



創薬支援ネットワークの活動状況

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

平成28年9月30日

1. 創薬支援ネットワークの活動状況

- | | |
|-----------|------|
| (1) 活動実績 | P2 |
| (2) 支援テーマ | P3-4 |
| (3) 期間別実績 | P5 |

2. 第6回創薬支援ネットワーク協議会の宿題事項

- | | |
|--|--------|
| (1) 支援撤退テーマの利活用（公開方法） | P6-10 |
| (2) 創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボード | P11 |
| (3) 創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボードと
産学協働スクリーニングコンソシアム（DISC）の役割分担 | P12-13 |
| (4) 難病・希少疾患領域における支援 | P14-15 |

1.創薬支援ネットワークの活動状況

- (1) 活動実績
- (2) 支援テーマ
- (3) 期間別実績

(1) 活動実績

① シーズ評価と創薬支援

(平成28年8月末時点)

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	2020年頃まで の達成目標 ^{※1}
相談・シーズ評価 ^{※2}	454件	1500件
有望シーズへの 創薬支援 ^{※3}	49件	200件
企業への導出 (ライセンスアウト)	0件	5件

② 創薬ナビ^{※4} 申込 **135件**

③ 創薬アーカイブ^{※5} 登録 **37件**

※1：「健康・医療戦略」（平成26年7月22日 閣議決定）、「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：創薬ナビに申込みのあったものを含む（平成28年8月末時点で重複するもの：122件）

※3：支援を中止したテーマ3件を含む。また、49件の内、ステージアップしたテーマは6件

※4：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

※5：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、創薬ブースターに活用し、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

(2) 支援テーマ

創薬支援ネットワークの支援テーマ

(平成28年8月末時点)

課題番号	課題名	採択年度	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-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	平成25年	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	平成26年	武内 恒成 (愛知医科大学医学部)	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	平成26年	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	平成26年	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	平成26年	川口 肇 (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	平成26年	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	平成26年	白木 公康 (富山大学大学院医学薬学研究部)	ワクチン				
DNW-15001	新規がん免疫アジュバントの探索	平成27年	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	平成27年	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	平成27年	伊庭 英夫 (千葉大学真田医学研究センター)	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	平成27年	親泊 政一 (徳島大学先端酵素学研究所)	低分子化合物				
DNW-16003	PTP阻害薬の探索研究	平成28年	野田 昌晴 (基礎生物学研究所)	低分子化合物				
DNW-16005	新しい心不全改善薬の探索	平成28年	北風 政史 (国立循環器病研究センター)	低分子化合物				
DNW-16006	筋萎縮症の新規治療法開発	平成28年	堀 正敏 (東京大学大学院農学生命科学研究科)	低分子化合物				
DNW-13001	先天性乏毛症治療薬の探索	平成25年	青木 淳賢 (東北大学大学院薬学研究科)	低分子化合物				
DNW-13002	神経再生促進作用を持つ脊髄損傷治療薬の探索	平成25年	武内 恒成 (愛知医科大学医学部)	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	平成25年	中別府 謙作 (九州大学生体防衛医学研究所)	低分子化合物				
DNW-14001	活性化Ras変異体に作用する新規抗がん剤の探索	平成26年	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	平成26年	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-14005	新規血液凝固阻害剤の探索	平成26年	沢村 達也 (信州大学医学部)	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	平成26年	辻川 和文 (大阪大学大学院薬学研究科)	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	平成26年	島 扶美 (神戸大学大学院科学技術イノベーション研究科)	低分子化合物		*		
DNW-14010	新規うつ病治療薬の探索	平成26年	宮田 信吾 (近畿大学東洋医学研究所)	低分子化合物		*		

