

創薬基盤推進研究事業 研究開発課題
事後評価報告書

研究開発課題名	ドラッグ・リポジショニングによる難治性小児肝内胆汁鬱滞症の特効薬開発を指向したフェニル酪酸ナトリウムの有効性と安全性の検討を目的とした臨床研究
代表機関名	近畿大学
研究開発代表者名	近藤 宏樹
全研究開発期間	平成27年度～平成29年度

1. 研究開発成果

事後報告書（下 URL）参照

<https://www.amed.go.jp/content/000032446.pdf>

2. 総合評価

・妥当である

・疫学調査に基づき、研究計画を見直し、進行性家族性肝内胆汁鬱滞症 2 型に対する有効な治療薬候補フェニル酪酸ナトリウムの開発研究に集中した。

・一方で、当初計画されていた進行性家族性肝内胆汁鬱滞症 1 型の治療薬開発、及び肝内胆汁鬱滞症の包括的治療法開発については十分な成果が得られていない。また、本研究計画時に患者の実態調査の必要性の認識が弱く、対応が後手になったことから、今後は実施可能な研究計画の立案に留意すること。

以上