

目次

総括研究報告

1. ミトコンドリア病に合併する高乳酸血症に対するピルビン酸ナトリウム治療法の開発研究 試薬からの希少疾病治療薬開発の試み
古賀 靖敏・・・00
2. 別添資料
 - (1) 自主臨床研究データ
 - (2) 治験薬概要書（初版）
 - (3) 非臨床試験データセット
 - (4) 第1相試験実施計画書
 - (5) 治験薬 GMP 安定性に関する資料

分担研究報告

1. ミトコンドリア病に対するピルビン酸ナトリウム治療法に関する研究
村山 圭・・・・・・・・00
2. ミトコンドリア病に対するピルビン酸ナトリウム治療法の検討
齋藤 伸治・・・・・・・・00
3. 難治性ミトコンドリア病患者 3 例へのピルビン酸ナトリウムによる治療経験とミトコンドリア病に対する系統的病因探索システムについての研究
大竹 明・・・・・・・・00
4. ミトコンドリア機能を制御する primary cilia に関する研究
藤井 克則・・・・・・・・00
5. ミトコンドリア病に対するピルビン酸ナトリウム治療法に関する研究
但馬 剛・・・・・・・・00
6. ミトコンドリア病治療における評価尺度の開発に関する研究
藤井 達哉・・・・・・・・00
7. ミトコンドリア病の診断と重症度評価に有用なバイオマーカーの探索
田中 雅嗣・・・・・・・・00

8. 肝型ミトコンドリア膜 aspartate glutamate carrier (シトリン) 欠損症モデルマウス
における血漿グリセロールの診断的価値

佐伯 武頼・・・00

9. TCA 回路と周辺の代謝機能解析に関する研究

山口 清治・・・00

10. 突然変異型ミトコンドリアゲノム分子の病原性発揮に関する研究

中田 和人・・・00

11. ピルビン酸ナトリウム投与対象となりうるミトコンドリア脳筋症患者選定に関する
研究

石井 亜希子・・・00