

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29年度終了時点)

平成30年5月16日
内閣官房 健康・医療戦略室

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

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点) のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
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				
【2020年までの達成目標】				
KI-001	・相談・シーズ評価 1,500件	1,138件 (平成30年3 月末時点)	・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、大学等への訪問や臨床研究中核病院等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1,138件行った。	・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、大学等への訪問や臨床研究中核病院等との連携構築等を通じて、2020年3月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。
KI-002	・有望シーズへの創薬支援 200件	83件 (平成30年3 月末時点)	・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83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」(平成30年度予算額3,519,139千円)等を通じて、平成32年3月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。
KI-003	・企業への導出(ライセンスアウト)5件	80件 (創薬支援 ネットワーク: 4件) (平成30年3 月末時点)	・製薬企業等への円滑な導出による早期の医薬品として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活動を行い、製薬企業等への導出を80件行った。	・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、平成32年3月までの目標件数は達成しているが、製薬企業などへの導出に向けた取組みをさらに推進していく予定である。
KI-004	・創薬ターゲットの同定 10件	11件 (平成30年3 月末時点)	・創薬ターゲットの同定については、平成28年度までの8件に加え、平成29年度は「革新的先端研究開発支援事業」の一部(平成29年度予算額779,528千円)において、新たに3件のターゲットを同定した。1件は発がん能・薬剤抵抗性に関与する遺伝子変異を解明し創薬標的となることを確認した。他の2件はインフルエンザ発症に関する異なる宿主因子2種を発見し、創薬標的となることを確認した。	・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(平成30年度予算額779,517千円)において、引き続き、創薬ターゲットの同定を推進していく予定である。

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
○ 医療機器開発 【2020年までの達成目標】				
KI-005	・医療機器の輸出額を倍増(2011年約5千億円→約1兆円)	6.2千億円 (2015年)	・2015年に6.2千億円を達成した。	・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」(平成30年度予算額3,039,814千円の内数))における伴走コンサル、「開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業」(平成30年度予算額305,667千円)、JETROやMEJ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、引き続き目標達成を目指していく予定である。
KI-006	・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	・12種のテーマ(平成30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。	・「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」(平成30年度予算額4,030,000千円)等を通じて、各事業を実施しており、引き続き目標達成を目指していく予定である。
KI-007	・国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円	2.75兆円 (2015年)	・2015年に2.75兆円を達成した。	・国内医療機器市場規模の拡大に向けては、「医工連携事業化推進事業」(平成30年度予算額3,039,814千円)や「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」(平成30年度予算額4,030,000千円)等を通じて、医療機器の競争力の強化に取組み、目標達成を目指していく予定である。

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
○ 革新的な医療技術創出拠点 【2020年までの達成目標】				
KI-008	・医師主導治験届出数 年間40件	33件	・文部科学省事業で整備を実施している「橋渡し研究戦略的推進プログラム」(平成29年度予算額5,763,865千円、うち調整費1,416,500千円の内数)と厚生労働省事業で整備を実施している医療技術実用化総合促進事業(平成29年度予算額2,199,842千円)、臨床研究品質確保体制整備事業(平成29年度予算額192,735千円)等により拠点の活性化を図ると共に、拠点における進捗管理や成果報告会を一体的に実施し、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、平成29年度の医師主導届出数は33件で、順調に進捗した。	・平成30年度においても、引き続き、橋渡し研究戦略的推進プログラム(平成30年度予算額4,752,106千円)と厚生労働省事業で整備を実施している医療技術実用化総合促進事業(平成30年度予算額2,797,545千円)等による拠点の活性化を一体的に進め、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。
KI-009	・First in Human(FIH)試験(企業治験を含む。)年間40件	26件	・文部科学省事業で整備を実施している「橋渡し研究戦略的推進プログラム」(平成29年度予算額5,763,865千円、うち調整費1,416,500千円の内数)と医療技術実用化総合促進事業(平成29年度予算額2,199,842千円)、臨床研究品質確保体制整備事業(平成29年度予算額192,735千円)等により拠点の活性化を図ると共に、拠点における進捗管理や成果報告会を一体的に実施し、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、平成29年度のFIH試験の件数は26件で、順調に進捗した。	・平成30年度においても、引き続き、橋渡し研究戦略的推進プログラム(平成30年度予算額4,752,106千円)と厚生労働省事業で整備を実施している医療技術実用化総合促進事業(平成30年度予算額2,797,545千円)等による拠点の活性化を一体的に進め、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。

