

<p>突発性難聴の治療にステロイド投与は勧められず、用いる場合30mg/日以下を推奨した。</p>	<p>Minoda R et al. Initial steroid hormone dose in the treatment of idiopathic sudden deafness. <i>Am J Otol</i> 2000;21:819-25</p>
<p>突発性難聴の治療は確定しておらず、大多数の症例は投薬なしで改善すると報告した</p>	<p>Schweinfurth JM al. Current concepts in the diagnosis and treatment of sudden sensorineural hearing loss. <i>Eur Arch Otorhinolarygol</i> 1996;253:117-21</p>
<p>相反するランダム化比較試験の成績から、突発性難聴の治療にステロイドの有効性は不明である</p>	<p>Wei BPC et al. Steroids for idiopathic sudden sensorineural hearing loss (Review). <i>cochrane Databade of Systematic Reviews</i> 2007 Issue 4</p>

循環器系疾患

疾患名: 肥大型心筋症、(特発性拡張型(うっ血型)心筋、拘束型心筋症、ミトコンドリア病、
ファブリー病、家族性突然死症候群も同様) 主任研究者: 友池仁暢

患者数 約21,900人(平成11年)

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	備考
平成2年	安田寿一	肥大型・拡張型心筋症におけるレニン・アンジオテンシン系抑制薬の効果を明らかにした	ヒト
平成4年-10年	崎義雄	心拒絶反応に対する免疫寛容誘導法の発見	動物
平成4年-10年	崎義雄	心不全と致死性不整脈に対する β 遮断薬治療	ヒト
平成12年	篠山重威	移植への遺伝子導入による拒絶反応の制御	動物
平成12年	篠山重威	C型肝炎ウイルスによる心筋症にインターフェロン治療の有効性を示した	ヒト
平成12年	篠山重威	シンバスタチンの長期投与が心筋血流量を増加させる	動物
平成15年	北畠顕	心筋炎の発症にNK-kB、マスト細胞が重要である事を明らかにした。	動物
平成16年	北畠顕	G-CSFによる心筋梗塞のリモデリング抑制効果とそのメカニズムを明らかにした。心筋症による慢性心不全の進行には左室リモデリングが関与しており、サイトカインによるリモデリング予防治療の可能性を示唆する	動物

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
平成4-10年	矢崎義雄	我が国における拡張型心筋症における β 遮断治療薬の有用性を確立した	ヒト
平成9-10年	篠山重威	肥大型心筋症では心筋虚血による運動時血圧反応低下が突然死の予測因子であることを示し、運動制限により突然死を防止し、そのことを証明した	ヒト
平成10年	篠山重威	C型肝炎ウイルスによる潜在する心筋障害とそれに及ぼすインターフェロンの効果を明らかにした。	ヒト
平成11年	篠山重威	心筋症ハムスターに対して、エンドセリン受容体遮断薬が死亡率を著名に改善し、血行動態を改善する事を見出した	動物
平成11年	篠山重威	心不全患者に対する温熱療法は心不全により低下している血管内皮機能を改善させ、心機能を改善させる	ヒト
平成12年	篠山重威	心筋症ハムスターにおいて、温熱療法は心不全により低下している血管内皮型一酸化窒素合成酵素(eNOS)の発現を改善し、生命予後を改善させる	動物
平成13年	篠山重威	C型肝炎ウイルスによる潜在する心筋障害とそれに及ぼすインターフェロンの効果(第二報)	ヒト
平成14年	北畠顕	心不全患者に対する温熱療法は異常亢進している交感神経活性を低下させ、心不全に合併する不整脈を改善する	ヒト
平成14-16年	北畠顕	野生型カベオリン-3過剰発現により、心筋細胞肥大を抑制し、そのことを明らかにした。	動物
平成14-16年	北畠顕	心サルコイドーシス発症早期の有効な非侵襲的診断法の開発: 超音波intergraeted backscatter法での検討(Heart 2004;90:1275)	ヒト
平成14-16年	北畠顕	拡張型心筋症に対する β ブロッカー治療による冠微小循環の改善効果の検討(J Am Coll Cardiol 2005;45:318)	ヒト

