

難治性疾患実用化研究事業／消化器系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
A-01	鈴木淳史	九州大学	難治性腸疾患の病態解明と治療法開発に向けた誘導腸上皮オルガノイド作製法の開発
A-02	筋野智久	慶應義塾大学	脂肪摂取モデルを用いた炎症性腸疾患の病態解明
A-03	松本健治	国立成育医療研究センター	好酸球性消化管疾患の原因食物特定のための検査法の開発
A-04	北村和雄	宮崎大学	難治性潰瘍性大腸炎に対するアドレノメデュリンの医師主導治
A-05	金井隆典	慶應義塾大学	難治性クローン病に対する神経難病治療薬OCH-NCNPの有用性を検証する医師主導治験
A-06	林久允	東京大学	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症2型患者を対象としたブフェニールの第II相試験
A-07	林久允	東京大学	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症1型の新規鑑別法に基づいた全国疫学調査研究
A-08	野村伊知郎	国立成育医療研究センター	好酸球性消化管疾患、成長発達障害を防ぐための血清診断法開発研究
A-09	中島淳	横浜国立大学	エビデンス創出を目指した慢性特発性偽性腸閉塞症の新規診断・治療法の研究
A-10	田中篤	帝京大学	PBCの皮膚掻痒に対するナルフラフィン塩酸塩の有効性の探索
A-11	野村伊知郎	国立成育医療研究センター	好酸球性消化管疾患、重症持続型の根本治療、多種食物同時除去療法に関するエビデンス創出研究
A-12	仁尾正記	東北大学	胆道閉鎖症診療ガイドライン改定を目指したエビデンス創出研究
A-13	奥村彰久	愛知医科大学	早産児黄疸の包括的診療ガイドラインの作成

難治性疾患実用化研究事業／内分泌・代謝系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
B-01	村山圭	千葉がんセンター	ミトコンドリア病に対する病態解明及び創薬の研究
B-02	中村浩之	千葉大学	ニーマン・ピック病C型の病態解明と革新的治療薬の開発に関する研究
B-03	大橋十也	東京慈恵会医科大学	ムコ多糖症II型の造血幹細胞を標的とした遺伝子治療の実用化研究
B-04	古賀靖敏	久留米大学	ミトコンドリア病に対するビルビン酸ナトリウムの創薬と新規バイオマーカーの開発
B-05	砂田芳秀	川崎学園川崎医科大学	タウリンによるMELAS脳卒中様発作再発抑制療法の実用化
B-06	阿部高明	東北大学	世界初・日本発ミトコンドリア病治療薬MA-5のオールジャパン臨床治験
B-07	成瀬光栄	国立病院機構京都医療センター	重症型原発性アルドステロン症の診療の質向上に資するエビデンス構築
B-08	赤水尚史	和歌山県立医科大学	ホルモン受容体異常症のエビデンス構築
B-09	村山圭	千葉がんセンター	ミトコンドリア病診療におけるエビデンス創出研究

難治性疾患実用化研究事業／骨・関節・歯系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
C-01	檜井栄一	金沢大学	肋骨異常を伴う先天性側弯症の発症機序の解明
C-02	妻木範行	京都大学	軟骨無形成症の疾患モデルの確立、病態解明、そして治療薬の開発
C-03	松本守雄	慶應義塾大学	後縦帯骨化症に対する骨化制御機構の解明と治療法開発に関する研究
C-04	吉子裕二	広島大学	ASARMペプチド: FOP, GACIの治療薬開発
C-05	秋山治彦	岐阜大学	特発性大腿骨頭壊死症におけるbFGF含有ゼラチンハイドロゲルによる壊死骨再生治療の開発
C-06	大園恵一	大阪大学	診療ガイドライン策定を目指した骨系統疾患の診療ネットワークの構築
C-07	大川淳	東京医科歯科大学	「脊柱帯骨化症、手術成績に関する多施設前向き調査」
C-08	山岡哲二	国立循環器病研究センター	広汎型侵襲性歯周炎治療のための内因性/外因性増殖因子吸着担体の開発

