参考資料8

平　成　２４　年　度

厚生労働科学研究費補助金公募要項

（難治性疾患克服研究事業部分抜粋）

平成２３年１１月１４日

厚生労働省大臣官房厚生科学課

（２）難治性疾患等克服研究事業（仮称）

ウ．難治性疾患克服研究事業

＜事業概要＞

原因が不明で、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残す恐れが少なくない難治性疾患（明らかな外因性疾患、急性疾患等は除く）のうち、患者数が少なくこれまで組織的・体系的に研究が行われてこなかった疾患（希少難治性疾患）に対して、その実態把握と病態解明、進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を行う。

また、特にこれらの希少性難治疾患では早急な治療法の開発は非常に重要な課題であり、希少難治性疾患の治療・ケアのための医薬品等医療技術の開発を促進し、患者の予後の向上に資する医療技術の迅速な確立を重点的に目指す。さらに実用化研究を目指す観点から、治験推進等に関わる他の実用化支援事業や再生医療技術研究、医学系基礎技術研究を行う文科省等他省庁研究事業とも積極的に連携を図るものとする。

これらの研究を推進することにより、希少難治性疾患の病態解明及び新たな治療法の開発が促進され、希少難治性疾患患者が受ける医療水準の向上を図るとともに、難病対策に関する行政的課題の解決を図り、健康長寿社会の実現につながることを目指す。

この公募は、本来、平成24年度予算成立後に行うべきものであるが、できるだけ早く研究を開始するために、予算成立前に行うこととしているものである。従って、成立した予算の額に応じて、研究費の規模、採択件数等の変更が生じる場合等がある。

＜新規課題採択方針＞

未だ治療法の確立していない希少難治性疾患の根治的治療開発のため、疾患遺伝子の解析等をすすめ、最新技術を駆使することによって、病因、病態解明の研究を推進するほか、診療ガイドラインの作成や難病患者の在宅医療の技術開発等を進め、臨床現場における医療の質の向上を図り、国民への研究成果の還元を進める。

具体的には、臓器別、疾患別に希少難治性疾患に係る科学的根拠を集積・分析し、疫学的研究を含む疾患の病態解明、診断・治療法の開発及び確立、標準的診断・治療法の確立及び普及などを図ることにより、医療の向上に役立てるための研究を推進する。

また、平成21年度より「研究奨励分野」を設けて、「臨床調査研究分野」などにより組織的・体系的に研究が行われてこなかった多くの疾患について、患者や病態の実態把握を目的とした研究を進めてきたところであり、今後とも着実に研究を推進する。

なお、当事業において、医薬品等の開発を実施するものについては、治療方法の実用化が急務であることから、研究計画が優れていることを前提として、PMDAとの人事交流などにより薬事承認審査等の経験を有する者（医師、薬剤師等の専門家）あるいは治験の審査経験を有する者が研究計画に参画している研究を優先的に採択する。

また、厚生労働省においては今後の難病対策のあり方について検討を進めており、その議論の結果によっては、研究予定期間中であっても研究体制の変更等があり得ることを申し添える。また研究費の効率的活用の観点から、「がん」「生活習慣病」「進行性筋ジストロフィー」「精神疾患」など、他の研究事業において組織的な研究の対象となっているものは本事業の対象としない。

研究費の規模：１課題当たり

＜研究の規模及び研究課題の評価結果によって、採択時に研究費の変動があり得る＞

（ア）30,000 ～ 50,000千円（１年当たりの研究費）

（イ）①30,000 ～ 300,000千円程度（１年当たりの研究費）

②100,000 ～ 300,000千円程度（１年当たりの研究費）

（ウ）①50,000 ～ 100,000千円程度（１年当たりの研究費）
②50,000 ～ 70,000千円程度（１年当たりの研究費）
③50,000 ～ 70,000千円程度（１年当たりの研究費）
④10,000 ～ 30,000千円程度（１年あたりの研究費）
（エ）①～⑮は20,000 ～ 50,000千円、⑯は3,000 ～ 5,000千円（１年当たりの研究費）

研究期間：
（ア）２年
（イ）１～３年
（ウ）２年
（エ）２年

新規採択予定課題数：
（ア）1課題
（イ）①3課題程度
②3課題程度
（ウ）①1課題
②1～2課題
③3～5課題
④2～3課題程度
（エ）①～⑮は各1～2課題、⑯は若干数

＜公募研究課題＞
（ア）臨床調査研究分野
臓器別、疾患別に科学的根拠を集積・分析し、患者の実態把握、病因・病態の解明、標準的な診断・治療法等の開発、確立及び普及などを行い、難治性疾患の医療水準の向上に貢献することを目的とする。
以下の調査研究について募集する。

○特発性大腿骨頭壊死症に関する調査研究（公募課題番号　２４１３１１０１）
対象疾患：特発性大腿骨頭壊死症、特発性ステロイド性骨壊死症

＜臨床調査研究分野の採択条件＞
・幅広く関連する専門分野に従事する研究者で構成される研究班であり、かつ関連する学会との連携が取れており、学会規模でのバックアップを得られていること。
・疫学データや臨床データを継続的に収集し、患者の実態把握、疾患のリスク・予後因子の解明などの疫学研究を実施できること。
・対象疾患の症例登録を独自に行う場合には、そのデータ管理の体制が整備されていること。
・患者会等と連携して、対象疾患に関する情報や研究成果を患者及び国民に広く普及する体制、及び患者との双方向のコミュニケーションを可能にする体制が整備されていること。また、成果などについてWEBにおいてわかりやすく公表すること。
・研究成果を診断・治療ガイドラインに反映させるなど、臨床現場に迅速に還元する体制が整備されていること。
・本研究事業は公費での研究であることを考慮し、作成された診断・治療ガイドラインや各種管

