

CiCLE採択課題①（第1回～第7回公募：全67課題）

	課題名	代表機関	タイプ	公募回
	1 特殊ペプチド原薬CMO創設 【目標達成】	ペプチスター株式会社	イノベーション 創出環境整備	第1回
	2 経口コメ型バイオ医薬品のプラットフォーム化を目指した実証研究 【中止】	アステラス製薬株式会社	研究開発	第1回
	3 産医連携拠点による新たな認知症の創薬標的創出	エーザイ株式会社	研究開発	第1回
	4 進行性骨化性線維異形成症(FOP)に対する革新的治療薬の創出 【中止】	第一三共株式会社	研究開発	第1回
	5 薬剤耐性(AMR)菌感染症治療薬を目的とした創薬研究	住友ファーマ株式会社	研究開発	第1回
創薬支援	6 マラリアワクチンの医薬品開発と商業製造の確立 【中止】	ノーベルファーマ株式会社	研究開発	第1回
	7 新規核酸送達技術を用いたウイルス感染症遺伝子ワクチン開発 【中止】	第一三共株式会社	実用化開発	第1回
	8 がん医療推進のための日本人がん患者由来PDXライブラリー整備事業 【目標達成】	株式会社LSIメディエンス	イノベーション 創出環境整備	第2回
	9 創薬ライブラリーの共同管理・運用及び産官学連携によるその相互利用推進 【目標達成】	株式会社CACクロア	イノベーション 創出環境整備	第2回
	10 手足口病VLPワクチンの開発 【中止】	一般財団法人阪大 微生物病研究会	研究開発	第2回
	11 新規の核酸合成とデリバリー技術を用いた核酸創薬研究	エーザイ株式会社	研究開発	第2回
	12 ゲノム編集により作製した疾患iPS心筋細胞を用いた肥大型心筋症治療薬の開発 【中止】	武田薬品工業株式会社	研究開発	第2回
	13 オピオイドδ受容体活性化を機序とする画期的情動調節薬の開発	日本ケミファ株式会社	研究開発	第2回
	14 タンパク質構造解析のハイスループット化へ向けた装置開発 【目標達成】	日本電子株式会社	研究開発	第2回
革新的バイオ 医薬品	15 セラノスティクス概念を具現化するための創薬拠点整備を伴う、抗体等標識治療薬 (アルファ線)とコンパニオン診断薬の開発	日本メジフィジックス 株式会社	研究開発	第2回
	16 サイトメガロウイルス(CMV)特異的完全ヒト型モノクローナル抗体の臨床POC確立 【未達】	ノーベルファーマ株式会社	研究開発	第2回
	17 クローン病を対象とした産学連携による本邦発バイオ医薬品と新規薬効予測マーカーの開発 【中止】	EAファーマ株式会社	実用化開発	第2回

*創薬支援：創薬支援推進事業、革新的バイオ医薬品：革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

CiCLE採択課題②（第1回～第7回公募：全67課題）



	課題名	代表機関	タイプ	公募回
	18 リバースジェネティクス法を用いた新規インフルエンザワクチン株の創成【中止】	KMバイオリジクス株式会社	研究開発	第3回
	19 遺伝性眼科疾患に対する遺伝子治療薬の研究開発【中止】	参天製薬株式会社	研究開発	第3回
	20 病的近視に対する光線架橋療法の研究開発【中止】	参天製薬株式会社	研究開発	第3回
	21 網膜中心動脈閉塞症に対する神経保護薬の開発	千寿製薬株式会社	研究開発	第3回
	22 血友病Bに対する遺伝子治療用製品の研究開発	田辺三菱製薬株式会社	研究開発	第3回
	23 フレイルの予防薬・治療薬の研究開発【中止】	帝人株式会社	研究開発	第3回
	24 非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤(OP0595)の単味製剤の研究開発	Meiji Seikaファルマ株式会社	研究開発	第3回
肝炎等克服、橋渡し	25 肝硬変の生命予後を改善する革新的抗線維化薬の研究開発	大原薬品工業株式会社	実用化開発	第3回
	26 至適分解性により術後遠隔期に血管再生を促す生体吸収性マグネシウム合金スキャフォールドの非臨床・臨床POC取得	株式会社 日本医療機器技研	実用化開発	第3回
	27 アルツハイマー病の新規治療薬の創出【中止】	日本臓器製薬株式会社	実用化開発	第3回
	28 造血幹細胞の体外増幅技術の開発と移植医療への応用【目標達成】	ネクスジェン株式会社	ViCLE研究開発	第3回
	29 Tribを標的とする急性骨髄性白血病の創薬研究【中止】	ファイメクス株式会社	ViCLE研究開発	第3回
研究成果最適展開支援	30 制御性T細胞の減弱作用と分子標的阻害による新規固形がん治療法の開発【目標達成】	レグセル株式会社	ViCLE研究開発	第3回
	31 液相セグメント合成法による核酸大量製造法開発【目標達成】	株式会社ナティアス	ViCLE実用開発	第3回
医療分野国際科学技術	32 全身性エリテマトーデス(SLE)に対する新規治療薬の開発	第一三共株式会社	研究開発	第4回
	33 万能インフルエンザワクチンの研究開発	住友ファーマ株式会社	研究開発	第4回
	34 NY-ESO-1特異的高機能ゲノム編集T細胞の製造基盤技術の確立【中止】	Repertoire Genesis株式会社	研究開発	第4回
	35 遺伝子組換えヒト肝細胞増殖因子を用いて世界に先駆ける「成因に制限されない肝硬変疾患修飾薬」の創出【中止】	EAファーマ株式会社	実用化開発	第4回
	36 産学連携オールジャパン体制による本邦Toll様受容体研究の実用化:全身性エリテマトーデス薬の創製	エーザイ株式会社	実用化開発	第4回

*肝炎等克服：肝炎等克服実用化研究事業、研究成果最適展開支援：研究成果最適展開支援プログラム【A-STEP】、医療分野国際科学技術：医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業（戦略的国際共同研究プログラム SICORP）

CiCLE採択課題③（第1回～第7回公募：全67課題）



	課題名	代表機関	タイプ	公募回
女性の健康の 包括的支援	37 患者レジストリを活用した日本発の新規作用機序を有する革新的デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬の開発	大鵬薬品工業株式会社	実用化開発	第4回
	38 精神症状を伴う月経前症候群/月経前不快気分障害患者に対するピリドキサミンの臨床開発【未達】	株式会社 レナサイエンス	実用化開発	第4回
	39 アンチセンス核酸を用いた脊髄損傷治療薬の開発【目標達成】	ルクサナバイオテック株式会社	ViCLE研究開発	第4回
	40 家族性小児四肢疼痛発作症に対する新規治療薬の研究開発【未達】	AlphaNavi Pharma株式会社	ViCLE実用化開発	第4回
創薬支援	41 新型コロナウイルスワクチンの開発【中止】	一般財団法人阪大微生物病研究会	研究開発	第5回 (コロナ1次)
	42 COVID-19予防のためのナノ粒子型蛋白ワクチンの開発【中止】	ユナイテッド・イムニティ株式会社	ViCLE研究開発	第5回 (コロナ2次)
	43 ミトコンドリア製剤による新型コロナウイルス治療薬の研究開発【中止】	ルカ・サイエンス株式会社	ViCLE研究開発	第5回 (コロナ2次)
	44 希少がんならびに難治性がんに対する抗がん剤治療開発を加速させる創薬研究手法に関する研究	エーザイ株式会社	研究開発	第5回(通常)
新興・再興感 染症	45 長期寛解を目指した革新的重症筋無力症治療薬の開発【中止】	武田薬品工業株式会社	研究開発	第5回(通常)
	46 次世代型イベルメクチン誘導体によるCOVID-19に対する画期的治療薬創出と抗ウイルス薬の基盤構築	Meiji Seikaファルマ株式会社	研究開発	第5回(通常)
橋渡し	47 核酸を用いた新型コロナウイルス感染症治療薬の開発【契約解除】	株式会社ボナック	実用化開発	第5回(通常)
	48 根治的前立腺全摘除術にて損傷した海綿体神経を修復するアルギン酸シート神経再生補助材の開発	持田製薬株式会社	実用化開発	第5回(通常)
	49 外傷診療におけるVR遠隔臨床学習プラットフォームの構築に関する研究	株式会社 ジョリーグッド	ViCLEイノベーション創出環境整備	第5回(通常)
V-eco	50 医療用ブタ製造を目指した基盤整備	株式会社 パル・メド・テック	ViCLEイノベーション創出環境整備	第5回(通常)
	51 腫瘍関連マクロファージ選択的ナノゲルDDS による新規がん免疫療法の開発	ユナイテッド・イムニティ株式会社	ViCLE研究開発	第5回(通常)

*女性の健康の包括的支援：女性の健康の包括的支援実用化研究事業、新興・再興感染症：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

CiCLE採択課題④（第1回～第7回公募：全67課題）



	課題名	代表機関	タイプ	公募回
戦略的国際脳科学	52 mRNA医薬を用いた変形性関節症(OA)に対する革新的な機能維持治療法の開発	株式会社PrimRNA	ViCLE実用化開発	第5回(通常)
	53 人工知能技術と脳科学の精神疾患診断治療への応用	株式会社XNef	ViCLE実用化開発	第5回(通常)
医工連携事業化	54 膝前十字靱帯再建術に用いる脱細胞化動物組織由来の医療機器の開発・治験の実施	CoreTissue BioEngineering 株式会社	ViCLE実用化開発	第5回(通常)
V-eco	55 非NSAIDS・非オピオイド新規疼痛治療薬ENDOPINの実用化研究	株式会社BTB 創薬研究センター	ViCLE実用化開発	第5回(通常)
再生医療	56 iPS 細胞由来HLA ホモ型血小板の実用化 【中止】	株式会社メガカリオン	ViCLE実用化開発	第5回(通常)
次世代がん	57 TMEM180を高発現する大腸がんの有効な新規ヒト化抗TMEM180抗体の開発	株式会社凜研究所	ViCLE実用化開発	第5回(通常)
	58 組換えHGFタンパク 質を用いた難治性線維症治療薬の開発	クリングルファーマ 株式会社	研究開発	第6回(通常)
	59 脊髄計による神経機能情報を活用した新たな診断技術の確立 【中止】	株式会社リコー	研究開発	第6回(通常)
	60 臓器移植において免疫寛容を誘導する誘導型抑制性T細胞製剤の安定供給及び普及のための技術開発 【中止】	株式会社 JUNTEN BIO	ViCLE研究開発	第6回(通常)
	61 遺伝子導入長期造血幹細胞を用いた小児難治性希少疾患の治療	ネクスジェン株式会社	ViCLE研究開発	第6回(通常)
	62 抗CD25抗体-色素複合体(RM-1995)を用いた制御性T細胞を標的とした革新的がん治療法の開発	楽天メディカル株式会社	ViCLE研究開発	第6回(通常)
橋渡し、老化メカニズム	63 世界初のイントラクライン機構を介したマイボーム腺機能不全治療薬の開発	千寿製薬株式会社	研究開発	第7回
	64 細胞ファイバ技術を基盤とした細胞大量製造プロセス確立と拠点整備	株式会社セルフファイバ	ViCLEイノベーション創出環境整備	第7回
再生医療、橋渡し	65 心臓内幹細胞を用いた小児先天性心疾患患者に対する治療法の開発	株式会社メトセラ	ViCLE研究開発	第7回
	66 生体吸収性マグネシウム合金製骨固定ヘッドレスコンプレッションスクリューの製品化を目指した研究開発(臨床開発、並びに大量生産技術開発)	メルフロンティア 株式会社	ViCLE研究開発	第7回
再生医療、難治性疾患	67 iPS細胞由来ADPKD病態モデルを用いた新規化合物の探索及び非臨床POCの獲得	リジェネフロ株式会社	ViCLE研究開発	第7回

*戦略的国際脳科学：戦略的国際脳科学研究推進プログラム、医工連携事業化：医工連携事業化推進事業、再生医療：再生医療等実用化研究事業、老化メカニズム：老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

公募	タイプ	研究開発代表者				テーマ
		所属機関	所属部署	役職	氏名	
一次	アカデミアタイプ	東京大学	大学院薬学系研究科附属創薬機構 構造展開ユニット	特任研究員	宮地 弘幸	創薬研究を加速する革新的スクリーニングライブラリープラットフォームの産学連携構築
二次	アカデミアタイプ	京都大学	大学院医学研究科 消化管外科学講座	教授	小濱 和貴	患者由来がん幹細胞培養を基盤とした革新的個別化医療開発
三次	スタートアップタイプ	京都大学	大学院医学研究科 消化器内科学講座	助教	塩川 雅広	自己抗体同定法の確立と新規自己抗体の同定
		東京大学	国際高等研究所 東京カレッジ	卓越教授	藤田 誠	極微量活性成分の構造解析に立脚した創薬スキーム開発
		神戸大学	大学院医学研究科	教授	宮西 正憲	バーサタイルCD34陽性細胞を用いた超個別化医療の実現
		京都大学	大学院医学研究科	教授	武藤 学	がん診療の質の向上と研究開発に資するリアルワールドデータプラットフォーム開発

AIMGAIN 採択課題一覧



公募	タイプ	研究開発代表者				テーマ
		所属機関	所属部署	役職	氏名	
四次	アカデミアタイプ	国立精神神経医療研究センター	神経研究所・遺伝子疾患治療研究部	部長	青木 吉嗣	尿由来幹細胞のダイレクトリプログラミングを活用した神経難病創薬プラットフォームの構築
		大阪大学	大学院薬学研究科	教授	井上 豪	希少構造を標的とする知財戦略: AlphaFoldを超えるAI創薬プラットフォーム
		北海道大学	大学院医学研究院 放射線科学分野 画像診断学教室	教授	工藤 與亮	安定同位体と多核種MRIによる分子イメージング基盤の創出
		京都大学	大学院医学研究科	教授	松田 秀一	変形性膝関節症の個別化治療実現のための 下肢筋骨格シミュレータの開発
	スタートアップタイプ	国立循環器病研究センター	心不全・移植部門	部門長	泉 知里	非侵襲遠隔モニタリングによる心不全増悪の早期探知アルゴリズム構築のための多機関協働プラットフォーム開発と統合AIモデルの作成および実用化に向けたPHR情報統合基盤の構築
		国立循環器病研究センター	病院 / 脳神経内科	副院長 / 部長	猪原 匡史	希少難病CADASILの画期的新薬創生のための国内研究拠点の構築
		神戸大学	大学院医学研究科医療創成工学専攻 / 未来医工学研究開発センター	教授 副センター長	村垣 善浩	AI Robotic Surgeryを実現するDX Platformの開発

創薬研究を加速する革新的スクリーングライブラリープラットフォームの 産学連携構築

（一次公募採択課題：令和5年2月研究開始）

研究代表者：東京大学大学院薬学系研究科附属創薬機構 構造展開ユニット 特任研究員 宮地 弘幸

■ 国内創薬の現状



創薬標的の枯渇懸念に直面。数少ない有望な創薬標的に作用する化合物を迅速・高確率に取得する技術開発は世界的に競争が激化している。そのような中、膨大な探索空間から医薬品シーズを効率的に選抜し得るDELsが注目されているが、我が国では産業界・アカデミアともに欧米中の後塵を拝している状況である。

グローバル標準の産学共用DELsプラットフォーム構築

独自に開発したDELs合成技術を基軸とし、アカデミアのトップ研究者と連携製薬企業複数社の研究者を結集し、**産学で共に活用可能な日本独自の革新的DELsプラットフォームを非競争的に確立**する。

