

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(令和元年度終了時点)

令和2年6月19日

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 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
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	1,659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。	・大学等の研究者から医薬品開発に関する相談に応じるとともに、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1,659件行った。
KI-002	・有望シーズへの創薬支援 200件	142件	・有望シーズへの創薬支援については、「創薬支援推進事業」(2019年度予算額3,550,642千円)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。	・創薬支援ネットワークによる創薬支援を142件実施した。 ・KPIは未達であるが、創薬支援ネットワークにおける企業への導出達成率【企業への導出／有望シーズへの創薬支援】については、当初目標2.5%(5件/200件)に対し、6.4%(9件/142件)と上回っていることは評価できる。
KI-003	・企業への導出(ライセンスアウト)5件	225件 (うち創薬支援ネットワーク:9件)	・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。	・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225件行った。
KI-004	・創薬ターゲットの同定 10件	33件	2018年度で終了。	・平成30年度末までに、計33件(がん12件、インフルエンザ21件)の創薬ターゲットを同定した。対象課題が、平成30年度末で終了したため、令和元年度における数値の追加は無し。

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決 定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
○ 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)	平成30年/ 6.7千億円	・「医工連携事業化推進事業」(2019年度予算額2,732,912千円)において、医療機器開発支援ネットワークにおける伴走コンサルやJETRO、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。	・医療機器輸出額の増加率は実績ベースで平均前年比105%となる ところ、仮にこの増加率を維持した場合、輸出額2020年で約7.3 千億円になる見込のためKPIは未達となると考えられる。 ・他方で、医療機器開発支援ネットワークの伴走コンサル等の海 外展開支援の取組により、輸出額は2011年の約5千億円と比べて 着実に増加。
KI-006	・5種類以上の革新的医療機器の実用化	平成30年/1 件	・2019年度には、「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」の後継事業となる「先進的医療機器・システム等技術開発事業」を実施予定である。	・12種類のテーマ(令和2年3月現在)で事業を実施、このうち1件 が実用化。 ・KPIは未達であるが、各テーマについて順調に機器開発が進ん でいることはKPI達成に貢献する成果と考慮できる。
KI-007	・国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円	平成30年 /2.90兆円	・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」(2019年度予算額2,730,000千円)や「先進的医療機器・システム等技術開発事業」(2019年度予算額3,510,000千円)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。	・国内医療機器市場の規模の増加率は実績ベースで平均前年比103%となる ところ、仮にこの増加率を維持した場合、国内市場規模の伸び率は2020年 で約3.0兆円になる見込のためKPIは未達となると考えられるが、市場規模は約3兆円程度で推移しており、引き続き開発から実用化まで切れ目無い支援を行う。

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決 定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
○ 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	21件(見込 み)	・2019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(4,982,489千円)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(2019年度予算額2,673,679千円)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。	・第2期戦略・計画の策定及びプロジェクト再編に伴い、革新的医療技術創出拠点プロジェクトを構成する文部科学省・厚生労働省の各事業について、研究費は文科省、事業費は厚生労働省に集約する方針で令和4(2022)年度に新事業体制開始を目指し、令和2(2020)年度から事業組換えを開始。令和元年度の医師主導治験届出数減少については事業再編に先立ち令和元(2019)年度より実施した新規課題採択枠縮小の影響と考えられる。 ・なお、KPIは未達であるが、革新的医療技術創出拠点のTRC/ARO機能を活用し、治験届提出を目指す医師主導治験の実施を推進し、既存課題については概ね予定通りに進捗したと評価できる。
KI-009	・First in Human(FIH)試験(企業治験を含む。)年間40件	30件(見込 み)	・2019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(2019年度予算額4,982,489千円)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(2019年度予算額2,673,679千円)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。	・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」と医療技術実用化総合促進事業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、KPIは未達であるが、昨年度と比較すると順調に進捗したと評価できる。