理マニュアルなどについては全て難病情報センターにおいて印刷可能な電子媒体として無料公開することを必須とする。また、可能な場合は学会などの公共性あるサイトでの公開も考慮すること（ただし、商業著作物に引用利用される場合の著作権の放棄は求めない）。
・治験を含めた臨床研究に積極的に対応できる体制が整備されていること。
・治験を実施する場合には難病情報センターに速やかに情報提供をして公開するとともに、公的な各種治験登録サイトにおいても公開すること。
・国際展開を視野に入れた研究開発を遂行できること。
・遺伝子解析を実施するにあたって、「難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究事業（難病関係研究分野）」の拠点及び一般研究班との連携（情報交換、共同研究等）のもとで効率的に解析を進めることが可能な体制が整備されていること。

＜研究計画書を作成する際の留意点＞
・「９．期待される成果」に、申請研究終了時に期待される成果と研究全体で長期的に期待される成果を別々に明記すること。また「１０．研究計画・方法」に、年度ごとの計画及び達成目標を記載するとともに、研究全体の目標を達成するための中長期的な（5～10年間の）ロードマップを添付すること。
・「１２．申請者の研究歴等」についてより詳細に把握するために、申請課題に関連して出版した論文のリスト及び論文一式（直接関連したものに限ること）の写しを添付すること。
・研究班組織（別添様式１）を添付すること。
・対象疾患に関して、これまでの研究で明らかにされた推定患者数、疾患概念、原因とその解明状況、主な症状、主な合併症、主な治療、長期にわたる疾患の状況等を「疾患概要」（別添様式２）に記載し、添付すること。また国際展開も視野に入れた研究開発体制を推進するために同内容の英語版（別添様式３）を記載し、添付すること。
・研究代表者又は研究分担者が独立行政法人医薬品医療機器総合機構の薬事承認審査経験者である場合は、研究計画書の「１２．申請者の研究歴等」の「申請者の研究歴」欄にその旨を記載すること。研究課題の採択に当たっては、本記載事項を重視する。
・その他、上述の採択条件を満たしていることを証明できる書類を添付すること。

（イ）重点研究分野

希少難治性疾患（明らかな外因性疾患、急性疾患等は除く）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

医薬品等医療技術の開発の促進は厚生労働行政において最も重要な課題の一つであり、特に希少難治性疾患に関しては、臨床現場で使用できる医薬品や医療機器の国内における実用化が強く求められている。そこで本分野では、希少難治性疾患の治療・ケアのための医療技術（医薬品、医療機器等）に関して、国内での薬事承認（薬事法）を最終目標とした非臨床試験または臨床試験（医師主導治験）を実施し、患者の予後の向上に資する医療技術の迅速な確立を目指す。

本分野の研究対象は、開発候補物の非臨床試験、医師主導治験、及びそれらに伴う製剤または製品開発を対象とする。ただし医師主導治験は第Ⅰ相試験、第Ⅱ相試験までとする。また、希少性疾患に対する医薬品等の開発であることを考慮し、原則的に「希少疾病用医薬品」や「希少疾病用医療機器」として指定を受けた、もしくは指定申請を前提としたオーファンドラッグやオーファンデバイスが開発対象であることを前提とする。

臨床開発の段階に応じて、以下のステップごとに公募を行う。申請にあたっては、現状がどのステップのどの過程にあるかを明確にした上で、該当するステップに応募すること。

①ステップ１…医師主導治験への移行を目的とした非臨床試験（GLP）（安全性薬理試験、毒性試験、薬物動態試験等）、製剤または製品の確保（治験薬のGMP製造、製品のQMS製造等）、治験プロトコールの作成、治験相談の実施（公募課題番号　２４１３１２０１）
②ステップ２…医師主導治験の実施（治験届、第Ⅰ相試験、第Ⅱ相試験、POC（proof of concept）の取得、GMP・QMS製造等）（公募課題番号　２４１３１３０１）

いずれについても、研究期間内に現在のステップを完了すること、かつ次のステップを開始することが求められる。

また各ステップが完了した時点で、以下に相当する成果物を提出しなければならない。なお、成果物に含まれる秘密情報が公開等されることで今後の開発に影響を与えることが予想される場合、担当窓口の了承を得た上で、該当する部分の情報を除いた要約を成果物の代替として提出してもよい。この場合、採択後の中間評価（おおむね年１～２回程度）や事後評価において、成果物の存在を面談もしくはサイトビジットを行い確認する。なお、サイトビジットの結果、計画通りの成果が得られないと判断された場合、研究費の有効活用の観点から研究を中止することもありうることとする。

・ステップ１…非臨床試験総括報告書（安全性試験についてはGLP）、治験薬GMP製造した製剤の確保・提供を証明・保証する書類、及び製造工程記録一式、治験薬概要書（機器の場合はそれぞれに準ずる書類）
・ステップ２…医師主導治験総括報告書、GMP製造した製剤の確保・提供を証明・保証する書類、及び製造工程記録一式、治験薬概要書最終版（機器の場合はそれぞれに準ずる書類）
・全てのステップについて…開発候補物に係る新規特許出願をした場合には、それを示す書類

＜重点研究分野の採択条件＞
・最終目標である薬事承認までのロードマップが明示されていること。また、非臨床試験、第Ⅰ相試験、第Ⅱ相試験をそれぞれいつまでに開始、完了するか、研究期間内（1年後、3年後）と研究期間外（5年後、10年後）の具体的な年次で示されていること。
・対象とする製剤または製品（またはそのプロトタイプ）の入手方法（企業等から供与、購入、自施設で製造、委託製造）、及び薬事承認状況（国内外未承認、国外既承認かつ国内未承認、国内既承認かつ適応外）が明記されていること。
・国内で知的財産権が保有されている候補物を最大限優先することを原則とする。
・戦略的に知的財産権を確保し、それを適切に管理・活用できる体制が整備されている、またはそれを支援する専門家（弁護士、弁理士等）と契約して実施できること。
・開発候補物が標的とする疾患が特定されていること（複数の疾患を対象とする場合は、それらの疾患とその適応内容を具体的に明示すること）。またその疾患の現状（診断基準、患者数、現在の治療内容及び治療成績など）が明示されていること。
・医師主導治験が実施できる体制（手順書、スタッフ、ITシステム等）が整備されていること、または整備された機関等と契約して実施できること（ステップ２の場合）。
・疾患登録や医療機関のネットワークを活用して、短期間（1年以内）に予定被験者数をリクルートできる体制が整備されている、または初年度中に整備して実施できること（ステップ２の場合）。
・バイオマーカー測定等、検体の分析・保管が必要な場合には、サンプルセンター等を含めた体制が整備されている、または整備された機関等と契約して実施できること（ステップ２の場

