

**(別添2) 医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標(KPI)のフォローアップ
(平成27年度終了時点)**

医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標(KPI)のフォローアップ(平成27年度終了時点)

参考7 - 別添2

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
Ⅱ. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策				
2. 新たな医療分野の研究開発体制が担うべき役割				
(2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施				
○ 医薬品創出				
【2015年度までの達成目標】				
・相談・シーズ評価 400件	421件	・相談・シーズ評価については、大学等の研究者からの医薬品開発に関する相談に応じるとともに、大学等への訪問や早期・探索的臨床試験拠点等18機関との連携構築等を通じて、効果的な創薬シーズの情報収集を行い、医薬品としての実用化の可能性の高い基礎研究の成果について目利き評価・相談を421件行った。	-	・創薬支援ネットワークによる集計
・有望シーズへの創薬支援 40件	44件	・有望シーズへの創薬支援については、医薬品としての実用化の可能性が高いと評価された創薬シーズについて、創薬支援ネットワークによる創薬支援を44件実施した。	-	・創薬支援ネットワークによる集計
・企業への導出(ライセンスアウト)1件	0件	・企業への導出については、製薬企業等への円滑な導出による早期の実用化を図るため、製薬企業等の重点開発領域等やニーズを基に導出活動を行い、導出先の公募まで至ったものが1件となった。 ※同プロジェクトの他事業で合計3件導出。	-	・創薬支援ネットワークによる集計
【2020年頃までの達成目標】				
・相談・シーズ評価 1500件	421件	・相談・シーズ評価については、大学等の研究者からの医薬品開発に関する相談に応じるとともに、大学等への訪問や早期・探索的臨床試験拠点等18機関との連携構築等を通じて、効果的な創薬シーズの情報収集を行い、医薬品としての実用化の可能性の高い基礎研究の成果について目利き評価・相談を421件行った。	・相談・シーズ評価については、引き続き大学等の研究者からの医薬品開発に関する相談に応ずるとともに、大学等への訪問や早期・探索的臨床試験拠点等との連携構築等を通じて、2020年頃までの目標件数の達成にむけて推進していく予定である。	・創薬支援ネットワークによる集計
・有望シーズへの創薬支援 200件	44件	・有望シーズへの創薬支援については、医薬品としての実用化の可能性が高いと評価された創薬シーズについて、創薬支援ネットワークによる創薬支援を44件実施した。	・有望シーズへの創薬支援については、「創薬支援推進事業」(2016年度予算額3,399,544千円)等を通じて、2020年頃までの目標件数の達成に向けて推進していく予定である。	・創薬支援ネットワークによる集計
・企業への導出(ライセンスアウト) 5件	0件	・企業への導出については、現時点で支援を行っているシーズには、企業導出が期待できるものが複数あることから、今後、導出の可能性が期待できる。	・企業への導出については、企業導出が期待できる創薬シーズが複数あるため、2020年頃までの目標件数の達成に向けて推進していく予定である。	・創薬支援ネットワークによる集計
・創薬ターゲットの同定 10件	8件	・創薬ターゲットの同定については、2014年度の2つに加え、2015年度は「革新的先端研究開発支援事業」の一部(2015年度予算額764,091千円)において、2つは動物での造腫瘍能を確認し、1つは培養細胞系でがん化能を確認、1つは治療後再発を予測するためのバイオマーカーであることを確認し、1つは抗がん剤による治療可能性を確認し、1つはインフルエンザ発症に関する宿主因子標的として有用であることを確認した。また、培養細胞で高増殖能を有するインフルエンザウイルスを作出した。	・創薬ターゲットの同定については、「革新的先端研究開発支援事業」の一部(2016年度予算額782,940千円)において、引き続き、創薬ターゲットの同定を目標件数の達成に向けて推進していく予定である。	日本医療研究開発機構による集計

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
○ 医療機器開発				
【2015年度までの達成目標】				
・医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインを新たに10本策定	15本	・2015年度までに15本策定した。	—	経産省「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」による策定数
・国内医療機器市場規模の拡大(2011年2.4兆円→2.7兆円)	2.79兆円(2014年)	・2014年に2.79兆円を達成した。	—	薬事工業生産動態統計
【2020年頃までの達成目標】				
・医療機器の輸出額を倍増(2011年約5千億円→約1兆円)	5.7千億円(2014年)	・2014年に5.7千億円を達成した。	・医療機器開発支援ネットワーク(「医工連携事業化推進事業」(2016年度予算額3,500,000千円)の一部)、「医工連携事業化推進事業」(2016年度予算額3,500,000千円)により、伴走コンサルやJETRO、MEJIによる支援を通じて海外展開の支援施策を実施しており、目標に向けて取り組んでいるところ。	薬事工業生産動態統計
