

創薬支援ネットワークの活動状況及び活動計画

国立研究開発法人日本医療研究開発機構
創薬支援戦略部

平成28年3月11日

- | | |
|--------------------------------------|----------------|
| 1) 創薬支援ネットワークの活動状況 | p3-p6 |
| 2) 現状の仕組みについて | p7-p9 |
| 3) 導出活動を踏まえた対応 | p10-p16 |
| 4) 平成28年度創薬支援ネットワークの
活動方針 | p17-p19 |

創薬支援戦略部の活動実績

(平成28年1月末時点)

1. シーズ評価と創薬支援

達成すべき成果目標 ＜KPI項目＞	創薬支援ネットワークの 活動実績	2015年度までの 達成目標 ^{※1}	2020年頃までの 達成目標 ^{※2}
相談・シーズ評価 ^{※3}	411件	400件	1500件
有望シーズへの 創薬支援 ^{※4}	44件	40件	200件
企業への導出 (ライセンスアウト)	0件	1件	5件

2. 創薬ナビ^{※5} 申込 127件

3. 創薬アーカイブ^{※6} 登録 34件

※1、2：「医療分野研究開発推進計画」（平成26年7月22日 健康・医療戦略推進本部決定）

※2：「健康・医療戦略」（平成26年7月22日 閣議決定）

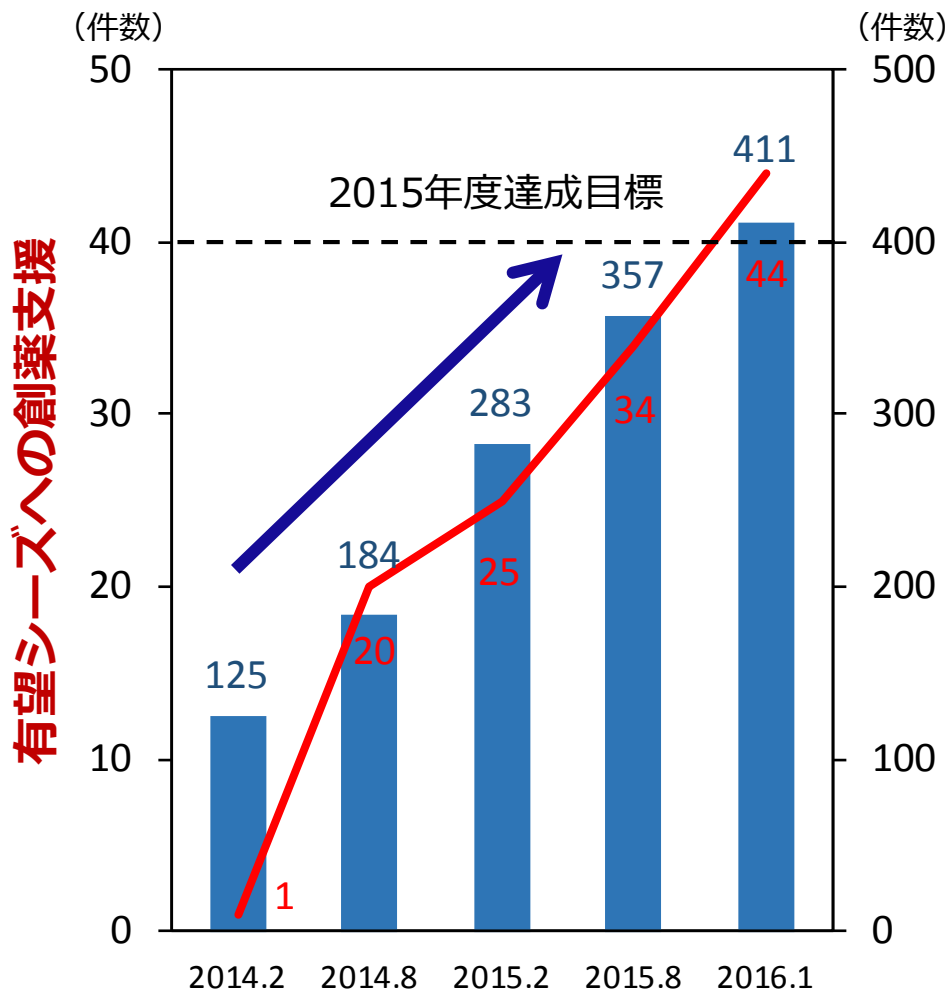
※3：創薬ナビに申込みのあったものを含む（平成28年1月末時点で重複するもの：114件）

※4：支援を中止したテーマを含む

※5：大学や公的研究機関で生み出された優れた研究成果（創薬シーズ）の実用化を加速化するため、豊富な経験を持つ創薬支援戦略部の創薬コーディネーターが、創薬研究に取り組む研究者からの様々な相談に応じる取組

※6：大学や公的研究機関、製薬企業、バイオベンチャー等が保有する様々な先駆的創薬技術に関する情報を広く収集してデータベース化するとともに、創薬プースターに活用し、オープンイノベーションによる創薬支援の高度化をはかる取組

評価シーズ・相談及び創薬支援の期間別実績 (平成28年1月末時点)



