

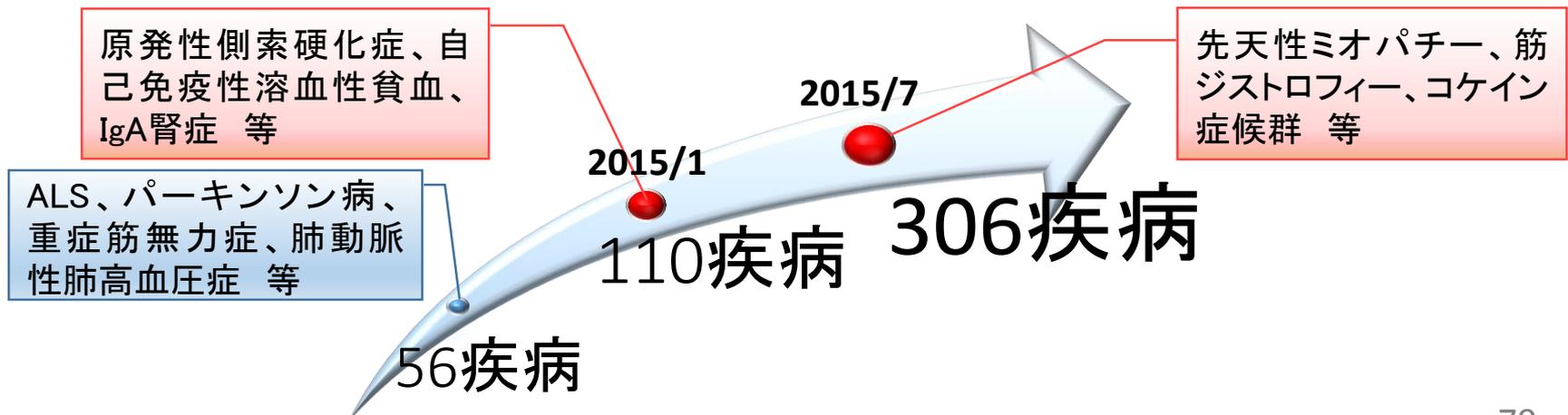
難治性疾患実用化研究事業

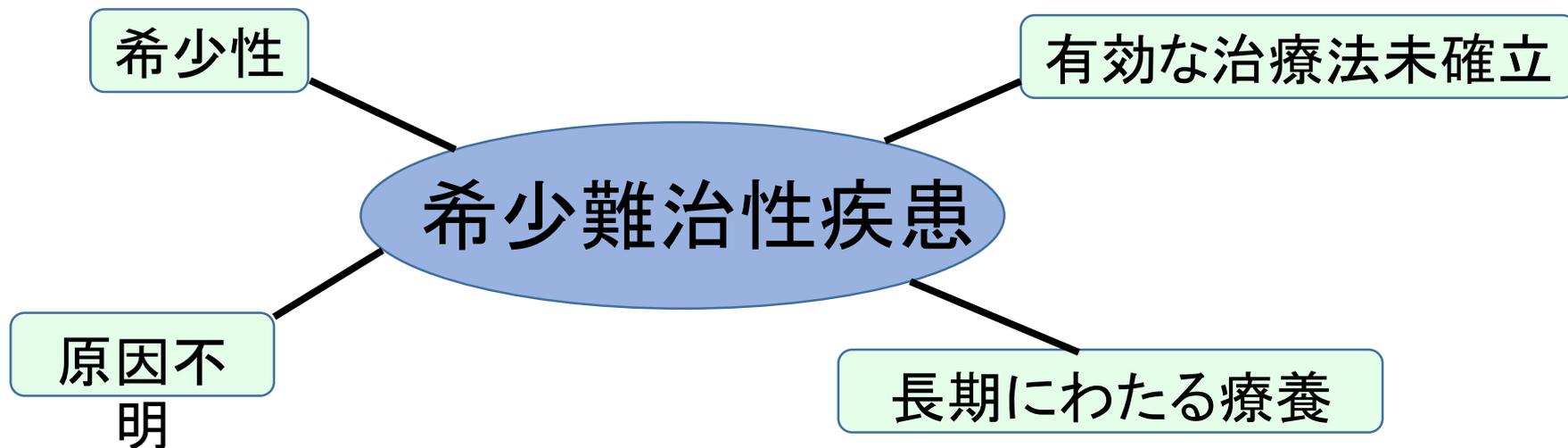
国立研究開発法人
日本医療研究開発機構

戦略推進部 難病研究課

本邦における難病対策の歴史

- 2014年 5月 難病の患者に対する医療等に関する法律 成立
- 2015年 1月 難病の患者に対する医療等に関する法律 施行
医療費の助成対象が110疾病に拡大
- 2015年 7月 医療費の助成対象に196疾病を追加
計306疾病が医療費助成制度の対象となった