難治性疾患実用化研究事業／循環器・脈管奇形系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
D-01	佐藤公雄	東北大学	致死性疾患肺高血圧症の全く新しい病因蛋白に着目した治療薬開発
D-02	武田憲文	東京大学	マルファン症候群の動脈瘤と側弯症の病態解明と新規薬物療法の開発
D-03	朝野仁裕	大阪大学大学院	遺伝性徐脈性難病に対する診断法の確立とチャネル選択的阻害薬による新規治療法の開発
D-04	神谷千津子	国立循環器病研究センター	周産期心筋症のオミックス・生化学解析研究
D-05	大野聖子	滋賀医科大学	カテコラミン誘発性多形性心室頻拍の病態解明
D-06	家田真樹	慶應義塾大学	心臓線維芽細胞をターゲットとする心筋再生遺伝子治療薬の開発
D-07	綿川真太郎	北海道大学	ナノカプセルを用いた拡張型心筋症に対するミトコンドリアをターゲットとした新規治療法の開発
D-08	林文晴	東京医科歯科大学	新規原因遺伝子を基盤とした心筋症の治療法の開発
D-09	堀田秋津	京都大学	独自送達技術開発による先天性筋疾患に対するゲノム編集治療法の開発
D-10	牧山武	京都大学	先天性QT延長症候群スプライシング変異を標的とした創薬開発
D-11	堀江稔	滋賀医科大学	遺伝性QT延長症候群における心室細動に対するl-cis-Diltiazemの抑制効果
D-12	佐藤公雄	東北大学	肺高血圧症の新規病因蛋白セレノプロテインPに着目した早期診断法開発
D-13	石川義弘	横浜国立大学	ファロー四徴症の根治治療を可能にする血管パッチの開発
D-14	筒井裕之	九州大学	ナチュラルキラーT細胞活性化による慢性炎症制御に基づく新たな心筋症治療の実用化
D-15	澤芳樹	大阪大学	小児重症拡張型心筋症への自己骨格筋芽細胞シート移植
D-16	江頭健輔	九州大学	重症肺高血圧症の予後と生活の質を改善するための安心安全のナノ医療製剤(希少疾病用医薬品)の実用化臨床試験
D-17	平野賢一	大阪大学	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の開発
D-18	宮川繁	大阪大学	重症心筋症患者の生命予後改善・人工心臓離脱を目指した新規オキシム誘導体徐放性製剤による体内誘導型再生治療法の開発と実践
D-19	樽木晶子	九州大学	先天性心疾患患者のトータルライフケアをめざした双方向性医療情報共有システムの構
D-20	巽浩一郎	千葉大学大学院	重症肺高血圧症に対するエビデンスを構築する新規戦略的研究
D-21	金子幸裕	国立成育医療研究センター	位相差X線CT法による先天性心疾患を有する心大血管の微細構造の研究
D-22	筒井裕之	九州大学	拡張相肥大型心筋症を対象とした多施設登録観察研究
D-23	福田恵一	慶應義塾大学	経皮的肺動脈形成術における生体吸収性ステントの安全性と有効性の検討
D-24	中西敏雄	東京女子医科大学	単心室循環症候群の治療管理の質を高めるための研究
D-25	齋木佳克	東北大学	植込型補助人工心臓装着後の出血性合併症予防法および予防法の確立に関する研究
D-26	小川久雄	国立循環器病研究センター	慢性血栓性肺高血圧症(CTEPH)に対するballoon pulmonary angioplasty(BPA)の有効性と安全性に関する多施設レジストリー研究
D-27	中野由紀子	広島大学	ブルガダ症候群における心臓突然死のリスク予測モデルの構築と診療応用
D-28	藤野明浩	国立成育医療研究センター	難治性リンパ管疾患レジストリを活用したリンパ管疾患鑑別診断法の確立及び最適治療戦略の導出

難治性疾患実用化研究事業／腎・泌尿器系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
E-01	秋山佳之	東京大学	次世代シーケンサーによるハンナ型間質性膀胱炎の遺伝子発現プロファイリングと新規バイオマーカー/治療戦略の開発
E-02	長船健二	京都大学	iPS細胞モデルを用いた多発性嚢胞腎に対する創薬スクリーニング系の構築
E-03	野津寛大	神戸大学	Alport症候群に対する新規治療法の開発
E-04	加藤秀樹	東京大学	非典型溶血性尿毒症症候群(aHUS)の複合的アプローチによる診断と治療向上に関する研究
E-05	川村哲也	東京慈恵会医科大学	IgA腎症前向きコホート研究 - 一予後分類のブラッシュアップとハイリスク患者の透析移行を阻止する治療法の開発