平成14-16年	北畠顕	拡張型心筋症に対する β ブロッカー治療による左室dyssynchronyの改善効果の検討(J Am Coll Cardiol 2005;45:Suppl(inPress)	ヒト
平成15年	北畠顕	FGF-1の心筋細胞分化再早期の中胚葉誘導時期における心筋への分化方向決定に及ぼす影響(Hidai C, et al. J Mol Cell Cardiol 35(4):421-5,2003	動物
平成16年	北畠顕	強力な肥大物質であるエンドセリンによる心肥大をPPAR- α 活性化薬であるフェノフィブレードが抑制することを見出した。	動物
平成16年	北畠顕	NF- κ Bの活性化を阻害する事でアンジオテンシンによる心筋肥大、TNF- α による心筋傷害、および心筋梗塞後リモデリングが有意に抑制されることを明らかにした。	動物
平成16年	北畠顕	Th1/Th2バランスは自己免疫性心筋炎の進歩を左右する	

ウ:その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	備考
平成11年	篠山重威	Gadolinium-DTPA Enhanced MRIによる心サルコイドーシスの診断の試み	ヒト
平成13年	篠山重威	新しく開発された免疫抑制薬FTY720がウイルス性心筋炎の治療に有効であることを動物モデルで示し、臨床応用の可能性を示した	動物
平成13年	篠山重威	サイトカイン遺伝子治療がウイルス性心筋症に有効であることを動物モデルを用いて明らかにした。	動物
平成14年	篠山重威	マスト細胞の活性化、NF- κ B抑制により心筋炎の発症を抑制することを明らかにした。	動物
平成14年	北畠顕	骨格由来細胞の中に心筋細胞との共培養により心筋細胞への形質を獲得する細胞が存在することを報告した。細胞移植による心筋細胞の基礎的検討である。	動物
平成14-15年	北畠顕	マウス分離心筋梗塞モデルを使用して生体や細胞に優しい環境を作り効率よく心筋を再生した	動物
平成14-15年	北畠顕	TGF- β の抑制により、肥大心の拡張障害と線維化が抑制されることを証明し、心筋傷害の抑制が可能である事を示した。	動物
平成14-15年	北畠顕	肥大心筋ではMCP-1を介す炎症反応が起こっており、アンジオテンシンII受容体拮抗薬はその抑制により間質の線維化を抑制することを示した。	動物
平成14-15年	北畠顕	肥大心筋における反応性線維化がアンジオテンシンII受容体拮抗薬により抑制されることを示した。	動物
平成15-16年	北畠顕	Sca-1陽性細胞とSP細胞という二種類の成体心筋幹細胞の同定と単離を行い、下垂体後葉ホルモンであるアキシトシンにより、心筋細胞に分化させることに成功した。	動物
平成15-16年	北畠顕	細胞シート重層化による心筋組織の再生(Cell sheet engeniaring for myocardiala tissue reconstruction.Biomaterials.2003;24:2309-2316)	動物
平成15-16年	北畠顕	細胞外マトリックス分子テネイシンCの発現レベルにより、拡張型心筋症の進行度を正確に評価し、適切な治療法を選択できる可能性が示唆された。	ヒト
平成15-16年	北畠顕	高血圧肥大心は線維化と拡張機能障害を発症するが、PPAR- α 活性化薬であるフェノフィブレードはこれらの変化を抑制する	動物
平成15-16年	北畠顕	骨髄間葉系幹細胞を用いることにより、再生心筋細胞を分化誘導できる	動物

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	文献
昭和46年		ACEI(アンギオテンジン変換酵素阻害薬)の開発	Biochemistry 10:4033,1971
昭和59年		心房性ナトリウム利尿ペプチドの同定(寒川)	BBRC 118:131,1983
平成14年		Caブロッカーはミオシン異常による肥大型心筋症に伴う突然死を予防する(動物実験レベル)	J Clin Invest 109:1013-1020,2002
平成16年		AdiponectinがAMP-activated protein kinaseの活性化を介して心肥大を抑制することを初めて証明した。Adiponectinは、心筋症に対する新たな治療と成りうる。	Nature Med 10:1384-9,2004

