

## 【PC 受付の際のご注意事項】

- 1 受付時間 9:15～9:30
- 2 大ホール前ホワイエにて参加受付をお済ませの上、上記時間内に PC 受付(大ホール東側通路)にて試写を済ませてください。
- 3 PC 受付では動作確認のみ可能です(データの修正はできませんので予めご了承ください)。
- 4 発表はメディアの持込み(Windows のみ CD-R/USB フラッシュメモリ)またはご自身の PC (Windows/Macintosh)をお持込みいただく方法となります。
- 5 動画もしくは Macintosh でデータを作成された場合は、必ずご自身の PC をお持ちください。

	メディア持込み (CD-R, USB メモリ)	PC 本体持込み
Windows	○	○
Macintosh	×	○

### 《メディア持込みの注意点》

- 1) PC の OS は、Windows7  
使用アプリケーションは、PowerPoint2013 までのバージョンが使用できます。
- 2) メディアの媒体は CD-ROM または USB フラッシュメモリにてお願いします。  
※ご注意 MO・ZIP・FD 等是对应できません。  
※メディアの中には 当日発表分のデータのみ入れてください。
- 3) 動画を使用される場合は、必ずご自身の PC をご持参ください。
- 4) Macintosh で作成したデータの場合は、必ずご自身の PC をご持参ください。
- 5) データを CD-R 等にコピーする時はファイナライズ作業を必ず行ってください。
- 6) 作成に使用された PC 以外での動作チェックを事前に行ってください。
- 7) ご提出いただいた発表データは、発表後に事務局にて責任を持って消去いたします。

### 《PC 持込みの注意点》

- 1) バッテリーでの発表はトラブルの原因となります。必ず PC 付属の電源アダプターをご持参ください。
- 2) 会場にて接続するケーブルのコネクター形成は Mini D-sub 15pin(下写真)です。  
Macintosh や SONY-VAIO など専用の接続アダプターが必要な機種については、必ずご持参ください。



- 3) パスワード設定、スクリーンセーバー、省電力設定はあらかじめ解除してください。
- 4) ご発表後、講演会場内の PC デスクで返却いたします。

以上

**口頭発表(Oral Presentation)に関するご案内**

## 【日程・会場】

日 程 2015 年 3 月 13 日(木) 10:00-17:30  
会 場 東京コンベンションホール (JR 東京駅より徒歩 5 分)  
東京都中央区京橋三丁目 1-1 東京スクエアガーデン 5F  
[http://tokyo.conventionhall.jp/data/access\\_print.pdf](http://tokyo.conventionhall.jp/data/access_print.pdf)

## 【ご発表に関して】

## 1 タイムスケジュール

- ① 講演会場は「大ホール」と「中会議室Ⅱ」の 2 会場です。ご発表のあるシンポジウム開始 30 分前には、該当の会場にお越し下さいませようお願い致します。
- ② 各会場にお越しになる前に PC 受付(受付時間 9:30~16:00)(※別紙ご参照)をお済ませください。
- ③ 各会場に、「演者席」を設けております。名札着用のうえ、こちらにお座りください。
- ④ 事前打合わせは予定しておりません。お時間になりましたら係の者がお声掛け致します。

## 2 ご発表

## ① PPT プレゼンテーション(10 分間)

ご発表終了 2 分前にランプ点灯、終了のお時間になりましたらランプとベルでお知らせいたします。

② 日本語でのご発表をお願い致します(PPT スライドは日本語・英語可)。

Dr.Petra Kaufmann が午前中のプレナリーセッションにて講演されることから、その間は  
大ホールのみ「英→日」の同時通訳が入りますが、午後以降の研究発表の際は、大ホール・中会議室Ⅱともにその予定はございません。

③ オーラル/スライドの内容には、公開不可のもの、未発表のものが含まれないよう十分にご留意ください。

## 3 報道機関

- ① 本成果報告会は一般公開となりますので、報道関係の方々の取材が予想されます。
- ② 2 月 27 日現在でお申し込みがあった報道機関は以下の通りです。  
日経バイオテック・日本経済新聞社・読売新聞社・  
日刊薬業・薬事ニュース社・Core Net.com
- ③ 個別の取材のお申し込みがあった場合については、各位のご判断でご対応くださいますようお願い申し上げます。

## 4 緊急連絡先

当日、緊急の御用件がある場合は、事業事務局(臨床研究情報センター内:078-303-9103)へご連絡お願い申し上げます。

以上

## 【お問い合わせ先】

疾病対策課関連事業事務局(研究代表者:福島雅典)  
(公財)先端医療振興財団 臨床研究情報センター(TRI)  
湯川明子・栗田加奈子  
TEL: 078-303-9103  
E-Mail: [shippeitaisaku@tri-kobe.org](mailto:shippeitaisaku@tri-kobe.org)

## 【PC 受付の際のご注意事項】

- 1 受付時間 9:30～16:00
- 2 大ホール前ホワイエにて参加受付をお済ませの上、発表される 30 分前までに PC 受付(大ホール東側通路)にて試写を済ませてください。
- 3 PC 受付では動作確認のみ可能です(データの修正はできませんので予めご了承ください)。
- 4 発表はメディアの持込み(Windows のみ CD-R/USB フラッシュメモリ)またはご自身の PC (Windows/Macintosh)をお持込みいただく方法となります。
- 5 動画もしくは Macintosh でデータを作成された場合は、必ずご自身の PC をお持ちください。