相談・シーズ評価

- 相談・シーズ評価※
- 有望シーズへの創薬支援

※評価シーズとは、情報収集を行った創薬シーズのうち、実用化の可能性（医薬品としてのポテンシャル）について、独自の基準に基づき評価を行ったもの。創薬ナビに申込みのあったもののうち、相談を実施したもの等を含む。

創薬支援ネットワークの支援テーマ①

(平成28年1月末時点)

課題番号	課題名	Principal investigator	モダリティ	標的実用化検証	スクリーニング	リード最適化	前臨床開発
DNW-13002	神経再生促進作用を持つ脊髄損傷治療薬の探索	武内 恒成 (愛知医科大学医学部)	低分子化合物				
DNW-13004	閉塞性動脈硬化症治療を目的とした血管新生促進剤の探索	池田 宏二 (神戸薬科大学)	低分子化合物				
DNW-14004	神経軸索伸張作用をもつ脊髄損傷治療薬の探索	武内 恒成 (愛知医科大学医学部)	低分子化合物				
DNW-14005	新規血液凝固阻害剤の探索	沢村 達也 (信州大学医学部)	低分子化合物				
DNW-14007	Ras/Rafシグナル伝達を阻害する新規抗がん剤の探索	島 扶美 (神戸大学大学院医学研究科)	低分子化合物				
DNW-14010	新規うつ病治療薬の探索	宮田 信吾 (近畿大学東洋医学研究所)	低分子化合物				
DNW-14014	脳梗塞治療を目的としたtPA併用剤の探索	下畑 享良 (新潟大学脳研究所)	タンパク質製剤				
DNW-14021	心臓由来分泌ペプチドを用いた心筋細胞分裂誘導剤の探索	望月 直樹 (国立循環器病研究センター研究所)	ペプチド				
DNW-14025	HSVワクチンの探索	川口 寧 (東京大学医科学研究所)	ワクチン				
DNW-14026	組織再生に向けた表皮幹細胞制御分子発現調節剤の探索	西村 栄美 (東京医科歯科大学難治疾患研究所)	低分子化合物				
DNW-14030	HCMVワクチンの探索	白木 公康 (富山大学大学院医学薬学研究所)	ワクチン				
DNW-15001	新規がん免疫アジュバントの探索	松本 美佐子 (北海道大学大学院医学研究科)	低分子化合物				
DNW-15002	硫酸抱合型尿毒症物質の産生阻害による腎障害治療薬の探索	齋藤 秀之 (熊本大学医学部附属病院)	低分子化合物				
DNW-15003	NF-κB標的遺伝子の発現を阻害する抗がん剤の探索	伊庭 英夫 (東京大学医科学研究所)	低分子化合物				
DNW-15010	小胞体ストレスを標的とする糖尿病治療薬の探索	親泊 政一 (徳島大学疾患プロテオゲノム研究センター)	低分子化合物				
DNW-13001	先天性乏毛症治療薬の探索	青木 淳賢 (東北大学大学院薬学研究所)	低分子化合物				
DNW-13003	がん細胞の酸化ストレス防御機構を標的とする新規抗がん剤の探索	中別府 雄作 (九州大学生体防御医学研究所)	低分子化合物				
DNW-14001	活性型Ras変異体に作用する新規抗がん剤の探索	片岡 徹 (神戸大学大学院医学研究科)	低分子化合物				
DNW-14002	筋変性疾患治療薬の探索	岩田 裕子 (国立循環器病研究センター研究所)	低分子化合物				
DNW-14006	がん細胞DNA脱メチル化酵素を分子標的とするFirst-in-classのがん治療薬の探索	辻川 和文 (大阪大学大学院薬学研究所)	低分子化合物				
DNW-14011	シスプラチン作用増強剤の探索	本田 一文 (国立がん研究センター研究所)	低分子化合物				

