

## 成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
① 医薬品創出	【2020年頃までの達成目標】 ・相談・シーズ評価 1500件	【2020年までの達成目標】 ・相談・シーズ評価 1500件	421件	863件(平成28年度442件)
	・有望シーズへの創薬支援 200件	・有望シーズへの創薬支援 200件	44件	58件(平成28年度14件)
	・企業への導出(ライセンスアウト) 5件	・企業への導出(ライセンスアウト) 5件	4件	15件
	・創薬ターゲットの同定 10件	・創薬ターゲットの同定 10件	8件	8件(平成28年度 0件)

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
② 医療機器開発	【2020年頃までの達成目標】 ・5種類以上の革新的医療機器の実用化	【2020年までの達成目標】 ・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(9種類のテーマ(平成28年3月末現在)で事業を実施、各テーマにて複数の機器開発を予定している。)	複数種類の革新的医療機器を開発中(11種類のテーマ(平成29年3月末現在)で事業を実施、各テーマにて複数の機器開発を予定している。)
	・医工連携による医療機器開発件数 100 件	・医工連携による医療機器開発件数 100 件	平成28年3月末現在で医療機器として薬事認証・承認を得たと確認出来た件数は、7件。	平成29年3月末現在で医療機器として薬事認証・承認を得たと確認出来た件数は、14件(平成28年度 7件)。
	・医療機器の実用化による成果 約1,500 億円	・医療機器の実用化による成果 約1,500 億円	平成28年2月調査時点の累計売上額は、25.4億円。	平成29年3月末時点の累計売上額は、調査中(平成29年6月に金額確定予定)。
③ 革新的な医療技術創出拠点	【2020年頃までの達成目標】 ・医師主導治験届出数 年間40件	【2020年までの達成目標】 ・医師主導治験届出数 年間40件	医師主導治験届出:平成27年度 31 件	平成28年度 24件(平成27年度 31件)
	・FIH試験(企業治験含む)年間40件	・First in Human(FIH)試験(企業治験を含む)年間40件	平成27年度 16 件	平成28年度 24件(平成27年度 16件)

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
④ 再生医療	【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	【2020年までの達成目標】 ・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始)	難病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ている。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。	難病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ている。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。
	・再生医療等製品の薬事承認数の増加	・再生医療等製品の薬事承認数の増加	平成26年度までに2品目が承認されていたが、本年度、新たに2品目(ヒト(自己)骨格筋由来細胞シート(「ハートシート」(テルモ株式会社))、ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞(「テムセルHS注」(JCRファーマ株式会社)))が承認された。 「ハートシート」について、今回の適応疾患は虚血性心疾患であるが、平成27年度「再生医療実用化研究事業」において、拡張型心筋症への適応拡大を目指した臨床試験に対する支援を行っている。また、「テムセルHS注」については、平成27年度「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」において、細胞培養方法の改良、細胞ソース確保システムの構築等に関する支援を行った。	平成27年度までに4品目が承認されていたが、平成28年9月、既承認のヒト(自己)表皮由来細胞シート(「ジェイス」(株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング))に関して、従来の「重症熱傷」に加え、「先天性巨大色素性母斑」の効能効果が承認された(効能追加の承認取得)。
	・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 約15件* *2015年度目標の約10件を含む	・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件	「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」、「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、21件(対象疾患数:20疾患)が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患は着実に拡大している。	「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」、「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、28件(対象疾患数:25疾患)が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患は着実に拡大している。
	・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	細胞製造の自動化に向けた自動培養システムによる細胞培養検証、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、iPS細胞等の半自動化無攪拌浮遊培養装置による細胞培養を成功させるなど、個々の要素技術開発については計画どおり進捗である。	細胞製造の自動化に向けた自動培養システムによる細胞培養検証、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、iPS細胞等の半自動化無攪拌浮遊培養装置による細胞培養を成功させるなど、個々の要素技術開発については計画どおり進捗である。
	・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	・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	研究班で実施した検証試験等の進捗状況を国際会議(平成27年5月(ボストン、北京)、同9月(プラハ)等)で報告するなど、新たな心毒性評価法の国際的な議論に参加している。また、検証試験の結果を踏まえた更なる国際検証試験の計画を立案した。	国立医薬品食品衛生研究所の関野らは、実施した心毒性評価系の検証試験等の進捗状況を、米国で開催された国際会議(平成28年12月、ワシントンDC)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大規模検証試験が終了し、ヒトiPS細胞由来心筋細胞はヒト心電図データを反映すること、精度よく不整脈リスクを予測できることを明らかにした。評価法の国際標準化に向けて、さらに研究計画を立案している。