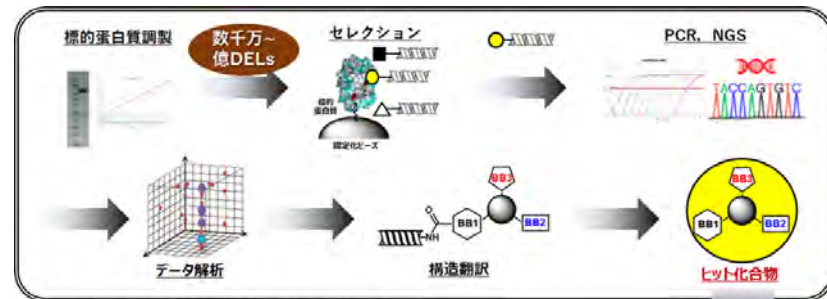
● 製薬企業とアカデミアの総力を結集した技術開発

- ・先進AIを利用したヒット率の高い化合物デザイン
- ・構造多様性を拡張する革新的DELs合成
- ・高難度標的に適応可能なヒット化合物選抜技術

● 事業成果のプラットフォーム化と産学協調利用

- ・競争領域研究用プラットフォームを非競争領域研究として産学連携により構築

DELsプラットフォーム



- ✓ 新規創薬標的に対する高親和性バインダー取得
- ✓ 構造展開を段階に向上させる膨大なSAR情報
- ✓ 開発候補品取得のための時間とコストの削減

Hit to Lead to Candidate

■ コンソーシアム等

東京大学
【代表機関】

名古屋大学
【分担機関】

アステラス製薬(株)【幹事企業】、
旭化成ファーマ(株)、杏林製薬(株)、
住友ファーマ(株)、田辺三菱製薬(株)、
帝人ファーマ(株)、日本新薬(株)、
第一三共(株)ほか計9社

■ 出口戦略

- 連携製薬企業の競争領域研究での利活用
- Japan DELs Center (JDC) 始動準備
- アカデミア創薬支援での利活用

患者由来がん幹細胞培養を基盤とした革新的個別化医療開発

（二次公募採択課題：令和5年9月研究開始）

研究代表者：京都大学大学院医学研究科 消化管外科学講座 教授 小濱 和貴

■ 患者自身のがん細胞を活用した個別化医療研究の現状

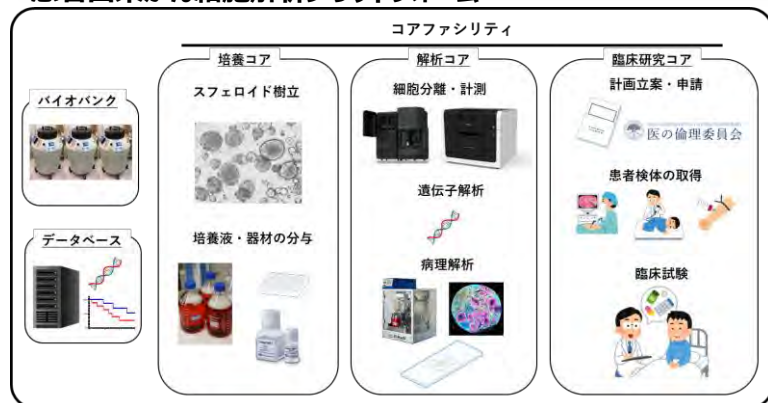


我が国は検体数、がん種、ゲノム情報等が少なく、米欧中に後れを取っている。また、患者由来がん幹細胞培養技術が医療サービスとして標準化されていない、In vitro薬剤感受性と臨床データの相関性が十分に解明されていない、測定技術・評価技術が確立されていないなどの諸課題を有している。

○ 研究開発プロジェクトの概要

「患者由来がん幹細胞スフェロイド培養技術」を基盤にした「患者由来がん細胞解析プラットフォーム」を産学連携で構築し、個別化診断や創薬への応用を目指す。本プラットフォームを円滑に運用し、様々ながん個別化医療技術の開発を加速させるため、京都大学を中心とした「個別化医療開発コンソーシアム」を設立する。

患者由来がん細胞解析プラットフォーム



■ コンソーシアム等

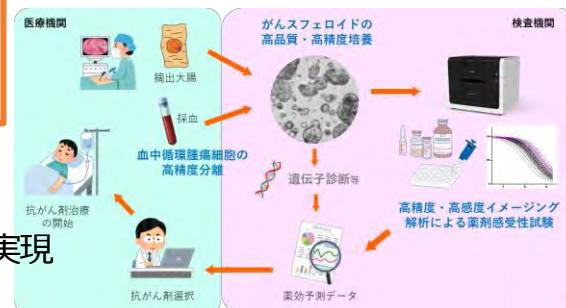
【代表機関】
京都大学

【分担機関】
関西医科大学、大阪医
科薬科大学、高知大学、
日本医科大学、京都府
立医科大学

(株)SCREENホールディング
ス【幹事企業】、(株)AFIテ
クノロジー、京ダイアグノ
スティクス(株)、(株)ニッ
ピ、三井化
学(株)

■ 期待される研究成果

- 患者由来がん幹細胞を活用した高精度・高感度な診断技術の確立
- 細胞、タンパクに着目した新しい評価診断系により遺伝子情報を補完、多面的な個別化医療を実現
- 世界に先駆け、個別化医療を社会実装化



背景・目的

京都大学大学院医学研究科 消化器内科学講座 助教 塩川雅広

自己免疫疾患の多くは、病因となる自己抗体が不明であり、特異的な診断法や治療法が確立されていない。従って、本課題の目標として、自己抗体同定法の確立と新規自己抗体の同定を行い、最終的に診断・治療法を開発することを目指す。

期待される効果

- ・ 特異的診断法の開発により、適切な診断・治療が可能
- ・ 自己抗体をターゲットとした根治的治療法開発により患者のQOLが改善
- ・ 自己抗体研究の推進に貢献

お互いの強みを生かし共創(体制: 自己抗体研究に強い4大学、7診療科、5つの企業がコンソーシアムを形成)

◆非競争領域

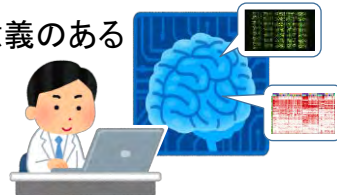
疾患・長寿に関する新規自己抗体の同定

▷ タンパク質マイクロレイ、メンブレイシステムを用いた自己抗体スクリーニング



疾患患者や高齢者の自己抗体を解析
疾患予防となる自己抗体も探索する。

▷ 候補抗体のなかから臨床的に意義のある新規自己抗体を同定する。

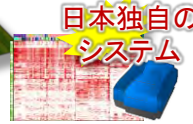


仮説と検証、もしくはAIを用いた疾患特異的自己抗体の同定

自己抗体プロファイリングデータベースの構築

タンパク質マイクロレイシステム

17,000種類以上のヒトタンパク質を搭載



日本独自のシステム

▷ 幅広い年代の500人以上の日本人健康者の自己抗体プロファイルデータベースを構築・公開する。

▷ アカデミアで収集した自己免疫疾患を中心とした疾患患者の自己抗体プロファイルデータを取得する。

タンパク質マイクロレイシステム(日本独自技術)を活用して差別化を図る。
自己抗体プロファイリングの大規模なデータベースは世界的にも例がない。

新規自己抗体スクリーニング系の構築

メンブレイシステムの構築

▷ 生細胞を使用した6000種類の膜タンパクに対する自己抗体スクリーニング

◆競争領域

診断・治療薬の開発

▷ 同定した自己抗体を用いた体外診断薬や治療薬を開発する。

▷ 長寿に特異的な自己抗体を指標とする未病診断システムの開発を行う。



検査キット

治療薬

診断

将来的な展望

新しい診断法・治療法・健康管理法の確立

● 未病診断	➡	● 健康増進
● 特異的診断		● 健康寿命の延伸
● 特異的治療		

自己抗体データベースを研究者へ提供し未解明疾患の研究を推進

極微量活性成分の構造解析に立脚した創薬スキーム開発

研究開発代表者: 東京大学 国際高等研究所東京カレッジ 卓越教授 藤田 誠

低分子創薬の現状と構造解析への潜在的ニーズ



生命活動で暗躍する痕跡量活性物質は創薬標的の宝庫であるが、痕跡であるが故にその正確な3次元構造にたどり着く術がない。痕跡量物質の構造解析手法に対する計り知れない「潜在的ニーズ」がある。代表者は痕跡量物質のX線構造解析を可能とする「結晶スポンジ法」*を開発し、ニーズに応える突破口を切り開いた。



統合分子構造解析の世界研究拠点の構築

あらゆる生命科学研究は分子の構造を知るところから始まる。独自技術である結晶スポンジ法を中核に、**アカデミア、スタートアップ、連携企業（14社）**が一体となり、**世界に唯一無比の統合分子構造解析拠点を非競争的に構築し、成果を創薬基盤技術として展開すること**で、低分子創薬のパラダイムシフトを引き起こす。

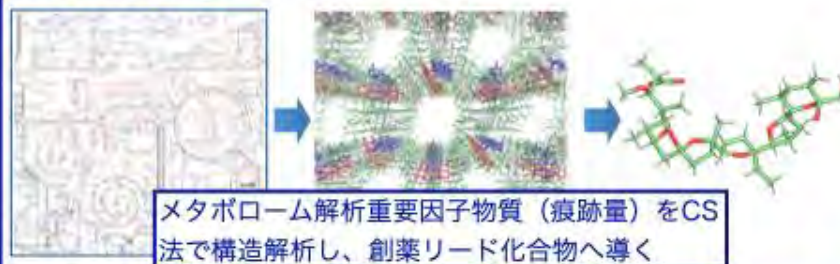
シナリオ

- ・製薬とアカデミアの総力で、さまざまな痕跡量活性成分（構造未知）を入手する。
- ・装置メーカーと連携し、わずかfg-ngオーダーの絶対量で、未知活性化合物を正確に構造決定する。
- ・製薬および(株)ナールスとの協業もしくは新規開発ベンチャーの設立（**出口戦略**）により、リード化合物へ絞りこむ。
- ・参画企業の競争領域での利活用（**出口戦略**）。

社会連携講座（コンソーシアム活動母体）

- ・すでに14社加盟の社会連携講座が東大に設置されている。
- ・過去7年間の実績で、>20社が参画。技術導出例も多数。
- ・専用の拠点（実施場所）を千葉県柏市に確保している。
- ・**国産主要装置メーカー3社の合同ラボが実現**
- ・**大学発ベンチャー企業（株）ナールスが参画**、その商品開発ノウハウや販売網の活用

期待される成果（一例）



バーサタイルCD34陽性細胞を用いた超個別化医療の実現

研究代表者：神戸大学大学院医学研究科小児科学分野造血幹細胞医療創成学

教授 宮西正憲

【背景】再生・細胞医療・遺伝子治療開発に関する国内の状況

- ・ 小児や高齢者など、安全性の高い、長期的な効果を担保する治療ニーズ
- ・ 国際競争力のある細胞医薬品の開発が国内で進展していない現状
- ・ 企業単独での開発を妨げる細胞治療法開発に特有な要因の存在

【目的】バーサタイルCD34陽性細胞を用いた個別化医療の社会実装

- ・ 未分化性の高い造血幹細胞や血管内皮細胞を含む細胞集団
 - ・ 多領域にわたる適応疾患の拡大
 - ・ 十分量の細胞採取が可能
- 個人差を可視化、治療効果を最大化する技術の開発
- 出口戦略に基づいた細胞医薬品製造のベストプラクティス

個別化医療に特化した細胞製造のベストプラクティスをデザイン・開発



【非競争領域】コンソーシアム（CIRDAC）の構築

- ・ 神戸大学（病院・患者）を中心とした研究開発拠点
- ・ グローバル展開を目指したチーム構成



追加参画企業
検討中



【出口戦略】CIRDACを活用した製品開発



がん診療の質の向上と研究開発に資するリアルワールドデータプラットフォーム開発

研究開発代表者: 京都大学大学院医学研究科 教授 武藤 学

がん登録データ (29万例のデータ) の活用

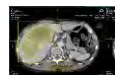
がん登録データ + 電子カルテRWDの統合

学術利用 + 産業利用



電子カルテ記述データ

・医療者記述・治療内容・有害事象



画像診断データ(PACS)

・診断医記述・RECIST判定



臨床検査データ

・血液・生化学・遺伝子等

課題解決

課題

- ・ベンダーがバラバラ
- ・データベース化されていない
- ・デジタル化の遅れ
- ・データ関係ができない

- ・Cyber Oncology®による構造化データベース
- ・病理所見/放射線読影記録のLLM開発
- ・Region Tracking™ AIによる治療効果自動判定
- ・電子カルテでとの連携による総合ビューアー
- ・院内検査データのアーカイブシステム
- ・外注検査のバイオマーカーデジタル化

J-CONNECT
コンソーシアム
(がん登録
データの利活用)

25医療機関
3 製薬企業

共同研究契約締結済

委託研究開発機関

KU:P

京都大学医学部附属病院
KYOTO UNIVERSITY HOSPITAL
J-CONNECT事務局



スタートアップ企業

産学官共同研究企業

NTT

PRIME-R

Canon

キヤノンメディカルシステムズ株式会社

intage

株式会社インテージヘルスケア
Healthier Decisions

H.U.GROUP

産学共同研究講座 (設置済)

ベンダーによらない
構造化されたがん関連
プラットフォームの実現
RWD

期待される成果

医療機関・ヘルスケア産業

- ・RWDの構築
- ・医療の実態把握と可視化
- ・医療安全での活用
- ・診断/治療の最適化

行政

- ・施策への利活用
- ・Quality indicator

医療開発企業

- ・臨床試験の効率化
ー治験症例のリクルート
- ー中央判定の労力・コスト減
- ・医薬品開発の迅速化

新しい医療・ヘルスケア産業の活性化 よりよい医療・国民健康の向上へ貢献

AMED革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）“AIMGAIN”アカデミアタイプ（四次公募採択課題 令和 7年 1月研究開始）

尿由来幹細胞のダイレクトリプログラミングを活用した神経難病創薬プラットフォームの構築

製薬協参加企業等6社と国立精神・神経医療研究センター、九州大学、東北大学の産学連携による幹細胞コンソーシアムを構築

研究代表者：国立精神・神経医療研究センター（NCNP）神経研究所遺伝子疾患治療研究部 部長 青木吉嗣

ヒト尿由来細胞疾患モデルの可能性の探索

尿由来細胞（UDC）

- ・ 無侵襲に繰り返し採取可能
- ・ 良好な自己増殖能

×

ダイレクトリプログラミング（DR）

- ・ エピジェネティックな要素は残存
- ・ 分化までの時間とコストが少ない

疾患細胞モデル構築

iPS細胞由来疾患モデルを
補完する新たなモデル

世界をリードする本邦発の
創薬プラットフォーム構築

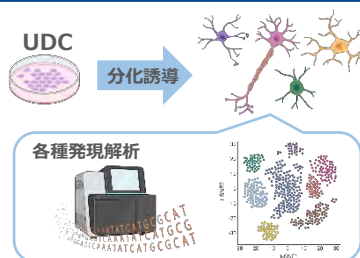
対象疾患

TDP-43プロテインパチー病態を共通に持つ、
筋萎縮性側索硬化症/前頭側頭型認知症

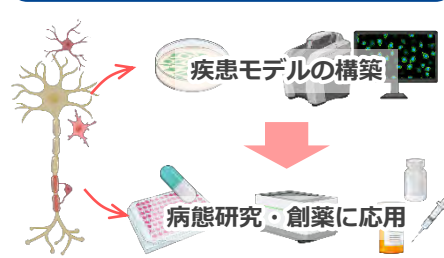
① UDCの高品質セルバンクの構築



② 神経系細胞への直接分化転換技術開発



③ 細胞特性評価・バイオマーカー探索



コンソーシアムのゴール：

UDCのDR技術で神経・グリア細胞モデルを構築し創薬プラットフォームを社会実装

幹細胞コンソーシアム

国立精神・神経
医療研究センター
【代表機関】

九州大学
【分担機関】

東北大学
【分担機関】

製薬企業 1
【幹事企業】

製薬企業 2

製薬企業 3

製薬企業 4

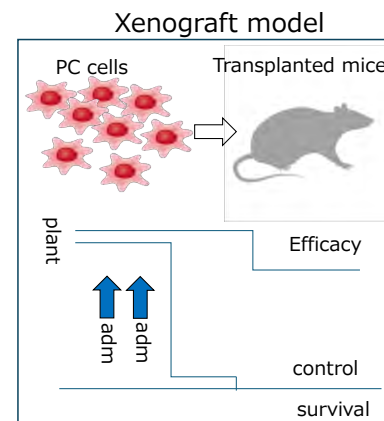
製薬企業 5

製造企業 6

出口戦略

- ・ 細胞モデルを用いて、有望な薬剤候補の創製に向けた実用化研究を実施
- ・ UDCの製品化と市場供給のための研究開発やプロセス開発を実施

将来像：ALS/FTD以外の神経難病へ対象を広げ、創薬プラットフォームの応用



安定同位体と多核種MRIによる分子イメージング基盤の創出

研究開発代表者：北海道大学大学院医学研究院 画像診断学教室 教授 工藤 與亮



^1H

■ 多核種MRIの国内の現状

MRIは人体の**プロトン（ ^1H ）**を可視化し、我が国に広く普及している医療画像診断装置である。さらに、 ^1H 以外の核種をも可視化できる「**多核種MRI**」は、我が国にとって重要な医療ポテンシャルであるものの、主に**感度の低さ**が課題となり、医療応用は限定的であった。しかし、近年、MRIのハードウェアの進化や人工知能（AI）を活用した画像処理技術の進展により、海外では実用的な多核種MRIを開発が進められている。我が国においても、これらの技術革新に対応し、まだ導入施設の少ない多種対応MRI装置を発展させるための基盤技術開発が急務である。