難治性疾患実用化研究事業／血液系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
F-01	岡田賢	広島大学	重症先天性好中球減少症の病因病態解明
F-02	辻明宏	国立循環器病研究センター	特発性血栓症患者のゲノム情報を用いた層別化による病態解明研究
F-03	小島勢二	名古屋大学	次世代シーケンサーを利用した稀少小児遺伝性血液疾患診断システムの開発
F-04	松本雅則	奈良県立医科大学	機械的補助循環に合併する後天性von Willebrand症候群の治療法の開発
F-05	伊藤悦朗	弘前大学	先天性赤芽球癆 (Diamond-Blackfan貧血)の新規原因遺伝子の同定と病態解明に関する研究
F-06	千葉滋	筑波大学	成人慢性好中球減少症の予後追跡調査・疫学調査および診療の参照ガイド
F-07	大賀正一	九州大学	新生児・乳児に発症する特発性血栓症の病態解明および治療管理法と根治療法の確立に関する研究
F-08	廣川誠	秋田大学	次世代シーケンシングによる再発・難治性後天性赤芽球癆の診断と治療に関する研究

難治性疾患実用化研究事業／視覚・聴覚・平衡機能系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
G-01	西口康二	東北大学	網膜色素変性症を対象としたゲノムワイド関連解析
G-02	東範行	国立成育医療研究センター	難治性遺伝性視神経症に対するヒト多能性幹細胞由来視神経細胞を用いた神経保護薬の創薬
G-03	川崎諭	大阪大学	膠様滴状角膜炎シロフィに対する低分子治療薬の創出に関する研究
G-04	池田康博	九州大学	網膜色素変性に対する視細胞保護遺伝子治療の医師主導治験を目指した研究
G-05	西田幸二	大阪大学	角膜上皮幹細胞感染症に対する自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植の医師主導治験
G-06	宇佐美真一	信州大学	科学的エビデンスに基づいた遺伝性難聴の治療法確立に関する調査研究
G-07	神谷和作	順天堂大学	GJB2変異難聴患者由来iPS細胞によるギャップ結合複合体崩壊を指標とした遺伝性難聴の病態解明と治療研究
G-08	武田憲昭	徳島大学	難治性めまい疾患の診療の質を高める研究
G-09	上野盛夫	京都府立医科大学	難治性疾患水疱性角膜炎の分子病態診断法開発と標準医療化

難治性疾患実用化研究事業／希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究(難病プラットフォーム)

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
H-01	松田文彦	京都大学	希少難治性疾患克服のための「生きた難病レジストリ」の設計と構築

難治性疾患実用化研究事業／難治性疾患に対する画期的な治療法開発のための研究基盤確立研究(治験用ベクター製造)

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
I-01	川瀬雅子	株式会社遺伝子治療研究所	遺伝子治療用AAVベクターのGCTP基準受託製造施設の整備

難治性疾患実用化研究事業／Medical Artsの創成に関する研究(外科、がん、看護、リハビリ等の新たな医療技術やソフトウェアの開発)

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
J-01	安藤英由樹	大阪大学	内視鏡外科手術における熟練技術追体験システムを使用したトレーニングシステムの評価
J-02	内田広夫	名古屋大学	小児内視鏡手術統合的術前トレーニングシステムのためのVRシミュレータ および生体質感模擬臓器モデルの新規開発