本事業の目的

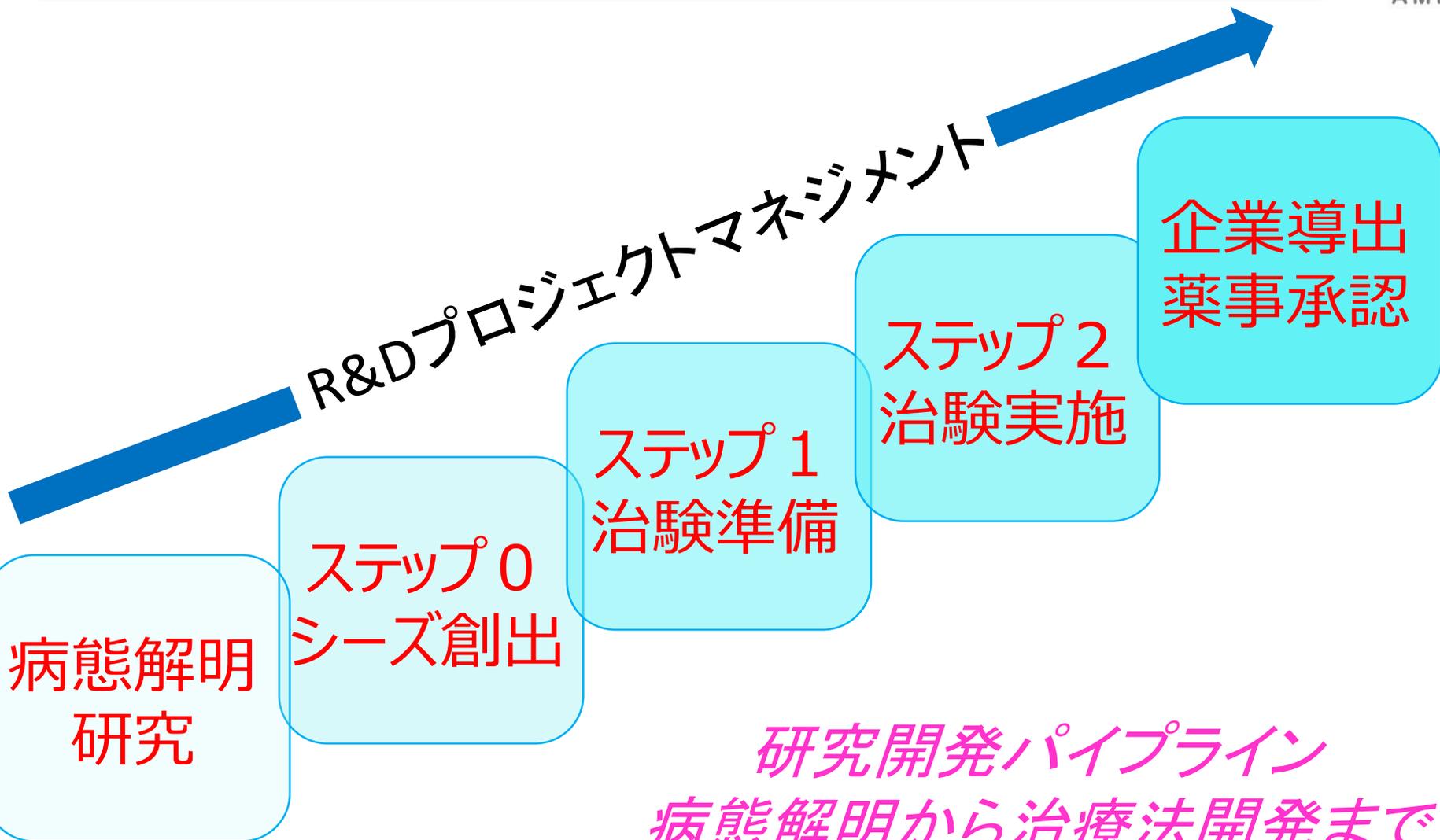
希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品・医療機器等の実用化を視野に入れた**画期的な診断法や治療法及び予防法**の開発をめざす研究を推進する。