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
⑤ オーダーメイド・ゲノム医療	<p>【2020-30年頃までの達成目標】</p> <p>・生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など)の劇的な改善</p>	<p>【2020年までの達成目標】</p> <p>・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</p>	<p>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(平成27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。</p> <p>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(平成27年11月)。さらに、心筋梗塞・不安定狭心症と相関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(平成27年8月)。</p> <p>また、平成27年度第1回調整費において、BBJと連携しつつ、心臓突然死の発症リスク遺伝子解明に向けた研究を開始した(平成27年10月)。また平成27年度第2回調整費において「心筋梗塞を対象とした全ゲノム解析」に着手した(平成27年12月)。</p> <p>さらに、成果目標を達成するため、上記の取組に加え、生活習慣病において、ゲノム領域の戦略的な研究開発を進める新規事業「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」を創設した。</p>	<p>東北メディカル・メガバンク計画では、ゲノム情報に基づく脳梗塞の発症リスク予測法を確立し、この予測法が脳梗塞の3つの病型全てでリスクを予測できること、脳梗塞の発症リスクを高めるとされている生活習慣病(高血圧、糖尿病、脂質異常症、心房細動)の罹患と独立していることを解明した。</p> <p>ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業では、2型糖尿病について、1000ゲノムプロジェクト phase3を用いたインビュテーションの後にゲノムワイド関連解析を行い、複数領域において2型糖尿病との関連を認めた。このうち同定された糖代謝と関連する遺伝子のミスセンス変異について、タンパク質立体構造に影響を及ぼす可能性が示唆された。また、心房細動の発症に寄与すると考えられる感受性領域を同定した。平成28年度採択課題では、様々なコホート、バイオバンクと連携協力する体制により糖尿病発症・重症化・合併症の予防法作成を目指し、それらに関連する遺伝・環境因子の探索等を推進している。</p>
	<p>・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</p>	<p>・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</p>	<p>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(平成27年9月)。</p> <p>また、平成27年度第2回調整費において、遺伝性乳がん診断のための遺伝子変異データベース構築を目指し、研究を開始した(平成27年12月)。さらに、京都大学等で進められているオンコプライム(がんの遺伝子検査)研究とゲノム医療実施体制の構築と人材育成に関する研究との連携を進めた。</p> <p>さらに、成果目標を達成するため、上記の取組に加え、ゲノム医療実用化推進研究事業において、平成28年度より事業を拡張し、新たにファーマコゲノミクス等の領域を創設した。</p>	<p>臨床ゲノム情報統合データベース整備事業では、がん患者における臨床情報とゲノム情報の紐づいたデータベース整備を開始した。</p> <p>ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業では、大腸がん患者を対象に累計1955人分の検体を収集した。抽出した全てのDNAの質を評価し、解析可能ながん/正常DNAにつきターゲットシーケンスを実施した。</p>
	<p>・うつ、認知症のゲノム医療に係る臨床研究の開始</p>	<p>・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</p>	<p>平成25年度より血液サンプルと臨床情報の収集を開始し、平成27年度末までにうつ病360症例、認知症508症例を収集した。</p> <p>また、「脳とこころの健康大国実現プロジェクト」との連携として、BBJと連携しつつ、認知症関連遺伝子探索するための研究を開始した。(平成27年10月)。</p>	<p>臨床ゲノム情報統合データベース整備事業では、認知症、及び感覚器領域において、疾患関連遺伝子の同定に向け臨床情報とゲノム情報の紐づいたデータベース整備を開始した。</p> <p>オーダーメイド医療の実現プログラムでは、認知症の疾患関連遺伝子解析に向けて、2013年度より血液サンプルと臨床情報について、認知症712症例を収集した。</p>

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
	<p>・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発</p>	<p>・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</p>	<p>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(平成27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の探索を実施したほか、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(平成27年3月)、原因遺伝子の探索に着手した。 また、BBJと連携しつつ、多発性硬化症の発症メカニズム研究を開始した。(平成27年10月)</p>	<p>臨床ゲノム情報統合データベース整備事業では、神経・筋難病等について疾患関連遺伝子の同定に向けたゲノム解析を開始した。 ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業では、インターフェロンβ治療を受けた多発性硬化症患者の累計216例の検体、インターフェロンβ治療以外の治療を受けている患者や類縁疾患の累計340例の検体をバイオバンクに収集した。追加された検体を含めたGWAS解析を実施し、薬剤反応性、副作用に関連する解析に着手した。</p>

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
⑥ がん	【2020年頃までの達成目標】 ・5年以内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	【2020年までの達成目標】 ・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(うち平成27年度に3種)	10種(うち平成28年度に4種)
	・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	・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	9種(うち平成27年度に6種)	20種(うち平成28年度に11種)
	・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	・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	0種
	・いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	・いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ(開発ラグ)の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等を5課題以上で支援中。	小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ(開発ラグ)の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等を8課題以上で支援中。
	・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)	・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)	小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン作成に資する多施設共同臨床研究を48課題で支援中(小児がんは12件、高齢者がん6件、難治がん11件、希少がん19件)	小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン作成に資する多施設共同臨床研究を47課題で支援中(小児がんは12件、高齢者がん6件、難治がん12件、希少がん17件)

