



創薬基盤推進研究事業
産学官共同創薬技術活用プロジェクト（GAPFREE）
マッチングスキーム

企業ニーズ概要書集

国立研究開発法人日本医療研究開発機構
創薬戦略部 医薬品研究課

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要 について	新たな創薬モダリティとして核酸医薬は大変有望なものであるが、対象となる疾患（標的臓器）を拡大することが喫緊の課題となっている。核酸医薬と結合することでその薬物動態を制御できる有望なリガンドを見出すことができれば、核酸医薬の適用範囲は飛躍的に拡大し、現在、治療法が見出されていない疾病に対しても有効な治療薬が提供できる可能性が高い。 この研究開発領域は、世界的にも大いに注目されており、激しい国際競争の真っ只中にある。この競争に先んじるためにも、アカデミア単独、企業単独での研究開発ではなく、All Japan の産官学連携コンソーシアムにて研究を加速することが望まれる。
企業提供化合物 等を提供する場 合はその詳細 （開発を中止し た段階、作用機 序、物理科学的 性質、提供形態 など）	未定
アカデミアに希望 する創薬技術	・各種リガンド分子と核酸医薬とのコンジュゲート技術 ・<i>in vitro</i> での核酸医薬活性評価技術 ・<i>in vivo</i> での核酸医薬動態解析技術 ・その他核酸医薬開発に関する技術
自由記載	

2002

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要について	緑内障は視神経障害に伴う特徴的な視野狭窄を起こし、適切に治療されなければ失明に繋がる眼疾患である。これに対し現在、唯一有効とされている治療法は薬剤あるいは手術による眼圧下降である。一方、これら眼圧下降治療のみでは病態進行を完全に抑制することは困難であり、視神経を直接保護する治療が考えられている。しかしながら、現時点では開発に成功している視神経保護薬は存在しない。 緑内障性視神経障害には、眼圧以外に例えば酸化ストレス、炎症など複数の因子の関与が考えられており、その病態の発症及び進行メカニズムは極めて複雑である。患者ごとに原因を特定し、各患者あるいは患者層に適切な治療を提供することは有効なアプローチと考えられる。従って、視神経保護薬の開発には臨床データと生体サンプルの解析に基づく緑内障病態の発症/進行に関与する候補分子の同定からの薬剤候補の選定、ならびにバイオマーカー等を使用した治療効果が高いと推定される患者あるいはそれら患者層の特定が重要と考えられる。これらの遂行は企業単独では不可であり、アカデミアとのコラボレーションが必須である。
企業提供化合物等を提供する場合はその詳細（開発を中止した段階、作用機序、物理科学的性質、提供形態など）	現時点では化合物提供の予定はなし。
アカデミアに希望する創薬技術	視神経保護薬の開発に必要な基礎研究の技術および将来の臨床におけるコンセプト検証のための臨床試験/臨床薬理研究の基盤整備をアカデミアに希望する。具体的には次の 4 つである。 1. アカデミアが保有する緑内障患者の臨床データ（視野、眼底等）及び生体サンプル（血液、房水等）由来のデータの組み合わせ解析により、眼圧非依存的な緑内障性視神経障害の発症及び進行を抑制できる創薬ターゲット因子を同定すること。 2. 1.で特定された創薬ターゲット因子の生物学的な役割（機能、発現等）を推定すること。既存データによって推定が困難な場合には、主に緑内障患者由来の生体サンプルを活用、分析することで、それらを推測すること。 3. 1 及び 2 で得られた情報を基に、開発候補品（候補化合物あるいは化合物以外のモダリティ）に対して適切な <i>in vitro/in vivo</i> のフェノタイプスクリーニングを実施し、さらにリード化合物の合成展開、あるいは化合物以外の様々なモダリティに応用可能な情報の獲得を行うこと。あるいは、既存薬のリポジショニングから候補化合物を特定すること。 4. 開発候補品のヒトにおけるコンセプト検証のため、薬効が期待される患者層の特定を可能にする情報/技術を有すること。更に、企業における開発候補品が特定された後の臨床試