合）。
・治験を実施する場合には難病情報センターに速やかに情報提供をして公開するとともに、公的な各種治験登録サイトにおいても公開すること。
・以上の条件を満たした上で、患者の予後の向上に貢献する医療技術の開発に向けた実行可能な研究計画が策定されていること。

＜研究計画書添付書類＞
・研究組織及び研究者名簿（分担する研究項目・業務とそれぞれのスケジュールを明示すること）
・予算計画書（研究計画、研究項目と関連づけて詳細な費目を計上すること。またその予算に見合った研究計画であることを明示すること）
・当該研究に関連して出版した論文のリスト及び論文一式（直接関連したものに限ること）
・開発候補物に係る特許（物質特許、用途特許、製法・製剤特許等）の出願・取得状況を示す資料（出願準備中の場合は出願予定の技術等の要旨、既出願未公開の場合は明細書要旨、既公開の場合は出願公開公報・特許公報）
・企業の協力が得られる場合には、それを具体的に示す資料。将来的な薬事申請者としての可能性についても記すこと。なお当該企業との利益相反がある場合にはそれを開示すること。
・上述の採択条件で示された体制整備にあたって契約の候補先となる機関等に関する資料。

また現在の進捗段階に応じて、以下に相当する書類を添付すること。
・開発候補物概要書（non-GLP非臨床試験総括報告書（非臨床薬効薬理試験、予備的薬物動態試験等のデータを必ず含むこと））、開発候補物の製剤規格及び工程記録一式（機器の場合は製品規格及び仕様）を含む）（ステップ１の場合）
・非臨床試験（GLP）計画書（安全性薬理試験、毒性試験、薬物動態試験等）（ステップ１の場合）
・候補物が「希少疾病用医薬品」や「希少疾病用医療機器」として指定を受けている場合は該当書類、もしくは指定申請を前提としていることを示す書類を提示すること。
・治験薬概要書（非臨床試験総括報告書、治験薬GMP製造した製剤の確保・提供を証明・保証する書類、及び製造工程記録一式（機器の場合はそれぞれに準ずる書類）を含む）（ステップ２の場合）
・治験薬または治験機器の確保状況（例えば、被験者○名について△年間投与ないし使用が可能か、など）を示す書類（ステップ２の場合）
・1年以内にリクルート可能な被験者数を示す資料（症例登録計画、予定登録数の事前調査など、根拠となるデータを明示すること）（ステップ２の場合）
・医師主導治験実施計画書（ステップ２の場合）
・「希少疾病用医薬品」や「希少疾病用医療機器」として指定を受けるための申請書類もしくは申請が終わっていることを示す書類（ステップ２の場合）
・医薬品医療機器総合機構（PMDA）が実施する相談事業（薬事戦略相談など）の結果や経過を示す書類

＜医師主導治験実施計画書を作成する際の留意点＞
医師主導治験実施計画書には以下に相当する事項が記載されていることが望ましい。作成に当たっては、例えば先端医療振興財団臨床研究情報センターや日本医師会治験促進センターなどで公開されているの「医師主導治験実施計画書作成要領」などを参考にすること。
・概要
・目的

・背景と根拠
・治験薬・治験機器情報
・診断基準と病期・病型・病態分類
・適格規準
・説明と同意
・症例登録及び割付
・治療計画
・有害事象の評価・報告
・観察・検査・調査項目とスケジュール
・目標登録症例数と治験実施予定期間
・評価項目及び評価方法
・統計学的考察
・治験実施計画書の遵守、逸脱又は変更並びに改訂
・治験の終了又は中止
・症例報告書
・治験の品質管理及び品質保証
・記録の保存
・治験実施体制及び各種委員会
・治験実施上の倫理的配慮
・治験の費用負担及び補償
・試験の登録、成果の帰属と公表
・文献
・付録

＜研究課題の事前・中間・事後評価等の実施要領＞
・事前評価は、研究計画書、及び上述した全ての添付書類を用いて書面評価を行う。なお書類に不備がある場合、書面評価を受けられない可能性がある。また書面評価を一次評価として、評価得点の高い申請課題を対象にヒアリングを行う。書面評価とヒアリングでの発表内容の評価に基づいて採択の可否を決定する。研究代表者はヒアリングに出席し、研究計画等について発表を行う。原則として代理は認めない。
・進捗管理は、研究期間の各年度の中間時点においてサイトビジットによって行う。サイトビジットでは、研究の進捗状況と今後の研究計画（当初計画の修正等）に関する報告と質疑応答を行うとともに、研究に関連する施設・設備の視察等を行う。
・中間評価は、各年度末に実施し、上述した成果物のうち当該年度までに提出を計画していたもの、サイトビジットで確認された進捗状況、次年度以降の研究計画書（当初計画の変更点など）を評価する。中間評価の結果、研究計画の達成度が十分でないと判断された場合、研究の継続が不可となる場合がある。
・事後評価は、研究期間の最終年度末に実施し、研究計画の達成度、及び上述した成果物の提出状況を評価する。
・希少性疾患に対する研究事業であり、「希少疾病用医薬品」や「希少疾病用医療機器」として指定を受ける、もしくは受けている候補物を最大限優先することを原則とする。
・国内で知的財産権が保有されている候補物を最大限優先することを原則とする。
・研究代表者又は研究分担者が独立行政法人医薬品医療機器総合機構の薬事承認審査経験者である場合は、研究計画書の「１２．申請者の研究歴等」の「申請者の研究歴」欄にその旨を記載