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決 定)	これまで(令和元年末時点)のKPI総括
○ 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)	-	・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。	・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細胞から様々な細胞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た。 平成29年度に1件(進行性骨化性線維異形成症)の医師主導治 験、続けて平成30年度には3件(ベンドレッド症候群及び2件の筋 萎縮性側索硬化症)の医師主導治験が開始され、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。
KI-011	・再生医療等製品の薬事承認数の増加	1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。	・再生医療等製品の薬事承認数については、平成31年3月末時 点で累計7件(うちAMED支援品目2件)であったが、令和元年度 においては1品目(うちAMED支援品目0件)の薬事承認がなされ、 令和2年3月末現在では累計で8品目となっている。 ・難治性疾患実用化研究事業などによる成果が薬事承認の増加 に寄与したことはKPI達成に貢献する成果と考慮できる。 ※昨年度は、AMED支援品目の薬事承認数の累計値を記載して いたところ、本年度はAMED支援品目以外のものも含む薬事承認 数を「最新の数値」に欄に記載。
KI-012	・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件	47件	・引き続き、「再生医療実現拠点ネットワークプログラ ム」(2019年度予算額9,066,219千円)及び「再生医療実 用化研究事業2019年度予算額2,781,778千円)」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。	・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」及び「再生医療実 用化研究事業」等で推進する研究開発について、角膜上皮幹細胞 疲弊症や再生不良性貧血等の47件が臨床研究又は治験へ移行 した。
KI-013	・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	-	・「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術 開発事業」(2019年度予算額2,277,512千円)では、商用 生産に向けた細胞製造プロセスの開発とその運用体制 の整備を支援するとともに、国内での細胞原料の安定 供給体制を整備することで再生医療の産業化の促進を 図る。また、iPS細胞等から分化誘導した各種臓器の細 胞をチップ等デバイスに搭載し、医薬候補品の薬物動 態や安全性を評価する基盤技術の開発では、開発した 細胞やデバイスの機能評価を進める等、引き続き、再 生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の構築を促 進する。	・「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」 (令和元年度予算額2,277,512千円)では、細胞製造・加工システ ムの開発において、低分子化合物を用いた合成培地を開発し、低 価格のiPS細胞等の培養方法・システム構築や高い安全性及び品 質を有する新たなヒトiPS細胞用培養液を開発するなど、令和元 年度末までに31件の製品化を実現した。また、iPS細胞等から分化 誘導した各種臓器の細胞をチップ等デバイスに搭載し、医薬候補 品の薬物動態や安全性を評価する基盤技術の開発では、肝細胞 等を搭載するためのデバイスのプロトタイプを開発すると共に、iPS 細胞由来の各種臓器細胞の代謝活性性等の高機能化を図る等、再 生医療技術を応用した創薬支援基盤の要素技術の開発を進め た。

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決 定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
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	達成	・引き続き、ICH等に参加して国際的な議論を行い、同評価法の国際標準化に向けた取組を実施する。	・CiPA (Comprehensive in vitro Proarrhythmia Assay) 運営委員会における国際的な議論を行い、その結果も踏まえ、ICH(医薬品規制調和国際会議)において、iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の国際標準化への提言を行った。
○ 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	-	・「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」(2019年度予算額1,888,062千円)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。	・「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」において、日本人約16万人の遺伝情報を用いた大規模なゲノムワイド関連解析(GWAS)により、食習慣に関連する領域(遺伝子座)を同定するとともに、これらが心筋梗塞や2型糖尿病といった12種類の疾患のほか、29種類の臨床検査値との関連を明らかにした。本成果は遺伝学的影響による食習慣と病気のリスクや予後の予測、個別化医療の実現への貢献が期待される。
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」(2019年度予算額600,264千円)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。	・臨床ゲノム統合データベース整備事業において開発した「NCCオンコパネル」は、先進医療Bを経て体外診断用医薬品・医療機器として製造販売承認を取得し、日本人のがんゲノム変異の特徴を踏まえた遺伝子パネル検査として、令和元年度保険収載され、がんゲノム医療実現の礎となった。
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」(2019年度予算額600,264千円)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。	・臨床ゲノム統合データベース整備事業において難聴約4000症例に対してクリニカルシーケンスを実施し、新規原因遺伝子を同定した。若年発症型両側性感音難聴の遺伝学的検査として、保険収載された。
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」(2019年度予算額600,264千円)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。	・「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17,000症例を超えるゲノム解析を行い、新規原因候補遺伝子を含む約15,000件の変異データを統合データベースに登録した。このデータベースを活用し、多系統萎縮症や心筋症等に対する臨床試験や治療が進んでいる。

