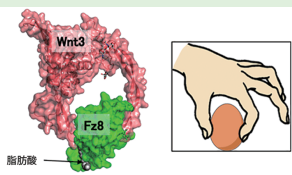


基礎研究
理論・知識の探求多くの病気に関与する
「Wntタンパク質」の立体構造を
解明

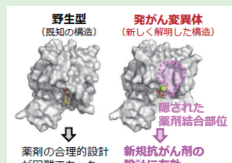
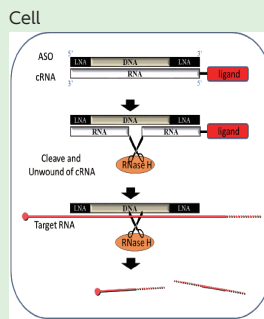
大阪大学 高木淳一 教授

細胞を制御する分泌タンパク質Wntの、ほ乳類由来のものについて、受容体との複合体の状態で結晶化し、立体構造を解明しました。Wntシグナル経路のメカニズム解明を前進させ、細胞の異常増殖など病気の原因究明等が期待されます。

革新的中分子創薬技術の開発/
中分子シミュレーション技術の
開発

東京大学 嶋田一夫 教授

核磁気共鳴(NMR)法を用いて発がん性Rac1変異体を解析したところ、既知のRac1立体構造には存在しない隠された薬剤結合部位(クリプトサイト)の存在が明らかとなり、新規抗がん剤の設計に有効な指針が得られました。

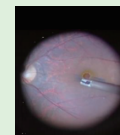
第3世代ヘテロ核酸
の開発東京医科歯科大学
横田隆徳 教授ヘテロ核酸の構造と
細胞内遺伝子抑制メカニズム応用研究
実用化に向けた研究

低用量で有効な第3の核酸医薬品として、DNA/RNA2本鎖ヘテロ核酸を創製していましたが、新たに肝毒性を軽減し、肝臓以外の臓器へ移行させる技術を獲得し、末梢投与した新規ヘテロ核酸が脳へ移行して作用することを確認し特許出願しました。

開発研究
実証染色性の高い色素BBG250
(BrilliantBlue G-250)を主成分と
した眼科手術補助剤の開発

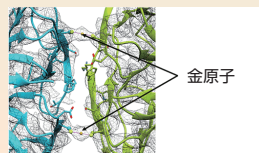
九州大学 石橋達朗 理事・副学長

安全性の高い眼科手術につながる、硝子体手術での網膜内境界膜の可視化や、白内障手術での水晶体前囊の可視化について、臨床効果と安全性の第Ⅲ相多施設共同医師主導治験を完了し、2020年中に製造販売承認申請が予定されています。

タンパク質から変形立方体ケージ
(網かご状構造)を作製

筑波大学 岩崎憲治 教授

11量体のタンパク質「TRAP」に変異を入れ、金原子をホッチキスにして留めることで、熱や変性剤に強く、還元剤で分解可能なケージの作製に成功。クライオ電顕による単粒子構造解析により、変形立方体構造を解明しました。薬剤輸送などに適したケージの開発に繋がります。

ヒトの薬物代謝酵素の遺伝子
群を導入した「ヒト型ラット」の
作製に成功

鳥取大学 香月康宏 准教授

人工染色体技術を用いて、これまで不可能だったヒトCYP3Aクラスター、ヒトUGT2クラスターのラットへの導入に成功しました。ヒトに対する薬物動態・安全性予測精度の向上等が期待されます。

マイクロ波利用糖
ペプチド合成装置
の開発産総研 清水弘樹 先生/
東京理化器械

反応温度を低温に維持しながらマイクロ波照射することで、糖の脱離などの副反応を抑えつつもペプチド合成固相反応を促進し、さらに必要試薬量の低減が可能となる「糖ペプチド合成装置」を開発・作製しました。

創薬ブースターの企業への
導出

国立がん研究センター 上園保仁 先生

創薬ブースターの支援を受け、新たに見出されたがん治療により生じる難治性口内炎の疼痛緩和薬に関して、国立がん研究センターとマルホ株式会社はライセンス及び共同研究契約を締結しました。

