

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109118h0003
研究開発課題名 : 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
研究代表機関名 : 国立大学法人新潟大学
研究開発代表者名 : 池内健

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

希少疾患のバイオリソースが相当数蓄積されている。海外との連携がとれているようである。コホート研究を行おうとしている。

系統的。

PSP や CBD のレジストリーの構築を行った。

充実したバイオリソースの集積を行っている。

患者確保がなされている。診断バイオマーカーの開発において成果を出した。

当初の計画に沿って研究が進められている。診療ガイドラインに資する成果が生み出されることを期待する。

悉皆性を目指したレジストリーの構築、学会・患者会との連携など、体制は着実に構築されている。生体資料と連携した疾患レジストリ、継続的で剖検例までをフォローできる体制の構築は評価される。

PSP, CBC に特化した研究体制ができている。

レジストリーの高い再登録率により、より正確な疾患の縦断的経過のデータ取得が期待できる。生体試料の高い収集率により、より信頼性の高いバイオマーカーの開発が期待できる。

専門医によるレジストリーとコホートの設定、縦断的観察が緒に就いた。政策研究班との連携がとられている。双方向性は利点である。周到に考えられたプロジェクトである。

多くの登録症例数を確保している。生体試料バンクも順調にサンプルが集まっている。バイオマーカーも見つかっている。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

ガイドラインを作成中のようなが本研究から直接エビデンスが出ているわけではなさそうである。レジストリーの信頼性が担保されているかどうか不明である。

バイオマーカーは治療介入による治療効果の判定（の補助、早期評価）には使用できるかもしれないが、診断意義は高くない。治療法として良いもの、あるいは、治療法開発との連携が必要であるが、次の研究には入っていない。

バイオマーカーの確立に更なる検討が必要である。

確立されたレジストリーの症例カバー率はどれくらいと想定されるのか？診断バイオマーカーのバリデーションを進めていく必要がある。

当初の目的であったバイオマーカー開発は達成できなかった。今後の方向性を、バイオマーカー開発に経験のある専門家などから助言を仰ぎながら、再度検討してゆくのも一案である。

レジストリ含め、構築された体制の安定的な継続方針についての方策を検討することが必要。悉皆性をいかに高めるか。

マーカーの開発は本研究の主要な研究テーマではない。イメージングのデータがないのは欠陥ではないか？

今後レジストリ登録人数増加に伴い、どのようにデータベースの質を担保していくかが課題。

材料はそろってきたが、今後どのように治療につながっていくか。

以上