	メディア持込み (CD-R, USB メモリ)	PC 本体持込み
Windows	○	○
Macintosh	×	○

### 《メディア持込みの注意点》

- 1) PC の OS は、Windows7  
使用アプリケーションは、PowerPoint2013 までのバージョンが使用できます。
- 2) メディアの媒体は CD-ROM または USB フラッシュメモリにてお願いします。  
※ご注意 MO・ZIP・FD 等是对应できません。  
※メディアの中には当日発表分のデータのみ入れてください。
- 3) 動画を使用される場合は、必ずご自身の PC をご持参ください。
- 4) Macintosh で作成したデータの場合は、必ずご自身の PC をご持参ください。
- 5) データを CD-R 等にコピーする時はファイナライズ作業を必ず行ってください。
- 6) 作成に使用された PC 以外での動作チェックを事前に行ってください。
- 7) ご提出いただいた発表データは、発表後に事務局にて責任を持って消去いたします。

### 《PC 持込みの注意点》

- 1) バッテリーでの発表はトラブルの原因となります。必ず PC 付属の電源アダプターをご持参ください。
- 2) 会場にて接続するケーブルのコネクター形成は Mini D-sub 15pin (下写真)です。  
Macintosh や SONY-VAIO など専用の接続アダプターが必要な機種については、必ずご持参ください。



- 3) パスワード設定、スクリーンセーバー、省電力設定はあらかじめ解除してください。
- 4) ご発表後、口演会場内の PC デスクで返却いたします。

以上



## ポスター掲示に関するご案内

### 【日程・会場】

日 程 2015 年 3 月 13 日(木) 10:00-17:30  
 会 場 東京コンベンションホール (JR 東京駅より徒歩 5 分)  
 東京都中央区京橋三丁目 1-1 東京スクエアガーデン 5F  
[http://tokyo.conventionhall.jp/data/access\\_print.pdf](http://tokyo.conventionhall.jp/data/access_print.pdf)

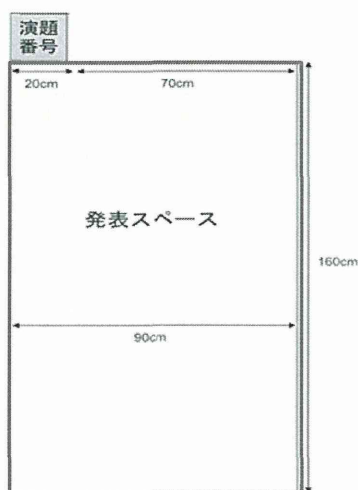
### 【ポスター掲示に関して】

#### 1 貼出・閲覧・撤去時間

貼付・掲示	9:00～10:00
展示時間	10:00～17:00
撤 去	17:00～17:30

- ① ポスターの貼り付け、撤去時間を厳守してください。
- ② 掲示会場は「中会議室 I」と「小ホール」の 2 会場です。
- ③ 大ホール前ホワイエにて参加受付をお済ませのうえ、掲示番号一覧にてご自身の番号並びに掲示会場をご確認頂き、各自ポスターの掲示をお願い致します。
- ④ ポスターは掲示のみで、ポスター発表はございません。
- ⑤ 17:30 以降に放置されたポスターは、事務局にて処分いたしますので予めご了承ください。

#### 2 ポスター掲示スペース



- ① 演題番号は事務局で用意し、予め掲示しております。
- ② 掲示パネルの大きさは、縦 160 cm × 横 90 cm です。
- ③ ポスター (A0 サイズ) を、このスペースに収まるよう掲示してください。
- ④ 貼付には画鋲のみを使用してください。
- ⑤ 画鋲は各パネルに用意しております。

#### 【お問い合わせ先】

疾病対策課関連事業事務局 (研究代表者: 福島雅典)  
 (公財) 先端医療振興財団 臨床研究情報センター (TRI)  
 湯川明子・栗田加奈子  
 TEL: 078-303-9103  
 E-Mail: [shippeitaisaku@tri-kobe.org](mailto:shippeitaisaku@tri-kobe.org)

謹啓 時下益々御健勝のこととお慶び申し上げます。

難病対策につきましては、日頃より御協力を賜り、厚く御礼申し上げます。

さて、平成26年度厚生労働科学研究委託業務（難治性疾患等実用化研究事業（難治性疾患実用化研究事業））の中間及び事後評価委員会を下記のとおり開催いたしますので、御多忙のところ誠に恐縮ではございますが、御出席方よろしくお願い申し上げます。

なお、中間及び事後評価委員会運営規程1により、委員会の招集は委員長が行うこととなっておりますが、今回は第1回目の委員会で委員長を定めていない為、招集の事務手続は当課が代行いたします。

つきましては、別紙様式に必要事項を御記入の上、2月10日（火）までにE-MAIL又はFAXにて御送付くださいますようお願い申し上げます。

謹白

平成27年2月6日

厚生労働省健康局

疾病対策課長

田原 克志

厚生労働科学研究委託業務（難治性疾患等実用化研究事業  
（難治性疾患実用化研究事業））中間及び事後評価委員会委員 各位

記

厚生労働科学研究委託業務（難治性疾患等実用化研究事業（難治性疾患実用化研究事業））中間及び事後評価委員会

- ・日時 平成27年2月16日（月）14：30～16：00
- ・場所 国立保健医療科学院 第一会議室（4階）  
（埼玉県和光市南2-3-6）
- ・議題（予定） 1. 平成26年度研究課題の中間・事後評価について  
2. その他

