

国内外の難病レジストリの好事例調査

村上義孝、筒井杏奈

(東邦大学医学部社会医学講座医療統計学分野)

【研究要旨】

日本の難病対策は、国際的にも類をみないほど先進的に進められているが、国レベルで構築された疾患レジストリの利活用については発展途上にある。そこで、諸外国で運用されている類似データベースの好事例について公的情報を元に情報収集し、その規模、内容、利活用等を中心にレビューを行った。クローン病・潰瘍性大腸炎について国内外の患者レジストリを [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov) により検索した結果、60 件の疾患レジストリが見つかった。登録症例数の中央値は 352.2 人であり、4000 人を超える症例数のレジストリの 9 件を除いて小規模レジストリが多かった。小児疾患・稀少疾患(難病等)に関するレジストリにおいては、本邦では CIN 中央支援事業によるレジストリ検索システムと難病プラットフォームがあった。レジストリ検索システムでは 583 件の患者レジストリ研究と見付き、そのうちクローン病・潰瘍性大腸炎は 4 件であった。難病プラットフォームでは 614 件の研究事業が見つかり、クローン病・潰瘍性大腸炎に関する 12 件の研究のうち 5 件にて患者レジストリ登録が見られた。本研究により、難病であっても大規模レジストリ研究が複数存在し、医薬品開発への活用事例も存在するなど、レジストリ活用に役立つ基本的な知見が得られた。

A. 研究目的

日本の難病対策は、国際的にも類をみないほど先進的に進められているが、国レベルで構築された疾患レジストリの利活用については発展途上にある。そこで、諸外国で運用されている類似データベースの好事例について、公的情報を元に情報収集し、基礎資料をまとめた。

B. 研究方法

国内外で運用されているデータベース研究の好事例を見つけるために、本報告では①クローン病・潰瘍性大腸炎、②小児疾患・稀少疾患(難病等)の 2 つのテーマについて情報収集し、検討した。以下、それぞれのテーマについて研究方法を示す。

① クローン病と潰瘍性大腸炎

クローン病と潰瘍性大腸炎を対象に国内外の患者レジストリの状況について文献調査を実施し、その動向等をまとめた。

検索方法

国内外の大規模な患者レジストリを識別するため、アメリカの臨床試験登録システム [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov) (URL: <https://clinicaltrials.gov>)¹ を用いた。本システムは、1997 年に成立・施行された FDA 近代化法に基づき 2000 年に発足したもので、臨床研究とその結果に関するオンラインデータベースを提供する。現在、アメリカのみならず 200 ヶ国以上の試験が登録済みと報告されていた¹。本システムに 2024 年 1 月 16 日にアクセスし、絞り込み条件に「Study Type = 'Observational' (観察研究)」あるいは「Study Type = 'Patient registries' (患者レジストリ; 定義は観察研究の内、患者レジストリに該当する研究)」と設定した上で、「Crohn's disease」および「ulcerative colitis」のそれぞれで検索を行い、クローン病および潰瘍性大腸炎を対象とした観察研究と患者レジストリ研究のそれぞれ試験一覧を得た。

分析方法

患者レジストリ研究の試験一覧のデータをもとに、組み入れ症例数(予定数または実数で、いずれを入力するかは試験による)について度数分布図と箱ひげ図を作図した。またデータをもとに研究参加者の対象国を特定し、2ヶ国以上の対象国が認められた場合には国際共同研究と区分した上で、国別の頻度を求めた。さらに組み入れ症例数が4,000人を超える研究については情報を要約し、一覧表にまとめた。

② 小児疾患・稀少疾患(難病等)

検索方法

小児疾患・稀少疾患(難病等)について、国内の資料を検索し、その動向をまとめた。具体的には、まず日本における臨床試験登録システムを対象に患者レジストリの検索が可能かを調査した。調査対象は以下の通りであった。