すること。研究課題の採択に当たっては、本記載事項を重視する。

＜研究費の算定＞

研究費の算定にあたっては、以下の目安を参考にして、研究期間全体及び各年度で必要な費用を積算すること。

・非臨床試験の費用に関しては、non-GLP／non-GMPで10,000～50,000千円、GLP／GMPで30,000～100,000千円が目安となる(上限値はミニブタやサルを用いた場合を想定している)。
・試験物の調達費用に関しては、a)国内外で未承認の場合、購入で1,000～10,000千円、自施設での製造で10,000～40,000千円、委託での製造で40,000～200,000千円、b)国外で既承認かつ国内で未承認の場合、購入で1,000～10,000千円、委託での製造で40,000～200,000千円、c)国内で既承認かつ適応外の場合、購入で1,000～5,000千円、が目安となる。またいずれの場合も、企業等から供与を受ける場合は費用を積算しないこと。なお、国費での開発になることを考慮し、候補物に関しては可能な限り企業からの供与を求めることとする。
・医師主導治験費用に関しては、治験に必要な検査費用、入院費用等とともに、治験の規模に応じて、CRC、データマネジメント、統計解析、モニタリング等に要する費用を積算すること。
・これらの目安を参考にして、各ステップで必要な試験の費用、試験物の調達費用を積算して、適正な研究費を算定すること。

＜申請書類等を作成する際の参考＞

申請書類等の作成にあたっては、以下を参考にすること。

1) 薬事法：http://law.e-gov.go.jp/htmldata/S35/S35HO145.html
2) 医療法：http://law.e-gov.go.jp/htmldata/S23/S23HO205.html
3) 健康保険法：http://law.e-gov.go.jp/htmldata/T11/T11HO070.html
4) 医薬品 GCP 省令：http://law.e-gov.go.jp/htmldata/H09/H09F03601000028.html
5) 医薬品 GCP 運用通知：http://www.pmda.go.jp/operations/notice/2008/file/1001001.pdf
6) 医療機器 GCP 省令：http://law.e-gov.go.jp/htmldata/H17/H17F19001000036.html
7) 医療機器 GCP 運用通知：http://www.pmda.go.jp/operations/notice/2009/file/20091224-4.pdf
8) 総括報告書作成ガイドライン：http://www.pmda.go.jp/ich/e/e3_96_5_1.pdf
9) 治験薬 GMP：http://wwwhourei.mhlw.go.jp/hourei/doc/tsuchi/T090707I0020.pdf
10) 医薬品 GLP：http://law.e-gov.go.jp/htmldata/H09/H09F03601000021.html
11) 医療機器 GLP：http://law.e-gov.go.jp/htmldata/H17/H17F19001000037.html
12) 非臨床安全性試験のガイダンス：http://www.pmda.go.jp/ich/m/step5_m3r2_10_02_19.pdf
13) 先端医療振興財団臨床研究情報センター「医師主導治験実施計画書作成要領」：http://www.tri-kobe.org/references/tool.html
14) 医薬品医療機器総合機構（PMDA）「薬事戦略相談」：http://www.pmda.go.jp/operations/shonin/info/consult/yakujisenryaku.html

（ウ）横断的基盤研究分野

希少難治性疾患に関連する研究資源の活用に関する研究

これまで、希少難治性疾患に対する研究活動や診断治療のために様々な資源（遺伝子、生体試料等）が収集され、個々の研究や患者の診断治療に活用されてきた。本研究では、それらの貴重

な研究資源をより有効に活用する方策を検討し、研究の重複を回避し、科学的価値の高い成果を効率的に蓄積する基盤的な研究を推進することを目的とする。

なお、採択後の中間評価（おおむね年１～２回程度）や事後評価において、研究の進行状況を必要に応じてサイトビジットを行い確認する。なお、サイトビジットの結果計画通りの成果が得られないと判断された場合、研究費の有効活用の観点から研究を中止することもありうることとする。

①遺伝子リファレンスライブラリーの構築　　（公募課題番号　２４１３１４０１）

これまでの研究で希少難治性疾患の多くが特徴的な遺伝的特性を有することが明らかにされてきた。このような経緯を踏まえて、希少難治性疾患の遺伝要因の解明に資する遺伝子リファレンスライブラリーの構築を行う。なお、特に本課題については.「難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究事業（難治性疾患克服関連分野）」で採択された全研究班からの情報提供がなされ、ナショナルデータベースとしての機能を全研究者に提供することを目的とする。したがって、全研究班の同意契約が結べていることを前提とする。

②研究資源を活用した分子レベルでの疾患特性の解明　　（公募課題番号　２４１３１５０１）

全国の連携する各研究班、研究者からの提供を受けた組織や細胞などを用いて、希少難治性疾患の特性を維持あるいは模倣する不死化細胞技術、iPS細胞を含む多能性幹細胞技術、組織培養技術などを活用し、研究資源の標準化及び維持管理を行い、疾患のモデル系を作製して、疾患に関する分子レベルでの疾患特性の解明、新規創薬に資する研究を行う。

③希少性疾患に対する移植医療の技術確立に関する研究　（公募課題番号　２４１３１６０１）

希少難治性疾患では、臓器移植や造血幹細胞移植が非常に有効な治療法となる疾患も複数存在している。脳死下臓器移植件数や造血幹細胞移植件数は近年増加してきており、医療としての技術をさらに向上させる必要性が高い分野である。本分野では、これまで実施された移植実績等の情報をもとに、移植医療が治療方法となる希少疾患毎に必要な移植技術を整理し、その向上を図ることで、他疾患にも適用できる移植技術の確立を目指した研究を行う。

④患者および患者支援団体等による研究支援体制の構築に関わる研究　（公募課題番号　２４１３１７０１）

希少難治性疾患の特徴として、その希少性がゆえに患者数が少ないことから、治療法の開発等研究の最大の阻害要因となりうる。そのため、患者団体、もしくは患者支援団体等により効率的かつ自発的な患者レジストリの構築を行い、患者の情報のみならず疾患背景や治療経過などを独自に収集し、自らの疾患の分析を行うと同時に希少性疾患に係る研究者、研究班を支援していく体制の構築を目的とした研究を行う。

＜横断的基盤研究分野の採択条件＞

・各関連学会などのバックアップを得ていること。
・研究資源を適切に収集・管理する体制（関連法規やガイドライン等の遵守、インフォームドコンセントなどに係る書式や実務に関するマニュアル等）が整備されていること。
・研究結果、研究成果を臨床現場に迅速に還元する体制・ネットワークが整備されていること。
・研究期間終了時の研究資源の取り扱いに関する方策を検討すること。
・技術進歩に伴って新たに生じてくる社会的・倫理的課題を迅速に把握し、患者、関係機関、国民に適切に提供する体制が整備されていること。

