

平成23年度個別施策ヒアリング資料(優先度判定)【厚生労働省】

施策番号	25106	施策名		生活習慣病・難治性疾患克服総合研究 (4)難治性疾患克服研究 難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究 の一部(難病関連研究分野)(仮称)			
新規／継続	継続	領域	ライフ・イノベーション	国際的位置付け	上位	AP施策	
競争的資金	○	e-Rad	○	社会還元			
施策の目的及び概要	難治性疾患克服研究事業においては、原因が不明で、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残すおそれが少なくない難治性疾患のうち、患者数が少なく研究の進みにくい疾患に対して、重点的・効率的に研究を行うことにより進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を行い、患者のQOLの向上を図ることを目的とする。 本研究事業では、以下の5分野において研究がおこなわれている。 (ア)臨床調査研究分野 臓器別、疾患別に特定疾患に係る科学的根拠を集積・分析し、疫学的研究を含む疾患の実態解明、診断・治療法の開発及び確立、標準的診断・治療法の確立及び普及等を図ることにより、医療の向上に役立てることを目的とする。 (イ)重点研究分野 臨床調査研究分野の対象疾患の患者の予後や生活の質の改善を目指し、又は明確かつ具体的な目標を設定し、画期的な治療法等の開発を目的とする。 (ウ)横断的基盤研究分野 臨床調査研究や他の先端的厚生労働科学研究(ヒトゲノム・遺伝子治療研究等)による研究者との情報交換、技術的支援等の連携のもと、臨床調査研究分野の対象疾患に係る基盤的・基礎的な科学的根拠を集積・分析し、医療に役立てることを目的とする。 (エ)研究奨励分野 臨床調査研究分野に含まれておらず、「希少性(おおむね5万人未満)・原因不明・効果的な治療方法未確立・生活面への長期にわたる支障」という4要素を満たす疾患(満たす可能性がある場合を含む)であり、臨床調査研究班等により組織的・体系的に研究が行われてこなかった疾患について、医療関係者等の関心を高め、患者や病態の実態把握等を目的とする。 (オ)指定分野 難治性疾患に関する行政的課題を解決するため、政策的な研究を行うことを目的とする。 「難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究」(難病関連分野)においては、次世代遺伝子解析装置を用い、難病に罹患した個人の全遺伝子の解析を網羅的に実施することで、様々な難病の原因(遺伝子)を横断的に特定し、効果的・効率的な治療方法の開発に結びつけることを目的としている。(上記、難治性疾患克服研究事業においては、個別難病それぞれについて、患者の規模、臨床症状、診断基準、治療法の確立を目的として研究を進めていることから、本事業との連携により、臨床応用及び難治性疾患克服が加速される。)						
達成目標及び達成期限	平成30年頃までに、原因が不明で、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残す恐れが少なくない難治性疾患のうち、患者数が少なく研究の進みにくい疾患に対して、多様な難病の病態に関する知的基盤を作るとともに、治療法を適切に評価し、疾患の進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を行い、医療技術の水準の向上を図る。						
研究開発目標	平成30年頃までに、原因が不明で、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残す恐れが少なくない難治性疾患のうち、患者数が少なく研究の進みにくい疾						

及び達成 期限	患に対して、多様な難病の病態に関する知的基盤を作るとともに、治療法を適切に評価し、疾患の進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の研究・開発を行う。	
23年度の 研究開発 目標	平成23年度はこれまでの研究成果を基盤として、以下の点を中心に研究開発を行う。 ・新たな知見・技術を踏まえた希少難治性疾患の病態解明・治療法開発を更に進める。 ・難治性疾患の克服を目指し先端医療開発特区（スーパー特区）制度を活用した重点研究において得られた結果から、疾患の進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を引き続き行う。 ・生体試料等の収集・提供に関する研究を継続的に行い、多様な難病の病態に関する知的基盤を作る。 ・希少難治性疾患に関する新たな治療薬開発につながる研究を支援する。 ・行政的課題の解決のための政策的研究を推進する。	
施策の重 要性	希少難治性疾患は、患者数が少なく、原因が不明かつ治療法が未確立であり、予後不良で極めて長期にわたり生活への支障をきたす疾患である。患者数が少ないため、民間資金や他の研究事業から研究資金を得ることが困難である。このような背景から、本事業により診断法・治療法を確立し、症状の改善や進行を阻止することが急務である。現在、研究対象となっていない疾病を含め広く臨床知見を集積する等により実態を把握し、我が国における標準的な知見を取りまとめることで、当該疾患の研究の発展と、治療の確立・向上を目指していく必要がある。	
実施体制	研究開発主体は公募により決定する。特に行政的なニーズの高い研究課題については指定研究として研究を推進する。 なお、難治性疾患の克服に向け、研究奨励分野においては、臨床調査研究分野の範疇には含まれていない、いわゆる難病について、実態を把握するための研究を行う。また全体として、他の研究資金を得ることがより困難と考えられる希少性の高い疾患を優先する。	
H22予算額(百万円)		H23概算要求額(百万円)
10,000		11,000
独立行政法人名(運営費交付金施策のみ)		
H23概算要 求額の内 訳	それぞれ1課題あたりの研究費 (ア)臨床調査研究分野 50百万円程度 ・うち間接経費:直接研究費の30%を限度に交付 ・採択予定課題数:40課題程度 (イ)重点研究分野 30百万円程度 ・うち間接経費:直接研究費の30%を限度に交付 ・採択予定課題数:20課題程度 (ウ)横断研究分野 30百万円程度 ・うち間接経費:直接研究費の30%を限度に交付 ・採択予定課題数:10課題程度 (エ)研究奨励分野 15百万円程度 ・うち間接経費:直接研究費の30%を限度に交付 ・採択予定課題数:200課題程度 (ア)指定型 1課題あたりの研究費	