- (ア) 国立保健医療科学院による「臨床研究等提出・公開システム(jRCT)」(URL: <https://jrc.t.niph.go.jp/>): 医療機関等で実施される臨床研究について「臨床研究法」及び「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」の規定に基づき、厚生労働大臣に対して実施計画の提出などの届出手続を行うためのシステム
- (イ) 大学病院医療情報ネットワーク(UMIN)による「臨床試験登録システム(UMIN-CTR)」(URL: <https://www.umin.ac.jp/ctr/index-j.htm>): 原則としてすべての臨床試験と、観察研究を受け付ける登録システム
- (ウ) 国立保健医療科学院による「臨床研究情報ポータルサイト」(URL: <https://rctportal.niph.go.jp/>): jRCTやUMIN-CTRなどの複数のシステムの情報を横断的に検索可能なサイト

分析方法

その他の国内の患者レジストリを検索可能なWebサービスを文献調査で調べた。

最後に、患者レジストリに関する調査報告書を文献調査により調べた。

(倫理面への配慮)

本研究ではデータを用いないため、個人情報保護

に関連する問題は生じない。「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」に基づいて実施し、資料の利用や管理などその倫理指針の原則を遵守した。

C. 研究結果

① クロウン病と潰瘍性大腸炎

ClinicalTrials.govの検索では、観察研究ではクロウン病は508件、潰瘍性大腸炎では409件だった。そのうち患者レジストリはクロウン病が46件、潰瘍性大腸炎が47件であり、重複試験を除くと計60件であった。

図1および図2に、クロウン病または潰瘍性大腸炎の患者レジストリ研究における組み入れ症例数(予定数または実数)の度数分布図および箱ひげ図を示す。60件のうち52件(86.7%)のレジストリが5,000例未満であり、中央値は352.2人、最大値は57,053人であった。

図3に、クロウン病または潰瘍性大腸炎の患者レジストリ研究における研究参加者の国の度数分布図を示す。アメリカが11研究(18.3%)と最も多く、国際共同研究の2研究を含めると13研究(21.3%)であった。次に、ドイツと中国が5研究(8.3%)と続いた。またデンマーク、カナダ、オランダは研究数がそれぞれ4(6.7%)、3(5.0%)、2(3.3%)であったが、それぞれ国際共同研究を含むといずれも5研究(8.3%)であった。その他、アジアに着目すると韓国で2研究(3.3%)、香港で1研究(1.7%)であり、日本の研究は見られなかった。

表1に、クロウン病または潰瘍性大腸炎に関して組み入れ症例数が4,000人を超えた患者レジストリ研究の一覧を示す。研究実施国は北米(5研究)またはヨーロッパ(4研究)に限られた。追跡期間はいずれも5年以上あり、プロトコル論文の登録があった研究は2試験^{2,3}、研究結果の登録があった研究はゼロだった。

個別の試験情報を順に記述する。まずアメリカでは、クロウン病を含む60種類以上の慢性疾患を対象に、スマートフォンアプリ「PatientSpot」⁴を用いて痛みの干渉、疲労、睡眠障害などを患者報告により収集する研究がおこなわれていた(PatientSpot試験;登録番号NCT03840928)。またTARGET-IBD試験は現在および将来の治療法の安全性と有効性の評価を目的とし

た縦断的観察研究だった(登録番号 [NCT03251118](#))。通常診療下で治療を受けている成人または2歳以上の小児の計15,000人を対象としていた。またIBD:QORUS試験は、炎症性腸疾患のラーニング・ヘルスシステム・アプローチの効果実証のための研究であった(登録番号 [NCT02791854](#))。これは4つの主要な構成要素を設計、構築、実施して、最大90の炎症性腸疾患の診療施設にて10,000人を20年間追跡する予定であった。UPMC IBD試験は単一施設の炎症性腸疾患センターの受診患者5,000人を対象とした研究であった(登録番号 [NCT04243525](#))。疾患に関連する特定可能な医療記録情報を施設の研究レジストリに登録し、レトロスペクティブ研究や、将来の臨床研究における適格患者の特定と募集を容易にする目的で行われていた。