・遺伝子解析を実施するにあたっては、「難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究事業（難病関係研究分野）」の拠点及び一般研究班との連携（情報交換、共同研究等）のもとで効率的に解析を進めることが可能な体制が整備されていること。
・研究を遂行するにあたって、また上述した研究体制を整備するにあたって、本研究事業の他の関連する研究班、学術団体、関係機関等との連携体制が整備されていること。
・②の課題においては、提供を受けた細胞から作成した細胞は、組織提供元の研究者に提供し、培養支援、分化誘導支援を通した研究支援を行うこと。
・②の課題においては、作成された細胞自体は公費での研究によって得られたものであり、リスト化を行ったうえで匿名化処理を行い広く一般に公開するとともに、各研究機関において倫理審査を通っている等の研究に対して研究資材としての提供を行う機能を有していることを必須とする。
・②の課題においては、必要に応じて組織の研究利用に向けたインフォームドコンセント用の共通フォーマットの作成を行うこと。
・②の課題においては、文部科学省および厚生労働省が協働で行う「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」の中核機関と連携すること。具体的には文部科学省採択の中核機関と当研究事業の個別機関とで共通のインフォームドコンセント書式を作成し、これを用いた患者体細胞や疾患情報の提供などにより疾患研究や創薬をチーム型で実施すること。また、文部科学省採択の中核機関との連携を想定した疾患研究等について評価する。なお本事業については、以下を参考にすること。
http://www.mext.go.jp/component/b_menu/other/__icsFiles/afieldfile/2011/10/20/1311673_005.pdf
・また、上記「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」について、文部科学省採択の中核機関との連携を想定した疾患研究等について評価する。
・③の課題においては関連する希少性疾患研究者や研究班との連携をとり、当該疾患の治療・診療ガイドラインにおいても移植適応基準などの整合性を図る体制がとられていること。
・③の課題においては移植手術に至るまでの管理を行う関連診療科、そして実施診療科、術中管理、術後管理、フォローアップを行う各診療科の専門家が全て網羅された研究班構成であること。
・④の課題に関しては、幅広い臓器疾患にまたがった体制であり、海外患者団体との連携や、専門家の参加もしくは可能な限り複数の関連研究班への情報提供契約が結ばれていることや綿密な連携に関して特に考慮する。
・④の課題において遺伝子情報や個人情報を提供する場合には、倫理指針を順守するとともに被験者となるべき患者に不利益が生じないようその取り扱いには十分考慮すること。
・④の課題に関しては、患者や患者家族が団体にアクセスしやすいよう情報提供（希少難治性疾患に関する疾患情報や研究情報、団体へのアクセスの仕方など）するためのWEBページ等を作成すること。これらの作成されたWEBページ等については、難病情報センターからのリンクを構成すること。
・服薬指導、疾患管理、症状管理など患者に有益となる各種マニュアルなどを作成した際には、公費での研究であることを考慮し、全て難病情報センターにおいて印刷可能な電子媒体として無料公開することを必須とする。また、可能な場合は学会などの公共性あるサイトでの公開も考慮すること。
・以上の条件を満たした上で、貴重な研究資源の有効活用による独創的かつ新規性の高い研究テーマが設定されていること。

＜研究計画書を作成する際の留意点＞
・「９．期待される成果」に、申請研究終了時に期待される成果と研究全体で長期的に期待される成果を別々に明記すること。また「１０．研究計画・方法」に、年度ごとの計画及び達成目標を記載するとともに、研究全体の目標を達成するための中長期的な（5～10年間の）ロードマップを添付すること。
・「１２．申請者の研究歴等」についてより詳細に把握するために、申請課題に関連して出版した論文のリスト及び論文一式（直接関連したものに限ること）の写しを添付すること。
・研究班組織及び研究者名簿（研究資源を収集・管理する窓口の一覧を含む）を添付すること
・予算計画書（研究計画、研究項目と関連づけて詳細な費目を計上すること。またその予算に見合った研究計画であることを明示すること）
・研究資源の収集・管理を行う際には、研究資源の収集・管理等に関わる過去の実績を示す資料を添付すること。
・研究資源の収集・管理、解析結果の提供等に係るマニュアル等を添付すること。
・研究代表者又は研究分担者が独立行政法人医薬品医療機器総合機構の薬事承認審査経験者である場合は、研究計画書の「１２．申請者の研究歴等」の「申請者の研究歴」欄にその旨を記載すること。研究課題の採択に当たっては、本記載事項を重視する。
・その他、必要に応じて上述の採択条件を満たしていることを証明できる書類を添付すること。

（エ）研究奨励分野

臨床調査研究分野の対象疾患（別表１）に含まれておらず、「希少性（おおむね5万人未満）・原因不明・効果的な治療方法未確立・生活面への長期にわたる支障」の4要素を満たす、あるいは満たす可能性のある疾患で、臨床調査研究分野や他の研究事業等において組織的・体系的に研究が行われてこなかった希少難治性疾患（明らかな外因性疾患、急性疾患等は除く）に関して、患者の実態把握、病因・病態の解明、標準的な診断・治療法等の開発、確立及び普及などを行い、医療水準の向上に貢献することを目的とする。

本研究分野は平成21年度より開始され、多くの希少難治性疾患に関して患者数等の実態把握、診断基準および治療指針の作成等がなされてきた。これまでは疾患単位で小規模な研究を実施してきたが、今後はそれらの研究で得られた成果をさらに発展させるために、互いに関連する複数の疾患群を設定し、組織的・体系的に研究を推進する体制を構築する。

具体的には、以下の疾患群を対象とする研究を公募する。

①血液・凝固系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３１８０１）
対象疾患例：一過性骨髄異常増殖症、血球貪食症候群、乳児ランゲルハンス組織球症、慢性好中球減少症、遺伝性貧血、ヘパリン起因性血小板減少症(heparin-induced thrombocytopenia：HIT)、家族性血小板減少症など

