

# 難治性疾患克服研究事業

## 厚生労働科学研究費補助金研究事業の概要

<b>研究事業（研究事業中の分野名）：難治性疾患克服研究事業</b>	
<b>所管課：健康局疾病対策課</b>	
<b>予算額（平成16年度）：</b>	2,126,208千円
<b>①研究事業の目的</b>	
根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残すおそれが少なくない自己免疫疾患や神経疾患等の不可逆的変性を来す難治性疾患に対して、重点的・効率的に研究を行うことにより進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を行い、患者のQOLの向上を図ることを目的とする。	
<b>②課題採択・資金配分の全般的状況</b>	
15年度採択課題一覧【別紙1】	
(1) 臨床調査研究班	37班
(2) 横断的基盤研究班	10班
(3) 重点研究班	21班
・研究課題については、特定疾患治療研究事業への成果反映の具体的な方法、研究成果の普及等について評価委員会で考慮の上、採択している。	
<b>③研究成果及びその他の効果</b>	
特定疾患の診断・治療等臨床に係る科学的根拠を集積・分析し、医療に役立てることを目的に積極的に研究を推進している。また、重点研究等により見いだされた治療方法等を臨床調査研究において実用化につなげる等治療法の開発といった点において画期的な成果を得ている。	
<u>最近の主な成果（抜粋）</u>	
（炎症性腸疾患調査研究班）	
新しい治療法として、本邦で開発された FK-506、MRA（抗 IL-6R 抗体）、血球除去療法を臨床実用化したことは、他に類をみない治療法であり、世界に向けて発信できる成果であると考えられる。一方、治療指針の改訂・ガイドラインの策定により、全国的な診療レベルの向上、一定化を可能にできると考えられ、患者 QOL の向上を通じて、医療経済・社会経済的に貢献しうる成果である。	
（骨髄異形成症候群に対する新規治療法の開発に関する研究班）	
5q-の原因遺伝子を同定した。また、マイクロアレイを用いて、骨髄異形成症候群に特徴的に発現している遺伝子及び病期の進展に関与する遺伝子を同定するとともにモデルマウスの作製にも成功した。さらに、低リスク骨髄異形成症候群に対する免疫抑制療法（シクロスポリン）の臨床研究が進行中であり、この成果をもとに将来的に治療ガイドラインを策定する方針である。	
（重症型先天性表皮水疱症に対する自己培養皮膚移植法の開発に関する研究班）	
全国レベルでの表皮水疱症重症型患者の遺伝子診断を行い、新規治療法の対象となる患者を多数見出した。重症型で欠損する VII 型コラーゲンの精製に成功し、患者への臨床応用を可能にした。世界で初めて生体表皮細胞に直接 VII 型コラーゲン遺伝子を導入することに成功した。また、レトロウイルスを用いて培養表皮細胞や患者細胞に VII 型コラーゲン遺伝子導入に成功した。遺伝子治療に関する研究成果は、表皮水疱症の遺伝子治療の臨床応用に高く貢献すると思われる。	
（ライソゾーム病の病態解明および治療法の開発に関する研究班）	
ライソゾーム病の脳症状に対する細胞移植治療として、有望な候補細胞を分離・培養した。また羊膜上皮細胞を細胞ベクターとして用いる治療法を開発し、細胞に欠損酵素（ $\beta$ -glucuronidase）の遺伝子を導入して、モデル動物（ムコ多糖症 VII 型マウス）の脳内に移植し、脳における欠損酵素活性の上昇と異常蓄積物質の消失を証明した。現在まで治療法が開発されていない中枢神経症状を持つライソゾーム病に対して、細胞の脳移植用の候補細胞を開発しその有望性を証明したことは、近い将来における臨床応用にむけた社会的意	

義と貢献は大きいと考える。

#### ④行政施策との関連性・事業の目的に対する達成度

・特定疾患治療研究事業の対象疾患について、患者の療養状況を含む実態、診断・治療法の開発等に大きく寄与しており、これに基づく診断基準の改定・治療指針の改訂は、我が国の医療水準の向上につながっている。

