

# 2018年度6事業合同成果報告会 プログラム

日 時 : 2019年 2月 8日 (金) 10:00~18:00  
 場 所 : 東京国際フォーラム (〒100-0005 東京都千代田区丸の内3丁目5-1)  
 会 場 : ホールB7 (講演会場 2会場) ホールB5・ホワイエ (ポスターセッション)  
 受 付 : ホールB 7階にて 9:30より開始 (予定)

## 【ホールB7 ①】

※講演者、講演内容、タイムスケジュールは変更となる場合がございます。あらかじめご了承ください。

10:00 - 10:10	開会挨拶 日本医療研究開発機構及び来賓挨拶		
10:10 - 10:15	休憩		
10:15 - 11:15	<b>難治性疾患実用化研究事業 Concurrent Session I</b> (座長 難治性疾患実用化研究事業PO 成川 衛、難治性疾患実用化研究事業PO 西澤 正豊)		
10:15 - 10:30	千葉大学	横手 幸太郎	早老症ウェルナー症候群の症例登録システムの構築・運営に基づくデータ集積とエビデンスの創生
10:30 - 10:45	国立成育医療研究センター	深見 真紀	性分化・性成熟疾患の診療ガイドライン作成に向けたエビデンス創出
10:45 - 11:00	名古屋大学	祖父江 元	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
11:00 - 11:15	聖マリアンナ医科大学	山野 嘉久	HAMの治療薬開発を促進する代替エンドポイントとしてのバイオマーカーの実用化研究
11:15 - 11:25	休憩		
11:25 - 12:25	<b>難治性疾患実用化研究事業 Concurrent Session III</b> (座長 難治性疾患実用化研究事業PO 清野 佳紀、難治性疾患実用化研究事業PO 福島 雅典)		
11:25 - 11:40	慶應義塾大学	岡野 栄之	iPS細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 治療薬であるロピニロール塩酸塩の実用化第1/2a相試験
11:40 - 11:55	長崎大学	川上 純	シース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
11:55 - 12:10	京都大学	戸口田 淳也	進行性骨化性線維異形成症に対する新規治療薬の開発
12:10 - 12:25	岡山大学	松尾 俊彦	岡山大学方式人工網膜 (OUReP) の製造品質管理とfirst-in-human医師主導治験
12:25 - 14:40	休憩 & ポスターセッション		
14:40 - 17:00	<b>難治性疾患実用化研究事業&amp;免疫アレルギー疾患等実用化研究事業 Plenary Session</b> (座長 難治性疾患実用化研究事業PS 葛原 茂樹、免疫アレルギー疾患等実用化研究事業PS 西間 三馨)		
14:40 - 14:50	難治性疾患実用化研究事業PS	葛原 茂樹	難治性疾患実用化研究事業について
14:50 - 15:00	免疫アレルギー疾患等実用化研究事業PS	西間 三馨	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) について
	Plenary session a		
15:00 - 15:30	厚生労働省	山本 剛	医薬品等の早期実用化に向けた薬事上の取組について
15:30 - 16:00	メディデータ・ソリューションズ株式会社	山本 武	希少難病の治療研究・開発を前進させるAI/モバイルテクノロジーの可能性
	Plenary session b		
16:00 - 16:30	株式会社ケイファーマ	福島 弘明	アカデミア発ベンチャーから見たエコシステム
16:30 - 17:00	Drug Seeds Alliance Network Japan	吉川 徹	DSANJの活用による基礎、臨床研究の加速化とその成果の産業化について
17:00 - 17:10	休憩		
17:10 - 17:55	<b>難治性疾患実用化研究事業 Concurrent Session IV</b> (座長 難治性疾患実用化研究事業PO 宮坂 信之、難治性疾患実用化研究事業PO 渡邊 裕司)		
17:10 - 17:25	国立精神・神経医療研究センター	水澤 英洋	希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究
17:25 - 17:40	先端医療振興財団	川本 篤彦	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を目指す調査研究
17:40 - 17:55	国立遺伝学研究所	井ノ上 逸朗	モデル動物等研究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
17:55 - 18:00	閉会挨拶		