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
○ 再生医療 【2020年までの達成目標】				
KI-010	・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床応用又は治験の開始)	-	・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、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。iPS細胞技術を活用して新規治療薬を創出する研究では、ドラッグ・リポジショニングにより、開発候補品が見出され、治験が開始されるなど、iPS細胞が創薬支援のツールとして有効であることを示した。	・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。
KI-011	・再生医療等製品の薬事承認数の増加	4品目 (平成30年3月末時点)	・平成30年3月時点における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み、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。
KI-012	・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件	31件 (平成30年3月末時点)	・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(平成29年度予算額9,013,067千円、うち調整費20,000千円)等で推進する研究開発について、加齢黄斑変性等9件の研究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」(平成29年度予算額2,775,268千円、うち調整費190,000千円)等で推進する研究開発について、クローン病等の22件が臨床研究又は治験へ移行した。	・引き続き、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(平成30年度予算額8,993,067千円)及び「再生医療実用化研究事業平成30年度予算額2,779,916千円」等において、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。
KI-013	・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	-	・「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」(平成29年度予算額2,502,166千円、(うち、調整費:50,000千円)では、GCTP対応可能な閉鎖型自動培養装置が製品化され、同装置を納入した製薬企業において、iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞の実用化に向けた研究開発が計画どおり進捗している。また、小型で長時間の輸送に適したドライアイス不要の生体試料搬送容器、及び臨床応用可能なヒトiPS細胞用の凍結保存液の販売を開始した等、再生医療関連の周辺技術開発を着実に進めた。また、再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術開発については、初年度として集中研を整備して技術開発に着手した。	・引き続き、「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」(平成30年度予算額3,200,000千円)を通じて、iPS細胞等の大量培養・分化誘導技術の開発を推進するとともに、開発した技術の統合化を行い、再生医療関連の周辺産業基盤を構築する。また、iPS細胞等から分化誘導した各種臓器の細胞を応用し、医薬候補品の薬物動態や安全性の評価基盤技術を構築し、幹細胞の創薬応用の促進を図る。
KI-014	・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	-	・AMED事業の研究班において、国際バリデーション試験に参加して、FDAらとともにヒトiPS細胞由来心筋細胞の有用性を明らかにした(論文を投稿中)。ドイツで開催された国際安全性薬理学会(平成29年9月)で心毒性のシンポジウムを企画してパネルディスカッションするとともに、米国FDAで開催されたCiPA運営委員会(平成29年12月)等に参加して、国際的な議論を引き続き行っている。また、評価法の国際標準化に向けて、さらに統合的な心毒性の評価法に関する研究計画を立案した。	・引き続き、CiPA運営委員会等に参加して国際的な議論を引き続き行うとともに、評価法の国際標準化に向けて取組を強化する。

