

平成15年度厚生労働科学研究費補助金公募課題等について

研究事業名 難治性疾患克服研究事業（仮称）

平成15年度（案）	平成14年度
<p><事業概要> 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。</p> <p><新規課題採択方針> 難治性疾患の克服に向け、特定疾患調査研究分野と小児慢性特定疾患分野の各々の範疇に含まれる疾患の治療成績やQOLを著しく改善させることが期待できる治療法の開発を重点的に行う。</p> <p>研究費の規模： 【特定疾患調査研究分野】 1 課題当たり10,000千円～100,000千円（1年当たり） 【小児慢性特定疾患研究分野】 1 課題当たり2,000千円～10,000千円（1年当たり）</p> <p>研究期間： 【特定疾患調査研究分野】 3年（中間評価により途中で終了することがある。） 【小児慢性特定疾患研究分野】 3年以内（中間評価により途中で終了することがある。）</p> <p>新規採択予定課題数： 【特定疾患調査研究分野】 8 課題程度 【小児慢性特定疾患研究分野】 2 課題程度</p>	<p><事業概要> （旧特定疾患対策研究事業及び一部の子ども家庭総合研究事業） 原因が不明、治療方法が未確立であり、かつ後遺症を残すおそれが少なくない疾患のうち、希少性等を有するために全国規模で研究を行わなければ原因の究明や治療法の確立が進まない特定疾患を対象として、臓器別、疾患別に特定疾患医療に役立てる研究開発を進めるとともに、広く横断的、基盤的に特定疾患医療に役立てる研究開発や画期的な治療方法や患者の予後や生活の質の改善方法の研究開発を目的とする。</p> <p><新規課題採択方針> 特定疾患の臨床に役立つ科学的根拠を集積することを目的とする臨床調査研究、特定疾患の臨床に役立つ基礎的な科学的根拠の集積及び特定疾患に関する社会医学及び政策的な解析を目的とする横断的基盤研究、特定疾患患者の予後やQOLの改善を目指し、具体的な目標を設定し、画期的な成果を得ることを目的とする重点研究 研究費の規模：1 課題当たり30,000千円～50,000千円（1年当たり） 研究期間：3年 新規採択予定課題数：50課題程度</p>

平成 1 5 年 度 (案)

<公募研究課題>

【特定疾患調査研究分野】

- (1) パーキンソン病の画期的治療法開発に関する臨床研究
- (2) 全身性エリテマトーデス (SLE) の画期的治療法に関する臨床研究
- (3) 炎症性腸疾患の画期的治療法に関する臨床研究
※次のいずれかの疾患を対象とする
(潰瘍性大腸炎、クローン病)
- (4) 特発性間質性肺炎の画期的治療法に関する臨床研究
- (5) 難治性肝疾患の画期的治療法に関する臨床研究
※次のいずれかの疾患を対象とする
(原発性胆汁性肝硬変、自己免疫性肝炎)
- (6) SNP s 解析技術を用いた特定疾患の効果的治療法選択に関する研究
(特定疾患治療研究事業対象疾患の中から1疾患を選択する)
- (7) 特発性拡張型心筋症の原因解明に関する臨床研究
- (8) 加齢性黄斑変性症の原因解明に関する研究

(参考)

なお、研究計画の作成に当たり、以下のア、イまでの項目について必ず明記するとともに、当該研究に関連した主任研究者を筆頭著者とした論文(全文)2編を添付すること。欧文のものについては日本語要旨を添付すること。

- ア. 研究対象となる治療法が当該疾患の治療成績の向上あるいは患者のQOLの向上に対して具体的にどのように寄与するか。
- イ. 当該研究の実施期間中に達成される具体的到達目標。
(これらは中間評価の際の重点評価事項となる。)

【小児慢性特定疾患研究分野】

- (1) 小児慢性特定疾患患者の治療推進と療養環境向上に関する研究
(参考)

なお、有効性が確立している治療法の普及や、管理方針の共有化、医療機関における療養環境の向上方策など、治療推進と療養環境の向上に直ちに成果が波及すると想定される研究を対象とする。また、研究計画の作成に当たり、研究成果がどのように活用されるか具体的に明示すること。