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
昭和44年		左室補助心臓の提案(クーリー)	TAISAIO 15:252,1969
昭和55年		植え込み型徐細動器(ミルウスキー)の証明	NEJM 303:322,1980
昭和61年		ACE阻害薬が重症心不全治療に効果がある	N Eng J Med 314,1547,1986
平成11年		β ブロッカーが心不全治療に効果がある	Lancet 342,1441,1995
平成11年		エンドセリン受容体遮断薬が、心筋症ハムスターの死亡率を著明に減少させることを見出した。	Circulation 99:2171-2176,1999
平成13年		両室ペーシング療法と植え込み型徐細動器によるペースメーカー治療法の確立	N Eng J Med 352(3):225-237,2005
平成13年		拡張型心筋症に対する免疫グロブリン吸着療法により、心機能が改善する事が報告された。	Circulation 103:2681,2001
平成13年		Fabry病に対する遺伝子組み換え酵素蛋白を用いた酵素補充療法により、腎臓・心臓・皮膚の毛細血管内皮細胞のスフィンゴ糖脂質の減少を認めた。	N Eng J Med 345:9-16,2001
平成13年		Fabry病に対する遺伝子組み換え α -galactosidaseA酵素蛋白を用いた酵素補充療法により、心病変における肥大の減少および心機能の部分的改善を認めた。	JAMA 285:2743-2749,2001
平成14年		細胞内Ca濃度を制御することで拡張型心筋症の病状を軽減できる(動物実験レベル)	Nat Med 8:864-871,2002
平成15年		拡張型心筋症に対するインターフェロン治療により心機能が改善することが報告された。	Circulation 107:2793,2003
平成15年		Fabry病に対する遺伝子組み換え α -galactosidaseA酵素蛋白を用いた酵素補充療法により、心病変における肥大の減少および心機能の部分的改善を認めた。	Circulation 108:1299-1301,2003
平成15年		HOCMの長期予後と薬物治療:単施設で103例のHOCMの経過観察を行い、左室内圧較差自身は長期予後に影響しないこと、欧米のデータと異なり、薬物療法(Naチャンネル阻害薬)の効果が見られたことなどが、日本人のHOCMの特徴として明らかとなった。	投稿準備中
平成16年		非持続性心室頻拍が頻発する心室性期外収縮を有す拡張型心筋症に対する植え込み型徐細動器(ICD)の有効性を検討し、突然死に対する有効性が証明された。	N Eng J Med 350:2151,2004
平成16年		エンドセリンによる心肥大を、PPAR- α 活性化薬であるフェノフィブレードが抑制することを見出した。	Circulation 109:904,2004
平成16年		不整脈による突然死に対する植え込み型徐細動器の臨床応用	N Eng J Med 352(3):225-237,2005