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
○ オーダーメイド・ゲノム医療 【2020年までの達成目標】				
KI-015	・糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断(層別化)や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出	-	・糖尿病のゲノムワイド関連解析において、日本人に特徴的な遺伝子変異が、インスリン分泌制御機構の異常原因である可能性を見出した。また、ゲノムワイド関連解析において、2型糖尿病の薬剤標的蛋白を変化させる遺伝子変異を発見した。糖尿病網膜症ではゲノムワイド関連解析(GWAS解析)において、発症に寄与すると考えられる感受性領域を同定し、追試中である。糖尿病腎症でもゲノムワイド関連解析において、発症に寄与すると考えられる感受性領域を同定し、追試中である。糖尿病網膜症や糖尿病腎症について350例の全ゲノムシーケンスを実施した。	・「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」(平成30年度予算案1,928,620千円)を通じて、引き続き、生活習慣病の発症・重症化予測等に向けた研究を実施する。
KI-016	・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に係る臨床研究の開始	-	・「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、平成30年度に開始されるがんゲノム医療の体制整備として、情報センターのプロトタイプ及び電子カルテシステムの構築を行った。 ・「ゲノム創薬基盤推進研究事業」では、炎症性腸疾患でのチオプリン不耐例を判別する遺伝子検査キットの開発において、臨床性能試験を終了し、承認申請を行った。	・「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」(平成30年度予算額1,437,328千円)、「ゲノム創薬基盤推進研究事業」(平成30年度予算額220,000千円)を通じて、引き続き、臨床的意義付けがされたゲノム情報等を活用することで、がん領域の創薬等に資する研究を実施する。
KI-017	・認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始	-	・「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、難聴約3,000症例に対して臨床的シーケンスを実施し、新規原因遺伝子を同定した。また、臨床的シーケンスの社会実装に向けて、企業とともに新規パネルの開発を開始した。	・「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」(平成30年度予算額1,437,328千円)を通じて、引き続き、臨床的意義付けがされたゲノム情報等を活用することで、認知症の創薬等に資する研究を実施する。
KI-018	・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法に係る臨床研究の開始	-	・「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、平成28年度から、希少・難病疾患約12,300件のゲノム解析を行い、新規原因候補遺伝子を含む4,000件の変異データと約1,500件の確定診断を得た。得られた病的変異データは、同意範囲に基づき、事業内外の研究者から収集した基本的な臨床データとともに、統合データベースに登録した。	・「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」(平成30年度予算額1,437,328千円)を通じて、引き続き、臨床的意義付けがされたゲノム情報等を活用することで、神経・筋難病等の創薬等に資する研究を実施する。

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
○ 疾患に対応した研究〈がん〉 【2020年までの達成目標】				
KI-019	・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	12種 (平成30年3月末時点)	・「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」(平成29年度予算額8,851,940千円、うち調整費848,031千円)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、2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」(平成30年度予算額8,464,317千円)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。
KI-020	・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12種類以上の治験への導出	21種 (平成30年3月末時点)	・「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、「革新的がん医療実用化研究事業」(平成29年度予算額8,851,940千円、うち調整費848,031千円)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1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」(平成30年度予算額8,464,317千円)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。
KI-021	・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 (平成30年3月末時点)	・目標年度までの薬事承認、効能追加を目指し、医師主導治験等を計42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」(平成30年度予算額8,464,317千円)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。
KI-022	・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 (平成25年)	・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試験を実施した。	・「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」(平成30年度予算額8,464,317千円)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。
KI-023	・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)	1件 (平成30年3月末時点)	・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等を計50課題(小児がん14件、高齢者がん7件、難治がん12件、希少がん17件)実施し、ガイドライン1件(頭頸部がん診療ガイドライン2018)が作成された。これにより、腫瘍分類・外科手術・薬物療法等の診断・治療に関する最新のエビデンスが整理され、本邦における頭頸部がん治療の向上と均てん化に寄与した。	・「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」(平成30年度予算額8,464,317千円)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。