②免疫系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３１９０１）
対象疾患例：自己炎症性症候群、先天性免疫不全症候群（臨床調査研究分野の対象疾患を除く）、再発性多発性軟骨炎、若年性特発性関節炎、難治性川崎病、小児リウマチ疾患など

③内分泌系・代謝系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２００１）
対象疾患例：アミノ酸代謝異常、脂肪酸カルニチン代謝異常、グルコーストランスポータ1欠損症症候群、ビオプテリン代謝異常、コレステリルエステル転送蛋白欠損症、尿素サイクル異

常症、糖原病、先天性ケトン代謝異常症など

④神経・筋の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２１０１）
対象疾患例：先天性ミオパチー、筋チャネル病、難治性てんかん、ジストニア、遺伝性末梢神経障害、神経皮膚症候群（臨床調査研究分野の対象疾患を除く）、脳形成障害、脳白質疾患など

⑤視覚系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２２０１）
対象疾患例：角膜内皮症、視神経疾患（臨床調査研究分野の対象疾患を除く）、先天性緑内障、遺伝性黄斑症、血管新生黄斑症、先天性角膜混濁、のう胞様黄斑浮腫など

⑥聴覚･平衡機能系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２３０１）
対象疾患例：遺伝性難聴、内耳奇形、好酸球性副鼻腔炎など

⑦循環器系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２４０１）
対象疾患：家族性大動脈瘤解離、炎症性動脈瘤形成症候群、遺伝性不整脈、中性脂肪蓄積心筋血管症、周産期心筋症など

⑧呼吸器系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２５０１）
対象疾患例：肺胞蛋白症、オスラー病など

⑨消化器系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２６０１）
対象疾患例：　ヒルシュスプリング病類縁疾患、新生児胆汁うっ滞症候群、乳幼児巨大肝血管腫、先天性胆道閉鎖、慢性特発性偽性腸閉塞症、顕微鏡的大腸炎（microscopic colitis），原因不明小腸潰瘍など

⑩皮膚･結合組織の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２７０１）
対象疾患例：自己炎症性疾患、角化異常症、遺伝性早期老化症候群、発汗異常症、遺伝性色素異常症、水疱症（臨床調査研究分野の対象疾患を除く）、弾性繊維性仮性黄色腫など

⑪骨･関節系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２８０１）
対象疾患例：致死性骨形成不全症、C型ナトリウム利尿ペプチド(CNP)治療適応疾患、外骨腫瘍、過剰運動症候群、進行性下顎吸収など

⑫腎･泌尿器系の希少難治性疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３２９０１）
対象疾患例：腎性低尿酸血症、総排泄管残存症など

⑬先天性異常の疾患群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３３００１）
対象疾患例：　ヒストンアセチル化・メチル化異常、ゲノム刷り込み現象、片親性ダイソミー、マルファン症候群1型及び2型、コステロ症候群・CFC(cardio-facio-cutaneous)症候群類縁疾患、早老症、軟骨異栄養症、軟骨無形成症など

⑭IgG4関連症候群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３３１０１）
対象疾患例：IgG4関連多臓器リンパ増殖性疾患、IgG4関連全身硬化性疾患など

⑮特発性好酸球増加症候群に関する調査研究（公募課題番号　２４１３３２０１）
対象疾患例：好酸球性食道炎、好酸球性胃腸炎など

⑯その他、希少難治性疾患に関する奨励研究（公募課題番号　２４１３３３０１）

なお、研究費の効率的活用の観点から、「がん」「生活習慣病」「進行性筋ジストロフィー」「精神疾患」など、他の研究事業において組織的な研究の対象となっているもの、及び臨床調査研究分野の対象疾患＜別表１＞は対象としない。

＜研究奨励分野の採択条件＞
・①～⑮に関しては、原則として、提示された対象疾患例を研究対象として網羅すること。
・①～⑮に関しては、対象疾患の推定患者数が判明しており、原則的に関連学会による承認を受けているもしくは受ける予定の診断基準が確立していること（学会診断基準と一致することが重要であり研究班独自の診断基準は認めない）。
・①～⑫、⑭、⑮に関しては、各臨床調査研究班の連携グループとしての組織を形成できること。
・⑯に関しては、①～⑮で提示されていない疾患、または①～⑮で採択された研究課題が研究対象としない疾患を対象とすること。
・⑯に関しては、関連学会の支援を受け、学会承認の診断基準が当研究期間内に作成されることを最低限の目標とすること。
・なお、本研究事業は公費での研究であることを考慮し、作成された診断・治療ガイドラインや各種管理マニュアルなどについては全て難病情報センターにおいて印刷可能な電子媒体として無料公開することを必須とする。また、可能な場合は学会などの公共性あるサイトでの公開も考慮すること（ただし、商業著作物に引用利用される場合の著作権の放棄は求めない）。
・治療法の開発を最終目標とした研究全体のロードマップが明示されていること。また各研究項目について、研究期間内及び研究期間以降（5年後、10年後）の達成目標が具体的な年次で示されていること。
・対象疾患の症例登録、及びそのデータ管理の体制が整備されている、または整備計画が明示されていること。
・ウェブ等を活用して、また患者会等と連携して、対象疾患に関する情報や研究成果を患者及び国民に広く普及する体制、及び患者との双方向のコミュニケーションを可能にする体制が整備されている、または整備計画が明示されていること。
・研究成果を関連学会による診断・治療ガイドラインに反映させるなど、臨床現場に迅速に還元する体制が整備されている、または整備計画が明示されていること。
・遺伝子解析を実施するにあたって、「難病・がん等の疾患分野の医療の実用化研究事業（難病関係研究分野）」の拠点および一般研究班との連携（情報交換、共同研究等）のもとで効率的に解析を進めることが可能であることを拠点班と確約し、整備計画が明示されていること。
・また、研究においてiPS細胞の作製を行う際には、文部科学省および厚生労働省が協働で行う「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」の中核機関、若しくは当研究事業内横断的研究分野の②の研究班と連携すること。具体的には文部科学省採択の中核機関及び難治性疾患克服研究事業の横断的研究分野の②の研究班と当研究事業の個別機関とで共通のインフォームドコンセント書式を作成し、これを用いた患者体細胞や疾患情報の提供などにより疾患研究や創薬をチ

