



独立行政法人医薬基盤研究所  
National Institute of Biomedical Innovation

# 創薬支援の取組

オールジャパンでのアカデミア創薬支援について

独立行政法人 医薬基盤研究所  
創薬支援戦略室

2013年 11月 19日

# 「日本再興戦略」・「健康・医療戦略」

創薬支援ネットワークは、我が国の健康・医療に関する重要政策の1つとなっています。

また、政府によって今年の6月に取りまとめられた、「日本再興戦略」・「健康・医療戦略」にも創薬支援ネットワークについて触れています。

# 「日本再興戦略」 (平成25年6月14日閣議決定)(抜粋)

## アクションプラン(2)戦略市場創造プラン

### テーマ①国民の「健康寿命」の延伸

#### ○医薬品・医療機器開発、再生医療研究を加速させる規制・制度改革

- ・大学等の基礎的研究成果を革新的医薬品として実用化に導くため、  
医薬基盤研究所に設置した創薬支援戦略室が本部機能を担い、  
理化学研究所、産業技術総合研究所等の連携による創薬支援  
ネットワークを「日本版NIH」の創設に先行して構築し、  
新薬創出に向けた研究開発を支援する。

# 「健康・医療戦略」

## (平成25年6月14日申合せ)(抜粋)

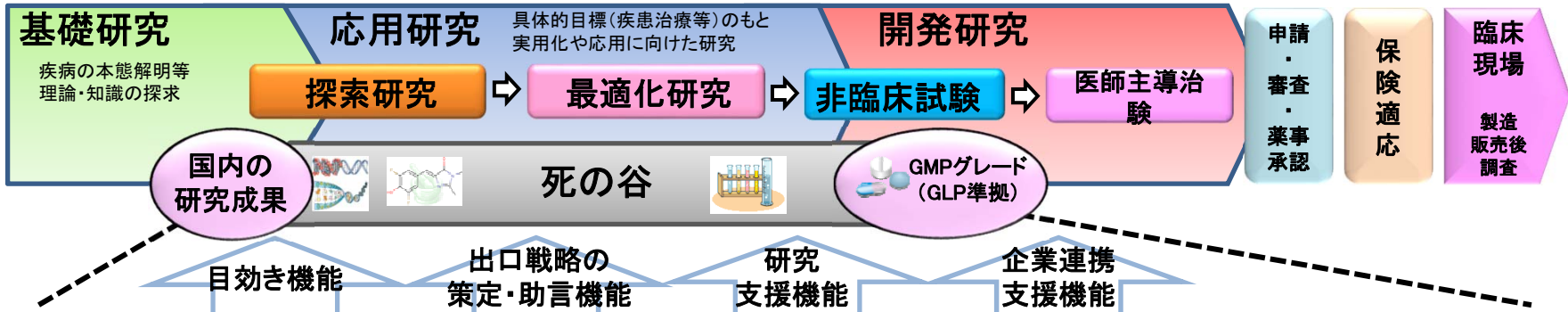
1. 新技術の創出(研究開発、実用化)
  - 日本の官民の力の再編成による目標への挑戦—
  - (1) 政府部門における研究開発の推進と重点化
  - 4) 研究開発の推進体制の整備
    - ② 医薬品・医療機器の開発支援機能の強化

### オールジャパンの医薬品・医療機器開発支援体制の整備

ア 大学・研究機関等における我が国の優れた研究成果を確実に医薬品の実用化につなげることができるよう、基礎研究等から医薬品の実用化まで切れ目なく支援するためのオールジャパンでの創薬支援体制として、関係府省の連携を強化し、関係府省・創薬関連研究機関等による創薬支援ネットワークを「日本版NIH」の創設に先行して構築する。

# 創薬支援ネットワーク

アカデミア等の優れた基礎研究の成果を確実に医薬品の実用化につなげるため、厚労省の医薬基盤研究所が中心となって本部機能を担い理研と産総研を中心に大学等との研究関係機関で構成する「創薬支援ネットワーク」を構築。このネットワークでは、「死の谷」と呼ばれる応用研究(特に最適化研究～非臨床試験まで)の段階を中心に切れ目のない実用化支援を行い、企業への導出等を図る。