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
○ 疾患に対応した研究<精神・神経疾患> 【2020年までの達成目標】				
KI-024	・認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)	-	<p>・「認知症研究開発事業」(平成29年度予算額843,875千円、うち調整費20,000千円)では、血液を用いたアルツハイマー病の簡便な早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカー探索として、アミロイドβ(Aβ)分子種間比、Aβと前駆物質との比、Aβ関連ペプチド、コレステロール代謝産物、エクソソーム等における標的分子同定や測定法開発、検証を開始・確立した(平成29年9月、平成30年2月)。</p> <p>・また、「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成29年度予算額2,835,709千円、うち調整費305,209千円)では、新規イメージング技術を用いて、アルツハイマー病で蓄積するアミロイドベータの脳内分布を一挙に可視化することに成功した(平成29年10月)。</p>	<p>・引き続き、「認知症研究開発事業」(平成30年度予算額843,875千円)及び「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成30年度予算額1,693,000千円)を通じて、脳画像や血液等を用いた認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの探索について、これまでのコホート研究やレジストリ研究で集積した生体試料や情報をさらに活用しつつ、新たな標的分子同定や測定法、診断技術の開発等の検証や実用化に向けた取組を継続する。</p>
KI-025	・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	-	<p>・「認知症研究開発事業」(平成29年度予算額843,875千円、うち調整費20,000千円)では、臨床治験にスムーズに登録できるよう認知症の人等(前臨床期、MCI、軽度・中等度・進行期)の全国的な情報登録・追跡システムであるオレンジレジストリを本格稼働し、健常者4,765名、前臨床期4,491名、MCI854名(平成29年12月現在)の登録が進んだ。</p> <p>・また、「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成29年度予算額2,835,709千円、うち調整費305,209千円)では、認知症関連遺伝子グラニューリンが不要な神経結合(シナプス)の除去を遅らせるとともに、必要なシナプスを強めることを明らかにした(平成30年2月)。</p>	<p>・引き続き、「認知症研究開発事業」(平成30年度予算額843,875千円)を通じて、認知症やその前段階の人の全国的なレジストリ体制を強化し被験者の登録を進めるとともに、認知症の評価・検査方法の標準化等による臨床研究の実施支援体制の整備など、治療薬等の大規模臨床研究への即応体制の構築を推進する。また、「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成30年度予算額1,693,000千円)を通じて、これまでの取組に加え、認知症の革新的な治療法を指向し、従来の仮説とは異なる発想に基づくシーズ探索研究や、臨床データ等から有望視されている萌芽的な治療方法の実証的研究についても推進する。</p>
KI-026	・精神疾患の客観的診断法の確立(臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	ガイドライン 2件	<p>・「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成29年度予算額2,835,709千円、うち調整費305,209千円)では、統合失調症発症の最大のリスクである22q11.2欠失領域に存在するRTN4R遺伝子内に、統合失調症病態に強い関連を示すアミノ酸配列変異が存在することを同定した(平成29年8月)。</p> <p>・また、「障害者対策総合研究開発事業」(平成29年度予算額501,739千円、うち調整費206,000千円)では、統合失調症発症高リスク群において、左後頭葉の脳回の過形成を示すことを明らかにするとともに(平成29年7月)、早期精神病に対する診断・治療ガイダンスを作成した(平成29年8月)。</p>	<p>・引き続き、「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成30年度予算額1,693,000千円)を通じて、うつ病・双極性障害等の精神疾患に対する血液等を用いたバイオマーカー探索やMRI・PET等の脳画像を用いた診断法の開発を推進する。また、「障害者対策総合研究開発事業」(平成30年度予算額259,201千円)を通じて、診療ガイドラインの作成を継続して進めるとともに、精神疾患の客観的診断法の導出に資する研究を実施する。加えて、精神疾患レジストリの構築・統合を通して、精神疾患に対する新規の診断補助システムの開発を推進する。</p>

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
KI-027	・精神疾患の適正な治療法の確立(臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	ガイドライン 2件	<p>・「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成29年度予算額2,835,709千円、うち調整費305,209千円)では、脳発達期において不飽和脂肪酸欠乏が核内受容体を介して精神疾患発症リスク増大に関与する可能性及び、核内受容体作動薬が統合失調症の新しい治療薬になる可能性を示した(平成29年9月)。</p> <p>・また、「障害者対策総合研究開発事業」(平成29年度予算額501,739千円、うち調整費206,000千円)では、早期精神病に対する診断・治療ガイダンスを作成した(平成29年8月)。</p>	<p>・引き続き、「脳科学研究戦略推進プログラム」(平成30年度予算額1,693,000千円)及び「障害者対策総合研究開発事業」(平成30年度予算額259,201千円)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治療法を確立するため、基礎から臨床にわたる研究開発を推進する。診療ガイドラインの作成を継続して進める。加えて、平成30年度より開始予定の精神疾患レジストリの構築・統合を通して、精神疾患に対する治療の層別化等を目指す。また、薬物依存症、アルコール依存症、ギャンブル等依存症等の治療法の開発を推進する。</p>
KI-028	・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	-	<p>・「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29年度予算額3,498,926千円、うち調整費274,320千円)を通じて、超高磁場MRIを用いて、高精細なマーモセット脳画像データを取得するとともに、構造マップの公開コンテンツの環境整備を実施した。また、マーモセットの複数の脳領域における神経回路データを収集し、3DトレーサーマップとDTIデータそれぞれの神経回路との相同性を評価した。機能マップ作成のために、fMRIを用いて眼球運動制御に関わる脳領域を特定するとともに、脳内視鏡により脳深部の神経細胞の活動を計測した。</p>	<p>・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」(平成30年度予算額3,224,606千円)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。データの公開に向けて、マーモセット脳の3次元構造マップの構築及び、成長に伴う画像上の変化を捉えた標準脳の作成を進める。さらに、3Dトレーサーマップの更なる充実と、DTI(拡散テンソル画像)データとの連携を解析する技術の向上を目指す。機能マップ作成に向けて、fMRI等の画像研究、電気生理学的手法等(脳内視鏡、2光子顕微鏡等)を用いた神経細胞の活動を計測する技術の更なる向上を図り、データ蓄積を加速していく。また、「戦略的国際脳科学研究推進プログラム」(平成30年度予算額1,036,394千円)を通じて、精神・神経疾患に関連する神経回路を中心に、ヒト脳と非ヒト霊長類脳の構造及び機能の領域化と相動性解析による種間比較などを推進する。</p>

