

CiCLE

Cyclic Innovation for Clinical Empowerment

医療研究開発革新基盤創成事業



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

次世代型の医療イノベーション基盤の構築、 および新たな医薬品、医療機器、再生医療等製品、 医療技術等の実現を目指します。

はじめに

医療分野の研究開発の推進並びにその環境整備を目的とした「医療研究開発革新基盤創成事業（**CiCLE**:Cyclic Innovation for Clinical Empowerment、“サイクル”）」は、産学官連携により我が国の力を結集し、医療現場ニーズに的確に対応する研究開発の実施や、医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術等の実用化の加速化等が抜本的に革新される基盤（人材を含む）形成を目指します。

国からAMEDへ措置された平成28年度第2次補正予算、平成29年度補正予算、平成30年度第2次補正予算、令和2年度第1次補正予算及び令和2年度第3次補正予算の出資金を活用することにより、第6回公募までに62件の課題を採択し、研究開発等を実施しています。

事業の概要

本事業では、

- ① リバーストランスレーショナルリサーチ（rTR）[※]基盤の形成・強化
- ② 医療分野のオープンイノベーション基盤の形成・強化
- ③ 産学連携で実施する医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術などの幅広い医療分野の研究から実用化に向けた開発を推進していきます。

また、スタートアップ型ベンチャー企業を対象に、出口戦略を持った環境整備／研究開発を支援する「スタートアップ型（**ViCLE**:Venture Innovation for Clinical Empowerment、“ヴィークル”）」を設定しています。

※リーバーストランスレーショナルリサーチ（rTR）：

基礎研究で得られた知見・情報を臨床および臨床研究に結びつけるとともに、臨床及び臨床研究で得られた知見・情報を基礎研究にフィードバックする研究。

◆ 長期間、大規模支援で人材育成も可能に

本事業では長期間かつ大規模な環境整備／研究開発が可能です。AMEDが採択課題の代表機関と複数年度(最長10年)の契約をすることにより、年度の切れ目なく支援(最大100億円／課題)します。これにより基礎的な研究段階から治験等を含む実用化開発の段階までの幅広い案件に対応します。また、長期間で大きな金額が使えるメリットにより、環境整備／研究開発にとどまらず、代表機関と連携する分担機関を含めて長期の人材育成にも役立てることができます。

さらに、設定した開発目標を達成した場合は委託費の全額を返済してもらう一方、未達成となった場合は委託費の一部の返済を免除します。このように環境整備／研究開発における開発リスクをAMEDが分担することにより、事業化を推進します。

◆ スタートアップ型(ViCLE)

技術やビジネスモデルに新規性・革新性があり、短期間に成長してIPO(株式上場)や導出(技術売却)M&A(事業売却、企業売却)等の出口戦略を持つスタートアップ型のベンチャー企業を対象に「スタートアップ型(ViCLE)」を設定しています。ViCLEでは、スタートアップ型のベンチャー企業が産学連携、産産連携の下に行う医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術等の実用化に向けた短期的な研究開発や環境整備を支援します。期間は最長5年、1課題当たりの金額は5,000万～10億円です。

Contents

2	はじめに
4	医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)の背景・概要・実施スキーム
8	CiCLEの採択状況
12	CiCLEの採択課題
14	CiCLEの成果
17	CiCLEに採択された代表機関の声

医療研究開発革新基盤創成事業 (CiCLE) の背景・概要・実施スキーム

背景・予算

背景

平成28年度、民需主導の持続的な経済成長と一億総活躍社会の着実な実現につながる施策として、「未来への投資を実現する経済対策」(平成28年8月2日閣議決定)を決定し、補正予算を措置しました。

これを受けて、AMEDでは、産学官連携により、我が国の力を結集し、医療現場ニーズに的確に対応する研究開発の実施や創薬等の実用化の加速化等が抜本的に革新される基盤(人材を含む)の形成、医療研究開発分野でのオープンイノベーション・ベンチャー育成が強力に促進される環境の創出を推進することを目的として、平成28年度より医療研究開発革新基盤創成事業 (CiCLE) を実施することとしました。

その後、「新しい経済政策パッケージ」(平成29年12月

8日閣議決定)を実現するための平成29年度1次補正予算をはじめ平成30年度、令和2年度に措置された補正予算を財源として、本事業ではこれまで毎年新規課題の公募・採択を行い、支援を実施しています。

予算

平成28年度2次補正	550億円
平成29年度1次補正	300億円
平成30年度2次補正	250億円
令和2年度1次補正	200億円
令和2年度3次補正	180億円
合計	1,480億円

事業の概要

本事業では、従来、基礎研究から臨床研究へという流れで行われてきた研究(トランスレーショナルリサーチ)の成果が幅広い分野で多様に得られつつある一方、ICT等の飛躍的発達やデータシェアリングの重要性の浸透等によりその実現性・有効性が高まりつつある「リバーストランスレーショナルリサーチ」(以下、「rTR」)の推進を重要な柱のひとつとします。そのため産学連携・産産連携の体制の

下、次世代のrTRを可能とする基盤の構築を支援します。

複数企業による非競争領域に対する協働、若しくは、企業・病院・大学等の協働の下で実施する「医療分野のオープンイノベーション基盤の形成・強化」や、産学連携の下で実施する医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術等の幅広い医療分野の研究から実用化に向けた開発を本事業の対象として支援します。

支援内容

リバーストランスレーショナルリサーチ基盤の形成・強化

- 産学官連携
- ヒト臨床データの活用
- バイオバンク、先端ICTの活用
- 人材育成 など

医療分野のオープンイノベーション基盤の形成・強化

- 複数企業による非競争領域に対する協働
- 企業、病院、大学等の協働 など

幅広い医療分野の研究から実用化に向けた開発

- 産学連携
- 医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術 など

スタートアップ型 (ViCLE)

- スタートアップ型 (ViCLE) のベンチャー企業(設立10年以内、未上場)
- 出口戦略をもった研究開発 など

CiCLEのメリット

幅広い案件に対応

- ①医療分野の研究開発、②医療分野の研究開発のための環境整備を対象(分野レス)
- 基礎的研究から実用化開発の段階まで、事業化を目指した研究開発が対象。治験も対象(フェーズレス)
- 得られた特許等は委託先に帰属(日本版バイ・ドール)
- 自社技術の実用化開発も対象

複数年度契約による予算

- 代表機関がAMEDと複数年度契約
- 委託費は年度の切れ目なしに使用可能、大型の初期投入、急

な資金需要などに柔軟に対応可能

AMEDが研究開発リスクを分担

- 代表機関とAMEDとであらかじめ達成目標を設定
- AMEDは目標達成の場合はAMEDが支払った額の全額返済を求める一方、目標未達の場合は委託費の一部返済を免除

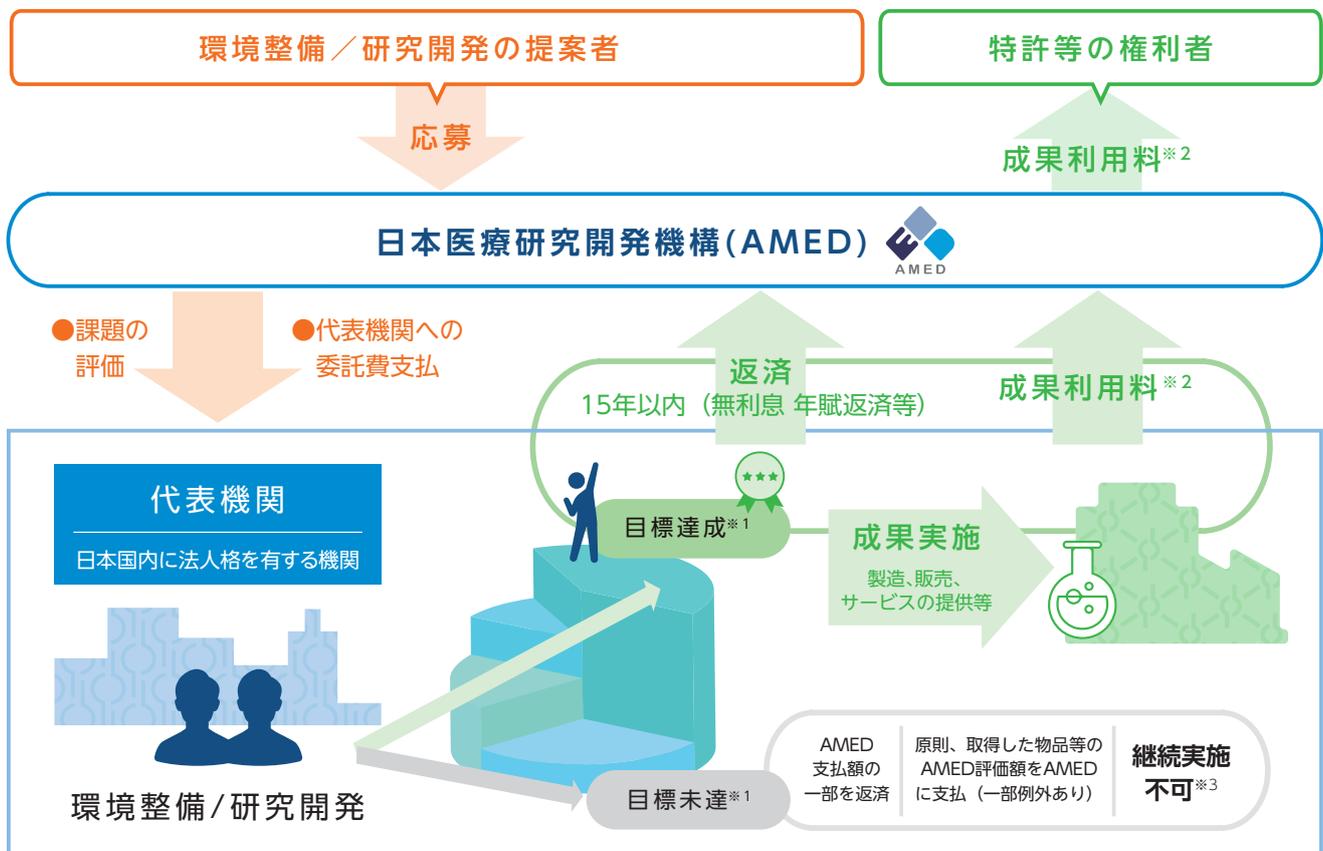
無利子、最長15年の返済期間

- AMEDへの返済は研究開発または環境整備の終了後から
- 無利子で委託期間終了後15年以内に返済
- 柔軟な返済が可能

実施スキーム

応募された課題について、事前評価を行い、採択となった課題に対しては、環境整備／研究開発などの実施計画や、達成すべき目標を設定します。代表機関は、AMEDから支払われた委託費により、環境整備／研究開発などを実施します。

目標達成の場合、代表機関は、AMEDが支払った額の全額をAMEDに返済します。目標未達の場合、代表機関は、AMEDが支払った額の一部をAMEDに返済します。なお、目標未達の場合、代表機関や分担機関は環境整備／研究開発の継続・成果の利用はできません。



※1 目標達成／未達は、応募時に想定される、実用上、必要最低限の整備水準／技術的水準の達成で判定する。

※2 売り上げに応じてAMEDに成果利用料を支払う（対象製品又は対象サービスにおける売上の3%。一部例外あり）。研究開発の基となる特許等がある場合は別途、特許等の権利者に還元する。成果利用料の支払い期間は、成果利用契約締結後15年間。

※3 目標未達の場合、本事業の委託費で行って得た成果（特許、ノウハウ、プロトコル、データなど）の以後の実施及び原権利の使用は不可。

医療研究開発革新基盤創成事業 (CiCLE) の

背景・概要・実施スキーム

公募の型とタイプ

CiCLEは2つの型と2つのタイプに分類されます。(第5回公募までイノベーション創出環境整備タイプ・研究開発タイプ・実用化開発タイプの3タイプ)

公募の型 特に断りがない場合、第7回公募についての記載

	一般型	スタートアップ型 (ViCLE)
概要	産学連携又は産産連携の下で実施する医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた環境整備／研究開発を支援	スタートアップ型ベンチャー企業 ^{※3} が産学連携又は産産連携の下に出口戦略をもって行う医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた環境整備／研究開発を支援
期間	最長10年	最長5年
金額	1億～100億円／課題	5,000万～10億円／課題
返済 ^{※1・2}	目標達成時：AMED支払額の全額、無利子、15年以内の返済（複数の返済方法あり）又は一括返済 目標未達時：AMED支払額の25%及び物品等の購入がある場合は当該物品の評価額、無利子、一括返済 中止の時：AMED支払額の全額、無利子、一括返済	目標達成時：AMED支払額の全額、無利子、15年以内の返済（複数の返済方法あり）又は一括返済 目標未達時：AMED支払額の10%、無利子、一括返済 中止の時：AMED支払額の全額、無利子、一括返済

