



導出先候補企業募集要領

DNW-17015

令和2年2月17日

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

創薬戦略部創薬企画・評価課

国立研究開発法人日本医療研究開発機構創薬戦略部創薬企画・評価課（以下「創薬企画・評価課」という。）は、国内の大学や公的研究機関等（以下「大学等」という。）で生み出された研究成果の実用化を加速することを目的として、これらの研究成果のうち、国立研究開発法人日本医療研究開発機構創薬戦略部（以下「創薬戦略部」という。）が医薬品としての実用化の可能性が高いと判断した創薬シーズに対し、創薬のための研究戦略の策定、技術支援、知財管理の実施、企業導出に関する助言など、実用化を目指したシームレスな支援を行う創薬支援推進事業－創薬総合支援事業（創薬ブースター）－を実施しています。

今般、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）は創薬戦略部が実施する創薬支援推進事業－創薬総合支援事業（創薬ブースター）－による支援テーマ「GM1-ガングリオシドーシス脳病態に有効な新規低分子シャペロン治療薬の探索（課題番号：DNW-17015）」（以下「DNW-17015」という。）を導出テーマとすることとしました。導入後に国内上市を遅滞なく確実に実施することを前提に、医薬品として研究開発する目的で本テーマの導入を希望する製薬企業等を募集の上、最終的に導出先候補企業を選定します。

DNW-17015 は、別途公表している「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な考え方」（以下「基本的考え方」という。）に記載のとおり、支援テーマの主任研究者（Principal Investigator）（以下「PI」という。）が製薬企業等と共同研究を開始することも含め、導出先候補企業を選定します。

◆「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な考え方」

URL：<https://www.amed.go.jp/content/000006800.pdf>

1. 目的

医薬品として研究開発する目的で DNW-17015 の導入（PI との共同研究を含む）を希望する製薬企業等を広く募集の上、最終的に導出先候補企業を選定します。

2. 募集・選定の概略と募集期間

導出先候補企業の募集・選定は次の5ステップからなっています。

ステップ1. 導入検討希望企業(DNW-17015)に関する詳細情報の提供を希望する企業)の募集:

令和2年2月17日(月)～令和2年3月2日(月)正午

ステップ2. 導入検討希望企業(DNW-17015)に関するコンフィデンシャル資料の提供を希望する企業)の募集:

令和2年2月25日(火)～令和2年3月9日(月)正午

ステップ3. 導入希望企業(ステップ2におけるコンフィデンシャル資料の評価後、導入を希望する企業)の募集:

令和2年2月25日(火)～令和2年4月6日(月)正午

ステップ4. 導出先候補企業(導入交渉を開始する企業)の選定:

令和2年5月中旬頃までを予定

ステップ5. 導出先企業の決定:

令和2年7月下旬頃までに導出交渉及び導出に関する契約の締結を行い「導出先企業」を決定する

3. 応募資格

応募にあたっては、次の(1)～(3)の全ての要件を満たすことが必要です。

- (1) DNW-17015 に関し、医薬品として研究開発する目的であること。
- (2) 医薬品の研究開発についての十分な知識、経験等を有していること。
- (3) 基本的考え方及び本募集要領を十分に理解していること。

4. 導出先候補企業募集・選定までの手続きの流れ

(1) ステップ1. 導入検討希望企業(DNW-17015)に関する詳細情報の提供を希望する企業)の募集:

DNW-17015 に関する詳細情報の提供を希望する製薬企業等は、「(別紙1) 詳細情報提供申込書」に記入の上、電子メール等にて AMED 創薬戦略部創薬企画・評価課宛(「6. 問合せ先」参照)に提出してください。(提出期限: 令和2年3月2日(月)正午)

提出された内容を確認した後に、速やかに詳細情報をお送りします。

(2) ステップ2. 導入検討希望企業(コンフィデンシャル資料の提供を希望する企業)の募集:

ステップ1において詳細情報を評価した結果、導入検討のためにコンフィデンシャル資料を求める場合は、AMED との秘密保持契約の内容に同意いただく必要があります。導入を希望する製薬企業等は AMED が準備する秘密保持契約書案を送付しま

すので、電子メール等にて「6. 問合わせ先」に連絡してください。

秘密保持契約の内容に同意された後に、「(別紙2) コンフィデンシャル資料提供申込書」及び「(別紙3) コンフィデンシャル資料提供申込書に係る研究開発計画書」に記入の上、医薬品の研究開発について十分な知識、経験を有していること等が分かる資料(会社概要等)を添えて、電子メール等にてAMED 創薬戦略部創薬企画・評価課宛(「6. 問合わせ先」参照)に提出してください。(提出期限:令和2年3月9日(月)正午)

創薬戦略部において提出資料を確認しコンフィデンシャル情報の開示を決定した際には、導入検討希望企業とAMED との間で秘密保持契約を締結した後、コンフィデンシャル資料を提供します。

なお、応募多数の場合等は、基本的考え方4(4)の規定に基づき、コンフィデンシャル資料を提供する製薬企業等を限定する場合があります。

(3) ステップ3. 導入希望企業(コンフィデンシャル資料の評価後、導入を希望する企業)の募集:

ステップ2においてコンフィデンシャル情報を評価した結果、DNW-17015の導入を希望する場合は、「(別紙4) 導入交渉希望申込書」及び「(別紙5) 研究開発計画書」を電子メール等にてAMED 創薬戦略部創薬企画・評価課宛(「6. 問合わせ先」参照)に提出してください。(提出期限:令和2年4月6日(月)正午)

(4) ステップ4. 導出先候補企業(導入交渉を開始する企業)の選定:

導入希望企業が複数ある場合、基本的考え方6(1)の規定に基づき、上記(3)で提出された資料を創薬戦略部が総合的に評価した上で導出先候補企業を選定します。なお、導出先候補企業の選定にあたってはヒアリングを実施する場合があります。その場合は令和2年4月15日(水)午後実施する予定です。

(5) ステップ5. 導出交渉と導出に関する契約の締結:

導出交渉は、ステップ4において導出先候補企業を決定次第開始します。

契約の締結は、原則として、AMED、PIの所属機関及び導出先候補企業との間で行います。なお、契約締結後に必要な手続き等を行った上で、DNW-17015の創薬支援推進事業-創薬総合支援事業(創薬ブースター)-の支援は終了します。

5. 提出方法に関する留意事項

- (1) 申請書類を郵送により提出する場合は、簡易書留等により、提出期限までに到着するよう余裕をもって、郵送してください。
- (2) 提出に関する留意事項は次のとおりです。
 - ① 郵送により提出する場合は、申請書類を封入した封書等の表に、朱書きにて、『DNW-17015 申込書』と記載してください。
 - ② 申請書類の提出における事故等については、AMEDは一切の責任を負いません。

- ③ 電子メールにより提出する場合、本文及び添付ファイルの合計は 13MB 以下としてください。なお、送信の際にはセキュリティ管理を適切に実施いただきますようお願いいたします。
- ④ 提出期限を過ぎてからの提出は受け付けることができません。なお、やむを得ず持参する場合にはAMED 創薬戦略部創薬企画・評価課宛（「6. 問合せ先」参照）に事前に電話連絡をお願いいたします。
- ⑤ 提出された申請書類を修正することはできませんので、記載内容を十分にご確認の上、提出してください。
- ⑥ 提出書類については、DNW-17015 の導出活動以外の目的で利用しません。

6. 問合せ先

本募集要領の内容、応募の手続き等に関する問合せについて

(1) 問合せ先

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 創薬戦略部 創薬企画・評価課 導出担当
〒103-0022 東京都中央区日本橋室町1-5-5 室町ちばぎん三井ビル8F
電話：03-3516-6181 FAX：03-3516-6182
E-mail：id3desk@amed.go.jp

(2) 受付時間

平日 午前10時～12時、午後1時～5時

注) 選定状況、選定結果及びその理由に関する問合せには一切回答できません。

7. その他

導出対象の製薬企業等が、暴力団（暴力団員による不当な行為の防止等に関する法律（平成3年法律第77号）第2条第2号に規定する暴力団をいう。）又は代表者若しくは役員が暴力団員（暴力団員による不当な行為の防止等に関する法律（平成3年法律第77号）第2条第6号に規定する暴力団員をいう。）である団体又は暴力団若しくは暴力団員と密接な関係を有する団体に該当する場合には導出対象から除外します。

また、申請後発覚した場合でも同様とします。

(別添)

DNW-17015 の概要

課題番号 : DNW-17015

課題名 : GM1-ガングリオシドーシス脳病態に有効な新規低分子シャペロン治療薬の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

檜垣 克美 (国立大学法人鳥取大学研究推進機構)

課題番号 DNW-17015 では、GM1-ガングリオシドーシスの原因酵素である変異型 β -ガラクトシダーゼを標的として、その活性を上昇させる低分子シャペロン化合物の創製に取り組んでいる。

- 創薬コンセプト :

GM1-ガングリオシドーシスの患者では、ライソゾーム酵素の β -ガラクトシダーゼに変異がみられ、折りたたみ構造の異常により小胞体で合成後速やかに分解されるため、酵素活性が著しく低下又は消失する。その結果 GM1-ガングリオシドが全身に蓄積し、進行性の中樞神経症状により GM1-ガングリオシドーシスが発症する。

変異型酵素に対して、基質類似構造を有するシャペロン化合物を結合させ、構造異常を補正し、小胞体での分解を逃れ、ライソゾームへの輸送を促進することで酵素活性を上昇させる。これにより、ガングリオシドの蓄積を抑制し、中樞神経症状の改善を目指す。

- ターゲットプロダクトプロファイル :

GM1-ガングリオシドーシス脳病態に対して効果を示す経口剤 (低分子シャペロン化合物)

- 創薬コンセプトの妥当性を支持するエビデンス :

以下のことが PI らにより報告されている。

- 1) 変異型 β -ガラクトシダーゼに対する低分子シャペロン化合物である NOEV を見出し、*in vivo* で標的酵素の活性上昇効果と、基質蓄積抑制効果を示すことを明らかにしている。
- 2) NOEV と比較して、標的酵素に対する阻害活性が低く、酵素活性上昇作用が同等以上の化合物を創出している。
- 3) *in vitro* 及び *in vivo* における独自の薬効評価系を開発している。

創薬ブースターにおいて以下の試験を実施した。

PI が保有する複数の化合物について *in vitro* 及び *in vivo* 薬理試験並びに *in vitro* 及び *in vivo* 薬物動態試験を実施した。

- 創薬に向けたアプローチ：
 - 1) *in vitro* 薬理活性、*in vitro* 及び *in vivo* 薬物動態プロファイルから最も薬効が期待できる化合物を選定した。
 - 2) *in vivo* 薬効試験において、標的組織の酵素活性上昇及び GM1-ガングリオシドの蓄積抑制効果などを評価し、POC を確認した。

- 関連特許：
 - ・「糖脂質代謝異常処置剤」 登録番号：特許第 6422018 号
 - ・「グリコシダーゼを阻害するコンデュラミン F-4 誘導体、酸付加塩およびそれらの製造方法」 登録番号：特許第 5848183 号