

# 難病克服プロジェクト

健康長寿(9)

アウトカム  
中間目標(2015年度まで)  
<成果目標(2020年頃)>

主な取組 2014年度 2015年度 2016年度 2017年度 2018年度 2019年度 2020年度

## 希少・難治性疾患(難病)克服に向けた治療法開発の実現

- ・文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」【健・文08】《再掲》
- ・厚生労働省「厚生労働科学研究費生活習慣病・難治性疾患克服実用化研究事業」【健・厚30】

【2015年度まで】

- ・薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上

拡張型  
心筋症

## iPS細胞を用いた拡張型心筋症の病態解明研究

iPS細胞の樹立、分化誘導、提供

病態解明研究

【2020年度まで】

- ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大が11件以上
- ・欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進

先天性  
ミオパチー

## iPS細胞を用いた先天性ミオパチーの病態解明研究

iPS細胞の樹立、分化誘導、提供

病態解明研究

筋  
チャンネル病

## iPS細胞を用いた筋チャンネル病の病態解明研究

iPS細胞の樹立、分化誘導、提供

病態解明研究

- ・厚生労働省  
難治性疾患  
実用化研究事  
業で実施

ALS

## ALSを含む神経筋疾患に対するロボットスーツHAL-HN01の研究

医師主導  
治験

医療機器  
承認申請

他疾患への適応拡大のための医師主導治験

- ・文部科学省  
再生医療  
実現拠点  
ネットワーク  
プログラム  
で実施

血小板  
減少性  
紫斑病

## 血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験(適応拡大)

医師主導治験  
(第Ⅱ相)

薬事承認  
申請

結節性  
硬化症

## 結節性硬化症の皮膚病変に対する安全性の高い治療薬の開発と実用化

医師主導治験  
(第Ⅰ/Ⅱ相)

企業主導治験  
(第Ⅲ相)

薬事承認  
申請

※研究の進捗は疾患毎に異なり、例示した疾患以外にも多くの疾患について研究を実施

# 難病克服プロジェクト

健康長寿(9)

アウトカム

中間目標(2015年度まで)  
 <成果目標(2020年頃)>



【2015年度まで】  
 ・薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上

【2020年度まで】  
 ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大が11件以上  
 ・欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進

厚生労働省  
 難治性疾患  
 実用化研究事業で実施

※研究の進捗は疾患毎に異なり、例示した疾患以外にも多くの疾患について研究を実施

# 難病克服プロジェクト

健康長寿(9)

アウトカム

中間目標(2015年度まで)  
＜成果目標(2020年頃)＞

主な取組

2014年度

2015年度

2016年度

2017年度

2018年度

2019年度

2020年度

潰瘍性  
大腸炎

難治性潰瘍性大腸炎に対象としたアドレノメデュリン製剤の作成

非臨床研究

医師主導治験  
(第Ⅰ相)

医師主導治験  
(第Ⅱ/Ⅲ相)

薬事承認  
申請

【2015年度まで】

- ・薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上

肺  
高血圧症

重症肺高血圧症に対するナノ医療製剤の実用化臨床試験

非臨床研究

医師主導治験  
(第Ⅰ相)

医師主導治験  
(第Ⅱ/Ⅲ相)

薬事承認  
申請

【2020年度まで】

- ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大が11件以上
- ・欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進

心筋  
血管症

中性脂肪蓄積心筋血管症に対する中鎖脂肪酸を含有する医薬品

非臨床研究

医師主導治験  
(第Ⅰ相)

医師主導治験  
(第Ⅱ/Ⅲ相)

拡張型  
心筋症

重症拡張性心筋症患者に対する新規オキシム誘導体徐放製剤による治療法の開発

非臨床研究

医師主導治験  
(第Ⅰ相)

企業主導治験(第Ⅲ相)

薬事承認  
申請

- ・厚生労働省  
難治性疾患  
実用化研究事  
業で実施

※研究の進捗は疾患毎に異なり、例示した疾患以外にも多くの疾患について研究を実施