ーム型で実施すること。また、文部科学省採択の中核機関および難治性疾患克服研究事業の横断的研究分野の②の研究班との連携を想定した疾患研究等について評価する。なお文部科学省の事業については、以下を参考にすること。
http://www.mext.go.jp/component/b_menu/other/__icsFiles/afieldfile/2011/10/20/1311673_005.pdf

・また、上記「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」について、文部科学省採択の中核機関との連携を想定した疾患研究等について評価する。
・研究を遂行するにあたって、また上述した研究体制を整備するにあたって、関連する学会から適切な支援が得られること。
・以上の条件を満たした上で、疾患概念の確立、病因・病態の解明、新しい診断・治療・ケアの開発を目指した独創的かつ新規性の高い研究テーマが設定されていること。

＜研究計画書を作成する際の留意点＞
・「７．研究の概要」に対象とする全ての疾患の名称を明記すること。
・「９．期待される成果」に、申請研究終了時に期待される成果と研究全体で長期的に期待される成果を別々に明記すること。また「１０．研究計画・方法」に、年度ごとの計画及び達成目標を記載するとともに、研究全体の目標を達成するための中長期的な（5～10年間の）ロードマップを添付すること。
・「１２．申請者の研究歴等」についてより詳細に把握するために、申請課題に関連して出版した論文のリスト及び論文一式（直接関連したものに限ること）の写しを添付すること。なお、特に⑯の課題に関しては未知の希少性疾患の研究であることから、直接関連論文に限定する意味でも、申請段階における添付論文の多寡は評価しない。
・研究班組織（別添様式１）を添付すること。
・全ての対象疾患について、申請者がこれまでの研究で明らかにした推定患者数、疾患概念、原因とその解明状況、主な症状、主な合併症、主な治療、長期にわたる疾患の状況等を「疾患概要」（別添様式２）に記載し、添付すること。また国際展開も視野に入れた研究開発体制を推進するために同内容の英語版（別添様式３）を記載し、添付すること。
・全ての対象疾患について、既存もしくはこれまでに作成した各疾患の診断基準を添付すること。
・その他、必要に応じて上述の採択条件を満たしていることを証明できる書類を添付すること。

＜別表１　：　臨床調査研究分野の対象疾患＞
【血液系】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、特発性血小板減少性紫斑病（ITP）、特発性血栓症、血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）、原発性免疫不全症候群
【免疫】大動脈炎症候群（高安動脈炎）、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、抗リン脂質抗体症候群、全身性エリテマトーデス（SLE）、皮膚筋炎及び多発性筋炎（PM/DM）、シェーグレン症候群、成人スティル病、ベーチェット病
【内分泌系】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、PRL分泌異常症、ゴナドトロピン分泌異常症、ADH分泌異常症、下垂体機能低下症、クッシング病、先端巨大症、下垂体性TSH分泌異常症、原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）、中枢性摂食異常症
【代謝系】原発性高脂血症（家族性高コレステロール血症（ホモ接合体 ）、アミロイドーシス

【神経・筋】クロイツフェルト・ヤコブ病（CJD） 、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、亜急性硬化性全脳炎（SSPE）、進行性多巣性白質脳炎（PML）、脊髄小脳変性症、多系統萎縮症（線条体黒質変性症、オリーブ橋小脳萎縮症、シャイ・ドレーガー症候群）、副腎白質ジストロフィー、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、パーキンソン病、進行性核上性麻痺、大脳皮質基底核変性症、ハンチントン病、脊髄性筋萎縮症、球脊髄性筋萎縮症、脊髄空洞症、原発性側索硬化症、有棘赤血球舞踏病、ライソゾーム病、ペルオキシソーム病、ミトコンドリア病、多発性硬化症（MS）、重症筋無力症（MG）、ギラン・バレー症候群（GBS）、フィッシャー症候群、慢性炎症性脱髄性多発神経炎（CIDP）、多巣性運動ニューロパチー（ルイス・サムナー症候群）、単クローン抗体を伴う末梢神経炎（クロウ・フカセ症候群）、HTLV-1関連脊髄症（HAM）、正常圧水頭症、モヤモヤ病（ウィリス動脈輪閉塞症）
【視覚系】網膜色素変性症、加齢性黄斑変性症、難治性視神経症
【聴覚・平衡機能系】メニエール病、遅発性内リンパ水腫、突発性難聴、特発性両側性感音難聴
【循環器系】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、ファブリー病、家族性突然死症候群
【呼吸器系】特発性間質性肺炎、びまん性汎細気管支炎、サルコイドーシス、肺動脈性肺高血圧症、慢性血栓塞栓性肺高血圧症、若年性肺気腫、ランゲルハンス細胞組織球症、肥満低換気症候群、肺胞低換気症候群、リンパ脈管筋腫症（LAM）
【消化器系】潰瘍性大腸炎、クローン病、原発性胆汁性肝硬変、自己免疫性肝炎、難治性の肝炎のうち劇症肝炎、肝内結石症、肝内胆管障害、バッド・キアリ（Budd-Chiari）症候群、特発性門脈圧亢進症、肝外門脈閉塞症、重症急性膵炎、膵嚢胞線維症、慢性膵炎
【皮膚・結合組織】表皮水疱症（ 接合部型及び栄養障害型） 、膿胞性乾癬、天疱瘡、先天性魚鱗癬様紅皮症、強皮症、好酸球性筋膜炎、硬化性萎縮性苔癬、混合性結合組織病、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）、色素性乾皮症（XP） 、重症多形滲出性紅斑（急性期）
【骨・関節系】後縦靱帯骨化症、広範脊柱管狭窄症、黄色靱帯骨化症、前縦靱帯骨化症、進行性骨化性線維異形成症（FOP）、特発性大腿骨頭壊死症、特発性ステロイド性骨壊死症
【腎・泌尿器系】IgＡ 腎症、急速進行性糸球体腎炎、難治性ネフローゼ症候群、多発性嚢胞腎
【スモン】スモン