・潰瘍性大腸炎に対する遠心分離法を用いた白血球除去療法の開発し、高度先進医療として承認された。

・研究成果である新しい治療法により、病気の軽快者も出ており、難病医療に貢献している。

・現在でも、多くの難病患者が病院や在宅で療養しているが、「難病患者の心理サポートマニュアル」の作成・改訂や「難病相談・支援センター」の整備等を通じて、福祉施策が大きく進められており、医療福祉環境の向上に寄与している。

#### ⑤課題と今後の方向性

○治療法の開発等による難病の克服（ゲノム、再生、免疫等他の基盤開発研究の成果を活用した臨床研究の推進）



○ 研究の進捗状況、治療成績等を評価する体制を構築した上で、疾病毎の研究の必要性を見極め、難治性疾患克服研究の対象疾患（121疾患）以外の難病についても、緊急性の高い疾患については、研究の実施を進めていくよう研究の実施体制を見直していく。

（具体的な研究課題及び内容）

今後は以下の方向性の下、効率的な研究の推進を図る。

・免疫システムに関する分子生物学的研究の成果を活用した難治性自己免疫性疾患の治療法の開発

・難病患者の日常生活支援のための研究

・プリオン病の診断・治療研究の拡充

・現在、研究対象となっていない疾病についても、緊急性等を考慮して治療法の開発等を推進

#### ⑥研究事業の総合評価

特定疾患対策事業等の行政施策と密接な関係があり、行政ニーズと学術的な問題点とを十分把握した上で、研究が進められている。なお、診断基準の作成等の研究成果を効果的に行政施策へ反映されるなど、行政施策への貢献度が高い研究事業である。

今後とも、各疾患の研究の進捗状況や対策の緊急性等を十分考慮した上で研究を進めて行く必要がある。

平成15年度厚生労働科学研究費補助金(難治性疾患克服研究事業)採択課題一覧

[特定疾患調査研究分野]

(単位:千円)

