

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、対症療法のみ、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	低分子化合物、ペプチドの他、各種モダリティであって、以下のいずれかを満たすもの。 <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	以下のいずれかを満たすもの（未発表であることが望ましい）。 <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。・既存治療と差別化ができるもの。
創薬技術	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。 <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・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・非ウィルスの手法により遺伝子を補充する技術

2026年2月時点