

# 難治性疾患研究開発・支援センター の取組と今後の展望

難治性疾患研究開発・支援センター長  
木村友則

# 難治性疾患研究開発・支援センターの創設

## 設立経緯

中長期計画のコアである、難治性疾患研究開発拠点として設立された。

## 中長期計画期間

平成29年度から平成33年度

平成30年10月よりセンター長交代

## 目的

1. 難治性疾患に対して病態解明と治療法開発を目指す。
2. 難治性疾患研究に必要な情報と検体、モデル動物を整備する。

# 難治性疾患研究の特徴と戦略

## 1. 病態が複雑で未解明である。

一つの研究分野から病態を追及しても上手く行かない。  
複合的視点からのアプローチが必要である。

## 2. 得られる情報に限りがあることが多い。

難病情報の整理が重要である。

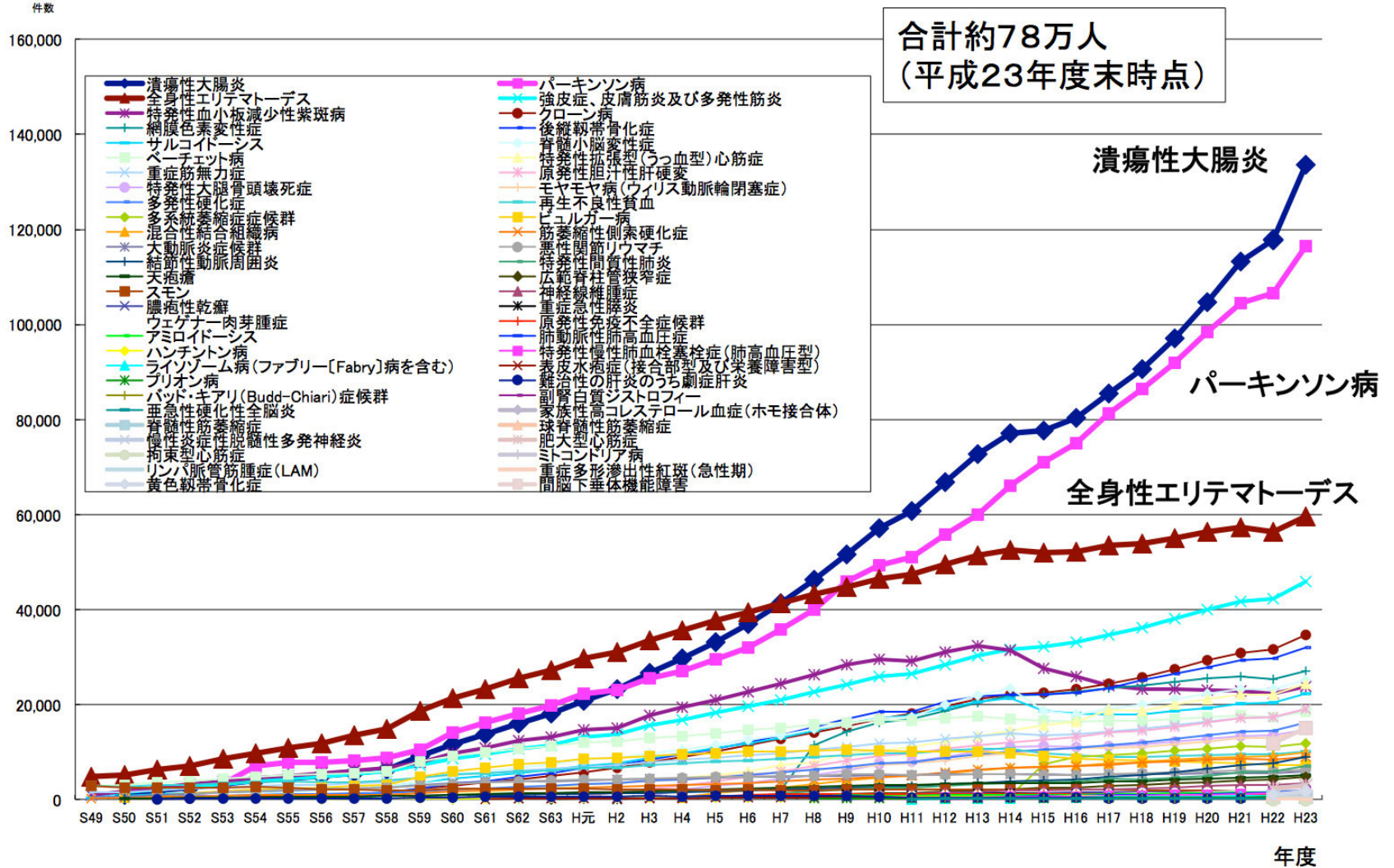
## 3. 難病の種類は多岐に渡る。

難病研究のボトムアップが必要である。

これらを難治性疾患研究センターがオーガナイズする。

# 特定疾患治療研究事業疾患別受給者件数の推移

合計約78万人  
(平成23年度末時点)



# センター1年半を振り返ると・・・

## ■ 難治性疾患治療開発・支援室

達成 臨床個人票の安定したDB化(120万件)