これを含め、創薬ブースターにより導出に至った件数は8件です(2019年6月末)。

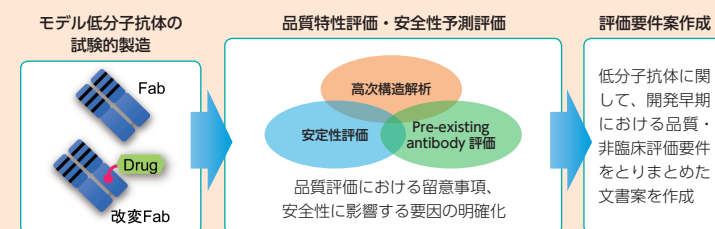
医療系データの活用
(クリニカルイノベーションネットワーク)

疾患登録システム(患者レジストリ)は、患者の把握や臨床研究・治験へのエントリー、治験の自然対照群、市販後安全対策等、様々な目的と用途で医薬品等の研究開発に寄与することが期待されています。国内に存在するレジストリ情報を収集し治験・臨床研究等のコーディネートを行うなどのワンストップサービスの実現に向けた拠点として、2017年度より国

立国際医療研究センターの支援を開始しました。同センターでは患者レジストリに関する検索システムを構築し本年度より一般公開しています。2018年度にはこれらの患者レジストリ情報も活用したマッチングを実施、企業ニーズを踏まえた産学協同の課題を採択し研究開発の立ち上げを支援しています。

研究開発の実用化を支える
仕組みの整備
(レギュラトリーサイエンス)

革新的な治療製品等の評価基盤の構築を支援しています。例として、新規モダリティの一つである低分子抗体医薬品に関し、品質・安全性予測評価手法を開発しモデル低分子抗体の評価を行うとともに、得られた知見等に基づき、開発早期に資する品質・非臨床評価要件をまとめた文書案を作成しました。



胡桃坂 仁志 先生

東京大学 定量生命科学研究所 教授

ヌクレオソーム中でヒストンに巻きついたDNAがRNAに転写されるメカニズムは長い間分かっておりませんでした。我々は、遺伝子の読み取り装置であるRNAポリメラーゼⅡが、ヒストンタンパク質によって折りたたまれた染色体構造中のDNAを段階的に引き剥がしながら読み取る姿(構造)を明らかにしました。これは理化学研究所とのBINDS事業内共同研究で、X線結晶解析法やNMR法など、従来のタンパク質の構造解析法では明らかにできなかった、クライオ電子顕微鏡の活用によって得られた成果と考えています。

今後、この技術を応用し、DNAの転写異常に関する探索を進め、がんや精神・神経疾患などの原因究明や治療法開発につながる創薬ターゲット研究に力を注いでいきたいと思っています。

創薬研究の推進には、事業内外の連携や様々な最先端技術基盤における人材育成と研究者の連携による創薬支援体制の発展と維持が重要です。引き続きAMEDがその役割を担っていただくことに期待しています。



川口 寧 先生

東京大学 医科学研究所 教授

単純ヘルペスウイルスはヒトに多様な疾患を引き起こし、アンメットメディカルニーズが高い医学上重要な感染症です。我々は、長年に渡る独自の基礎研究を基軸とし、未だ上市されたことが無いワクチンの開発に挑んでいます。創薬ブースターでは、製薬企業等出身のコーディネーターによる、産業界の要求水準を踏まえ、かつ、基礎研究者とは異なる目線でのアドバイスが印象的でした。また、アカデミア研究者には敷居が高い開発研究成果の企業導出では、我々の意見を勘案していただきながら、企業の探索から交渉まで行っていたいただきました。今後、創薬ブースターが益々機能・進化するによって、日本の優れた基礎研究シーズが創薬に結実するだけでなく、弱体化が危ぶまれている日本の基礎研究に新たな正のスパイラルが提供されることを切に願っています。