* : 標的実用化検証フェーズからスクリーニングフェーズへ移行したテーマ

(2) 支援テーマ

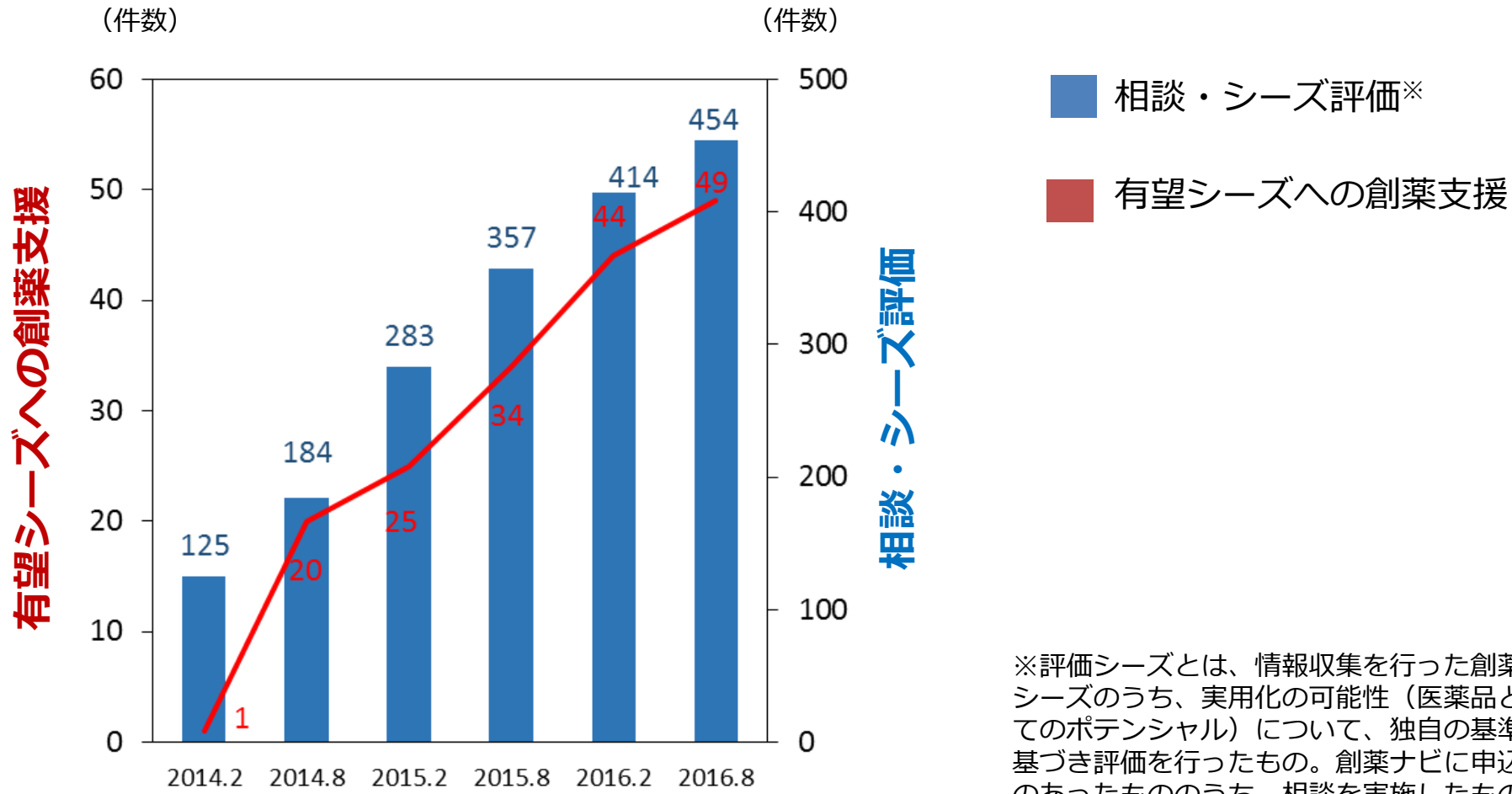
創薬支援ネットワークの支援テーマ

(平成28年8月末時点)

課題番号	課題名	採択年度	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-14011	シスプラチン作用増強剤の探索	平成26年	本田 一文 (国立がん研究センター研究所)	低分子化合物				
DNW-14016	子宮内膜症に対するペプチド治療薬の探索	平成26年	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	平成26年	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	平成26年	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	平成26年	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	平成26年	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	平成26年	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	平成26年	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	平成27年	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	平成27年	菊池 肇 (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	平成27年	山梨 裕司 (東京大学医学部研究所)	低分子化合物				
DNW-15008	先天性無歯症治療薬の探索	平成27年	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	平成27年	上田 裕子 (大阪大学大学院薬学研究科)	核酸				
DNW-16001	Ras活性化を阻害する新規抗がん剤の探索	平成28年	松田 道行 (京都大学大学院生命科学研究所)	低分子化合物				
DNW-16002	細胞膜タンパク質を標的とする新規メカニズムがん治療薬の探索	平成28年	藤 勝己 (大阪大学大学院医学系研究科)	抗体				
DNW-14003	熱帯性ウイルスへの新規ワクチンの開発	平成26年	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	平成26年	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	平成26年	関水 和久 (帝京大学医員局研究センター)	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	平成26年	松村 保広 (国立がん研究センター先端医療開発センター)	抗体-薬物複合体				
DNW-14017	異所性石灰化抑制剤の開発	平成26年	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	アルツハイマー病を対象としたGAβ阻害薬の開発	平成27年	河合 昭好 (国立長寿医療研究センター)	低分子化合物				
DNW-14022	ニーマンピック病C型治療薬の開発	平成26年	江良 折実 (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	平成26年	狩野 繁之 (国立国際医療研究センター研究所)	ワクチン				