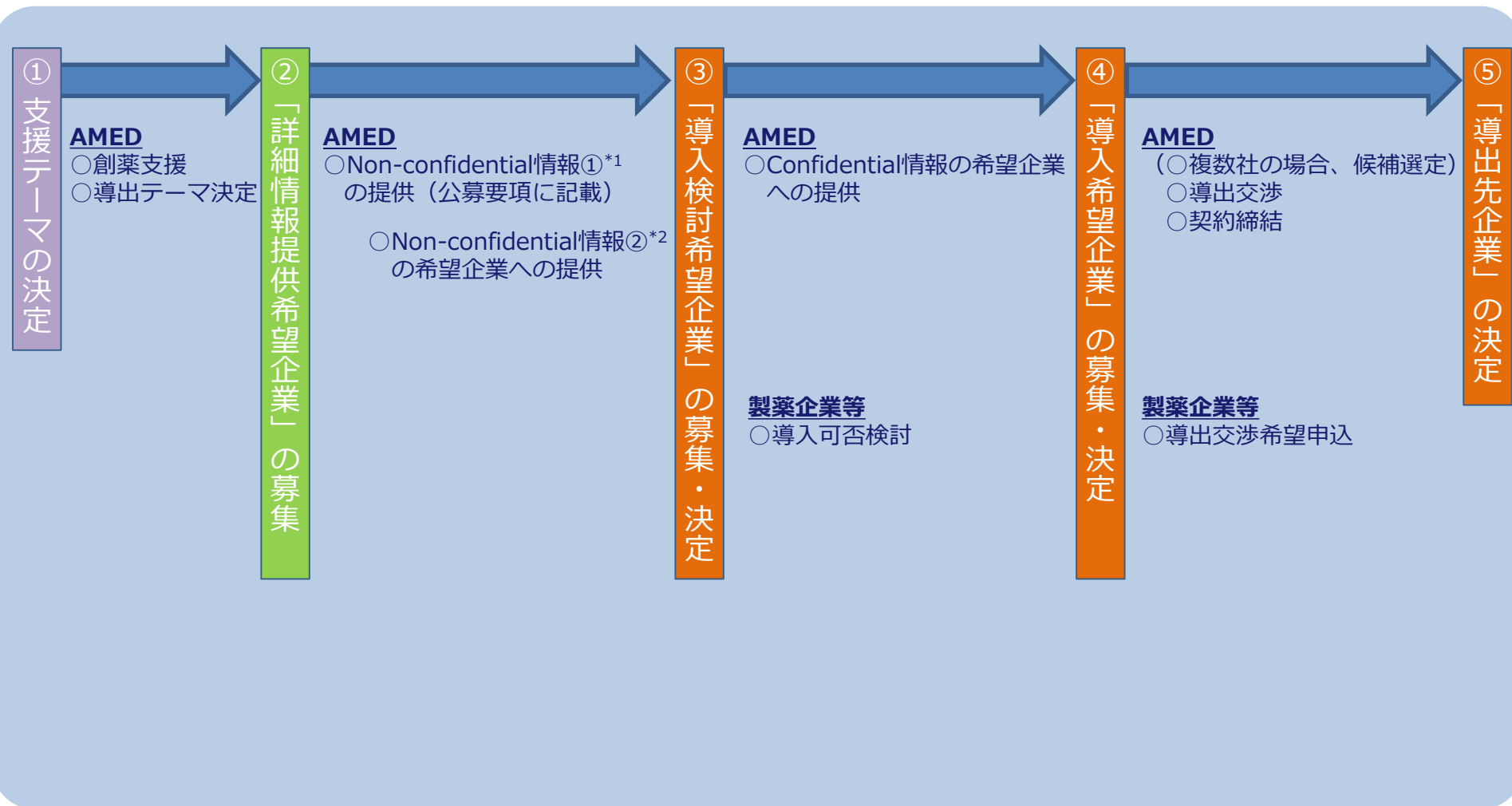
※赤字は前回資料（平成27年8月末時点）からの変更点。なお、支援を中止したテーマについては未掲載

創薬支援ネットワークの支援テーマ② (平成28年1月末時点)

課題番号	課題名	Principal investigator	モダリティ	標的実用化検証	スクリーニング	リード最適化	前臨床開発
DNW-14016	子宮内膜症に対するペプチド治療薬の探索	杉原 一廣 (浜松医科大学医学部)	ペプチド				
DNW-14019	新規ミトコンドリア病治療薬の探索	高島 成二 (大阪大学大学院医学系研究科)	低分子化合物				
DNW-14020	小胞体ストレス応答を活用した抗癌剤・抗ウイルス剤の探索	森 和俊 (京都大学大学院理学研究科)	低分子化合物				
DNW-14023	緑内障を対象とした神経保護薬の探索	林 秀樹 (東京薬科大学薬学部)	低分子化合物 抗体				
DNW-14024	トランスポータータンパク質を標的とした自己免疫疾患治療薬の探索	反町 典子 (国立国際医療研究センター研究所)	低分子化合物 ペプチド				
DNW-14027	多剤耐性菌に対する新規クラスの抗菌剤の探索	平松 啓一 (順天堂大学大学院医学研究科)	低分子化合物				
DNW-14028	小細胞肺癌治療を目的とした核酸医薬の探索	下條 正仁 (大阪医科大学)	核酸				
DNW-15004	p53を制御する新たなストレス応答を活用したがん治療薬の探索	河原 康一 (鹿児島大学大学院歯学総合研究科)	低分子化合物				
DNW-15005	低分子量Gタンパク質を標的とする新規がん治療のための核酸医薬の探索	菊池 章 (大阪大学大学院医学系研究科)	核酸				
DNW-15006	筋萎縮症の治療法開発に係る創薬基盤バイオマーカーの探索	山梨 裕司 (東京大学医学研究所)	低分子化合物				
DNW-15008	先天性無歯症治療薬の探索	高橋 克 (京都大学大学院医学研究科)	抗体				
DNW-15009	miRNAファミリー分子を標的とした尿路上皮癌治療のための核酸医薬の探索	上田 裕子 (大阪大学大学院薬学研究科)	核酸				
DNW-14003	熱帯性ウイルスへの新規ワクチンの開発	長谷川 秀樹 (国立感染症研究所)	ワクチン				
DNW-14012	味覚・食感を損ねない長時間作用型口内炎疼痛緩和薬の開発	上園 保仁 (国立がん研究センター研究所)	低分子化合物				
DNW-14013	新規抗生物質の開発	関水 和久 (東京大学大学院薬学系研究科)	低分子化合物(天然物)				
DNW-14015	がん間質を標的とした抗体・薬物複合体の開発	松村 保広 (国立がん研究センター東病院)	抗体-薬物複合体				
DNW-14017	異所性石灰化抑制剤の開発	吉子 裕二 (広島大学大学院歯薬保健学研究院)	ペプチド				
DNW-15007	抗GAB β 低分子薬の探索研究	河合 昭好 (国立長寿医療研究センター)	低分子化合物				
DNW-14009	TNIKキナーゼを標的とした大腸がん治療薬の開発	山田 哲司 (国立がん研究センター研究所)	低分子化合物				
DNW-14022	ニーマンピック病C型治療薬の開発	江良 択実 (熊本大学発生病学研究所)	低分子化合物				
DNW-14029	マラリアワクチンの開発	狩野 繁之 (国立国際医療研究センター研究所)	ワクチン				