・5種類以上の革新的医療機器の実用化	複数種類の革新的医療機器を開発中(2015年)	・9種のテーマ(平成28年3月現在)で事業を実施、各テーマにて複数の機器開発を予定しており、着実に執行していくことで、目標達成の見込み。	・2016年度には新たに1種の医療機器開発を開始予定である。	経産省「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」による機器開発数
・国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円	2.79兆円(2014年)	・2014年に2.79兆円を達成した。	・国内医療機器市場規模の拡大に向けては、「医療機器開発支援ネットワーク」(「医工連事業化推進事業」(2016年度予算額3,500,000千円)の一部)、「医工連携事業化推進事業」(2016年度予算額3,500,000千円)や「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」(2016年度予算額4,390,000千円)等を通じて、医療機器の競争力の強化に取組、目標達成を目指していく予定である。	薬事工業生産動態統計
○ 革新的な医療技術創出拠点				
【2015年度までの達成目標】				
・医師主導治験届出数 年間21件	31件	・文部科学省事業で整備を実施している「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」(2015年度予算額7,621,146千円)と厚生労働省事業で整備を実施している「臨床研究開発推進事業」(「未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業」(2015年度予算額363,248千円)、「臨床研究品質確保体制整備事業」(2015年度予算額1,446,410千円)、「世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器創出のための臨床試験拠点整備事業」(2015年度予算額236,395千円)、「臨床試験支援機能構築事業」(2015年度予算額358,176千円))の整備を進めるとともに、それらの拠点における進捗管理や成果報告会を一体化して実施するなど、革新的医薬品、医療機器等の創出のための医師主導治験やFIH試験の実施を推進した。なお、2015年度の医師主導届出数は31件で、順調に進捗した。	—	2015年度拠点調査により算出

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
・Fist in Human(FIH)試験(企業治験含む)年間26件	16件	・文部科学省事業で整備を実施している「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」(2015年度予算額7,621,146千円)と厚生労働省事業で整備を実施している「臨床研究開発推進事業」(「未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業」(2015年度予算額363,248千円)、「臨床研究品質確保体制整備事業」(2015年度予算額1,446,410千円)、「世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器創出のための臨床試験拠点整備事業」(2015年度予算額236,395千円)、「臨床試験支援機能構築事業」(2015年度予算額358,176千円))の整備を進めるとともに、それらの拠点における進捗管理や成果報告会を一体化して実施するなど、革新的医薬品、医療機器等の創出のための医師主導治験やFIH試験の実施を推進した。なお、2014年度の実績(26件)や研究開発の性質を踏まえれば、2015年度も概ね順調に進捗した。	—	2015年度拠点調査により算出
【2020年頃までの達成目標】				
・医師主導治験届出数 年間40件	31件	・文部科学省事業で整備を実施している「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」(2015年度予算額7,621,146千円)と厚生労働省事業で整備を実施している「臨床研究開発推進事業」(「未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業」(2015年度予算額363,248千円)、「臨床研究品質確保体制整備事業」(2015年度予算額1,446,410千円)、「世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器創出のための臨床試験拠点整備事業」(2015年度予算額236,395千円)、「臨床試験支援機能構築事業」(2015年度予算額358,176千円))の整備を進めるとともに、それらの拠点における進捗管理や成果報告会を一体化して実施するなど、革新的医薬品、医療機器等の創出のための医師主導治験やFIH試験の実施を推進した。なお、2015年度の医師主導届出数は31件で、順調に進捗した。	・2016年度においても、引き続き、橋渡し研究加速ネットワークプログラム(2016年度予算額6,004,146千円の内数)と厚生労働省事業で整備を実施している臨床研究開発推進事業(未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業(2016年度予算額1,766,820千円)、臨床研究品質確保体制整備事業(2016年度予算額434,440千円))の整備を一体的に進め、革新的医薬品、医療機器等の創出のための医師主導治験やFIH試験の実施を推進する予定である。	2015年度拠点調査により算出