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
⑦ 精神・神経疾患	【2020年頃までの達成目標】	【2020年までの達成目標】 ・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)		・アルツハイマー病脳老人斑の蓄積量反映する血液マーカー(Aβ断片)の発見など、認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカー開発を推進した。
	・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	・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	認知症の人やその前段階の人の全国的レジストリ体制や、臨床研究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。 ・「自閉症スペクトラム症の中核症状」に対する初の治療薬としてのオキシトシン経鼻剤→パイロットスタディは終了。多施設・大人数による治験に移行準備中。 ・認知症予防・治療のため、神経細胞内でのtauの凝集阻害効果をもつ薬剤としてイソプロテレノールを同定→平成28年度より単回投与薬効試験を開始、次いで反復投与試験に移行予定 ・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出した。	・自閉症スペクトラム障害に対するオキシトシン治験に関しては、PMDA薬事戦略相談(平成28年11月)で実施プロトコルが確立したことにより、P I 相試験を平成29年2月に開始した。P I 相試験終了次第、入手したデータ解析を行うことで、引続き平成30年に開始予定のP II 相試験に備える。 ・前頭側頭型認知症の分子標的治療薬となり得る化合物を見いだした ・レビー小体病において原因物質と考えられているαシヌクレインの凝集・伝播を阻害する化合物を見いだした→平成29年3月に特許を申請した ・アミロイドβ形成過程を制御する分子に対する抗体(HMGB1)を開発した→平成28年8月に特許を申請した
	・精神疾患の客観的診断法の確立	・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)	・脳機能・構造評価システム(磁気共鳴イメージング装置用ファントム): 気分障害の客観的な診断に有用であることが判明、国際特許出願中→平成28年度に気分障害患者と健常者の脳画像・血液・臨床データの追加収集・解析を開始予定 ・血液メタボローム解析により見いだした抑うつの重症度を反映するバイオマーカー: 検査キット開発済み、米国特許出願中 ・大うつ病性障害と双極性障害の鑑別診断に応用するための測定キット開発: 米国特許出願中 ・統合失調症における淡蒼球の体積: 健常者に比べて大きい、左側優位の非対称性が存在することを新たに発見 ・「ストレスを感じるような出来事(ストレスフルライフイベント)と遺伝子多型との相互作用」を同定 ・中高年者のうつ病重症度を反映するマーカー遺伝子の同定→平成28年度に補助診断マーカーの多施設連携大規模調査を開始予定 ・視線計測装置Gazefinder®: 視線パターンで自閉スペクトラム症を高率で弁別可能であることが判明	・大規模全ゲノム解析でそううつ病の新規リスク遺伝子(脂質代謝異常に関連)を同定した。自閉症を脳回路から見分ける先端人工知能技術を開発した。

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
	・精神疾患の適正な薬物治療法の確立	・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)	・クロザピンがもつ副作用のリスク遺伝子を同定:クロザピン誘発性無顆粒球症の病態生理の解明、さらには新たな薬剤開発へ役立つことが期待される。 ・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	・「日本うつ病学会治療ガイドライン」の改訂を行い完成した。(平成28年8月) ・精神疾患の適正な治療法の確立を目指し、発達障害を含む児童・思春期精神疾患の薬物治療ガイドライン、統合失調症早期治療ガイドライン、当事者を主体とした統合失調症治療ガイドライン、医療観察法・措置入院ガイドライン、危険ドラッグ治療ガイドライン、アルコール依存症治療ガイドラインの開発を進めている。
	・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	・神経細胞がどのように神経回路を形成し、どのように情報処理を行うことによって、全体性の高い脳の機能を実現しているかを解明するため、我が国が強みを持つ新しい技術開発を生かすことにより、その全容を明らかにすることを目指し研究開発を継続して行っている。	・マーマセット脳内の遺伝子データベースサイト(平成28年8月)、及び脳画像データの3D化や動画をデータポータル(平成29年3月)で公開し、今後のマップ(データベース)作成の方向性を示した。