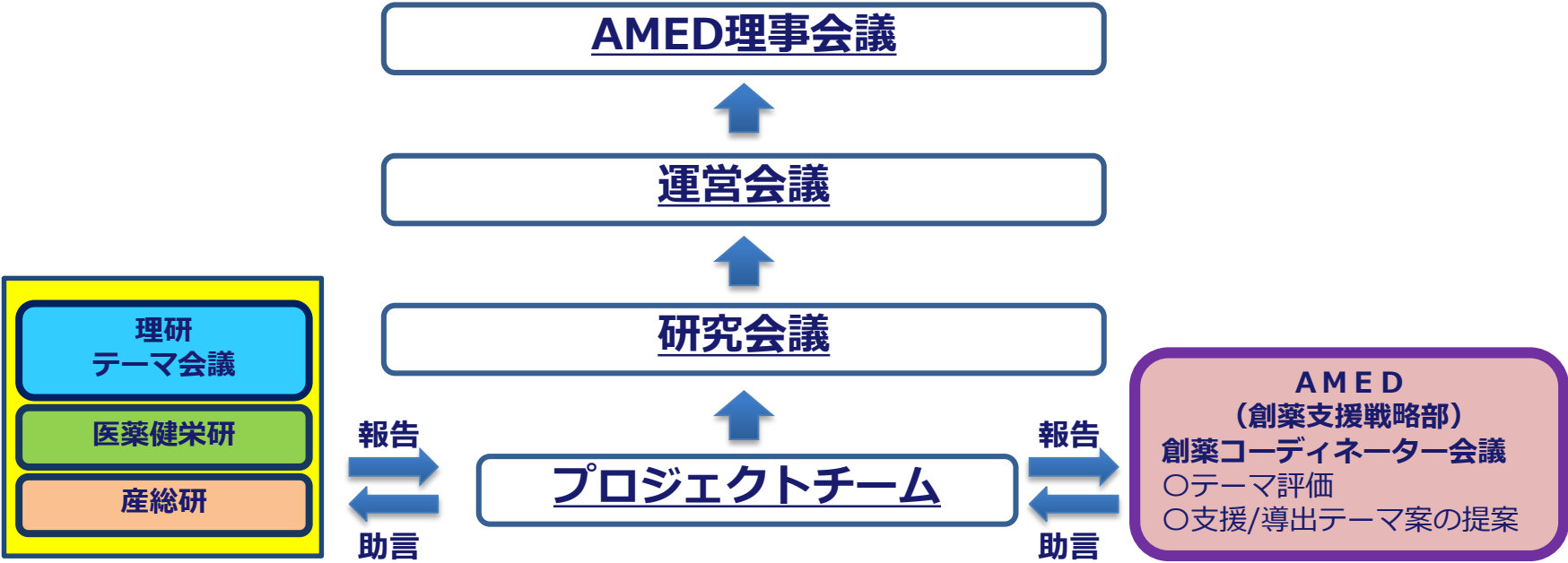
※赤字は前回資料 (平成27年8月末時点) からの変更点。なお、支援を中止したテーマについては未掲載

創薬総合支援事業における導出の流れの概要（既存）



*1: 支援テーマの簡単な概要 *2: 秘密保持義務の発生しない、実験データ等を含む詳細情報

支援テーマ・導出テーマ決定の流れ（既存）



会議体	開催頻度	構成員		
		AMED	理研・医薬健栄研・産総研	アカデミア
AMED理事会議	月2回程度	理事長、理事、監事等	-	-
運営会議	四半期 (臨時あり)	創薬支援戦略部長	理研 (理事長が指名する者) 医薬健栄研 (理事長が指名する者) 産総研 (理事長が指名する者)	-
研究会議	四半期 (臨時あり)	東日本統括部長 西日本統括部長	各研究所の代表者 (管理職級)	-
プロジェクトチーム	随時	創薬支援戦略部	各研究所の研究者等	主任研究者
創薬コーディネーター会議	随時	創薬支援戦略部	-	-