難治性疾患実用化研究事業／染色体または遺伝子に変化を伴う症候群

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
K-01	鳴海寛志	国立成育医療研究センター	MIRAGE症候群の治療法開発に向けた基礎的研究
K-02	松原圭子	国立成育医療研究センター	インプリンティング疾患の病因病態解明
K-03	河合智子	国立成育医療研究センター	「エピゲノム脆弱性」という観点からの病態解明
K-04	有馬隆博	東北大学大学院	先天性インプリント異常症におけるメチル化体外診断薬の実用化と生殖補助医療の関与
K-05	吉浦孝一郎	長崎大学	ヒストン修飾酵素異常疾患のモデル動物作成とDNAメチル化異常の簡易診断法開発
K-06	青木洋子	東北大学	細胞内シグナル伝達異常による先天性疾患の新しい治療バリエーション探索と治療法開発
K-07	中神啓徳	国立大学	新規機能性ペプチドを用いたWerner症候群の難治性皮膚潰瘍治療
K-08	足立香織	鳥取大学	脆弱X症候群ならびに脆弱X症候群関連疾患のレジストリ構築
K-09	横手幸太郎	千葉大学	国際共同運用や治験への応用を想定した早老症ウェルナー症候群のレジストリ構築と運用
K-10	有馬隆博	東北大学	先天性インプリント異常症の診断ガイドラインの作成と生殖医療の安全性評価
K-11	鏡雅代	国立成育医療研究センター	遺伝子診断に基づいたインプリンティング異常症3疾患の臨床像および治療法評価に関する研究
K-12	伊藤雅之	国立精神・神経医療研究センター	ジュベール症候群およびジュベール症候群関連疾患の病態解明と科学的診断・治療法の開発
K-13	深見真紀	国立成育医療研究センター	遺伝学的解析に基づく性分化・性成熟疾患の治療指針策定
K-14	伊藤雅之	国立精神・神経医療研究センター	レット症候群とMECP2重複症候群の診療支援のための臨床研究
K-15	深尾敏幸	岐阜大学	新生児マススクリーニング対象疾患等のガイドライン改訂に向けたエビデンス創出研究

難治性疾患実用化研究事業／オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
L-01	松原洋一	国立成育医療研究センター	小児・周産期領域における難治性疾患の統合オミックス解析拠点形成
L-02	辻省次	東京大学	オミックス解析に基づく希少難治性神経疾患の病態解明
L-03	松本直通	横浜市立大学	希少難病の高精度診断と病態解明のためのオミックス拠点の構築
L-04	荻朋男	名古屋大学	次世代マルチオミックス診断拠点の構築と運用
L-05	岩田岳	国立病院機構東京医療センター	オミックス解析による遺伝性網脈絡膜疾患、家族性緑内障、先天性視神経萎縮症の病因・病態機序の解明
L-06	松田文彦	京都大学	ゲノム・転写物・代謝物を融合した統合オミックス解析による稀少難治性疾患の病態解明
L-07	祖父江元	名古屋大学	大規模臨床、ゲノム、不死化細胞リソースを基盤としたオミックス解析による孤発性ALS治療法開発研究
L-08	西野一三	国立精神・神経医療研究センター	遺伝性筋疾患の統合的ゲノム解析拠点形成
L-09	宮野悟	東京大学	オミックス解析技術と人工知能技術による難治性造血器疾患の解析基盤の開発

難治性疾患実用化研究事業／未診断疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
M-01	水澤英洋	国立精神・神経医療研究センター	未診断疾患に対する診断プログラム(IRUD)
M-02	川本篤彦	先端医療振興財団	Orphanetを利用した希少・難治性疾患、未診断疾患領域における研究開発成果の国際共有推進へ向けた取り組み
M-03	井ノ上逸朗	国立遺伝学研究所	モデル生物コーディネーティングネットワークによる希少・未診断疾患の病因遺伝子変異候補の機能解析研究
M-04	才津浩智	浜松医科大学	ゲノム編集技術を用いた希少難治性神経発達障害の原因遺伝子変異ノックインマウスモデルの確立およびその解析による病態解明と新規治療薬探索

