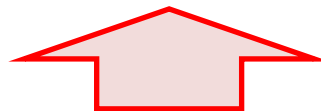


創薬支援NWの創薬指向型プラットフォーム（理研）



産・学の創薬研究における様々なギャップ（死の谷）を超える



実用化の観点でアカデミアシーズが抱える課題	創薬NWが提供するSolution	創薬支援NWの技術
標的分子に対する最適ヒット化合物がとれない	標的分子構造設計及び化合物データ情報（ADMETなど30項目程度）に基づくインシリコヒット化合物構造創製法の提供	DAIIA-創薬AIプラットフォーム
疾患セグメント群における標的遺伝子の妥当性が分からない	患者セグメント群における最適標的遺伝子の解析及び同定法の提供	富岳を用いた創薬DXプラットフォーム
疾患セグメント群における新規薬剤候補分子の妥当性が分からない	数十億化合物ライブラリーを用いたDockingシミュレーションと生成モデルによる中・高分子リード化合物創製法の提供	富岳を用いた創薬DXプラットフォーム
標的分子機能を制御する低分子ヒット化合物を効率的に取得したい	ハイスループットスクリーニング系のデザインや構築法、及び、標的蛋白構造解析とシミュレーションに基づく低分子化合物探索・設計法の提供	低分子創薬関連技術
自研究室のデータの再現性・妥当性を担保したい	由来が明確な高品質バイオリソース（マウス、細胞株、疾患由来iPS細胞、患者由来組織、遺伝子、微生物）の提供	創薬研究に資するバイオリソース
臨床予測性の高い疾患モデル系がない	疾患患者由来iPS細胞や疾患オルガノイド、遺伝子改変動物を用いた標的検証法の提供	臨床予測性の高い標的分子機能検証技術

理化学研究所の創薬関連技術

技術領域	理研から技術提供・支援可能な技術 (赤字は開拓中の技術)	参照
創薬AI技術	- DAIIA-創薬AIプラットフォームを用いた低分子リード化合物の設計（薬効・ADMET含む） - 創薬DXプラットフォームによる標的探索・分子メカニズム解析 - AI・シミュレーションによる中・高分子のリガンド構造生成	- 図 1 - 図 2 - 図 2
低分子創薬関連技術	- ハイスループットスクリーニング（HTS）系のデザイン及び構築 - 標的タンパク構造解析とシミュレーションに基づく化合物探索・設計	https://www2.riken.jp/dmp/platform/seed_cm_pds_exp.html https://www2.riken.jp/dmp/platform/structural_biology.html
標的分子機能検証の技術	- 創薬研究に資する高品質なバイオリソース（遺伝子・微生物・iPS含む細胞・モデルマウス等）の提供 - 遺伝子改変動物を用いた新規創薬標的分子の疾患関連性評価 - 患者iPS細胞から作製したオルガノイド等を用いた標的分子の検証や創薬への活用	- 図 3 - 図 3 - 図 4

DAIIA-創薬AIプラットフォームを用いた低分子シード化合物の設計 (理研)

図 1

DAIIA-創薬AIプラットフォーム

AMED DAIIAの創薬AIプラットフォーム（数百種類以上のターゲット親和性予測、30項目程度のADMET予測、構造生成AIによる複数項目の同時最適化）を用いた低分子シード化合物の設計

17社の製薬企業からのデータ 公共データ

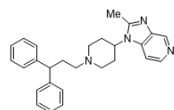
統合データベース

病気の原因への作用・副作用の予測AI

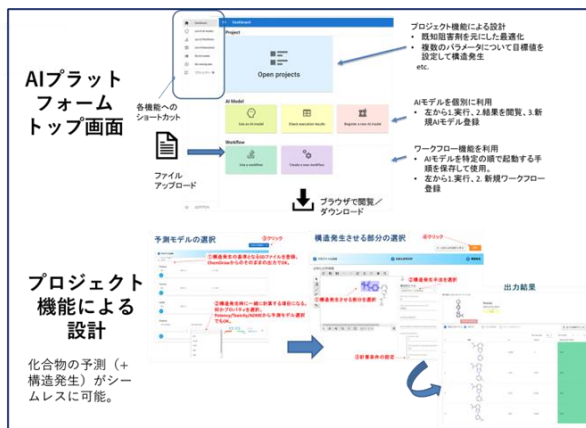
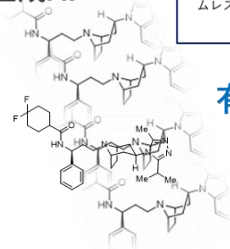
薬物動態・毒性予測AI