・First in Human(FIH)試験(企業治験含む)年間40件	16件 (2015年4月～2016年3月)	・文部科学省事業で整備を実施している「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」(2015年度予算額7,621,146千円)と厚生労働省事業で整備を実施している「臨床研究開発推進事業」(「未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業」(2015年度予算額363,248千円)、「臨床研究品質確保体制整備事業」(2015年度予算額1,446,410千円)、「世界に先駆けた革新的医薬品・医療機器創出のための臨床試験拠点整備事業」(2015年度予算額236,395千円)、「臨床試験支援機能構築事業」(2015年度予算額358,176千円))の整備を進めるとともに、それらの拠点における進捗管理や成果報告会を一体化して実施するなど、革新的医薬品、医療機器等の創出のための医師主導治験やFIH試験の実施を推進した。なお、2014年度の実績(26件)や研究開発の性質を踏まえれば、2015年度も概ね順調に進捗した。	・2016年度においても、引き続き、「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」(2016年度予算額6,004,146千円の内数)と厚生労働省事業で整備を実施している「臨床研究開発推進事業」(「未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業」(2016年度予算額1,766,820千円)、「臨床研究品質確保体制整備事業」(2016年度予算額434,440千円))の整備を一体的に進め、革新的医薬品、医療機器等の創出のための医師主導治験やFIH試験の実施を推進する予定である。	2015年度拠点調査により算出
○ 再生医療				
【2015年度までの達成目標】				
・ヒト幹細胞等を用いた研究の臨床研究又は治験への移行数約10件 (例:加齢黄斑変性、角膜疾患、膝半月板損傷、骨・軟骨再建、血液疾患)	21件	・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(2015年度予算額9,953,067千円、うち調整費960,000千円)等で推進する研究開発について、逸脱を伴う半月板損傷・加齢黄斑変性等に関する研究8件が臨床研究又は治験へ移行した。 ・「再生医療実用化研究事業」(2015年度予算額3,027,142千円、うち調整費245,000千円)等で推進する研究開発について、小児心不全・表皮水疱症等13件の研究が臨床研究又は治験を開始した。	—	2015年度末までの研究開発状況に基づき集計。

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
・iPS細胞を用いた創薬技術の開発	—	・疾患特異的iPS細胞の樹立・寄託が順調に進捗し、ヒトiPS細胞から目的細胞に分化誘導する方法も確立されつつある。また、分化誘導した細胞を用いた創薬スクリーニングが実施され、候補化合物が同定された例も認められている。	—	—
【2020年頃までの達成目標】				
・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用	—	・難病患者由来の血液細胞や線維芽細胞からiPS細胞の樹立が行われ、創薬等研究において、ドラッグ・リポジショニングの可能性を示す報告がなされた。また、ヒトiPS細胞から血管内皮細胞、骨・軟骨細胞、神経細胞等を分化誘導する方法が確立されつつあるなど、iPS細胞技術を活用して新規治療薬を作製する研究は、臨床応用に向けて順調に進捗している。	・引き続き、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。	—
・再生医療等製品の薬事承認数の増加	4品目	・2015年9月に、「ヒト(自己)骨格筋由来細胞シート」及び「ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞」が承認され、再生医療等製品の薬事承認数は4品目。	・引き続き、再生医療等製品の迅速な審査に取組む、企業等による製品化を支援しつつ、再生医療等製品の実用化を促進する。	2015年度末までの承認状況に基づき集計
・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 約15件	21件	・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(2015年度予算額9,953,067千円、うち調整費960,000千円)等で推進する研究開発について、逸脱を伴う半月板損傷・加齢黄斑変性等に関する研究8件が臨床研究又は治験へ移行した。 ・「再生医療実用化研究事業」(2015年度予算額3,027,142千円、うち調整費245,000千円)等で推進する研究開発について、小児心不全・表皮水疱症等13件の研究が臨床研究又は治験を開始した。	・引き続き、iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行う。	2015年度末までの研究開発状況に基づき集計
