

事後評価 対象課題一覧（令和6年度終了課題）

研究開発 代表者	所属機関	役職	研究開発課題名	開始 年度	終了 年度
医薬品の治験準備（医薬品ステップ1）					
神谷 千津子	国立研究開発法人国立循環器病研究センター	医長	抗インターロイキン-6受容体抗体のドラッグリポジショニングで心筋炎症を抑制する、周産期心筋症の新規治療法の開発と治験の準備	令和4年度	令和6年度
高橋 克	公益財団法人田附興風会	研究主幹	希少疾患先天性無歯症患者の欠損歯を再生する新規抗体医薬品の開発	令和4年度	令和6年度
松本 雅則	奈良県立医科大学	教授	抗ADAMTS13阻害抗体による後天性von Willebrand症候群の治療法の開発	令和4年度	令和6年度
林 久允	東京大学	講師	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症1型の救命に資する肝保護療法の実用化研究	令和4年度	令和6年度
横田 隆徳	東京医科歯科大学	教授	脊髄小脳失調症31型に対する核酸医薬開発	令和4年度	令和6年度
医薬品の治験（医薬品ステップ2）					
大郷 剛	国立研究開発法人国立循環器病研究センター	部長	肺高血圧症に伴う重症右心不全に対する一酸化窒素（アイノフロー®）吸引治療に関する研究	令和3年度	令和6年度
神戸 直智	京都大学	准教授	本邦のシュニッツラー症候群患者の急性期炎症所見に対するカナキヌマブを用いた多施設医師主導治験	令和4年度	令和6年度
戸田 達史	東京大学	教授	薬事承認申請をめざした福山型筋ジストロフィーにおけるアンチセンス核酸NS-035の第1/2相試験（ステップ2）	令和2年度	令和6年度
松下 雅樹	名古屋大学	特任助教	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	令和6年度
山岸 義晃	大阪大学	特任准教授	脊椎関節炎を標的としたIL-17Aワクチン(FPP003)の臨床応用	令和3年度	令和6年度
薬事承認を目指す再生・細胞医療・遺伝子治療のシーズ探索研究（再生等ステップ0）					
長野 清一	大阪大学	准教授	リボソームの機能改善を目指した筋萎縮性側索硬化症（ALS）の新規治療法の開発	令和3年度	令和6年度
再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備（再生等ステップ1）					
菊池 康	大阪大学	特任准教授	低侵襲かつ高効率な栄養障害型表皮水疱症遺伝子治療法開発	令和4年度	令和6年度
西田 幸二	大阪大学	教授	HLAノックアウトiPS細胞由来角膜上皮細胞シート移植の治験に向けた非臨床試験	令和4年度	令和6年度

研究開発 代表者	所属機関	役職	研究開発課題名	開始 年度	終了 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	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４年度	令和６年度
大家 義則	大阪大学	助教	フックス角膜内皮ジストロフィーの診療エビデンス創出のための研究	令和４年度	令和６年度
緒方 勤	浜松医科大学	特命研究教授	インプリンティング疾患の診療ガイドライン作成に向けたエビデンス創出研究	令和４年度	令和６年度
小野寺 理	新潟大学	教授	HTRA1関連脳小血管病における血管反応性異常の非侵襲的検出方法の開発	令和４年度	令和６年度
片岡 有	国立研究開発法人国立循環器病研究センター	医長	急性心筋梗塞や他臓器虚血の原因となる特発性冠動脈解離の診断基準策定・診療実態ならびに予後についての臨床エビデンスを創出する研究	令和３年度	令和６年度
川上 純	長崎大学	教授	統合レジストリを活用したキャッスルマン病・TAFRO症候群における精密医療基盤の構築を目指す実用化研究	令和４年度	令和６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	令和６年度
橋詰 淳	名古屋大学	講師	球脊髄性筋萎縮症に対する適正治療エビデンス創出のためのリアルワールドデータベース整備	令和４年度	令和６年度
八角 高裕	京都大学	准教授	乾燥ろ紙血プロテオーム解析を用いた原発性免疫不全症診断の効率化研究	令和４年度	令和６年度
堀内 久徳	東北大学	教授	高ずり応力を伴う循環器疾患に随伴する消化管血管異形成の形成・消退の実態解明	令和３年度	令和６年度
超希少難治性疾患の診療に直結するエビデンス創出研究（超希少）					
新井 文子	聖マリアンナ医科大学	教授	診療ガイドライン掲載のためのエビデンス創出を目指した慢性活動性EBウイルス感染症とその類縁疾患のレジストリ強化・病態解析・治療法の開発	令和４年度	令和６年度
井上 治久	京都大学	教授	トライアルレディコホート構築に向けた近位筋優位遺伝性運動感覚ニューロパチー(HMSN-P)のレジストリ研究	令和４年度	令和６年度
谷口 雅彦	社会医療法人雪の聖母会	病院長	患者レジストリを活用した沖縄型神経原性筋萎縮症のエビデンス創出研究	令和４年度	令和６年度
村上 良子	大阪大学	特任教授	未診断の先天性糖鎖異常症(CDG)のスクリーニングおよび診断体制の確立とレジストリーの構築	令和４年度	令和６年度
矢口 裕章	北海道大学	准教授	超希少難治性疾患である免疫介在性小脳性運動失調症の疾患レジストリ構築および治療法確立を目的としたエビデンス創出研究	令和４年度	令和６年度