※1 緩和対象企業（設立20年以内、未上場又は新興市場のみに上場している企業）には一部返済方法に関して緩和措置あり

※2 目標達成時、成果の利用により売上が生じた場合は、成果利用の対価としての成果利用料（シーズ所有者分及びAMED分の合計）を返済に加えてAMEDに支払う。（AMED分は対象製品又は対象サービスの売上3%。一部例外あり）

※3 スタートアップ型ベンチャー企業：設立10年以内、未上場企業

公募のタイプ

イノベーション創出環境整備タイプ

産学連携又は産産連携の下で実施する医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術等の実用化に向けた研究開発に資する連携基盤の形成（人材育成を含む）や共同利用設備の整備などの環境整備。

研究開発タイプ

産学連携の下で実施する医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた研究開発。

実用化開発タイプ

シーズに基づく、産学連携の下に行われる医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術等の実用化開発（応募時に研究開発の元となるシーズ（特許など）が必要）

※第6回公募より研究開発タイプに統合

事業実施体制と伴走支援

事業実施体制

AMEDは、国が定める「医療分野研究開発推進計画」に基づき、競争的研究費の効率的な活用を図り、優れた成果を生み出していくため、課題の評価および運営に関し、その分野に関して優れた学識経験や実績等を有し高い見識を有する専門家として、各事業にプログラムスーパーバイザー（以下「PS」）及びプログラムオフィサー（以下「PO」）を配置しています。

AMEDは、PS・POと連携して委託期間を通して課題管理を行い、進捗状況等について必要な調査を実施するとともに、目標が達成されるよう、環境整備／研究開発の遂行上必要な指導・助言等を行います。

またAMEDは、課題の実施期間中に中間評価を実施します。具体的には、一定期間ごとに行う評価、実施計画にあらかじめ定められたマイルストーン目標*を達成したかを評価するマイルストーン評価の他、代表機関が実施計画の大きな変更を希望する場合には計画変更に関する中間

評価を実施します。

さらに、課題ごとに目標達成／未達の確認を行い、実施状況、成果等を明らかにするために、課題の終了後、事後評価を行います。

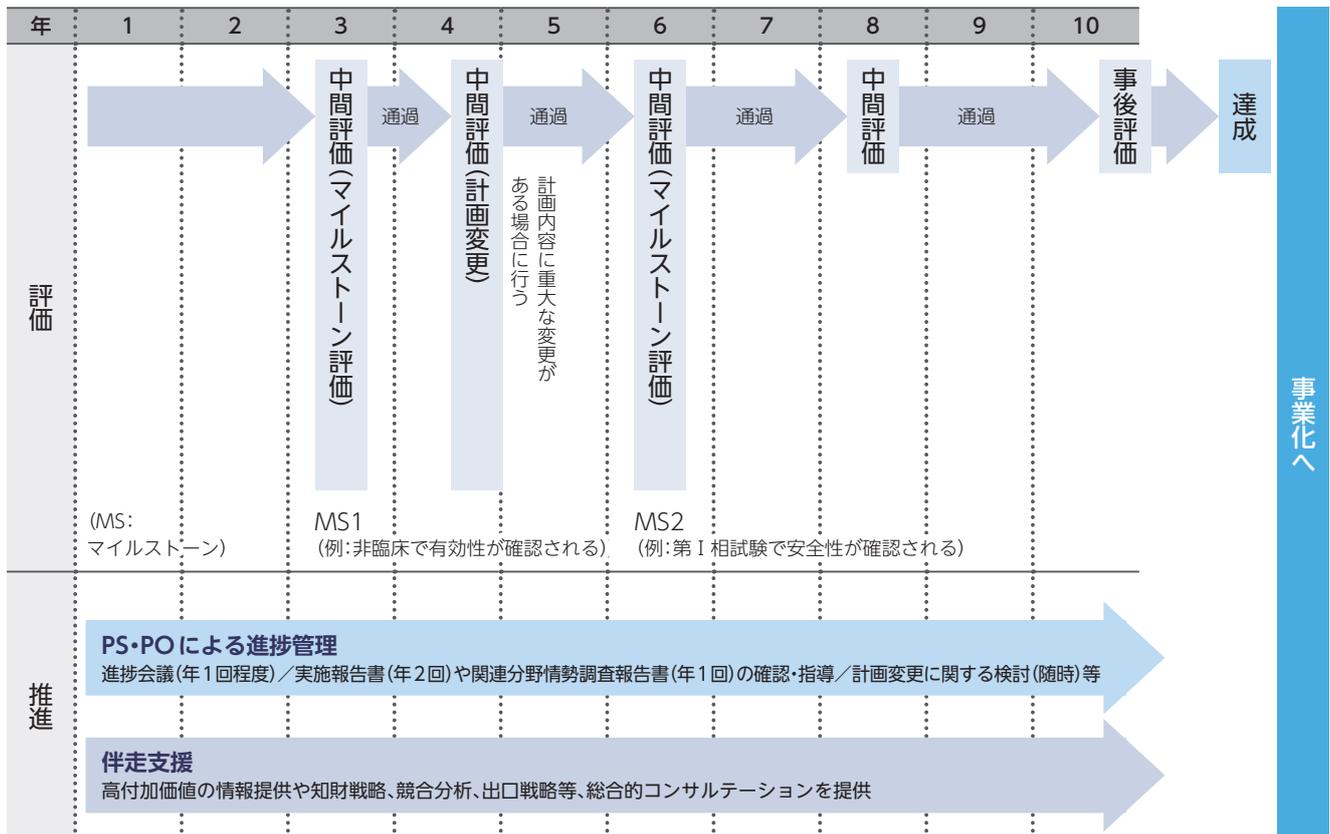
中間評価・事後評価においては、外部有識者から構成する課題評価委員会が、実施計画の達成度や実施成果等を厳格に評価します。

*環境整備／研究開発が長期にわたる場合や段階を経て行われる場合に、評価の結果等を踏まえ、必要に応じてPS・PO等と相談しながら、マイルストーン目標を設定することがあります。マイルストーン目標は達成目標と同様に、必要最低限の整備水準／技術的水準として数値目標とする等、可能な限り客観的なものとします。

伴走支援

その他、本事業において、課題の目標達成と事業化を目指す、伴走支援として、高付加価値の情報提供や知財戦略、競合分析、出口戦略など、総合的コンサルテーションを提供します。

医療研究開発革新基盤創成事業 (CIRCLE) 課題推進のイメージ



中間評価・事後評価結果によって、目標未達、中止等の対応を行う場合がある。

CiCLEの採択状況

	応募(課題)	採択(課題)	金額(億円)	公募期間
第1回公募	48	7	283	平成29年3月16日(木)～ 平成29年4月24日(月)
第2回公募	64	10	220	平成29年4月25日(火)～ 平成29年8月31日(木)
第3回公募	52 (28)	14 (4)	289	平成30年3月7日(水)～ 平成30年5月31日(木)
第4回公募	49 (28)	9 (2)	162	平成31年3月27日(水)～ 令和元年6月13日(木)
第5回公募	72 (54)	17 (11)	320	
(内訳)	コロナ(一次)	4 (3)	1 (0)	令和2年3月25日(水)～ 令和2年4月24日(金)
	コロナ(二次)	12 (10)	2 (2)	令和2年4月27日(月)～ 令和2年5月25日(月)
	通常	56 (41)	14 (9)	令和2年5月26日(火)～ 令和2年7月28日(火)
第6回公募	57 (38)	5 (3)	49	
(内訳)	コロナ	11 (4)	0 (0)	令和3年3月24日(水)～ 令和3年4月23日(金)
	通常	46 (34)	5 (3)	令和3年3月24日(水)～ 令和3年5月28日(金)
合計	342 (148)	62 (20)	1,323	

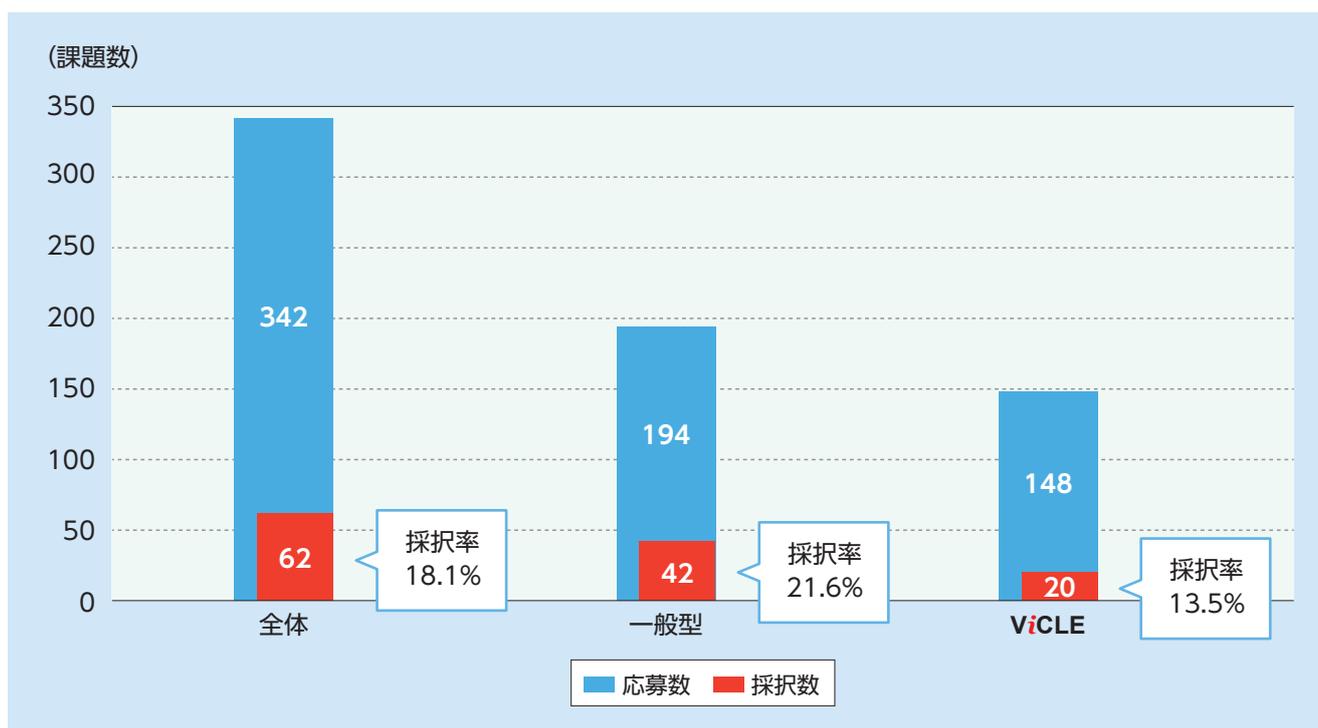
※ 括弧書きはスタートアップ型(ViCLE、第3回公募から開始で内数)