## 創薬支援ネットワーク

**【理化学研究所の取組み】**  
SACLA、SPring-8、京コンピュータ等の研究基盤を利用した探索研究および最適化研究の支援※



※探索研究から最適化研究を経て権利化し、企業へ導出するまでの一貫した創薬プロセスを実現

**【医薬基盤研究所の取組み】**  
(ネットワークの本部機能)  
創薬支援戦略室(仮称)の設置  
・有望シーズの調査、評価、選定  
・出口戦略の策定、助言  
・応用研究等の支援  
・知財管理支援  
・企業連携支援 等



### 【研究関係機関】

HTS、薬効薬理、創薬化学(合成)、結晶構造解析等、創薬に必要な研究プロセスを支える研究関係機関が参加し、強固な連携のもと、創薬支援ネットワーク機能を担う。

**【産業技術総合研究所の取組み】**  
計測基盤技術・ツールを用いた探索研究および最適化研究の実施

・これまでに構築したインフラとノウハウを活用して、ライブラリーのスクリーニング等を支援

**【次世代天然物化学技術研究組合】**

・世界最大級の天然化合物ライブラリー



創薬支援ネットワーク協議会・実務者会議による強固な**連携・協力体制**を形成

# 分子標的抗がん剤の場合

- 2000年以降、約40品目が承認されている
- このうち日本発は4品目
  - ◆ **Romidepsin**: Celgene社 HDAC阻害剤、皮膚T細胞性リンパ腫、2009年11月FDA承認、吉田博士(理研)アステラス製薬から導出、
  - ◆ **Crizotinib**: ファイザー社ALK阻害剤、非小細胞肺癌(EML4-ALK陽性)、2012年3月承認、間野博士(東大)
  - ◆ **Mogamulizumab**: 協和発酵キリン、ヒト化抗CCR4抗体、トシリズマブに次ぐ国産抗体医薬第2号、成人T細胞白血病リンパ腫(ATL)、2012年3月承認、上田博士(名市大)
  - ◆ **Trametinib**: GSK社 MEK 阻害剤、転移性メラノーマ(BRAF V600遺伝子変異)、2013年5月FDA承認取得、酒井博士(京都府立医大)/JTとの共同研究、GSKに導出。



# 米国の創薬パラダイム

大学等の公的研究機関で生み出された基礎研究の成果を新薬創出に繋げるインキュベーター“**バイオベンチャー**”が良く発達している。



## 基礎研究

- 新標的
- 新物質
- 新メカニズム
- Etc.