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
○ 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	15種	・「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」(2019年度予算額8,580,000千円)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。	・「がん研究10か年戦略」(平成26年3月関係3大臣合意)に基づいて、「革新的がん医療実用化研究事業」(令和元年度予算額10,733,382千円、うち調整費2,155,361千円)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、15課題が治験に導出された。 (主な課題) ・慢性骨髄性白血病に対する新規PAI-1阻害剤併用療法 ・難治性肉腫に対する ワクチン併用TCR遺伝子改変T細胞輸注療法 ・高齢者食道癌に対するペプチドホルモン療法 ・進行・再発固形がんに対する免疫療法 ・悪性神経内分泌腫瘍に対する131I-MIBG内照射療法 ・非小細胞肺癌に対する新規ペプチドワクチン維持療法 希少がんに対するウイルス療法 等
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	31種	・「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」(2019年度予算額8,580,000千円)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。	・「がん研究10か年戦略」(平成26年3月関係3大臣合意)に基づいて、「革新的がん医療実用化研究事業」(令和元年度予算額10,733,382千円、うち調整費2,155,361千円)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31課題が治験に導出された。 (主な課題) ・ROS1融合遺伝子陽性の進行固形がんに対する治療開発 ・HER2遺伝子変異陽性の進行非小細胞肺癌に対する治療開発 ・HER2増幅固形癌に対する多剤併用療法 ・FGFR遺伝子異常を有する難治性切除不能進行・再発固形がんに対する医師主導治験 ・MET遺伝子異常陽性の進行非小細胞肺癌に対する治療開発 ・難治性神経芽腫に対するエビジェネティック治療開発 ・難治急性リンパ性白血病に対する多剤併用療法 等
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	1種	・「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」(2019年度予算額8,580,000千円)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。	・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。希少疾患である再発又は難治性のALK融合遺伝子陽性の未分化大細胞リンパ腫に対してALK阻害剤(アレクチニブ)が薬事承認(適応追加)された。
KI-022	・いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	解消に寄与	・「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」(2019年度予算額8,580,000千円)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。	・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の実施を推進した。その結果、平成29年度に抗悪性腫瘍剤分野に承認申請された新有効成分医薬品に関する米国との申請時期の差の中央値は0.2年となった。(参考データ・厚生労働科学研究研究班による調査において平成25年度の開発着手ラグ37.5ヶ月)
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)	3件	・「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」(2019年度予算額8,580,000千円)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。	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53課題(小児がん15件、高齢者がん8件、難治がん13件、希少がん17件)実施し、ガイドライン3件が作成され、治療の向上や均てん化等、標準治療の確立に寄与した。 ・がん患者の妊孕性温存のための診療マニュアル ・小児・AYA (Adolescent and Young Adult、思春期や若年成人)世代の腫瘍に対する陽子線治療診療ガイドライン 2019年版 ・頭頸部癌診療ガイドライン2018年版