**【ホールB7 ②】**

10:00 - 10:10	サテライト会場（会場B7①で行われる開会挨拶・来賓挨拶の中継映像をご覧ください）		
10:10 - 10:15	休憩		
10:15 - 11:15	<b>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）&amp;難治性疾患実用化研究事業 Concurrent Session II-1</b> <b>（座長 免疫アレルギー疾患等実用化研究事業PO 小池 隆夫、免疫アレルギー疾患等実用化研究事業PO 多田 弥生）</b>		
10:15 - 10:30	大阪大学	熊ノ郷 淳	好中球活性化制御分子を標的としたANCA関連血管炎の病態解明と治療法の開発
10:30 - 10:45	東北大学	一ノ瀬 正和	COPD合併喘息の酸化窒素化制御による新規治療剤開発に関する研究
10:45 - 11:00	広島大学	岡田 賢	診断困難な原発性免疫不全症の病因病態解明
11:00 - 11:15	大阪大学	中田 慎一郎	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に関する研究
11:15 - 11:25	休憩		
11:25 - 12:25	<b>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） Concurrent Session II-2</b> <b>（座長 免疫アレルギー疾患等実用化研究事業PO 飯塚 一、免疫アレルギー疾患等実用化研究事業PO 玉利 真由美）</b>		
11:25 - 11:40	東海大学	浅野 浩一郎	アレルギー性気管支肺真菌症の新・診断基準の検証と新規治療開発
11:40 - 11:55	理化学研究所	古関 明彦	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
11:55 - 12:10	東京大学	藤尾 圭志	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
12:10 - 12:25	大阪大学	岡田 随象	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
12:25 - 14:40	休憩&ポスターセッション		
14:40 - 17:00	サテライト会場（会場B7①で行われるPlenary Sessionの中継映像をご覧ください）		
17:00 - 17:10	休憩		
17:10 - 17:55	<b>難治性疾患実用化研究事業 Concurrent Session V</b> <b>（座長 難治性疾患実用化研究事業PO 石井 健、難治性疾患実用化研究事業PO 池田 貞勝）</b>		
17:10 - 17:25	大阪大学	永井 義隆	アリオノイド蛋白質の凝集・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
17:25 - 17:40	滋賀医科大学	漆谷 真	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
17:40 - 17:55	千葉県がんセンター研究所	村山 圭	創薬を見据えた、日本発のミトコンドリア病の新規病因遺伝子の発見とその病態解明
17:55 - 18:00	サテライト会場（会場B7①で行われる開会挨拶の中継映像をご覧ください）		

**【ホール B5】** ※12:30開場予定

13:00 - 13:45	Poster Session ① ポスター番号奇数番のセッション
13:45 - 14:30	Poster Session ② ポスター番号偶数番のセッション
14:30 - 16:30	poster session Free Time