難治性疾患実用化研究事業／免疫系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
N-01	岡田賢	広島大学大学院	原発性免疫不全症の診断困難例に対する新規責任遺伝子の同定と病態解析
N-02	野地智法	東北大学	医療用免疫不全モデルマウスを用いた原発性免疫不全症候群に対する新規治療技術開発に向けた基礎研究
N-03	邊見弘明	和歌山県立医科大学	新規プロテアソーム関連自己炎症症候群モデルマウスの作成と解析
N-04	井澤和司	京都大学	Adenosine Deaminase 2 (ADA2)欠損症の病態解明と治療薬開発の基礎構築
N-05	齋藤潤	京都大学	疾患IPS細胞を用いた免疫不全診断困難例の病因探索
N-06	藤原成悦	国立成育医療研究センター	慢性活動性EBウイルス感染症の治療薬をめざして
N-07	平家俊男	京都大学	自己炎症性疾患の病態解明と治療薬開発に向けて
N-08	山本一彦	東京大学	ゲノムおよび遺伝子発現情報の統合的解析に基づく全身性エリテマトーデスの治療標的の同定とその制御法の開発研究
N-09	針谷正祥	東京女子医科大学	顕微鏡的多発血管炎および多発血管炎性肉芽腫症の革新的治療薬開発
N-10	谷口維紹	東京大学	免疫活性化分子の標的薬剤による全身性エリテマトーデス、多発性硬化症の病態抑制機構の解明と治療法の確立
N-11	峯岸克行	徳島大学	高IgE症候群の病因と病態の理解に基づく新規治療法の開発
N-12	川上純	長崎大学	家族性地中海熱(FMF)インフラマソームシグナル伝達異常をゲノム創薬で解決する開発研究
N-13	高木正稔	東京医科歯科大学	RAS関連自己免疫性リンパ増殖症様疾患(RALD)治療薬開発
N-14	齋藤潤	京都大学	自己炎症性症候群Blau症候群と中條西村症候群の病態解明と新規治療標的探索
N-15	中田慎一郎	大阪大学	稀少免疫疾患に対する新規高精度ゲノム編集手法を用いた治療技術開発
N-16	杉浦一充	藤田保健衛生大学	膿疱性乾癬に対する新規治療法の開発
N-17	安友康二	徳島大学	免疫プロテアソーム機能不全症の治療薬開発研究
N-18	小野寺雅史	国立成育医療研究センター	ウィスコット・アルドリッチ症候群に対する造血幹細胞遺伝子治療の医師主導治験
N-19	川上純	長崎大学	シーズ探索研究から発展する家族性地中海熱(FMF)に対するトシリズマブの医師主導治験
N-20	吉崎歩	東京大学	全身性強皮症に対するIDEG-C2B8(リツキシマブ)の医師主導による第II相二重盲検併行群間比較試験
N-21	有村義宏	杏林大学	難治性血管炎診療のエビデンス構築のための戦略的研究
N-22	伊藤嘉規	名古屋大学	慢性活動性EBウイルス感染症とその類縁疾患の診療におけるEBウイルス量測定の有用性
N-23	石黒精	国立成育医療研究センター	小児期に冠動脈後遺症を来す川崎病における抗血小板薬治療の再評価に関する研究
N-24	勝部康弘	日本医科大学	バイオマーカーを用いた川崎病急性期治療法選択に関する研究