カナダではIMAGINE試験²があり、過敏性腸症候群、クローン病、潰瘍性大腸炎、健康対照患者の4群に2,000人ずつ、計8,000を組み入れて追跡を行う計画であった。心理状態、食事摂取量、腸内細菌叢、メタボローム、炎症マーカーおよび遺伝子型等の評価を予定していた(登録番号 [NCT00193131414](#))。

デンマークではPROCID-DCH試験³があった。「Diet, Health and Cancer (DHC)」という既にフォローアップ調査が終了したデンマークのコホートデータより57,053人、追跡期間24年間のデータを用いるものであった(登録番号 [NCT03456206](#))。スイスのPANIC試験は、大腸・結腸直腸手術後の吻合不全リスクを有する患者の正確な術前予測ができる機械学習ベースのアプリケーションの確立を目的としていた(登録番号 [NCT04985981](#))。11,000人を対象に追跡を行う予定だったが、何らかの理由で停止された(Suspended)。オランダのIBDSL試験は、South Limburg州に住む炎症性腸疾患を対象とした研究である(登録番号 [NCT02130349](#))。1961年以降の新規患者は全て登録され、2011年からは集団ベースのバイオバンクに拡大され、疫学から基礎となる生物学的機序の解明、および疾患経過や治療効果を予測するマーカーの同定に焦点が移された。2011年時点での登録率は93%であり、登録情報によれば5,000人を対象に25年間の追跡を行う予定であった。最後にドイツのTARGET試験があった(登録番号 [NCT04031482](#))。アメリカのTARGET-IBD試験と名称が似ていたがスポンサーや研究者は異なっていた。

慢性炎症性腸疾患患者のうち、特に生物学的製剤および/または他の標的治療薬(ヤヌスキナーゼ阻害薬など)を用いた進行中または初期の標的療法を受療中の患者4,400人を対象としたもので、患者の登録を適切に実施するための基礎としてプロトコールが登録されていた。

② 小児疾患・稀少疾患(難病等)

日本の各臨床試験登録システムにて、患者レジストリ研究の検索が可能か調べたところ、jRCT、UMIN-CTR、臨床研究情報ポータルサイトのいずれも、観察研究の絞り込み検索は可能であったが、レジストリ研究の更なる絞り込みは可能ではなかった。

次に、その他のレジストリ研究を検索可能なWebサービスについては次の2つのサービスが見つかった。一つ目は、「臨床的・イノベーション・ネットワーク(Clinical Innovation Network、CIN)中央支援に関する調査業務一式(CIN中央支援事業)」によるレジストリ検索システムである(URL:<https://cinc.ncgm.go.jp/>)。これは2015年に厚生労働省が掲げたCIN構想と呼ばれる、レジストリを活用した効率的な治験・市販後調査・臨床研究体制の構築を推進し、本邦発の医薬品・医療機器等の開発の促進を目指す構想に由来する⁵。これに係り、日本医療研究開発機構(AMED)のCIN推進拠点事業「CIN構想の加速・推進を目指したレジストリ情報統合拠点の構築」(事業代表者:国立国際医療研究センター 国土典宏理事長、2017年8月~2020年3月)が実施され、本邦の患者レジストリ及びコホート研究の情報の収集・整理、レジストリ検索システムの構築、ならびに、患者レジストリ及びコホート研究に関する情報の一元化と可視化が行われた⁵。2020年4月からは、後継事業として厚生労働省のCIN中央支援事業が開始され、引き続き同事業を国立国際医療研究センターが受託している⁵。2024年1月19日現在で583件の患者レジストリ研究が登録されていた。たとえば「クローン病」または「潰瘍性大腸炎」と検索すると4件の登録が確認できた(図4)。

二つ目は、難病プラットフォーム(The Rare Disease Data Registry of Japan, RADDAR-J)と呼ばれる情報統合基盤があった(URL:<https://www.raddarj.org/>)。背景としては、これまでAMEDが所管する難治性疾患実用化研究事業および厚生労働省が所管する難治性疾患政策研究事業