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
○ 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)	臨床POC 0 件	<p>・引き続き、「認知症研究開発事業」(2019年度予算額900,000千円)、「脳科学研究戦略推進プログラム」(2019年度予算額1,810,000千円)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>	<p>・血液からアミロイドを検出する方法の開発に成功し、実用化に向けて着実に進んでいる。またヒト脳神経由来エクソソームを利用した認知症のバイオマーカー開発に向けた取組を行った。</p> <p>・令和2年3月末時点で臨床POC0件とKPIは未達であるが、血液アミロイドの検出方法の開発成功などの成果をKPI達成に貢献する成果と考慮。</p> <p>(成果の例)</p> <p>・「認知症研究開発事業」(令和元年度予算額1,201,438千円、うち調整費300,000千円)では、血液からアミロイドβを検出する方法の開発に成功し、実用化に向けて着実に進んでいる。またヒト脳神経由来エクソソームを利用した認知症のバイオマーカー開発に向けた取組を推進中。</p> <p>・「脳科学研究戦略推進プログラム」(令和元年度予算額1,810,637千円)では、認知症の診断・治療効果に資する新しいバイオマーカーとして、血漿アミロイドβやILEIなどに関して、昨年度より引き続き研究開発を推進した。また認知症の予防・診断・治療法等の開発につながるシーズ探索研究課題を採択し研究開発を推進した。</p> <p>・「戦略的国際脳科学研究戦略推進プログラム」(令和元年度予算額1,627,188千円)では、発症メカニズムの理解に基づく早期診断技術や発症予測技術の開発を目指して、脳画像解析により健常から疾患に至るアルツハイマーとパーキンソン病の責任回路とバイオマーカー同定を進め、アミロイドPETと安静時機能的磁気共鳴画像(fMRI)の統合解析、神経生理指標と髄液、PET・MRI画像を組み合わせた多次元データの集積を行うことでパーキンソン病とMCIの合併症例の早期検出バイオマーカーを検討中。</p>
KI-025	・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	治験開始 0 件	<p>・引き続き、「認知症研究開発事業」(2019年度予算額900,000千円)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、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」(2019年度予算額1,810,000千円)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>	<p>・オレンジレジストリの整備を引き続き進め、臨床期9,886名(令和2年1月時点)軽度認知障害1,503名(令和元年11月時点)の登録を行っている。アルツハイマー型認知症前臨床期を主な対象とする治験対応コホートにおいてウェブスタディを構築し、令和元年10月末に運用を開始した。令和2年3月末の登録者数は4,011名となっている。</p> <p>・令和2年3月末時点で治験開始0件とKPIは未達であるが、研究開発の不確実性に鑑み、疾患修飾薬候補の特定後即時に活用できる治験即応型コホートの研究なども並行して進めるなど、治験開始のための体制整備を行ったことなどをKPI達成に貢献する成果と考慮。</p> <p>(成果の例)</p> <p>・「認知症研究開発事業」(令和元年度予算額1,201,438千円、うち調整費300,000千円)では、オレンジレジストリの整備を引き続きすすめ、前臨床期9,886名(令和2年1月時点)、軽度認知障害1,503名(令和元年11月時点)の登録を行っている。アルツハイマー型認知症前臨床期を主な対象とする治験対応コホートにおいてウェブスタディを構築し、令和元年10月末に運用を開始した。令和2年3月末の登録者数は4,011名となっている。</p> <p>・「脳科学研究戦略推進プログラム」(令和元年度予算額1,810,637千円)では、認知症の革新的な治療法の開発を目指して引き続き研究開発を推進した。血液脳関門通過型アミロイドβ抗体については、治療抗体のマウス脳への高移行性を確認し、さらにドラッグデリバリーシステム(DDS)の組み合わせによる新規治療法の開発を進めた。</p>

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
KI-026	<p>・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)</p>	<p>臨床POC 1 件 ガイドライン 5件</p>	<p>・引き続き、「脳科学研究戦略推進プログラム」(2019年度予算額1,810,000千円)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」(2019年度予算額290,000千円)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>	<p>・C-11標識AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の開発に向けて、てんかんの病巣(焦点)の診断薬としての薬事承認を目指し、多施設共同で医師主導治験を開始した。また、精神疾患に関わる脳内ネットワークを推定するAI手法を開発した(平成31年1月)。このほか臨床POC取得に向け5件が取組中である。</p> <p>・さらに、統合失調症、医療観察法・措置入院、危険ドラッグ使用に加えて、ギャンブル障害に関して診療ガイドラインを策定した。ひきこもり者を適切に支援するための新しい国際評価基準を開発した。</p> <p>臨床POC取得の点においてKPIは未達であるが、臨床POC取得に向け5件が取組中である点を考慮すれば順調に進捗したと評価できる。</p> <p>(成果の例)</p> <p>・「脳科学研究戦略推進プログラム」(令和元年度予算額1,810,637千円)では、C-11標識AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の開発に向けて、動物を用いた前臨床研究と、健常者とてんかん患者を対象とした臨床研究により、当該薬剤が生体内でAMPA受容体を特異的に認識していることが証明された。てんかんの病巣(焦点)の診断薬としての薬事承認を目指し、多施設共同で医師主導治験を開始した。</p> <p>・「障害者対策総合研究開発事業」(令和元年度予算額335,110千円、うち調整費70,000千円)及び「戦略的国際脳科学研究戦略推進プログラム」(令和元年度予算額1,810,637千円)では、統合失調症、うつ病、強迫性障害、嗜癲性障害について、複数の施設または撮像機器で撮像された脳活動データに対して汎化するバイオマーカーを開発し、ニューロフィードバックの治験実施に向けて研究開発を推進し、企業に導出した。機能的磁気共鳴画像(fMRI)データを基にうつ病の中核群とされるメラニンコリア特徴をともなうつ病の診断マーカーを開発し、POC取得を目指し特異的な安静時脳機能結合を抽出し、人工知能(AI)を用いて高い精度で判定できることを明らかにした。</p> <p>・「障害者対策総合研究開発事業」(令和元年度予算額335,110千円、うち調整費70,000千円)では、ギャンブル障害において診療ガイドラインを策定した。またオミックス解析を駆使したうつ病診断マーカーの開発に取り組みを開始した。国際的に適用する病的な「ひきこもり(hikikomori: pathological social withdrawal)」の診断評価基準を開発し、診療ガイドラインを策定見込みである。</p>