支援テーマ決定の評価項目と導出テーマの選定基準（既存）

1. 企業導出を見据えた支援テーマ決定の評価項目

製薬企業等が導入する際に必要とする項目の充足性を踏まえた支援テーマの決定<総合判断>

大項目	小項目
標的疾患の妥当性とアンメットニーズ	患者数
	標準治療の満足度とアンメットニーズ
	ターゲットプロダクトプロファイル
研究仮説の確からしさ、妥当性、独創性	研究仮説・創薬コンセプト
	研究仮説のエビデンス
	研究仮説の独創性
競合環境	世界の研究開発状況
	知財確保および先行特許の状況
実用化研究におけるリスク	生物学的リスク
	化学的リスク
	医科学的リスク
	技術的リスク、その他リスク

2. 導出テーマの選定の基準

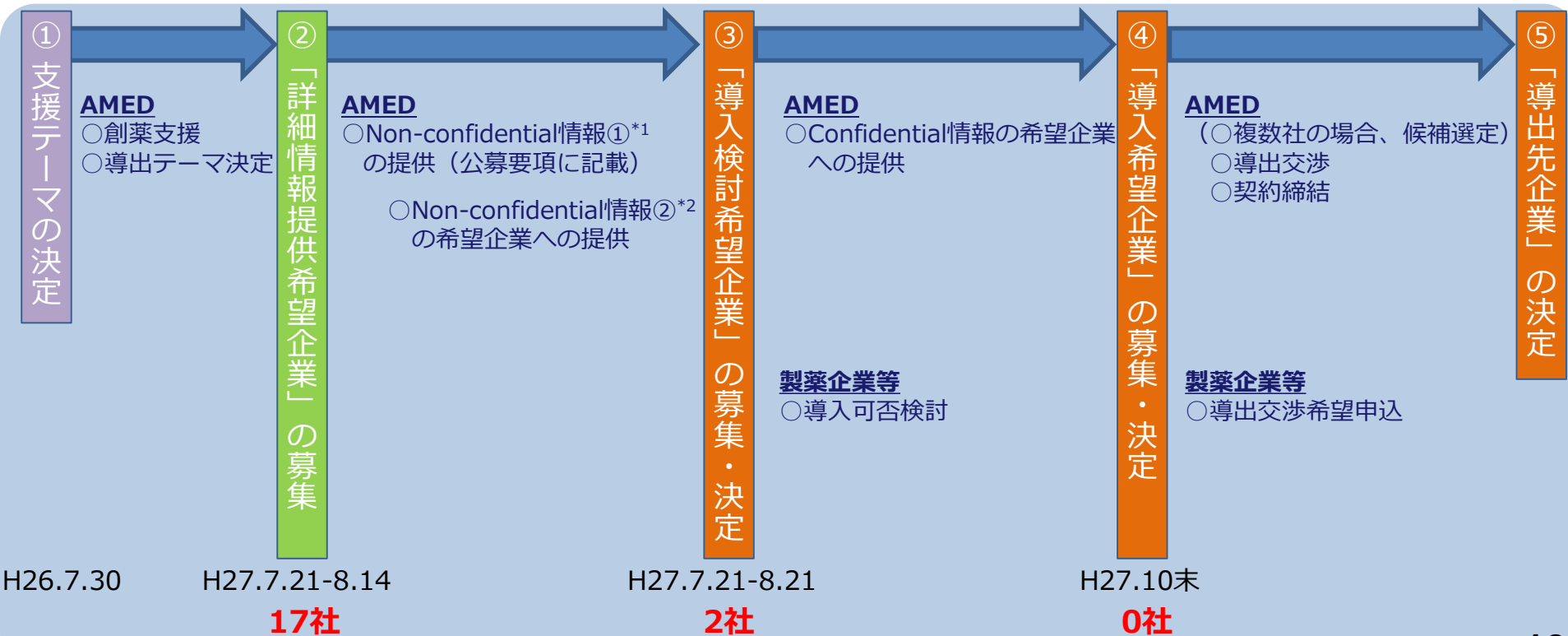
※「創薬総合支援事業（創薬ブースター）における導出に関する基本的考え方」の2. 導出テーマの選定

以下の点を踏まえた上で、創薬支援ネットワークによる支援テーマのうち、企業等への導出が期待できるものを導出テーマとして選定する。

- ① 得られている試験結果等に特段の支障がないかどうか
- ② 知的財産権等の権利関係が主任研究者の所属機関その他支援テーマに関する知的財産権等を保有する機関等（以下「導出関係機関等」という。）の中で明確にされているかどうか
- ③ 製薬企業等から支援テーマに対する興味表明を受けているかどうか

DNW-14002（筋変性疾患治療薬の探索）の導出活動状況

課題番号／課題名	DNW-14002／筋変性疾患治療薬の探索
主任研究者／所属機関	岩田裕子／国立循環器病センター研究所 分子生理部 蛋白質機能研究室 室長
概要	<ul style="list-style-type: none"> ● 伸展開刺激感受性のイオンチャンネルXを創薬標的とする筋変性疾患治療薬の探索 ● チャンネルX阻害物質が、筋変性疾患モデル動物の病態の改善に有用であることを示し、創薬コンセプトの妥当性を確認 ● 海外でハイスループット・スクリーニングを実施した後、新規アッセイ法により既知のチャンネルX阻害剤の活性を上回る新規化合物を取得 ● 網羅的なバイオマーカー探索により、筋変性疾患病態と治療効果を反映するバイオマーカーを同定
公募開始	平成27年7月21日