では、多くの研究班が、難病に関する病態解明や創薬研究、疫学研究やガイドライン作成などの研究を行ってきた⁶。本プラットフォームでは、これらの研究から生み出された臨床情報やゲノム・オミックス情報、生体試料などの多種多様な情報を集約統合し、二次利用を可能とすることで難病にかかわる研究者を繋ぎ、研究を加速させることを目指している⁶。2024年1月19日現在で614件の研究が登録されていた。検索結果では、研究課題名や研究代表者名に続き、それぞれレジストリおよびバイオレポジトリの該当有無が表示されていた。ここで「クローン病」および「潰瘍性大腸炎」と検索するとそれぞれ、難治性疾患実用化研究事業で9件と8件(重複を除いて8件)、難治性疾患政策研究事業で2件と4件(重複を除いて4件)が見いだされた。そのうち各疾患で7件および3件(重複を除いて5件)のレジストリが確認された(図5)。なお「潰瘍性大腸炎 クローン病」と検索すると、各事業で5件および2件の計7件と件数が減少した。

D. 考察

国内外で運用されているデータベース研究の好事例の探索のために、クローン病・潰瘍性大腸炎、および小児疾患・稀少疾患(難病等)に関するレジストリ研究について、臨床試験システム等の公的情報を元に情報収集し、収集された臨床研究の登録情報を分析した。

ClinicalTrials.govでは60件のレジストリが見いだしられ、その多くが小規模であった。一方で4,000例以上の研究が北米とヨーロッパにて見いだしられ、その中で患者報告アウトカムやバイオバンクが活用されていること、20年以上のフォローアップ期間があるもの、患者登録のための試験登録がされていることなどの特長が見られた。本邦の事例探索では、臨床試験登録システムから患者レジストリを検索することは難しかったが、CIN中央支援事業によるレジストリ検索システムや難病プラットフォームが整備され、研究の登録と情報公開が進められていることが確認された。

疾患レジストリは、医薬品開発に取り組む製薬企業にも着目度は高く、製薬の医薬品評価委員会臨床評価部会により、多数の検討が報告されている⁷⁻¹²。ある報告例では、製薬企業15社において、外部対照と製販後調査の活用の検討が示されていた¹⁰。また別の小児・希少疾患・難病レジストリに関する検討では、

臨床試験への患者リクルート、外部対照群、製造販売後調査の3つの場面で活用事例を見出していた⁷。その中の考察として、利用されたレジストリでは、共通して利活用場面に即した構築や運営が行われていたことが指摘されていた⁷。ここで示したように難病レジストリの利活用はすでに始まっており、今後は患者数や情報の量や質といった登録面に加えて、第三者が利活用しやすい情報公開や運用ルールの整備が重要であると考えられる。

本検討により、ClinicalTrials.govではレジストリの絞り込み検索が可能で世界各国の研究が登録されていること、および日本では独自の複数のプラットフォームによりレジストリの検索が可能であることが明らかになった。また、難病であっても大規模レジストリ研究が複数存在し、医薬品開発への活用事例も存在するなど、レジストリ活用に関する基礎的な知見が得られた。本資料は、難病レジストリの情報公開や研究アクセスに興味を持つ研究者や患者・家族に役に立つと考える。

本研究の主な限界点として、レジストリ研究では、臨床試験のような試験登録システムや登録が世界的にみても義務化されていないため、今回の検討では、全ての患者レジストリを網羅していない点があげられる。そのため本研究で認知されていない好事例レジストリは未だ存在すると思われる。また

ClinicalTrials.gov等の臨床試験登録システムは内容の妥当性・信頼性は保証されていないことに留意が必要である。この傾向は本報告の表1でも見られ、登録内容・精度にバラツキがあった。今後も難病レジストリの網羅的な検索や、識別したレジストリの分析を進め、共通する特長をまとめることが必要と考える。

