

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109116h0003
研究開発課題名 : 進行性家族性肝内胆汁うっ滞症 1 型に対する新規医薬品開発に向けた確定診断法の確立
研究代表機関名 : 国立大学法人東京大学
研究開発代表者名 : 林久允

評価委員会のコメント :

○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

症例数は少ないものの、レジストリの構築が進んでいる。
PFIC1 と類似疾患群を鑑別できることは成果である。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

全体として進捗が芳しくない。レジストリの運営体制についても不安が残る。
計画された成果、診断方法の確立、診断ガイドラインの作成、が完了できなかった。
レジストリの構築が進んでいない。
診療ガイドラインの作成を含む成果の実用化に向けて関係学会との協議を深める必要がある。

以上