NO.	課題番号	開始	終了	主任研究者	フリガナ	所属施設	職名	研究課題名	交付額
1	H15-難治-01	15	17	村田 美穂	ムラタミホ	国立精神・神経センター武蔵病院	医長	日本発の新しい抗パーキンソン作用薬ゾニサミドの臨床研究	27,000
2	H15-難治-02	15	17	谷口 修一	タニグチユウイチ	国家公務員共済組合連合会 虎の門病院 血液科	部長	SLEなど難治性自己免疫疾患に対する自家、同種造血幹細胞移植の安全性及び有効性の検討に関する研究	70,060
3	H15-難治-03	15	17	渡辺 守	ワタナベモト	東京医科歯科大学大学院(消化・代謝内科)	教授	炎症性腸疾患の画期的治療法に関する臨床研究	85,150
4	H15-難治-04	15	17	工藤 翔二	ウドウショウジ	日本医科大学第四内科	主任教授	特発性間質性肺炎の画期的治療法に関する臨床研究	60,000
5	H15-難治-05	15	17	石橋 大海	イシハシウミ	国立病院長崎医療センター(臨床研究センター)	臨床研究センター長	難治性自己免疫性肝疾患の画期的治療法の開発に関する臨床研究	42,000
6	H15-難治-06	15	16	吉川 純一	ヨシカワジュンイチ	大阪市立大学大学院医学研究科循環器病態内科学	教授	拡張型心筋症に対するβ遮断薬療法の特効化医療実現のための研究	50,000
7	H15-難治-07	15	17	小室 一成	コムロウセイ	千葉大学大学院医学研究科循環器病態内科学	教授	特発性拡張型心筋症の原因解明に関する臨床研究	60,000
8	H15-難治-08	15	17	岩田 岳	イワタケ	国立病院東京医療センター臨床研究センター	主任研究員	若年黄斑変性カニツイゼルの病理学的および分子生物学的解析	45,600
9	H14-難治-01	14	16	小峰 光博	オノミツヒロ	昭和大学福が丘病院内科血液	教授	特発性造血障害に関する調査研究	54,000
10	H14-難治-02	14	16	池田 康夫	イケダヤスオ	慶應義塾大学医学部	教授	血液凝固異常症に関する調査研究	25,000
11	H14-難治-03	14	16	宮脇 利男	ミヤワキトシオ	富山医科薬科大学医学部小児科学	教授	原発性免疫不全症候群に関する調査研究	30,000
12	H14-難治-04	14	16	尾崎 承一	オウサキユウイチ	聖マリアンナ医科大学リウマチ・膠原病・アレルギー内科	教授	難治性血管炎に関する調査研究	52,800
13	H14-難治-05	14	16	小池 隆夫	コイケタカオ	北海道大学大学院医学研究科病態内科学講座・第二内科	教授	自己免疫疾患に関する調査研究	54,000
14	H14-難治-06	14	16	金子 史男	カネヒシオ	福島県立医科大学医学部	教授	パーチエット病に関する調査研究	25,000
15	H14-難治-07	14	16	清野 佳紀	セイノヨシキ	大阪厚生年金病院	院長	ホルモン受容体異常に関する調査研究	30,000
16	H14-難治-08	14	16	千原 和夫	チハラカズオ	神戸大学大学院医学系研究科	教授	間脳下垂体機能障害に関する調査研究	20,000
17	H14-難治-09	14	16	名和田 新	ナワタハジメ	九州大学医学研究院(病態制御内科)	教授	副腎ホルモン産生異常に関する研究	25,000
18	H14-難治-10	14	16	芝崎 保	シバサキタモツ	日本医科大学生理学第二	教授	中枢性摂食異常症に関する調査研究	20,000
19	H14-難治-11	14	16	齋藤 康	サイトウヤスシ	千葉大学大学院医学研究科	教授	原発性高脂血症に関する調査研究	20,000
20	H14-難治-12	14	16	池田 修一	イケダシュウイチ	信州大学医学部第三内科	教授	アミロイドーシスに関する調査研究	36,000
21	H14-難治-13	14	16	水澤 英洋	ミヅサワヒデアヒロ	東京医科歯科大学医学部総合研究科脳神経機能病態学分野	教授	プリオン病及び変異性ウイルス感染に関する調査研究	85,150