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
⑧ 新興・再興感染症	【2020年頃までの達成目標】 ・得られた病原体(インフルエンザ、 Dengue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	【2020年までの達成目標】 ・得られた病原体(インフルエンザ、 Dengue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	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の実用化に向けた基盤整備を行った(平成28年3月時点)。	平成27年及び平成28年度に、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各病原体ゲノムデータベース構築基盤の拡充を進めることにより、北海道大学で一部のデータベース(インフルエンザ)について公開することができた。またJ-GRIDの最終目標の一つである「国内感染症対策への応用」へ向けて、下痢症感染症およびDengueウイルス/媒介蚊データベースを活用する研究課題を2次公募にて追加採択したことで、データベース構築の強化を促進した。また、耐性菌プラスミドネットワーク解析プログラムについては開発済みで平成28年度に公開した。下痢症およびDengueウイルスのゲノムデータベースは国立感染症研究所(GenEpid-J)に集約を開始した。
	・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臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請	・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臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請	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(平成27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(平成27年10月)。	ノロウイルスワクチンについては、平成28年度にワクチンシーズの企業導出に向けた調整を開始した。経鼻インフルエンザワクチンについても企業導出を行い、第II相試験の実施に向けて必要なワクチン製造法・評価法の技術的な検討を引き続き行った。
	【2030年頃までの達成目標】 ・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等)	【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等)	エボラウイルスワクチンの製造システムの構築を検討し、構築に着手した(平成27年6月)。	平成28年度に、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、マスターセルバンク及びマスターウイルスバンクの確立を行った。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、ワクチンシーズの開発等を推進した。
	・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発	・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発	「Dengue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2化合物を見いだした(平成28年3月)。 抗Dengue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、創薬推進に向けた取組を行った(平成28年3月)。	平成28年度に、抗Dengueウイルス薬について、天然抽出物を中心としたスクリーニング支援を開始し、創薬推進に向けた取組を行った。また、カルバペネム耐性菌に関しては化合物スクリーニングを実施し抗菌薬候補物質を見いだした。一方、MERSの原因ウイルスの感染を効果的に阻害する薬剤をドラッグリプロファイリングにより見いだした。

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
	<p>・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成                      (結核については2050年までの達成目標)</p>	<p>・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成                      (結核については2050年までの達成目標)</p>	<p>麻しんの排除状況の維持及び風しん排除に資する研究の一環として、平成28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、平成28年3月までに従来よりも5～10倍程度回収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平成27年12月までに安全性に係る非臨床試験が完了した。</p>	<p>麻しんの排除状況の維持に資する研究の一環として、平成28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。さらに、平成28年度には、麻しん排除認定の維持に向けた取組みを引き続き支援した。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、平成28年3月までに従来よりも5～10倍程度回収率を上げることに成功した。また、平成28年度には、サーベイランス体制の構築、検査法を含めた広範な試みも含めて取組みを行った。結核ワクチンについては、一部は非臨床試験の実施を支援し、現在治験実施に向けた研究開発を引き続き支援している。</p>

成果目標(KPI)に係る達成状況

	現行KPI	(参考)新KPI	①. H27年度末迄の達成状況	②. H28年度末迄の達成状況
⑨ 難病	【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 (ALS、遠位型ミオパチー等)	【2020年までの達成目標】 ・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 (ALS、遠位型ミオパチー等)	3件(新規薬剤、新規医療機器の薬事承認取得)	累計3件、うち平成28年度は0件(新規薬剤、新規医療機器の薬事承認取得)
	・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	・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	国際共同臨床研究及び治験を、難治性疾患実用化研究事業の2課題において実施にむけ取り組んでいる。 HTLV-1関連骨髄症(HAM)に対するステロイド製剤について、2016年度の国際共同治験開始に向け準備中である。また、中性脂肪蓄積心筋血管症に対する中鎖脂肪酸製剤については現在国内治験を実施中であるが、国際共同臨床研究に向けて準備中である。	国際共同臨床研究及び治験の実施にむけ、難治性疾患実用化研究事業の1課題において以下のとおり取り組んでいる。 ・HTLV-1関連骨髄症(HAM)に対するステロイド製剤:ステロイド製剤の国際共同治験では、治験届を提出し(平成28年7月27日)、患者の登録を開始して16例で同意を取得し9例で投与を開始する等、順調に進行している。
		・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		累計6件、うち2016(平成28)年度は2件(論文発表等での公開) (内訳(過年度の成果を含む。)) ・新規原因遺伝子CDC42…武内-小崎症候群(Am J Med Genet 2015) ・新規原因遺伝子PDGFRB…小崎Overgrowth症候群(J Pediatr 2015、平成27年XX月XX日) ・新規原因遺伝子EVI1…無巨核球性血小板減少症を伴うとう尺骨癒合症(Am J Hum Genet 2015) ・新規原因遺伝子BRAF…Schimmelpenning-Feuerstein-Mims症候群(Am J Med Genet 2015) ・新規原因遺伝子SON…ZTTK症候群(Am J Med Genet 2016) ・新規原因遺伝子SMCDH1…Bosma arhinia microphthalmia症候群(Nat Genet 2017)