*1: 支援テーマの簡単な概要 *2: 秘密保持義務の発生しない、実験データ等を含む詳細情報

DNW-14002（筋変性疾患治療薬の探索）の導出経過を踏まえた今後の導出活動への対応（案）

- DNW-14002における導出活動を通じて、以下のとおりの対応（案）を検討する。

製薬企業が導入しなかった理由*1	方針（案）
1 導出時のステージが早すぎた	<ul style="list-style-type: none"> ● 支援開始、導出テーマ決定に産業界の意見を取り入れるために、製薬企業、ベンチャー企業等との意見交換を定期的に行う委員会等を設置
2 ターゲットは以前から知られており、新規性の高いものではなかった	<ul style="list-style-type: none"> ● 産学協働スクリーニングコンソーシアム（DISC）：テーマ評価、HTSテーマ案の推薦 ● 創薬支援評価委員会（新規）：第三者の目から創薬支援ネットワークの水準等を評価
3 企業の戦略に合致する疾患領域のデータが不足していた	<ul style="list-style-type: none"> ● Non-confidential情報②*2の中に可能な限り具体的な情報（疾患領域等）を含める ● Non-confidential情報①*3を公募前から公開する
4 安全性に懸念があった	<ul style="list-style-type: none"> ● 支援開始後も産業界の意見や最新の論文情報等を収集し、研究開発計画書の見直しや支援テーマの見極めに活かす
5 募集期間が短かく、十分な検討が困難であった	<ul style="list-style-type: none"> ● 募集開始から「導入希望企業」決定までの期間を最大6か月とする ● Non-confidential情報の中に可能な限り具体的な情報（疾患領域等）を含める（再掲）
6 国の事業であるが故に生ずる特別な義務の懸念、あるいは制度に対する誤解があった	<ul style="list-style-type: none"> ● 以下について、「創薬総合支援事業（創薬ブースター）における導出に関する基本的考え方」、及び今後の個別の導出テーマの「公募要領」に記載することにより周知を図る <ul style="list-style-type: none"> ・ 導出後も企業からの申し出により契約の終了・変更が可能であること ・ 導出に共同研究／ライセンスアウトの2パターンがあること ・ Material Transfer Agreement（試料提供契約書）等を締結することにより自社での再現性の確認等が可能であること