# ポスター番号一覧表

## 難治性疾患実用化研究事業／神経・筋疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
A-01	山形 崇倫	自治医科大学	AADC欠損症およびGLUT1欠損症に対する遺伝子治療法開発
A-02	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
A-03	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
A-04	望月 秀樹	大阪大学	シヌクレイン抑制AmNA核酸によるパーキンソン病の治療研究
A-05	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
A-06	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
A-07	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
A-08	立川 正憲	徳島大学	神経生理と機能タンパク質発現変動に基づく クレアチントランスポーター欠損型脳クレアチン欠乏症の分子病態
A-09	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
A-10	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
A-11	永井 義隆	大阪大学	プリオノイド蛋白質の凝集・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
A-12	荻 朋男	名古屋大学	人工核酸・短鎖ペプチドを用いたゲノム不安定性疾患の新規治療薬開発
A-13	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
A-14	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
A-15	塩田 倫史	熊本大学	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
A-16	小野寺 理	新潟大学	TGF-βシグナルを標的にしたCARASILの新規治療シーズの探索
A-17	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 薬事承認を目指した探索研究
A-18	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新規治療標的の探索
A-19	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
A-20	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
A-21	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
A-22	戸田 達史	東京大学	薬事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・試験プロトコル作成
A-23	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-」(JETALS)の 概要と進捗状況
A-24	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
A-25	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
A-26	井上 健	国立精神・神経医療研究センター	先天性大脳白質形成不全症の臨床的基盤を明らかにするための研究
A-27	中川 正法	京都府立医科大学	Charcot-Marie-Tooth Patients Registry
A-28	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
A-29	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
A-30	石川 欽也	東京医科歯科大学	双方向転写産物が関わる遺伝性神経変性疾患に対する核酸医薬開発
A-31	吉良 潤一	九州大学	二次進行型多発性硬化症新規動物モデルの樹立と炎症性グリアを標的とした 進行型多発性硬化症治療薬開発
A-32	高橋 良輔	京都大学	実用化に向けた新規作用機序に基づくハンチントン病治療薬の開発
A-33	保住 功	岐阜薬科大学	特異性基底核石灰化症の基盤にあるリン酸ホメオスターシス異常を改善する 特殊環状ペプチドダイマーを活用した治療薬の開発
A-34	北條 浩彦	国立精神・神経医療研究センター	筋分化・筋再生誘導能を持ったマイクロRNAを基盤とする筋疾患治療用新規RNA医薬の開発
A-35	永井 義隆	大阪大学	新規ATG非依存性RAN翻訳を標的としたノンコーディングリピート病の治療法開発
A-36	池田 真理子(谷口)	藤田医科大学病院	福山型筋ジストロフィーに対する低分子化合物スクリーニングを用いた分子標的治療法開発
A-37	望月 秀樹	大阪大学	神経保護因子Necdinの発現上昇による筋萎縮性側索硬化症の新規治療法
A-38	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
A-39	砂田 芳秀	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ペプチド医薬の実用化
A-40	岡野 栄之	慶應義塾大学	iPS細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 治療薬である ロビニロール塩酸塩の実用化第1/2a相試験
A-41	砂田 芳秀	川崎医科大学	A3243Gミトコンドリア耐糖能異常MIDDに対するタウリン療法の実用化
A-42	古賀 靖敏	久留米大学	ミトコンドリア病に合併する高乳酸血症に対するピルビン酸ナトリウム治療法の開発研究 一試薬からの希少疾病治療薬開発の試みー
A-43	村松 慎一	自治医科大学	分子病態に基づく筋萎縮性側索硬化症の遺伝子治療開発
A-44	青木 正志	東北大学	遠位型ミオパチーにおける承認申請に向けたアセノイラミン酸の長期投与試験
A-45	山村 隆	国立精神・神経医療研究センター	新規多発性硬化症治療薬OCHの第二相臨床治験
A-46	青木 正志	東北大学	肝細胞増殖因子 (HGF) による筋萎縮性側索硬化症 (ALS) の画期的治療法開発
A-47	山野 嘉久	聖マリアンナ医科大学	HAMの革新的治療となる抗CCR4抗体製剤のコンパッションネートユースによる長期投与試験
A-48	池内 健	新潟大学	進行性核上性麻痺と関連タオパチーの患者レジストリと 試料レポジトリを活用した診療エビデンスの構築
A-49	渡辺 宏久	名古屋大学	大規模コホートを活かした前頭側頭葉変性症の簡易鑑別診断支援ツール開発
A-50	山野 嘉久	聖マリアンナ医科大学	HAM・HTLV-1陽性難治性疾患の診療ガイドラインに資する 統合的レジストリの構築によるエビデンスの創出