	験、あるいは臨床薬理試験の実施のための基盤整備を行うこと。
自由記載	上記に示す通り、まずは緑内障病態に関する因子の特定を臨床データ及びヒト生体サンプルを用いた解析から行い、サプリメントを含む視神経保護治療の薬剤ターゲットを特定することが目的である。開発候補品が特定された後は、企業では薬剤開発プロセスに移行すると共に、アカデミアでは主に患者の層別化を精度良く、且つ効率的に実施できる基盤整備を行うことを目標とする。これらの研究開発によって、緑内障による QOL の低下を抑制すべく、病態の進行を抑制するのみならず、発症の予防にも繋げたい。

2003

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要 について	低分子創薬の効率化（期間短縮、コスト削減、成功確率向上等）
企業提供化合物 等を提供する場 合はその詳細 （開発を中止し た段階、作用機 序、物理科学的 性質、提供形態 など）	必要になった時点で両者協議のうえで最適な化合物の提供を検討
アカデミアに希望 する創薬技術	低分子創薬の効率化（期間短縮、コスト削減、成功確率向上等）を達成できる高度な AI, <i>In silico</i> プラットフォーム技術
自由記載	

2004

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要について	近年、核酸医薬品は次世代の創薬モダリティとして疾患治療に貢献する可能性が示されつつある。一方で適応疾患が肝臓に起因する疾患や局所投与が可能な特定の臓器の疾患に限られている。現時点では、種々の臓器への適用が難しいことが核酸医薬品の課題と考えられる。肝臓以外の臓器へ送達可能な DDS 技術の発見・創出により上記の問題を克服し、現在対処できない疾患に新たな治療薬を提供できる可能性が期待される。近年、核酸医薬品に対する DDS 技術の探索研究において世界的にも熾烈な競争が認められ、核酸医薬の分野では現在最も注目されている研究領域となっている。そのため、各要素技術を保有する日本の技術力を集約することが、この分野での世界をリードするために必須であり、日本のアカデミアの技術力の高さが発揮できる分野であると信じている。
企業提供化合物等を提供する場合はその詳細（開発を中止した段階、作用機序、物理科学的性質、提供形態など）	未定
アカデミアに希望する創薬技術	・世界をリードする新たなデリバリー技術を創出するために、日本のアカデミアが有する優れた技術を幅広く募集したい。 ・肝臓以外の標的臓器に対して新たな DDS 手法を開発できる要素技術 ・核酸医薬関連の新たな合成技術や細胞内取り込みや薬物動態などの各種評価技術
自由記載	

2005

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要について	近年においても、疾患の原因となる標的を同定できたにも関わらずその標的タンパク質に対する薬剤を創製できないケースは多いという現状がある。この問題を解決するために、従来のタンパク質の機能を阻害する創薬技術から、生体の生命現象であるタンパク質分解を利用するケミカルノックダウンの技術が注目されている。従来の手法では創薬が困難であったアンドラッグブルな標的タンパク質であっても、これらの技術によって分解することが可能であると考えられるため、現在は対処できない疾患に新たな治療薬を提供できる可能性が期待される。
企業提供化合物等を提供する場合はその詳細（開発を中止した段階、作用機序、物理科学的性質、提供形態など）	未定
アカデミアに希望する創薬技術	既存の技術では創薬が困難であったアンドラッグブルな標的タンパク質を分解できる確度の高い（実証できている）新規技術：研究期間は開始から 1 年以内を希望
自由記載	

2006

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要 について	昨今、遺伝子治療は注目を集めているものの、組織指向性、発現効率が充分でないことや、発現を調節できないこと、ウイルスに起因する免疫原性・炎症反応等による課題も依然として残っている。そこで、組織特異的な遺伝子送達を可能にする技術をはじめ、発現効率を向上させることによる低用量化を可能とする技術、または発現調節が可能な技術、免疫原性を回避できる技術が確立できれば安全性面のリスクを軽減できると考えられ、現在は対処できない疾患に新たな治療薬を提供できる可能性が期待される。
企業提供化合物 等を提供する場 合はその詳細 (開発を中止し た段階、作用機 序、物理科学的 性質、提供形態 など)	
アカデミアに希望 する創薬技術	『組織特異的遺伝子送達・発現技術』 より具体的には筋又は中枢への高い送達性、発現効率の向上や発現調節が可能な技術や、免疫原性の回避可能な技術（viral, non-viral 含む）。 研究期間は開始から 1 年以内を希望。
自由記載	