ＨＴＬＶ－１関連疾患研究領域（再掲）

＜事業概要＞

ＨＴＬＶ－１(ヒトＴ細胞白血病ウイルス１型)の感染者数は約100万人以上と推定されており、ＨＴＬＶ－１への感染に起因して、ＡＴＬ(成人Ｔ細胞白血病)やＨＡＭ(ＨＴＬＶ－１関連脊髄症)といった重篤な疾病を発症するが、これらの疾病の有効な治療法は未だ確立されていない。

ＨＴＬＶ－１関連疾患研究領域は、平成22年12月に、総理官邸のＨＴＬＶ－１特命チームにおいて「ＨＴＬＶ－１総合対策(*)」がとりまとめられたことを踏まえ、ＨＴＬＶ－１及びこれに起因するＡＴＬ・ＨＡＭについての研究を推進するために設置された。ＨＴＬＶ－１関連疾患について、疫学的な実態把握とともに、病態解明から診断・治療など医療の向上に資する研究に戦略的に取り組み、国際的にも当該分野の研究を先導することを目指している。

当該研究領域における研究は、それぞれの公募課題の趣旨に応じて、第３次対がん総合戦略研究事業、がん臨床研究事業、難治性疾患克服研究事業、新型インフルエンザ等新興・再興感染症研究事業の中で実施するものであるが、ＨＴＬＶ－１関連疾患研究領域として総合的かつ横断的に取り組むことで、研究の戦略的な推進を期待するものである。

(*)ＨＴＬＶ－１総合対策

http://www.mhlw.go.jp/bunya/kenkou/kekkaku-kansenshou19/dl/htlv-1_a.pdf

この公募は、本来、平成24年度予算成立後に行うべきものであるが、できるだけ早く研究を開始するために、予算成立前に行うこととしているものである。従って、成立した予算の額に応じて、研究費の規模、採択件数等の変更が生じる場合等がある。

＜新規課題採択方針＞

本研究領域においては、ＨＴＬＶ－１関連疾患に対して戦略的に研究を行い、総合的な対策に寄与するため、疫学的な実態把握、病態解明、発症の予防、新規医薬品の開発、診断・治療法の開発・確立等にわたる研究を行う。ＨＴＬＶ－１以外のウイルスに関する研究成果を十分に踏まえて応用するなど、ＨＴＬＶ－１関連疾患の克服に向けたビジョンを踏まえた合理的な戦略に基づいて実施する研究や、臨床現場に還元できる診断・治療法の開発・標準的な治療法の確立など医療の向上に貢献する研究を推進する。ＨＴＬＶ－１関連疾患研究領域の他の研究班とも連携を図りつつ、当該分野の研究を総合的・戦略的に推進する一翼を担うことが求められるものである。このため、継続・新規の他の研究課題との重複等についても審査を行い、重複する研究については採択しない。

（１）生活習慣病・難治性疾患克服総合研究事業

研究費の規模：１課題当たり、１年当たりの研究費

（イ）①　30,000～300,000千円、②100,000～300,000千円

（エ）　20,000～50,000千円

研究期間：　（イ）１～３年、（エ）２年

新規採択予定課題数：公募研究課題（イ）①、②各３課題程度　（エ）１～２課題程度

＜公募研究課題＞

（１）生活習慣病・難治性疾患克服総合研究事業

難治性疾患克服研究事業

【一般公募型】

（イ）重点研究分野

希少難治性疾患に対する新たな医薬品技術に実用化に関する研究

①ステップ１…医師主導治験への移行を目的とした非臨床試験（GLP）（安全性薬理試験、毒性試験、薬物動態試験等）、製剤または製品の確保（治験薬のGMP製造製品のQMS製造等）、治験プロトコールの作成、治験相談の実施

（公募課題番号　２４１３１２０１）

②ステップ２…医師主導治験の実施（治験届、第Ⅰ相試験、第Ⅱ相試験、POC（proof of concept）の取得、GMP・QMS製造等）

（公募課題番号　２４１３１３０１）

（エ）研究奨励分野

臨床調査研究分野に含まれておらず、「希少性（おおむね5万人未満）・原因不明・効果的な治療方法未確立・生活面への長期にわたる支障」という4要素を満たす疾患（満たす可能性がある場合を含む）であり、臨床調査研究班等により組織的・体系的に研究が行われてこなかった希少難治性疾患について、医療関係者等の関心を高め、患者や病態の実態把握等を目的とする。

研究費の効率的活用の観点から、がんなど、他の研究事業において組織的な研究の対象となっているものは対象としない。また、ＨＴＬＶ－１に起因する希少難治性疾患について、以下の疾患群のうちいずれか該当するものへの応募を受け付けることとするが、臨床調査研究分野の対象疾患であるＨＡＭは対象としない。

①血液・凝固系の希少難治性疾患群に関する調査研究

（公募課題番号　２４１３１８０１）

②免疫系の希少難治性疾患群に関する調査研究

（公募課題番号　２４１３１９０１）

③内分泌系・代謝系の希少難治性疾患群に関する調査研究

（公募課題番号　２４１３２００１）

④神経・筋の希少難治性疾患群に関する調査研究

（公募課題番号　２４１３２１０１）

⑤視覚系の希少難治性疾患群に関する調査研究

（公募課題番号　２４１３２２０１）

⑥聴覚･平衡機能系の希少難治性疾患群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３２３０１）

⑦循環器系の希少難治性疾患群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３２４０１）

⑧呼吸器系の希少難治性疾患群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３２５０１）

⑨消化器系の希少難治性疾患群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３２６０１）

⑩皮膚･結合組織の希少難治性疾患群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３２７０１）

⑪骨･関節系の希少難治性疾患群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３２８０１）

⑫腎･泌尿器系の希少難治性疾患群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３２９０１）

⑬先天性異常の疾患群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３３００１）

⑭IgG4関連症候群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３３１０１）

⑮特発性好酸球増加症候群に関する調査研究
（公募課題番号　２４１３３２０１）

⑯その他、希少難治性疾患に関する奨励研究
（公募課題番号　２４１３３３０１）