謹啓 時下益々御健勝のこととお慶び申し上げます。

難病対策につきましては、日頃より御協力を賜り、厚く御礼申し上げます。

さて、平成27年度厚生労働科学研究委託業務（難治性疾患等実用化研究事業（難治性疾患実用化研究事業））の事前評価委員会を下記のとおり開催いたしますので、御多忙のところ誠に恐縮ではございますが、御出席方よろしくお願い申し上げます。

つきましては、別紙様式に必要事項を御記入の上、2月10日（火）までにE-MAIL又はFAXにて御送付くださいますようお願い申し上げます。

謹白

平成27年2月6日

厚生労働科学研究委託業務（難治性疾患等実用化研究事業  
（難治性疾患実用化研究事業））事前評価委員会  
委員長 葛原 茂樹

厚生労働科学研究委託業務（難治性疾患等実用化研究事業  
（難治性疾患実用化研究事業））事前評価委員会委員 各位

記

厚生労働科学研究委託業務（難治性疾患等実用化研究事業（難治性疾患実用化研究事業））事前評価委員会

- ・日時 平成27年2月20日（金）10:00～16:30
- ・場所 国立保健医療科学院 第一会議室（4階）  
（埼玉県和光市南2-3-6）
- ・議題（予定）1. 平成27年度研究課題の事前評価について  
2. その他

## 難病対策課関連事業（難治性・腎・痛み） 研究成果報告書（案）

作成／更新日 20\*\*年\*\*月\*\*日

### I. 研究成果報告書（概括：全課題共通）

※ ○についてはいずれか1つを選択願います。□については複数選択可能です。

1.研究課題責任者 (申請者)	(研究者 ID)	(氏名)
2.所属機関	(所属機関 ID)	(所属機関名)
3.研究課題の分類	<input type="radio"/> 難治性疾患実用化研究（ステップ1） <input type="radio"/> 難治性疾患実用化研究（ステップ2） <input type="radio"/> 革新的医薬品等の開発の促進研究 <input type="radio"/> 診療の質を高める研究	
4.研究課題整理 No ※研究課題番号優先	<input type="radio"/> 遺伝子拠点研究 <input type="radio"/> 生体試料バンク <input type="radio"/> 腎疾患実用化研究事業 <input type="radio"/> 慢性の痛み解明研究事業	
5.研究のカテゴリー	研究課題番号(例:H24-難治等(腎)-一般-001) 又は e-Rad 課題 ID(例:14524263)	
6.研究課題名	<input type="checkbox"/> 基礎研究 <input type="checkbox"/> 開発研究 <input type="checkbox"/> 臨床研究 <input type="checkbox"/> その他( )	
7.キーワード(5個以下)		
8.研究の意義	<input type="checkbox"/> 生命理解 <input type="checkbox"/> 病因解明 <input type="checkbox"/> 疾病制圧 <input type="checkbox"/> 健康長寿 <input type="checkbox"/> 生活改善	
9.研究の目的(中・長期的)	<input type="checkbox"/> 分子 <input type="checkbox"/> 遺伝子・ゲノム <input type="checkbox"/> 生体低分子 <input type="checkbox"/> 生体高分子 <input type="checkbox"/> オルガネラ <input type="checkbox"/> 細胞 <input type="checkbox"/> 組織 <input type="checkbox"/> 器官・系 <input type="checkbox"/> 個体 <input type="checkbox"/> 集団 <input type="checkbox"/> 社会 <input type="checkbox"/> その他( )	
10.研究対象の階層	<input type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有( <input type="checkbox"/> 診断 <input type="checkbox"/> 治療 <input type="checkbox"/> 予防 <input type="checkbox"/> 健康増進 ) <input type="checkbox"/> 未検討 有の場合の実用化イメージ: _____	
11.研究成果の医学的 応用可能性	<input type="checkbox"/> 精神 <input type="checkbox"/> 神経 <input type="checkbox"/> 筋・骨格 <input type="checkbox"/> 呼吸器 <input type="checkbox"/> 循環器 <input type="checkbox"/> 血液 <input type="checkbox"/> 眼 <input type="checkbox"/> 耳鼻咽喉 <input type="checkbox"/> 歯 <input type="checkbox"/> 消化器 <input type="checkbox"/> 腎臓 <input type="checkbox"/> 肝臓 <input type="checkbox"/> 産科系疾患 <input type="checkbox"/> 皮膚 <input type="checkbox"/> 免疫 <input type="checkbox"/> 糖尿病 <input type="checkbox"/> 代謝・内分泌 <input type="checkbox"/> 腫瘍 <input type="checkbox"/> 感染 <input type="checkbox"/> 疼痛 <input type="checkbox"/> 小児 <input type="checkbox"/> その他( )	
12.疾患分類	<b>【承認分類】</b> <input type="checkbox"/> 医薬品 <input type="checkbox"/> 医療機器 <input type="checkbox"/> 再生医療等製品 <input type="checkbox"/> 体外診断薬 <input type="checkbox"/> 該当せず <b>【技術分類】</b> <input type="checkbox"/> 再生医療製品 <input type="checkbox"/> 遺伝子治療薬 <input type="checkbox"/> コンビネーション製品 <input type="checkbox"/> 予防薬	
13.開発候補物の分類(第 5項で開発研究の場合)	14.開発候補物／試験物 ／技術の名称(同上)	
14.開発候補物／試験物 ／技術の名称(同上)	15.研究期間 _____年 ( _____年度まで)	
15.研究期間	16.研究費 研究期間全体の総計: _____円 (間接経費含む)	
16.研究費	17.研究の出口(ゴール) <input type="checkbox"/> 薬事承認 <input type="checkbox"/> 保険適用 <input type="checkbox"/> 先進医療承認 <input type="checkbox"/> ガイドラインへの反映 <input type="checkbox"/> 研究／診療基盤の整備と稼働 <input type="checkbox"/> 治療ネットワークの構築 <input type="checkbox"/> その他( )	
17.研究の出口(ゴール)	18.薬事承認取得日(開発 研究で該当する場合) 年 月 日	19.保険適用日(開発研 究で該当する場合) 年 月 日
20.ゴール及びそれに至 るマイルストーン(見込みを含 む)	ゴール:	達成時期: 年 月
		達成時期: 年 月
		達成時期: 年 月
		達成時期: 年 月
19.ロードマップ		