ウ:その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	文献
昭和42年		心臓移植(バーナード)	Afr Med J 41:1271,1967
平成12~		細胞移植による心筋再生治療に関する知見の集積(幹細胞、ES細胞化学、心筋細胞シートなど)	Circulation. 109(23):2832-8,2004
平成12		Fabry病モデルマウスに対するアデノ関連ウイルスベクターを用いた遺伝子治療により、臓器の α -galactosidase A活性の上昇および蓄積したスフィンゴ糖脂質の減少を認めた。	Proc Natl Acad Sci USA 97:7515-7520,2000
平成13		骨髄細胞が心筋細胞に分化する	Nature 410,701,2001
平成13-14年		Fabry病モデルマウスに対するアデノ関連ウイルスベクターを用いた遺伝子治療により、臓器の α -galactosidase A活性の上昇および蓄積したスフィンゴ糖脂質の減少を認めた。	Proc Natl Acad Sci USA 98:2676-2681,2001, Hum Gene Ther 13:935-945,2002
平成14年		ホスホランパンを遺伝子導入することにより、心不全が改善する	Nature Med 8,864,2002
平成15年		ゼラチンを細胞の支持体として作成した心筋グラフトの移植実験	Circulation. 108 Suppl: II 219-25,2003
平成15年		コラーゲンを細胞の支持体として用いた心筋グラフトの開発	Heart Fail Rev.8:259-269 2003
平成15年		ファブリー病に対する組み換え α -Gal Aの補充療法により、心機能改善と左室肥大の退縮が証明された。	Circulation. 108:1299,2003
平成16年		Fabry病モデルマウス新生児に対するレンチウイルスベクターを用いた遺伝子治療により、臓器の α -galactosidase A活性の上昇および蓄積したスフィンゴ糖脂質の減少を認めた。	Proc Natl Acad Sci USA 101:16909-16914,2004
平成16年		拡張型心筋症の原因のひとつであると考えられているコクサツキーウイルスによる心筋炎の発症機序の一部が明らかにされた。	J Genvirol 86:197,2004
平成16年		骨髄間葉系幹細胞由来の心筋細胞を心筋特異的蛋白の発現により、セルソータで収集し、移植すると長期間心臓に正着できる。	Cardiovasc Res 65:334-344,2005
平成16年		フィブリン膜上に心筋細胞を培養すると、心筋細胞シートを作成できる。このシートを利用することにより、移植用の組織を作成できる。	Artifi Org 2005(in press)
平成16年		心筋幹細胞の単離と分化誘導	Circ Res 95:911-21,2004/Proc Natl Acad Sci USA 100:12313-8,2003/Cell 114:762-76 2002
平成16年		サイトカインにとる心筋梗塞治療	Nature 410,701-5,2001
平成16年		本邦における心臓移植の再開	日本循環器学会における心臓移植適応評価。38:235-239,2003
平成16年		PPAR- α 活性化薬であるフェノフィブレートは高血圧肥大心の線維化と拡張機能障害を改善	J Am Coll Cardiol 43:1481-1488,2004

呼吸器系疾患

疾患名: 特発性間質性肺炎 主任研究者: 貴和敏博

患者数 10万人あたり10-20人

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	備考
平成10-13年	工藤翔二	抗酸化薬N-acetylcystein(NAC)吸入療法、抗PDGF薬コルヒチン、急性増悪に対するシクロスポリン(CyA)の自主的臨床試験を行い、治療効果を検定した。	
平成13年	工藤翔二	間質性肺炎患者に対するシクロスポリン(CyA)の治療効果はIPFが28%に対し、CVD-IP、NSIPに対しては60-69%の有効性を認め、ステロイドに加えた新しい薬剤となる可能性を示した	
平成15年	貴和敏博	肺癌患者に対するEGF受容体チロシンキナーゼ阻害薬によって薬剤性間質性肺炎が欧米に比し本邦において高率に発症していることw指摘し、肺の病変の有無、喫煙歴の有無に十分な注意が必要であることを指摘した。これによって多くの患者において間質性肺炎の発症を予防し得た。	

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
昭和54年	村尾班	間質性肺炎患者に対するステロイド治療の有用性を示した。この結果6年間の予後調査で50%の生存率が3年から6年以上に向上した。	
平成5年、10-13年	安藤正幸、工藤翔二	NAC吸入療法: IIP患者肺で低くなるグルタチオン(GSH)を補充することを目的にNAC吸入療法を試みた。CT所見や肺機能が1-2ヶ月後に改善した症例も認めた。	AJRCCM 2000
平成10年	工藤翔二	効果判定に関する臨床指標として、同一負荷による6分間歩行における飽和酸素濃度低下を設定し、Pirfermidone(塩野義製薬s-7701)の第II相試験(プラセボを含む二重盲検実験)を実施。治療効果を示した。	AJRCCM 2005
平成11-13年	工藤翔二	特発性間質性肺炎の中に慢性鳥飼病が多く含まれる可能性を示すと共に、原因抗原を除外することにより治療効果の改善を示し、さらにその発症機序を、疾患モデルを作成して示した。	J Allergy Immunol 1999