## バイオベンチャーの機能

- 目利き(事業性評価)
- 創薬ビジネスに関する知識と経験
- 創薬研究に必要な設備と技術
- 優れたリスク管理能力(判断力)
- 権利化・知財管理能力

## 本格的開発

- GMP
- Phase 2b/3

NME:  
New Molecular Entity

# 我が国におけるアカデミア創薬の現状

アカデミアで生み出された優れた基礎研究の成果（新標的等）が革新的医薬品の創出に結びついていない

実用化（インキュベーション）の担い手となって死の谷を渡りきる“バイオベンチャー”が不在





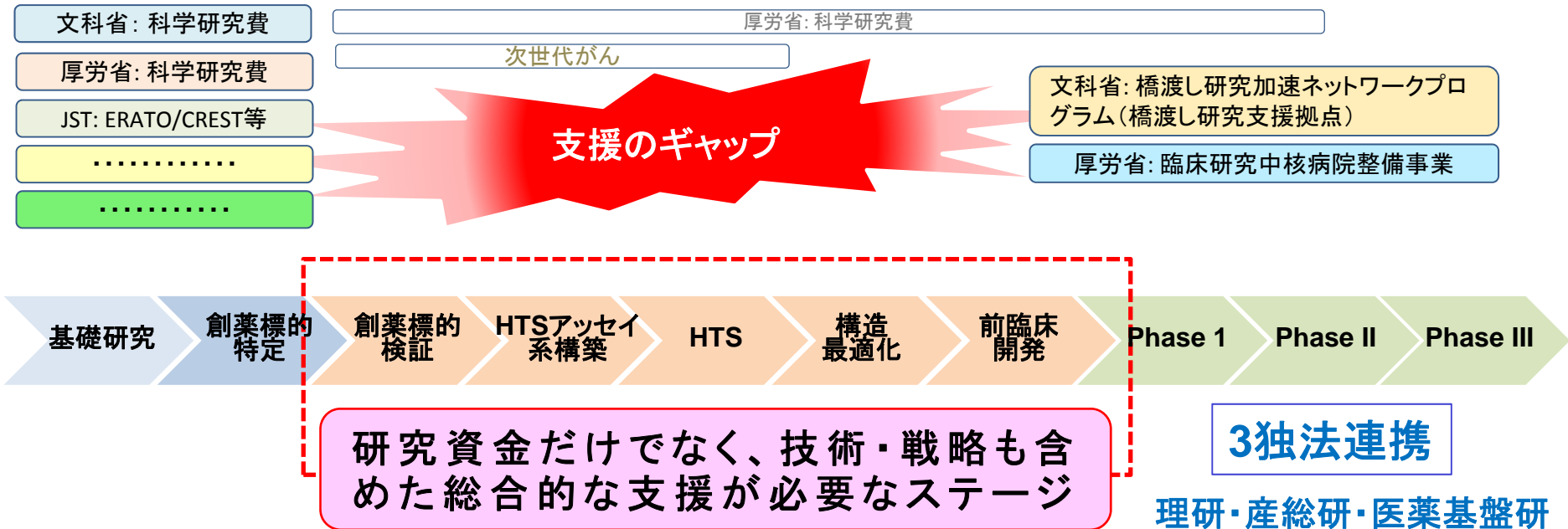
# 創薬支援ネットワーク

## 「死の谷」の克服を目指したインキュベーター機能

- 文科省・経産省・厚労省による健康医療イノベーション推進のための府省横断的プロジェクト
- 理研・産総研・医薬基盤研・大学等、オールジャパンでネットワークを構築し、アカデミア発創薬を強力に支援
- 大学等で生み出された優れた研究成果を医薬品としての実用化に繋げる
- 米国におけるバイベンチャーの役割を担う日本初の公的支援組織
- 研究戦略立案機能 + 技術支援実行機能
- 創薬に関わりの深いテーマを研究者と一緒に支援する仕組み