(3) 期間別実績

評価シーズ・相談及び創薬支援の期間別実績 (平成28年8月末時点)



※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。

2. 第6回創薬支援ネットワーク協議会の宿題事項

- (1) 支援撤退テーマの利活用（公開方法）
- (2) 創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボード
- (3) 創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボードと
産学協働スクリーニングコンソシアム（DISC）の役割分担
- (4) 難病・希少疾患領域における支援

(1) 支援撤退テーマの利活用 (公開方法)

【宿題】 支援撤退基準に該当したテーマについて将来の再評価の可能性を鑑み、AMEDホームページへの公開方法について検討すること。

① 競合環境の変化、研究仮説の否定等により支援撤退となった場合

⇒支援撤退基準に該当したテーマであっても、ネガティブデータとして利活用される等の可能性があるため、下記のとおり公開する。

- 支援撤退テーマ一覧を「過去に支援したテーマ」としてAMEDのホームページに掲載
- 掲載期間は共同研究契約終了後3年間とし、製薬企業等との共同研究等に発展した場合はホームページより削除
- 主任研究者は創薬支援ネットワークによる技術支援結果を活用して製薬企業等との共同研究、論文発表等した場合はAMEDに連絡することとする。また、共同研究契約終了後3年間は利用の有無にかかわらず年次報告をAMEDへ提出。
- 支援撤退テーマ一覧をホームページに掲載するに当たり、終了理由は記載せず、A.プロジェクト概要、B.秘密情報を含まない範囲での技術支援結果の概要を掲載する。ただし、製薬企業等からAMEDに受け入れ希望があった場合、秘密情報の取扱いについては、主任研究者の所属機関と製薬企業等との二者間での調整することとする。