化学構造式の生成AI

初期のヒット



有望な医薬候補品



創薬DXプラットフォームによるターゲット探索/薬剤分子設計（理研）

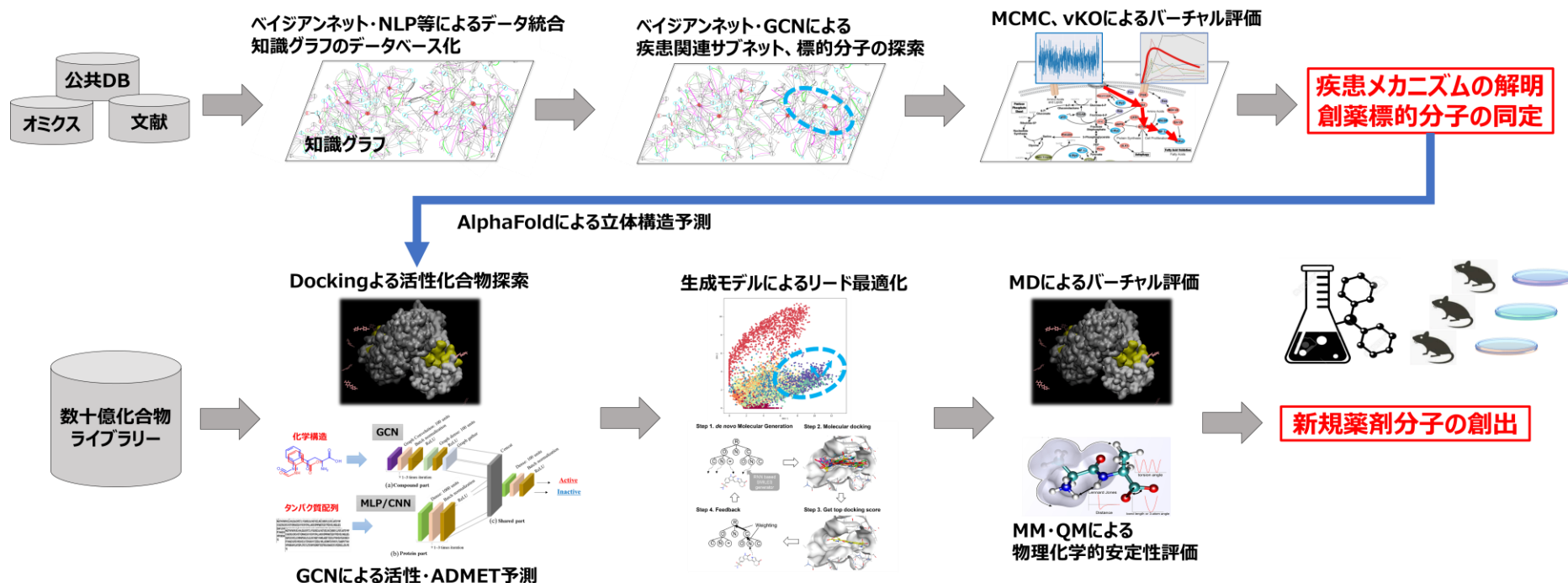
図 2

創薬DXプラットフォーム



- 「創薬ターゲット探索」⇒「リード化合物創出」に至るHPC/AIフローを構築
- 「富岳」を中心に、HPC/AIフローの自動化を図ることで、創薬の超効率化を実現