- ①革新的な医薬品等の開発を促進させる研究(ステップ0)
- ②希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ1)
- ③希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ2)
- ④診療の質を高める研究
- ⑤疾患群毎の集中的な遺伝子解析及び原因究明に関する研究
- ⑥生体試料の収集と活用による病態解明を推進する研究(生体試料バンク)

研究開発パイプライン

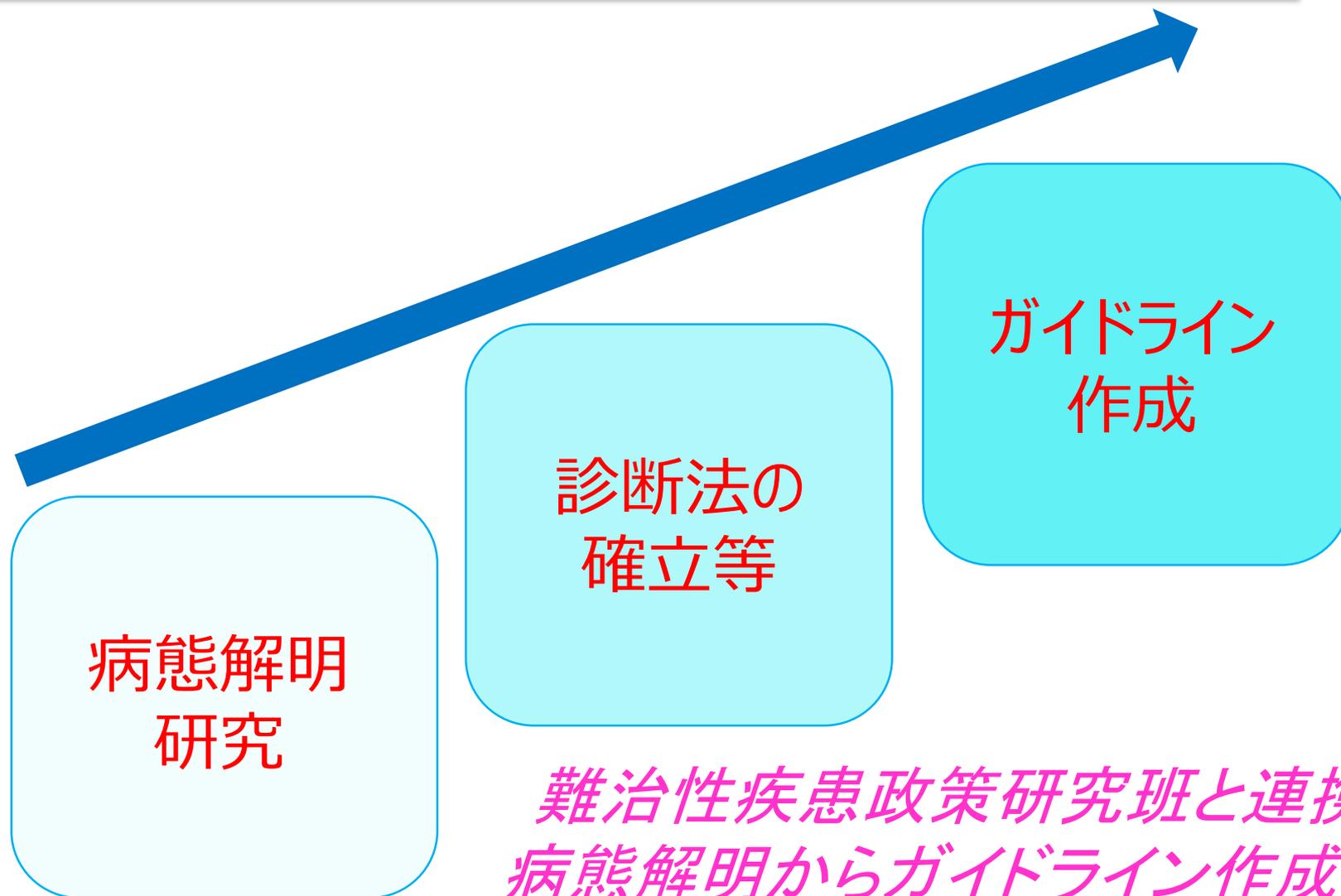
- ①革新的な医薬品等の開発を促進させる研究(ステップ0)
- ②希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ1)
- ③希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ2)
- ④診療の質を高める研究
- ⑤疾患群毎の集中的な遺伝子解析及び原因究明に関する研究
- ⑥生体試料の収集と活用による病態解明を推進する研究(生体試料バンク)

