

事後評価 対象課題一覧（令和3年度終了課題）

開始年度	終了年度	研究開発代表者名	所属機関・役職	研究開発課題名
公募枠：病態解明				
H30	R3	伊藤 雅之	国立精神・神経医療研究センター 室長	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
R1	R3	小室 一成	東京大学 教授	ゲノム分子病理解析による難治性心筋症における精密医療の実現
R1	R3	清水 重臣	東京医科歯科大学 教授	脊髄小脳失調症 6 型の発症機構解析と創薬開発
R1	R3	中岡 良和	国立循環器病研究センター 部長	メタボーム情報に基づく肺一腸一腸内細菌相関による肺動脈性肺高血圧症の発症機構
R1	R3	中本 伸宏	慶應義塾大学 准教授	肝臓一腸内細菌相関を介した原発性硬化性胆管炎の病態解明
R1	R3	山村 隆	国立精神・神経医療研究センター 特任研究部長	難治性多発性硬化症に関連する腸内細菌の同定と機能的意義の解明
公募枠：病態解明（若手）				
R1	R3	今村 恵子	京都大学 特定拠点助教	シングルセル解析技術を用いた希少難治性神経筋疾患の病態解明と治療法開発
R1	R3	岡田 随象	大阪大学 教授	横断的オミクス解析を駆使した肺胞蛋白症の病態解明とインシリコ・リポジショニング創薬
R1	R3	木岡 秀隆	大阪大学 助教	拡張型心筋症に対する新規治療法確立を目指した収縮・代謝連関の分子機序解明
R1	R3	後藤 慎平	京都大学 特定准教授	ヒトiPS細胞を用いた線毛機能不全症候群の新規診断法の開発と精密医療への応用
R1	R3	塩川 雅広	神戸大学 特別研究員（PD）	原発性硬化性胆管炎の病因自己抗原の同定
R1	R3	辻村 啓太	名古屋大学 特任助教	MECP2遺伝子変異に起因する脳発達障害における分子シグナル病態の解明と新規診断・治療法の基盤開発
R1	R3	林 久允	東京大学 教授	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症 1 型の病態分子基盤の解明に基づく治療戦略の創出
R1	R3	吉田 健司	京都大学 助教	患者特異的iPS細胞を用いた福山型先天性筋ジストロフィーの病態解析と新規治療法開発
公募枠：ステップ0（医薬品、再生等）				
H30	R3	大槻 純男	熊本大学 教授	脳クレアチン欠乏症の創薬・治療エビデンスの創出
H30	R3	小野寺 雅史	国立成育医療研究センター 部長	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
H30	R3	熊ノ郷 淳	大阪大学 教授	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
H30	R3	富田 哲也	大阪大学 寄付講座准教授	脊椎関節炎を標的としたIL-17A ワクチンの開発
H30	R3	望月 秀樹	大阪大学 教授	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の創出
公募枠：ステップ1（医薬品）				
R2	R3	錦織 千佳子	神戸大学 特命教授	色素性乾皮症に対する新規治療法の開発
H30	R3	萩原 正敏	京都大学 教授	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
R1	R3	松下 雅樹	名古屋大学 病院助教	FGFR3シグナル抑制による軟骨無形成症治療薬の開発
H30	R3	山下 俊英	大阪大学 教授	多発性硬化症に対する新規抗体治療薬の開発
公募枠：ステップ2（医薬品、医療機器、再生等）				
H30	R3	新井 文子	聖マリアナ医科大学 教授	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
H30	R3	池田 華子	京都大学 准教授	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
H30	R3	池田 康博	宮崎大学 教授	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
H30	R3	江頭 健輔	久留米大学 客員教授	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
H30	R3	河合 利尚	国立成育医療研究センター 医長	慢性肉芽腫症腸炎に対する小児用ザリドミド製剤の実用化に関する研究
R2	R3	木村 公則	東京都立駒込病院 部長	原発性胆汁性胆管炎に対する抗線維化治療薬の開発
H30	R3	砂田 芳秀	川崎医科大学 教授	A3243Gミトコンドリア耐糖能異常に対するタウリン療法の実用化
H30	R3	戸口田 淳也	京都大学 教授	進行性骨化性線維異形成症に対する新規治療薬の開発
H30	R3	松尾 俊彦	岡山大学 准教授	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
H30	R3	村松 慎一	自治医科大学 教授	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
H30	R3	山村 隆	国立精神・神経医療研究センター 特任研究部長	新規多発性硬化症治療薬OCHの第二相臨床治験
公募枠：エビデンス創出				
H30	R3	阿部 弘太郎	九州大学 助教	慢性血栓性肺高血圧症に関する多施設共同レジストリ研究
R1	R3	大野 聖子	国立循環器病研究センター 部長	不整脈原性右室心筋症の分子メカニズムに基づくエビデンス創出研究
H30	R3	大森 孝一	京都大学 教授	咽頭・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
R1	R3	勝野 雅央	名古屋大学 教授	脊髄性筋萎縮症の成人期予後把握を目的とした多施設共同コホート研究
H30	R3	坂田 泰史	大阪大学 教授	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
H30	R3	成瀬 光栄	京都医療センター臨床研究センター 特別研究員	難治性副腎疾患の診療に直結するエビデンス創出
R1	R3	林 久允	東京大学 助教	家族性肝内胆汁うっ滞症の診断率向上、発症早期の臨床病型・予後予測の実現に資するエビデンスの創出研究
R1	R3	水澤 英洋	国立精神・神経医療研究センター 理事長特任補佐	運動学習に着目した新規脳機能評価法を活用したエビデンス創出
R1	R3	村上 良子	大阪大学 寄附研究部門教授	先天性糖鎖異常症のバイオマーカーの探索と診断法の確立

（敬称略 五十音順）