

令和8年度 第1回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和8年4月15日(水) 15:05～15:15
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	大塚 友吉、石垣 千絵、堀場 昌英、相磯 光彦、中嶋 京一、鈴木 幹也、西牟田 浩伸、圓岡 大典、小沼 進吉、佐藤 陽子、井ノ川 勝一、木崎 輝男、鈴木 健司、黒崎 晃、関根 雅江、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	議題① AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY 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(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験 【審議事項】 副作用報告(2026.3.13付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認 【報告事項】 治験の終了について報告をした。 議題② 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 【報告事項】 ・治験実施計画書補遺の改訂(8版→9版)について報告をした。 ・治験実施計画書補遺の改訂(9版→10版)について報告をした。 ・治験実施計画書補遺の改訂(10版→11版)について報告をした。 ・治験協力者の追加と削除による変更に対し、報告をした。 ・「Medical SV President 変更の御案内」について報告をした。

令和8年度 第2回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和8年9月16日(水) 15:05～15:10
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	大塚 友吉、石垣 千絵、堀場 昌英、相磯 光彦、中嶋 京一、鈴木 幹也、西牟田 浩伸、圓岡 大典、小沼 進吉、佐藤 陽子、井ノ川 勝一、木崎 輝男、鈴木 健司、黒崎 晃、関根 雅江、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	議題① 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 【審議事項】 安全性情報の年次報告(調査単位期間:2025/6/30～2026/6/29)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認 ご本人への説明文書・同意文書の改訂(第2.0版→第2.1版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認 保護者の方への説明文書・同意文書の改訂(第2.0版→第2.1版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認