21. H26 実施計画(実施事項の箇条書き;申請時の研究計画からの抜粋)	1) 2) (必要に応じて追加)
22. H26 の主な進捗(実施計画に基づいて箇条書で記載)	1) 2) (必要に応じて追加)
23.研究の進捗状況	<input type="radio"/> 予定通り <input type="radio"/> 遅れ気味 <input type="radio"/> 計画の見直しが必要 <input type="radio"/> 中断中 <input type="radio"/> 中止 <input type="radio"/> 完了
24.進捗上の問題点(200字以内)	
25.成果物の確認	<input type="checkbox"/> R&D 基本情報(すべての課題で記載する;臨床試験等が未実施の場合は空欄可) <input type="checkbox"/> II.臨床試験結果報告シート(該当課題のみ) <input type="checkbox"/> III.ガイドライン策定報告シート(該当課題のみ) 開発候補物に係る新規特許等の出願・取得を証明する書類 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 非臨床試験結果報告書(安全性試験については GLP) <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 GMP/QMS 体制 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 製品標準書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 規格及び試験法 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 製造・品質管理関連資料 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 治験薬/製品概要書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 臨床試験実施計画書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 統計解析計画書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 SDV 報告書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 統計解析報告書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 臨床試験総括報告書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 監査報告書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 製造販売承認申請書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 薬事法承認書/認証書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 ガイドライン策定計画書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 基盤整備計画書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 診療ネットワーク整備計画書 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有
26.添付資料	<input type="checkbox"/> 薬事法承認書/認証書の表紙の写し <input type="checkbox"/> 添付文書 <input type="checkbox"/> 薬価収載/保険適用該当ページの写し <input type="checkbox"/> ガイドライン(案) <input type="checkbox"/> 基盤整備状況報告シート <input type="checkbox"/> 基盤整備概要書 <input type="checkbox"/> 診療ネットワーク整備状況報告シート <input type="checkbox"/> 診療ネットワーク整備概要 <input type="checkbox"/> その他( )
27.研究継続の要望	<input type="radio"/> 継続不要 <input type="radio"/> 要継続 (開発研究の場合: <input type="radio"/> ステップ1 <input type="radio"/> ステップ2 <input type="radio"/> その他( ))
28. 出版した論文のリスト	論文 1
	筆頭著者名:
	論文タイトル
	雑誌名: _____ 出版年: _____ Vol: _____ Page: _____ PMID: _____
	被引用回数:
	論文 2
筆頭著者名:	
論文タイトル	
雑誌名: _____ 出版年: _____ Vol: _____ Page: _____ PMID: _____	
被引用回数:	