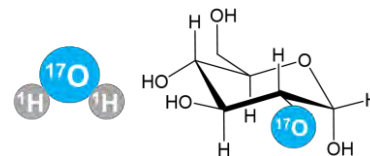
■ 本研究プロジェクトの概要

我が国が先駆ける「 **^{17}O 標識水MRイメージング技術**」を基盤として、複数の異分野アカデミアと連携企業（安定同位体企業、MRI企業）が一体となったオープンコンソーシアムを設立する。このコンソーシアムを通じて、多核種MRIにおける低感度の課題を克服する「**安定同位体-多核種MRIプラットフォーム**」を非競争的に構築し、医療画像診断領域に革新をもたらす。

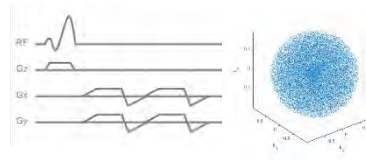
■ 安定同位体-多核種MRIプラットフォーム

高感度化・高度化した多核種MRイメージングを実現する異分野横断的な基盤技術を**非競争的**に開発

同位体ラベリング



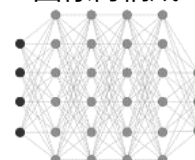
MRI撮影法



生体投与法



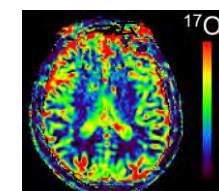
AI併用
画像再構成



専用MRIコイル



機能画像解析



■ 期待される効果：競争領域研究の展開

さまざまな臓器・疾患の病態解明や革新的な画像検査法の確立（水動態、酸素代謝、エネルギー代謝、糖代謝、分子追跡など）

多核種MRI オープンコンソーシアム

^{19}F

^{129}X

e

^{13}C

^{31}P

^{17}O

^{23}Na

^2H

【代表機関】



北海道大学
HOKKAIDO UNIVERSITY



大陽日酸
The Gas Professionals

【分担機関】

国和ある多核種の創出 国立研究開発法人
量子科学技術研究開発機構
National Institutes for Quantum Science and Technology

医療福祉の多様なエキスパートを育てる。
国際医療福祉大学
INTERNATIONAL UNIVERSITY OF HEALTH AND WELFARE

浜松医科大学
Hamamatsu University School of Medicine

FUKUSHIMA MEDICAL UNIVERSITY 公立大学法人
福島県立医科大学

CIEM
Central Institute for Experimental
Medicine and Life Science

PHILIPS



GE Healthcare

SIEMENS
Healthineers

変形性膝関節症の個別化治療実現のための下肢筋骨格シミュレータの開発

京都大学医学研究科 整形外科 教授 松田 秀一

変形性膝関節症とは：わが国で2,500万人が罹患し、歩行能力低下により生活の自立が困難となり、健康寿命を脅かす重要な疾患である。治療法としては保存療法をまず行い、無効例に人工膝関節置換術や高位脛骨骨切り術などの手術療法が選択される。しかし治療法選択や手術目標(インプラント設置位置や骨切り矯正角度)が画一的であるため効果不十分例も多く見られる。そこで、**生体力学解析に基づく個別化医療の確立**が求められている。



- 目標1：**正常下肢のデータを用いた股関節、膝関節、足関節を含んだ下肢全体の筋骨格シミュレータを作成し、患者固有の骨格、筋力、体重などの条件を入力して、関節の動きおよび関節にかかる負荷の解析を可能とする。
- 目標2：**人工膝関節術後の動作解析のデータを用いて、人工膝関節術後の動態が予測できるシミュレータを作成し、より生理的な関節動態が獲得できるための個別化した手術目標の設定を可能とする。
- 目標3：**変形性膝関節症および高位脛骨骨切り術後の動作解析のデータを用いて、骨切り術後の動態が予測できるシミュレータを作成し、変性した部位への荷重を軽減するための個別化した矯正角度の設定を可能とする。

本研究開発により治療法選択・手術目標の明確化

健康者および患者データを取得：
患者背景(性別・身長・体重など)
膝関節画像(X線・CT・MRIなど)

目標1：正常下肢筋骨格のコンピュータシミュレータの作成・検証

目標2：人工膝関節置換術のコンピュータシミュレータの作成・検証

目標3：変形性膝関節症及び骨切り術のコンピュータシミュレータの作成・検証

蓄積した膝関節運動データバンクから生体力学に基づく個別化医療を可能とする適切なデータをAIで選定してシミュレーション

非競争領域

人工膝関節プランニングソフトウェア

競争領域

骨切り術プランニングソフトウェア

患者ごとに個別化した治療選択・手術目標設定を行い、最適な手術を実現することで満足度を向上させ、健康寿命を延伸

コンソーシアム [非競争領域：コンピュータシミュレーションの基盤完成]



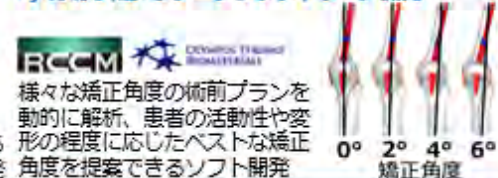
[競争領域：出口戦略]

1) 人工膝関節プランニングソフトウェア開発



インプラントに負荷をかけず、膝関節がよく機能する手術計画を患者個々に応じて算出できるシステム開発

2) 骨切り術プランニングソフトウェア開発



非侵襲遠隔モニタリングによる心不全増悪の早期探知アルゴリズム構築のための多機関協働プラットフォーム開発と統合AIモデルの作成および実用化に向けたPHR情報統合基盤の構築

研究開発代表者：国立循環器病研究センター 心不全・移植部門長 泉 知里

背景

- 心不全患者は著増しており(2030年には130万人)、医療経済的にも大きな問題
- 心不全増悪(WHF)を繰り返すことにより病状が進行するが、1年以内の再入院率25-30%
- 認知症前段階のMCIの合併率は43%で、心不全増悪の1つの要因になっている
- 植込み型デバイスによる遠隔モニタリングは侵襲性が高く汎用性がない
- 多機関で共有可能なAI開発データが整備されておらず日本の医療AI開発が遅れている
- 診療データとAIモデルの予測結果を集約し、患者と医師間で連携するシステム基盤がない

研究目的

非侵襲デバイスによる遠隔モニタリングデータを活用した心不全患者のWHF予測とMCI検知のAIモデル開発協働プラットフォームの構築

非競争領域



目標1

データプラットフォームの構築



競争領域

スタートアップ社、学術機関、産学官連携企業の既存AIの外的データによる予測精度検証と新規AIモデル開発

各社AIの発展

AIモデル提供

各機関の保有するデータやAIの詳細アルゴリズムを集めることなく、連合学習とアンサンブル学習を活用

目標2

統合AI開発

統合AIの開発と共有

目標3

情報基盤システムの構築

患者と医師での情報連携を通じ早期発見と介入のシームレス化、予防成功確率を向上

重要課題

WHFとMCIの早期探知を目指した非侵襲デバイスによる遠隔モニタリングの確立

統合AIの新規開発のためのデータプラットフォームの構築

AIモデルによる予測結果や診療データの共有のための情報基盤システム構築

研究体制

お互いの強みを活かし、4つのアカデミア・4つのスタートアップ・6つの産学共同研究企業が参画

アカデミア

・国立循環器病研究センター
・京都大学・高知大学・神戸大学

コンソーシアム

スタートアップ

・リージョナルデータコア
・GPx Japan・Mediest
・TMS

産学官共同研究企業

・太陽生命少子高齢社会研究所・東京電力・みずほ銀行・Toppan・ICI・SMK

期待効果と将来展望

- コンソーシアム内共有データプラットフォームによるAI開発促進
- AIモデル活用によるWHFとMCIリスクの早期検知・介入による予後改善を通じた社会医療費削減
- WHF・MCI予測AIモデルや診療データ共有システムの社会実装
 - 太陽生命保険(産学官共同研究企業)の加入者へのサービス導入
 - 情報基盤システムを利用したPHRの構築とアプリ化



 研究開発代表者 猪原匡史
国立循環器病研究センター・病院 副院長／脳神経内科部長

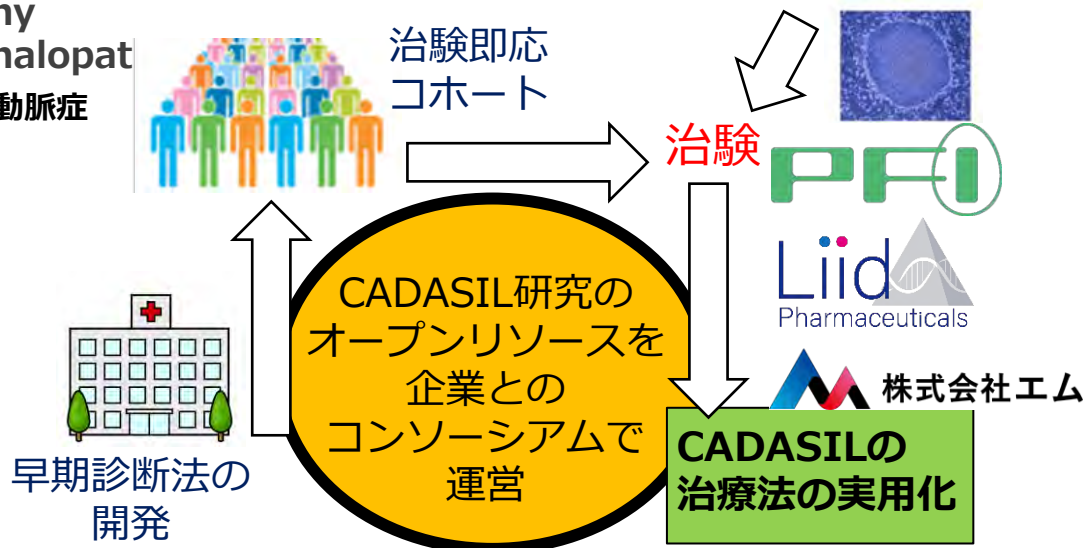
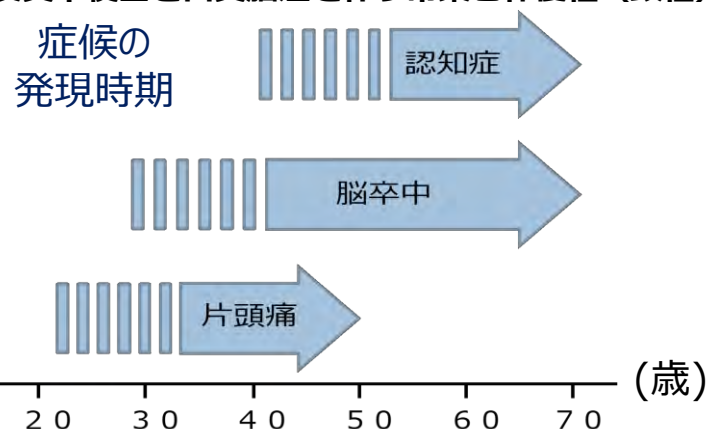
CADASILの根本治療薬の開発を目指して



- 病態解明や創薬研究に用いる*iPS細胞*の確立
- 血液などを保存する*バイオバンク*の立ち上げ
- CADASIL診断のきっかけとなる*MRIデータベース*整備
- 治療薬として有望な*核酸医薬*の開発
- CADASIL*患者会*の支援

*iPS細胞*を用いた
新薬開発研究

Cerebral Autosomal Dominant Arteriopathy with Subcortical Infarcts and Leukoencephalopathy
皮質下梗塞と白質脳症を伴う常染色体優性（顕性）脳動脈症



AMED革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）AIMGAIN 令和6年度 四次公募【スタートアップタイプ】

AI Robotic Surgeryを実現するDX Platformの開発

研究開発代表者 神戸大学大学院医学研究科医療創成工学専攻/未来医工学研究開発センター 教授/副センター長 村垣善浩

背景： 人口減少に伴う医師不足と高齢化に伴う外科手術の増加の一方で、質と安全を担保した外科治療が求められている

課題： 現状の医師数や手術環境では増加する外科治療の全てを安全かつ信頼性のある技術で実施することが困難になってきている

提案： 医療機器がネットワーク化されたスマート治療室(SCOT)の情報基盤を拡張し、AIを用いて合併症軽減や患者個人に適した麻酔管理など低リスクで高効果な手術であるAI Robotic Surgeryを提供する。そのために

- ▶ 手術関連医療機器における自律化機能を実現するための 次世代型OPeLiNK を核とする情報基盤システム DX platform の構築
- ▶ 不可能と考えられている手術支援ロボットや麻酔ロボットシステムや手術台ロボットの自律制御機能の社会実装 を行う

DX Platform コンソーシアム

手術ロボットの自動化・部分自律化による
高効果とリスク低減

麻酔ロボットシステムの自律化による
効率化とリスク低減

【非競争領域】

【競争領域】

【競争領域】

手術ロボットの自動化
・部分自律化
(株)メディカロイド

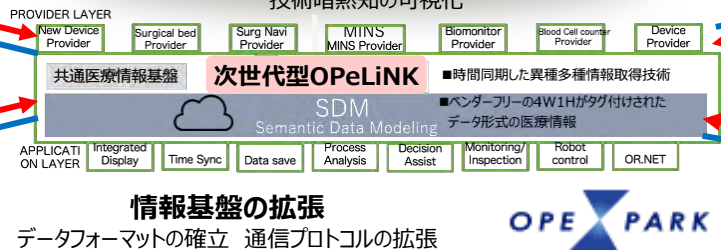
手術台ロボットの
自律化制御・実用化
ミズホ(株)

麻酔ロボットシステム
の自律化・実用化
日本光電工業(株)

シリンジポンプ
の制御
テルモ(株)



スマート治療室SCOT
AIアルゴリズムの開発
技術暗黙知の可視化



スター・サイエンティストの拓く 日本の創薬エコシステム

イノベーションエコシステム協議会
2025.5.28



Special thanks to Dr. Tohru Yoshioka-Kobayashi, Dr. Joji Hayashida,
Dr. Shunichi Ohmori, and Maki-Zemi Community

牧 兼充, Ph.D.