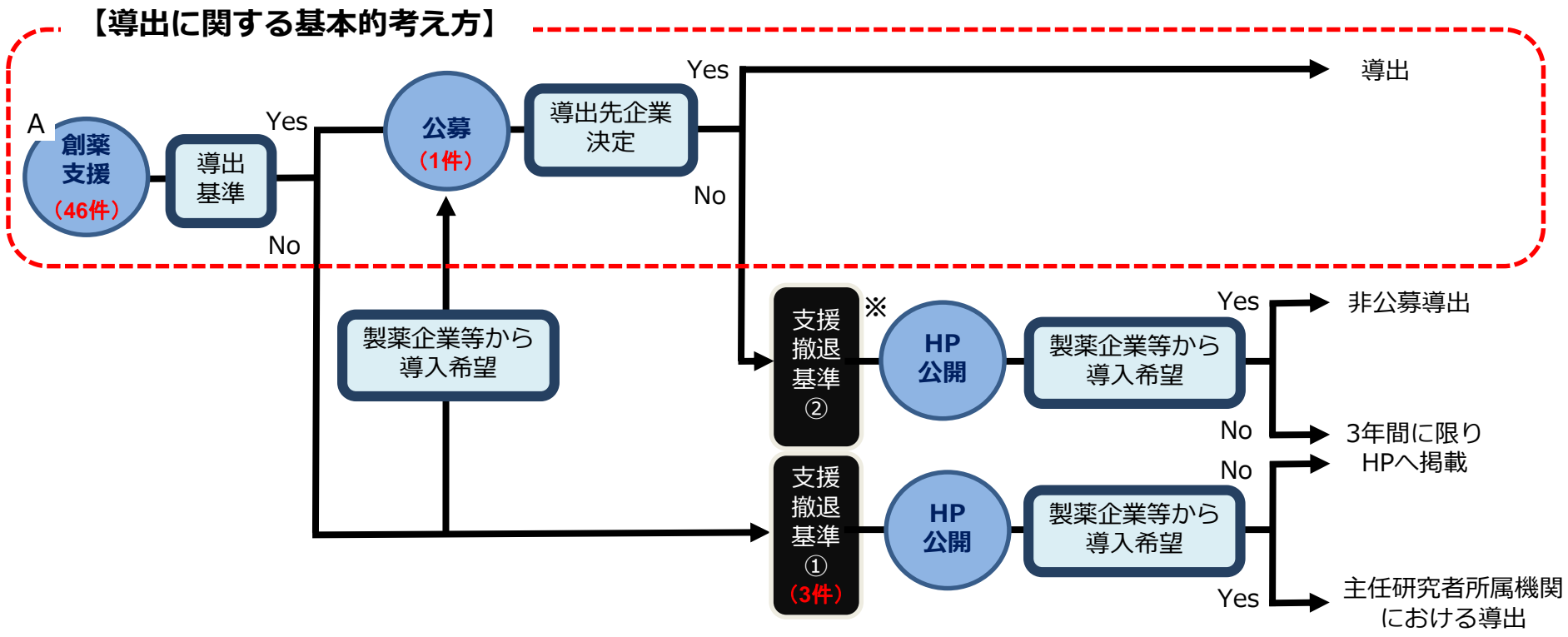
② 公募開始後6か月の間に「導入希望企業」が決まらなかった場合

⇒公募時には製薬企業等のニーズに合わなかったテーマでも、事業環境の変化等により、再び評価される可能性があるため、下記のとおり公開する。

- 上記①と同様に、支援撤退テーマ一覧を「過去に支援したテーマ」としてAMEDホームページに掲載する。ただし、製薬企業等からAMEDに受け入れ希望があった場合、秘密情報については支援終了後3年間はCDA (confidential disclosure agreement) 等の締結によりAMEDより開示することとする。