平成 1 4 年 度

<公募研究課題>

【特定疾患対策研究事業】

(臨床調査研究)

臓器別、疾患別に特定疾患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とする研究のうち、次に掲げるもの。

(参考)

なお、研究計画の作成に当たり、以下のアからカまでの項目について適宜明らかにするとともに、キ〜ケの項目について必ず明記すること。

ア. 解明しようとする病因、把握しようとする病態

イ. 診断基準の確立又は見直し

ウ. 治療指針の策定又は見直し

エ. 予防法の開発

オ. 診断法、治療法、予防法の評価

カ. 特定疾患治療研究事業対象疾患(○の付いたもの)に関する研究については、同事業申請時に提出される臨床調査個人票の活用(臨床調査個人票については、難病情報センターホームページ参照 <http://www.nanbyou.or.jp/tokuteisikkan/45sikkan.htm>)

キ. 患者実態把握及び疫学的解析

ク. 横断的基盤研究班との連携

ケ. 上記研究成果の普及

① 血液型疾患調査研究のうち、次に掲げるもの

- (ア) 特発性造血障害に関する調査研究
(○再生不良性貧血、溶血性貧血、不応性貧血(骨髄異形成症候群)、骨髄線維症)
- (イ) 血液凝固異常症に関する調査研究
(○特発性血小板減少性紫斑病(ITP)、血栓性血小板減少性紫斑病(TTP)、特発性血栓症)
- (ウ) 原発性免疫不全症候群に関する調査研究
(○原発性免疫不全症候群)

② 免疫疾患調査研究のうち、次に掲げるもの

- (ア) 難治性血管炎に関する調査研究
(○大動脈炎症候群(高安病)、○ビュルガー病(バージャー病)、○結節性動脈周囲炎、○ウェゲナー肉芽腫症、○悪性関節リウマチ、アレルギー性肉芽腫性血管炎、側頭動脈炎、抗リソ脂質抗体症候群)

平成 1 5 年 度 (案)	平成 1 4 年 度
	<ul style="list-style-type: none"> (イ) 自己免疫疾患に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (○全身性エリテマトーデス(SLE)、○多発性筋炎・皮膚筋炎、シェーグレン症候群、成人ステイル病) (ウ) ベーチェット病に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (○ベーチェット病) ③ 内分泌系疾患調査研究のうち、次に掲げるもの <ul style="list-style-type: none"> (ア) ホルモン受容機構異常に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (偽性副甲状腺機能低下症、ビタミンD受容機構異常症、TSH受容体異常症、甲状腺ホルモン不応症) (イ) 間脳下垂体機能障害に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (PRL分泌異常症、ゴナドトロピン分泌異常症、ADH分泌異常症) (ウ) 副腎ホルモン産生異常に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (発性アルドステロン症、偽性低アルドステロン症、グルココルチコイド抵抗症、副腎酵素欠損症、副腎低形成(アジソン病)) (エ) 中枢性摂食異常症に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (中枢性摂食異常症) ④ 代謝系疾患調査研究のうち、次に掲げるもの <ul style="list-style-type: none"> (ア) 原発性高脂血症に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (原発性高脂血症) (イ) アミロイドーシスに関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (○アミロイドーシス) ⑤ 神経・筋疾患調査研究のうち、次に掲げるもの <ul style="list-style-type: none"> (ア) プリオン病及び遅発性ウイルス感染症に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (○クロイツフェルト・ヤコブ症(CJD)、○亜急性硬化性全脳炎(SSPE)、ゲルストマン・ストロイスラー・シャインカー病(GSS)、致死性家族性不眠症、進行性多巣性白質脳症(PML)) (イ) 運動失調症に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (○脊髄小脳変性症、○シャイ・ドレーガー症候群、○副腎白質ジストロフィー、ペルオキシゾーム病) (ウ) 神経変性疾患に関する調査研究 <ul style="list-style-type: none"> (○筋萎縮性側索硬化症(ALS)、○パーキンソン病、○ハンチントン舞踏病、脊髄性進行性筋萎縮症、球脊髄性筋萎縮症(Kennedy-Alter-Surg病)、脊髄空洞症、進行性核上性麻痺、線条体黒質変性症、ライソゾーム病) (エ) 免疫性神経疾患に関する調査研究