※ 第5回公募は、新型コロナ対策(一次)、新型コロナ対策(二次)、通常課題の三回に分けて公募を行った。

※ 第6回公募は、新型コロナ対策、通常課題の二回に分けて公募を行った。

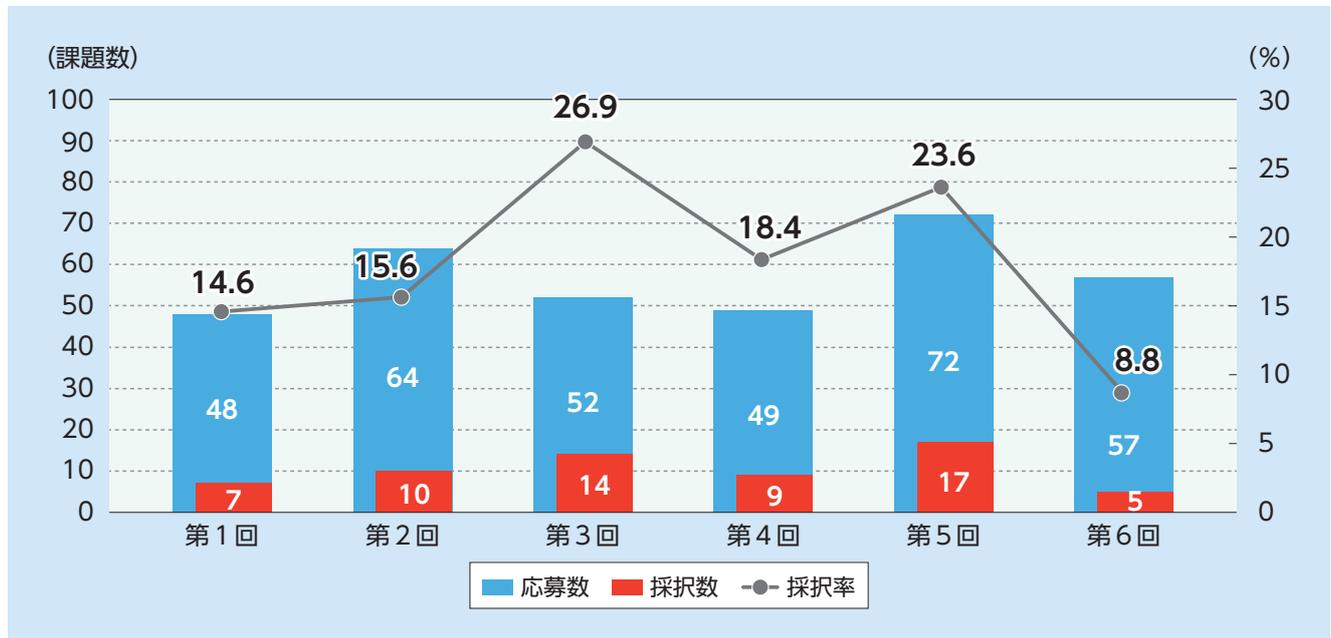
これまでに第1回から第6回公募までを実施した。合計で、342課題の応募があり、62課題が採択されている。採択課題の合計金額は1,323億円となっている。

応募数と採択数【第1回～第6回計】

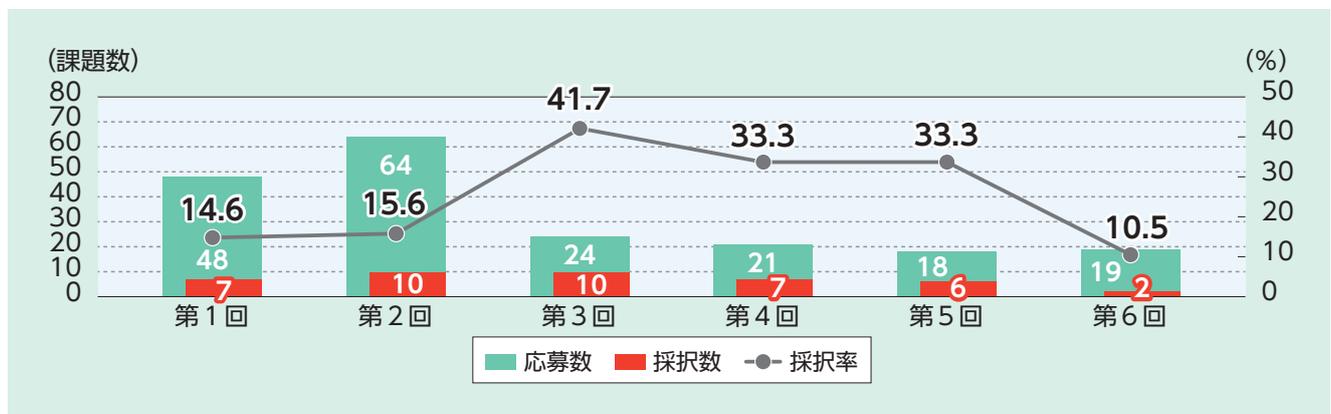


各回の採択数と採択率

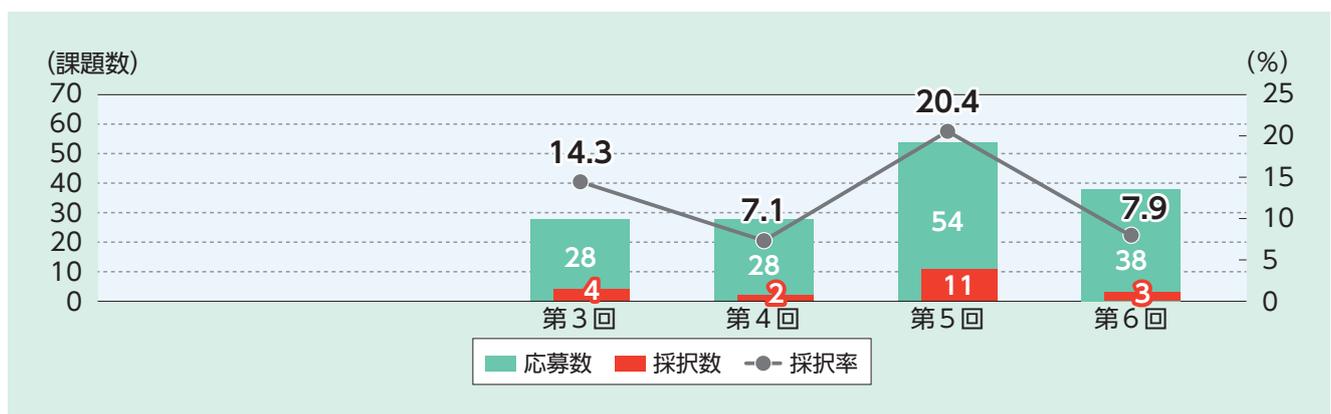
一般型+スタートアップ型 (ViCLE)



一般型

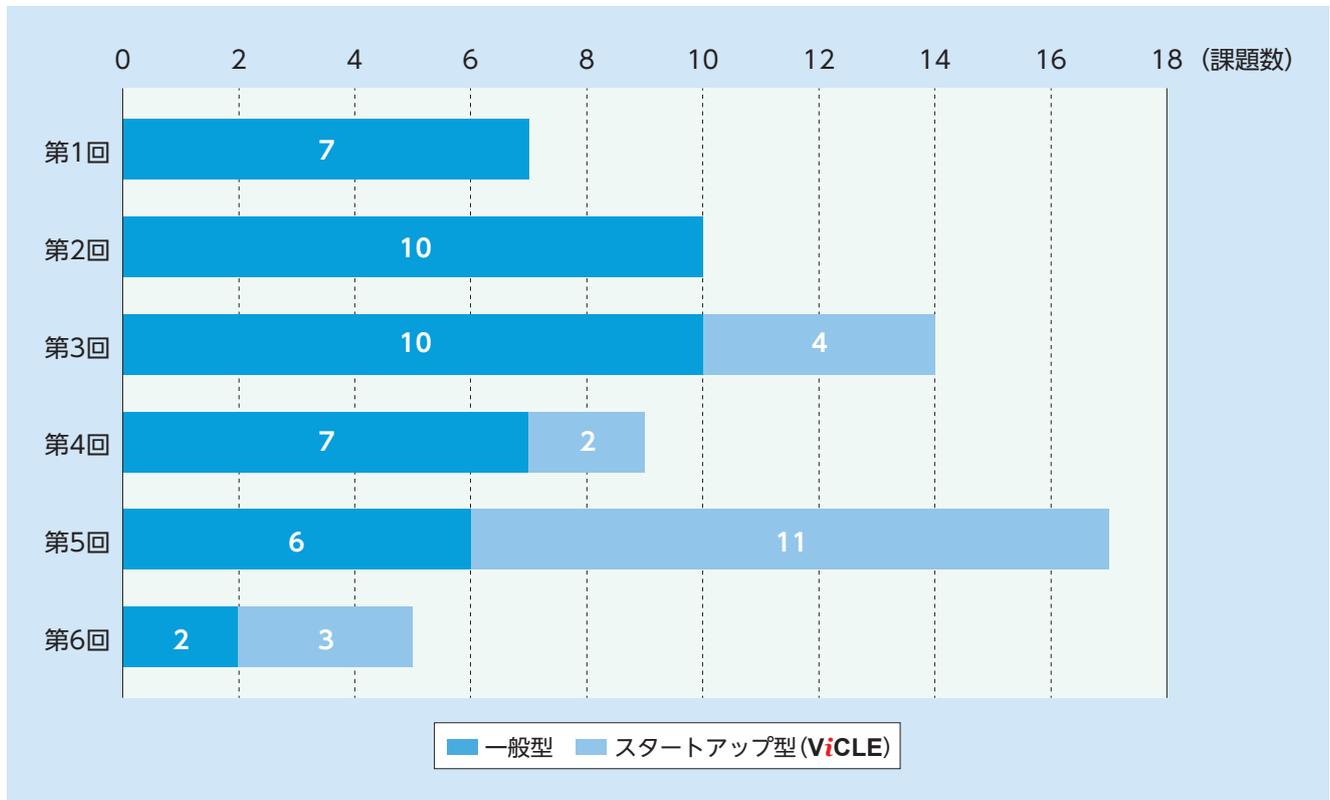


スタートアップ型 (ViCLE)



※スタートアップ型(ViCLE)は第3回公募より開始。

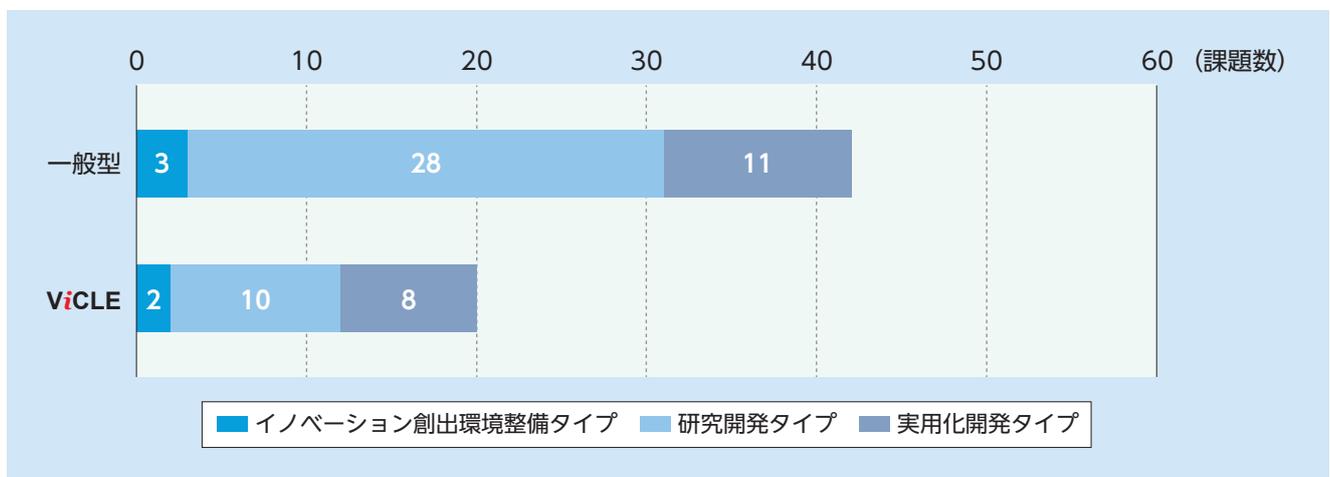
型別採択件数【第1回～第6回計】



第1回～第6回公募までの採択課題62課題のうち、一般型42課題、スタートアップ型(ViCLE)20課題となっている。第6回公募では、5課題中3課題がスタートアップ型(ViCLE)であり、採択割合が増加している。