ウ: その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	備考
平成10年	工藤翔二	遺伝子導入による治療開発として、抗炎症サイトカインIL-10の遺伝子導入、TGF- β 阻害因子デコリンの遺伝子導入が、実験的に肺の線維化を抑制することを確認した。	AJP2000,AJP2001
平成13年	工藤翔二	血流シンチで使われているMAAを用いて肺特異的に遺伝子導入する試みを肺細胞増殖遺伝子(HGF)を用いて試みて、臨床応用の可能性を示した。	
平成13年	工藤翔二	本邦における生体肺移植ならびに肺移植施行の実際例を検討した。	
平成15年	貴和敏博	分子標的治療であるPDGF-R阻害薬およびEGF受容体チロシンキナーゼ阻害薬(EGFR-TKI)の抗線維化効果を疾患モデルを用いて示した。	

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
1999		肺線維症患者に対し、米国におけるpirfenidoneの第2相臨床試験の結果が報告され、限局的ながらその有効性が示された。	

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	備考
平成4年	田村昌士	我が国では諸外国に比し、心サルコイドーシスが多く、サルコイドーシス死因の大半を占めているが、ステロイドはその進行を阻止し、予後を改善することが明らかにされた。	

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
平成15年	貴和敏博	抗生物質による治療効果を調査した結果、皮膚症状を含むサルコイドーシスに対してミノマイシンを中心とした治療療法に効果を認めた。	

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの

特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
1999		肺線維症患者に対し、米国におけるpirfenidoneの第2相臨床試験の結果が報告され、限局的ながらその有効性が示された。	AJRCCM159:1061-1069,1999/Lancet 354:268-269,1999

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	備考
昭和58年		DPBIに対するマクロライド系薬剤の少量投与の臨床効果を初めて示した。	日本呼吸器学会誌 1984
平成2年	田村昌士	プラセボを対象とするdouble blind testでマクロライド(エリスロマイシン)の有効性が明らかとなった。その奏攻機序として好中球の活性酸素の産生抑制、白血球遊走因子の生成抑制、BAL液中の好中球と好中球エラスターゼ活性の低下、気道分泌抑制作用、リンパ球の活性化抑制、単球マクロファージへの分化促進などが示された。	
平成4年	田村昌士	昭和56-57年に登録されたDPB患者455例、平成4年に登録された298例について、予後調査を行った。初診年別100人あたりの死亡率は1979年まで、10.2、80-84年は6.4、85年以降は1.59と顕著に低下していることを確認した。	
平成5-7年	安藤正幸	マクロライド療法の成果を欧米誌に発表、著しい予後の改善を認めた。	
平成8-13年	工藤翔二	マクロライド新作用(抗菌作用以外の作用)のメカニズムに関する研究の進展(抗炎症、細菌機能の修飾作用など)	AJRM2002

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの
特になし

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
1999		肺線維症患者に対し、米国におけるpirfenidoneの第2相臨床治験の結果が報告され、限局的ながらその有効性が示された。	AJRCCM159:1061-1069,1999/Lancet 354:268-269,1999

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
	栗山喬之	肥満低換気症候群診断基準の作成(平成8年度呼吸不全調査研究班報告書)	
	栗山喬之	非侵襲的陽圧呼吸療法(NIPPV)の導入	
	久保恵嗣	持続陽圧呼吸療法(CPAP)がCRPを改善する。(Intern Med 44:899,2005)	

ウ:その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	備考
	長野準	薬剤(アセトゾラミド、プロゲステロン製剤などの含む)による呼吸賦活療法の有用性の証明	

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	文献
2002年		OSASのリスクファクターについて総括し、肥満を重要視した。	Am J Respir Crit Care Med 163:1217

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
1988		OSASに対し持続陽圧呼吸療法(CPAP)は予後を改善する。	Chest 94:9
2001		OSASに対し大規模研究でCPAP治療の有効性を再確認し、軽症例では歯科装具の有用性を証明した。	Respir Care 46:1418

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

疾患名: 肺胞低換気症候群 主任研究者: 久保恵嗣

患者数 約40人程度(平成9年)