免疫アレルギー疾患等実用化研究事業(免疫アレルギー疾患実用化研究分野)／アレルギー疾患領域・Neurobarriology 領域・免疫疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
O-01	横関博雄	東京医科歯科大学	アトピー性皮膚炎の難治性皮膚病変の病態解明と病態に基づいた革新的な核酸医薬外用療法の医師指導型臨床研究
O-02	海老澤元宏	国立病院機構相模原病院	食物アレルギーの新しい診断・治療法の開発
O-03	森田栄伸	島根大学	生命予後に関わる重篤な食物アレルギーの新規治療法・予防法の開発
O-04	荒瀬尚	大阪大学	ミスフォールド蛋白質/HLAクラスII複合体を標的とした自己免疫疾患の新たな治療法の開発
O-05	渥美達也	北海道大学	免疫抑制剤の効果的な併用による難治性膠原病治療プロトコール作成のための研究
O-06	相原道子	横浜国立大学	新規分子標的薬による皮膚障害の調査および重症化予防の研究
O-07	浅野浩一郎	東海大学	アレルギー性気管支肺真菌症の新・診断基準の検証と病態解明
O-08	齋藤博久	国立成育医療研究センター	アレルギーマーチを阻止する乳児アトピー性皮膚炎早期介入研究
O-09	天谷雅行	慶應義塾大学	皮膚・腸内微生物叢解析によるアトピー性皮膚炎炎症機序の解明
O-10	下条直樹	千葉大学	腸内真菌叢解析技術ならびに真菌マウスモデルの開発
O-11	中山俊憲	千葉大学	病原性Th2細胞制御による難治性アレルギー性気道炎症の治療薬開発
O-12	茂呂和世	理化学研究所	気管支喘息の新しい治療法・診断法開発
O-13	清野宏	東京大学	腸管免疫統合的制御による炎症性腸疾患新規予防・治療戦略研究開発
O-14	岡田峰陽	理化学研究所	アトピー性皮膚炎の慢性掻痒を引き起こす末梢神経変化の解明
O-15	津田誠	九州大学	皮膚バリアに影響する一次求心性神経由来シグナル分子の特定
O-16	大塚篤司	京都大学	アトピー性皮膚炎モデルマウスを使用した新規止痒薬の開発
O-17	一ノ瀬正和	東北大学大学院	COPD合併喘息の酸化窒素系制御による新規治療薬開発に関する研究
O-18	大矢幸弘	国立成育医療研究センター	乳児アトピー性皮膚炎への早期介入と経口免疫寛容誘導によるアレルギーマーチへの影響を探索する前向きコホート研究
O-19	池田啓	千葉大学	関節エコーによる関節リウマチ診療の最適化・標準化
O-20	原寿郎	福岡こども病院	川崎病特異物質(PAMPs)に焦点を当てた川崎病の新規診断法の確立
O-21	谷口正実	国立病院機構相模原病院	アスピリン喘息/NSAIDs不耐症の病因・機序の最終的な解明とその治療薬の開発に向けての研究
O-22	岡田随象	大阪大学	疾患ゲノム情報を活用した自己免疫疾患における核酸ゲノム創薬の推進
O-23	田村智彦	横浜国立大学	全身性エリテマトーデスの革新的治療法のための転写因子IRF5 阻害剤の開発
O-24	岩田有史	千葉大学	スーパーエンハンサー関連遺伝子群の時間・空間的動態解析によるアレルギー性気道炎症誘導における細胞間相互作用の解明
O-25	馬場義裕	九州大学	IL-10産生B細胞の性状と分化機序の解明
O-26	平原潔	千葉大学	好酸球性アレルギー炎症において組織線維化を引き起こす線維化誘導-病原性ヘルパーT細胞を標的とした新規線維化治療薬開発
O-27	古関明彦	理化学研究所	アトピー性皮膚炎の個別化医療・予測医療実現に向けた、皮膚トランスクリプトーム解析研究
O-28	藤尾圭志	東京大学	遺伝子発現制御機構に基づく自己免疫疾患の患者層別化と個別化医療基盤の確立
O-29	藤澤隆夫	国立病院機構三重病院	新規免疫寛容バイオマーカーを指標にした安全・有効な食物アレルギー治療用経口ワクチン開発

難治性疾患実用化研究事業／呼吸器系疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
P-01	中田光	新潟大学医学部総合病院	自己免疫性肺胞蛋白症の診断・治療法の開発
P-02	高田俊範	新潟大学医学部総合病院	リンパ脈管筋腫症に対するラパマジン長期内服の効果と安全性評価のためのコホート調査
P-03	奥山宏臣	大阪大学・医学系研究科・教授	先天性横隔膜ヘルニアにおける最適な人工換気法・手術時期・手術方法に関する研究—平成29年度進捗状況—
P-04	井上義一	国立病院機構近畿中央胸部疾患センター	肺胞蛋白症診療に直結するエビデンス創出研究：重症難治例の診断治療管理
P-05	須田隆文	浜松医科大学	特異性間質性肺炎の診断精度向上とエビデンス創出のためのクラウド型統合データベースとインタラクティブ診断システムの開発に関する研究

難治性疾患実用化研究事業／皮膚・結合組織疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
Q-01	古庄知己	信州大学	デルマタン4-O-硫酸基転移酵素-1欠損に基づくエーラスタンロス症候群の病態解明と治療法の開発
Q-02	錦織千佳子	神戸大学	in silicoドラッグリポジショニング解析による色素性乾皮症D群に対する治療薬の開発
Q-03	三森経世	京都大学	IgG4関連疾患の新規バイオマーカーと治療ターゲット開発に関する研究
Q-04	金田真理	大阪大学	薬事申請をめざした治療法のない神経線維腫症I型のびまん性神経線維腫に対する有効で安全な局所大量療法薬開発のための医師主導治験
Q-05	天谷雅行	慶應義塾大学	ステロイド治療抵抗性の天疱瘡患者を対象としたリツキシマブの医師主導治験
Q-06	外園千恵	京都府立医科大学	Stevens-Johnson症候群慢性期の実態把握と後遺症克服
Q-07	原肇秀	長崎大学	遺伝性皮膚疾患における変異同定並びにナンセンス変異読み飛ばし試薬による治療薬開発