## II. 臨床試験／研究結果報告シート（該当課題のみ）

【計画】				
1. 臨床研究の性質	○臨床試験（介入研究*1）（○探索的 ○検証的） ○観察研究			
2. 臨床試験の枠組み	○医師主導治験 ○企業主導治験 ○先進医療 ○治験／先進医療外の臨床試験 ○前向き観察研究 ○後向き観察研究 ○その他（ ）			
3. 臨床試験責任医師	名前：_____ 所属：_____			
4. 統計責任者	○無 ○有（○生物統計家 ○それ以外（ ））			
5. 研究の目的				
6. 臨床研究のフェーズ	□第1相 □第2相 □第3相 □第4相 □その他（ ）			
7. 臨床研究の規模	○単施設 ○多施設共同（施設数： ）			
8. 実施地域	□国内 □米国 □欧州 □アジア □その他 国名（日本・米国以外）： ）			
9. 対象疾患	疾患名： （ICD-10 code: ）			
10. 被験者集団	○病院ベース ○住民ベース ○その他（ ）			
11. 臨床研究のデザイン	方法：○単群 ○並行群間比較 ○クロスオーバー ○盲検化 ○無作為化 対照：○無 ○有（□プラセボ □実薬／製品 □用量-反応 □その他（ ））			
12. 介入内容	○治療 ○診断 ○予防			
13. 介入方法	○内服 ○静注 ○その他（ ）			
14. 主要評価項目				
15. 目標症例数		16. 試験群数		17. 1群あたりの例数
18. 研究期間	年 月 から 年 月			
19. 登録期間	年 月 から 年 月			
20. 中間解析	○無 ○有（実施時期： 年 月）			
21. 中央検査センター／画像評価委員会等の利用	○無 ○有（名称： ）			
22. 研究者と独立したデータセンターの利用	○無 ○有（名称： ） 依頼業務：□症例登録 □データ管理 □統計解析 □EDC/ CDMS システム			
23. 使用システムのER/ES指针对応*2	○無 ○有			
24. データのCDISC標準対応	○無 ○有			
25. モニタリング	○無 ○有（□セントラル □オンサイト）			
【結果】				
26. 臨床研究の登録	○未 ○済（ClinicalTrials.gov登録番号： ） （UMIN登録番号： ） （その他サイトの登録番号： ）			
27. 倫理委員会（IRB）	○申請前 ○申請済 ○審査済			
28. 臨床試験進捗状況	○登録開始前 ○登録中 ○登録終了 ○登録中断 ○登録終了 ○観察終了 ○研究中止（理由： ）			
29. 登録症例数		29. 試験経過	登録開始日： 年 月 日	

			1例目の登録日: 年 月 日
			最終症例の登録日: 年 月 日
			最終症例の観察終了日: 年 月 日
30.有効性の評価	主要評価項目		有意差: <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 (P= )
31.安全性の評価	未知かつ重篤有害事象 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有(件数: ) 重篤有害事象 <input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有(件数: )		
32. データ照合 (SDV)	<input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 ( <input type="radio"/> 一部 <input type="radio"/> 全部)		
33. 監査	<input type="radio"/> 予定なし <input type="radio"/> 未 <input type="radio"/> 実施中 <input type="radio"/> 実施済 ( <input type="checkbox"/> 内部 <input type="checkbox"/> 外部委託)		
34.独立した生物統計家 による統計学的レビュー	<input type="radio"/> 予定なし <input type="radio"/> 未 <input type="radio"/> 実施中 <input type="radio"/> 実施済		
35. 総括報告書の作成	<input type="radio"/> 未 <input type="radio"/> 作成中 <input type="radio"/> 作成済		
【マネジメント情報】			
36.承認申請企業との提携	<input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 (企業名: )		
37.研究に関連する個人の利益相反	<input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 (「有」の場合の相反事由: )		
38.研究に関連する組織の利益相反	<input type="radio"/> 無 <input type="radio"/> 有 (「有」の場合の相反事由: )		

\* 1: ヒトを対象とした介入を伴う診断/治療/予防に関するすべての研究。

\* 2: 平成 17 年 4 月 1 日薬食発第 041022 号\_医薬品等の承認又は許可等に係る申請等における電磁的記録及び電子署名の利用について

### III. ガイドライン策定報告シート（該当課題のみ）

<b>【計画】</b>	
1.ガイドラインの種類	<input type="checkbox"/> 診断 <input type="checkbox"/> 治療 <input type="checkbox"/> 予防 <input type="checkbox"/> その他( )
2.ガイドラインの帰属	<input type="checkbox"/> 国内学会 <input type="checkbox"/> 国際学会 <input type="checkbox"/> 研究班 <input type="checkbox"/> その他 帰属先の名称:
3.実施地域	<input type="checkbox"/> 国内 <input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 欧州 <input type="checkbox"/> アジア <input type="checkbox"/> その他 国名(日本・米国以外): )
4.研究計画	<input type="checkbox"/> 実態調査 <input type="checkbox"/> エビデンスの評価(文献レビュー) <input type="checkbox"/> 臨床試験/研究(Ⅱ臨床試験/研究結果報告書に記載)
5.協力学会名	1) 2)
<b>【結果】</b>	
6 実態調査 (200字以内)	<input type="checkbox"/> 病院ベース <input type="checkbox"/> 探索的ポピュレーションベース <input type="checkbox"/> その他( )
7.エビデンスの評価(文献レビュー)(200字以内)	文献数: 分類: <input type="checkbox"/> P1 <input type="checkbox"/> P2 <input type="checkbox"/> P3 <input type="checkbox"/> P4 <input type="checkbox"/> アウトカム(コホート)研究 <input type="checkbox"/> その他( )
8.ガイドライン骨子	ページ数: 目次(表示):
9.周知方法	<input type="checkbox"/> 学会 学会名 ( 年 月 日) <input type="checkbox"/> 論文 <input type="checkbox"/> その他( )
10.遵守状況調査	<input type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有 「有」での結果公表: <input type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有(手段: <input type="checkbox"/> 学会 <input type="checkbox"/> 論文 <input type="checkbox"/> その他: ))
<b>【マネジメント情報】</b>	
12.研究に関連する個人の利益相反	<input type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有(「有」の場合の相反事由: )
13.研究に関連する組織の利益相反	<input type="checkbox"/> 無 <input type="checkbox"/> 有(「有」の場合の相反事由: )