# 創薬支援ネットワークのポイント

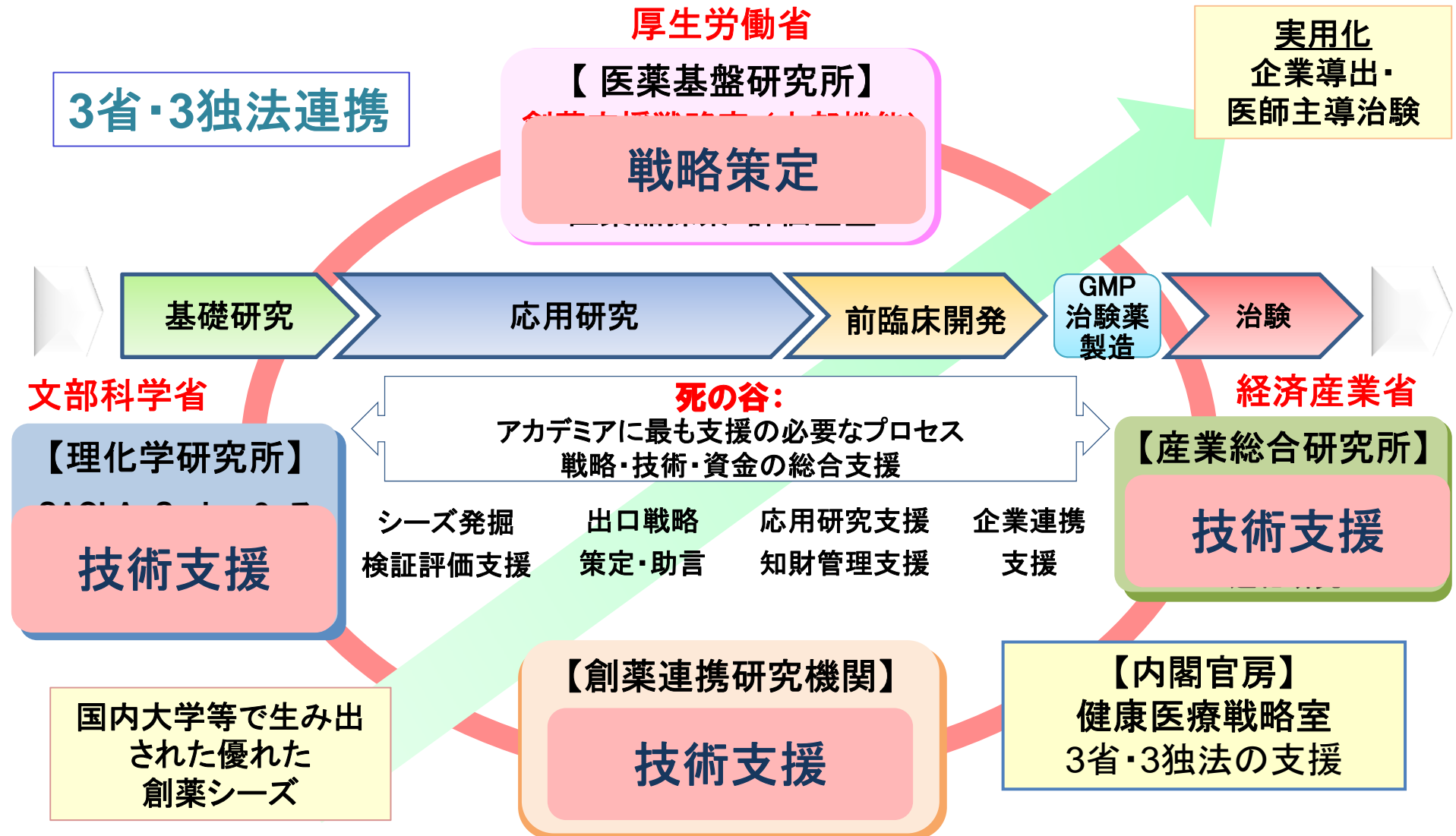
探索研究から前臨床評価までの応用研究を総合的に支援するスキームがこれまで存在しなかった。



## 創薬支援ネットワーク: 戦略・技術・資金のOne Stop Shop

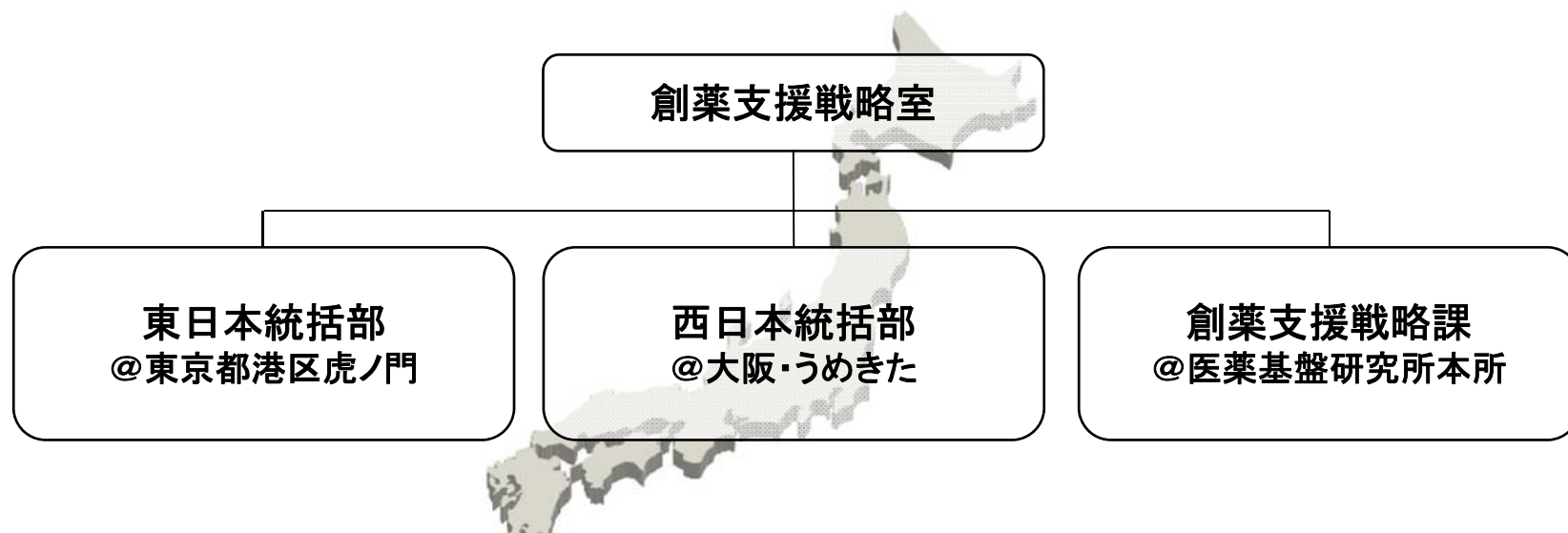
- 出口を見据えた研究戦略の策定・助言
- 技術支援(例えばHTSアッセイ系構築およびスクリーニング実施)
- 試験経費はネットワークが負担
- 知財管理および企業連携も支援