難治性疾患実用化研究事業／神経・筋疾患領域

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
R-01	華山力成	金沢大学	多系統萎縮症におけるエクソソームの役割
R-02	宮本亮介	徳島大学	遺伝学的アプローチによるジストニアの革新的治療法開発
R-03	金川基	神戸大学	福山型筋ジストロフィーの原因遺伝子フクチンの機能解明と疾患モデルの作出
R-04	佐竹渉	神戸大学	Precision Medicineによるパーキンソン病の次世代治療ストラテジー開発
R-05	宮川卓	東京都医学総合研究所	統合的な遺伝解析を用いた中枢性過眠症の感受性遺伝子の同定及び病態の解明
R-06	立川正憲	東北大学	クレアチントランスポーター欠損型クレアチン脳欠乏症治療のためのクレアチンプロドラッグの基盤技術開発
R-07	北條浩彦	国立精神・神経医療研究センター	強力な筋分化誘導能を有するマイクロRNAを用いた新規筋疾患治療アプローチの開発と確立
R-08	池田真理子	神戸大学	iPS細胞と三次元培養法を活用した福山型筋ジストロフィー疾患モデルの開発
R-09	小野寺理	新潟大学	ゲノム編集を用いた優性遺伝性中枢神経疾患の治療方法の開発
R-11	山村隆	国立精神・神経医療研究センター	Eomes陽性Th細胞を標的としたSPMS制御法の開発
R-12	石川欽也	東京医科歯科大学	RNA異常配列による神経難病(SCA31)に対するヘテロ核酸医薬品開発
R-13	高柳広	東京大学	サイトカインRANKLを標的とした多発性硬化症制御
R-14	山村隆	国立精神・神経医療研究センター	病原性Th細胞の生成阻害によるSPMS制御法の開発
R-15	松尾雅文	神戸学院大学	Duchenne型筋ジストロフィーに対するカルバイン1阻害治療法の開発
R-16	上住聡芳	東京都健康長寿医療センター	骨格筋幹細胞の移植効率を向上させるための基礎研究
R-17	関和彦	国立精神・神経医療研究センター	霊長類疾患モデルを用いた運動失調症の病態解明と治療法開発
R-18	勝野雅央	名古屋大学	球脊髄性筋萎縮症の神経筋システム変性を標的とした革新的治療法開発
R-19	永井義隆	大阪大学	プリオニド蛋白質の凝集・伝播を標的とした神経コンフォメーション病の分子標的治療薬・バイオマーカーの開発
R-20	荻朋男	名古屋大学	色素性乾皮症およびコケイン症候群に対する疾患緩和薬候補の検討
R-21	大野欽司	名古屋大学	神経筋接合部・骨格筋の興奮伝達障害に対する新規治療法開発
R-22	漆谷真	滋賀医科大学	筋萎縮性側索硬化症の病原タンパク質に対する自己分解型細胞内抗体の実用化に向けた前臨床研究
R-23	塩田倫史	岐阜薬科大学	脆弱X随伴振戦/失調症候群(FXTAS)に対する症状改善薬の開発
R-24	小野寺理	新潟大学	TGF-βシグナルを標的としたCARASILの新規治療シーズの探索
R-25	青木吉嗣	国立精神・神経医療研究センター	デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する新世代ペプチド付加核酸の事業承認を目指した探索研究
R-26	岡田洋平	愛知医科大学	疾患特異的iPS細胞を用いた球脊髄性筋萎縮症の病態解明と治療開発
R-27	赤松和土	順天堂大学	疾患iPS細胞を用いた遺伝性・孤発性パーキンソン病の新規治療薬探索
R-28	山形崇倫	自治医科大学	小児神経疾患に対するアデノ随伴ウイルスベクターを用いた遺伝子治療法開発
R-29	桑田一夫	岐阜大学	世界初 プリオロン病特効薬の開発
R-30	村松慎一	自治医科大学	筋萎縮性側索硬化症の遺伝子治療開発
R-31	砂田芳秀	川崎学園川崎医科大学	デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する革新的筋萎縮阻害薬の実用化
R-32	山下俊英	大阪大学	多発性硬化症に対する新規抗体治療薬の開発
