

難病・希少疾患のNeeds & Wants List

興味のある疾患	難治性の希少疾患 (※難治性：既存治療法がない、もしくは奏効しない、希少疾患：有病率<0.1%)
対象	<ul style="list-style-type: none"> ・創薬シーズ ・創薬標的、コンセプト ・創薬に活用できる技術
シーズ	<p>低分子化合物、ペプチドであって、以下のいずれかを満たすもの。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・少なくともin vitroで疾患原因に直接的に作用を示すことが確認されている、もしくは強く期待される。 ・動物モデルで病態に対する改善効果が確認されている。
創薬標的	<p>①文献発表されておらず、かつ、以下のいずれかを満たすもの。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・新規の原因遺伝子、もしくは病態の進展に強く関わるものが期待される標的 (in vivoでPOCが確認されていることが望ましい) ・病態の予後や生活動作の改善が期待できる創薬コンセプト <p>②文献発表の如何に関わらず、免疫の異常により発症もしくは増悪する疾患に対して以下のいずれかを満たすもの。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・特に自己免疫疾患や自己炎症性疾患への適応が考えられる標的(既存治療と差別化ができるものが望ましい) ・治療満足度が低い疾患の病態、もしくは症状を改善させる標的
創薬技術	<p>新規、もしくは他に実施例が少ない指標（表現系など）を評価する技術。例えば以下に示すもの。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ヒト病態を反映した疾患モデル動物作製 ・病態を反映した細胞実験系 <p>特定の組織に薬物を集積させる技術 中枢移行性を高める技術</p>

2023年9月時点