・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	—	・2015年度に試作したiPS細胞の細胞製造システムによる細胞培養検証や幹細胞の品質評価に有用なゲノム異常の高感度検出技術の開発など、個々の要素技術開発について計画どおり進捗している。	・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化を目指し、引き続き、iPS細胞等の大量培養システム、細胞加工システム等の技術開発を推進し、再生医療関連の周辺産業の基盤整備を進める。	—
・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言	—	・研究班で開発した心毒性評価系の検証試験等の進捗状況を、米国等で開催された複数の国際会議(2015年5月(ボストン、北京)、2015年9月(プラハ))で報告し、新たな心毒性評価法の国際標準化に向けた国際的な議論に引き続き参加している。また、これまで進めていた検証試験が終了し、その結果を踏まえたさらなる国際検証試験の計画を立案した。	・研究班で実施した検証試験等の結果を国際会議に報告し、新たな心毒性評価法の国際的な議論に引き続き参加する。	—
○ オーダーメイド・ゲノム医療				
【2015年度までの達成目標】				
・バイオバンクジャパン、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク、東北メディカル・メガバンク等の連携の構築	—	・「オーダーメイド医療の実現プログラム」(2015年度予算額3,259,616千円、うち調整費1,110,000千円)では、BBJ、NCBN、臨床試験グループが連携し、試料の共同解析や共同保管を2015年2月から継続している。また、BBJと東北メディカル・メガバンク、日本多施設共同コホート研究、多目的コホート研究の連携により、日本人一般集団約3.4万人のSNPデータセットを構築し(2014年6月)、疾患関連遺伝子研究のコントロールデータとして活用した。さらに、BBJと日本病理学会の連携により、ゲノム解析用病理組織検体取扱い規約の策定及び規定周知を目的としたセミナーを実施した(2016年3月)。	—	—

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
・疾患に関する全ゲノム・多様性データベースの構築	-	・「オーダーメイド医療の実現プログラム」(2015年度予算額3,259,616千円、うち調整費1,110,000千円)では、5疾患(薬疹、心筋梗塞、大腸がん、前立腺がん、乳がん)の1041例について全ゲノムシーケンス解析を実施(平成25年10月～平成26年7月)し、2000万個以上の日本人のSNPを含むデータベースを構築した(平成28年3月)。	-	-
・日本人の標準的なゲノム配列の特定、疾患予後遺伝子の同定	-	・「東北メディカル・メガバンク計画」(2015年度予算額4,151,000千円、うち調整費595,000千円)では、15万人規模の健常者バイオバンクの構築を目指して、協力者の生体試料、健康情報、診療情報等を収集した(133,230人:2016年3月時点)。また、約1000人分の全ゲノム解析を実施(2013年11月)し、全頻度の遺伝子多型情報を全ゲノムリファレンスパネルとして一般公開(2015年12月)し、日本人特有のゲノム配列も考慮した解析基盤の構築を進めた。 ・「オーダーメイド医療の実現プログラム」(2015年度予算額3,259,616千円、うち調整費1,110,000千円)では、32疾患14万人について追跡率96%平均追跡期間7.7年の予後情報を整備した。	-	-
・抗てんかん薬の副作用の予測診断の確立	-	・「オーダーメイド医療の実現プログラム」(2015年度予算額3,259,616千円、うち調整費1,110,000千円)では、抗てんかん薬適応症例1202例のSNP解析を行い(2014年12月～2015年6月)、薬疹の副作用予測に関する遺伝子検査の有用性を検証した。	-	-
【2020年-2030年頃までの達成目標】				
・生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など)の劇的な改善	-	・「オーダーメイド医療の実現プログラム」(2015年度予算額3,259,616千円、うち調整費1,110,000千円)では、2型糖尿病のリスクを1.1～1.2倍に上昇させる新規の遺伝子領域を同定した(2015年6月)。同定された遺伝子領域の7つのうち3つについては日本人に特徴的であると考えられた。また、2型糖尿病及び脂質異常症の発症への関与が示唆される遺伝子も同定した(2015年11月)。さらに、心筋梗塞・不安定狭心症と関連する遺伝子領域を複数個と、心房細動の発症に寄与すると考えられるSNPを新たに5つ同定した(2015年8月)。	・「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」(2016年度予算額1,933,000千円)のもと、引き続き、生活習慣病の発症・重症化予測等、臨床応用に向けた研究を実施する。	-
・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断の確立	-	・「オーダーメイド医療の実現プログラム」(2015年度予算額3,259,616千円、うち調整費1,110,000千円)では、抗がん剤ハーセプチンによる心毒性の副作用症例を用いたゲノム解析を終了し、心毒性のバイオマーカー候補となる8多型を同定した(2015年9月)。	・「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」(2016年度予算額1,933,000千円)のもと、引き続き、発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断の確立に向けた研究を実施する。	-