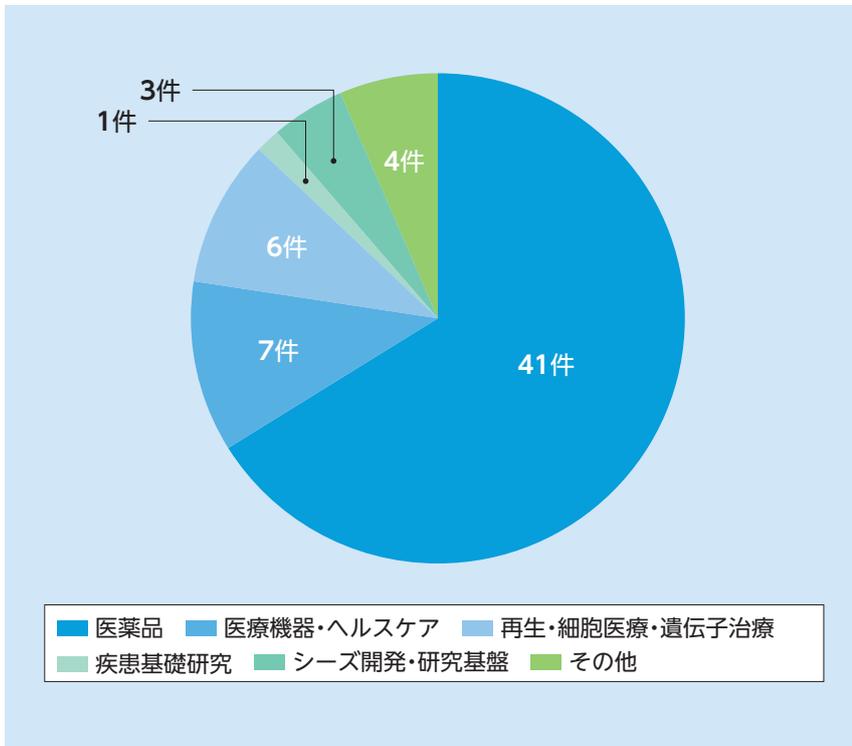
※スタートアップ型(ViCLE)は第3回公募より開始。

タイプ別採択件数【第1回～第6回計】



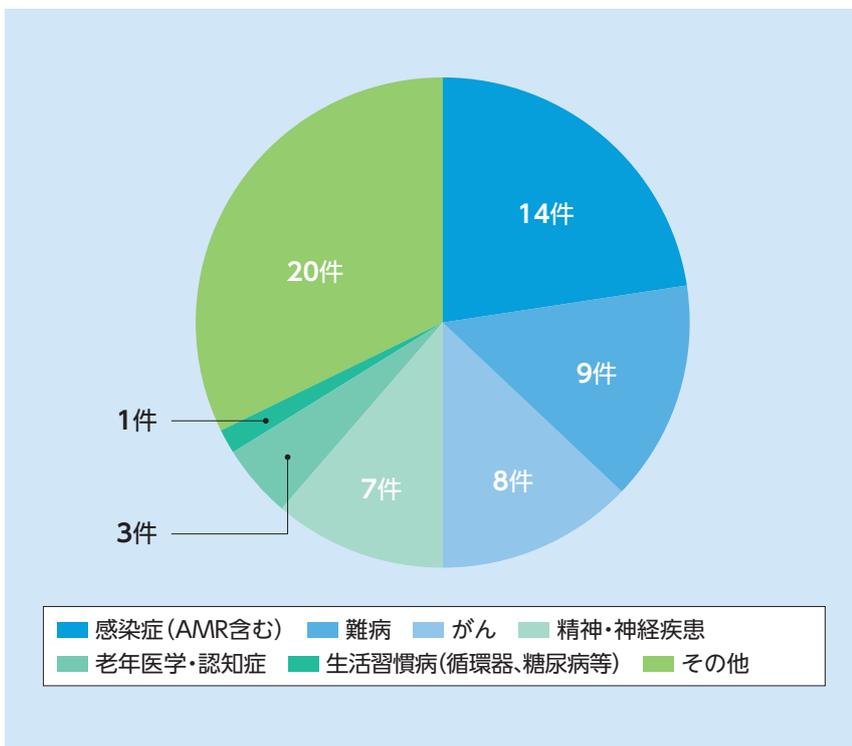
第1回～第6回公募までの採択課題62課題のうち、イノベーション創出環境整備タイプは5課題であり、うち3課題は終了している。研究開発タイプが38課題、実用化開発タイプが19課題であるが、実用化開発タイプは第6回公募より研究開発タイプに統合。

統合プロジェクト別採択件数【第1回～第6回計】



第1回～第6回公募までの採択課題62課題を、AMED中長期計画における「6つの統合プロジェクト」に準じて6分類した場合の課題数を示している。

疾患領域別採択件数【第1回～第6回計】



第1回～第6回公募までの採択課題62課題を、わが国における社会課題として主要な7疾患領域(がん、生活習慣病(循環器、糖尿病等)、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症(AMR含む))に基づき分類した場合の課題数を示している。

CiCLEの採択課題

採択課題一覧(第1回～第6回公募:全62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	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	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	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	大日本住友製薬株式会社	研究開発	第1回
6	マラリアワクチンの医薬品開発と商業製造の確立	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	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	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	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	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	株式会社カン研究所	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	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	日本電子株式会社	研究開発	第2回
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	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	EAファーマ株式会社	実用化開発	第2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	KMバイオロジクス 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	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	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網膜神経保護薬の開発	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	帝人株式会社	研究開発	第3回
24	新規迅速遺伝子診断法ならびに非臨床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
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	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	ネクスジェン株式会社	Vi CLE 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	ファイメクス株式会社	Vi CLE 研究開発	第3回
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	レグセル株式会社	Vi CLE 研究開発	第3回
31	液相セグメント合法による核酸大量製造法開発	株式会社四国核酸化学	Vi CLE 実用化開発	第3回

	課題名	代表機関	タイプ*	公募回
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	大日本住友製薬株式会社	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	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	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
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	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	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	AlphaNavi Pharma 株式会社	ViCLE 実用化開発	第4回
41	新型コロナウイルスワクチンの開発	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	ユナイテッド・イミュニティ株式会社	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	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)
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	日本製薬株式会社	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)
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	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)
50	医療用プタ製造を目指した基盤整備	株式会社ボル・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・イミュニティ株式会社	ViCLE 研究開発	第5回 (通常)
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	アクセリード株式会社	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)
54	膝前十字靭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・試験の実施	CoreTissue BioEngineering 株式会社	ViCLE 実用化開発	第5回 (通常)
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)
56	iPS 細胞由来 HLA ホモ型血小板の実用化	株式会社メガカリオン	ViCLE 実用化開発	第5回 (通常)
57	TMEM180 を高発現する大腸がんにも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	脊磁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	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	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	楽天メディカルジャパン株式会社	ViCLE 研究開発	第6回 (通常)

※課題名及び代表機関名は採択時の情報
 ※スタートアップ型(ViCLE)はViCLEと付記

特殊ペプチド原薬CMO創設

ペプチスター株式会社

ペプチスター株式会社(本社:大阪府摂津市、代表取締役社長:亀山 豊)が代表機関となり、2017年10月にAMEDと委託環境整備契約を締結したCiCLEにおける課題「特殊ペプチド原薬CMO創設」において、計画通り供給体制の基盤構築を達成。

この基盤を活用することで本格的に事業が加速され、特殊環状ペプチド医薬品を含む画期的な特殊ペプチド医薬品創出への貢献が期待される。

実施内容

- ◆ 現在の医薬品は低分子医薬品と抗体医薬品が主流を占めているが、その両方の優れた特徴を兼ね備え、且つ化学合成で製造が可能なペプチド医薬品(中分子医薬品)に対する注目度が高まっている。
- ◆ また、現時点では特殊ペプチドを精度高く安定且つ大量に供給できる体制は世界的に見ても少ないことから、我が国において特殊環状ペプチドを含む特殊ペプチド医薬品を安定的に供給できる製造体制を確立することが必要とされていた。
- ◆ そこで、ペプチスター株式会社は、CiCLEの活用及び自己資金にて、新たな技術革新創造の環境整備ならびに特殊ペプチド原薬(天然アミノ酸を用いた通常のペプチド原薬を含む)の安定的な供給体制の基盤構築を目指し、これを達成した。

成果

- ◆ 特殊ペプチド合成における特殊アミノ酸原料の調達、合成技術、精製・固体化技術、GMP保証に関連する国内各社の最先端技術の戦略的な統合を目的とし、総合棟(本社研究棟)及びGMPに準拠した製造棟1の建設並びに付随する機器・設備を導入。
- ◆ 総合棟(本社研究棟)に製造法、分析法開発の実験室及び各国当局のGMP査察対応の会議室を整備。製造棟1は合成室、精製室が整備され、特殊ペプチド原薬のGMP製造を実施することが可能。またマイクロ波を活用した反応装置を新設し、これまで少量スケールのみであったマイクロ波による特殊ペプチド合成を30Lレベルまで実現させることが可能となった。
- ◆ 出資各社ならびに出資者以外とも協業し、上記関連技術の技術革新を進めるとともに、顧客のメリットが高い特殊ペプチド原薬製造のハブ的存在を目指す。



総合棟



製造棟1



製造棟合成室

(出典) プレスリリース「特殊ペプチド原薬の安定的な供給体制の基盤構築を達成」
https://www.amed.go.jp/news/release_20191206.html

創薬ライブラリーの共同管理・運用

株式会社EPクロア (旧 株式会社CACクロア)

株式会社EPクロア(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:佐々明)は、2018年3月にAMEDと委託環境整備契約を締結した環境整備課題「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」における創薬ライブラリーの管理・運用基盤を計画通り構築し、目標を達成。

より多くの製薬企業が本施設を利用し、「All Japan創薬ライブラリー」を構築することで、アカデミアを含む研究組織が本創薬ライブラリーを有効利用できるようになることが期待される。

実施内容

- ◆ これまで多くの製薬企業が個別に創薬ライブラリーを管理しており、その維持管理費用の削減が喫緊の課題となっていた。加えて、アカデミアを含む研究機関では、創薬標的に対する有効性を効率的に検証できるような利便性の高い創薬ライブラリーの整備・拡充が望まれていた。
- ◆ そこで、製薬企業とアカデミア等の双方の問題を解決するために、本課題では、創薬ライブラリーを個々の製薬企業の壁を越えて一元的に管理する施設や体制を構築すること、また一元管理された化合物の相互利用を目的とした「All Japan創薬ライブラリー」を構築することを目指し、その運用基盤を整備することとし、これを達成した。

成果

- ◆ 「All Japan創薬ライブラリー」の構築に向けて必要となる施設・設備を、かながわサイエンスパーク(神奈川県川崎市)内に整備。
- ◆ ハード面では、創薬スクリーニング用の低分子化合物の共同管理を開始する際に最低限必要な設備を整備。
- ◆ ソフト面では、複数の製薬会社の化合物を適切に管理するためのデータベース構築、全作業工程におけるバーコード/QRコードを用いた管理方法の構築、標準手順の策定及びこれに基づいた要員教育を実施。
- ◆ 製薬企業各社の保有する化合物を本施設に集約し、これらを安全かつ効率的に一元管理することができ、創薬ライブラリーの維持・管理にかかるコストも削減。
- ◆ 将来は、本創薬ライブラリーを他の参加企業やアカデミア等と相互利用することで効率的な創薬スクリーニングが可能になり、All Japanとしての創薬力の向上に繋がる。



自動原末保管庫(室温)



自動溶液保管庫(-20℃)



除湿エリア(湿度30%以下)

(出典) プレスリリース「医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)において創薬ライブラリーの共同管理・運用基盤を構築」
https://www.amed.go.jp/news/release_20200728.html

日本人がん患者由来 PDX ライブラリー整備 株式会社LSIメディエンス

株式会社LSIメディエンス(本社:東京都千代田区、代表取締役社長:渡部晴夫、以下「LSIメディエンス」)が代表機関となり、2018年3月にAMEDと委託環境整備契約を締結したCiCLEの環境整備課題「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」において、計画を上回る規模のPDXライブラリーを構築し、がん医療・医薬品開発に活用するための基盤整備を達成。

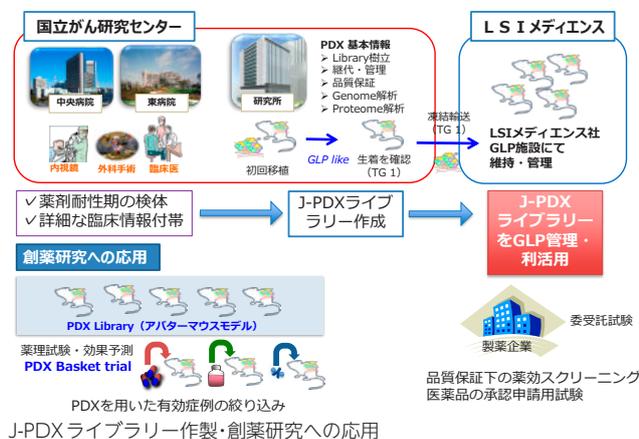
本事業の成果を継続的に発展させてサステナブルな創薬支援事業として成長させるために、LSIメディエンスと国立がん研究センターは連携を継続し、J-PDXライブラリーの拡充とPDX株の付帯情報を整備してがん医療・創薬に貢献する。