E. 結論

国内外で運用されている疾患レジストリの好事例について、公的情報を元に情報収集し、その規模、内容、利活用等を中心にレビューを行った。その結果、国内外の患者レジストリをClinicalTrials.govによりクローン病・潰瘍性大腸炎について検索した結果、60件の疾患レジストリが見つかった。登録症例数の中央値は352.2人であり、4000人以上のレジストリも見られたが、小規模レジストリが多かった。小児疾患・稀少疾患(難病等)に関するレジストリにおいては、本邦ではCIN中央支援事業によるレジストリ検索システムと難

病プラットフォームが見られ、それぞれクローン病・潰瘍性大腸炎について4件と5件の患者レジストリが見つかった。本研究により、難病であっても大規模レジストリ研究が複数存在し、医薬品開発への活用事例も存在するなど、レジストリ活用に関する基礎的な知見が得られた。

引用文献

- 1) U.S. National Institutes of Health. About ClinicalTrials.gov, ClinicalTrials.gov, <https://clinicaltrials.gov/about-site/about-ctg> (2024年2月13日アクセス).
- 2) Moayyedi P, et. al., IMAGINE Network's Mind And Gut Interactions Cohort (MAGIC) Study: a protocol for a prospective observational multicentre cohort study in inflammatory bowel disease and irritable bowel syndrome. *BMJ Open*. 2020 Oct 21;10(10):e041733.
- 3) Rasmussen NF, et. al. Impact of red meat, processed meat and fibre intake on risk of late-onset chronic inflammatory diseases: prospective cohort study on lifestyle factors using the Danish 'Diet, Cancer and Health' cohort (PROCID-DCH): *protocol*. *BMJ Open*. 2019 Mar 30;9(3):e024555.
- 4) PatientSpot: <https://patientspot.org/> (2024年2月13日アクセス).
- 5) 国立国際医療研究センター: CIN 推進室, <https://ccs.ncgm.go.jp/090/120/20220727142753.html> (2024年2月13日アクセス).
- 6) 難病プラットフォーム: 難病プラットフォームとは, <https://www.raddarj.org/siteinfo/> (2024年2月13日アクセス).
- 7) 日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会 (2022) 小児・希少疾患・難病レジストリの利活用促進に向けた検討, https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/pediatric_rare_disease_202204.html (2024年2月13日アクセス).
- 8) 日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会 (2021) リアルワールドデータ・疾患レジストリを活用した医薬品開発, https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/bd_rwd_202105.html (2024年2月13日アクセス).
- 9) 日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会 (2020) 疾患レジストリのエコシステムを考える 疾患レジストリの利活用促進に向けて, https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/registry_ecosystem.html (2024年2月13日アクセス).
- 10) 日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会 (2020) 医薬品開発におけるリアルワールドデータの活用, https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/bd_rwd.html (2024年2月13日アクセス).
- 11) 日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会 (2019) 医薬品開発における疾患レジストリの現状分析と展望, https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/disease_registry_analysis.html (2024年2月13日アクセス).
- 12) 日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会 (2019) 既存の国内リアルワールドデータを医薬品開発にどこまで活用できるか, <https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/rwd2.html> (2024年2月13日アクセス).

F. 研究発表

1. 論文発表
なし
2. 学会発表
なし

G. 知的所有権の取得状況

1. 特許取得
なし
2. 実用新案登録
なし
3. その他
なし

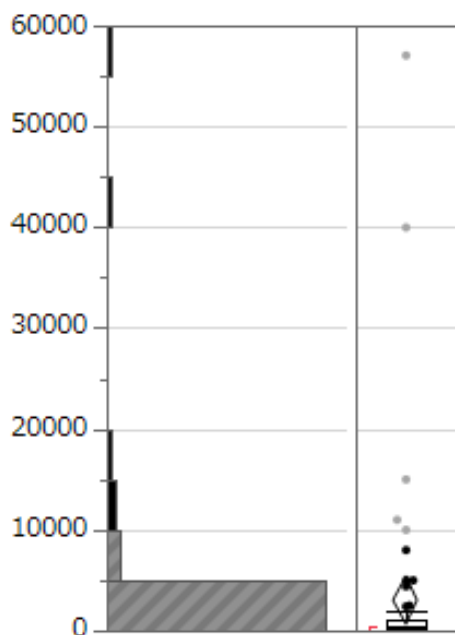


図1 ClinicalTrials.gov に登録されたクローン病または潰瘍性大腸炎に関する患者レジストリ研究の組み入れ症例数（予定数または実数）の分布（全レジストリ）