研究開発 代表者	所属機関	役職	研究開発課題名	開始 年度	終了 年度
希少難治性疾患の病態解明研究（病態解明・異分野）					
新井 文子	聖マリアンナ医科大学	教授	新規核酸医薬を用いた難治性血液疾患の病態解明	令和４年度	令和６年度
岡田 随象	大阪大学	教授	シングルセル解析を活用した肺胞蛋白症の自己抗原特異性解明による治療標的同定	令和４年度	令和６年度
鈴木 祐介	順天堂大学	教授	IgA腎症ワクチン開発を目指したIgA自己抗体の産生機構の解明-常在細菌とメサングウム自己抗原との免疫交差-	令和４年度	令和６年度
塩田 倫史	熊本大学	准教授	ARXポリアラニン伸長変異によるウエスト症候群の病態解明	令和４年度	令和６年度
土井 宏	横浜市立大学	准教授	SCA42疾患修飾治療に向けた病態基盤の解明	令和４年度	令和６年度
中岡 良和	国立循環器病研究センター	部長	炎症性サイトカインmRNAの分解・安定化制御を介した肺高血圧症の病態形成制御機構の解明	令和４年度	令和６年度
三好 悟一	東京女子医科大学	講師	希少難治性疾患FOXG1症候群の克服を標的とした病態解明研究	令和４年度	令和６年度

研究開発 代表者	所属機関	役職	研究開発課題名	開始 年度	終了 年度
希少難治性疾患の病態解明研究（病態解明・若手）					
安藤 史顕	東京医科歯科大学	助教	先天性腎性尿崩症と分類不能型免疫不全症に共通するLRBA依存性膜輸送機構の解明	令和4年度	令和6年度
岡田 清吾	山口大学	助教	自然免疫異常を介した川崎病冠動脈病変発症機序の解明および新規分子標的治療の確立	令和4年度	令和6年度
候 聡志	東京大学	特任助教	時空間的遺伝子発現・制御解析に基づく難治性肥大型心筋症の病態解明	令和4年度	令和6年度
河野 通仁	北海道大学	助教	マルチオミクス解析を用いた細胞間相互作用に注目した精神神経ループスの病態解明	令和4年度	令和6年度
坂野 公彦	奈良県立医科大学	講師	疾患モデルオンチップ血管網によるスタージ・ウェーバー症候群の異常脳血管の再現と病態解明	令和4年度	令和6年度
須貝 章弘	新潟大学	助教	TDP-43のエキシトロンに注目した、その発現・凝集制御による、筋萎縮性側索硬化症の治療法開発	令和4年度	令和6年度
高橋 佑典	国立循環器病研究センター	上級研究員	遺伝性拡張型心筋症の治療薬開発を目的とした小胞輸送に着目した病態解明研究	令和4年度	令和6年度
長谷川 智香	北海道大学	准教授	FGF23関連低リン血症性くる病・骨軟化症における軟骨異常メカニズムの網羅的解析およびその治療応用についての検討	令和4年度	令和6年度
日和 良介	京都大学	助教	核内受容体NR4Aを標的とした全身性エリテマトーデスの治療開発	令和4年度	令和6年度
医療機器の治験準備（医療機器ステップ1）					
石井 優	大阪大学	教授	蛍光生体イメージングによる強皮症の定量的診断・疾患評価機器の開発	令和4年度	令和6年度
長 真啓	茨城大学	講師	高い耐久性と安全性を実現する革新的な超小型磁気浮上型小児用補助人工心臓の研究開発	令和4年度	令和6年度
塩川 雅広	京都大学	特定病院助教	新規吸着カラムの開発	令和4年度	令和6年度

（敬称略、五十音順、研究代表者は評価実施時のもの）