実施内容

- ◆ 抗がん剤の臨床試験の開始から上市に至る成功率の低さは、がん細胞株を使用した非臨床試験の臨床予測性の低さが一因である。
- ◆ PDXは、ヒトのがん組織を免疫不全マウスに移植した組織片で、非臨床試験の臨床予測性を高める画期的な創薬ツールとして注目され、欧米ではPDXライブラリーの産業利用が進んでいる。
- ◆ 我が国では産業利用可能なPDXライブラリーは未整備。日本における創薬の成功確率向上と、画期的新薬のスピーディーな創出には、国内で高い信頼性のもと樹立され、厳しく品質管理されたPDX株の整備が必要である。
- ◆ LSIメディエンス、国立がん研究センター(以下NCC)及び医薬基盤・健康・栄養研究所は、日本人がん患者由来のPDXライブラリー(J-PDXライブラリー)を構築し、医薬品開発及びがん医療推進のための基盤を整備した。

成果

- ◆ NCCは2020年5月末で1,100名を超える患者同意を取得し、300株を超える新規PDXの生着を達成。登録されたがん種は希少ながんも含め30種以上。
- ◆ 医薬基盤・健康・栄養研究所は、PDXの作製が困難ながん種に着目した基礎研究を実施。独自開発した重度免疫不全マウスが市販の重度免疫不全マウスよりもPDX作製率向上に有用との結果を取得。
- ◆ LSIメディエンスは、本環境整備の出口戦略として薬事承認基準に準拠したJ-PDXライブラリー事業の整備を達成。
- ◆ 本環境整備により、PDXの産業利用の隘路であった倫理的・法的・社会的課題が解決。NCCとの密接な連携の下で、抗がん剤治療抵抗性、希少ながん等の特長を有するJ-PDXライブラリーを構築。PDXを使用した創薬支援の基盤を整備。



LSIメディエンス社が提供するPDXライブラリーを用いた試験サービス

(出典) プレスリリース「がん医療推進のための日本人がん患者由来PDXライブラリー整備を達成」
https://www.amed.go.jp/news/release_20201020-02.html

産医連携拠点による新たな認知症の創薬標的創出

イーザイ株式会社

イーザイ株式会社 塚原克平様、黒光淳郎様、中村立二様

概要

イーザイ株式会社が慶應義塾大学と共同で設立した産医連携拠点「イーザイ・慶應義塾大学 認知症イノベーションラボ(EKID)」は、基礎から臨床までの横断的共同研究と緊密な技術・人材交流から生まれるメリットを最大限に活かし、患者様の権利および倫理的公正性を保ち、認知症治療に向けて成功確度の高い創薬標的の発見を目標とする。詳細な臨床情報が付加した臨床試料を取得、分析し、AIを駆使してこの臨床データと各種オミクスデータとを多次元相関解析することで、新たな創薬仮説を構築し、それを認知症病態を反映するモデルで検証していく。



写真左から 中村様、黒光様、塚原様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください

—リバーストランスレーショナル研究である本課題は、柔軟な産学官連携が可能なCiCLEの趣旨と合致

イーザイ株式会社(以下、イーザイ)は、アルツハイマー病・認知症の研究を35年以上、継続しています。認知症当事者様が aumentando いる現在、当事者様とご家族に対して新たな希望を届けたいという強い思いがあります。

本課題は、ヒトの試料・データを用いたリバーストランスレーショナル研究であり、慶應義塾大学との産学連携が柔軟にできるという点が非常にCiCLEの趣旨と合致していたため、応募しました。

CiCLEだからこそ実現できること、CiCLEのメリットとは何でしょうか？

—大規模・長期間のプロジェクト。未来に対して責任を持つため、全社一丸となって活発な議論を続け成功に向けて邁進

国の他の事業とは異なり、繰越や前倒しなど、柔軟な予算使用が可能だということはCiCLEならではの特徴だと思います。

助成金は通常返金しませんが、CiCLEは研究開発が成功したら国に返還する必要がある融資であり、本当に成功して返せるのかと、社内で我々研究開発担当者だけでなく、全社一丸となって議論いたしました。10年という長期にわたるプロジェクトであり、未来に対して責任をもつため、現在でもプロジェクトの方針について、活発な議論を続けています。

本プロジェクトは、イーザイが慶應義塾大学と共同で設立した産医連携拠点「イーザイ・慶應義塾大学 認知症イノベーションラボ(EKID)」を通じて、基礎から臨床まで横断的な共同研究を実施しています。特に臨床の先生方と身近でディスカッションできるというのは、イーザイ社内だけではできないことで、慶應義塾大学に拠点を持つ大きなメリットのひとつだと考えています。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—認知症の新薬の創製、世界的に増え続ける認知症当事者様、ご家族とケアギバーに貢献

世界の認知症当事者数は、2030年までに8,200万人に増加すると予想されており、新薬開発への期待はますます大きくなって

います。認知症の新薬創出は難易度が高く、研究開発を続けている企業も少なくなり、プロジェクト開始当初より、認知症の新規標的創出の重要性はさらに増しました。新規認知症薬が開発できれば、認知症当事者様やご家族とケアギバーの皆様に対して貢献できると思います。また、新規薬剤の効果を判断するバイオマーカーの同定は治験の効率化のカギで有ると共に、更なる新規薬剤の創出を可能にします。新規薬剤の創出を通じて、雇用の創出や生産性の向上など、社会的な貢献も可能になると考えています。

技術開発という面では、専門家の人材育成に貢献できていると考えています。特任助教の方々には、企業の研究の手法や研究方針を共有しており、慶應義塾大学の先生方からはイーザイの研究開発担当者に対して専門的な知識を共有していただいています。

両者で創薬ターゲットをどう見つけるか、本当に成功するターゲットとは何か、という本質的な問題を議論しています。このような議論をアカデミアの先生方と一緒にできることは非常に意義があります。

CiCLEで得られた成果を今後どう活かしていきたいですか？

—CiCLEで得られた成果を創薬につなげるとともに、開発した技術と産学連携のノウハウを他分野にも活かしていきたい

CiCLEでのゴールはターゲットを見つけることです。本課題では様々な技術も開発していますが、それらの技術をEKIDだけでなく、他にも応用していきたいと考えています。CiCLEで得られた産学連携等の経験値は、認知症以外の分野でも応用できると考えます。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—CiCLEによる産学連携によって研究開発が促進され、AMEDとも連携関係が構築できており、今後も良い関係性を保ちたい

CiCLEでは、事業期間中は得られた成果を当初の事業の目的以外には使用できないことになっており、柔軟な対応が可能になることを希望します。CiCLEによる産学連携で、研究開発が非常に進んでいます。AMEDとの良好な連携も築けていますので、このような良い関係性を継続することを希望します。

会社概要 エーザイ株式会社 Eisai Co., Ltd.

- 設立: 1941年(昭和16年)12月6日
- 本社: 東京都文京区小石川4-6-10
- 代表者: 代表執行役 CEO 内藤晴夫、代表執行役 COO 岡田 安史
- 資本金: 44,986百万円(2021年3月末現在)
- 従業員数: 11,237人 個別: 3,005人(2021年3月末)
- 事業内容: 医薬品の研究開発、製造、販売および輸出入
- HP: <https://www.eisai.co.jp/index.html>

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

第一三共株式会社

第一三共株式会社 國方友紀様

概要

本課題では、第一三共と埼玉医科大学の共同研究により見出された抗ALK2抗体を、国の指定難病であるFOPに対する治療薬として実用化することを最終目標とする。FOPは、筋肉や腱などの軟部組織において、本来は形成されない骨組織が形成される、進行性かつ重篤な疾患で、世界的には人口200万人に対して1人程度の割合で発症することが知られている。FOPの原因は、ALK2の活性化型変異であることが報告されているが、有効な治療法は未だ確立されていない。本課題の目標達成により、日本発の革新的な希少疾患治療薬の創出が期待される。



國方様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください —希少疾患特有の医薬品開発リスクを低減できることがCiCLEの魅力

今回応募した課題は、国内患者数が80名程度の進行性骨化性線維異形成症(FOP)という患者数が非常に少ない疾患を対象としているため、患者数の多い生活習慣病等と比較すると、患者情報が少ないという希少疾患特有の困難さがありました。しかしながら、患者さんにいち早く薬剤を届けるために、企業としてリスクを取り、研究開発を進めなければなりません。

そのような背景がある中で、CiCLEは長期にわたる委託事業であること、また万が一目標が未達の場合に一部の返済が免除になる制度設計になっていることによって、希少疾患の医薬品開発のリスクを低減できることに魅力を感じ、応募しました。

CiCLEだからこそ実現できること、CiCLEのメリットとは何でしょうか？

—長期間かつ柔軟な経費運用により適切な研究開発計画の立案が可能に

医薬品の研究開発はフェーズごとに必要な経費が大きく異なりますが、CiCLEはそれに柔軟に対応できる制度設計になっています。また、他のAMED事業と比較して長期にわたり経費が確保されており、経費の運用の自由度が高いので、CiCLE事業では適切な開発計画を立てることが可能です。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—新たな革新的治療薬の開発によってFOP患者の治療とQOL向上に寄与

対象疾患のFOPは、筋肉や関節に骨ができることで体の自由が利かなくなる非常に重篤な疾患ですが、現時点では治療法や治療薬がありません。

私達のプロジェクトで効果的で安全な医薬品を開発することで、病態進行を遅らせることはもちろんのこと、現在FOP患

者さんでは禁忌となっている外科手術ができるようになる可能性があります。つまり、患者さんの病態管理に加えて、QOLの大幅な向上につながるのではないかと期待しています。

また、企業と国が一緒になって希少疾患の治療薬の開発を進めることができるということを周知すること自体も大きな意義があると考えています。

CiCLEで得られた成果を今後どう活かしていきたいですか？

—本プロジェクトで得られた知見を活かし、さらなる創薬活動につなげていきたい

FOPの治療薬を創出することが使命です。FOP自体はまだ不明なことが多い疾患ですので、今回のプロジェクトで得られた知見を公に共有することで、将来新たな治療薬の開発に貢献できればと考えています。また、個人的な話ですが、産官学連携による医薬品開発の経験が今後の創薬活動に活かしていけるのではないかと考えています。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—AMED主導でアカデミアの有望な創薬シーズを実用化につなげてほしい

今回産官学連携でアカデミアにもプロジェクトに入らせていただいておりますが、日本のアカデミアには有望な創薬シーズがまだまだたくさんあります。それらを実用化につなげる活動をAMEDが中心となって実施していただきたいです。

また、より多くの方にCiCLEを知っていただき、まだ治療薬がない疾患に対する治療薬が開発されるように、CiCLEの広報活動を積極的に行っていただきたいです。そして、これからもCiCLE事業が継続していくことを願っています。

会社概要 第一三共株式会社 DAIICHI SANKYO COMPANY, LIMITED

- 設立: 2005年(平成17年)9月28日
- 本社: 東京都中央区日本橋本町三丁目5番1号
- 代表者: 代表取締役社長 兼 CEO 眞鍋 淳
- 資本金: 500億円
- 従業員数: 約16,000人(第一三共グループ)
- 事業内容: 医薬品の研究開発、製造、販売等
- HP: <https://www.daiichisankyo.co.jp/>

CiCLE に採択された代表機関の声

一般型

第1回公募採択課題

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 (旧 大日本住友製薬株式会社)

住友ファーマ株式会社 日高淳様

概要

本プロジェクトでは、住友ファーマ株式会社の研究員複数を大村創薬グループに派遣して緊密な連携を維持しながら研究を強力に推進することで薬剤耐性菌感染症治療薬の実用化を目指す。すなわち、リード化合物を起源とした化合物構造最適化研究を、両者の総力をあげて実施し、同時に薬効や薬物動態を評価して、早期に前臨床試験に投入可能な複数の化合物を見出す。これらの臨床候補化合物が第3相臨床試験で成功することを目指す。



日高様

CiCLE に応募した経緯・目的について教えてください

—社会的意義の大きい医薬品開発を

産官学連携で推進する CiCLE の枠組みがフィット

社内で抗菌薬の研究に取り組んでおり、重要な感染症の治療薬として世界中で用いられているメロペネムを創薬した実績もあったため、研究を継続したいと考えていました。しかし、会社としては抗菌薬開発は注力する領域ではなかったため、どのように研究を継続しようかと検討していたところ、過去につながりのあった北里研究所と一緒に研究をできないかという話になり、薬剤耐性菌対策に取り組むことになりました。社会に貢献するためには是が非でも実用化しなければならないと共鳴し、包括的に複数のテーマを走らせることを計画しました。優先度の低い領域にとっては研究段階で比較的に大きな資金が必要であるとの課題があり、AMED とのリスク分散ができる CiCLE を活用したい、と経営層に掛け合いました。抗菌薬開発という価値のある研究を継続して進めるためには、企業だけでなく、国もリスクを取って、産官学の連携・協力のもと成果につなげるという CiCLE の枠組みがフィットしました。