# 創薬支援ネットワークの概要



# 創薬支援戦略室

- 平成25年5月16日設立@医薬基盤研究所
- Center for Innovative Drug Discovery and Development (iD3)
- 「創薬支援ネットワーク」の本部機能
- ~30名の創薬エキスパートで構成される日本初の本格的な公的アカデミア創薬支援組織



# 創薬支援戦略室の特徴

グローバル製薬企業に匹敵する国際標準の創薬研究をリードできる能力を備え、戦略および技術両面でハイレベルな創薬支援を行うことができる真の創薬エキスパート集団

- 製薬企業において研究開発プロジェクトでの豊富な実務経験を有する創薬のエキスパートをコーディネーターとして多数採用
  - 創薬シーズ(新標的・新物質)の“目利き”能力
  - 実用化に焦点をあてた無駄のない研究戦略策定能力
  - 創薬研究の隘路となる様々な失敗要因に的確に対処できるリスク予測管理能力
- 創薬支援に必須な多様な専門性を確保 ⇒ 専門家チームによる総合支援を実現
  - 探索薬理、創薬化学、安全性・毒性評価、代謝・薬物動態、物性評価、etc.
- 最新のビジネスおよび科学技術に関する高度な情報収集能力
- 新薬導出・導入に関わる実経験と強力な交渉力、調整力による企業連携支援機能
- 産学官における研究成果の権利化および知財管理のプロフェッショナル機能