創薬ターゲット探索： 疾患名・患者サンプルデータ等を入力して、疾患メカニズムや標的タンパクを推定するHPC/AIフロー

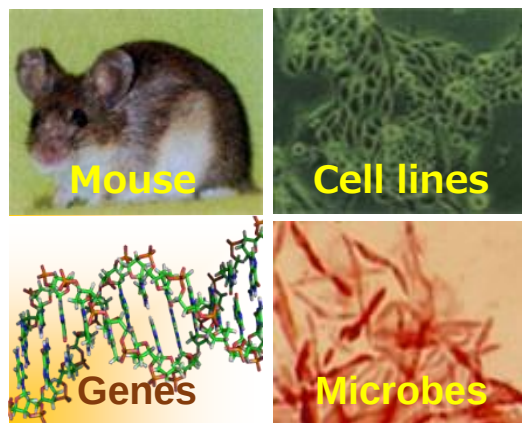


薬剤分子設計： 標的タンパク質名を入力して、薬剤分子を推定するHPC/AIフロー

高品質バイオリソースの提供/モデル動物の作出・評価技術（理研）

図3 創薬研究に資する高品質なバイオリソースの提供および 遺伝子改変動物を用いた新規創薬標的分子の疾患関連性評価

疾患モデルマウス・疾患特異的iPS細胞株をはじめ提供可能な有用バイオリソース

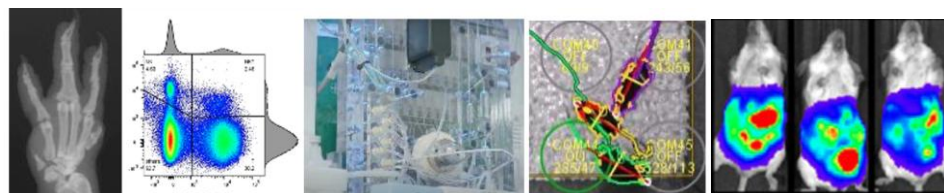
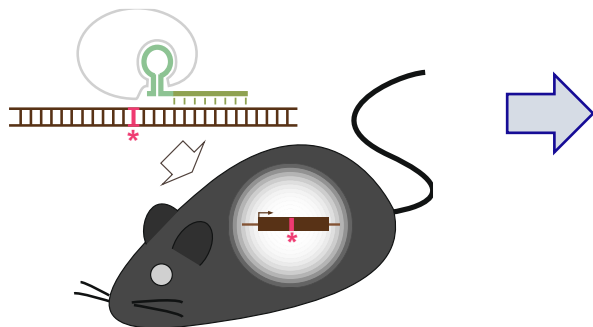


マウス：6,598系統
細胞：3,296株株
(iPS細胞：911株 [疾患数236]、
疾患由来：810株、健常人由来：101株)
遺伝子：2,357,171クローン
微生物：21,985株

変異導入等の遺伝子改変マウスの作出と表現型解析による個体レベルでの検証

ゲノム編集によるヒト疾患変異の導入

国際標準プラットフォームによる疾患表現型解析



表現型網羅的解析基盤『日本マウスクリニック』
(700以上の検査項目を実施)

疾患オルガノイド作製技術（理研）

図 4

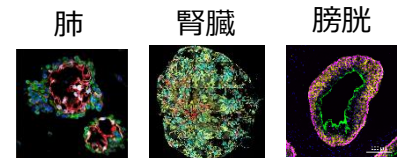
AI・ロボティクスを活用した疾患オルガノイドの作製と 標的分子の機能解析や創薬への活用

赤字： 理研の基盤技術を用いて
共同開発できる項目



期待される成果

● 各種疾患オルガノイドの作製



(既存のオルガノイドの例)

- 分化条件検討の難しい、疾患iPS細胞からオルガノイドへの誘導条件検討を自動化
- スクリーニング等に利用できる均一かつ高品質のオルガノイド大量生産の実現
- 動物実験代替ツールとしての活用
- 疾患の原因となる多様な遺伝子変異をオルガノイド上で再現