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
	栗山喬之	肺胞低換気症候群診断基準の作成(平成8年度呼吸不全調査研究班報告書)	
	栗山喬之	非侵襲的経鼻陽圧呼吸療法(NIPPV)の導入と睡眠中持続的酸素吸入の有用性の証明	

ウ: その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	備考
	長野準	薬剤(プロゲステロン製剤などの含む)による呼吸賦活療法	

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの
特になし

ウ: その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	文献
2004		オレキシンやその周辺物質が睡眠障害、時差ぼけ、不眠症の治療に重要な手掛かりを提供する	Proc Natl Acad Sci USA 30:4649

疾患名: 原発性肺高血圧症(PPH) 主任研究者: 久保恵嗣
 患者数 人口100万当たり年間およそ1~2人

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの
 特になし

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
	川上義和	肺高血圧症に対する在宅酸素療法の適応拡大	
	栗山喬之	原発性肺高血圧症診断基準の作成(平成8年度呼吸不全調査研究班報告書)	
	栗山喬之	原発性肺高血圧症の内科的治療指針確立を目指した共同研究(平成12年度同報告書、pp200-204)	

ウ: その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	備考
	栗山喬之	脳死下肺移植のレシピエント選択基準の作成と実施	

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	文献
2000年		家族性原発性肺高血圧症(PPH)でBMPR2遺伝子変異が認められた。	
2001年		散発性のPPHでもBMPR2遺伝子変異が認められ、散発性PPHが家族性である可能性がある。	
2006年		全世界のPPHIにおけるBMPR2遺伝子異常のデータベース作成	

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの
 特になし

ウ: その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	文献
2004		第3回肺高血圧症ワールドシンポジウムによる肺高血圧症ガイドライン	Chest 126:35S
2007		上記 肺高血圧症治療ガイドラインの改定版	Chest 131:1917

疾患名:特発性慢性肺血栓塞栓症(肺高血圧症) 主任研究者:久保恵嗣
患者数 約450人(平成9年度)

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
	吉良枝朗	肺血栓塞栓症-我が国における診断と治療の現状-	昭和63年、第一印刷株式会社印刷
	栗山喬之	慢性肺血栓塞栓性肺高血圧症診断基準の作成(平成8年度呼吸不全調査研究班報告書)	
1999	栗山喬之	慢性肺血栓塞栓性肺高血圧症における外科的および内科的治療指針	平成11年度報告書、pp196-199
2001	栗山喬之	我が国においても特発性慢性肺血栓塞栓症に対する肺血栓内膜摘除術が肺血行動態、血液ガスの改善効果をもたらす。また、肺血管抵抗、Pulsatilityが予後と関連する。	Tanabe N.Eur Respir J 2001;17:653-659.
2007	久保恵嗣	特発性慢性肺血栓塞栓性(肺高血圧症)ガイドライン改訂の要点	平成18年度報告書、pp175-177

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
2003		慢性肺血栓塞栓症に肺血栓内膜摘除術が有効で、1500例に行い、細菌では死亡率も低くなっている。	Jamieson SW,Ann Thorac Surg. 2003;76:1457-1462
2006		手術不能型に対するボセンタンの有効性(48例)	Reochenberger Eur Respir J 2007;30:922-92
2007		手術不能型に対すシルデナフィルの有効性(104例)	Hughes RJ Eur Respir J 2007;30:922-92

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

疾患名:若年性肺気腫(若年発症COPD) 主任研究者:久保恵嗣
患者数 約2200人(2006年から2007年)

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
	吉良枝朗	在宅酸素療法実施慢性呼吸不全症例の実態・予後の全国調査研究	平成3年度呼吸不全調査研究班報告書
	川上義和	「呼吸不全診断と治療のためのガイドライン」の作成・出版(平成8年、メディカルレビュー社)	
	栗山喬之	若年性肺気腫診断基準の作成(平成8年度呼吸不全調査研究班報告書)	
	久保恵嗣	第1回難治性若年発症COPD検討会、会議録	平成15年11月7日8日
	久保恵嗣	第2回難治性若年発症COPD検討会、会議録	平成19年11月11日