課題 DBの利活用、創薬への応用

## ■ 難病資源研究室

達成 検体収集システムと病気情報の整備

課題 臨床研究計画不在の検体、創薬への応用

## ■ 疾患モデル小動物研究室

達成 年間50件のノックアウト

課題 難病病態研究への応用

### 新規目標

1. 創薬のためのプラクティカルな支援体制の作成。
2. 自らも創薬を目指した研究を展開する。
3. 産学連携の強化

# 難治性疾患研究開発支援センター新構想

## リバーストランスレーショナル 研究プロジェクト

リバトラ視点の細胞生物学的手法、動物実験と臨床研究を展開し病態を解明する。

## 製薬会社

難病情報と検体の活用  
難病創薬の共同研究開発

## 治療開発・支援室

難病データベースの作成  
難病情報の提供

## 資源研究室

難病リソースライブラリーの運営  
難病検体の提供  
インフォマティクス

## 難治性疾患研究開発・ 支援センター

## 疾患モデル

モデル動物作成と解析

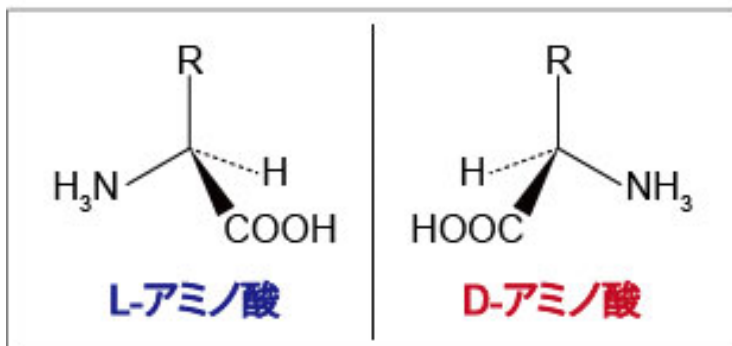
フロンティア研究開発領域

## KAGAMIプロジェクト

キラルアミノ酸による腎臓病の診断と治療  
キラルアミノ酸の生理活性の検討

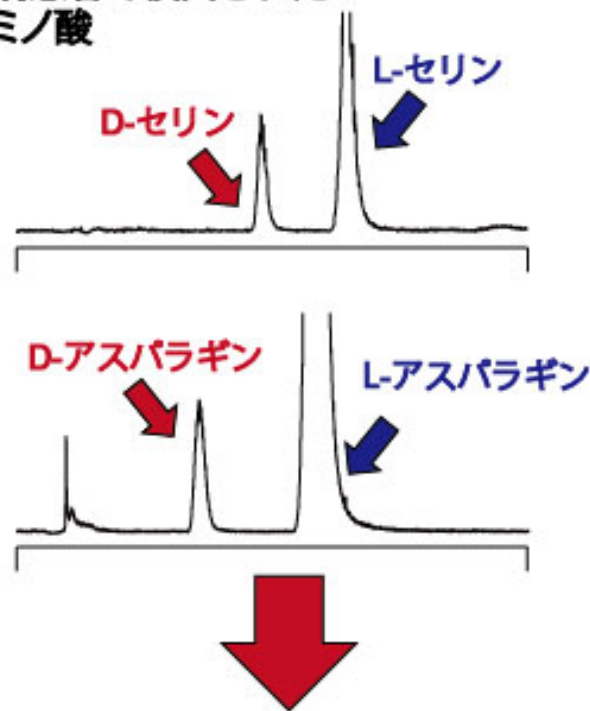
# KAGAMIプロジェクト

## キラルアミノ酸

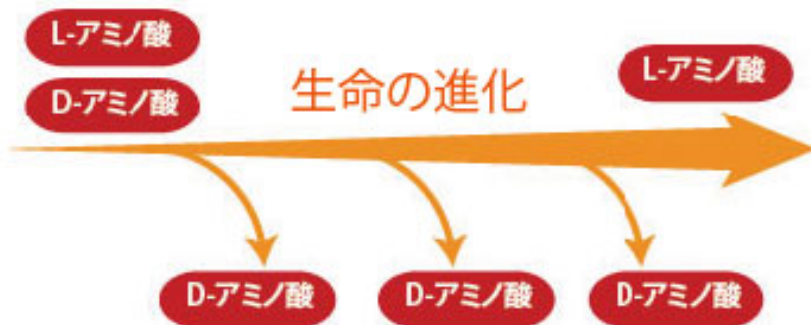


しかしごく微量のD-アミノ酸は体内に存在します。

腎臓病患者で検出されたD-アミノ酸



生命の進化の過程でD-アミノ酸は排除されてきました。



メカニズムの解明から生命現象の解明にまで迫ります。

Key Amino acids for Global Advanced Medical innovation

# KAGAMIプロジェクト

- 発足

平成29年7月

- 目的

慢性腎臓病に対する新たな診断薬と治療法の開発

- アプローチ

最先端の技術基盤の応用と開発。

産学連携を推進し、オールジャパンの研究展開を目指す。

- 主な成果

2018年 特許5報

臨床検査薬開発のための臨床治験の準備中



# 難治性疾患センターの業務内容

- 1.最先端分析技術の開発・応用を通じた病態の  
解明による診断法と治療法の開発
- 2.分子細胞生物学的基盤研究による疾患制御と治  
療法開発
- 3.難治性疾患情報の収集と整備
- 4.難治性疾患研究者の育成

# 難治性疾患研究開発支援センター新構想

リバーストランスレーショナル  
研究プロジェクト

製薬会社

難治性疾患研究開発・  
支援センター

治療開発・支援室

資源研究室

**連携**  
各チームと個人の強みを  
活用

疾患モデル

↓  
**創薬**

フロンティア研究開発領域  
**KAGAMIプロジェクト**



10月24日  
所信表明と集合写真