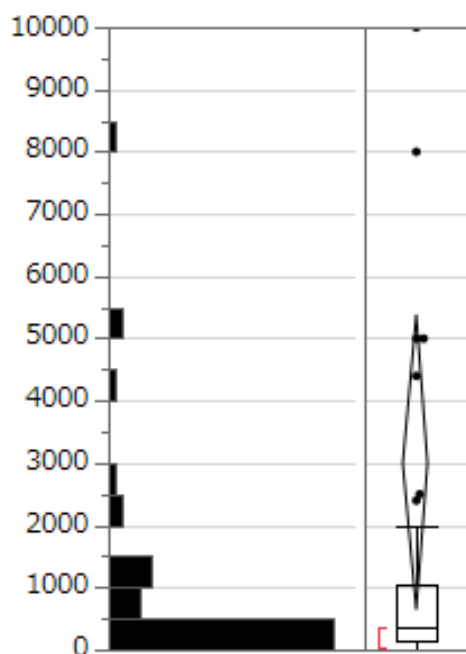


図2 ClinicalTrials.gov に登録されたクローン病または潰瘍性大腸炎に関する患者レジストリ研究の組み入れ症例数（予定数または実数）の分布（組み入れ症例数 10,000 人以下のレジストリ）

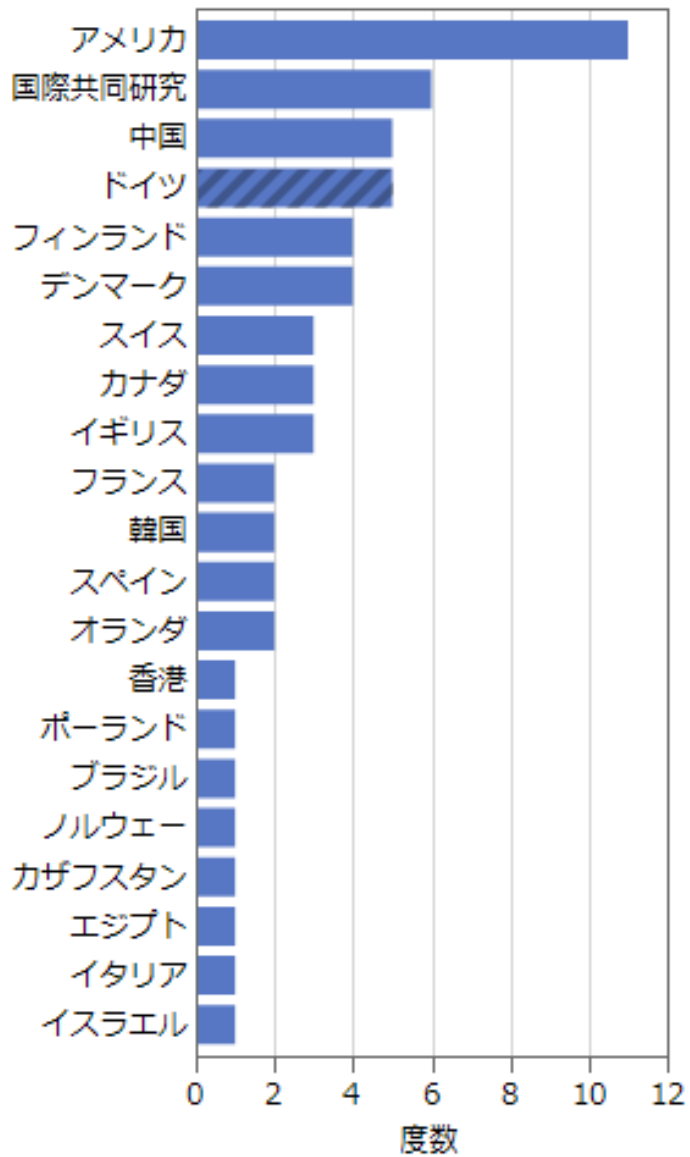


図3 ClinicalTrials.gov に登録されたクローン病または潰瘍性大腸炎に関する患者レジストリ研究の研究実施国の分布

表1 ClinicalTrials.gov に登録された潰瘍性大腸炎とクローン病に関する患者レジストリ研究一覧（症例数 4,000 人以上）

試験名略称／研究実施国 (登録番号)	研究期間 ¹ (追跡期間)	対象	主要評価項目	症例数 ¹ (人)	資金源	試験参加者の国
PatientSpot 試験 ² ／米国 (NCT03840928)	2015-2025 (5年)	クローン病を含む 60 種類以上の慢性疾患	PROMIS による痛みの干渉、疲労、睡眠障害など	40,000	非営利財団	米国、米 領、カナダ
TARGET-IBD 試験／米国 (NCT03251118)	2017-2025 (5年)	炎症性腸疾患、クローン病、潰瘍性大腸炎、不定型大腸炎	炎症性腸疾患の自然歴：疾患の特徴、患者背景、治療など	15,000	企業	米国
IBD:QORUS 試験／米国 (NCT02791854)	2016-2030 (20年)	クローン病、潰瘍性大腸炎、炎症性腸疾患	組み入れ症例数	10,000	病院	米国
UPMC IBD 試験／米国 (NCT04243525)	2009-2030 (20年)	炎症性腸疾患（クローン病と潰瘍性大腸炎）	患者数	5,000	大学	米国
IMAGINE 試験／カナダ (NCT03131414)	2017-2023 (5年)	過敏性腸症候群、クローン病、潰瘍性大腸炎、健康人	IMAGINE マイクロバイオームと食事	8,000	企業	カナダ
