題名	報告事項
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	治験終了等報告
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	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
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）	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
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）	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
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	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
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	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他

整理番号	議題名	報告事項
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	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
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	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-390	株式会社カネカの依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する KA-301 の安全性及び有効性を検討する第Ⅰ/Ⅱ相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-394	武田薬品工業株式会社の依頼による特定状態の中枢性過眠症を対象とした TAK-861 の第2/3相試験（TAK-861-2003試験）	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-409	NPC-22 の慢性流涎症患者を対象とした第Ⅱ/Ⅲ相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-422	（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ドラベ症候群患者を対象とした zorevunersen（STK-001）の有効性、安全性、忍容性を評価する二重盲検第3相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-423	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社の依頼による双極Ⅰ型障害の躁病エピソードの治療における KarXT の有効性及び安全性を評価する第3相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-424	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社の依頼による双極Ⅰ型障害における躁状態エピソード治療のための KarXT の長期安全性を評価する第3相、非盲検長期継続投与試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-425	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社の依頼による統合失調症と診断された急性精神病症状を有する日本人成人患者を対象とした KarXT の有効性及び安全性を評価する第3相、2パート試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-428	大塚製薬の依頼による児童・青少年 ADHD 患者を対象とした EB-1020 の第Ⅱ/Ⅲ相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-429	大塚製薬の依頼による児童・青少年 ADHD 患者を対象とした EB-1020 の第Ⅲ相長期投与試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-431	Longboard 社の依頼による小児及び成人の Dravet 症候群患者を対象とした LP352 の第3相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-432	中外製薬株式会社の依頼によるアルツハイマー病試験候補者を判定するためのマスタースクリーニング試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他

整理番号	議題名	報告事項
治-433	中外製薬株式会社の依頼による早期症候性アルツハイマー病患者（ADによるMCIから軽度認知症）を対象としたR07126209 (trontinemab)の第Ⅲ相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-435	Longboard社の依頼による小児及び成人の発達性てんかん性脳症患者を対象としたLP352の第3相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-436	Longboard社の依頼による小児及び成人の発達性てんかん性脳症患者を対象としたLP352の第3相非盲検試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-437	ノバルティス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VHB937の有効性及び安全性試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-438	A Global Phase 3 Open-Label Extension Study to Assess the Long-Term Safety, Tolerability, and Efficacy of Intravenous AOC 1001 for the Treatment of Myotonic Dystrophy Type 1 / 筋強直性ジストロフィー1型治療薬としてのAOC 1001 静注用の長期投与の安全性、忍容性及び有効性を評価する国際共同、第Ⅲ相、非盲検継続投与試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他
治-439	大塚製薬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Ⅲ相試験	治験実施計画書等の軽微な変更等・その他

#### (6) 報告：モニタリング・監査について

- ・ 令和8年2月13日～3月12日 モニタリング・監査  
申請 直接閲覧 25件、リモートモニタリング 0件、結果報告 0件

[ 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	委員区分	出欠
委員長	中川 栄二	医師 病院 副院長	④	○
副委員長	勝海 学	薬剤師 病院 薬剤部 部長	④	×
専門委員	木村 浩晃	医師 病院 総合内科部 内科 医長	④	○
専門委員	山本 敏之	医師 病院 脳神経内科診療部 第五脳神経内 科医長	④	○
専門委員	沖田 恭治	医師 病院 精神診療部 第一精神科 医長	④	○
専門委員	本橋 裕子	医師 病院 脳神経小児科診療部 第二脳神経 小児科 医長	④	○
専門委員	中村 直子	看護師 病院 看護部 部長	④	○
専門委員	間野 達雄	医師 神経研究所 疾病研究第四部 第二研究 室室長	④	○
専門委員	住吉 太幹	医師 精神保健研究所 児童・予防精神医学 研究部 部長	④	○
専門委員	成田 瑞	医師 精神保健研究所 行動医学研究部 精神機能研究室 室長	④	×
非専門委員	木曾 淳	財務経理部 部長	①	×
非専門委員	難波田 進悟	総務部 人事課 労務管理室 室長	①	×
専門委員	松井 佑樹	医師 企画経営部 企画医療研究課 課長	④	○
非専門委員	金子 照慶	財務経理部 医事課 課長	①	○
外部委員	布川 有希恵	都立学校 副校長	②③	○
外部委員	廣瀬 誠	大学 教授	②③	○
外部委員	中澤 栄輔	大学院 教授	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)
- × (欠席した委員)