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
○ 疾患に対応した研究<新興・再興感染症> 【2020年までの達成目標】				
KI-029	・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	-	<ul style="list-style-type: none"> ・国立感染症研究所の研究者及び北海道大学・長崎大学の研究者が研究開発代表者となって、引き続き構築したゲノムデータベース(インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌)の拡充を図った。本データベースの活用ならびに既存の知見等を基に、全ての血清型のデングウイルスについてウイルス増殖阻害効果を示す候補化合物の取得に成功した。また、カルバペネム耐性腸内細菌科細菌(CRE)サーベイランスや感染予防対策に有用なCRE迅速検出キットを開発した。さらに、昨年度見いだしたカルバペネム耐性菌に対する抗菌薬候補物質に関して、化合物の分子構造の修飾改変による阻害効果の改善を図った。 ・結核の新たな抗菌薬開発については、当初計画を上回るスピードで天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を発見した。 ・ジカウイルスについては、ゲノム情報等を元にした迅速診断法(RT-LAMP法)の海外流行地における臨床性能試験を完了し、国内薬事承認申請を行ったことから、予想を上回るスピードで達成できる見込みである。 ・世界基準の季節性インフルエンザワクチンについては、新規全粒子ワクチンの非臨床試験を複数の企業と連携し、当初計画より前倒しで進めた。 	・引き続き、「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」(平成30年度予算額1,968,438千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(平成30年度予算額1,534,266千円)において、グローバルな病原体・臨床情報の共有を進めると共に構築した全ゲノムデータベースをもとに、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を2020年を目標に進めていく。
KI-030	・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	-	<ul style="list-style-type: none"> ・ノロウイルスワクチンについては、引き続きワクチンシーズの企業導出が調整中であることに加え、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズの開発も開始した。 ・経鼻インフルエンザワクチンについては、平成28年度末に企業導出を達成し、平成29年度に企業治験の第II相試験を完了した。 	・「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」(平成30年度予算額1,968,438千円)において、ノロウイルスワクチンについては、ウイルス様粒子(Virus Like Particle: VLP)ノロウイルスワクチンシーズの企業導出及び新規ノロウイルスワクチンシーズ開発に向けて引き続き支援を行う。経鼻インフルエンザワクチンについては実用化に向け、ワクチン製造法・評価法の技術的な検討を引き続き行う。