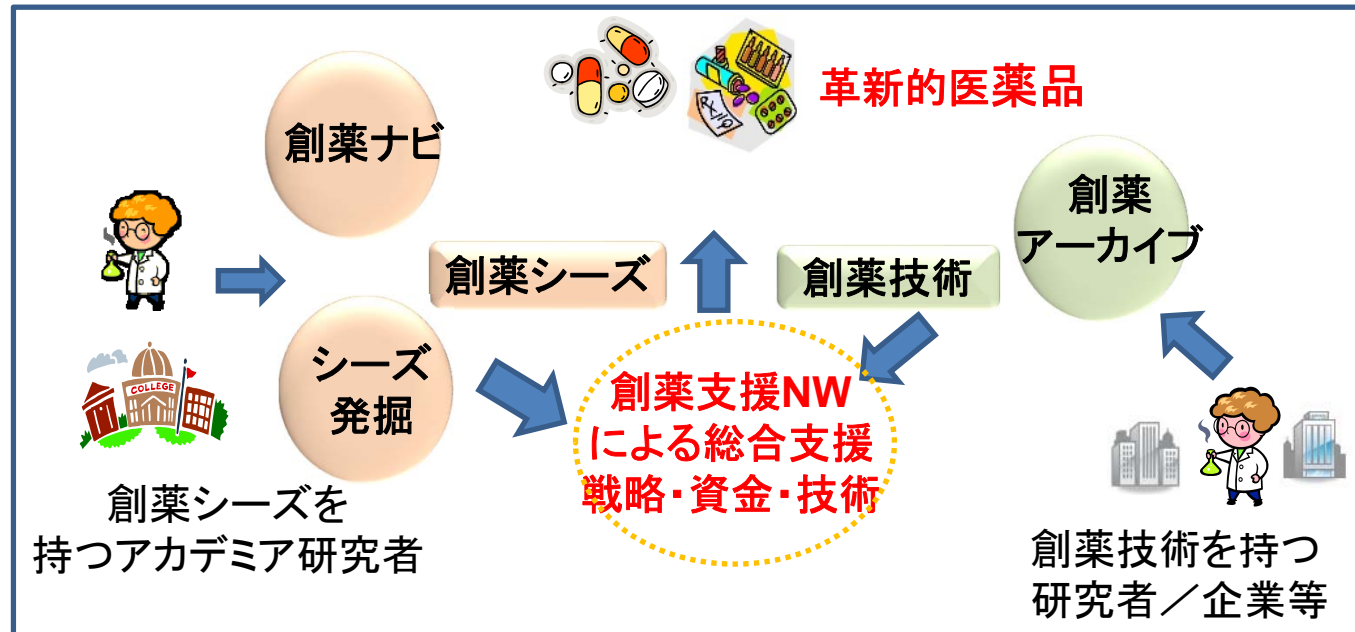
# 創薬支援戦略室のNW本部機能

1. アンメット・メディカルニーズに関する調査・研究
2. 革新的な創薬シーズ(新標的、新物質等)に関する情報収集
3. “目利き”評価(実用化の可能性評価)
4. 研究戦略・出口戦略の策定・助言
5. NWによる技術支援プロジェクトの選定(理研・産総研等と協力)
6. NWによる技術支援の進行調整・管理
7. 知財戦略策定および企業導出に関わる支援・助言

## 創薬支援ネットワークの支援対象

- 大学、国立研究機関、大学発ベンチャー
- First in Class 創薬の支援に注力
- 低分子化合物、天然物、生物製剤(ワクチン、抗体等)
- “New Modality”: 核酸、細胞等
- 重点8領域  
がん、難病・稀少病、肝炎、感染症、糖尿病、  
脳心臓血管系疾患、精神神経疾患、小児疾患等
- 応用研究(標的選択から前臨床試験)を中心に支援

# H25年度創薬支援戦略室の事業



## 創薬ナビ

専任コーディネーターによる研究戦略および技術面での課題解決に向けた無料相談事業。

## 創薬シーズ発掘

専任コーディネーターによる 実用化の可能性の高い創薬シーズに関する情報収集と“目利き”評価

## 創薬アーカイブ

優れたスクリーニング系や構造最適化、薬効評価等に有用な創薬技術の登録事業。  
創薬プロジェクトとのマッチングを企図。

## 創薬技術支援

創薬支援NWによる技術支援等をコーディネート



# 米国NIHにおける新しい取り組み

NIHでは、医薬品シーズの最適化研究から前臨床試験までの  
応用研究への支援を強化。

## The National Center for Advancing Translational Sciences (NCATS)

- ・2011年に設立されたNIHで一番新しい研究所
- ・治療薬、診断薬、デバイスの提供を促進するためTRの革新的技術を開発
- ・TR実施機関への助成、スクリーニングセンターの運営、グラント等
- ・2014年度予算総額635億円