難治性疾患実用化研究事業



研究開発パイプライン

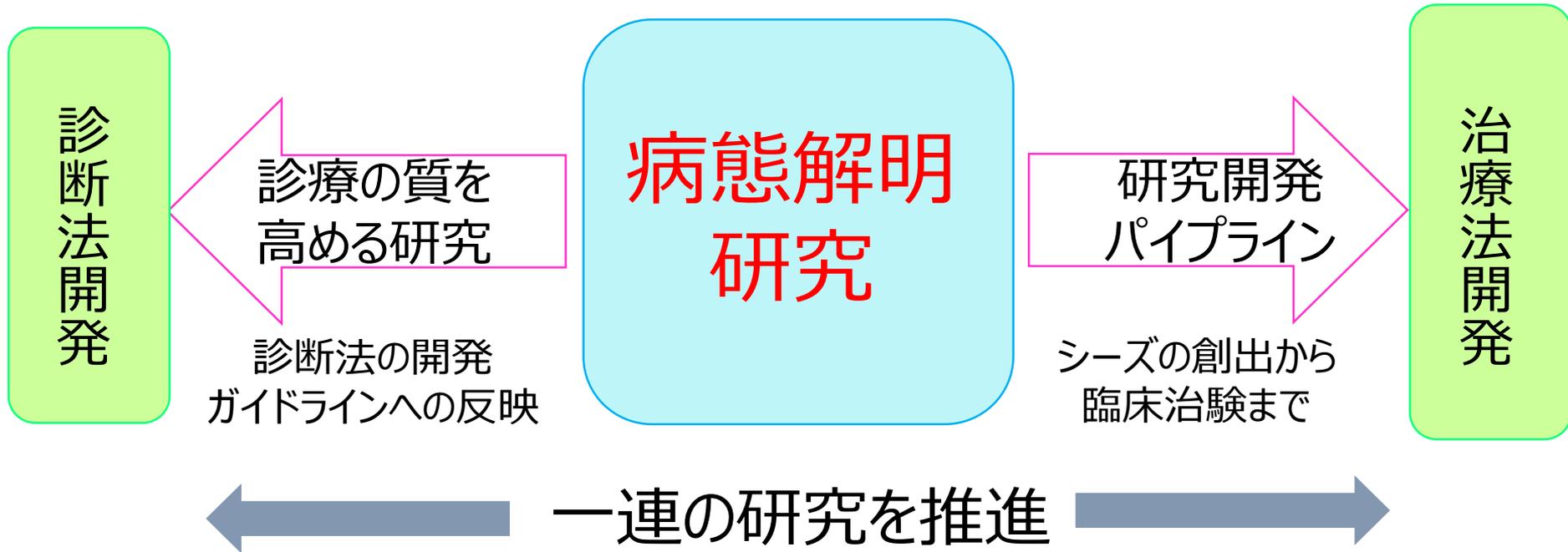
- ①革新的な医薬品等の開発を促進させる研究(ステップ0)
- ②希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ1)
- ③希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ2)
- ④診療の質を高める研究
- ⑤疾患群毎の集中的な遺伝子解析及び原因究明に関する研究
- ⑥生体試料の収集と活用による病態解明を推進する研究(生体試料バンク)



難治性疾患実用化研究事業



若手研究者が研究開発代表者となり、
希少難治性疾患の病態解明をすすめる研究課題



開発に至るまで一連の研究を推し進め、5年後、10年後に世界に先駆けた
新しい治療法や診断法の開発を促進

公募内容

若手研究者(2016年4月1日の時点において、満45歳以下の者)が研究開発代表者となる課題を対象とする

分野	病態解明治療研究分野
研究課題名	希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究
研究開発費の規模	1課題あたり年間10,000千円程度(間接経費含む)
研究開発実施期間	最長3年(2016年度～2018年度)
新規採択課題予定数	10課題程度