*1:詳細情報（Non-confidential情報②）を希望した企業17社（「導入検討希望企業」2社を含む）等からのヒアリング

*2:秘密保持義務の発生しない、実験データ等を含む詳細情報 *3:支援テーマの簡単な概要

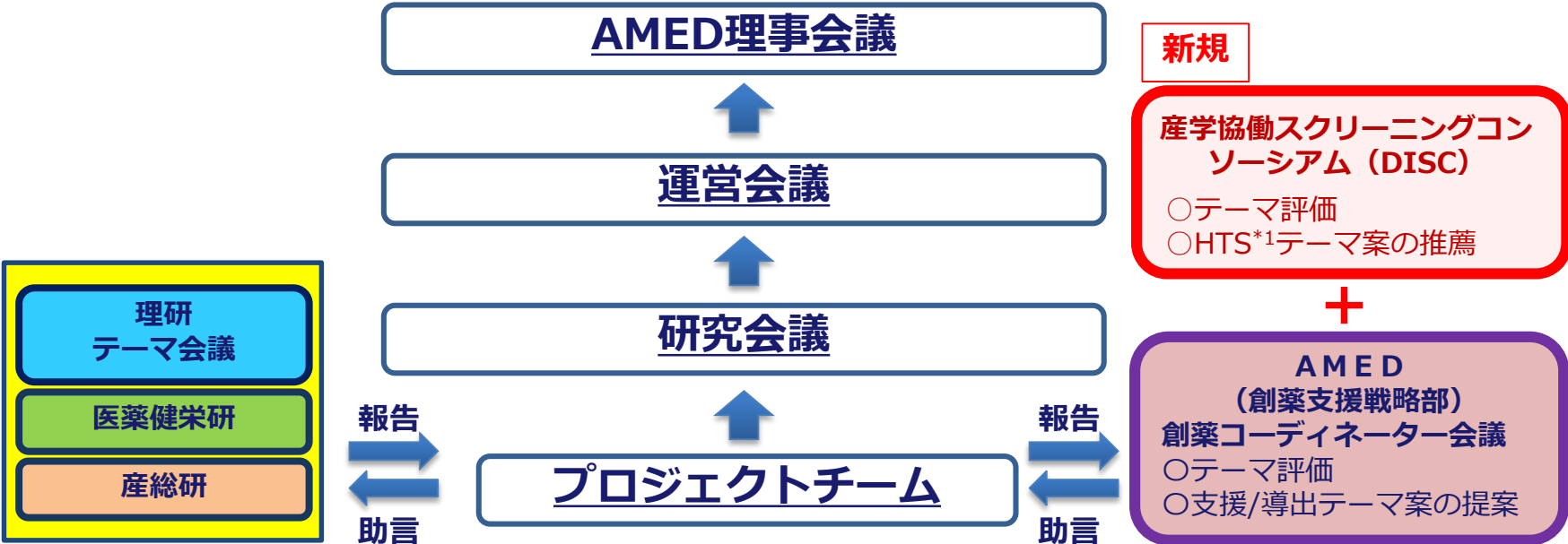
第5回創薬支援ネットワーク協議会（平成27年9月29日）での指摘

- 支援のためのリソースには限りがあり、適切なテーマの見極め・整理を行うこと
- KPIにこだわり無駄なリソースを使用しないよう、合理的な研究活動を行うこと



- 支援中のテーマの見極め・整理における考え方を整理
- 特に導出活動開始後の支援継続・終了の決定における考え方を整理
- 導出活動において聴取した企業からの要望に対応

支援テーマ・導出テーマ決定の流れ（改定案）



会議体	開催頻度	構成員		
		AMED	理研・医薬健栄研・産総研	その他
AMED理事会議	月2回程度	理事長、理事、監事等	-	-
運営会議	四半期 (臨時あり)	創薬支援戦略部長	理研 (理事長が指名する者) 医薬健栄研 (理事長が指名する者) 産総研 (理事長が指名する者)	-
研究会議	四半期 (臨時あり)	東日本統括部長 西日本統括部長	各研究所の代表者 (管理職級)	-
プロジェクトチーム	随時	創薬支援戦略部	各研究所の研究者等	主任研究者
創薬コーディネーター会議	随時	創薬支援戦略部	-	-
産学協働スクリーニングコンソーシアム (DISC)	随時	創薬支援戦略部	-	DISC会員企業等

*1: High Throughput Screening (高度にシステム化した実験系にて短期間に多数の化合物を評価して、ヒット化合物を見出す手法)