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
KI-027	<p>・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)</p>	<p>臨床POC 3件 ガイドライン 3件</p>	<p>・引き続き、「脳科学研究戦略推進プログラム」(2019年度予算額1,810,000千円)及び「障害者対策総合研究開発事業」(2019年度予算額290,000千円)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、2018年度より開始した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>	<p>・依存症患者におけるイフェンプロジルの治療薬としての有効性を検討するための治験、自閉スペクトラム症(ASD)の中核症状におけるオキシトシン点鼻薬(TTA-121、剤形改良型)の治験、統合失調症陰性症状に対する活性型ビタミンB6(ピリドキサミン、K-163)の改善効果の治験を遅滞なく進捗させた。このほか臨床POC取得に向け4件が取組中である。また、発達障害、医療観察法・措置入院、うつ病において、診療ガイドラインを策定した。さらに、統合失調症において、1件の診療ガイドライン策定が見込まれている。</p> <p>・診療ガイドライン策定の点においてKPIは未達であるが、臨床POC取得について目標達成に加えて、臨床POC取得に向け4件が取組中である点を考慮すれば順調に進捗したと評価できる。</p> <p>(成果の例) 「脳科学研究戦略推進プログラム」(令和元年度予算額1,810,637千円)では、うつ病の治療薬候補であるR-ケタミンやS-ノルケタミンについて、抗うつ薬としての治験実施に向けて、導出先企業と連携しながら研究開発を進め、R-ケタミンをうつ病の治療薬候補として海外企業に導出し、第一相治験を開始した。 「障害者対策総合研究開発事業」(令和元年度予算額335,110千円、うち調整費70,000千円)では、うつ病に対する診療ガイダンスを作成した。また、統合失調症において診療ガイドラインを策定見込みである。(群馬大・福田先生)ニューロフィードバックのギャンブル障害への治療応用に取り組んだ。治療抵抗性うつ病に対するrTMS治療縦断研究を実施した。さらに、覚醒剤依存患者に対し、二重盲検ランダム化比較試験により、探索的検証試験を実施し、イフェンプロジルの治療効果検証試験(医師主導治験)に向けたプロトコル作成に貢献した。</p>
KI-028	<p>・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>		<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」(2019年度予算額4,850,000千円(国際脳含む))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」を通じて、引き続き精神・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>	<p>・小型蛍光顕微鏡によるマーモセット大脳皮質運動野深部の神経細胞活動の自由行動環境下での計測に成功した(平成30年8月)。さらに、超広視野顕微鏡や領野間神経活動の同時計測法開発など、革新的解析技術を開発した。特に最高性能の超高速カルシウムセンサーの開発に成功、5感・行動・記憶などの過程を制御する神経細胞活動の測定技術を飛躍的に進展させた(令和元年5月)。</p> <p>・令和2年3月末時点で脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップは完成していないが、マップ作成に必要な解析技術確立や、マーモセット脳・前頭前野の回路マップの令和2年度公開のための準備が完了する等をKPI達成に貢献する成果と考慮。</p> <p>(成果の例) 「脳科学研究戦略推進プログラム」(令和元年度予算額1,810,637千円)では、うつ病の治療薬候補であるR-ケタミンやS-ノルケタミンについて、抗うつ薬としての治験実施に向けて、導出先企業と連携しながら研究開発を進め、R-ケタミンをうつ病の治療薬候補として海外企業に導出し、第一相治験を開始した。 「障害者対策総合研究開発事業」(令和元年度予算額335,110千円、うち調整費70,000千円)では、うつ病に対する診療ガイダンスを作成した。また、統合失調症において診療ガイドラインを策定見込みである。そのほか、ニューロフィードバックのギャンブル障害への治療応用の取り組み、治療抵抗性うつ病に対するrTMS治療縦断研究を実施した。さらに、覚醒剤依存患者に対し、二重盲検ランダム化比較試験により、探索的検証試験を実施し、イフェンプロジルの治療効果検証試験(医師主導治験)に向けたプロトコル作成に貢献した。</p>