平成 26 年度厚生労働科学特別研究事業 進捗管理班  
(難治性疾患実用化研究・腎疾患実用化研究・慢性の痛み解明研究)  
成果報告会

# 難病制圧に 向けて

—アカデミアにおけるイノベーション創出の現状と展望—

抄録集

日時

2015年3月13日(金)  
10:00~17:30

場所

東京コンベンションホール  
東京都中央区京橋三丁目 1-1 東京スクエアガーデン 5F

(公財)先端医療振興財団 臨床研究情報センター

〒650-0047 神戸市中央区港島南町1丁目5番地4 TEL.078-303-9103 HP: <http://www.tri-kobe.org>

## お詫びと訂正

平成 26 年度厚生労働科学特別研究事業（難治性疾患実用化研究・腎疾患実用化研究・慢性の痛み解明研究） 進捗管理班 成果報告会 抄録集において誤りがありました。

ここに謹んでお詫び申し上げますとともに、下記の通り訂正いたします。

訂正箇所	誤	正
P146 見出し:ポスター番号(40)の下段 (岡田洋平先生の研究疾患領域)	筋・骨格	精神・神経
P168 見出し:ポスター番号(62)の下段 (村上良子先生の研究疾患領域)	血液	精神・神経
P190 見出し:ポスター番号(84)の下段 (錦織千佳子先生の研究疾患領域)	眼	皮膚

疾病対策課関連事業事務局  
公益財団法人先端医療振興財団  
臨床研究情報センター (TRI)

平成 26 年度厚生労働科学特別研究事業 進捗管理班  
(難治性疾患実用化研究・腎疾患実用化研究・慢性の痛み解明研究)  
成果報告会

## 難病制圧に向けて

—アカデミアにおけるイノベーション創出の現状と展望—



# プログラム

## 講演会場①：大ホール

10:00-11:00	<b>【全体会議・ご挨拶】</b>	
	1 (公財) 先端医療振興財団 臨床研究情報センター長	福島 雅典
	2 厚生労働省 健康局疾病対策課長	田原 克志
	3 (独) 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) 理事長	近藤 達也
	4 慶應義塾大学 医学部長	末松 誠
	5 (一社) 日本難病・疾病団体協議会 (JPA) 代表理事	伊藤たてお
11:00-12:00	<b>【プレナリーセッション】</b>	
	Petra Kaufmann Director, Division of Clinical Innovation National Center for Advancing Translational Sciences, National Institute of Health “Clinical Trials in Rare Diseases -NCATS Perspective”	
12:00-13:00	休憩	
13:00-14:00	<b>【難治性疾患実用化研究/免疫性神経疾患・神経変性疾患】</b>	
	国立病院機構宇多野病院 田原 将行	視神経脊髄炎の再発に対するリツキシマブの有用性を検証する 第II/III相多施設共同プラセボ対照無作為化試験
	聖マリアンナ医科大学 山野 嘉久	HAMに対するヒト化抗CCR4抗体の医師主導治験
	東京大学医学部附属病院 辻 省次	多系統萎縮症の治療法開発研究
	東北大学大学院 青木 正志	HGFを用いた筋萎縮性側索硬化症に対する治療法の開発
	国立病院機構新潟病院 中島 孝	希少性神経・筋疾患治療のためのHAL-HN01医師主導医療機器治験の実施研究 ディスカッション
14:00-15:00	<b>【難治性疾患実用化研究/結節性疾患・筋疾患・ミトコンドリア異常症】</b>	
	新潟大学医歯学総合病院 中田 光	リンパ脈管筋腫症に対するシロリムス長期投与の多施設共同医師主導治験・ 臨床研究
	大阪大学大学院 金田 眞理	結節性硬化症の皮膚病変に対する有効で安全性の高い治療薬の開発と実用化
	東北大学大学院 青木 正志	縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーにおけるN-アセチルノイラミン酸の補充療法
	川崎医科大学 砂田 芳秀	ミトコンドリア病MELASに対するタウリン補充療法
	久留米大学 古賀 靖敏	ピルビン酸ナトリウムによるミトコンドリア病に合併した高乳酸血症治療薬の開発 ディスカッション
15:00-15:15	休憩	
15:15-16:15	<b>【難治性疾患実用化研究/循環器疾患】</b>	
	大阪大学大学院 平野 賢一	中性脂肪蓄積心筋血管症-この難病を1日でも早く克服する-
	大阪大学大学院 澤 芳樹	小児重症拡張型心筋症へのbridge-to-transplantation/recoveryを 目指した骨格筋芽細胞シートの開発と実践
	大阪大学大学院 宮川 繁	重症拡張型心筋症患者の生命予後改善・人工心臓離脱を目指した新規オキシム 誘導体徐放性製剤による体内誘導型再生治療法の開発と実践
	九州大学大学院 江頭 健輔	重症肺高血圧症の予後と生活の質を改善するためのナノ医療製剤(希少疾病用 医薬品)の実用化臨床試験
	東邦大学医療センター 佐倉病院 武城 英明	家族性LCAT欠損症患者に対する細胞加工医薬品「LCAT遺伝子導入ヒト前 脂肪細胞」の早期実用化にむけた非臨床試験 ディスカッション
16:15-17:15	<b>【難治性疾患実用化研究/自己免疫疾患】</b>	
	埼玉医科大学 宮川 義隆	血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの医師主導治験
	東北大学大学院 石井 智徳	強皮症難治性皮膚潰瘍に対する低出力衝撃波療法の有効性安全性検証試験
	東京医科歯科大学大学院 上阪 等	多発性筋炎・皮膚筋炎への分岐鎖アミノ酸製剤の薬事承認に向けた研究
	慶應義塾大学 金井 隆典	難治性クローン病に対する神経難病治療薬OCH-NCNPの有用性および 安全性の検証
	国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 山村 隆	多発性硬化症に対する新規経口薬の医師主導治験 ディスカッション
17:15-17:30	<b>【総括・閉会の辞】</b>	