## ポスター番号一覧表

A-51	中村 昭則	国立病院機構まつもと医療センター	ベッカー型筋ジストロフィーの自然歴調査に基づく予防医学に向けたエビデンスの創出研究
A-52	服部 信孝	順天堂大学	脂肪酸beta酸化異常を反映する代謝産物測定によるPD鑑別診断システム構築
A-53	勝野 雅央	名古屋大学	球脊髄性筋萎縮症の適正治療に関するエビデンス構築のための臨床研究
A-54	佐藤 克也	長崎大学	プリオン病の早期診断基準の作成を目指した新たなエビデンス創出とその検証に用いる遺伝性プリオン病未発症例の臨床調査と画像・生体材料の収集
A-55	中辻 裕司	富山大学	多発性硬化症における治療選択バイオマーカーの確立
A-56	矢部 一郎	北海道大学	多系統萎縮症の自然歴と新規バイオマーカー開発に関する研究
A-57	保住 功	岐阜薬科大学	特発性基底核石灰化症の診療、病態解明、創薬のためのエビデンス創出研究
A-58	岩崎 真樹	国立精神・神経医療研究センター	低悪性度てんかん原性腫瘍の分子遺伝学的診断ガイドラインに向けたエビデンス創出
A-59	吉良 潤一	九州大学	IgG4抗neurofascin 155抗体陽性慢性炎症性脱髄性多発神経炎の髄液サイトカインと免疫遺伝学的背景因子
A-60	高田 篤	横浜市立大学	遺伝統計学的解析によるてんかん性脳症の新規原因遺伝子探索及び病態解明
A-61	木村 公俊	国立精神・神経医療研究センター	多発性硬化症における個別化医療実現のための免疫機構の解明
A-62	小野 悠介	熊本大学	顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーの病態解明と新規治療基盤の創出
A-63	眞木 真州	京都大学	多系統萎縮症におけるオリゴデンドロサイト前駆細胞の役割解明と新規治療法開発
A-64	岡野 栄之	慶應義塾大学	エビゲノム異常から見た小児奇形症候群の病態の基本原理解明及び革新的治療法開発
A-65	山川 和弘	理化学研究所	海馬硬化を伴う内側側頭葉てんかんの原因遺伝子同定と発症機構の解明
A-66	広常 真治	大阪市立大学	シヌクレイン変異によるパーキンソン病の病因と病態の理解に基づく新規治療法の開発
A-67	長谷川 成人	東京都医学総合研究所	大脳皮質基底核変性症の細胞、動物モデルの研究
A-68	池内 健	新潟大学	剖検脳・罹患組織を用いたマルチオミックス解析による神経変性タウオパチーの病態解明と創薬標的の同定
A-69	服部 信孝	順天堂大学	$\alpha$ -シヌクレインの伝播様式に関する検討
A-70	山野 嘉久	聖マリアンナ医科大学	HAMの治療薬開発を促進する代替エンドポイントとしてのバイオマーカーの実用化研究
A-71	岡野 栄之	慶應義塾大学	疾患特異的iPS細胞創薬に基づいた筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 治験における薬剤応答性評価技術の開発
A-72	大槻 純男	熊本大学	脳クレアチン欠乏症の創薬・治療エビデンスの創出
A-73	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

### 難治性疾患実用化研究事業／消化器系疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13:00~13:45／ポスター番号偶数番のセッション 13:45~14:30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
B-01	鈴木 淳史	九州大学	ダイレクトリプログラミングによる腸上皮オルガノイドの作製とその応用
B-02	筋野 智久	慶應義塾大学	脂肪酸摂取と炎症性腸疾患の病態解明
B-03	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
B-04	奥村 彰久	愛知医科大学	早産児核黄疸の包括的診療ガイドラインの作成
B-05	林 久允	東京大学	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症2型に対する世界初・日本発の内科的治療法の確立に向けたブフェニールの医薬品開発研究
B-06	長谷 耕二	慶應義塾大学	HDAC6選択的阻害の創出と薬効評価
B-07	木村 公則	東京都立駒込病院	原発性胆汁性胆管炎に対する抗線維化治療薬の開発
B-08	河合 利尚	国立成育医療研究センター	慢性肉芽腫性腸炎に対する小児用サリドマイド製剤の実用化に関する研究
B-09	北村 和雄	宮崎大学	難治性潰瘍性大腸炎を対象としたアドレノメデュリン製剤による医師主導治験の実施
B-10	田口 智章	九州大学	ヒルシュスプリング病類縁疾患診療ガイドライン改定を目指したエビデンス創出研究
B-11	金井 隆典	慶應義塾大学	クローン病に対するOCH-NCNPの有用性および安全性