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
○ 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	<p>・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</p>	-	<p>・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」(2019年度予算額1,973,030千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(2019年度予算額1,432,038千円)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。</p>	<p>・国立感染症研究所、北海道大学、長崎大学、新潟大学等が各種病原体の遺伝子情報等を得て、データベース構築基盤の拡充を進めた。また、ザンビアの野生動物から得られたウエストナイル及びボレリアウイルスを分離した結果を、感染研の病原微生物検出情報(IASR)に報告し、2019年9月にWEB公開した。</p> <p>・名古屋大学の保有する化合物ライブラリーの中から、細菌に薬剤耐性を起こさせる酵素の阻害化合物を発見し、特性を解析評価した。さらに、阻害活性が強化された新規化合物を得て、令和元年度に特許出願(国内及びPCT)。</p> <p>・新型多剤耐性菌の新規阻害化合物質の探索のため、J-GRIDの研究開発によるゲノムデータベース等を活用し、化合物ライブラリーの中から発見した阻害化合物(No.9)を解析評価し、それをベースにより阻害活性が強化された新規化合物(X2)を得て、特許出願(国内およびPCT)が完了した。上記化合物をAMED iD3支援により、さらに構造展開を進め、代表的な三種類のメタロ-β-ラクタマーゼ(IMP型、NDM型、VIM型)を強く阻害する新規化合物(X2dとZ1074-1)を得た。</p>

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決 定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
KI-030	<ul style="list-style-type: none"> ・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"> ・「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」(2019年度予算額1,973,030千円)において、ノロウイルスワクチンについては、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。 	<ul style="list-style-type: none"> ・第1世代ノロウイルスワクチンシーズについて、平成30年に企業導出後、海外における令和2年度内の第I相臨床試験に向けて製造準備中。 ・次世代ノロウイルスワクチンシーズについて、特許出願中。 ・経鼻インフルエンザワクチンについて、令和元年7月に企業治験(第II相)が完了し、現在承認申請準備中。 ・様々なインフルエンザへの抗体産生を誘導する万能インフルエンザワクチンを開発し、実用化に向けて企業と連携し、令和元年11月に医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)に採択され、支援開始。 ・このような企業導出は早期の実用化に貢献するものであると評価できる。
【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"> ・「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」(2019年度予算額1,973,030千円)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」(2019年度予算額1,432,038千円)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。 	<ul style="list-style-type: none"> ・インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、第I / II 相臨床試験を完了。現在第III相試験に向けて準備中。 ・エボラウイルスワクチンについて、候補ワクチンの製造、非臨床試験を完了し、令和元年12月から第I相臨床試験(first in human)を開始。 ・ジカウイルスワクチンについては、治験薬の製造、非臨床試験を完了し、令和元年6月から第I相臨床試験(first in human)を開始。
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"> ・「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」(2019年度予算額1,973,030千円)と「感染症研究国際展開戦略プログラム」(2019年度予算額1,432,038千円)と「感染症研究革新イニシアティブ」(2019年度予算額1,650,000千円)においては、病原性の高い病原体を中心に、基礎研究から実用化まで幅広く創薬の標的探索につながる研究開発を推進する。 	<ul style="list-style-type: none"> ・新型コロナウイルス(SARS-CoV2)に対する治療薬の研究開発支援を行った。 ・カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノムデータベースを活用し、多剤耐性菌感染症に有効な新規抗菌薬の候補物質を見出し、平成30年度より創薬戦略部に課題を橋渡しすることにより、新規抗菌薬の導出に向けて開発を進めた。 ・メチシリン耐性黄色ブドウ球菌および多剤耐性緑膿菌に感染した皮膚潰瘍を対象とする光線力学療法について、ヒトを対象とした臨床研究で有効性を見出し、既存化合物の用法に関する特許を取得し、第I相試験に向けたPMDA対面助言を実施した。

