

9. 難病克服プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成27年度予算額 96億円(一部再掲)

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品・医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発をめざす研究を推進する。また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

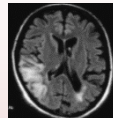
● 難治性疾患実用化研究事業

遺伝子治療及び医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指した
臨床研究、医師主導治験等の推進(新規治療法の開発・既存薬剤の適応拡大等)

・小児重症拡張型心筋症への
骨格筋芽細胞シートを用いた
再生治療等



・ミトコンドリア脳筋症に
対するタウリン療法



・リンパ脈管筋腫症に
対するシロリムス内服



・難治性潰瘍を伴う
免疫疾患に対する
体外衝撃波治療法等



・ALSに対する
HGF髄腔内投与



・プリオン病に対する低分子
シヤペロン治療薬の開発

・遠位型ミオパチーに対する
Nアセチルノイラミン酸の開発

・HAMの革新的な治療法となる
抗CCR抗体療法の実用化

平成27年度予算額 85.7億円

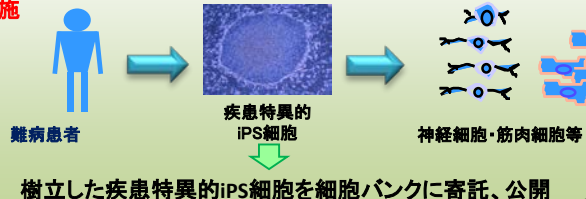
■: 文科省、■: 厚労省

実用化(市販・医療現場への普及等)

企業ベンチャー等による研究の推進

● 疾患特異的iPS細胞を樹立、分化誘導、解析する技術を有する拠点の整備

疾患特異的iPS細胞の樹立・分化に関する技術の普及や
疾患特異的iPS細胞を用いた研究を個別機関と共同で実施



H24年度『疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究』
iPS細胞を活用した基礎研究から実用化研究まで一貫した研究体制の構築による早期の治療法開発

平成27年度予算額 10.5億円
(再掲)

①患者体細胞の供与

情報共有

②iPS細胞、分化細胞の供与

● 疾患特異的iPS細胞から分化誘導された細胞を用いた治療法の開発研究



共同研究

製薬企業との共同研究を実施

共同研究

創薬支援ネットワーク

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

支援基盤

【2015年度までの達成目標】

○薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上の達成
(重症肺高血圧症、クロイツフェルト・ヤコブ病等のプリオン病など)

【2020年頃までの達成目標】

○新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成
(ALS、遠位型ミオパチーなど)
○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