### 難治性疾患実用化研究事業／内分泌・代謝系疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13:00~13:45／ポスター番号偶数番のセッション 13:45~14:30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
C-01	村山 圭	千葉県がんセンター	創薬を見据えた、日本発のミトコンドリア病の新規病因遺伝子の発見とその病態解明
C-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
C-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法の実用化研究
C-04	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
C-05	村山 圭	千葉県がんセンター	ミトコンドリア病診療マニュアルの改定を見据えた、診療に直結させるミトコンドリア病・各臨床病型のエビデンス創出研究
C-06	内田 信一	東京医科歯科大学	先天性腎性尿崩症の新規治療薬の開発
C-07	成瀬 光栄	国立病院機構京都医療センター 臨床研究センター	難治性副腎疾患の診療に直結するエビデンス創出
C-08	村松 一洋	自治医科大学	新規AAVベクターによる肝臓をターゲットにした先天代謝異常症の遺伝子治療開発

## ポスター番号一覧表

### 難治性疾患実用化研究事業／循環器・脈管奇形系疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13:00~13:45／ポスター番号偶数番のセッション 13:45~14:30

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	東京大学医学部附属病院	マルファン症候群における長期多系統障害増悪機構の解明と新規薬物療法開発に向けた研究
D-03	朝野 仁裕	大阪大学	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	周産期心筋症の臨床-基礎研究融合による早期診断マーカー・治療法開発研究
D-05	大野 聖子	国立循環器病研究センター	RYR2遺伝子異常に起因するカテコラミン誘発性多型性心室頻拍等の遺伝性不整脈の原因解明
D-06	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I-cis-Diltiazemの抑制効果
D-07	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-08	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-09	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知法および予防法の確立に関する研究
D-10	小川 久雄	国立循環器病研究センター	慢性血栓塞栓性肺高血圧症(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-11	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のための研究
D-12	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
D-13	林 丈晴	慶應義塾大学	新規原因遺伝子を基盤とした心筋症の治療法の開発
D-14	堀田 秋津	京都大学	独自VLP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-15	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-16	家田 真樹	筑波大学	拡張型心筋症に対する革新的な心筋再生遺伝子治療薬の開発
D-17	中岡 良和	国立循環器病研究センター	Interleukin-21を標的とした肺動脈性肺高血圧症の革新的治療法の開発
D-18	萩原 正敏	京都大学	心ファブリー病に対するスプライシング制御化合物に関する研究開発
D-19	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-20	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-21	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-22	坂田 泰史	大阪大学	心筋症における心筋病理細胞核評価による臨床病態層別化指標の開発
D-23	丸山 彰一	名古屋大学	ネフローゼ症候群の新規診断法の確立
D-24	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-25	阿部 弘太郎	九州大学	慢性血栓塞栓性肺高血圧症に関する多施設共同レジストリー研究
D-26	朝野 仁裕	大阪大学	ファブリー病および拡張型心筋症に対する心臓標的AAVベクターによる遺伝子治療法の開発