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決定)	これまで(令和元年末時点)のKPI総括
KI-033	<p>・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)</p>	-	<p>・麻しんの排除の維持、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。</p>	<p>・ポリオの根絶に資する研究として、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行い、動物実験による有効性評価を実施中。また、セービン不活化ポリオウイルスワクチンの有効性の検証、品質管理の国際標準化、ならびにエンテロウイルスD68型感染症も含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築の準備など、広範な試みも継続して実施。 ・麻しんについては、排除認定の維持に向けた取組みを引き続き支援。既存検査法の改良、検査体制強化、麻しんウイルス流行株の遺伝子解析による国内流行状況の解析等、国内サーベイランス体制の強化支援に寄与。 ・結核低まん延化に資する研究として、令和元年11月に結核DNAワクチンの多施設第I相医師主導治験(first in human)を開始し、結核の根絶・排除に向けた取組を継続中。 ・平成29年度までに構築した質・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の拡充を図り、令和元年度は国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約4分の1(1,270株程度)についてデータを公開。 ・ポリオウイルスについては、2015年9月に2型野生株ポリオウイルス根絶が宣言され、3型野生株も2019年10月に根絶宣言がなされたが、パキスタンおよびアフガニスタンではウイルス伝播が継続中。 ・平成12-平成30年の間に全世界で麻疹患者発生率は66%減少した(100万人あたり145例から49例に減少)したほか、年間麻疹死者数(推定値)は65%減少(2822万人から977万人に減少)。</p>
○ 疾患に対応した研究<難病> 【2020年までの達成目標】				
KI-034	<p>・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)</p>	7件	<p>・引き続き、「難病克服プロジェクト」(2019年度予算額12,582,851千円)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・治療法開発研究等を推進し、iPS細胞の利活用を促進していく予定である。 注)2017年度より、「再生医療実用化研究事業」(2019年度予算額2,781,778千円)を本プロジェクト予算として再掲。iPS細胞等を用いた創薬等研究については、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」(2019年度予算額1,050,000千円)を本プロジェクト予算として再掲。また、2018年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」のうち、難病関連部分のみを再掲、2019年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」(2019年度予算額600,264千円)を本プロジェクト予算として再掲。</p>	<p>・難病に対する新たな医薬品3件、医療機器3件、診断薬1件の7件の薬事承認を取得している。 ○ラパマイシン(リンパ脈管筋腫症)／DR医薬品 ○HAL医療用下肢タイプ(SMA、SMB、ALS等)／新規医療機器 ○サンコン Kyoto-CS(SJS、TEN)／新規医療機器 ○チタンブリッジ(痙攣性発声障害)／新規医療機器 ○ロインリッチα2グリオブリン(LRG)(炎症性腸疾患)／新規診断薬 ○タウリン(ミトコンドリア病 MELAS)／DR医薬品 ONS-065/NCNP-01[viltolarsen](デュシエンヌ型筋ジストロフィー)／新規医薬品 ・KPIは未達であるが、不確実性の高い医療開発事業において、5年間に1事業で7件の製造販売承認を取得し、今後の承認につながる豊富なパイプラインを構築したことは顕著な成果と評価する。</p>

通し番号	KPI	最新の数値 (令和2年3月末 時点)	「2019年度の取組方針」(令和元年6月20日推進本部決定)	これまで(令和元年度末時点)のKPI総括
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	<p>・引き続き、「難病克服プロジェクト」(2019年度予算額12,582,851千円)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。</p> <p>注)2017年度より、「再生医療実用化研究事業」(2019年度予算額2,781,778千円)を本プロジェクト予算として再掲。iPS細胞等を用いた創薬等研究については、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」(2019年度予算額1,050,000千円)を本プロジェクト予算として再掲。また、2018年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」のうち、難病関連部分のみを再掲、2019年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」(2019年度予算額600,264千円)を本プロジェクト予算として再掲。</p>	<p>・HTLV-1関連脊髄症(HAM)患者を対象とした国際共同治験を開始し、急速進行群は目標例数8例を完了し、緩徐進行群は40例中28例を登録し、早期終了(解析)についてPMDAと相談中。</p>
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	29件	<p>・引き続き、「難病克服プロジェクト」(2019年度予算額12,582,851千円)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。</p> <p>注)2017年度より、「再生医療実用化研究事業」(2019年度予算額2,781,778千円)を本プロジェクト予算として再掲。iPS細胞等を用いた創薬等研究については、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」(2019年度予算額1,050,000千円)を本プロジェクト予算として再掲。また、2018年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」のうち、難病関連部分のみを再掲、2019年度より、「臨床ゲノム情報統合データベース事業」(2019年度予算額600,264千円)を本プロジェクト予算として再掲。</p>	<p>・未診断疾患イニシアチブ(IRUD)の成果として、新規疾患または新規原因遺伝子の発見が29件なされた。</p>