2007

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要について	がん治療においては近年、CTLA4 抗体、PD-1 抗体を含む新規がん免疫療法が一部のがん患者で高い効果を示すこと、当該研究のノーベル賞受賞により大きな脚光を浴びている。しかしながら、がん免疫療法に応答しない患者や、応答後に耐性を獲得する患者が相当数存在することから依然としてアンメットメディカルニーズの高い疾患である。本公募では、がんの物理的破壊を可能とする革新的技術を有するアカデミアと共同し、がん免疫療法が効果を示さない患者にも高い効果が期待できる、革新的創薬研究に関する協業を提案させていただく。 既に X-PDT や PIT といった光線力学的療法が開発、応用されているが、本公募ではさらに高い効果、がん特異性と、局所だけではなく全身性のがんに対しても作用する可能性のある技術を求めるものである。
企業提供化合物等を提供する場合はその詳細（開発を中止した段階、作用機序、物理科学的性質、提供形態など）	未定（必要に応じて提供）
アカデミアに希望する創薬技術	上記企業ニーズを満たす技術
自由記載	

2008

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要について	細胞老化とは細胞が分裂を停止し、増殖できなくなった状態が不可逆的に引き起こされることであるが、近年、老化細胞は実際に老化関連表現型の原因となり、老化細胞の排除によって老化に関連した組織機能異常を防止したり、あるいは発生を遅らせたりできる可能性が示されている。一方で、細胞の老化状態を明確に定義できるようなバイオマーカーはないため、創薬研究の難しさの一因となっている。そのため、細胞老化を明確に定義できるバイオマーカーを探索可能な新規技術により老化細胞のバイオマーカーを特定することで、細胞老化の創薬研究を加速し、現在は対処できない疾患に対する新たな治療薬の提供につながる可能性が期待される。
企業提供化合物等を提供する場合はその詳細（開発を中止した段階、作用機序、物理科学的性質、提供形態など）	未定
アカデミアに希望する創薬技術	老化細胞バイオマーカーを探索可能な新規技術。研究期間は 3 年以内を希望。
自由記載	

企業ニーズ概要書【本文】

企業ニーズ概要について	パーキンソン病などの神経変性疾患に対する薬剤開発において、特定の分子ターゲットへの活性や特定のリードアウトに基づく表現型スクリーニングを指標に開発された薬剤が、実際にどのような遺伝背景をもつ患者層に有効であるかを治験開始前に実験的に検証 (Clinical Trial in a Dish) できれば、開発成功確率の向上、コンパニオン診断薬の早期開発、Precision Medicine の加速に繋がると期待されます。一方、動物モデルで薬剤効果を予測するのが困難な神経性疾患では患者由来の iPS 細胞が強力なツールとなると考えられます。そこで、大学において家族性あるいは孤発性の患者から均一な手法で樹立された iPS 細胞を用い、ゲノム解析などさまざまな手法で層別化した後に患者細胞パネルとして構築し、企業が持つ候補薬剤を治験開始前に試験することで、薬剤応答性が顕著な患者層を特定できる事を検証したいと考えています。
企業提供化合物等を提供する場合はその詳細 (開発を中止した段階、作用機序、物理科学的性質、提供形態など)	● 作用機序がアノテーションされた化合物ライブラリ (溶液または粉末) ● 市販既存薬のライブラリ (溶液)
アカデミアに希望する創薬技術	必須 ● 匿名化された患者情報 (臨床経過、MIBG 心筋シンチなど)、ゲノム情報または解析用サンプル等が紐付いたパーキンソン病患者の iPS 細胞パネル (数十～数百種) その他 ● 高品質な iPS 細胞を作成する技術および QC の方法 ● 安定的に神経細胞へ分化誘導する技術 ● 企業が保有する候補化合物の効果を網羅的に解析できる技術 ● バイオマーカー探索につながるような中間表現型を解析できる技術
自由記載	臨床データと紐付いた大規模な iPS 細胞パネルを作成すると同時に、本研究のような Clinical trial in a Dish の実用例を我が国において世界に先駆けて取得・蓄積していくことで、複数の企業が利用できる国際的な競争力の基盤となる研究資源・情報の構築を目指します。患者を中心とし、アカデミアと複数の企業が一体となって Pre-competitive にプロジェクトを進めていける体制となることを希望いたします。