### 難治性疾患実用化研究事業／免疫系疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13:00~13:45／ポスター番号偶数番のセッション 13:45~14:30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
E-01	小野寺 雅史	国立成育医療研究センター	原発性免疫不全症に対するex vivo遺伝子・細胞治療の治験実施体制の構築に関する研究
E-02	岡田 賢	広島大学	診断困難な原発性免疫不全症の病因病態解明
E-03	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盤研究
E-04	邊見 弘明	和歌山県立医科大学	中條-西村症候群様新規プロテアソーム関連自己炎症性症候群の病態解明
E-05	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盤構築
E-06	斎藤 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
E-07	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
E-08	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
E-09	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)治療法開発
E-10	斎藤 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析と新規治療標的探索
E-11	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
E-12	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
E-13	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に関する研究
E-14	杉浦 一充	藤田医科大学	膿疱性乾癬モデルに対するTLR-4阻害薬の効果
E-15	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法開発研究
E-16	吉崎 歩	東京大学	全身性強皮症に対するIDEC-C2B8 (リツキシマブ) の医師主導による第II相二重盲検並行群間比較試験
E-17	熊ノ郷 淳	大阪大学	好中球活性化制御分子を標的としたANCA関連血管炎の病態解明と治療法の開発
E-18	内山 徹	国立成育医療研究センター	X連鎖高IgM症候群に対する新規遺伝子治療法の開発
E-19	大木 伸司	国立精神・神経医療研究センター	自己免疫疾患の画期的な精密医療の実現を目指す研究
E-20	根岸 英雄	東京大学	内在性炎症性RNA分子による全身性エリテマトーデスの病態発症・増悪機構の解明とその機構を標的とした治療法の確立
E-21	針谷 正祥	東京女子医科大学	難治性血管炎診療のCQ解決のための多層的研究
E-22	柴田 琢磨	東京大学	ヒトSLC29A3異常症における発症機序の解明
E-23	西小森 隆太	京都大学	疾患特異的iPS細胞とモデルマウスを用いたAicardi-Goutieres症候群の中樞神経系炎症病態解明と治療薬開発・発症前診断の基盤構築
E-24	小野寺 雅史	国立成育医療研究センター	STAT3変異により発症する高IgE症候群に対する改良型Cas9を用いた造血幹細胞遺伝子治療の開発

## ポスター番号一覧表

### 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・免疫疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
F-01	相原 道子	横浜市立大学	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
F-02	浅野 浩一郎	東海大学	アレルギー性気管支肺真菌症の新・診断基準の検証と新規治療開発
F-03	斎藤 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
F-04	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発症機序の解明
F-05	下条 直樹	千葉大学	アレルギー疾患の発症・病態に関わる皮膚・腸管の細菌・真菌叢の解析： 牛乳アレルギーの免疫療法の効果と腸内細菌叢の関連
F-06	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法開発
F-07	茂呂 和世	理化学研究所	2型自然リンパ球による気管支喘息の発症機構解明と診断・治療法の開発
F-08	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
F-09	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
F-10	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
F-11	大塚 篤司	京都大学	末梢神経の生体イメージングを用いた新規止痒薬剤の開発
F-12	一ノ瀬 正和	東北大学	COPD合併喘息の酸化窒素化制御による新規治療剤開発に関する研究
F-13	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
F-14	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
F-15	原 寿郎	福岡市立病院機構福岡市立こども病院	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
F-16	谷口 正実	国立病院機構相模原病院	NSIADs過敏喘息（アスピリン喘息）の機序解明と新規治療法開発
F-17	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
F-18	田村 智彦	横浜市立大学	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
F-19	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
F-20	馬場 義裕	九州大学	B細胞の免疫制御作用を起点とする自己免疫病態の理解とその応用
F-21	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法開発
F-22	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
F-23	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
F-24	藤澤 隆夫	国立病院機構三重病院	新規粘膜アジュバントSF10を用いた食物アレルギー治療ワクチン開発
F-25	海老澤 元宏	国立病院機構相模原病院	重症食物アレルギー患者への管理および治療の安全性向上に関する研究
F-26	藤枝 重治	福井大学	難治性ダニアレルギー性鼻炎、難治性スギ花粉症の定義付けとガイドラインへの反映
F-27	阿部 理一郎	新潟大学	血清エクソソーム内細菌成分のアレルギー・自己免疫疾患発症への関与の解明
F-28	村上 誠	東京大学	脂質によるアレルギー疾患の新規調節機構の解明と治療戦略の基盤構築
F-29	荒瀬 尚	大阪大学	ミスフォールド蛋白質・HLAクラスII分子複合体を標的にした 自己免疫疾患の新たな診断法・治療法の開発

### 難治性疾患実用化研究事業／皮膚・結合組織疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
G-01	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
G-02	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」
G-03	阿部 理一郎	新潟大学	重症薬疹における異的細胞死誘導受容体をターゲットにした新規治療薬開発
G-04	尹 浩信	熊本大学	全身性強皮症に対する新規低分子化合物の有効性に関する研究
G-05	夏賀 健	北海道大学	表皮水疱症の治療最適化戦略
G-06	玉井 克人	大阪大学	重症劣性栄養障害型表皮水疱症に対する非侵襲性かつ高効率な 間葉系幹細胞遺伝子治療法の開発