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
【2030年までの達成目標】				
KI-031	<ul style="list-style-type: none"> ・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) 	-	<ul style="list-style-type: none"> ・エボラウイルスワクチンについて、候補ワクチンの製造を開始し、非臨床試験の開始に向けた準備を行った。 ・ジカウイルスワクチンについては、企業と研究機関等と連携し、ワクチンシーズの選定及び非臨床試験を開始した。 ・世界基準の季節性インフルエンザワクチンについては、新規全粒子ワクチンの非臨床試験を複数の企業と連携し当初計画より前倒しで進めた。(再掲) 	<ul style="list-style-type: none"> ・「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」(平成30年度予算額1,968,438千円)において、エボラ出血熱・ジカウイルス感染症を含めた病原体に対するワクチンの研究開発を進める。「感染症研究国際展開戦略プログラム」(平成30年度予算額1,534,266千円)では、優れた新規季節性インフルエンザ全粒子ワクチンの実用化を目指し、開発を引き続き進める。
KI-032	<ul style="list-style-type: none"> ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発 	-	<ul style="list-style-type: none"> ・全ての血清型のデングウイルスについて、ウイルス増殖阻害効果を示す候補化合物の取得に成功した(再掲)。 ・昨年度見いだしたカルバペネム耐性菌に対する抗菌薬候補物質に関して、化合物の分子構造の修飾変更による阻害効果の改善を図った(再掲)。 ・結核の新たな抗菌薬開発については、当初計画を上回るスピードで天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を発見した。(再掲) 	<ul style="list-style-type: none"> ・「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」(平成30年度予算額1,968,438千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(平成30年度予算額1,534,266千円)「感染症研究革新イニシアティブ」(平成30年度予算額1,580,000千円)においては、病原性の高い病原体を中心に、創薬の標的探索につながる基礎研究の推進する。
KI-033	<ul style="list-style-type: none"> ・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) 	-	<ul style="list-style-type: none"> ・ポリオの根絶に資する研究の一環として、企業と研究機関等が連携することによって、ワクチン量を低減可能な新規デバイス(マイクロニードル)を利用したポリオ貼るワクチンの開発支援を開始し、予想を上回るスピードで本デバイスの試作品を完成した。 ・結核低まん延化に資する研究の一環としては、結核DNAワクチンについて非臨床試験を完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験の実施に向けた準備を開始した。また、平成29年度までに質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高い結核菌ゲノムデータベース(GReAT)を構築し、平成29年度は国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について薬剤感受性等の情報を含む全ゲノム配列情報の登録を行った。本ゲノムデータベース公開に向けた目標登録数を間もなく達成する見込みである。さらに、結核の新たな抗菌薬開発については、当初計画を上回るスピードで天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を発見した。(再掲) 	<ul style="list-style-type: none"> ・麻疹の排除の維持、風しん排除及びポリオの根絶に向けて、引き続き取組を行っていく。 ・結核ワクチンの治験に向けた研究開発及び結核の新たな抗菌薬開発を引き続き支援する。結核菌ゲノムデータベースについては利活用のための公開に向けた研究開発を引き続き支援する。

通し番号	KPI	最新の数値	これまで(平成29年度末時点)のKPIの進捗状況	今後の取組み方針
○ 疾患に対応した研究<難病> 【2020年までの達成目標】				
KI-034	・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)	4件 (平成30年3月末時点)	・「難病克服プロジェクト」(平成29年度予算額17,187,418千円、うち調整費3,009,330千円)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、平成29年度までに難病に対する新たな医薬品1件、医療機器3件の4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」(平成30年度予算額12,403,595千円)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。 注)平成29年度より、「再生医療実用化研究事業」(平成30年度予算額2,779,916千円)を本プロジェクト予算として再掲。また、平成30年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」(平成30年度予算額1,437,328千円)のうち、難病関連部分(平成30年度予算額380,000千円)のみを本プロジェクト予算として再掲し、それ以外の再掲は中止。
KI-035	・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開始	1件 (平成30年3月末時点)	・「難病克服プロジェクト」(平成29年度予算額17,187,418千円、うち調整費3,009,330千円)内の個別研究班において、1件の国際共同臨床試験が開始された。	・引き続き、「難病克服プロジェクト」(平成30年度予算額12,403,595千円)において、国際共同臨床研究および治験を行う研究を推進していく予定である。 注)平成29年度より、「再生医療実用化研究事業」(平成30年度予算額2,779,916千円)を本プロジェクト予算として再掲。また、平成30年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」(平成30年度予算額1,437,328千円)のうち、難病関連部分(平成30年度予算額380,000千円)のみを本プロジェクト予算として再掲し、それ以外の再掲は中止。
KI-036	・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成	9件 (平成30年3月末時点)	・「難病克服プロジェクト」(平成29年度予算額17,187,418千円、うち調整費3,009,330千円)内の個別研究班において、新規疾患または新規原因遺伝子の発見が9件なされた。	・引き続き、「難病克服プロジェクト」(平成30年度予算額12,403,595千円)内の個別研究班において、新規原因遺伝子又は新規疾患の発見に向けて支援を行っていく予定である。 注)平成29年度より、「再生医療実用化研究事業」(平成30年度予算額2,779,916千円)を本プロジェクト予算として再掲。また、平成30年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」(平成30年度予算額1,437,328千円)のうち、難病関連部分(平成30年度予算額380,000千円)のみを本プロジェクト予算として再掲し、それ以外の再掲は中止。