22	H14-難治-14	14	16	辻 省次	ツジショウジ	東京大学医学部附属病院神経内科	教授	運動失調に関する調査及び病態機序に関する研究	70,060
23	H14-難治-15	14	16	高原 茂樹	タカハラモツキ	三重大学医学部神経内科学講座	文部教官・教授	神経変性疾患に関する調査研究	48,000
24	H14-難治-16	14	16	吉良 潤一	キリジュンイチ	九州大学大学院医学研究院神経内科学	文部教官・教授	免疫性神経疾患に関する調査研究	60,000
25	H14-難治-17	14	16	山崎 麻美	ヤマサキマミ	国立病院大阪医療センター	室長	先天性水頭症に関する調査研究:分子遺伝子学アプローチによる診断基準・治療指針の策定と予防法・治療法の開発	15,000
26	H14-難治-18	14	16	吉本 高志	ヨシモトタカシ	東北大学	総長	モヤモヤ病(ウイルス動脈輪閉塞症)に関する調査研究	25,000
27	H14-難治-19	14	16	石橋 達朗	イシハシタツロウ	九州大学大学院医学研究院眼科学分野	教授	網膜脈絡膜・視神経萎縮症に関する調査研究	42,000
28	H14-難治-20	14	16	高橋 正広	タカハシマサヒロ	東海大学医学部(耳鼻咽喉科学教室)	教授(耳鼻咽喉科長)	前庭機能異常に関する調査研究	20,000
29	H14-難治-21	14	16	喜多村 健	キタムラケン	東京医科歯科大学大学院医学部総合研究科	教授	急性高度難聴に関する調査研究	20,000
30	H14-難治-22	14	16	北畠 頌	キタハタアキラ	北海道大学大学院医学研究科	教授	特発性心筋症に関する調査研究	48,000
31	H14-難治-23	14	16	貫和 敏博	スガワトシロ	東北大学加齢医学研究所	文部科学教官・教授	びまん性肺疾患に関する調査研究	25,000
32	H14-難治-24	14	16	久保 恵嗣	クボケイシ	信州大学医学部内科学第一教室	教授	呼吸不全に関する調査研究	35,000
33	H14-難治-25	14	16	戸田 剛太郎	トダゴウタロウ	東京慈恵会医科大学(内科学講座消化器・肝臓内科)	教授	難治性の肝疾患に関する調査研究	36,000
34	H14-難治-26	14	16	橋爪 誠	ハシヅメマコト	九州大学大学院医学研究院災害救急医学	教授	門脈血行異常症に関する調査研究	20,000
35	H14-難治-27	14	16	藤見 裕	フジミユウ	杏林大学医学部第一外科	教授	肝内結石症調査に関する調査研究	10,000
36	H14-難治-28	14	16	大槻 真	オオツキマコト	産業医科大学医学部(第三内科)	教授	難治性麻痺症に関する調査研究	20,000
37	H14-難治-29	14	16	北島 康雄	キタシマヤスオ	岐阜大学医学部免疫アレルギー・内分泌講座皮膚病態学	教授	稀少難治性皮膚疾患に関する調査研究	36,000
38	H14-難治-30	14	16	竹原 和彦	タケハラカズヒコ	金沢大学大学院医学系研究科	教授	強皮症における病因解明と根治的治療法の開発	20,000
39	H14-難治-31	14	16	近藤 啓文	コノドケイフミ	北里大学医学部	診療教授	混合性結合組織病の病態、治療と関連する遺伝的因子、自己抗体の研究	25,000
40	H14-難治-32	14	16	中山 樹一郎	ナカヤマジュウイチロウ	福岡大学医学部皮膚科	教授	神経皮膚症候群に関する調査研究	20,000
41	H14-難治-33	14	16	中村 耕三	ナカムラコウゾウ	東京大学大学院医学系研究科整形外科	教授	脊柱椎骨骨化症に関する調査研究	42,000
42	H14-難治-34	14	15	高岡 邦夫	タカオカフミ	大阪市立大学大学院医学研究科整形外科	教授	特発性大腿骨頭壊死症の予防を目的とした疫学的病態生理学的遺伝学的総合研究	36,000
43	H14-難治-35	14	16	高野 康日己	タカノヤスヒコ	順天堂大学医学部腎臓内科	教授	進行性腎障害に関する調査研究	36,000
44	H14-難治-36	14	16	松岡 幸彦	マツオカユキヒコ	国立療養所東名古原病院	病院長	スモンに関する調査研究	94,204

