

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	進行性骨化性線維異形成症に対する新規治療薬の開発
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	戸口田 淳也
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/000032448.pdf>

2. 総合評価

・優れている

・順調に研究を進め、当初計画どおりシロリムスの医師主導治験を開始したことは高く評価できる。

・この疾患の特異的な作用点、あるいは、複数の分子を指標に、評価することが重要である。また、患者由来の iPS 細胞を複数比較することで、軽度及び重度症状に関わるさらなる責任遺伝子の同定が期待される。

以上