・うつ、認知症のゲノム医療に係る臨床研究の開始	-	・「オーダーメイド医療の実現プログラム」(2015年度予算額3,259,616千円、うち調整費1,110,000千円)では、認知症の疾患関連遺伝子解析に向けた臨床研究として、2013年度より血液サンプルと臨床情報の収集を開始し、2015年度末までにうつ病360症例、認知症508症例を収集した。	・「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」(2016年度予算額1,933,000千円)のもと、引き続き、うつ、認知症のゲノム医療に係る臨床研究を行う。	-

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発	-	・「オーダーメイド医療の実現プログラム」(2015年度予算額3,259,616千円、うち調整費1,110,000千円)では、インターフェロンβ療法を受けている多発性硬化症症例のゲノム解析を行い(2015年1月)、インターフェロンβ治療反応性に関連する可能性をもつと考えられる候補SNPの探索を実施した。また、肢帯型筋ジストロフィー類縁疾患と診断され、全エクソームシーケンス解析で原因遺伝子が同定されていない症例50例について、全ゲノムシーケンス解析を実施(2015年3月)、原因遺伝子の探索に着手した。	・「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」(2016年度予算額1,933,000千円)のもと、引き続き、神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発等、臨床応用に向けた研究を実施する。	-
○ 疾患に対応した研究<がん>				
【2015年度までの達成目標】				
・新規抗がん剤の有望シーズを10種取得	17種	・「がん研究10か年戦略」(平成26年3月関係3大臣確認)に基づいて、「次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム」(2015年度予算額5,281,167千円、うち調整費180,000千円)では、次世代のがん医療の確立に向けて、基礎研究の有望な成果を厳選し、診断・治療薬に資する治験等に利用可能な化合物等の研究を推進し、17種のシーズを取得した。	-	・次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラムによる集計
・早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカーを5種取得	10種	・「がん研究10か年戦略」(平成26年3月関係3大臣確認)に基づいて、「次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム」(2015年度予算額5,281,167千円、うち調整費180,000千円)では、次世代のがん医療の確立に向けて、基礎研究の有望な成果を厳選し、診断・治療薬に資する治験等に利用可能な化合物等の研究を推進し、10種のバイオマーカーを取得した。	-	・次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラムによる集計
・がんによる死亡率を20%減少(2005年の75歳未満の年齢調整死亡率に比べて2015年に20%減少させる)	人口10万対92.4(H17)→79.0(H26)	・厚生労働省が中心となり、2015年12月に「がん対策加速化プラン」を策定した。	-	・人口動態調査
【2020年頃までの達成目標】				
・5年以上に日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出	6種	・「がん研究10か年戦略」(2014年3月関係3大臣確認)に基づいて「革新的がん医療実用化研究事業」(2015年度予算額9,635,156千円、うち調整費971,200千円)では、非臨床試験及び国際基準に準拠した臨床試験を推進し、6課題が治験に導出された。	・「がん研究10か年戦略」に基づいて、「革新的がん医療実用化研究事業」(2016年度予算額8,059,971千円)で、非臨床試験及び国際基準に準拠した臨床試験を推進していく。	・革新的がん医療実用化研究事業の導出件数
・小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた6種類以上の治験への導出	9種	・「がん研究10か年戦略」(2014年3月関係3大臣確認)に基づいて「革新的がん医療実用化研究事業」(2015年度予算額9,635,156千円、うち調整費971,200千円)では、非臨床試験及び国際基準に準拠した臨床試験を推進し、小児がん、難治性がん、希少がん等に関する9課題が治験に導出された。	・「がん研究10か年戦略」に基づいて、「革新的がん医療実用化研究事業」(2016年度予算額8,059,971千円)で、非臨床試験及び国際基準に準拠した臨床試験を推進していく。	・革新的がん医療実用化研究事業の導出件数
・小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加	0種	・目標年度までの薬事承認、効能追加を目指し、「革新的がん医療実用化研究事業」(2015年度予算額9,635,156千円、うち調整費971,200千円)により医師主導治験等を計39課題支援した。	・「がん研究10か年戦略」に基づいて、「革新的がん医療実用化研究事業」(2016年度予算額8,059,971千円)で、非臨床試験及び国際基準に準拠した臨床試験を推進していく。	・革新的がん医療実用化研究事業の導出件数
・いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	開発着手ラグ 37.5ヶ月(H25)	・希少がん等に関して新規薬剤開発及び未承認薬の適応拡大を目指した臨床研究を実施した。	・「がん研究10か年戦略」に基づいて、「革新的がん医療実用化研究事業」(2016年度予算額8,059,971千円)で、非臨床試験及び国際基準に準拠した臨床試験を推進していく。	・厚生労働科学研究研究班による調査

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)	0件	・「がん研究10か年戦略」(2014年3月関係3大臣確認)に基づいて、「革新的がん医療実用化研究事業」(2015年度予算額9,635,156千円、うち調整費971,200千円)では、小児・高齢者のがん、希少がん等に関する標準治療確立に資する多施設共同臨床研究を計48課題実施した。	・「がん研究10か年戦略」(2014年3月関係3大臣確認)に基づいて、「革新的がん医療実用化研究事業」(2016年度予算額8,059,971千円)で、標準治療確立に資する多施設共同臨床研究を推進していく。	・革新的がん医療実用化研究事業の導出件数
○ 疾患に対応した研究<精神・神経疾患>				
【2015年度までの達成目標】				
・分子イメージングによる超早期認知症診断方法を確立	-	・「認知症研究開発事業」(2015年度予算額1,104,341千円、うち調整費458,000千円)により、アルツハイマー病等の認知症におけるアミロイドPET検査の臨床適応等の適正使用のガイドライン作成を完了、公開した(2015年4月)。	-	-
・精神疾患の診断、薬物治療の反応性及び副作用に関するバイオマーカー候補を新たに少なくとも一つ発見し、同定プロセスのための臨床評価を終了	-	・「障害者対策総合研究開発事業」(2015年度予算額446,473千円、うち調整費92,700千円)により、様々なタイプのうつ病患者、及び健常者の末梢血を含む多軸的データを取得し、その中で、血液メタボローム解析により、抑うつ重症度を反映するバイオマーカーの予備的同定を完了し(2015年9月)、米国特許出願を行った(2015年11月)。	-	-
【2020年頃までの達成目標】				
・日本発の認知症、うつ病などの精神疾患の根本治療薬候補の治験開始	-	・「認知症研究開発事業」(平成27年度予算額1,104,341千円、うち調整費458,000千円)により、認知症の人やその前段階(前臨床期・軽度認知障害等)の人の全国的レジストリ体制や、臨床研究の実施支援体制の整備など、大規模臨床研究への即応体制の構築を開始した(平成27年9月)。また、「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成27年度予算額2,706,161千円、うち調整費600,000千円)により、アルツハイマー病の原因の脳神経細胞の脱落を抑制する化合物群を動物実験で見いだした(平成27年12月)。	・引き続き、「認知症研究開発事業」(2016年度予算額826,486千円)等を通じて認知症の予防法、診断法、治療法、リハビリテーションモデル、介護モデル等の研究開発及びその成果の普及の推進を図ることを予定している。また、「脳科学研究戦略推進プログラム」(2016年度予算額2,162,500千円)においては、新規事業「融合脳」を開始し、認知症やうつ病等の精神・神経疾患の新規治療薬創出等の研究開発を推進する。	-
・精神疾患の客観的診断法の確立	-	・「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成27年度予算額2,706,161千円、うち調整費600,000千円)により、自閉スペクトラム症の簡便かつ客観的な診断補助器として、視線計測装置(Gazefinder)が有用であることを示した(平成28年3月)。	・引き続き、「障害者対策総合研究開発事業」(2016年度予算額311,304千円)を通じて、精神疾患患者(双極性障害・うつ病・統合失調症・自閉スペクトラム症)と健常者から末梢血液検体を用いて、精神疾患の判別や重症度を予測可能な血液バイオマーカーを同定し、実用化を目指す予定である。また、「脳科学研究戦略推進プログラム」(2016年度予算額2,162,500千円)においては、新規事業「融合脳」を開始し、うつ病・双極性障害・発達障害・統合失調症等の精神疾患の診断バイオマーカーの研究開発等を推進する。	-

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
・精神疾患の適正な薬物治療法の確立	-	・「障害者対策総合研究開発事業」(平成27年度予算額446,473千円、うち調整費92,700千円)により、治療抵抗性統合失調症のクロザピン治療での副作用バイオマーカー候補を同定した(平成28年2月)。 また、「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成27年度予算額2,706,161千円、うち調整費600,000千円)により、自閉スペクトラム症の中核症状がオキシトシン点鼻剤の連続投与で改善することを実証した(平成28年9月)。	・引き続き、「障害者対策総合研究開発事業」(2016年度予算額311,304千円)を通じて、また、「脳科学研究戦略推進プログラム」(2016年度予算額2,162,500千円)においては新規事業「融合脳」の開始を通じて、うつ病・双極性障害・発達障害・統合失調症等の精神疾患の適正な薬物治療法の確立のための研究開発を推進する。	—