	3,000百万円程度 ・間接経費:直接研究費の30%を限度に交付 (イ)一般公募型 1課題あたりの研究費 100百万円程度 ・間接経費:直接研究費の30%を限度に交付 ・採択予定課題数:10課題程度		
期間	S47～未定	資金投入規模(億円)	
これまでの成果 (継続のみ)	臨床調査研究分野においては、平成21年度より130の希少難治性疾患について研究を実施し、これらの疾患の実態解明、診断・治療法の開発・確立に向けた研究を実施している。 また、130疾患以外の原因不明の希少難治性疾患で、未だ実態が明らかでない疾患について、疾患概念の確立を目指す研究等を行う「研究奨励分野」を創設し、新たに177疾患を対象に研究を推進し、希少難治性疾患の患者数など疫学情報の把握や疾患概念の検討を行い、一部の疾患については新たな治療法の可能性についても明らかにした。 主な成果は、以下の通り。 <臨床調査研究分野> ・「難治性炎症性腸管障害」の研究においては「潰瘍性大腸炎クローン病診断基準」を作成し、国際臨床試験へ参加するとともに、多施設共同研究の成果による日本オリジナルの新治療法を海外発信した。 <研究奨励分野> ・「道化師様魚鱗癬」の研究においては「道化師様魚鱗癬治療指針」を作成した。また、ABCA12遺伝子変異が病因であると特定し、モデルマウスを用いて胎児治療としての遺伝子治療法の開発を進めた。 ・「Cryopyrin-associated periodic syndrome(CAPS)」の研究においては我が国における実態調査を把握した上で、世界規模での症例集積を通してこれまで原因とされてきた遺伝子変異であるCIAS1変異を有さないCAPS患者の再調査を行って、患者数などの実態を明らかにした。また、CAPS患者由来iPS細胞の作成、iPS細胞からの血液細胞、軟骨細胞への分化系の確立を行った。 ・「難治性血管腫・血管奇形」の研究において21年度は「血管腫・血管奇形診療ガイドライン」、「難治性疾患としての血管奇形診断基準案」の作成を行った。22年度以降、疾患情報データベースにおける症例登録、患者聞き取り(アンケート)調査によるQOLスコア化の調査、血管病変の病理学的解析、分子生物学的解析、血管腫・血管奇形の疾患情報ホームページの作成を中心に行っていく予定である。		
社会情勢・技術の変化(継続のみ)	難病対策については、臨床調査研究分野に含まれる研究対象疾患が平成21年度より123疾患から130疾患に拡大され、さらに研究奨励分野として約180疾患が対象として研究がなされるなど、対策疾患が多いことや安定的な財源確保など様々な行政的課題があること、及び難治性疾患患者のニーズとして、臨床現場への応用が期待できる研究を推進すべきとの強い要望があり、それらの課題を解決する必要がある。 また、未だ治療法の確立していない神経疾患、難治性炎症性疾患、代謝性疾患等の根治的治療開発のため、疾患遺伝子の解析等をすすめる、最新技術を駆使することによって、病因、病態解明の研究を推進するほか、診療ガイドラインの作成や難病患者の在宅医療の技術開発等を進め、臨床現場における医療の質の向上を図る必要がある。		
昨年度優先度判定 (継続のみ)	着実	優先度判定時の指摘への対応(継続のみ)	平成22年度より、障害者対策総合研究事業の公募の際には難治性疾患克服研究事業との重複課題を対象外とするなど、研究課題が重複しないよう効率的・効果的な研究の推進に努めている。

国民との科学・技術対 話推進への対応(対象 施策のみ)	「研究助成の改善等に向けた基本的な方向性について」(平成22年7月29日厚生労働省の研究助成等のあり方に関する省内検討会)において、評価指標の見直しの方向性をまとめたところであり、「国民への分かりやすい説明」の視点を評価することとし、今後、国民への成果の普及・還元等への取り組みを評価項目として追加する予定。
--	---