### 難治性疾患実用化研究事業／呼吸器系疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
H-01	奥山 宏臣	大阪大学	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
H-02	井上 義一	国立病院機構近畿中央呼吸器センター 臨床研究センター	肺動脈高血圧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
H-03	須田 隆文	浜松医科大学	特発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
H-04	大森 孝一	京都大学	咽喉・喉頭・気管狭窄症診療ガイドライン作成を目指したエビデンス創出研究

## ポスター番号一覧表

### 難治性疾患実用化研究事業／骨・関節・歯系疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
I-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
I-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、そして治療薬の探索
I-03	松本 守雄	慶應義塾大学	後縦靭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
I-04	吉子 裕二	広島大学	内在性石灰化抑制ペプチドASARM
I-05	富田 哲也	大阪大学	脊椎関節炎を標的としたIL-17Aワクチンの開発
I-06	大庭 伸介	東京大学	経口投与可能な卵黄由来ペプチド製剤による骨形成不全症治療法の開発に向けた基盤的研究
I-07	藤原 将寿	株式会社リポミック	抗FGF2アプタマー（RBM-007）を用いた軟骨無形成症治療薬の開発
I-08	宮園 浩平	東京大学	新規FOP治療薬の開発
I-09	戸口田 淳也	京都大学	進行性骨化性線維異形成症に対する新規治療薬の開発
I-10	大川 淳	東京医科歯科大学	後縦靭帯骨化症患者レジストリの構築
I-11	寺島 明日香	東京大学	外傷誘導性異所性骨化マウスモデルの確立
I-12	高橋 克	京都大学	希少疾患先天性無歯症治療薬の開発研究 —Wntシグナル&BMPシグナルに関連する難治性疾患治療への展開—

### 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

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
J-01	西口 康二	東北大学	網膜色素変性に対する遺伝子特異的治療実現を目的とした、 集約的遺伝解析とゲノム編集技術による病態解明
J-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
J-03	川崎 諭	大阪大学	膠様滴状角膜ジストロフィに対する低分子治療薬の創出に関する研究
J-04	上野 盛夫	京都府立医科大学	難治性疾患水疱性角膜症の分子病態診断法開発と標準医療化
J-05	池田 華子	京都大学	網膜色素変性に対するBranched chain amino acidsを用いた新規神経保護治療法開発
J-06	松尾 俊彦	岡山大学	岡山大学方式人工網膜(OUReP)の製造品質管理とfirst-in-human医師主導治験
J-07	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
J-08	宇佐美 真一	信州大学	遺伝性難聴の診療ガイドライン改定に向けた診断・治療エビデンスの創出
J-09	外園 千恵	京都府立医科大学	SJS/TEN眼後遺症の予後改善に向けた戦略的研究
J-10	神谷 和作	順天堂大学	内耳遺伝子治療法による遺伝性難聴の根本的治療法の開発

### 難治性疾患実用化研究事業／血液系疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
K-01	岡田 賢	広島大学	ゲノム編集によるアレレルベリグを利用した重症先天性好中球減少症の病態解明
K-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
K-03	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
K-04	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法の確立に関する研究
K-05	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
K-06	新井 文子	東京医科歯科大学	慢性活動性EBウイルス感染症を対象としたJAK1/2阻害剤キソリチニブの医師主導治験
K-07	石黒 精	国立成育医療研究センター	先天性血小板減少症の診断体制・レジストリ・生体試料収集体制の確立
K-08	堀内 久徳	東北大学	高ずり応力を伴う循環器難病に随伴する出血性合併症予防法の開発

### 難治性疾患実用化研究事業／腎・泌尿器系疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
L-01	秋山 佳之	東京大学医学部附属病院	ゲノム病態解析を基軸としたハンナ型間質性膀胱炎の診断精度向上と 新規治療法開発に関する研究
L-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
L-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
L-04	加藤 秀樹	東京大学	非典型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
L-05	川村 哲也	東京慈恵会医科大学	IgA腎症予後分類のブラッシュアップのための前向きコホート研究の推進と ハイリスク患者の透析移行を阻止する治療法の開発