平成 1 5 年 度 (案)	平成 1 4 年 度
	<p>(○多発性硬化症、○重症筋無力症、ギラン・バレー症候群、フィッシャー症候群、慢性炎症性脱髄性多発神経炎、多発限局性運動性末梢神経炎(ルイス・サムナー症候群)、クロウ・フカセ症候群)</p> <p>(オ) 先天性水頭症に関する調査研究 (正常圧水頭症)</p> <p>(カ) ウイリス動脈輪閉塞症に関する調査研究 (○ウイリス動脈輪閉塞症)</p> <p>⑥ 視覚系疾患調査研究のうち、次に掲げるもの</p> <p>(ア) 網膜脈絡膜・視神経萎縮症に関する調査研究 (○網膜色素変性症、加齢性黄斑変性症、難治性視神経炎)</p> <p>⑦ 聴覚・平衡機能系疾患調査研究のうち、次に掲げるもの</p> <p>(ア) 前庭機能異常に関する調査研究 (メニエール病、遅発性内リンパ腫)</p> <p>(イ) 急性高度難聴に関する調査研究 (特発性難聴、特発性両側性感音難聴)</p> <p>⑧ 循環器系疾患調査研究のうち、次に掲げるもの</p> <p>(ア) 特発性心筋症に関する調査研究 (○特発性拡張型(うっ血型)心筋症、肥大型心筋症、拘束型心筋症、ミトコンドリア病、Fabry病、家族性突然死症候群)</p> <p>⑨ 呼吸器系疾患研究のうち、次に掲げるもの</p> <p>(ア) びまん性肺疾患に関する調査研究 (○サルコイドーシス、○特発性間質性肺炎、びまん性汎細気管支炎)</p> <p>(イ) 呼吸不全に関する調査研究 (○原発性肺高血圧症、○慢性肺血栓塞栓症(肺高血圧型)、若年性肺気腫、ヒスチオサイトーシスX、肥満低換気症候群、肺泡低換気症候群)</p> <p>⑩ 消化器系疾患調査研究のうち、次に掲げるもの</p> <p>(ア) 難治性炎症性腸管障害に関する調査研究 (○潰瘍性大腸炎、○クローン病)</p> <p>(イ) 難治性の肝疾患に関する調査研究 (○劇症肝炎、○原発性胆汁性肝硬変、自己免疫性肝炎)</p> <p>(ウ) 門脈血行異常症に関する調査研究 (○Budd-Chiari症候群、特発性門脈圧亢進症、肝外門脈閉塞症)</p>