出典: <https://www.dhbr.net/articles/-/6487>



2025年3月

2023年12月 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に 届けるための構想会議」の構成員に

イノベーションやエコシステムの専門家として、 健康・医療政策に関与

我が国における創薬エコシステムの好循環の創出

2024.2.8
内閣官房「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」
@首相官邸4階大会議室

早稲田大学ビジネススクール
牧 兼充, Ph.D.

[4つの論点提起]

1. 創薬エコシステムのインセンティブ構造の整理
2. アクセラレータの設計: Venture Creation Model & グローバルなブレイン・サーキュレーション
3. スター・サイエンティストを中核としたサイエンスとビジネスの好循環の創出
4. エコシステムと政策の継続性

Special thanks to Maki Zemi Community.

Maki Zemi = $\beta_0 + \beta_1 \text{entrepreneurship} + \beta_2 \text{science} + \epsilon$



「創薬エコシステムサミット」
出典: 首相官邸ウェブページ

スター・サイエンティストが拓く 日本の創薬エコシステム

牧 兼充*

日本は世界有数の新薬創出国でありながら、近年その創薬力の低下が指摘されるようになった。日本には、スター・サイエンティスト、大手製薬企業、ベンチャー・キャピタル、行政など、新薬創出に必要なプレーヤーが存在しているが、そのプレーヤー同士が連携するエコシステムが形成されていない。この問題に対処するために、政府は2023年12月、内閣官房に「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」を設置した。筆者はこの構成員の一人として、イノベーションやエコシステムの専門家としての立場から、議論の取りまとめに関与した。本稿では、この構想会議の経験に基づいて、筆者が携わってきた「スター・サイエンティスト」に関する研究成果を中核として位置付けながら、学術的な知見を統合する形で、日本の創薬エコシステムの課題と処方箋を整理することを目的としている。本稿では、まず創薬エコシステムが必要となった背景や、創薬とエコシステムに関する先行研究の整理を行う。次に、日本の創薬エコシステムの現状の課題を整理する。その上で、イノベーション政策の観点から、創薬エコシステムの好循環を促進するための施策として、「アイデアの実装のためのアクセラレーターの設立」と「イノベーター・リワードとしてのパウチャーの導入」を提案する。

1. はじめに

日本は世界有数の新薬創出国でありながら、近年その「創薬力」の低下が指摘されるようになった [1] [2] [3]。グローバルな医薬品研究開発の競争において、日本の競争的優位性が低下しており、国内でのイノベーション不足が指摘されている。日本の製薬産業の国際競争力を維持・向上させるためには、バイオテクノロジーに根拠した医薬品や再生・細胞医療・遺伝子治療などの新規モデルティ

への重点投資の重要性が増しており、経済安全保障の観点からも、国内での創薬力強化は喫緊の課題となっている。この問題を解決するためには、創薬エコシステムの強化が重要である。

2022年5月に自由民主党の「社会保険制度調査会創薬力の強化育成に関するプロジェクトチーム」は、この課題を整理し提言をまとめた [4]。また、政府はこの課題に対応するために、2023年12月に内閣官房に「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」を設置した。筆者はこの構成員の一人



* Kanetaka M. MAKI
早稲田大学ビジネススクール 准教授
〒169-8550 東京都新宿区西早稲田1-6-1
(勤務先)
kanetaka@maki-maki.com

Associate Professor
Waseda Business School
1-6-1 Nishitown, Shinjuku-ku, Tokyo, 169-8550, Japan
(office)

— 410 —

エディトリアル・レビューを経て論文化
他の研究者から査読を受けていることは
エビデンス・レベルを上げる



Maki Zemi = $\beta_0 + \beta_1 \text{entrepreneurship} + \beta_2 \text{science} + \epsilon$



アジェンダ

[論点]

1. 「エコシステム」という用語の多義性
2. アイディアの市場と市場の失敗
3. ITスタートアップ育成手法のunlearning
4. 小型イグジットが多い要因

[処方箋]

1. アクセラレーターの設立
2. 大型イグジットを誘引するための政策パッケージ



エコシステム

- エコシステム: 同一領域に生息する生物・植物が互いに依存しながら生態系を維持する仕組み (生物のエコシステム)
- 産業集積としてのエコシステム: 相互依存と循環 / 各プレイヤーの経済合理性が前提

表 1: エコシステムの 4 分類

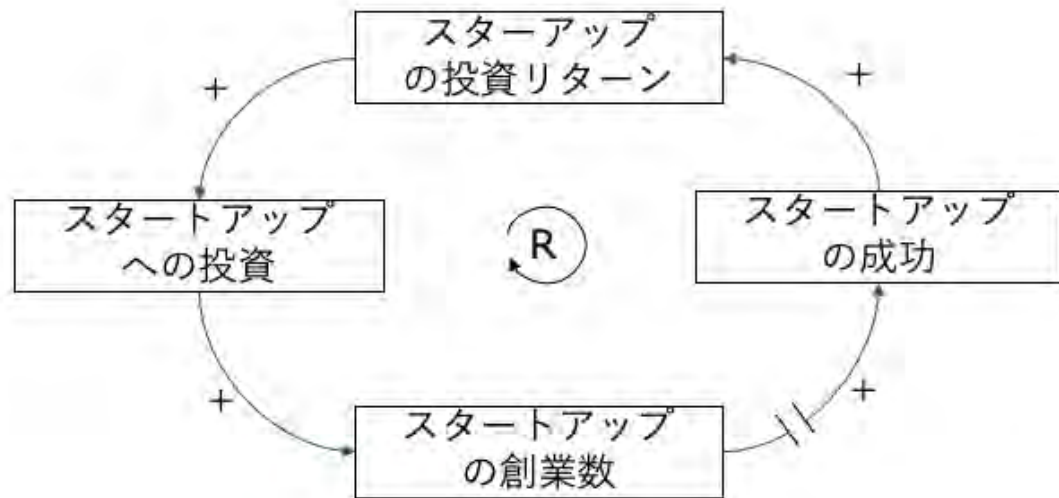
分類	定義
ビジネス・エコシステム	ビジネスにおける垂直統合・水平分業による企業の連合体。プラットフォームにより接続される企業の連合体
イノベーション・エコシステム	顧客の新たなニーズを解決するためにコーディネートされた企業の連合体
アントレプレナー・エコシステム	起業を促進するための、組織文化や、資本市場、オープンなマインドを持つ顧客などの要素の集合
ナレッジ・エコシステム	ある地域における、大学や研究機関を中心とした、組織間の暗黙知のフローや、人材の流動性による、イノベーションを創出する仕組み

出典: Scaringella and Radziwon (2018)を参考に筆者により加筆・改編

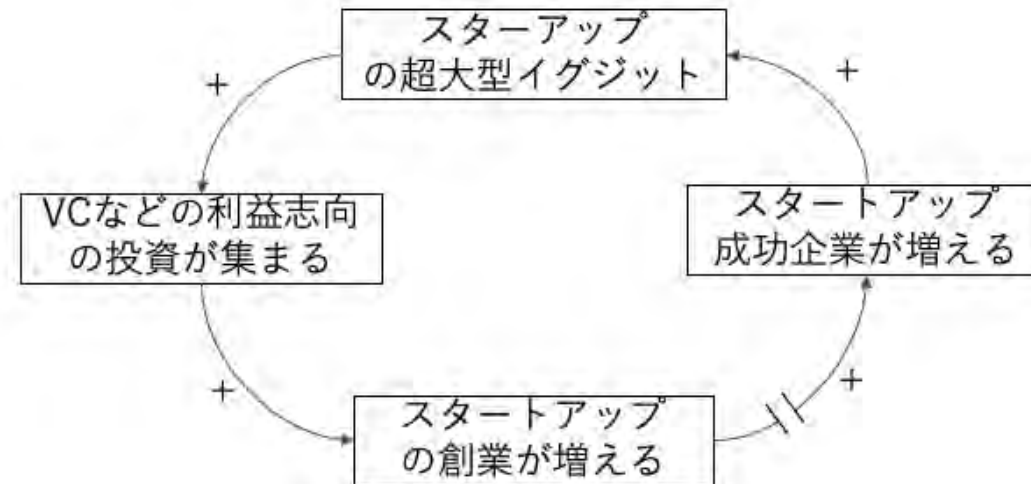
スタートアップ・エコシステム: 実務家が使う政策形成のための用語

「地域内の経済的, 社会的, 文化的, 政治的, 物理的要素の組合せであり, 起業家がリスクの高い事業を立ち上げ, 革新的なスタートアップの設立や成長に対し, 資金や人的支援を含む様々なサポートを行う有機的な連携体」(Spigel, 金間)

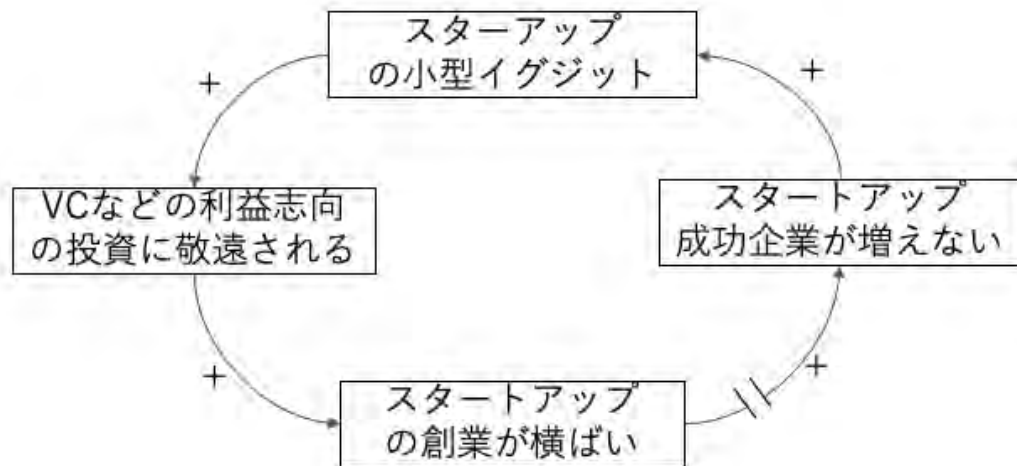




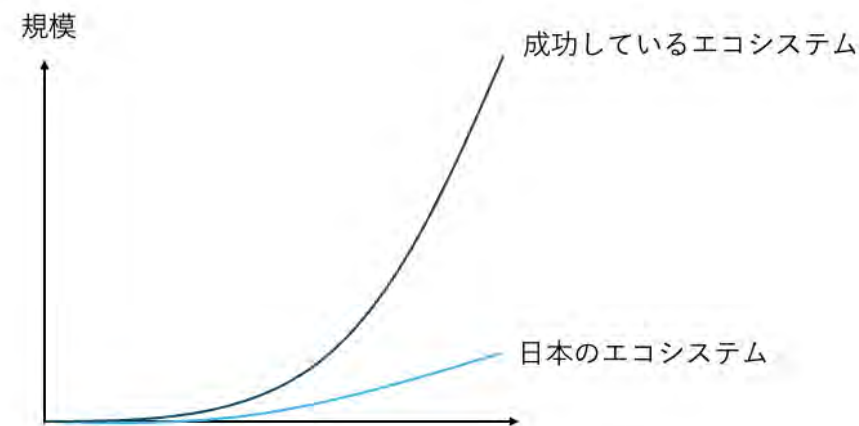
図A: スタートアップ・エコシステムの循環図



図B: 成功しているエコシステム



図C: 日本の創薬エコシステム



図D: エコシステムの成長の比較

アイデアの市場と市場の失敗

- イノベーションや新規事業の創出を目的にした場合には、個人や組織の持つアイデアを評価し、また売買するような市場が必要となる
 - アイデア: 製品, サービス, 技術, ビジネスモデルを含め, 形になっていない知的資産全般
 - スタートアップ初期における研究者, 起業家, 投資家, 取引先, メンターなど, アイデアを取り巻くあらゆるリソースとの結合

表 4: アイデアの市場における市場の失敗のメカニズム

分類	メカニズム	事例
生産の経済性	ある企業の生産量が増加することによる平均の費用の低下し、結果的に寡占を招くこと	学習の経済性は、結果的に特定の個人・企業にスタートアップ立ち上げのノウハウが集中して蓄積することを促す。
情報の非対称性	二つのプレイヤーのうち片方がより多くの情報を持っている場合に発生する非効率性。	スタートアップの方がベンチャー・キャピタルよりもシーズに関する情報を多く持つ。ベンチャー・キャピタルが投資しようとしても、スタートアップの価値の評価がしづらいので、平均的な投資金額にとどまってしまう。
取引費用	協業パートナーの探索、契約の確定、契約内容の履行の確認などにかかる費用全般。	スタートアップと VC・メンターとのマッチングにはコストが大きくなり、結果的にマッチングの不成立が発生する。
外部性	経済活動の結果、正もしくは負の影響が、第三者に及ぶこと。	アイデアが実用化された場合にその成果が実装した会社だけではなく、周囲の会社が活用できるようになる、というようなケースがある。

エコシステムは、市場の失敗を防ぐメカニズムを持つ

- 多数のスタートアップ経験者が集積し、経験の共有が図られる。
- 密度の濃い人的ネットワークは情報共有が密になり、アクター間の情報の非対称性が下がる。
- 人材の流動性により個々人の評判が蓄積されるため、取引費用を下げる。
- エコシステム全体の発展を創出するインセンティブが働くため、外部性におけるアイディアの流出をプラスに変換する。

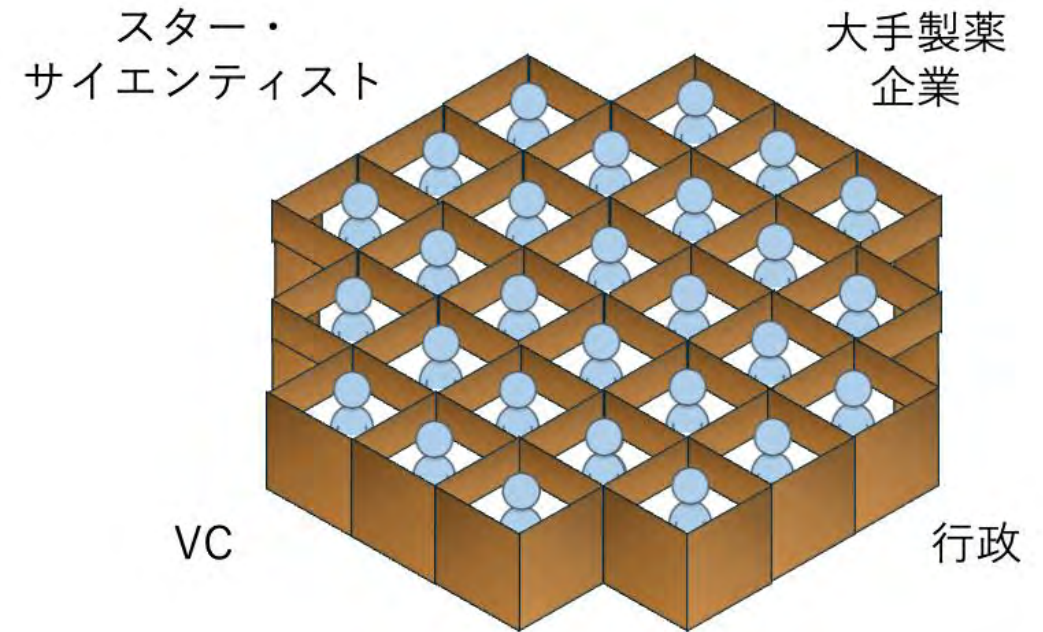


図: 日本のエコシステム (概念図)