・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	-	・「革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト」(平成27年度予算額3,730,945千円)により、マクロレベルマッピングでは神経線維結合マップの解析法を用いたマップ作成を推進、ミクロレベルマッピングでは3Dトレーサーマップデータを蓄積し電子顕微鏡によるデータ取得を開始(平成28年3月)、さらにこれらデータを融合するための解析技術の開発に着手した(平成28年1月)。	・引き続き、「革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト」(2016年度予算額3,674,606千円)を通じて、脳全体の神経回路の構造と活動に関するデータ蓄積・マップ作成とともに、これに寄与する革新的な技術開発を推進する。2016年度末までに、マクロレベルマッピングでは、引き続きMRI等による脳画像データ取得を進めつつ、3D標準脳の構築に着手し、マップデータを展開するベースとなるシステムを開発する。また、ミクロレベルマッピングでは電子顕微鏡によるデータ計測を蓄積し、3DトレーサーマップデータとDTI(拡散テンソル画像)データの連携を解析する技術開発を予定している。	—
○ 疾患に対応した研究<新興・再興感染症>				
【2015年度までの達成目標】				
・グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした、病原体に関する全ゲノムデータベースの構築、生理学的及び臨床的な病態の解明、及びアジア地域における病原体マップの作成(インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌について、公衆衛生対策能力向上を図るため)	-	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2015年度予算額2,783,303千円、うち調整費600,000千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(2015年度予算額1,998,355千円、うち調整費70,000千円)において、全ゲノムデータを構築した(一部疾患は2016年4月末の公開予定)。 ・薬剤耐性ゲノムデータベース(GenEpid-J)を用いてコリスチンに対する耐性遺伝子を日本で初めて確認した(2016年1月)。 ・デングウイルス病原体マップを作成し、逐次更新した(2016年3月)。	—	—
【2020年頃までの達成目標】				
・得られた病原体(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌)の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化	-	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2015年度予算額2,783,303千円、うち調整費600,000千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(2015年度予算額1,998,355千円、うち調整費70,000千円)とにおいて、全ゲノムデータベースを利用し、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化に向けた基盤整備を行った(2016年3月時点)。	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2016年度予算額2,072,040千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(2016年度予算額1,928,355千円)とにおいて構築した全ゲノムデータベースについて、対象となる病原体の拡大、海外情報の収集等更なるデータベースの拡充を図り、2020年を目標に薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化を進める予定である。	—
・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する非臨床試験・臨床試験の実施及び薬事承認の申請	-	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2015年度予算額2,783,303千円、うち調整費600,000千円)において、 ・多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した(2015年6月)。 ・国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン第I相臨床試験を開始した(2015年10月)。	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2016年度予算額2,072,040千円) ・経鼻インフルエンザワクチンについては実用化に向け、宿主免疫応答の解析やワクチン製造方法等の検討を進める。 ・ノロウイルスワクチンについては、ワクチンシーズを公開することを目指した開発研究を展開する。	—

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。

KPI	最新の数値	これまで(2015(平成27)年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組方針	KPIの出典