CiCLE だからこそ実現できること、CiCLE のメリットとは何でしょうか？

—企業・国・国民が Win-Win になれるところが

CiCLE ならではのメリット

社会貢献の側面が大きい領域の研究開発に対し、CiCLE のような公的な資金が入り、国が後押しして一緒にリスクを共有してもらえる枠組みがあると、研究開発を担当する個人としても会社に訴えやすく、また会社としても参入しやすいと思います。さらに、国としても、国民の健康という公共の利益のための成果が出せると思います。

研究開発が成功すれば、企業、国、国民がみな win-win になれるという点が CiCLE ならではのメリットだと思います。企業が研究開発のための資金を借りているという枠組みであることによって、企業も責任を持って取り組むことができます。利益を受けることができるすべてのステークホルダーが責任をもつことは良いことだと思います。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—CiCLE によって抗菌薬開発という社会的課題の解決に向けた一歩を踏み出すことができた

製薬業界では、抗菌薬開発からメガファーマが撤退していますが、抗菌薬の開発が進まないことは社会の大きな課題です。このような事業環境の領域に企業が参加することは、優先度が落ち、進まない場合が多々あります。新規抗菌薬開発という、シーズがあっても、なおかつやる気やモチベーションがある分野の研究開発が、CiCLE によって一歩進んだことは重要です。

我々の研究課題から耐性菌に対する薬が一つでもできたら、社会貢献、すなわち、人々の健康に寄与できます。私事になりますが、子供が小さい頃に、仕事で家になかなか帰ることが出来ずにいた際、「お父さんは世界を守る仕事をしている」と家族に伝えていました。今もそういうモチベーションで抗菌薬の研究開発に取り組んでいます。一日でも早く、患者さんのもとに薬を届けられるように努力しています。

CiCLE や AMED への期待やご要望があれば教えてください

—企業の研究開発に対する継続的・持続的な支援を期待

企業としては、事業性の確保が絶対条件です。本研究課題で見出された化合物が価値のある薬として証明されれば、さらに資金が必要になります。今後も臨床試験や当局対応などのサポートがあるとありがたいです。

製薬業界は儲かるというイメージがあるかもしれませんが、抗菌薬は大きな利益が得られない領域です。抗菌薬は使わないに越したことはないですが、ないと困るものです。しかし、企業としては事業性が確保できない領域の研究開発に取り組むことはできません。企業にとっては、次の研究開発に投資できるように利益を得て、継続的・持続的に対応できることが必要となります。ぜひ、チャレンジした企業が報われるようなプロジェクトであってほしいと期待しています。

CiCLE は、社会をよくしたいという思いを実現するための仕組みだと思います。ぜひ、一過性の盛り上がりではなく、継続的・持続的な支援であることを期待しています。

会社概要 住友ファーマ株式会社 Sumitomo Pharma Co., Ltd.

- 設立: 1897年(明治30年)5月14日
- 本社: 大阪本社(大阪市中央区道修町2-6-8)、東京本社(東京都中央区京橋1-13-1)
- 代表者: 代表取締役社長 野村 博
- 資本金: 224億円
- 従業員数: 3,074名(連結: 7,023名)(2021年12月31日現在)
- 事業内容: 医療用医薬品、食品素材・食品添加物、動物用医薬品等の製造および販売
- HP: <https://www.ds-pharma.co.jp/>

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

Meiji Seika ファルマ株式会社 栗飯原一弘様、松本隆之様、近藤賢一郎様、塩川宗二郎様、馬場信吉様

概要

将来にわたり世界的な脅威となっている薬剤耐性菌(AMR)感染症への対応として、新たな治療薬の創出が望まれている。その中でも、現在増え続けている基質特異性拡張型β-ラクタマーゼ産生菌(ESBL産生菌)や最後の切り札と言われるカルバペネム系抗菌薬に耐性な腸内細菌科細菌(CRE)に対して有効な新規治療薬の創出は喫緊の課題である。加えてこれらの耐性菌に対する治療薬の開発上市は、既存の抗菌薬を適正に使用しながら将来の更なる耐性菌の増加を抑制する施策の観点からも重要である。本事業では、当社が見出した新しいβ-ラクタマーゼ阻害剤であるOP0595の有効性に関するエビデンスを創出し、従来にはないAMR対策用新規治療薬を創出することを目標とする。



写真左から 栗飯原様、松本様、近藤様、塩川様、馬場様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください —新規抗菌薬の研究開発に対する助成を探しているなかでCiCLEを見つけ、応募

世界的に脅威となっている薬剤耐性菌に対する新しい抗菌薬・治療法の開発が世界的に滞っている中で、海外には新規抗菌薬開発を促進するための公的な助成金などのインセンティブの仕組みがいくつかあります。

国内においてこのような研究開発費の補助の仕組みを探している中でCiCLEのホームページを見つけ、応募しました。

CiCLEの事業説明会にも足を運びました。

CiCLEだからこそ実現できること、CiCLEのメリットとは何でしょうか？

—複数年度予算によって、長期間かつ高額な費用がかかる研究開発をカバーできるところが魅力

長い期間がかかる医薬品の研究開発にとって、10年間という長い期間を設定できるCiCLEの仕組みは研究開発側にとって非常に魅力的です。また、高額となる臨床試験費用もCiCLEでカバーしてもらえる点も魅力の一つです。さらに、その費用の返済が上市後に利益を上げながらできる点は企業にとって大きなメリットです。取組課題の観点では、民間企業一社では着手するのが難しい課題も、CiCLEの特徴である産学官が一体となった体制で開発を進めていける点もメリットです。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—CiCLEのような事業があることで、薬剤耐性菌用の新規抗菌薬開発という社会の要請に応えることができる

医薬品の開発は国民の福祉と健康を実現するために必要不可欠なものです。その中で薬剤耐性菌用の新規抗菌薬の研究開発は、将来の耐性菌動向を予測して、それに基づいて新規抗菌薬のニーズと市場を見積もって研究開発を進めることが必要

であり、その見積りと研究開発推進の判断が難しい点です。したがってCiCLEのような制度があることは、このような社会の要請に応える研究開発を後押しするのだと思います。このような社会的に必要とされる領域の研究開発を促進するために、国がCiCLEのような事業として支援してくれることに大きな意義があると考えます。

CiCLEで得られた成果を今後どう活かしていきたいですか？

—日本のリスク対策として新規抗菌薬開発を進め、その成果を世界にも広げていきたい

ゴールはシンプルに薬剤耐性菌用の新規抗菌薬を世に出すということです。現時点での目標は日本国内で開発し、できる限り早く上市することです。また、世界的に薬剤耐性菌が増加していることから海外に展開していくことも検討していきたいと考えています。

今後、東京オリンピックや大阪万博が予定されており、更に人の交流が活発になると、これまでにない様な感染症が流行するリスクが高まります。新規抗菌薬の開発は、こうした事態に備えるという側面もあります。日本のリスク対策として、そのようなことを予測しながら研究開発を進めていくことも重要だと考えています。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—国、企業が密にコミュニケーションを取り合い、ともに研究開発を進めていきたい

CiCLEの種々の手続きをより柔軟にさせていただけるとありがたいです。また、AMEDと企業が一緒に開発していくというスタンスに立って、これまで以上に密にコミュニケーションを取りながら、研究開発を進めていければと思っています。

会社概要 Meiji Seika ファルマ株式会社 Meiji Seika Pharma Co., Ltd.

- 設立: 1916年(大正5年)10月9日
- 本社: 東京都中央区京橋二丁目4番16号
- 代表者: 代表取締役社長 小林 大吉郎
- 資本金: 283億63百万円
- 従業員数: 5,951人(連結グループ会社を含む)(2021年3月31日現在)
- 事業内容: 医療用医薬品、動物薬の製造販売等
- HP: <https://www.meiji-seika-pharma.co.jp/index.html>

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

大原薬品工業株式会社 早川穰様、春山雄史様

概要

本課題では、未だ国内外に明確な治療効果を示す肝硬変の抗線維化薬がないことを踏まえ、産学連携の下でC型及びB型肝炎ウイルスに起因する肝硬変治療薬(OP-724)の開発を目指す。具体的には、OP-724の抗線維化作用に基づく治療コンセプトの確認と、肝硬変病態の臨床エンドポイントに繋がる非侵襲的線維化マーカーの実用化により、OP-724の薬事承認の取得につなげることを目的とする。



写真左から 春山様、早川様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください —肝硬変の治療につながる新薬開発に寄与したい

肝硬変は、不可逆的で慢性的進行性の経過をたどる疾患です。当時、肝硬変患者を対象とした医師主導治験(Phase1 試験)が進められており、肝硬変が改善される可能性が見出されましたが、今後の実用化までに多額の開発資金が必要とされていました。このような中、これまで医師主導治験の計画・実施に携わっており、当社とも連携のあったアカデミアの先生方からCiCLEについて紹介を受けました。先生方と連携し、当社が開発を推進させるスキームにフィットすると考え、CiCLEに応募しました。

CiCLEだからこそ実現できること、 CiCLEのメリットとは何でしょうか？

—開発リスクを伴う新薬開発へのチャンレンジ、産学連携体制の構築による一体感の醸成

研究開発の推進という観点で、大きく3つのメリットを感じています。

1点目は、AMEDの他事業と比べ、長期間の研究期間・多額の研究費をご支援いただけることです。我々のような中小規模の製薬企業にとって、新薬開発全体を賄うことができる金額の支援は非常に心強いです。

2点目は、CiCLEでは定期的なPS/POへの報告、マイルストーン等に応じた中間評価など、密な進捗報告が求められることです。報告を通じてデータの客観性が担保され、開発戦略の見通しを把握できるだけでなく、客観的なデータ分析力、社内外調整力、プレゼン能力を中心とした能力開発にもつながっています。

3点目は、開発リスクを伴う希少疾患・難治性疾患の開発に取り組む機会、産学連携の機会が得られることです。特にご知見のあるアカデミアの先生方との共同研究を通じて、臨床の実態に即した薬剤開発を進められていると感じています。

CiCLEによって、開発リスクの大きい肝硬変の新薬開発に果敢にチャレンジすることができ、また産学連携で進めることで新薬開発に一体感が生み出されています。肝硬変に苦しむ患者様に1日も早く有効な新薬をお届けする後押しをいただいていると考えています。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—肝硬変に苦しむ患者様に対する治療と、経時的かつ長期のフォローアップの実現

肝硬変は、肝がんのリスクファクターであることが知られており、国内の統計データでは、がんを部位別でみると、生存率の低いがんのワースト3であることが報告されています。肝炎・肝硬変の原因の大半はC型肝炎ウイルス感染によるもので、直接作用型抗ウイルス薬(DAA)の誕生により、肝炎の治療が可能となりました。しかしながら、まだ肝硬変に苦しむ患者様は多く存在し、肝硬変そのものを治療することは難しく、治療薬開発は急務といえます。そのような中で、OP-724は、肝硬変の本質である肝線維化を改善する新薬として期待されています。

また、OP-724の肝硬変治療薬の開発を通じ、肝生検に代替可能な非侵襲的な肝線維化評価指標の確立も目指しています。肝線維化評価において昔から肝生検がスタンダードとして使用されていますが、侵襲的な検査のため経時的な有効性評価には不向きです。当社では、CiCLEの中で肝生検に代替できる非侵襲的な肝線維化評価指標の探索を実施しており、成功すれば、肝硬変の治療管理を経時的かつ長期にフォローアップできるようになると考えています。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—有望なシーズを埋もれさせないような応募機会の提供を

アカデミアが見出したシーズには有望なものはまだ隠されており、実用化できれば、その医薬品を必要としている患者様を救済することができます。CiCLEの長期かつ多額の資金援助により、日本発のアカデミアシーズの実用化に繋がり、日本の創薬力の発信につながると思います。

採択課題について、小児がんも含めた希少疾患や難治性疾患の採択課題数を拡大したり、公募機会も年数回に増やしたりするなど、有望なシーズが埋もれてしまわないように、より良い方向にCiCLEが発展することを期待します。

会社概要 大原薬品工業株式会社 OHARA Pharmaceutical Co.,Ltd.