ITスタートアップ育成手法のunlearning

アイデア評価の不確実性

実際

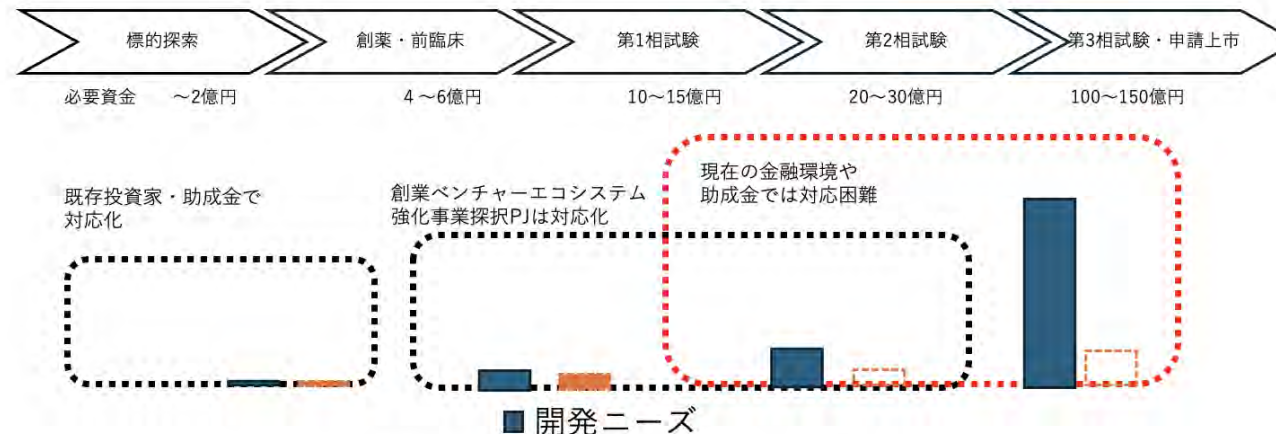
		良いアイデア	悪いアイデア
判断	良いアイデア	正解	見込み違いエラー (Type IIエラー)
	悪いアイデア	見落としエラー (Type I エラー)	正解

- 仮説検証 (二つの戦略とトレードオフ)
 - 量を増やす戦略
 - 質を高める戦略
- 仮説検証のコストが小さい場合 (IT) → 量を増やす戦略
- 仮説検証のコストが大きい場合(創薬) → 質を高める戦略
- Y Combinatorなどのアクセラレーター
 - メンターからの多数のフィードバックを受けて、多数の仮説検証を生み出すモデル
 - ネットワーク密度の高いエコシステムがその有効性を高める。
- 創薬スタートアップでは、一つ一つの仮説検証にコストがかかるため、このような仕組みをとることができない。



なぜ、日本では、小型のエグジットが多いのか

1. 日本の薬価が欧米に比べて低く、予見可能性も低いこと
2. 創薬事業の開発コストを負担する資金の財源が不足していること
3. 創薬分野のM&A市場が未発達なこと
4. 創薬スタートアップのリソースのマッチング・コストが高いこと



資金需要が大きくなる開発中後期の資金獲得方法がない。



創薬エコシステムの 活性化への処方箋



創薬スタートアップと資金調達モデル

基礎研究

応用研究

開発

商業化

アカデミア・大学

デスバレー
(資金ギャップ)

産業界

パターンA

スタートアップ

ベンチャー・キャピタル

Exit
(IPO/
M&A)

パターンB

SBIR / フィランソロピック・ファンド
ベンチャー・クリエーション・モデル

スタートアップ

ベンチャー・キャピタル

出典: V. Bush "Science: The Endless Frontier" (1945) などを参考に牧兼充作成



Maki Zemi = $\beta_0 + \beta_1 \text{entrepreneurship} + \beta_2 \text{science} + \varepsilon$



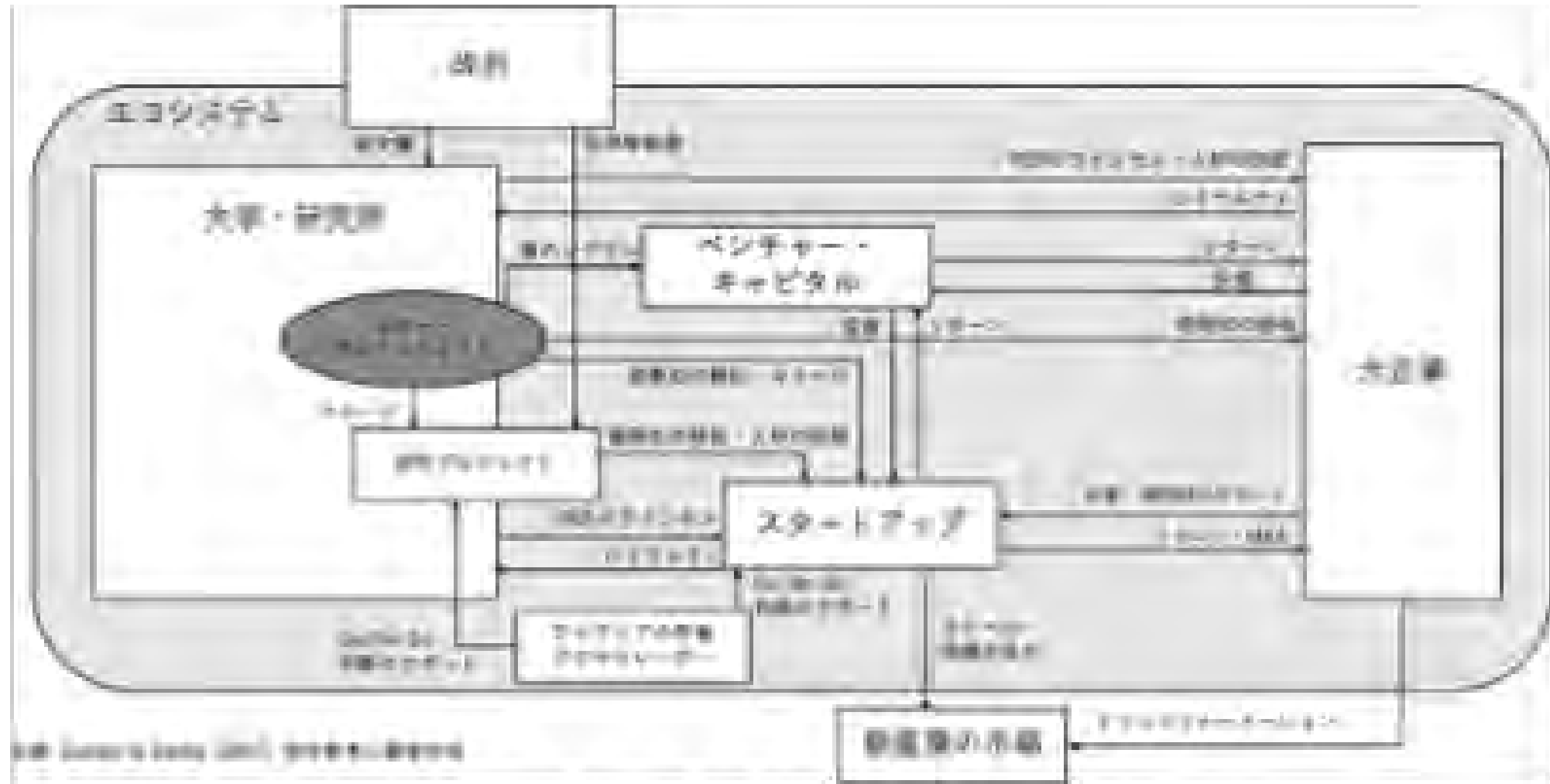


図5 「スター・サイエンティストを中核としたエコシステム」概念図

スタートアップ立ち上げのコスト軽減のための アクセラレーターの設立

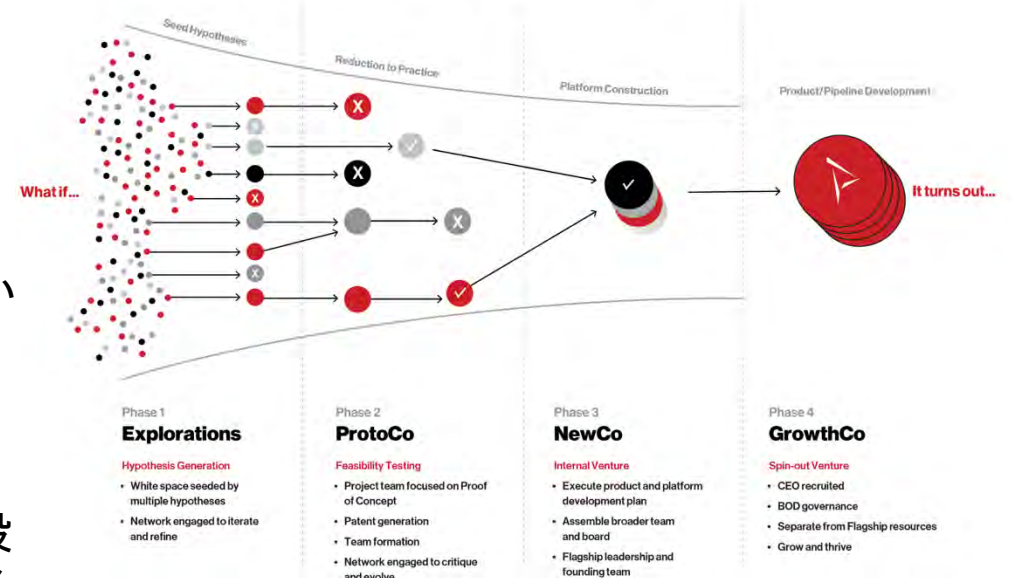
- ベンチャー・キャピタルはエグジットを重視するプレイヤーであり、経済合理性があれば自然に投資が増加する
 - より良いアイデアをスクリーニングする仕組みを、低いコストで行う2種類のアクセラレータを提案する
1. マーケットの利用を限定的にし、プロセスを組織内に内在化する「ベンチャー・クリエーション・モデル」
 2. マーケットにおけるマッチングをファシリテートし、専門家によるグループ審査を通じて判断の質を向上させる「意思決定のマーケット創造モデル」



Venture Creation Model

- VCが自社で「ベンチャー企業を作る (Venture Creation)」モデル
- Flagship Pioneering - モデルナを輩出
- 主領域: 創薬
- IPOまでリードとしてフォローオンをしていく
 - モデルナの2018年の上場時には、Flagship Pioneeringは19.5%のシェアを持っていた
- Third Rock Ventures、Atlas Venture など同様のアプローチ。
- 現在の日本の創薬ベンチャーエコシステム事業 (AMEDなど) は、VCが投資するシーズ・ベンチャーがあることが前提になっている。日本は、エコシステム先進地域と比べて、より人材の流動性が低いので、Venture Creation Modelが適しているのではないかな。
- Flagship PioneeringはGo / No Goのプロセスの質が高い。
 - 質の高いサイエンティスト集団を内包
 - 実現可能性の低いアイデアを早期にkillすることで評価され、別のシーズの研究開発に速やかに移ることができる。

Flagship's Process for Pioneering



Source: <https://www.flagshippioneering.com/process>

参考: Takaaki Umada / 馬田隆明 - 「Startup Studio や Venture Creation Model の台頭と日本での必要性」



CDL's **mission** is to enhance the commercialization of science for the betterment of humankind.

MARKET FOR JUDGMENT: CDL SESSION DESIGN

Delivered over a 9-month term and includes 5 full-day objective setting* sessions.



Note: The objectives-setting process is the core of the program, providing a proven process for helping companies cut through distractions and focus on what's most important.

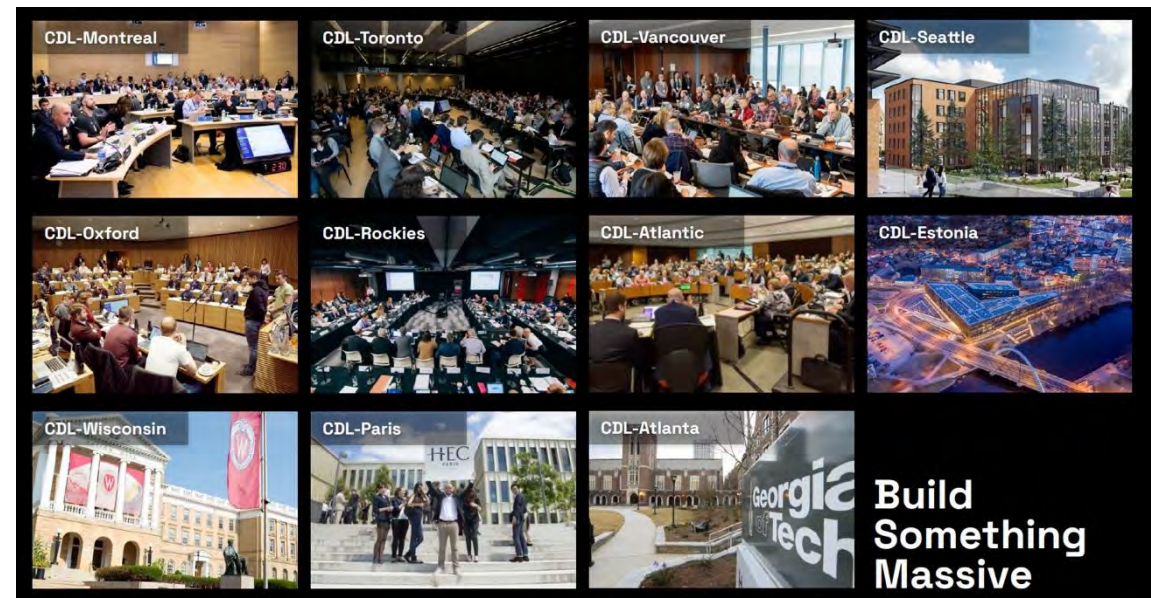
LEGEND

- Venture Founders
- Moderators
- Fellows & Associates
- Scientists, Economists & Investigators
- Business Students (CDL Course)
- Partners

Creative Destruction Lab

- 各拠点にストリームと呼ばれる重点領域がある
- 重点領域: その地域でシーズが生まれていることよりも、世界のスタートアップがその地域に行きたいと思うことが重要
- 「意思決定の市場」の「市場の失敗」を解決するためのプログラム

Source: Creative Destruction Lab Website



$$\text{Maki Zemi} = \beta_0 + \beta_1 \text{entrepreneurship} + \beta_2 \text{science} + \varepsilon$$



スタートアップのイグジット時の価格を上げるための政策パッケージ

米国における「優先審査バウチャー」

- ニーズの高い創薬(希少疾患など)を開発した企業に、その次の創薬の審査を優先するバウチャーを渡す制度。
- バウチャーは市場で取引が可能。バウチャーを持つスタートアップを買収すれば、大手製薬企業がこのバウチャーを自社の別の創薬の臨床試験の審査に活用可能。
- このメカニズムにより、M&Aの金額が上がり、VC投資のインセンティブが上がる。

日本での導入は以下の理由で恐らく難しい

1. 国民感情として、疾患の開発の優先順位がマーケットメカニズムで決まることに強い抵抗がある
2. 制度に対応する審査体制を整備するためにはPMDAのリソースが足りない

日本の創薬エコシステムの活性化のためには、優先審査バウチャーではない形で、「ニーズの高い創薬(希少疾患など)」の開発のインセンティブを高め、更にスタートアップの市場価値を高める政策が重要。

- 特許の有効期限延長のバウチャー化? 研究開発減税のバウチャー化?