新規

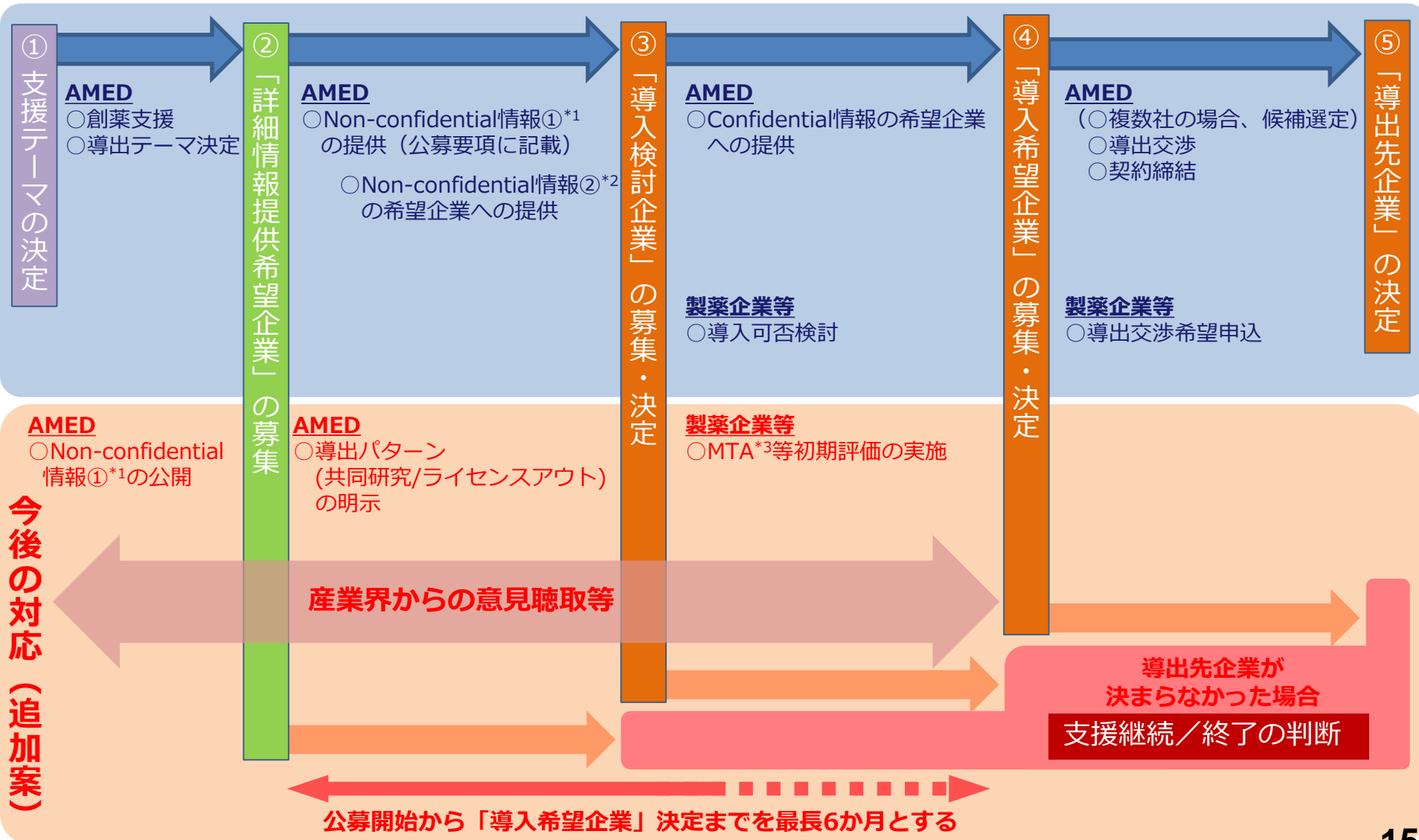
支援テーマの撤退基準（案）

【支援テーマの撤退】

- 以下のいずれかに該当する場合、支援中止とする。
 - ① 支援テーマ決定時の評価項目の充足性に変更があった場合
 - 1) 競合環境の変化
 - ⇒ 支援テーマと同一の創薬コンセプト等で新たな医薬品又は開発候補品の創製が発表された場合
 - 2) 研究仮説の否定
 - ⇒ 創薬コンセプトが否定された場合
 - ⇒ 創薬標的の妥当性が否定された場合
 - ⇒ 研究開発に必要なコアデータの再現性が証明できなかった場合
 - 3) 実用化の可能性が著しく低下した場合
 - ⇒ 毒性発現等、医薬品候補物質ほか化合物の潜在リスクが顕在化した場合
 - ⇒ アッセイ系が構築困難等、研究開発が困難な状況が判明した場合
 - 4) 導出テーマについて「導入検討企業」から要望された課題等が一定期間内に解決困難な場合
 - ② 製薬企業等への導出が困難な場合
 - ⇒ 公募開始以降6か月の間に「導入希望企業」が決まらなかった場合

支援テーマの撤退は運営会議にて決定し、AMED理事会議に報告する

創薬総合支援事業における導出の流れの概要（改定案）



*1: 支援テーマの簡単な概要 *2: 秘密保持義務の発生しない、実験データ等を含む詳細情報
*3: Material Transfer Agreement (試料提供契約書、自社での再現性の確認等が可能となる)

支援テーマの撤退基準（案）に基づく対応

【DNW-14002の今後の導出活動方針(案)】

<創薬支援継続の条件>

- 支援テーマの撤退基準（案）の①4)を踏まえ、「導入検討企業」等から要望された課題の解決に取り組む（骨格筋に関する筋疾患領域のデータ取得）

<導出活動の期間>

- 昨年10月末に導出活動は一旦終了（公募 平成27年7月21日～8月14日）
- 昨年11月より上記条件に基づき再度公募開始（その際、最長6ヶ月の公募ルールに従い、「導出先企業決定」期限を平成28年4月末までとする）

【支援テーマの撤退基準に照らして支援を中止したテーマ】

課題番号 (DNW)	課題名	主任研究者	主任研究者 所属機関	支援中止
14008	治療薬BK-UMのための コンパニオン診断薬の探索	目加田英輔	大阪大学微生物病研究所	平成28年1月
14018	がんドライバー遺伝子 特異的アルキル化剤の開発	永瀬 浩喜	千葉がんセンター研究所	平成28年1月

平成28年度 創薬支援ネットワークの活動方針

創薬支援ネットワークにおける活動方針（案）

I. 創薬支援ネットワークの創薬技術基盤の強化

- 早期実用化に向けた「最適化研究から前臨床段階」の創薬支援の強化
- 効果的・効率的な革新的医薬品創出に向けた創薬技術の開発

II. 有望シーズ発掘に向けた組織連携の深化・拡大

- 橋渡し研究加速ネットワーク拠点／臨床研究品質管理確保体制整備病院 等
- 国立高度専門医療研究センター

III. 各省連携プロジェクトとの連携による効果的・効率的な革新的医薬品の創出

- 日本医療研究開発機構におけるファンディング機能との連携
 - 革新的医薬品創出を目指した方針を共有し、革新的医薬品の効果的・効率的な創出を実現する仕組みを整備

IV. 産業界の意見を取り入れた創薬支援機能の強化

- 産業界との意見交換を通じた支援テーマの採択、導出テーマの決定等

平成28年度 創薬支援ネットワーク関連予算案

- 創薬支援上の課題を解決し、創薬支援ネットワークによる支援機能を強化 -

-創薬支援推進事業 (34.0億円) -

- ◆ 大学や公的研究機関等の研究者が保有する優れた創薬シーズを医薬品としての実用化につなげるため、創薬支援ネットワークが行う技術支援（評価系の構築、ヒット・リード化合物の探索、リード化合物の最適化（合成展開・コンピュータ創薬）等）、バイオマーカー探索、非臨床試験、知財管理等に関する支援費用を負担し、創薬シーズの早期実用化を図る。
- ◆ 創薬シーズの医薬品としての実用化を促進するために、創薬支援に必要な創薬基盤技術等を開発するための支援費用を負担し、研究開発期間の短縮と革新的医薬品の創出確率の向上を図る。

