

難治性疾患実用化研究事業 中間評価 対象課題一覧(令和2年度および令和3年度採択課題)

研究開発 代表者	所属機関	役職	研究開発課題名	開始 年度
医薬品の治験(医薬品ステップ2)				
松下雅樹	名古屋大学	病院講師	FGFR3シグナル抑制による軟骨無形成症治療薬の実用化開発研究	令和3年度
再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)				
横手幸太郎	千葉大学	教授	家族性LCAT欠損症を対象としたLCAT-GMAC治療実用化に向けた医師主導治験	令和2年度
希少難治性疾患の診療に直結するエビデンス創出研究(エビデンス創出)				
遠藤仁	慶應義塾大学	専任講師	遺伝子情報に基づくトランスサイレチンアミロイドーシスの病態解明および個別化医療の実現を目的としたエビデンス創出研究	令和3年度
土井庄三郎	東京医科歯科大学	非常勤講師	先天性心疾患を伴う肺高血圧症例の多施設症例登録研究	令和3年度

(敬称略、公募枠ごとに五十音順、研究代表者は評価実施時のもの)