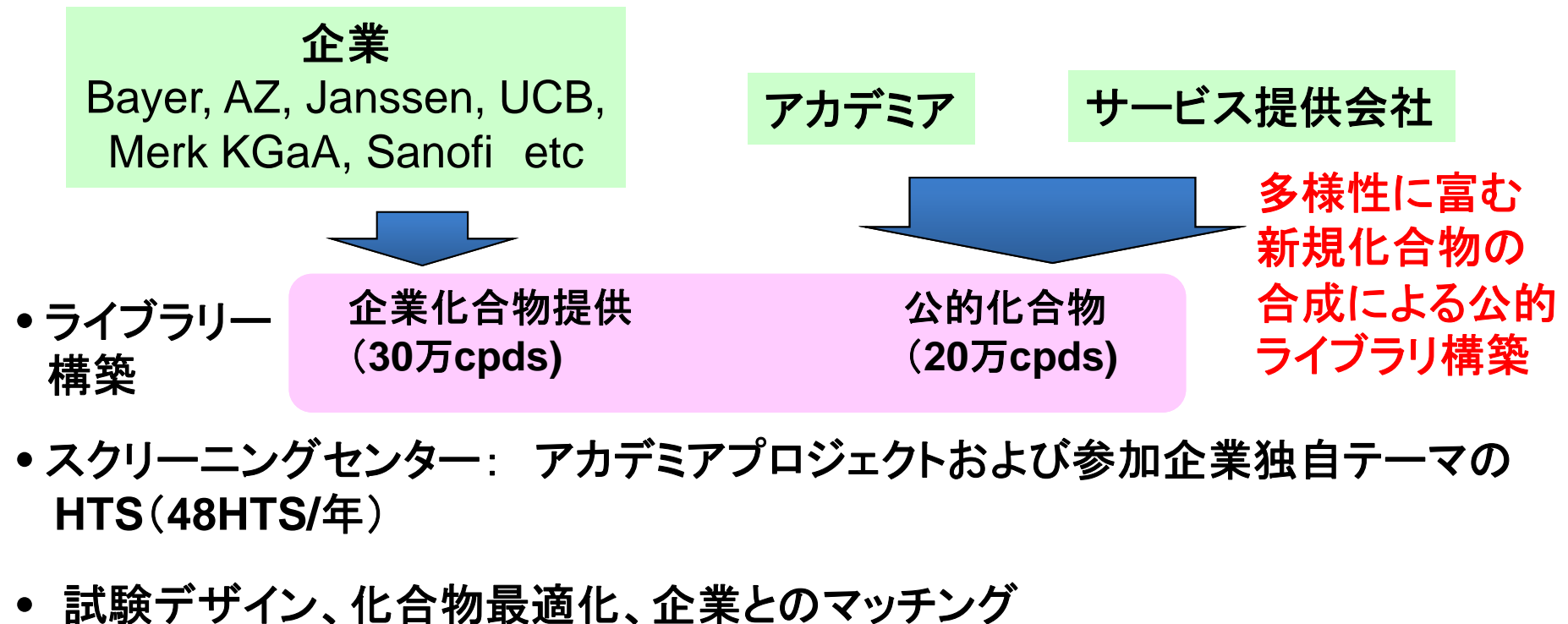
## The National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS)

- ・神経科学分野に特化したThe NIH Blueprintを推進
- ・スクリーニングを終了し、生物活性に関する強い証拠を持った最適化研究の基になるリード化合物を複数持った研究者を支援
- ・受託研究サービスと医薬開発コンサルタントにより支援
- ・リード開発チームはPIと企業経験のあるコンサルタントが運営
- ・最大10億円の試験研究を支援(合成最適化、剤形開発、薬物動態、安全性、GMP製造、フェーズI試験など)

# ヨーロッパの創薬プラットフォーム

## European Lead Factory

- ・ IMI (Innovative Medicines Initiative: 官民コンソーシアム) が200億円をサポート
- ・ 企業ライブラリーにアクセス可能でスクリーニングセンターを運営





独立行政法人**医薬基盤研究所**  
National Institute of Biomedical Innovation

# 医薬基盤研究所

創る、つなぐ、かなえる

～創薬イノベーションを通じて  
未来を拓く～



理事長  
米田 悦啓



理事  
榑林 陽一



相談役  
山西弘一



相談役  
竹中登一



独立行政法人医薬基盤研究所  
National Institute of Biomedical Innovation

ご清聴ありがとうございました

創薬支援ネットワークをぜひご活用ください！

独立行政法人医薬基盤研究所  
創薬支援戦略室

E-mail: [id3info@nibio.go.jp](mailto:id3info@nibio.go.jp)