支援開始後における創薬シーズのフローチャート（案）

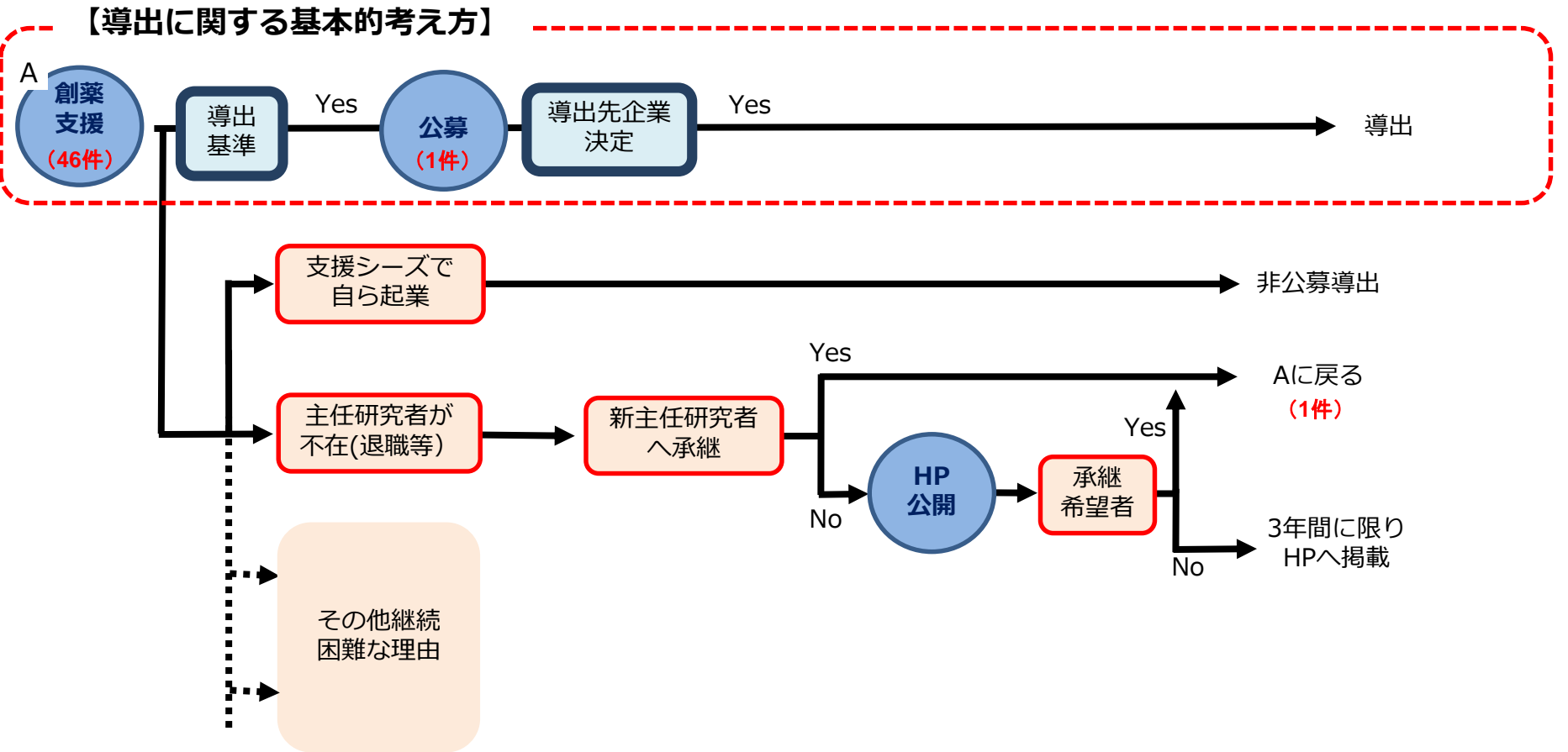
◇ 「導出に関する基本的考え方」及び支援撤退基準に該当したケースへの対応



※支援撤退基準②に該当した場合であっても、導入検討希望企業等から追加の実験データ等の要望があった場合は1回に限り、Aに戻ることを可能とする。

支援開始後における創薬シーズのフローチャート (案)

◇ 主任研究者より支援終了要望があったケースへの対応



(参考) 導出テーマの選定及び支援テーマの撤退基準

第6回 創薬支援ネットワーク協議会 資料2-1より抜粋

【導出テーマの選定】

- 次の点等を踏まえた上で、創薬支援ネットワークによる支援の結果、製薬企業等への導出が期待できると判断される支援テーマについて導出候補テーマとして決定する。
 - 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PI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

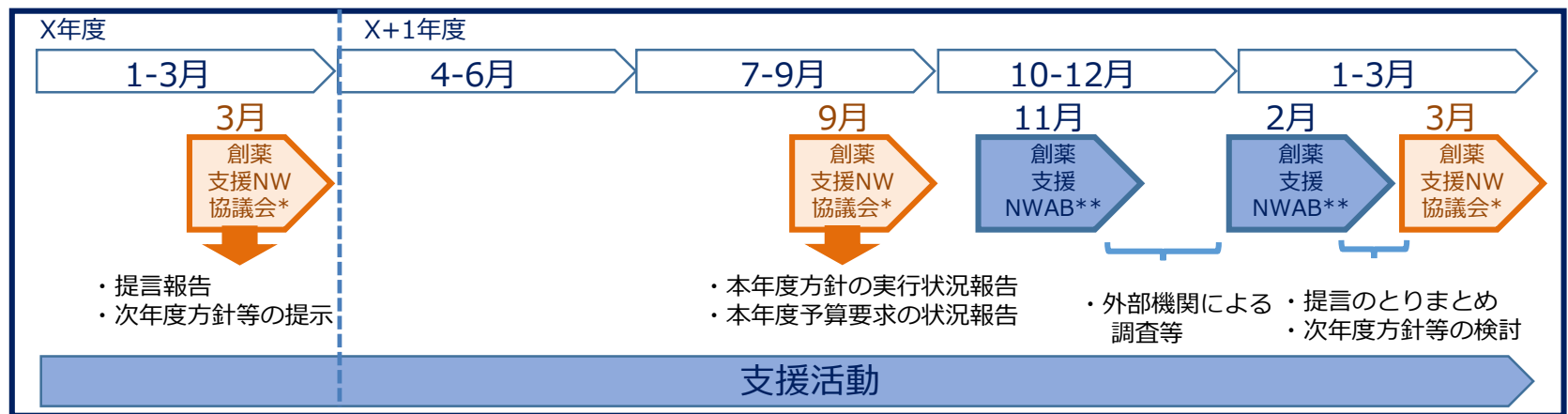
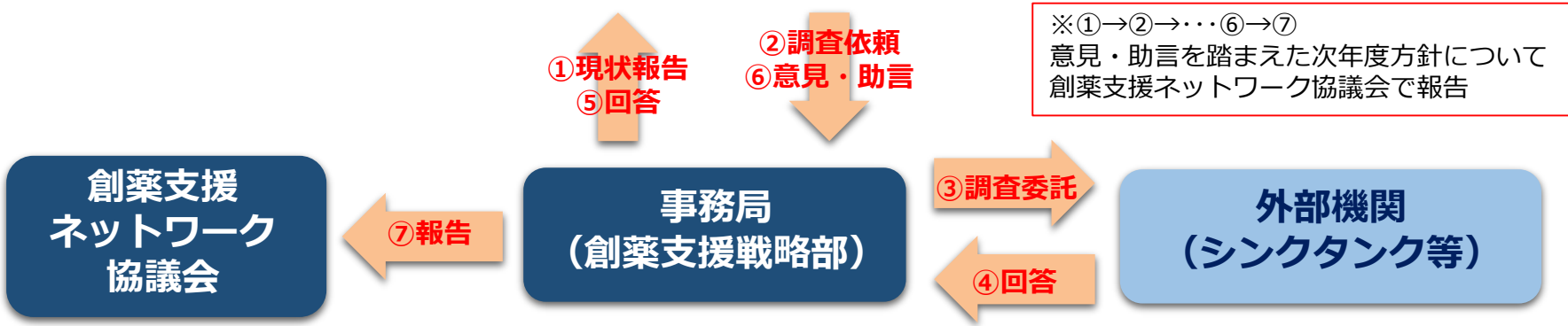
※「創薬総合支援事業（創薬ブースター）における導出に関する基本的考え方」の2. 導出テーマの選定