NO.	課題番号	開始	終了	主任研究者	フリガナ	所属施設	職名	研究課題名	交付額
45	H14-難治-37	14	16	佐多 徹太郎	サタテツタロウ	国立感染症研究所感染病理部	部長	特定疾患の微生物学的原因究明に関する研究	30,000
46	H14-難治-38	14	16	北風 政史	キタカゼマサフミ	国立循環器病センター生理機能検査部	部長	HB-EGFにかかわる新規拡張型心筋症モデルマウスの作成とその治療薬開発に関する研究	36,000
47	H14-難治-39	14	16	住田 孝之	スミダタユキ	筑波大学臨床医学系内科(膠原病・リウマチ・アレルギー)	教授	特定疾患対策のための免疫学的手法の開発に関する研究	36,000
48	H14-難治-40	14	16	天谷 雅行	アマガイマサユキ	慶應義塾大学医学部皮膚科	専任講師	特定疾患に対する自己免疫モデル開発に関する研究	25,000
49	H14-難治-41	14	16	油谷 浩幸	アブラタニヒロユキ	東京大学国際・産学共同研究センター	教授	罹患組織における遺伝子発現プロファイル解析からの病因解明に関する研究	36,000
50	H14-難治-42	14	16	稲葉 裕	イナハユウ	順天堂大学医学部衛生学教室	教授	特定疾患の疫学に関する研究	48,000
51	H14-難治-43	14	16	中島 孝	ナカジマタカシ	国立療養所新潟病院	副院長	特定疾患の生活の質(Quality of Life, QOL)の向上に資するケアの在り方に関する研究	25,000
52	H14-難治-44	14	16	福原 俊一	フクハラジュンイチ	京都大学大学院医学研究科社会健康医学系専攻医療疫学分野	教授	特定疾患のアウトカム研究; QOL, 介護負担, 経済評価	60,000
53	H14-難治-45	14	16	木村 格	キムライタル	国立療養所西多賀病院	院長	特定疾患の地域支援体制の構築に関する研究	48,000
54	H14-難治-46	14	16	林 松彦	ハヤシマツヒロ	慶應義塾大学医学部	助教授	進行性腎障害に対する腎機能維持・回復療法に関する研究	43,200
55	H14-難治-47	14	16	糸山 泰人	イトヤマタスヒト	東北大学大学院医学系研究科神経内科	教授	筋萎縮性側索硬化症の病因・病態に関わる新規治療法の開発に関する研究	25,000
56	H14-難治-48	14	15	辻 貞俊	ツジサダトシ	産業医科大学医学部(神経内科)	教授	脊髄小脳変性症の定期的診断・治療法に関する研究	15,000
57	H14-難治-49	14	16	坪田 一男	ツボタカスオ	東京歯科大学市川総合病院	教授	涙腺の分化増殖機構の解明と再生医療への応用	10,000
58	H14-難治-50	14	16	石原 博博	イシハラヒロヒロ	山口大学医学部構造制御病態学講座	教授	アミロイド沈着による病的要素の検索に関する研究	20,000
59	H14-難治-51	14	16	清野 裕	セイノユウ	京都大学大学院医学研究科内科学	教授	難治性疾患克服研究の企画又は評価に関する研究	21,068
60	H13-難治-01	13	15	鈴木 和男	スズキカズオ	国立感染症研究所生物活性物質部第三室	室長	難治性血管炎に伴う多臓器不全に係る病態の解明および治療法の開発に関する研究	24,000
61	H13-難治-02	13	15	清水 宏	シマスヒロシ	北海道大学大学院医学研究科皮膚科学分野	教授	重症型先天性表皮水疱症に対する自己培養皮膚移植法の開発に関する研究	24,000
62	H13-難治-03	13	15	橋本 公二	ハシモトクウジ	愛媛大学医学部	教授	難治性皮膚疾患に対する自己培養皮膚移植法の開発に関する研究	42,000
63	H13-難治-04	13	15	三谷 絹子	ミヤニキスコ	獨協医科大学内科学(血液)	教授	骨髄異形成症候群に対する新規治療法の開発に関する研究	35,200
64	H13-難治-05	13	15	日比 紀文	ヒビトシフミ	慶應義塾大学医学部内科	教授	難治性炎症性腸管障害に関する調査研究	52,000
65	H13-難治-07	13	15	金子 清俊	カネコキヨシ	国立精神・神経センター神経研究所疾病研究第7部	部長	硬膜移植後プリオン病に対する進行阻止法の開発に関する基礎研究	34,000
66	H13-難治-08	13	15	山村 隆	ヤマムラタカシ	国立精神・神経センター神経研究所疾病研究第6部	部長	多発性硬化症に対するインターフェロン療法の効果の発現及びその持続性に関する要因等の解析に関する研究	26,250
67	H13-難治-09	13	15	桜川 宣男	オウカワノブヒコ	東邦大学医学部SRL代謝病再生医学寄附講座	客員教授	ライソゾーム病の病態の解明及び治療法の開発に関する研究	32,000
68	H13-難治-10	13	15	衛藤 義勝	エフヨシカフ	東京慈恵会医科大学小児科学講座・DNA医学研究所	教授	ライソゾーム病の病態の解明及び治療法の開発に関する研究	23,580