## ポスター番号一覧表

### 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

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
M-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
M-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
M-03	河合 智子	国立成育医療研究センター	エピゲノム脆弱性を背景とする新たな疾患概念の提唱
M-04	吉浦 孝一郎	長崎大学	ヒストン修飾酵素異常にともなうDNAメチル化異常の治療薬探索と簡易診断法の開発
M-05	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パスウェイ検索と 治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パスウェイ検索と治療法開発
M-06	深見 真紀	国立成育医療研究センター	性分化・性成熟疾患の診療ガイドライン作成に向けたエビデンス創出
M-07	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
M-08	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
M-09	山形 要人	東京都医学総合研究所	結節性硬化症の知的障害・自閉症に対する新規治療薬の探索
M-10	金田 眞理	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1型の皮膚腫瘍に対する 有効で安全な局所大量投与療法開発のための医師主導治験
M-11	横手 幸太郎	千葉大学	早老症ウェルナー症候群の症例登録システムの構築・運営に基づく データ集積とエビデンスの創生
M-12	松永 達雄	国立病院機構東京医療センター 臨床研究センター	先天性および若年性の視覚聴覚二重障害の原因となる難病の診療向上に向けた、 疾患横断的な全国多施設レジストリ研究
M-13	笠井 清登	東京大学	身体・知的・精神3障害を併存する難病モデルとしての 22q11.2欠失症候群AYA世代の統合的支援に向けたエビデンス創出
M-14	鏡 雅代	国立成育医療研究センター	インプリンティング異常症および関連疾患の臨床像および治療法に関する研究
M-15	林 洋平	理化学研究所	染色体異常関連難病特異的iPS細胞を用いた病態モデルに対する 原因遺伝子・創薬ターゲット探索
M-16	伊藤 雅之	国立精神・神経医療研究センター	レット症候群の病因・病態に基づいた治療法開発のための基盤研究
M-17	武内 俊樹	慶應義塾大学	CDC42阻害剤による武内・小崎症候群の治療法の開発

### 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）

発表時間：13：00～13：45

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
N-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／未診断疾患領域

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
O-01	川本 篤彦	公益財団法人神戸医療産業都市推進機構	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を目指す調査研究
O-02	井ノ上 逸朗	国立遺伝学研究所	モデル動物等研究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
O-03	松原 洋一	国立成育医療研究センター	IRUD-Pで発見された希少疾患原因遺伝子のゲノム編集技術を用いた 分子病態解明と治療・予防法の探索
O-04	水澤 英洋	国立精神・神経医療研究センター	希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究

### 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）

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
P-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
P-02	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
P-03	荻 朋男	名古屋大学	ゲノム不安定性疾患群を中心とした希少難治性疾患の次世代マルチオミックス診断拠点構築
P-04	岩田 岳	国立病院機構東京医療センター 臨床研究センター	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
P-05	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希少難治性疾患の病態解明
P-06	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
P-07	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
P-08	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病因解明と 診断向上に貢献する解析基盤の開発
P-09	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

### 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

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
Q-01	谷内田 真一	国立がん研究センター	生体試料（糞便や腸管粘膜等）のサンプリング法や解析法（特にメタゲノムならびに メタボローム解析）の標準化と臨床情報を含む統合的情報基盤の構築
Q-02	岡本 隆一	東京医科歯科大学	炎症性腸疾患における「食関連リスク因子」に関する研究
Q-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—神経系相互関連の研究

## ポスター番号一覧表

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）

発表時間：ポスター番号奇数番のセッション 13：00～13：45／ポスター番号偶数番のセッション 13：45～14：30

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
R-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
R-02	内田 広夫	名古屋大学	On the job training回避を目的とした 小児内視鏡手術統合的術前トレーニングシステム・認定プログラムの確立

関連事業／疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム

発表時間：13：00～13：45

ポスター番号	研究開発代表者名	機関名	タイトル
S-01	中村 幸夫	理化学研究所	疾患特異的iPS細胞バンク事業