【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

(2) 創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボード

新規
創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボード



*創薬支援NW協議会：創薬支援ネットワーク協議会、**創薬支援NWAB：創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボード

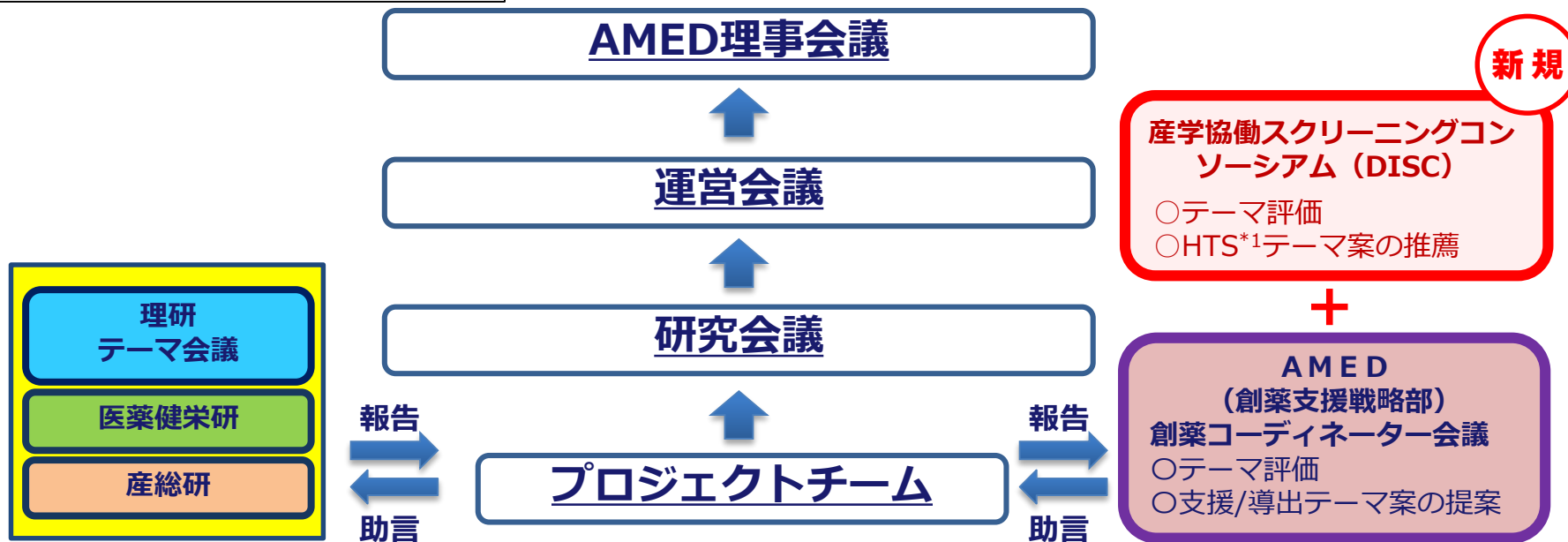
(3) 創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボードと 産学協働スクリーニングコンソシアム (DISC) の役割分担