PROCID-DCH 試験／ デンマーク (NCT03456206)	2018-2023 (24年)	クローン病と潰瘍性大腸炎を含む 9 種類の慢性炎症性疾患	慢性炎症性疾患の診断：各疾患の診断有無	57,053	大学	デンマーク
PANIC 試験／スイス (NCT04985981)	2021-2022 (5年)	吻合部リーク、大腸癌憩室症、クローン病、潰瘍性大腸炎、腸間膜虚血	吻合部リークの発生	11,000	個人	スイス
IBDSL 試験／オランダ (NCT02130349)	2011-2020 (25年)	慢性炎症性疾患、潰瘍性大腸炎、クローン病	疾患経過と治療反応を反映する血清、糞便、揮発性（呼気）バイオマーカー濃度	5,000	病院	オランダ
TARGET 試験／ドイツ (NCT04031482)	2019-2023 (5年)	クローン病、潰瘍性大腸炎、不定型大腸炎	疾患活動性（Harvey-Bradshaw index）	4,400	企業	ドイツ ³

PROMIS, Patient Reported Outcomes Measurement Information System, 患者報告アウトカムの項目バンク ; IMAGINE: Inflammation, Microbiome, and Alimentation, Gastro-Intestinal and Neuropsychiatric Effects

¹ 研究期間の最終年度、症例数はいずれの試験も試験情報登録時の推定値であった。

² 研究名が「PatientSpot Formerly Known as ArthritisPower」であり、試験名略称の記載はなく、本報告書では PatientSpo 試験と呼ぶこととした。

³ 情報提供がなかったが、他の試験情報よりドイツと推定した。

CIN

クリニカル・イノベーション・ネットワーク推進支援事業
 CIN構想の加速・推進を目指したレジストリ情報統合拠点の構築

マッチング検索

English

レジストリ検索システム

ホーム

レジストリ検索

仮登録・申請

レジストリ登録・変更
(ログインが必要)

検索条件：

テキスト横断検索／いずれか(or)[潰瘍性大腸炎，クローン病]