- 設立: 1964(昭和39)年11月5日
- 本社: 滋賀県甲賀市甲賀町鳥居野
- 代表者: 代表取締役社長 大原 誠司
- 資本金: 27億7,080万円
- 事業内容: オーファンドラッグ、ジェネリック医薬品、原料医薬品の製造販売
- 従業員数: 464名(2021年3月31日現在)
- HP: <https://www.ohara-ch.co.jp/>

液相セグメント合成法による核酸大量製造法開発

株式会社ナティアス (旧 株式会社四国核酸化学)

株式会社ナティアス 片岡正典様、辻陽平様

概要

核酸原薬製造は、ヌクレオチド単量体を原料としてポリスチレンビーズ等の固相担体上で鎖長を伸長する単量体固相合成法によっておこなわれている。各社が開発を進める癌やウイルス性疾患を対象とする核酸医薬では、その患者数からトンオーダーの原薬製造が求められるが、単量体固相合成法では対応できない。本課題では、当社が核酸原薬の生産性向上を目的に開発した「液相セグメント合成法」の各工程を最適化し、トンオーダーの原薬製造に向けた製造試験を実施する。



写真左から 辻様、片岡様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください

—CiCLEによる長期的な研究開発費の確保と他企業との連携により、ベンチャー企業単体では実現困難な事業のビジネス化が可能に

CiCLE事業には、創業2年目に応募しましたが、当初我々が開発した核酸製造技術には多くの課題が残っており、簡単には採用してもらえないものでした。

その後、原料を見直し、それに最適化された核酸製造技術にアップデートすることで、成果の一部を上市することができましたが、一方で製造技術は短期的に大きなビジネスにならないことも実感しました。製造技術を早期にビジネスとするためには、核酸原薬の大量試験を実施し、技術のポテンシャルを示すことが必用であると感じ、改めてCiCLEの委託事業を活用して資金を調達することを計画しました。今回は我々の事業プランとCiCLEの支援プランが一致したことが採択につながったと考えています。CiCLE事業は返済義務があるとはいえ、中期的に大きな研究開発費が確保できるため、この機会を活かして製造技術ビジネスを成功させたいと考えています。

当社はアカデミア発の小さなベンチャーなので、自社だけで出来ることは多くなく、ましてや原薬の製造となると既存の事業会社との連携が重要です。今回のCiCLE課題では、自社に一番不足している、精製技術・装置の開発をおこなっている企業と良い形で連携できるのでありがたいです。

CiCLEだからこそ実現できること、CiCLEのメリットとは何でしょうか？

—AMEDによるシームレスで

手厚いサポートを得られていることを実感

CiCLE事業では、研究成果の事業化に向けて手厚いサポート(伴走支援)を受けていることを実感しています。伴走支援は、他の事業にない特徴的な支援だと言えます。大きな資金確保で研究開発が加速していることも実感しています。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—核酸製造技術によって国内の核酸医薬市場を活性化し、患者さんの負担を軽減するための創薬に貢献

この技術により、難病で苦しむ患者さんの負担が減ることに意義があると考えています。直接患者さんに届くものを開発しているわけではありませんが、製造技術の革新によって原薬品質、価格、生産性が改善し業界に貢献できると感じています。核酸医薬を含めて次世代医薬品はほぼ輸入に頼っていますが、当社技術によって国内の核酸医薬開発が活性化し、輸出産業に反転することを期待しています。

CiCLEで得られた成果を今後どう活かしていきたいですか？

—日本国内での核酸医薬市場活性化の起爆剤になり、核酸創薬ベンチャー起業促進のきっかけとなれば嬉しい

くり返しとなりますが、国内核酸医薬市場の活性化の起爆剤となれば嬉しいです。核酸医薬市場は小さな会社でも業界に爪痕を残せると感じています。市場が成熟していないので、技術によって大きな存在感を示せば、核酸医薬市場に様々なベンチャーが参入してくると思います。医薬品業界では、製造で活躍しているベンチャーは少ないと思いますので、物質供給を通して創薬に貢献し、当社も大きく発展できればと考えています。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—次世代医療や装置開発を手掛けるベンチャー向けの支援を重視してほしい

ベンチャーは大企業が実施しないビジネス領域をスピード感を持って開拓していく存在で、これによって市場が活性化します。ベンチャーにとっては開発費や事業開拓費を短期間で確保することが重要です。そういう意味でもViCLE事業をより拡張していただきたいです。とくに次世代医療や医療機器開発に関しては、ベンチャー企業が業界を助ける存在になるはずなので、もっともっとベンチャー向けの支援があると良いと思います。また、核酸医薬は欧米の創薬ベンチャーからの導出品ばかりなので、創薬ベンチャー向けの支援を重視していただきたいです。

会社概要 株式会社ナティアス

- 設立: 2015年(平成27年)10月2日
- 本社: 兵庫県神戸市中央区港島南町5-5-2 神戸国際ビジネスセンタービル3階353
- 代表者: 代表取締役 片岡 正典
- 資本金: 1000万円 (2022年2月1日現在)
- 従業員数: 14名 (2022年2月1日現在)
- 事業内容: 核酸APIおよびAPI製造用原料の製造・販売
- HP: <https://www.natias.co.jp>

スタートアップ型(ViCLE) 第4回公募採択課題

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

AlphaNavi Pharma 株式会社

AlphaNavi Pharma 株式会社 林洋次様、小山田義博様

概要

本課題においては、近年の研究により明らかとなった、ナトリウムチャネルの変異により引き起こされる難治性疼痛疾患を対象として、京都大学・秋田大学との連携により、詳細な疾患の調査・研究を行うとともに、その治療薬として、ナトリウムチャネル選択的阻害剤 ANP-230 の臨床開発を目指す。



写真左から 林様、小山田様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください

—産官学連携によって日本発の希少疾病用医薬品の開発を目指す

当社は、開発品の臨床開発を進めるために2019年に設立した創薬型スタートアップです。京都大学、秋田大学が見出した小児四肢疼痛発作症をターゲットに開発を進めています。

設立間もないスタートアップであるため、資金や人的リソースが潤沢にあるわけではありません。そこで、疾患概念解明や疫学調査はアカデミアと連携し、またAMEDからは資金や科学的助言をいただくという産官学連携によって、日本発の医薬品を開発するために応募しました。

CiCLEだからこそ実現できること、CiCLEのメリットとは何でしょうか？

—開発リスクが高い希少疾患領域の医薬品開発に対する手厚い支援がCiCLEならではの魅力

一般的に、投資を受けるには市場規模の観点から選別されますが、サイエンス、医療の必要性、社会的意義で評価される点はCiCLEならではの魅力です。

また、AMEDは患者数が少なく治療薬がない難病の疾患概念解明や治療薬の開発を進めています。企業としては、治療薬のない難病の開発は、一般的な医薬品と比較して開発リスクが高く、参入しにくい状況です。そうした領域に対して資金や科学的観点からの支援をいただける点が、企業にとって大変ありがたいと感じています。

特に、CiCLEでは、研究開発に対してPS、POの先生方から客観的なご意見をいただける点が良いと思います。開発企業は自信を持って進めているものの、やはり客観的な意見は大事だと感じています。

また、伴走支援については、会社に必要な規定の整備やマーケット調査など、定期的に支援いただけて助かっています。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—日本発の画期的な新薬によって、

希少疾患に苦しむ患者さんに希望を与えたい

治療薬のない希少な疼痛疾患に対する新薬の開発を進めて

いますが、POC(Proof of Concept)が確認できれば、患者さんにとって光明になると思います。資金に限られた海外の創薬型スタートアップではよく見られるRare to Common戦略のように、ターゲットを絞ったところでPOC確認した上で、より大きな市場の神経障害性疼痛に対する開発を進めていきたいと考えています。日本発の画期的な新薬が生み出せればと思っています。

CiCLEで得られた成果を今後どう活かしていきたいですか？

—CiCLEの成果を活かし、海外展開も視野に本剤の価値を最大化したい

CiCLEでは、第II相試験を実施してPOCを確認することをゴールとしています。その後、CiCLEの成果を活かし、国内の後期臨床開発を進めるとともに、海外展開も視野に入れて本剤の価値の最大化を図りたいと考えています。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—事業期間終了後も、実用化に向けたAMEDによる継続的なサポートが必要

ViCLEは期間の制限があります。ViCLEを成功させ、POC確認ができて、医薬品の実用化までにはまだまだ道のりが遠い状況です。

希少疾病用医薬品に対する支援はPMDA(独立行政法人医薬品医療機器総合機構)やNIBIOHN(国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所)も行っていますが、ViCLEの成果を実用化につなげるために、ViCLE終了後も引き続きAMEDに支援いただける枠組みがあるとありがたいです。

例えば、ViCLEの目標の達成をもって、また新たにViCLEに採用されたり、AMEDの他のプロジェクト・事業への採択につながるなど、継続的なサポートがあると良いと思います。

医薬品開発にかかる費用は年々高騰しています。米国のNIH(アメリカ国立衛生研究所)のグラントは非常に大きいので、同様にViCLEのグラントの額も手厚くなるとありがたいです。

会社概要 AlphaNavi Pharma 株式会社

- 設立: 2019年(平成31年)1月29日
- 本社: 〒564-0053 大阪府吹田市江の木町33番94号
- 代表者: 代表取締役 小山田 義博
- 資本金: 90百万円(2021年3月1日現在)
- 従業員数: 4人(2021年3月1日現在)
- 事業内容: 医薬品の研究、臨床開発、製造、輸入及び販売業
- HP: <https://www.alphanavi.com/>

新型コロナウイルスワクチンの開発

一般財団法人阪大微生物病研究会

一般財団法人阪大微生物病研究会 竹河志郎様

概要

代表機関である一般財団法人阪大微生物病研究会(以下、BIKEN財団)は、各分担機関(大阪大学微生物病研究所、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所、国立大学法人神戸大学、国立大学法人群馬大学、大阪大学先導的学際研究機構)と連携することで、Virus-like particle (VLP) ワクチン、不活化ワクチン、生ワクチン、遺伝子組換えワクチンなど複数の試作ワクチンの創製ならびに評価系を構築し、有効性・安全性の高い候補ワクチンを選定する。その後、BIKEN財団および株式会社BIKEN(本社:香川県観音寺市、代表取締役社長:上田善啓)において臨床試験の実施、生産体制の整備など一連のワクチン開発を進めていく。本事業を機に、新型コロナウイルス感染症に対するワクチンの研究開発のさらなる強化を図る。



竹河様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください —ワクチンの実用化を目指す上で産学連携によるCiCLEの枠組みがマッチ

新型コロナウイルス感染症が流行している中、ワクチンメーカーである我々が新型コロナウイルス感染症のワクチンおよび検査技術の開発について、大阪大学微生物病研究所、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所と連携して進めていく中(2020年3月発表)、中期的に、これらの協力機関と連携できる枠組みを検討していました。

公募では比較的短期的な枠組みが多い中で、CiCLEは中長期的な枠組みである点が特徴だと思います。また、企業主導で進めることができ、さらに複数の分担機関やアカデミアの方々と一緒に研究開発を進めることができる点も魅力でした。これらのCiCLEの特長(中長期的、企業主導で複数機関・アカデミアと連携、ゴールは実用化)は、今回の取り組みに活かせると考えて応募しました。なお、CiCLE採択を機に、本事業に新たな機関も加えることにしました。

CiCLEだからこそ実現できること、CiCLEのメリットとは何でしょうか?

—実用化をゴールとして中長期的にわたり支援してもらえる点が第一のメリット

5年以上の中長期的の枠組みである点が、おそらく他のファンドにはないところで、そこがやはり大きなメリットであると思います。CiCLEのように、企業主導のワクチン開発を後期フェーズまで支援してもらえる枠組みは少ないと思います。実用化をゴールとして中長期的に支援してもらえることが第一のメリットと感じています。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—1企業では実現できない、産学連携による幅広くかつ深い研究によって、有効性と安全性が高いワクチンを生み出したい

世の中の在り方を変えるような、かつてないウイルスである新型コロナウイルスが蔓延するなか、正直まだ分からないこと

が沢山ある状況ですので、長い目で見てしっかりとした研究をすることが大事だと思っています。すでに新型コロナウイルスに対するワクチンがいくつか出てきていますが、その一方で、このウイルスに対してしっかりとした研究を行い、幅広く使われるような安全なワクチンを作り出すことが我々の課題、命題であると考えています。

CiCLEという長期的な枠組みによって、様々なアカデミアの機関と連携してプラットフォームを構築し、1つの企業ではできない幅広くかつ深い研究ができると考えています。こうした研究を通じて、有効性と安全性が高いワクチンを生み出すことができるのではと考えています。

CiCLEで得られた成果を今後どう活かしていきたいですか?