【宿題】 創薬支援ネットワーク・アドバイザリーボードと、支援テーマに関する助言を行うDISC会員企業を活用した取組との役割分担について整理すること

	創薬支援ネットワーク・ アドバイザリーボード	産学協働スクリーニングコンソシアム (DISC)
目的	<ul style="list-style-type: none"> ○創薬支援ネットワークの取組等に対する意見・助言 <ul style="list-style-type: none"> ・支援活動全般 ・ポートフォリオ ・海外の仕組みとの比較等 	<ul style="list-style-type: none"> ○創薬コーディネーター会議から提案された支援テーマ候補に関する助言並びにHTSテーマの提案
構成員	<ul style="list-style-type: none"> ○製薬企業（医薬品研究開発全般に豊富な経験のある者） ○ベンチャー企業 ○アカデミア ○シンクタンク ○ベンチャーキャピタル 	<ul style="list-style-type: none"> ○製薬企業（探索研究部門の実務者）
開催要領	<ul style="list-style-type: none"> ○AMEDに設置 ○年2回程度開催（11月、2月） 	<ul style="list-style-type: none"> ○DISCを活用 ○適宜開催（実施中）

(参考) 支援テーマ・導出テーマ決定の流れ

第6回 創薬支援ネットワーク協議会 資料2-1より抜粋

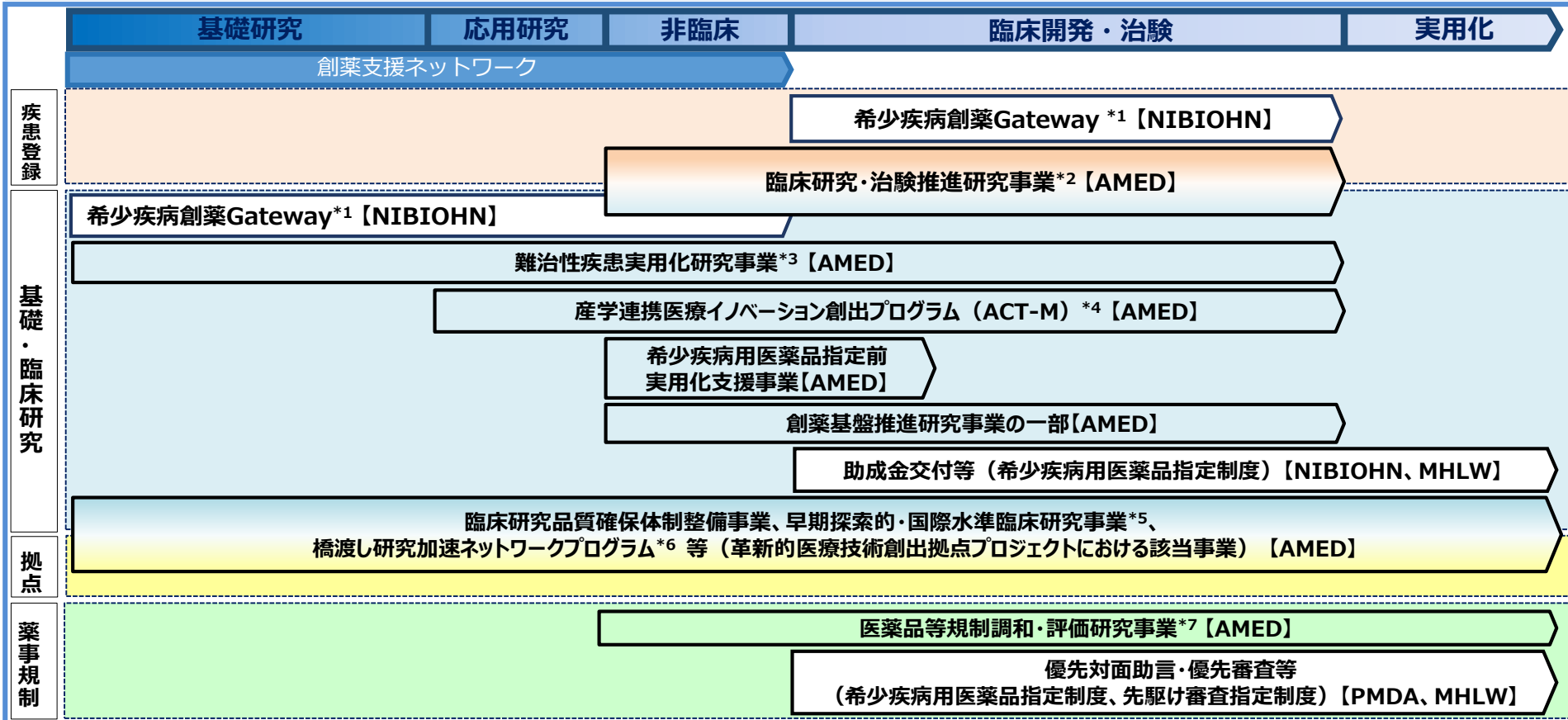


会議体	開催頻度	構成員		
		AMED	理研・医薬健栄研・産総研	その他
AMED理事会議	月2回程度	理事長、理事、監事等	-	-
運営会議	四半期 (臨時あり)	創薬支援戦略部長	理研 (理事長が指名する者) 医薬健栄研 (理事長が指名する者) 産総研 (理事長が指名する者)	-
研究会議	四半期 (臨時あり)	東日本統括部長 西日本統括部長	各研究所の代表者 (管理職級)	-
プロジェクトチーム	随時	創薬支援戦略部	各研究所の研究者等	主任研究者
創薬コーディネーター会議	随時	創薬支援戦略部	-	-
産学協働スクリーニングコンソーシアム (DISC)	随時	創薬支援戦略部	-	DISC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

(4) 難病・希少疾患領域における支援

【宿題】 導出先企業が決まらず支援撤退基準に該当したテーマのうち、企業戦略としては難しい難病・希少疾患領域に対する支援について検討すること



- *1: 希少疾病創薬に向けて、創薬関連データ・シーズを収集、医薬基盤・健康・栄養研究所による価値創出・付加を経て研究者など関係者に繋げる。
- *2: 先進医療として実施が認められた医薬品に関する臨床研究、疾患登録システムを活用した臨床研究、臨床研究の質を確保するための基盤整備に関する研究を支援する。
- *3: 希少難治性疾患の克服に向けて、病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進する。
- *4: 革新的な医薬品、医療機器の開発に向けて、大学等と企業との連携を通じて、大学等の研究成果の実用化を加速することによりイノベーションを創出する。