# プログラム

## 講演会場②：中会議室Ⅱ

13:00-14:00	<b>【腎疾患実用化研究/腎疾患の進展防止と新バイオマーカー】</b>		
	岡山大学大学院	和田 淳	糖尿病性腎症の糖鎖プロファイリングによる新規バイオマーカーの同定
	東京医科歯科大学	内田 信一	WNKシグナル阻害薬のケミカルライブラリースクリーニング
	福島県立医科大学	渡辺 毅	特定健康診査による個人リスク評価に基づく、保健指導と連結した効果的な慢性腎臓病(CKD)地域連携システムの制度設計
	金沢大学	和田 隆志	糖尿病性腎症ならびに腎硬化症の診療水準向上と重症化防止にむけた調査・研究
	順天堂大学	鈴木 祐介	IgA腎症新規バイオマーカーを用いた血尿の2次スクリーニングの試み ディスカッション
14:00-15:00	<b>【慢性の痛み解明研究/慢性痛の評価と診断】</b>		
	講師	自然科学研究機構 生理学研究所 柿木 隆介	「ヒトにおける痛覚の脳内認知機構」
	九州大学病院	細井 昌子	慢性疼痛のトランスレーショナルリサーチ —精神心理学的・神経免疫学的側面からの病態解明と評価法開発—
	東京慈恵会医科大学	加藤 総夫	診断・治療法の開発を目指した痛みの慢性化脳機構に関するトランスレーショナル研究
	東京医科大学	松本美富士	線維筋痛症の病因・病態の解明と客観的診断・評価法の開発及びトータルマネジメントの確立に関する戦略的総合研究 ディスカッション
15:00-15:15	休憩		
15:15-17:00	<b>【難治性疾患実用化研究/遺伝子検査全国ネットワークの構築】</b>		
	東京大学医学部附属病院	辻 省次	神経疾患の集中的な遺伝子解析及び原因究明に関する研究
	国立精神・神経医療研究センター	西野 一三	遺伝性ミオパチーの次世代型統合的診断拠点形成
	国立成育医療研究センター	松原 洋一	小児科・産科領域疾患における遺伝子・エピゲノム解析ネットワークの整備
	横浜市立大学	松本 直通	遺伝性難治疾患の網羅的遺伝子解析拠点研究
	大阪大学大学院	高島 成二	創薬開発に向けた循環器病ゲノム解析
	京都大学大学院	松田 文彦	日本人の稀少難治性疾患の統合オミックス解析
	名古屋大学大学院	祖父江 元	孤発性ALS患者大規模前向きコホートの臨床バイオリソース・ゲノム遺伝子・不死化細胞を用いた病態解明、治療法開発研究
	国立病院機構東京医療センター	岩田 岳	遺伝性網脈絡膜疾患の生体試料の収集と病態解明 ディスカッション

### 会場のご案内



ポスター展示 10:00~17:00

#### ポスター展示会場① 中会議室Ⅰ

- ◆感染症
- ◆消化器
- ◆免疫
- ◆循環器
- ◆疼痛
- ◆筋・骨格
- ◆皮膚
- ◆血液
- ◆代謝・内分泌
- ◆呼吸器
- ◆眼
- ◆産科系疾患
- ◆腎臓

#### ポスター展示会場② 小ホール

- ◆精神・神経

---

---

## 目 次

---

---

【はじめに】	9
福島 雅典(10)／葛原 茂樹(12)／相川 厚(13)／眞下 節(14)／宮坂 信之(15) 渡邊 裕司(15)／堺 秀人(16)／牛田 享宏(16)	
【全体会議・ご挨拶】	17
田原 克志(18)／近藤 達也(18)／末松 誠(19)／伊藤 たてお(19)	
【プレナリーセッション】	21
Petra Kaufmann	
■シンポジウム	
講演会場①:大ホール	27
【難治性疾患実用化研究／免疫性神経疾患・神経変性疾患】	28
座長:葛原 茂樹 発表:田原 将行(28)／山野 嘉久(30)／辻 省次(32)／青木 正志(34)／中島 孝(36)	
【難治性疾患実用化研究／結節性疾患・筋疾患・ミトコンドリア異常症】	38
座長:葛原 茂樹 発表:中田 光(38)／金田 眞理(40)／青木 正志(42)／砂田 芳秀(44)／古賀 靖敏(46)	
【難治性疾患実用化研究／循環器疾患】	48
座長:渡邊 裕司 発表:平野 賢一(48)／澤 芳樹(50)／宮川 繁(52)／江頭 健輔(54)／武城 英明(56)	
【難治性疾患実用化研究／自己免疫疾患】	58
座長:宮坂 信之 発表:宮川 義隆(58)／石井 智徳(60)／上阪 等(62)／金井 隆典(64)／山村 隆(66)	
講演会場②:中会議室Ⅱ	69
【腎疾患実用化研究／腎疾患の進展防止と新バイオマーカー】	70
座長:相川 厚／堺 秀人 発表:和田 淳(70)／内田 信一(72)／渡辺 毅(74)／和田 隆志(76)／鈴木 祐介(78)	
【慢性の痛み解明研究／慢性痛の評価と診断】	80
座長:眞下 節／牛田 享宏 講演:柿木 隆介(80) 発表:細井 昌子(82)／加藤 総夫(84)／松本 美富士(86)	