検索結果：4件

- 表示されている内容は、レジストリ等の代表者側で入力された情報です。
- 情報が表示されていない項目は、未入力、又は、公開を希望されなかった項目です。

検索画面に戻る

No.	レコードNo.	ICD-10分類	患者レジストリまたはコホート研究の正式名称	略称	対象疾患(領域)名称	情報更新日
1	846	K00-K93	患者中心型レジストリを活用した潰瘍性大腸炎アウトカム研究	YOURS	潰瘍性大腸炎	2024/01/15
2	921	K00-K93	クローン病患者の発端コホートレジストリ研究	CDレジストリ研究	クローン病	2022/02/18
3	1013	K00-K93	クローン病に対する生物学的製剤による小腸粘膜治癒検討	SEBIO study	クローン病	2023/04/28
4	1034	K00-K93	自己免疫疾患・免疫関連疾患患者の増悪因子・効果予測因子探索を目的とした網羅的な試料採取に関する前向き観察研究	自己免疫疾患・免疫関連疾患患者の増悪因子・効果予測因子探索を目的とした網羅的な試料採取に関する前向き観察研究	潰瘍性大腸炎	2023/02/04

検索画面に戻る

図 4 CIN 中央支援事業によるレジストリ検索システム

一 全期間の検索結果

検索キーワード：クローン病

AMEDの「難治性疾患実用化研究事業」

本事業は、「発病の機構が明らかでない」、「治療方法が確立していない」、「希少な疾病である」、「長期の療養を必要とする」の4要素を満たす難病に対して、病因・病態の解明、画期的な診断・治療法の開発を推進し、全ての難病患者が受ける医療水準の向上を図ることを目的としています。

検索結果：9件

掲載年度	研究課題名	研究代表者名	研究機関名	レジストリ	バイオレポジトリ
2022	絨毛形成を標的とした腸管不全の治療開発	杉本真也	慶應義塾大学医学部	-	-
2022	原発性免疫不全症・自己炎症性疾患・早期発症型炎症性腸疾患の臨床ゲノム情報を連結した患者レジストリの構築研究	森尾友宏	東京医科歯科大学	○	○
2021	T細胞上のコアフォースを標的とするクローン病治療薬の開発	深瀬浩一	大阪大学大学院理学研究科	-	-
2021	皮膚下硬変と白質脳症を伴う常染色体優性脳動脈症(CADASIL)患者を対象としたアドレノメデュリン静注療法による安全性および有効性に関する多施設共同単群試験	猪原匡史	国立研究開発法人国立循環器病研究センター	-	-
2021	絨毛形成を標的とした腸管不全の治療開発	杉本真也	慶應義塾大学医学部	-	-
2020	T細胞上のコアフォースを標的とするクローン病治療薬の開発	深瀬浩一	大阪大学大学院理学研究科	-	-
2019	HDACアインザイム選択的阻害を基盤としたクローン病治療薬の開発	長谷耕二	慶應義塾大学	-	-
2018	炎症性腸疾患における食関連リスク因子に関する研究	岡本隆一	東京医科歯科大学	-	-
2017	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を検証する医師主導治験	金井隆典	慶應義塾大学医学部内科学（消化器）	-	-

1 / 1

厚生労働省の「難治性疾患政策研究事業」

難治性疾患政策研究事業は、難病の診療体制の構築、疫学研究、普及啓発、診断基準、診断ガイドラインの作成、小児成人期移行医療などを推進し、関連研究やデータベースなどとの連携を図っています。

検索結果：2件

掲載年度	研究課題名	研究代表者名	研究機関名	レジストリ	バイオレポジトリ
2022	原発性免疫不全症候群の診療ガイドライン改訂、診療提供体制・移行医療体制構築、データベースの確立に関する研究	森尾友宏	東京医科歯科大学	○	○
2021	難治性炎症性腸管障害に関する調査研究	久松理一	杏林学園 杏林大学医学部消化器内科学	○	-

図5 難病プラットフォームによるレジストリ・バイオレポジトリ検索