【2030年までの達成目標】				
・新たなワクチンの開発 (例: インフルエンザに対する万能ワクチンなど)	-	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2015年度予算額2,783,303千円、うち調整費600,000千円)において、エボラウイルスワクチンの製造システムの構築に着手した(2015年6月)。	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2016年度予算額2,072,040千円)において、エボラ出血熱を含めた病原体に対するワクチンの研究開発を進める。	-
・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発	-	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2015年度予算額2,783,303千円、うち調整費600,000千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(2015年度予算額1,998,355千円、うち調整費70,000千円)とにおいて、「デングウイルス増殖阻害剤開発研究」について、化合物スクリーニングを実施し、有効な化合物を見いだした(2016年3月)。抗デング熱薬剤開発でも天然抽出物を中心としたスクリーニング支援を行い、創薬支援に向けた取組を行った(2016年3月)。	・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」(2016年度予算額2,072,040千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(2016年度予算額1,928,355千円)において、新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の研究開発を進める。	-
・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹等の感染症の根絶・排除の達成 (結核については2050年までの達成目標)	-	・麻疹の排除状態の維持及び風しん排除に資する研究の一環として、2016年3月までに麻しんリアルタイムPCR法を確立し、地方衛生研究所を対象に本法の精度管理を実施した。 ・ポリオの根絶に資する研究の一環として、ポリオ直接検出法(ECRA法)を改良し、2016年3月までに従来よりも5~10倍程度回収効率を上げることに成功した。 ・結核DNAワクチン開発については2015年12月までに非臨床安全性試験が完了した。	・麻しんの排除状態の維持及び風しん排除に資する研究を引き続き推進する。 ・ポリオの根絶に資する研究を引き続き推進する。	-
○ 疾患に対応した研究<難病>				
【2015年度までの達成目標】				
・薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上の達成 (重症肺高血圧症、クロイツフェルト・ヤコブ病などのプリオン病等)	21件	・「難病克服プロジェクト」(2015年度予算額9,617,692千円、うち調整費1,444,100千円)において、難病の克服につながるような、医薬品や医療機器の実用化を目指した医師主導治験および治験移行を目的とした非臨床試験、および、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・治療法開発研究を推進している。この中で、2015年度末の段階で、21件の医師主導治験が行われている。	-	国立研究開発法人日本医療研究開発機構調べ(研究者に対する調査)
【2020年頃までの達成目標】				
・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成 (筋萎縮性側索硬化症(ALS)、遠位型ミオパチーなど)	3件	・「難病克服プロジェクト」(2015年度予算額9,617,692千円、うち調整費1,444,100千円)において、難病の克服につながるような、医薬品や医療機器の実用化を目指した医師主導治験および治験移行を目的とした非臨床試験、および、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・治療法開発研究を推進している。この中で、2015年度までに難病に対する新たな医薬品1件、医療機器2件の3件の薬事承認を取得している。	・引き続き、「難病克服プロジェクト」(2016年度予算額8,592,693千円)において、難病の克服につながるような、医薬品や医療機器の実用化を目指した医師主導治験および治験移行を目的とした非臨床試験、および、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・治療法開発研究を推進していく予定である。	国立研究開発法人日本医療研究開発機構調べ(研究者に対する調査)
・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の推進	-	・「難病克服プロジェクト」(2015年度予算額9,617,692千円、うち調整費1,444,100千円)内の個別研究班において、国際共同治験の計画が立案されている。	・引き続き、「難病克服プロジェクト」(2016年度予算額千円)内の個別研究班において、計画されている国際共同治験実現に向けて支援を行っていく予定である。	国立研究開発法人日本医療研究開発機構調べ(研究者に対する調査)

※「最新の数値」は、特記がない限り、2016年3月31日の計数。