今日は昨日までやれなかったことだけをやってみたい人へ



牧 兼充, Ph.D.

kanetaka@kanetaka-maki.org



スタートアップ成長支援のための制度設計

アーリーフェーズからレイターフェーズに向けた課題と対策

森下 大輔

第1回イノベーション・エコシステム協議会
令和7年5月28日

自己紹介 森下大輔

企業側とアカデミア側の両輪を持つHybrid Career

◆ 大学卒業～博士号取得

- 2009年 東京大学大学院薬学系研究科博士後期課程 卒業

◆ 製薬企業での研究

- 2009年 武田薬品工業株式会社 入社
- 2013年 Harvard Medical School 留学

◆ スタートアップ起業～上場

- 2017年～ Chordia Therapeutics Inc 創業
- 2024年～ 東京証券取引所グロース市場上場

◆ 大学でのオープンイノベーション推進

- 2018年～ 京都大学医学部 特定准教授
- 2019年～ 名古屋市立大学薬学部 客員教授
- 2020年～ 熊本大学薬学部 客員教授
- 2020年～ 国立がん研究センター研究所 客員研究員
- 2024年～ 東京大学医学部客員研究員、京都大学医学部客員研究員

◆ 大学発ベンチャー大賞 文部科学大臣賞 受賞 (2022年)

◆ 内閣府 科学技術政策大臣賞 受賞 (2024年)

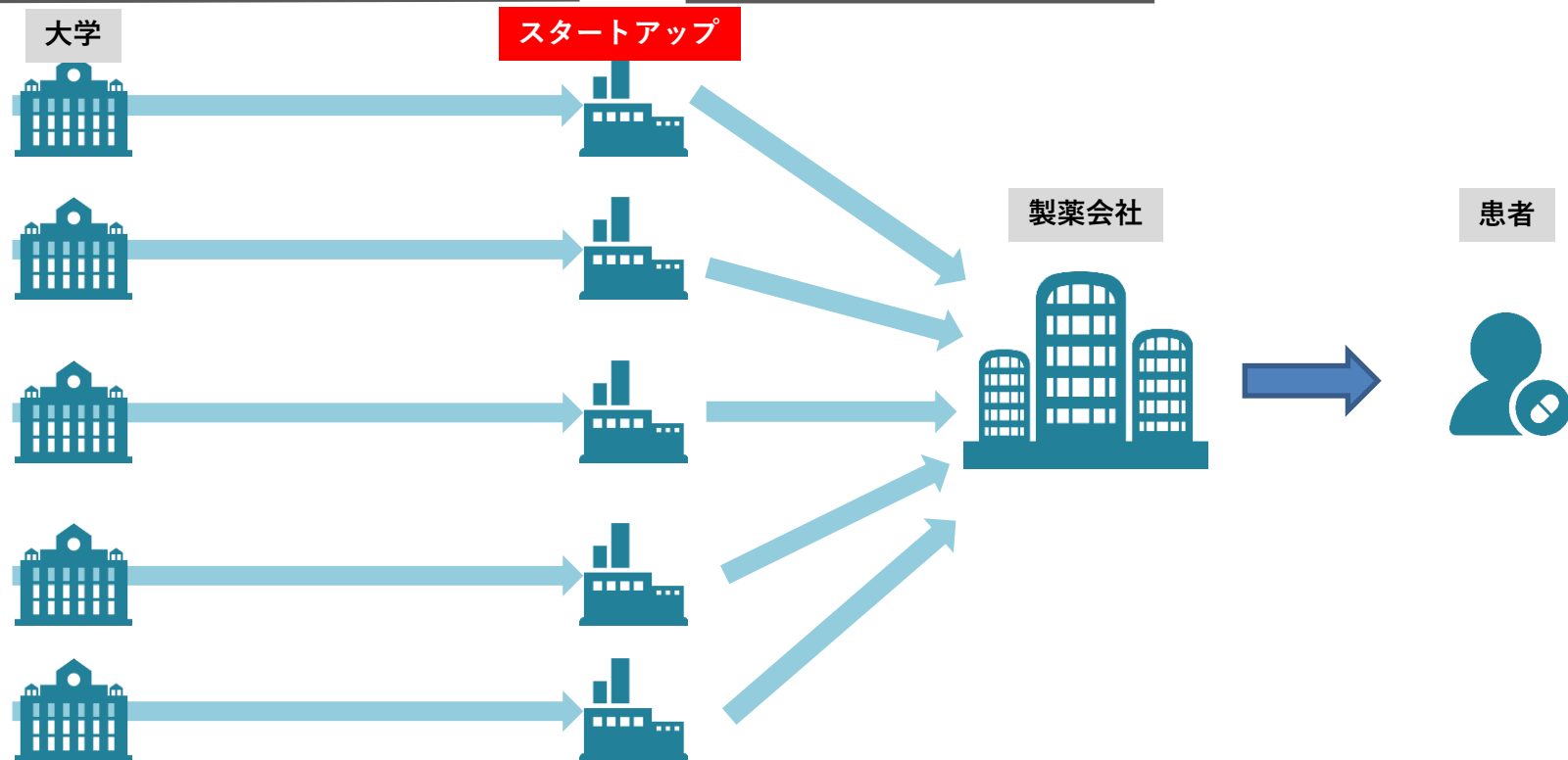
◆ 日本スタートアップ大賞 文部科学大臣賞 受賞 (2024年)



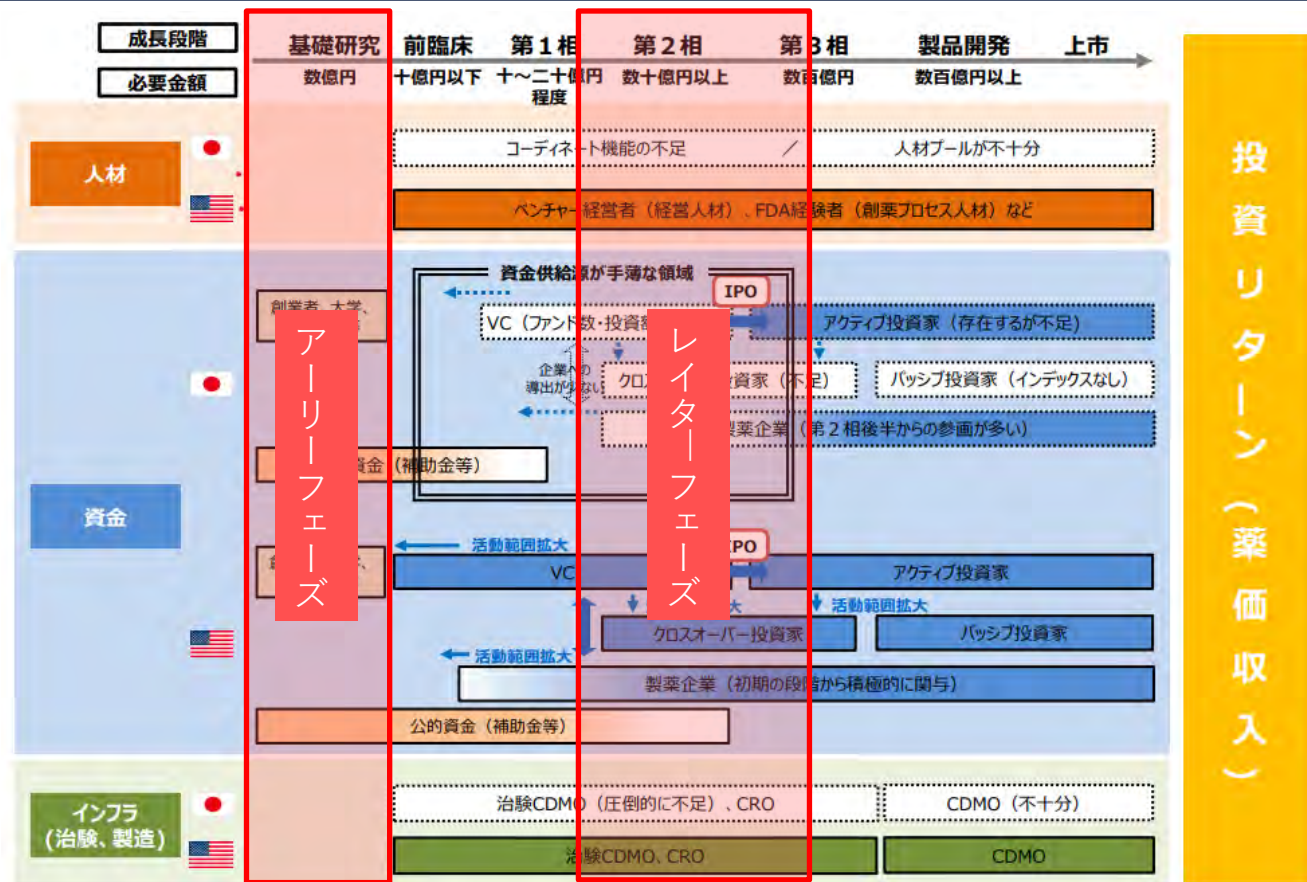
創薬シーズの社会実装におけるスタートアップ の中核機能①インキュベーターとしての育成、②橋渡しによる事業化促進

①シーズのインキュベーター

②製薬会社への橋渡し



バイオ政策に関する現行の取組と残された構造的課題



バイオ政策の進展と今後の課題について
 令和5年5月12日
 経済産業省
 生物化学産業課 p 3 9

アーリーフェーズにおける課題

課題：スタートアップ設立に向けたシーズの創出・育成環境の強化



【人材（アカデミア）】

- ・ 創薬に精通した研究者・メンター層の拡充
→ スタートアップに繋がるアカデミアシーズ創生強化
- ・ 医薬品の事業化経験を持つ知財担当者の拡充
→ スタートアップに直結する特許出願戦略強化
 - ・ 不合理なシーズの特許化戦略の改善
 - ・ グラント獲得を目的とした非本質的な特許出願の抑制

- ・ 製薬企業あるいはCRO/CDMOの中核人材を客員として各大学に招聘
- ・ 特許事務所からの客員として各大学に招聘

【資金】

- ・ 既存研究費の活用効果を高める運営体制の再整備
→ シーズ選定および進捗管理を担う専門家の関与を強化し、創薬志向の評価体制を確立

- ・ 医薬品開発グラントのPS/PO/評価委員の再配置

【インフラ】

- ・ 研究サポート機関の見直しと機能的フレームの設計
→ アカデミアに無理に設置するのではなく、適正な機能を有する民間CROの活用による研究効率最大化

- ・ 開発フェーズや省庁間を跨いだサポート組織の再構成
- ・ モダリティ毎に設置

アーリーフェーズの制度課題と提案

課題：スタートアップ設立に向けたシーズの創出・育成環境の強化

■ 短期的アクションプラン

1. 目的指標達成のために適正なPS/PO/評価者の再配置の実施（モダリティ毎に医薬品専門家を置いた方がなお望ましい）
2. 研究推進サポート機関をアカデミアに無理に設置するのではなく民間CROを有効活用するための研究費支給への切り替え
3. 申請前の知財化は不要とし、また本事業中の不適な早期特許化を促さない制度設計（特許数をKPIとしない、橋渡し研究についても同じ対応が望ましい）

■ 長期的アクションプラン

1. 創薬研究の意義と手法に関する体系的な教育・啓発活動の継続実施（学会等の実務的フォーラムを中心とした展開が有効）
2. 上記4に関連した知財に関する啓蒙活動

【目標・指標】

○達成目標

次世代がん医療の創生に向けて、出口を意識した国際的にも質の高い研究を支援し、がんの本態解明等の基礎的研究から見出される新たなシーズを企業や他事業へ導出する。

○成果指標（アウトカム）

新規分子標的薬剤及び新規治療法に資する有望シーズ、早期診断・個別化治療予測バイオマーカー及び新規免疫関連有効分子の数（累積）

○活動指標（アウトプット）

なし

文部科学省次世代がん医療加速化研究事業



ミドルフェーズの制度課題と提案

課題：創薬スタートアップの成長に必要な研究資源と制度設計の不整合

■ 短期的アクションプラン

1. 前ページ1～2と共通
2. 研究代表者がアカデミアでないと採択されない制度運用上の不透明性の是正
3. 医薬品開発に直結する可能性が高い領域への研究費の充填、またモダリティごとに研究費負担が異なる実情を踏まえ、分配基準の精緻化と最適配分を実施

■ 長期的アクションプラン

1. 前ページ提案（アーリーフェーズ）1および2項目と同様の体制改革を推奨
2. サポート機関は現状の形式ではなく、民間GLPおよびGMPは国内CRO/CDMOと連携体制を構築

モダリティ技術を活用した医薬品の実用化研究開発の推進

◆ 次世代がん医療加速化研究事業(文)

希少がん、難治性がん等を含めた新規創薬シーズの探索や、専門的支援体制の整備・充実を通して、確実かつ迅速な成果導出と早期社会実装を目指す。とりわけ、免疫学や遺伝子工学、核医学、情報科学等の多様な分野の先端技術を融合させることで、がんの本態解明を進めるとともに革新的な医薬品の創出に資する基礎的研究を積極的に推進する。

◆ 革新的がん医療実用化研究事業(厚)

【新薬】ドラッグラッグ・ドラッグロスを含むアンタゴニスト・メカニズムの解明に向けた非臨床試験、医師主導治験の支援。AI等の新たな科学技術を活用した診断技術やプログラム医療機器(SaMD)等を含む多様な治療法の開発

◆ 難治性疾患実用化研究事業(厚)

【新薬】革新的な医薬品や治療法を開発するドラッグリポジショニング等、モダリティの特徴や性質も考慮した医療開発を実施する。早期導入が求められる薬剤に対する治験を推進しドラッグロス解消に寄与する。また、受診が困難な難病患者において臨床試験の評価に使用できる分散型臨床試験等に用いることで評価可能な臨床評価手法の開発等を支援する。これらにより難病における創薬力の持続的な強化を推進する。

◆ 臨床研究・治験推進研究事業(厚)

小児や希少疾患等医療ニーズが高いものの、採算が見込めず、企業の開発が進まない分野において、臨床研究等を推進
喫緊の課題である認知症の克服に向けて、革新的な認知症治療薬の開発に取り組み臨床研究等を推進

革新的がん医療実用化研究事業（厚生労働省）

PS 直江 知樹 名古屋医療センター 名誉院長	PO 赤堀 真 (株) アイクロス がん研究会 研究本部 本部長 がんプレシジョン医療研究センター 所長 大津 敦 (一社) がん医療創生機構 理事長 国立がん研究センター東病院 名誉院長	Field1	がんの予防に関する研究	サポート機関 (PRIMO)
	佐伯 俊昭 埼玉医科大学国際医療センター 病院長	Field2	がんの診断・治療技術開発に関する研究	
	佐野 武 がん研究会有明病院 病院長	Field3	がんの新規薬剤・治療法の開発に関する研究	
	竹内 雅博 三井不動産 (株) 参事 田中 純子 広島大学 理事・副学長	Field4	がんの標準治療の確立、 ライフステージに応じたがん治療に関する研究	
	永田 靖 中国労務病院 部長 古瀬 純司 神奈川県立がんセンター 総長 堀部 敬三 名古屋医療センター 上席研究員 間野 博行 国立がん研究センター 理事長 光富 徹哉 和泉市立総合医療センター 総長 米田 悦啓 阪大微生物病研究会 理事長	Field5	がんの克服を目指した分野横断的な研究	
がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム（厚生労働省）				
	PO 米田 悦啓 阪大微生物病研究会 理事長	全ゲノム解析等実行計画の推進にかかる研究（がん領域）		

創薬プロセスにおける理想的な産学連携

- 一貫して独自手法に依存する傾向が見受けられ、全プロセスを単独で遂行しようとする姿勢が課題
- スタートアップ設立やライセンスアウトを想定し初期から医薬品コンセプトを明確にすべき



MALT1阻害薬創生の軌跡 (2014~2023)

森下大輔



留学から帰国
MALT1阻害
薬研究開始

2014

Chordia設立

2017

2015~2019
AMED産官学連携
ACT-M
プログラム
オフィサー

次世代腫瘍分子創薬
講座設置

2018

MALT1阻害薬
創生完了

2018

小野薬品との
ライセンス契約

2020

小野薬品による
第1相臨床試験開始

2023

2014

薬剤標的
MALT1同定
(アカデミアシーズ)