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
1999		COPDの急性増悪に副腎皮質ステロイド薬が有効である。	N Engl J Med 340:1941
2003		上葉優位型の肺気腫に対する肺容量減量術は、内科的治療より予後を改善する	N Engl J Med 348:2059
2003		長時間作動型抗コリン薬(tiotropium)の吸入療法はCOPDの気流制限を緩和する。	Thorax 58:855
2007		カルボシステインはCOPDの急性増悪を軽減する(PEACE Study)	J Am Geriatr Soc 55:1884
2007		サルメテロールとフルチカソンの合剤の吸入療法は、COPDの予後を改善し、生存率を軽減する(TORCH Study)	N Engl J Med 356:775

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

疾患名:ランゲルハンス細胞組織球症 主任研究者:久保恵嗣
患者数 約200人以下(平成8年度)

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	備考
平成18年— 19年	久保恵嗣	全国疫学調査の施行	

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
	栗山喬之	HistiocytosisXの診断基準の作成	平成8年度呼吸不全調査研究班報告書

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア:発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ:完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
2000		肺ヒスチオサイトーシスXは喫煙に関連する疾患である(禁煙が進行の減弱に有効である)	Clin Chest Med 21:11

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
平成18年度	久保恵嗣	乳糜腹水や乳糜胸水を合併するLAM症例では、GnRH治療により管理可能であること、乳糜中のLAM細胞クラスターを減少させ、LAM細胞にアポトーシスを誘導する事を明らかにした。	Tanabe N.Eur Respir J 2001;17:653-659.
平成19年度	久保恵嗣	GnRH治療により肺機能の経年的悪化率を改善できる症例があることを明らかにした。	平成18年度報告書、pp175-177

ウ: その他根源治療の開発についてのもの
特になし

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
2006		MMPやVEGF産生を抑制するドキシサイクリンによりLAMの病態が改善した1例を報告し、LAM治療への応用の可能性を報告した。	N Engl J Med 354:24

ウ: その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	文献
2007		Sirolimus 4mg/日の内服投与により乳糜胸水、骨盤腔のlymphangiomyomaが消失し、呼吸機能が改善した症例を報告し、LAM治療へ有用性を報告した。	Ann Int Med 146:687

消化器系疾患

疾患名: 潰瘍性大腸炎

主任研究者: 渡辺守

患者数 約104,721人(平成20年度)

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
平成6年	武藤徹一郎	SASP不耐性症例に対するメサラジンの有用性	
平成12年	下山孝	白血球除去・吸着療法の有用性	
平成12年	下山孝	遠位潰瘍性大腸炎に対するメサラミン注腸療法	
平成16年	日比紀文	難治性潰瘍性大腸炎に対する経口FK506	

ウ: その他根源治療の開発についてのもの
特になし

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
1978		重症潰瘍性大腸炎に対する選択的プロドニゾロン動注療法	朝倉均ら: 日消誌 1978,75:818-25
1994		Cyclosporineのステロイド抵抗性重症性潰瘍性大腸炎に対する有効性	Lichtiger S et al.: N Engl J Med 1994,330:1841-5
1999		非病原性大腸菌(Nissle 1917)の投与がメサラジンと同等の緩解維持効果を有する	Rembacken BJ et al.: Lancet 1999,354:635-9
2003		抗TNF- α 抗体(Remicade)の難治性潰瘍性大腸炎への有用性	Gornet JM et al.: Aliment Pharmacol Ther 2003,18:175-181
2003		ステロイド抵抗性潰瘍性大腸炎に対するヒト化型IL-2R(CD-25)抗体(Basilizimab)とステロイド併用療法の有効性	Greed A et al.: Aliment Pharmacol Ther 2003,18:65- 75
2003		Epidermal growth factor(EGF)注腸の軽症-中等潰瘍性大腸炎に対する有効性	Sinha A et al.: N Engl J Med 2003,349:350-7