平成 1 5 年 度 (案)	平成 1 4 年 度
	<p>(エ) 肝内結石症調査に関する調査研究 (肝内結石症、肝内胆管障害)</p> <p>(オ) 難治性膵疾患に関する調査研究 (○重症急性膵炎、膵嚢胞線維症、慢性膵炎)</p> <p>⑪ 皮膚・結合組織性皮膚疾患調査研究のうち、次に掲げるもの</p> <p>(ア) 稀少難治性皮膚疾患に関する調査研究 (○天疱瘡、○表皮水疱症、○嚢胞性乾癬)</p> <p>(イ) 強皮症に関する調査研究 (○強皮症、好酸球性筋膜炎、硬化性萎縮性苔癬)</p> <p>(ウ) 混合性結合組織病に関する調査研究 (○混合性結合組織病)</p> <p>(エ) 神経皮膚症候群に関する調査研究 (○神経線維腫症Ⅰ型(レックリング・ハウゼン病)、○神経線維腫症Ⅱ型、結節性硬化症(プリングル病))</p> <p>⑫ 骨・関節系疾患調査研究のうち、次に掲げるもの</p> <p>(ア) 脊柱靭帯骨化症に関する調査研究 (○後縦靭帯骨化症、○広範脊柱管狭窄症、黄色靭帯骨化症、前縦靭帯骨化症)</p> <p>(イ) 特発性大腿骨頭壊死症に関する調査研究 (○特発性大腿骨頭壊死症、特発性ステロイド性骨壊死症)</p> <p>⑬ 腎・泌尿器系疾患研究</p> <p>(ア) 進行性腎障害に関する調査研究 (IgA腎症、急速進行性糸球体腎炎(RPGN)、難治性ネフローゼ症候群、多発性嚢胞腎)</p> <p>⑭ スモン調査研究のうち、次に掲げるもの</p> <p>(ア) スモンに関する調査研究 (○スモン)</p> <p>(横断的基盤研究) 臨床調査研究や他の先端的厚生科学研究(ヒトゲノム・遺伝子治療研究、免疫・アレルギー研究等)における研究者との情報交換、技術的支援等の連携のもと、特定疾患に係る基盤的・基礎的な科学的根拠を集積・分析し、医療に役立てることを目的とする研究のうち、次に掲げるもの。</p> <p>(参考)</p> <p><u>なお、研究計画の作成に当たり、以下のアからウまでの項目について適宜明らかにすること。</u></p>

平成 1 5 年 度 (案)	平成 1 4 年 度
	<p>7. 臨床調査研究者との共同研究</p> <p><u>1. 臨床調査研究における科学的根拠の基盤確立のための基礎研究</u></p> <p><u>2. 社会医学研究については、克服すべき難病の社会的問題に対する当該研究の位置づけ</u></p> <p>① 基盤研究のうち次に掲げるもの</p> <p>(ア) 特定疾患の微生物学的原因究明に関する研究</p> <p>(イ) 特定疾患の分子病態の解明に関する研究</p> <p>(ウ) 免疫学的手法の開発に関する研究</p> <p>(エ) 疾病モデルの開発に関する研究</p> <p>(オ) 遺伝子解析手法の応用に関する研究</p> <p>② 社会医学研究のうち次に掲げるもの</p> <p>(ア) 特定疾患の疫学に関する研究</p> <p>(イ) 特定疾患患者の生活の質 (Quality of Life, QOL) の向上に資するケアの在り方に関する研究</p> <p>(ウ) 特定疾患の質的評価に関する研究</p> <p>(エ) 特定疾患の地域支援体制の構築に関する研究</p> <p>(重点研究)</p> <p>特定疾患患者の予後や生活の質の改善を目指し、又は明確かつ具体的な目標を設定し、画期的な成果を得ることを目的とする研究のうち、次に掲げるもの。</p> <p>(参考)</p> <p><u>なお、研究計画の作成に当たり、以下のア及びイの項目について適宜明らかにすること。</u></p> <p><u>7. 重症難病患者の予後の改善や生活の質の向上、効率的な医療技術の開発等</u></p> <p><u>1. 特異性の高い早期診断法、効果的な治療法、低侵襲性の診断・治療法の研究</u></p> <p>(ア) 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</p> <p>(イ) 筋萎縮性側索硬化症の画期的診断・治療法に関する研究</p> <p>(ウ) 脊髄小脳変性症の画期的診断・治療法に関する研究</p> <p>(エ) 涙腺の障害を生じる特定疾患に対する治療法に関する研究</p> <p>(オ) アミロイド沈着による病的要素の検索に関する研究</p>

平成 1 5 年 度 (案)	平成 1 4 年 度
	<p>【こども家庭総合研究事業】</p> <p>(1) 母子保健施策の推進に関する研究のうち次に掲げるもの</p> <p>(ア) 遺伝子医療の基盤整備に関する研究</p> <p>(イ) 乳幼児突然死症候群のガイドライン作成に関する研究</p> <p>(ウ) 母子健康手帳の学校保健等における活用に関する研究</p> <p>(2) 小児保健医療水準を維持・向上させるための環境整備に関する研究のうち次に掲げるもの</p> <p>(ア) 小児慢性疾患の診断精度及び治療成績の向上のための方策に関する研究</p>