小川誠司



下田和哉



2017
2019

Chordiaへの
投資実行

上野博之



2020

米国血液学会
発表

2022

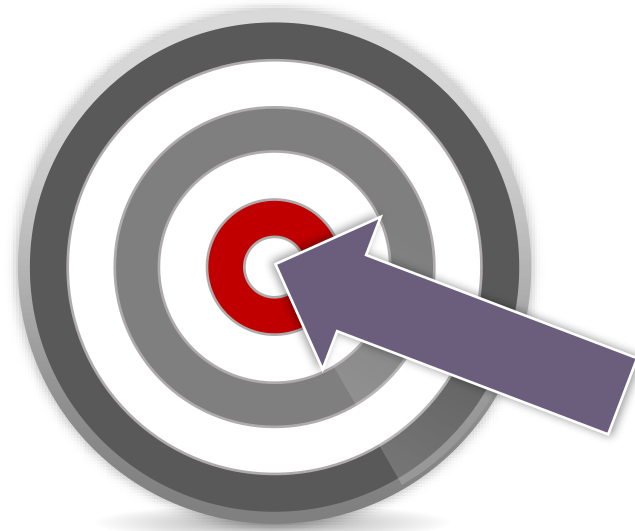
米国血液学会
発表

谷田清一



アカデミア発シーズの事業化に向けた戦略的アプローチ

-  シーズ育成初期段階から、事業化を見据えた産業界人材（経営候補）との連携体制を構築
-  知財（特許）内容および出願タイミングの最適化による事業価値の最大化
-  創業支援グラントの活用および事業戦略（exit/提携等）の構築
-  創業後の中長期的な事業計画策定に基づく実行フェーズへの移行



産学連携強化のための3つの重要な要素



Culture Transformation

1. 0から100まで全部自分で実施することへのこだわりを捨てる
2. 相互理解に基づくの強みの重ね合わせが必要
3. 相互のリスペクトが欠かせない



人的流動性

1. 学⇄産⇄官の人的流動を受け入れる素地の形成
 - 創薬ノウハウを有する人材の学、官への再配置
2. 人的流動性の活性化
 - 産官学相互の強みを知る、理解する
 - 創薬におけるそれぞれの適正な役割を明確化する

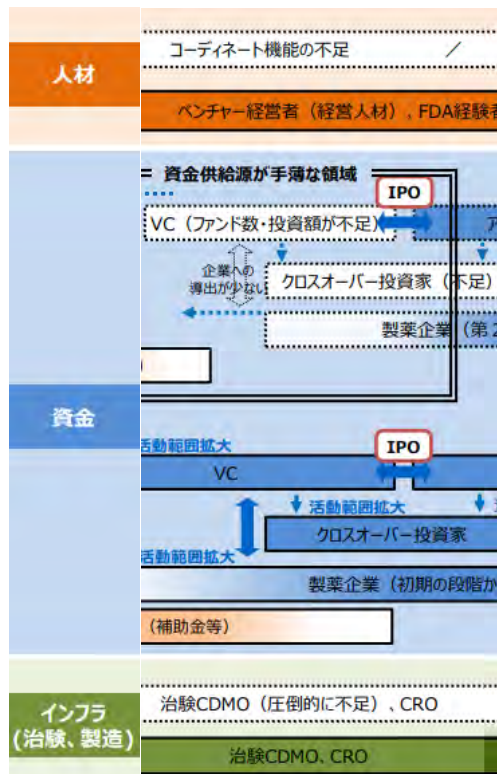


創薬研究者育成

1. 創薬実践を志向した薬学・医学教育カリキュラムの再編
2. 産学を経験したHybrid人材の育成

レイトフェーズにおける課題

課題：クロスオーバー投資家の不在と制度的支援の不足による企業価値低迷



【人材】

- ・グローバル資本市場に対応可能な起業家人材の育成と輩出

【資金】

- ・クロスオーバー投資家の担い手としてのAMED認定VC制度の柔軟な運用・規制緩和

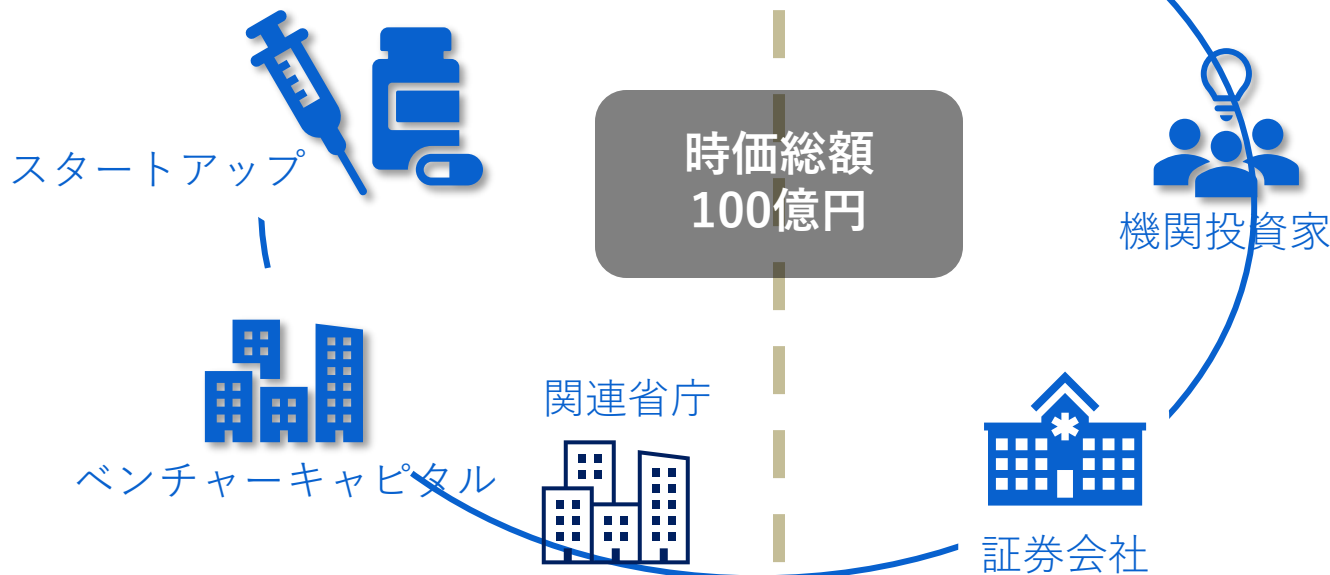
【インフラ】

- ・東証グロース市場への上場基準の見直し
- ・薬価算定基準のグローバル標準化
- ・早期承認・柔軟審査制度の強化による承認インフラ改革

時価総額100億円に固定化される構造的課題

【スタートアップ側にとっての100均】
スタートアップの価値多様性を制限する構造課題
であり、産官学の協働による是正が求められる

【証券会社と機関投資家にとっての100均】
スタートアップの本質的価値を反映しづらく、投
資判断の質向上が求められる



100億円水準への評価固定化による 資金調達・成長戦略への影響

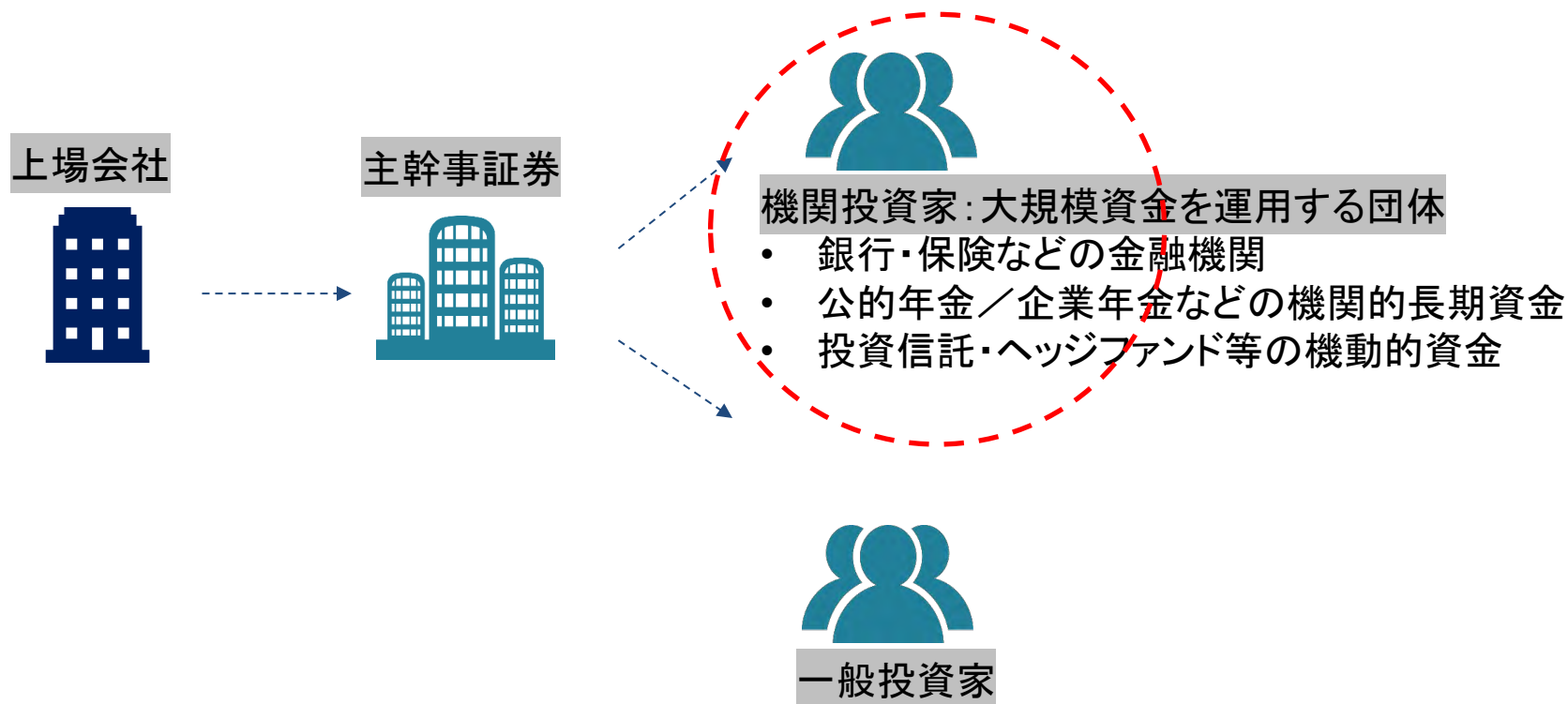
■ 【IPOフェーズにおける課題】

- **上場時および上場後の資金調達額低下**
 - 一般的に新規株式発行は時価総額の20-25%
 - IPO時・直後の調達可能額が限定的
- **上場時および上場後の資金調達失敗リスク**
 - 画一的な評価水準（いわゆる“100億円ラベル”）が投資家の購買意欲を阻害
 - IPO時およびIPO後の発行株式を証券会社が売りきれないリスク
 - MSワラント発行は企業評価の低下を招き、さらなる投資回避要因へ

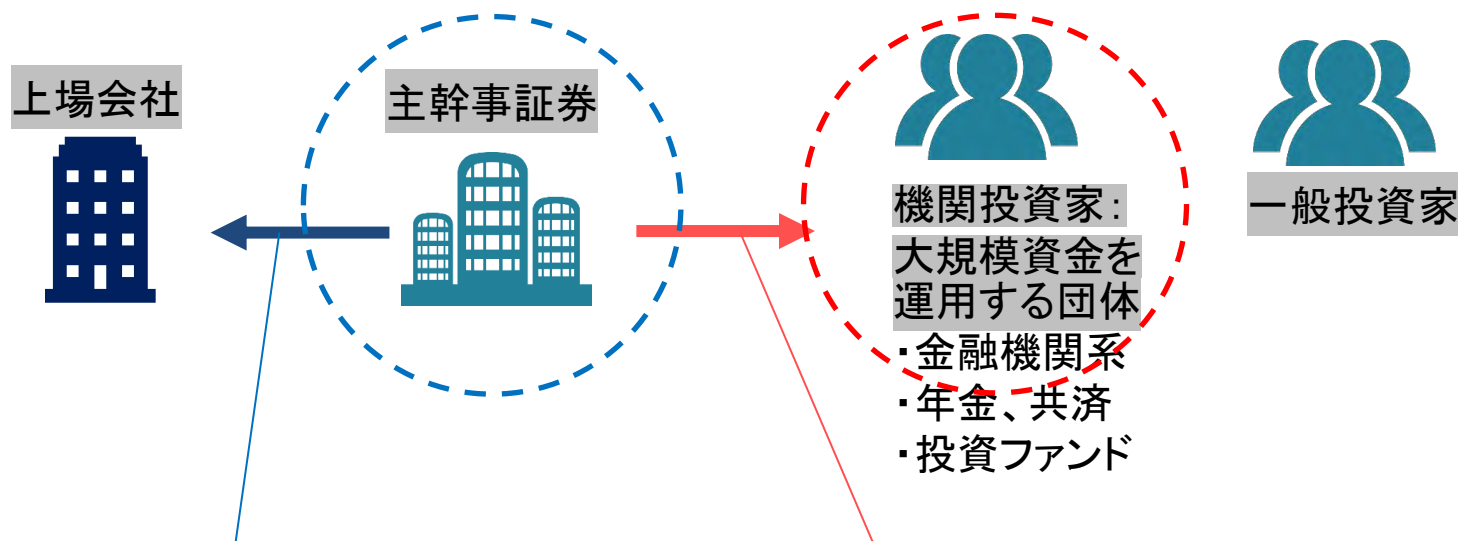
■ 【M&Aフェーズにおける課題】

- **M&Aでのexit価格低下**
 - VCからの投資を獲得するためには、IPOとM&Aの両exit戦略を制度的に確保する必要
 - IPO時時価総額が100億円に制限されることで、VCによる投資額も100億円未満に抑制され、開発資金の規模拡張が困難
 - 投資額100億未満で実施可能な研究開発でM&Aへ

時価総額100億円水準の画一化を生む制度的構造



IPOにおける価格形成メカニズムとその制度構造



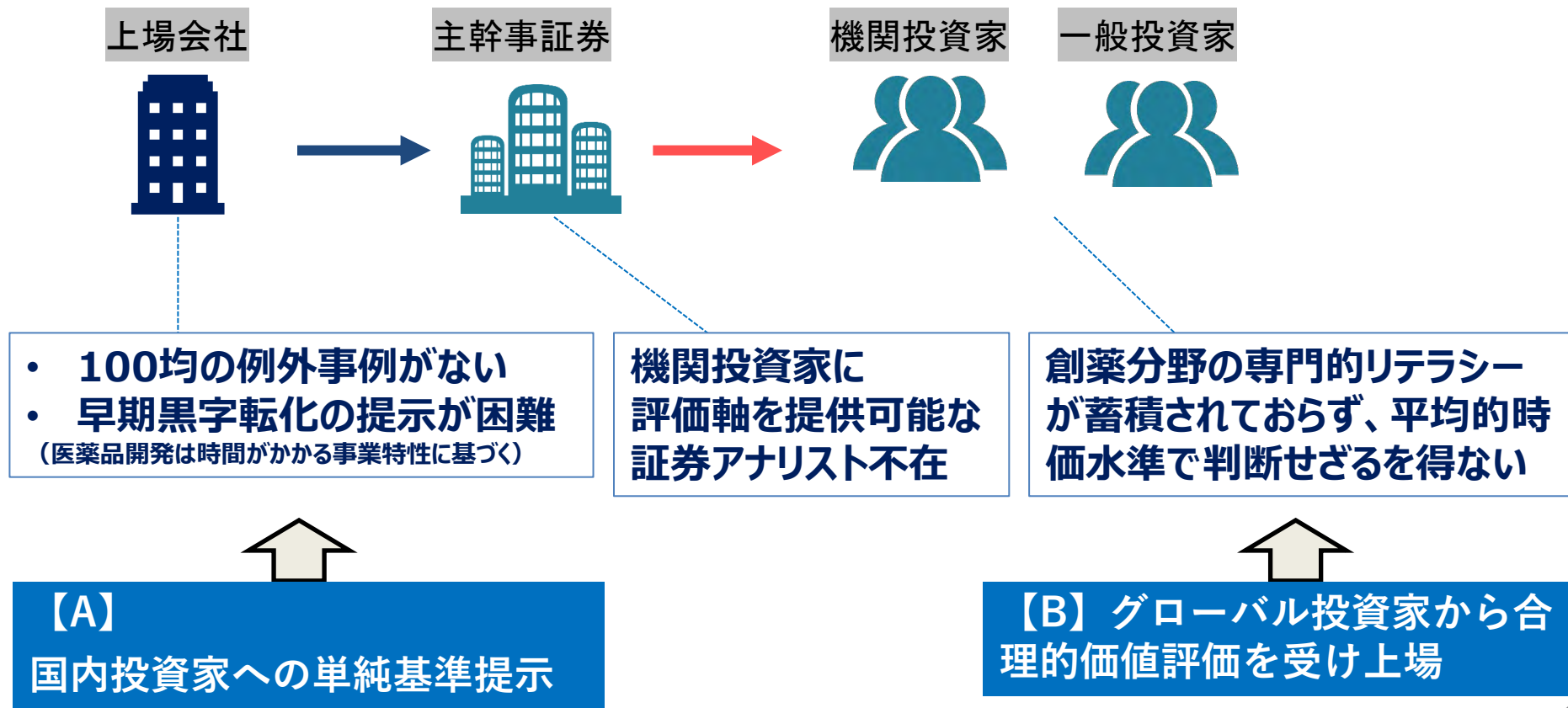
実務的にはDCF法やNPV等の定量評価が形式的に用いられるが、実際の決定は投資家の需要動向に基づく