2004	ヒト化型CD3抗体 (Vesilizumab)のステロイド抵抗性重症性潰瘍性大腸炎に対する有効性	Hommes D et al.:DDW 2004,Late Breaking Abstracts
2004	ICA-1antisense oligonucleotide enema の軽症・中等遠位潰瘍性大腸炎に対する有効性	van Deventer SJ et al.:Gut 2004,53:1646-51
2004	活動期潰瘍性大腸炎に対する豚鞭虫卵Trichuris suis ova反復投与の有効性	Summers RW et al.:Gastroenterology 2004,126(4),suppl.2:A-83
2006	ステロイド抵抗性潰瘍性大腸炎に対する経口tacrolimus(FK506)の有効性	Ogata et al.:Gut 2006,55(9):1255-62

ウ:その他根源治療の開発についてのもの
特になし

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
平成5年		成分栄養療法Elemental Diet(ED)の有効性	
平成15年		ヒト化抗IL-6レセプター抗体MRAの有効性	
平成16年		栄養療法抵抗性のクローン病に対する粒球除去療法の有効性	

ウ: その他根源治療の開発についてのもの
特になし

2、「1」以外で、国内・国外問わず、研究成果の現在の主な状況について

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの
特になし

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	文献
1997		キメラ型抗TNF- α 抗体(Remicade)の有効性	Targan SR et al.: N Engl J Med 1997,337:1029-35
2003		抗 α 4インテグリン抗体(Natalizumab)の有効性	Rutgeets P et al.: gut 2003,52(suppl VI):A239
2004		抗IL-12抗体(ABT-874)の有効性	Mannon PJ et al.: N Engl J Med 2004,351:2069-79
2004		完全ヒト化型抗TNF- α 抗体(adalimumab)の有効性	Hanauer SB et al.: DDW2004, Late Breaking Abstracts
2004		抗IFN- γ 抗体(Fontolizumab)の有効性	Homme D et al.: DDW 2004 Late Breaking Abstracts
2004		GM-CSF(Sagramostim)の中等症・重症クローン病に対する有効性	Korzenic J et al.: Gastroenterology 2004,126(4),suppl2:A-75
2005		豚鞭中卵Trichuris suis ovaの有効性、安全性	Summers RW et al.: Gut 2005,54:87-90
2007		ヒト化型TNF- α 抗体(certlizumab begol)の有効性	Sandborn WJ et al.: N Engl J Med 2007,357(3):228-38

ウ: その他根源治療の開発についてのもの
特になし

疾患名: 自己免疫性肝炎、原発性胆汁性肝硬変、難治性肝炎のうち劇症肝炎、肝内胆管障害
 主任研究者: 大西三郎
 患者数 約10000人

1. 初研究班発足から現在までの研究成果について(特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研

(3) 治療法(予防法含む)の開発について

ア: 発症を予防し、効果のあったもの

時期	班長	内容	備考
平成14年	戸田剛太郎	B型肝炎ウイルスキャリア(無症候性、慢性肝炎)再燃時におけるラミブジン早期投与による劇的化予防	
平成16年	戸田剛太郎	PBCの診断基準を改訂し、症候性PBCの定義を明確にした。	
平成18年	大西三郎	劇症肝炎に対する生体肝移植の適応と移植後の予後良好を示した。	
平成19年		抗gp210抗体陽性はPBCの病期進展のrisk factorである。	「合」難治性自己免疫性肝疾患の画期的治療法に関する臨床研究との共同研究

イ: 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

時期	班長	内容	備考
平成12-16年	戸田剛太郎	原発性胆汁性肝硬変に対するUDCA投与は無症候性から症候性への移行を遅らせる	
平成12-16年	戸田剛太郎	原発性胆汁性肝硬変に対するbezafibrateの有効性	
平成19年度	大西三郎	軽症の自己免疫性肝炎はUDCA単独投与で寛解が得られる。	
平成19年度	大西三郎	PBCに対するURSOとbezafibrateの併用療法の生化学的改善効果を示した。	

ウ: その他根源治療の開発についてのもの

時期	班長	内容	備考
平成17-19年	大西三郎	自己骨髄細胞移植を用いた肝臓再生療法の臨床研究	
平成17-20年	大西三郎	劇症肝炎における医師主導治験によるヒトHGFの臨床試験	