

# 創薬ブースター 各ステージにおける支援内容

基礎研究

標的特定

標的検証

アッセイ系・評価系構築

スクリーニング

リード探索

構造最適化

前臨床開発<sup>※1</sup>

P1

P2

P3

## 検証ステージ

標的検証～リード物質の特定

### ステージI

アイデアの検証  
原則1年

アイデアが創薬研究につながることを検証する

- ◆ これから創薬研究に取り組もうとする研究者も支援
- ◆ 新しい機能分子やパスウェイ等の創薬のアイデアを基にした標的探索

【実験調査費の目安】  
8百万円程度/年

### ステージII

標的妥当性の検証  
原則2年

標的の疾患妥当性を検証する

- ◆ 標的分子とヒト疾患との関連検証
- ◆ HTS系他、アッセイ系の確立
- ◆ 遺伝子変異細胞/動物を用いたin vitro/in vivo薬効検証
- ◆ Preリードバイオ医薬品の作製とin vivo薬効の検証
- ◆ PDマーカー探索

【実験調査費の目安】  
1.5千万円程度/年  
+研究計画に必要なCRO費

### ステージIII

有用性の検証  
原則3年

既存治療法、先行開発品に対する優位性をin vivoで検証する

- ◆ 疾患妥当性の高い病態モデルで薬効の有用性を検証
- ◆ 外部委託等によるHTSの実施
- ◆ 構造展開ユニット等によるリード物質選定のための初期合成展開の実施
- ◆ リードバイオ品の選択
- ◆ 標的分子への親和性・特異性
- ◆ 標的組織及び正常組織での反応性
- ◆ げっ歯類・非げっ歯類での反応性
- ◆ ADMET試験、DDSの検討

【実験調査費の目安】  
2千万円程度/年  
+研究計画に必要なCRO費

## 候補物質特定ステージ

臨床開発候補物質の特定  
～前臨床開発<sup>※1</sup>

### ステージI

リード物質の最適化  
原則2年

臨床試験に進むことができる産業界水準の候補物質を見出す

- ◆ 臨床開発候補品の取得
- ◆ 構造展開ユニット等による構造最適化
- ◆ リードバイオ品の最適化
- ◆ 疾患モデルでの薬効評価
- ◆ CROにて、非GLP予備安全性試験、薬物動態試験等を実施

【実験調査費の目安】  
3千万円程度/年  
+研究計画に必要なCRO費

### ステージII<sup>※2</sup>

前臨床開発<sup>※1</sup>  
原則2年

臨床開発候補物質に対する前臨床開発の実施

- ◆ GLP試験やGMP製造等の前臨床開発をCRO等にて実施
- ◆ 前臨床における最終開発候補品を評価・決定

【実験調査費の目安】  
2千万円程度/年+研究計画に必要なCRO費

【モダリティ】 低分子化合物、中分子(ペプチド等)、天然物、核酸、抗体、細胞治療、遺伝子治療等

【対象疾患領域】 がん、難病・希少疾患、肝炎、感染症、糖尿病、脳心血管系疾患、精神神経疾患、小児疾患等

※1 前臨床・最終開発候補品を評価・決定する段階

※2 医薬品開発にはスピードが重要なため、早期の医薬品開発・製品化を目指して、候補物質特定ステージIIは、共同研究/導出先の企業において実施することを原則としています。但し、超希少疾患等、市場性が比較的小さい対象疾患については、創薬ブースターで支援を行う場合があります。