—産学連携のプラットフォームを活かし新たなワクチン開発を進めていきたい

1つは、全世界の人々に使ってもらえるようなワクチンの実用化を目指すことです。もう1つは、共同研究機関との連携の枠組みと技術をプラットフォーム化し、新たなワクチン開発に活かしていきたいと考えています。今後新たな感染症が起きたときに、よりスピード感を持って産学連携のもとワクチンを開発していければと考えています。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—日本における産学連携体制構築の推進と、継続的な感染症研究支援に期待

今回、基礎研究を担うアカデミアやベンチャー企業との連携が課題だと感じました。AMEDやCiCLEを通じて、日本における産学連携体制の構築を推進してほしいと思います。さらに、基礎研究やベンチャー企業への支援も必要だと思います。感染症が起こってからではなく、日頃から継続的に支援していただける仕組みがあることが重要だと思います。この点に大いに期待しています。

会社概要 一般財団法人阪大微生物病研究会

- 設立: 1934年(昭和9年)6月6日
- 所在地: 大阪府吹田市
- 代表者: 理事長 山西 弘一
- 総資産額: 1,840億円(2021年4月1日現在)
- 従業員数: 898名(2021年4月1日現在・(株)BIKEN出向者含む)
- 事業内容: 微生物病に関する研究、ワクチンを含む生物学的製剤の製造及び販売、学術研究への助成、臨床検査
- HP: <https://www.biken.or.jp/>

医療用ブタ製造を目指した基盤整備

株式会社ポル・メド・テック

概要

再生医療等製品を開発する各企業(自社を含む)へ医療用ブタを用いて作出された移植用の臓器や組織を提供するために、各企業が使用できる医療用ブタの製造管理および品質管理の確立を目指す。

長嶋 比呂志 様(創業者 代表取締役 チーフサイエンティスト)



長嶋様

三輪 玄二郎 様(創業者 代表取締役社長)



三輪様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください —シード期のベンチャー企業でも、長期間の支援を受けられるのがCiCLEの魅力

ポル・メド・テックは、明治大学の研究成果を用いた明治大学発ベンチャー企業です。学術的な基盤は整っていましたが、事業化には、製造施設や体制の構築、パートナー企業や医療機関との連携等多くの課題がありました。これまで日米においていくつかの大学発ベンチャーの立ち上げに携わってきましたが、ベンチャー企業立ち上げ時のシード期の資金調達は米国でも困難な状況で、日本においてはより顕著です。このシード期の資金調達では、公的資金が大きな役割を負っていて、日本で活用できる公的資金はないかと探していたところ、CiCLEを見つけました。CiCLEは、単年度の資金ではなく長期間にわたって支援いただけること、委託期間終了後最大5年間は返済を猶予いただけることから、バイオベンチャーにとっては大変有用な制度設計になっており、CiCLEに応募することにしました。

CiCLEだからこそ実現できること、CiCLEのメリットとは何でしょうか？

—CiCLEでは事業化に必要な様々な課題に柔軟に対応いただける

当社のシーズの事業化には、製造施設や体制の構築、パートナー企業や医療機関との連携等多くの課題がありました。CiCLEでは、動物や試薬の購入などの通常の研究資金に加え、通常の公的補助金では対象となっていないような製造施設の構築まで対象とされています。これにより、事業化に必要な多くのことをCiCLEの計画書に落とし込むことができ、事業化が加速されると考えています。また、CiCLEに採択されていることにより、会社の信頼度が上がるというのもベンチャー企業にとっては大きなメリットです。公的ファンドを獲得できるということにより会社の信頼度が上がり、人材採用や他機関からの資金調達がしやすくなります。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—アニマルバイオテクノロジーを活用し、低コストで医療イノベーションを起こす

私たちは、アニマルバイオテクノロジーの医療への応用・実用化に取り組んでいます。米国ではブタの臓器・組織をヒトの医療に活用しようという話が昔からあり、30年間の研究が積み重なって実用化されようとしています。近年医療分野では様々なイノベーションが起こっていますが、イノベーションに

対する医療コストを社会が許容できるかという問題が生じています。私たちはブタを使うことで、イノベーションと医療コストの抑制の両方を実現できると思っています。

私たちが最初に目指しているのは膵島移植への応用です。あまり知られていませんが、膵島のβ細胞が破壊され内因性インスリンが枯渇している1型糖尿病のお子さんは毎日インスリンを投与しなければなりません。また高齢者の糖尿病患者さんがインスリンを投与するために入院している実情もあります。ヒトの組織を用いた膵島移植の効果は既に確認されており、それをブタの組織を用いて実用化できれば、医療コストを抑えながら多くの患者さんの治療に役立てることが出来ます。

CiCLEで得られた成果を今後どう活かしていきたいですか？

—様々な臓器への展開、そしてグローバル進出を目指す

CiCLEでは臨床応用に対応可能なブタ飼育環境を確立する計画です。CiCLEで構築したブタ飼育環境により作出された移植用の臓器や組織を自社販売、又は他社へ提供し、臨床研究やその先の企業治験までつなげていく予定です。さらに将来的には、日本国内だけでなくグローバルへの展開も考えています。糖尿病患者は世界中に存在し、メインのマーケットは日本国外にあります。日本は医薬品産業や医療機器産業について輸入超過になっていますが、日本から世界に輸出できるようなビジネスにしたいと考えています。また、腎臓移植への応用も計画しています。人工透析は患者の身体的負担のみならず、医療費の膨張が社会問題となっています。ブタの腎臓移植が実現することで、増え続けている人工透析患者を少しでも減らし、医療費削減につながればと思っています。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—ベンチャー企業に知見のない”霞が関の歩き方”をご指南いただきたい

AMEDは関係各省庁から精鋭が集まった司令塔という目的で設立されたと理解しています。ベンチャー企業は大企業と異なり、個々のトピックについてどの省庁に問い合わせれば良いか、判断できません。例えばブタの医療への応用であれば厚生労働省に加えて農林水産省も関係してくるのか、輸出入となると経済産業省も関係してくるのか、ベンチャー企業では社内に経験者がいないため、AMEDより案内していただくと大変助かります。

会社概要 株式会社ポル・メド・テック PorMedTec Co., Ltd.

- 設立: 2017年(平成29年)2月
- 本社: 神奈川県川崎市多摩区三田 明治大学地域産学連携研究センター
- 代表者: 代表取締役 長嶋 比呂志 代表取締役社長 三輪 玄二郎
- 資本金: 1.5億円
- 従業員数: 10名(役員除く) (2021年11月現在)
- 事業内容: 医療用ブタによる臓器移植・再生医療事業、疾患モデルブタの製造販売事業、技術サービス事業
- HP: <https://pomedtec.com/>

スタートアップ型(ViCLE) 第5回公募採択課題

TMEM180を高発現する大腸がんにも有効な新規ヒト化抗TMEM180抗体の開発

株式会社凜研究所

株式会社凜研究所 松村保広様

概要

薬物治療のオプションが少ない大腸がんにおいて新たな治療選択肢となり得る抗TMEM180抗体の開発を目指す。抗TMEM180抗体の事業化に向けて重要な開発工程である、GLP安全性試験等の非臨床開発から、コンパニオン診断薬開発、GMP治験薬製造、第I相試験(POC確認)までを実施する。



松村様

CiCLEに応募した経緯・目的について教えてください —日本発・世界初の抗体医薬品による大腸がん治療薬の実用化を目指す

新規に見出した大腸がんにも高発現する12回膜貫通タンパクであるTMEM180に対する抗体の実用化に向けて、非臨床試験ならびにphase1試験を実施するためにCiCLEに応募しました。本抗体は国立がん研究センターにおける研究成果であり、早期に実用化を実現させ、国民に還元したいという思いがありました。

しかしながら、新規の抗体であることと、12回膜貫通タンパクの抗体など過去に例がなく、大手製薬企業の投資判断が慎重であり、臨床試験実施前の早期の企業導出は困難で、自分達で臨床試験を実施する必要がありました。また、抗体医薬品は低分子医薬品と比較して多額の臨床試験費用が必要となることから、ベンチャーキャピタル以外からも資金を調達する必要があり、CiCLEに応募しました。CiCLEに採択されたことで、phase1試験までの資金が確保でき、開発を進められています。

CiCLEだからこそ実現できること、CiCLEのメリットとは何でしょうか？

—日本の基礎研究成果を実用化まで進め、患者さんに還元することをサポートいただけるのがCiCLE事業

米国では、アカデミアに対する研究開発資金援助が豊富であること、またベンチャーエコシステムが形成されていることから、アカデミアの研究成果を実用化まで進める基盤が整っています。

一方、日本においては、まだその土壌はありません。日本は基礎研究が優れていると言われてはいますが、その研究成果を実用化するには、国の支援が必要であり、その役割を担っているのがAMEDだと考えています。

また、製薬企業のデューデリジェンスには多くの時間がかかり、また大企業であることからどうしてもリスクを避ける傾向にあります。CiCLEでも厳しい審査はありますが、評価・決断は早く、AMEDが研究開発リスクを分担するスキームとなっているため、日本発・世界初の医薬品を実用化させたいと思っているベンチャー企業にとっては、大変ありがたい事業です。もちろん、その分応募機関は責任感を持って、開発を進める必要があると考えています。

採択課題の社会的な意義や期待される効果について教えてください

—がん細胞に特異的に発現する分子が標的であるため、副作用の少ない大腸がん治療薬が期待できる

大腸がんは、抗体医薬品も含めて多くの治療薬が開発され、治療の選択肢は広がっています。しかしながら、延命効果を考えるとまだまだメディカルニーズはあり、新しい治療法が必要とされています。抗体医薬品の中には、正常な幹細胞の分裂まで抑制するものもありますが、TMEM180はがん細胞に非常に特異的に発現しているため、抗TMEM180抗体は副作用が少ないことが期待されます。そのため、大腸がん治療の有効な選択肢となると考えています。また、TMEM180は、大腸がんだけでなく、卵巣がんや乳がん、膵がん等でも発現しており、それらががんへの適応拡大も今後期待されます。

CiCLEで得られた成果を今後どう活かしていきたいですか？

—CiCLEでの経験・ノウハウを次のパイプラインの開発に活かし、研究シーズの早期実用化に繋げる

今回のシーズについては、CiCLEでphase1試験まで実施し、用量を決定し、既存治療で効果のない患者における有効性を確認することまでが当社の仕事だと思っており、phase1試験の結果をもって、国内外問わず大手製薬企業に導出したいと考えています。今回のCiCLEでの経験を次のパイプラインの開発に活かし、より早期に実用化させたいと考えています。また、当社だけでなく、抗体医薬品を研究開発する他の研究者にとっても有益な情報が発信できればと思っています。

CiCLEやAMEDへの期待やご要望があれば教えてください

—深いサイエンスに基づいた革新的な医療技術の支援を今後も続けてほしい

AMEDは単なる学術的な基礎研究ではなく、研究成果を実用化させることで国民に還元することを念頭に置いています。AMEDのクライテリアは厳しいですが、採択され資金を獲得できれば、研究シーズは実用化に向かっていきます。是非多くの研究者に活用いただきたいと思っています。

AMEDにおいては、一時的な潮流に流されず、特定分野・モダリティに集中することなく、日本発・世界初の革新的な医療技術の実用化に向け、深いサイエンスに基づいて審査・評価を実施いただきたいと思っています。

会社概要 株式会社凜研究所 RIN Institute Inc.

- 設立: 2016年(平成28年)1月21日
- 本社: 東京都中央区新富2丁目5番10号新富ビル3階
- 代表者: 代表取締役社長 吉松 賢太郎
- 資本金: 1,009,680円
- 従業員数: 7名(役員除く)(2021年12月31日現在)
- 事業内容: 抗体を主体とした医薬品及び体外診断用医薬品の研究開発
- HP: <https://rinmab.co.jp/>

〒100-0004

東京都千代田区大手町1丁目7番1号 読売新聞ビル21F

国立研究開発法人日本医療研究開発機構
革新基盤創成事業部

E-mail : cicle-ask@amed.go.jp



CICLE