---

---



---

---

【難治性疾患実用化研究／遺伝子検査全国ネットワークの構築】…………… 88

座長:福島 雅典

発表:辻 省次(88)／西野 一三(90)／松原 洋一(92)／松本 直通(94)／高島 成二(96)／  
松田 文彦(98)／祖父江 元(100)／岩田 岳(102)

■ポスター

【ポスター(小ホール)】…………… 105

難治性疾患実用化研究

精神・神経(106～132)

【ポスター(中会議室Ⅰ)】…………… 133

難治性疾患実用化研究

免疫(134～142)

筋・骨格(143～149)

産科系疾患(150～152)

感染症(153～157)

代謝・内分泌(158～162)

循環器(163～164)

血液(165～170)

消化器(171～176)

呼吸器(177～180)

皮膚(181～185)

眼(186～190)

腎疾患実用化研究

腎(191～193)

慢性の痛み解明研究

疼痛(194～196)

【おわりに】…………… 197

葛原 茂樹

---

---

---

---

## CONTENTS

---

---

<b>Introduction</b> .....	9
Masanori Fukushima, Shigeki Kuzuhara, Atsushi Aikawa, Takashi Mashimo, Nobuyuki Miyasaka, Hiroshi Watanabe, Hideto Sakai, Takahiro Ushida	
<b>Opening Remarks / Plenary Meeting</b> .....	17
Katsushi Tahara, Tatsuya Kondo, Makoto Suematsu, Tateo Ito	
<b>Plenary Session</b> .....	21
Petra Kaufmann	
<b>Symposium</b>	
<b>1. Large Hall</b> .....	27
<b>Research Project on Practical Application for Rare/Intractable Diseases</b> <b>– Immune neurological Disorder / Neurodegenerative Disorder</b>	
Chairman : Shigeki Kuzuhara Presentation : Masayuki Tahara, Yoshihisa Yamano, Shoji Tsuji, Masashi Aoki, Takashi Nakajima	
<b>Research Project on Practical Application for Rare/Intractable Diseases</b> <b>– Tuberos scleriosis, Muscular Disorder</b>	
Chairman : Shigeki Kuzuhara Presentation : Koh Nakata, Mari Wataya-Kaneda, Masashi Aoki, Yoshihide Sunada, Yasutoshi Koga	
<b>Research Project on Practical Application for Rare/Intractable Diseases</b> <b>– Cardiovascular Disorder</b>	
Chairman : Hiroshi Watanabe Presentation : Kenichi Hirano, Yoshiki Sawa, Shigeru Miyagawa, Kensuke Egashira, Hideaki Bujo	
<b>Research Project on Practical Application for Rare/Intractable Diseases</b> <b>– Auto-immune Disorder</b>	
Chairman : Nobuyuki Miyasaka Presentation : Yoshitaka Miyakawa, Tomonori Ishii, Hitoshi Kohsaka, Takanori Kanai, Takashi Yamamura	
<b>Symposium</b>	
<b>2. Middle Hall II</b> .....	69
<b>Research Project on Practical Application for Renal Diseases</b> <b>– Prevention of Renal Disease Progress and New Biomarker</b>	
Chairman : Atsushi Aikawa, Hideto Sakai Presentation : Jun Wada, Shinichi Uchida, Tsuyoshi Watanabe, Takashi Wada, Yusuke Suzuki	

---

---

---

---

**Research Project on Elucidation of Chronic Pain**

**– Evaluation and Diagnosis of Chronic Pain**

Chairman : Takashi Mashimo, Takahiro Ushida

Lecture : Ryusuke Kakigi

Presentation : Masako Hosoi, Fusao Kato, Yoshifuji Matsumoto

**Research Project on Practical Application for Rare/Intractable Diseases**

**– Gene-Testing Center / Bio Sample Center Network**

Chairman : Masanori Fukushima

Presentation : Shoji Tsuji, Ichizo Nishino, Yoichi Matsubara, Naomichi Matsumoto,  
Seiji Takashima, Fumihiko Matsuda, Gen Sobue, Takeshi Iwata

**Poster Exhibition Hall** ..... 105

**1. Small Hall**

**Research Project on Practical Application for Rare/Intractable Diseases**

– Neuropsychiatry

**2. Middle Hall I**

**Research Project on Practical Application for Rare/Intractable Diseases**

– Immunity

– Muscle / Anatomy

– Obstetric Disorder

– Infection

– Metabolism / Incretion

– Cardiovascular

– Blood

– Digestive Organs

– Respiratory

– Skin

– Eye

Research Project on Practical Application for Renal Diseases

– Kidney

Research Project on Elucidation of Chronic Pain

– Pain

**Closing Remarks** ..... 197

Shigeki Kuzuhara

---

---