- *5: 国際水準で実施する臨床研究及び医師主導治験、革新的医療技術創出拠点のARO機能を活用した臨床研究を推進する。
- *6: 全国の大学等の拠点において橋渡し研究に必要な人材・設備等の基盤を整備することにより、アカデミア等による革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ体制を構築する。
- *7: レギュラトリーサイエンスの考え方を推進し、市販後も含めた医薬品等の適切な評価方法を開発する。

国際的な取組と今後の課題

◆ IRDiRC (国際希少疾患研究コンソーシアム※) の概要

※International Rare Diseases Research Consortium



【活動実績】

- 2011年4月設立。20カ国46団体が加盟。加盟資格は、IRDiRCの目的に沿ったプロジェクトに対して5年間でUS\$10M以上助成する助成機関（NIH、FDA、European Commissionなど）、企業、患者団体など。
- 目的は、2020年末までに殆どの希少疾患の診断方法ならびに200の新規治療法を提供することを目標として、加盟団体が環境整備するための協議を行う。
- Consortium Assemblyが最高意思決定機関。この下に3つのScientific Committee、その下にTask Force (TF) が設置され、協議が行われている。

【AMEDの加盟と実績】

- 2015年7月に加盟（9月には医薬基盤・健康・栄養研究所も加盟）
- 希少疾患の **Phenotypeの効率的情報共有方法**（HPO (Human Phenotype Ontology)、Matchmaker Exchange) に関する状況を把握し、**IRUDの立ち上げに活かした。**
- 希少疾患に対する治療薬の臨床開発方法**（Small Population Clinical Trials）を協議するTFに参加し、作業部会報告書および提言書の作成に携わった。
- その他、難病領域の診断法・治療法の開発促進に活用できる各種情報を整理している。

Consortium Assembly
 • Funders committee
 • Companies committee
 • Patient advocates committee

Scientific Committee
 Diagnostic, Interdisciplinary,
 Therapeutic

Task Force
 International Consortium of HPO
 Matchmaker Exchange
Small Population Clinical Trials
 Patient Centered Outcome Measures
 Automatable Discovery and Access
 Patient Unique Identifiers
 Data Mining/Repurposing
 Solving the Unsolved
 Clinical Data Sharing for Gene Discover

Small Population Clinical Trials Task Force



Randomized Controlled Trial
 Adaptive design
 Crossover design
 Surrogate endpoint design など