証券会社の顧客である投資家利益保護を重要視
・ 国内機関投資家が買ってくれる時価総額、株価設定

証券会社は顧客である機関投資家の利害を重視し、購買意欲に応じた時価総額設定を行う

東証グロース市場に上場しているバイオスタートアップの時価総額平均値 100 億円

時価総額100億円水準への画一的固定化を招く制度的背景



【A】 国内機関投資家にとっての 明快な価値判断基準の提示とその限界

【単純明快な価値判断基準】

- = 早期黒字化の見込み
- = 第2相臨床試験におけるヒト有効性
- ➔ 上記達成までに100億以上が必要

【上場前を支えるベンチャーキャピタル】

- 国内ExitはIPOのみ、かつIPO時100億円
- 上記市場を想定して投資額は100億以下へ
- ➔ 100億未満の投資では単純明快な価値判断基準に到達できずIPO時100億円の壁に直面



上場後を見据えたクロスオーバー投資施策の策定

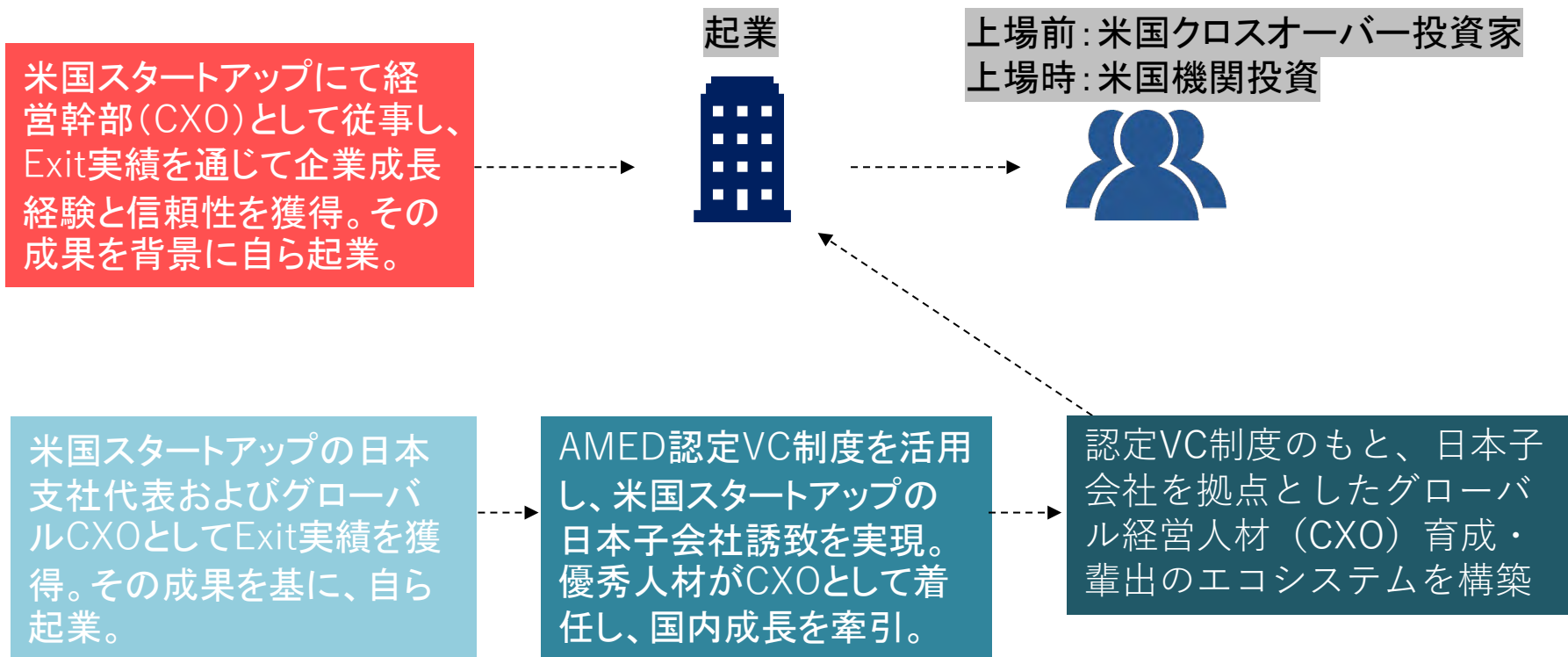
上場後を見据えて100億以上投資を検討するクロスオーバー投資を可能にする施策

(参考) 総合経済対策関係の主なスタートアップ支援施策 (補正予算約 1 兆円)

経済産業省
https://www.meti.go.jp/shingikai/sankoshin/shomu_ryutsu/bio/pdf/016_04_00.pdf

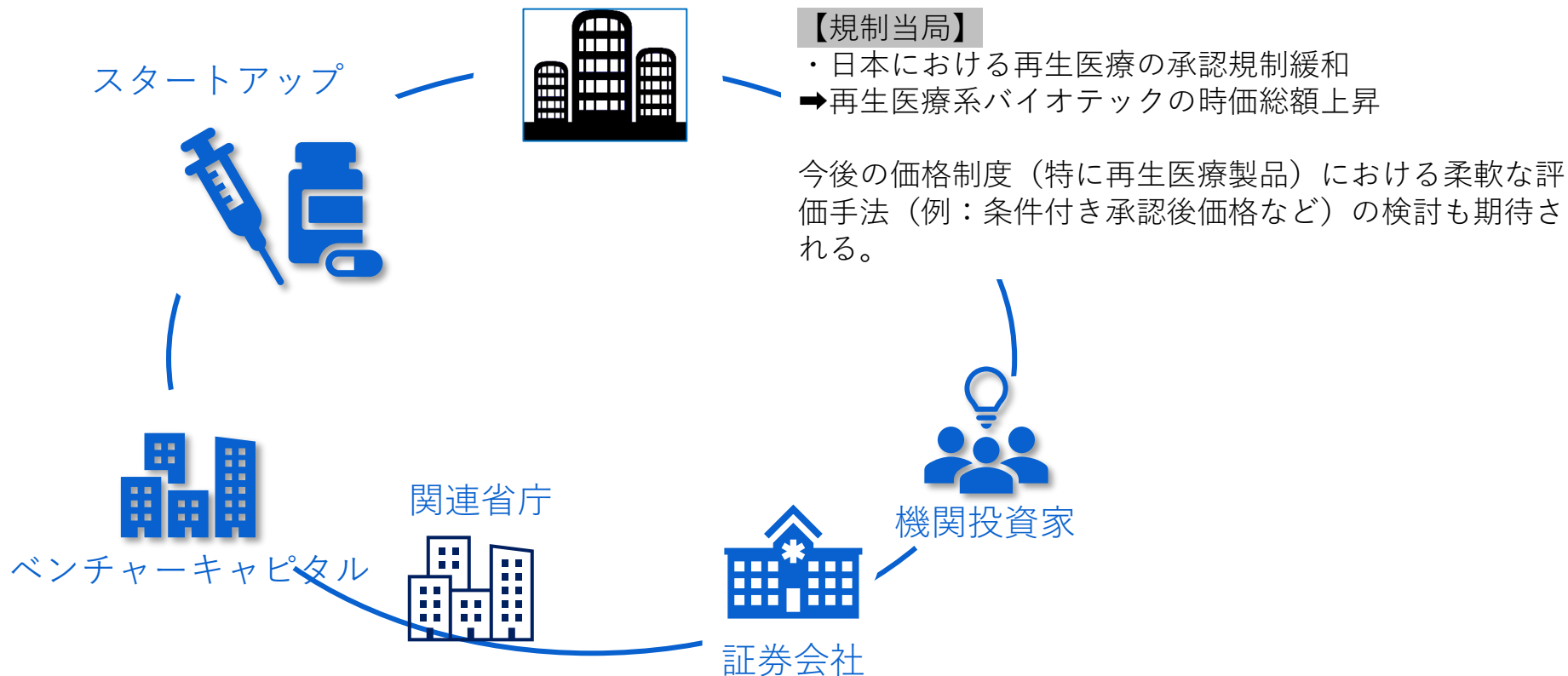


【B】 グローバル機関投資家から 評価される人材輩出と起業支援の仕組み

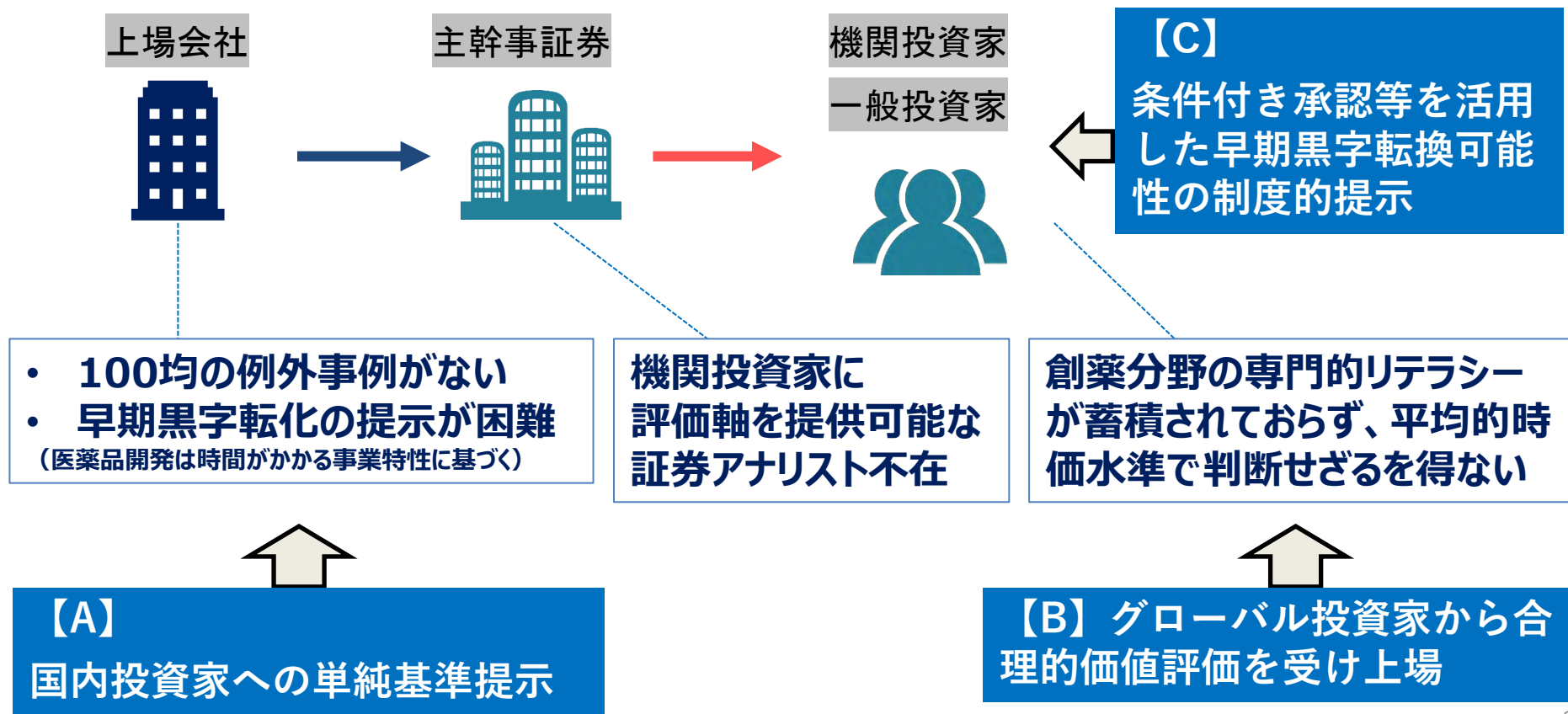


【追加アクションプラン】

規制改革による価値向上戦略



「時価総額100億円の壁」を乗り越えるためのアプローチ



レイトフェーズの制度課題と提案

■ 課題：長期投資家不在の解消に向けた制度改革と人材戦略

■ 短期的アクションプラン：クロスオーバー投資代替としてのAMED認定VC制度改革

1. クロスオーバー投資家の担い手としてのAMED認定VC制度の柔軟な運用・規制緩和

AMED認定VC制度の2点の変更の可能性

- ① IPO制約の緩和
- ② プロジェクトファイナンス型支援から企業支援型枠組みへの転換（複数採択も視野）

■ 中・長期的アクションプラン：グローバル評価人材の育成と起業支援

1. グローバル評価を受ける人材の育成・輩出

- ① グローバルスタートアップでのCXOでのExit経験を持つ人材を、AMED認定VC制度海外案件の最大活用により日本子会社の研究開発代表者（旧補助事業代表者）としてCXOレイヤーで登用する。Exit実績の蓄積を通じた信頼性の可視化を実施。
- ② 上記の研究開発代表者（旧補助事業代表者）としてCXOレイヤー人材について、医薬品開発経験のある製薬会社あるいはCRO/CDMOから中堅層人材の出向者を送り込むことで、グローバルでの開発実績を持つ起業家として育成する。

レイトーフェーズの制度課題と提案

- **課題：バイオスタートアップの時価総額100億円水準への固定化により、企業価値の最大化が阻害され、上場後の成長資金調達が困難に陥っている**

■ 短期的アクションプラン：東証グロース市場の上場基準見直し

1. 東証グロース市場への上場基準の見直し（1 POCおよび1 事業提携→1 POCのみに切り替え）

- パイプライン型の場合、現在の平均調達額で1POCまで開発可能な品目は1つと想定。その唯一のPOC達成品を上場前に事業提携してしまうと、
 - ・ パイプライン型企業が唯一のPOC取得品目を上場前に提携に使わざるを得ず、ライセンスアウトによる早期低バリュエーション化を強いられる
 - ・ 高価値の創出タイミングである第2相臨床試験完了直前での資本的成長機会が奪われ、上場後の時価総額維持が困難
 - ・ 2つ目のパイプライン創出に時間がかかることにより上場後の時価総額維持が困難になり、上場後の資金調達ができずに長期成長戦略が崩壊

■ 中期的長期的アクションプラン：薬価制度および承認規制緩和

1. 薬価算定基準のグローバル標準化

- 承認取得後の薬価がグローバル基準を下回るため、日本での臨床試験を実施するモチベーションが低下
- ドラッグラグロス克服するなら本項目のグローバル標準化が必要

2. 承認規制緩和による国内機関投資家の期待値の向上と時価総額の引き上げ

- 再生医療の条件及び期限付承認制度は、サンバイオ、Heartseed、クオリプス、ヘリオスの時価総額を見ると投資家の評価が高まっているように見える