R-33	武田伸一	国立精神・神経医療研究センター	新規配列連結型核酸医薬品を用いたデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するエクソン・スキップ治療の実用化に関する研究
R-34	山形崇倫	自治医科大学	AADC欠損症の遺伝子治療による運動・認知機能改善およびGlut1欠損症の遺伝子治療法開発
R-35	望月秀樹	大阪大学	シヌクレインを標的とするAmNA核酸を用いたパーキンソン病の治療開発
R-36	岡澤均	東京医科歯科大学	分子病態に基づく小脳失調症の遺伝子治療開発 Gene therapy against SCA1 based on the molecular pathomechanism
R-37	戸田達史	神戸大学	事業承認申請をめざした福山型筋ジストロフィーアンチセンス核酸治療薬の非臨床試験と自然歴・バイオマーカー探索・治験プロトコール作成
R-38	中島孝	国立病院機構新潟病院	稀少難治性脳・脊髄疾患の歩行障害に対する生体電位駆動型下肢装着型補助ロボット(HAL-HN01)を用いた新たな治療実用化のための多施設共同医師主導治験の実施研究
R-39	山野嘉久	聖マリアンナ医科大学	HAMIに対する日本発の革新的治療となる抗CCR4抗体の実用化研究
R-40	山村隆	国立精神・神経医療研究センター	多発性硬化症に対する新規免疫修飾薬OCH
R-41	青木正志	東北大学	遠位型ミオパチーを対象とした第2/3相試験
R-42	斎藤加代子	東京女子医科大学	小児期発症脊髄性筋萎縮症に対するバルプロ酸ナトリウム多施設共同医師主導治験の実施研究
R-43	青木正志	東北大学大学院	肝細胞増殖因子(HGF)による筋萎縮性側索硬化症の治療法開発
R-44	田原将行	国立病院機構宇多野病院	RIN-1試験とオープン継続試験(RIN-2試験)の進捗報告
R-45	梶龍兒	徳島大学	「高用量E0302の筋萎縮性側索硬化症に対する第Ⅲ相試験-医師主導治験-J」EALS治験の概要と進捗状況
R-46	寶金清博	北海道大学	もやもや病診療の質を高めるためのエビデンス構築を目指した包括的研究
R-47	佐々木秀直	北海道大学	多系統萎縮症の自然歴とその修飾因子に関する研究
R-48	吉良潤一	九州大学大学院	抗NF155抗体関連ニューロパチー診断基準案の全国調査を通じた検証
R-49	池内健	新潟大学	進行性核上性麻痺及び類縁疾患を対象とした多施設共同コホート研究によるバイオマーカー開発と自然歴の解明
R-50	黒滝直弘	長崎大学	発作性運動誘発性舞蹈アテトーゼ(PKD)の遺伝解析と、PRRT2の機能解析
R-51	前原健寿	東京医科歯科大学	難治性てんかん病態におけるグリア機能の解明と診療ガイドライン作成の研究
R-52	富本秀和	三重大学	稀少疾患CADASILの患者レジストリーと創薬基盤の構築
R-53	小久保康昌	三重大学	紀伊ALS/PDC 診療ガイドラインの作製と臨床研究の推進
R-54	高橋正紀	大阪大学	エビデンス創出を目指した筋強直性ジストロフィー臨床研究
R-55	金生由紀子	東京大学	難治性トゥレット症候群に対する脳深部刺激治療(DBS)のエビデンス創出に向けて
R-56	井上健	国立精神・神経医療研究センター長	先天性大脳白質形成不全症の臨床的基盤の解明
R-57	中川正法	京都府立医科大学	Charcot-Marie-Tooth Patients Registry (CMTPR)システムの3年間の実績

難治性疾患実用化研究事業／医と食をつなげる新規メカニズムの解明と病態制御法の開発

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
S-01	谷内田真一	国立がん研究センター	生体試料(糞便等)を用いたメタゲノム解析とメタボローム解析、臨床情報の統合的情報基盤構築
S-02	岡本隆一	東京医科歯科大学	医と食をつなげる新規メカニズムの解明と病態制御法の開発
S-03	山村隆	国立精神・神経医療研究センター	多発性硬化症の予防・病態改善・治療を目指した常在細菌叢-免疫系-神経系相互連関の研究