

「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業」 令和9年度公募

「アンドラッグابل標的創薬基盤技術を用いた 医薬品研究開発」領域

公募概要資料

創薬事業部 医薬品研究開発課

「次世代治療・診断」事業担当

2026年10月

アンドラッグابل標的創薬基盤技術を用いた医薬品研究開発 公募概要 要約



- 公募研究開発課題；アンドラッグابل標的医薬品の研究開発
MoAとしては、TPD／TPD以外のどちらでも可
- 創薬を目指した研究開発を実施、そのための基盤技術開発・モダリティ開発
単なる基盤技術開発、創薬モダリティ開発のみは不可
- アンドラッグابل標的タンパク質に対する創薬
標的として、タンパク質以外は不可
- 研究開発対象とするアンドラッグابل標的タンパク質をあらかじめ同定
対象疾患、同定の経緯、なぜアンドラッグابلタンパク質なのか、を提案書に記載
- 「ヒット化合物」、「リード化合物」、「開発候補化合物」の定義明確化
- 創薬モダリティの要件を明示
- #2 リード化合物最適化ステージに応募の場合、取得済みヒット化合物が必要
ヒット化合物のデータを提案書に記載
- 提案時にTarget Product Portfolio（TPP）の提出必須（書式自由）
- 課題実施体制内に、製薬企業経験者等のアドバイザー参画必須
創薬を実施するための伴走支援機能を課題内に組み込む
- 各公募研究開発課題における達成目標（ゴール）を明示
詳細は次ページ

● 公募研究開発課題：アンドラッグابل標的医薬品の研究開発

#1 ヒット化合物同定ステージ：ゴール/ヒット化合物の同定を完了し、さらに構築された戦略に基づいたリード化合物創製を完了している

【目標】

中間評価時； 最低目標/ヒット化合物同定完了

期待・理想目標/リード化合物創製に着手

終了時； 最低目標/リード化合物創製完了

期待目標/リード化合物最適化に向けた道筋の明示

理想目標/臨床候補化合物特定に向けたリード化合物最適化の実施

#2 リード化合物最適化ステージ：ゴール/同定済みのヒット化合物を起点として、リード化合物創製と最適化を経て開発候補化合物を特定している

【目標】

中間評価時； 最低目標/リード化合物創製完了

期待・理想目標/臨床候補化合物特定に着手（リード化合物最適化実施）

終了時； 最低目標/リード化合物最適化を完了し、開発候補化合物を特定

期待目標/開発候補化合物の非臨床試験プランの明確化

理想目標/非臨床試験の実施

アンドラッグابل標的創薬基盤技術を用いた医薬品研究開発 公募概要

各公募研究開発課題の説明とスケジュール



#	公募研究開発課題	研究開発費*1の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施 予定期間	新規採択 課題予定数
1	アンドラッグابل標的医薬品の研究開発 (ヒット化合物同定ステージ：ゴール/ヒット 化合物の同定を完了し、さらに構築された 戦略に基づいたリード化合物創製を完了し ている)	1 課題あたり年間 100百万円 (上限)	令和9年度～ 令和13年度末	0～5課題
2	アンドラッグابل標的医薬品の研究開発 (リード化合物最適化ステージ：ゴール/ 同定済みのヒット化合物を起点として、リー ド化合物創製と最適化を経て開発候補化 合物を特定している)	1 課題あたり年間 200百万円 (上限)	令和9年度～ 令和13年度末	0～3課題

提案書類の受付期間・選考スケジュール

提案書類受付期間	令和8年10月13日(火)～令和8年11月10日(火)【正午】(厳守)
書面審査	令和8年11月下旬～令和8年12月下旬(予定)
ヒアリング審査	令和9年2月上旬(予定)
採択可否の通知	令和9年3月上旬(予定)
研究開発開始	令和9年4月中旬(予定)

- (補足)公募要領 要点

● 公募研究開発課題：アンドラッグブル標的医薬品の研究開発

#1 ヒット化合物同定ステージ：ゴール/ヒット化合物の同定を完了し、さらに構築された戦略に基づいたリード化合物創製を完了している

【目標】

中間評価時； 最低目標/ヒット化合物同定完了

期待・理想目標/リード化合物創製に着手

終了時； 最低目標/リード化合物創製完了

期待目標/リード化合物最適化に向けた道筋の明示

理想目標/臨床候補化合物特定に向けたリード化合物最適化の実施

#2 リード化合物最適化ステージ：ゴール/同定済みのヒット化合物を起点として、リード化合物創製と最適化を経て開発候補化合物を特定している

【目標】

中間評価時； 最低目標/リード化合物創製完了

期待・理想目標/臨床候補化合物特定に着手（リード化合物最適化実施）

終了時； 最低目標/リード化合物最適化を完了し、開発候補化合物を特定

期待目標/開発候補化合物の非臨床試験プランの明確化

理想目標/非臨床試験の実施

● 提案者は研究開発対象とするアンドラッグブル標的タンパク質をあらかじめ同定

✓ アンドラッグブル標的タンパク質の定義

- 活性部位に、低分子化合物の結合するポケットがない／小さい、ポケットが低分子化合物の結合に適さないなど、従来の低分子化合物相互作用による薬効を望めないタンパク質
- タンパク質間相互作用において、相互作用表面が広くフラットであるなど、低分子化合物の結合が困難で薬効を望めないタンパク質
- タンパク質、あるいはタンパク質を含む複合体の立体構造が不明で、構造ベースによる創薬（合理的な化合物設計）が困難なもの
- 天然変性タンパク質のように特定の構造をとらない等のため構造解析が困難で、その結果構造ベースによる創薬（合理的な化合物設計）が困難なもの

✓ 対象疾患の原因として既に提案者が同定済みのアンドラッグブル標的タンパク質を研究開発対象とする

✓ アンドラッグブル標的として既知のタンパク質でも問題なし

✓ 研究開発対象とするアンドラッグブル標的タンパク質の対象疾患、同定の経緯、なぜアンドラッグブル標的タンパク質であるかの合理的な理由、の3点を記載

● 「ヒット化合物」、「リード化合物」、「開発候補化合物」の定義明確化

✓ ヒット化合物の定義

- POIに作用する
- 適切な複数のin vitroアッセイにおいて適切な濃度（おおよその目安としてAC50が20uM以下）にて、期待する薬理作用を持つ化合物構造
- 原理の異なる複数のアッセイで、再現性及び濃度依存性が確認
- POIに対する高い選択性はこの段階では必須ではないが、選択性を出せることが期待できる薬理データを持つ（Nice to have）
- Pan-Assay INterferenceS substances（PAINS）等の医薬品開発として発展性のない構造を持たない（Nice to have）
- 構造類似化合物での、Structure Activity Relationship（SAR）を持つ化合物構造として同定
- 薬理活性向上や毒性低減等に向けた構造展開性が示されている（Nice to have）

● 「ヒット化合物」、「リード化合物」、「開発候補化合物」の定義明確化

✓ リード化合物の定義

- ・ ヒット化合物を合成展開し、POIに対して再現性のある高い活性を持ち、医薬品として上市できるプロファイルを満たす可能性を持つ化合物構造
- ・ 良好な細胞膜透過性
- ・ CYP阻害・誘導の懸念がない
- ・ 良好な代謝安定性
- ・ 細胞アッセイや疾患モデル動物での再現性ある高い薬効及び濃度依存性
- ・ 対象疾患に応じた許容範囲内の毒性（特に遺伝毒性や心毒性がないこと）
- ・ モデル動物または細胞で作用機序（MoA）に基づくPDマーカーの変化
- ・ 標的ではないタンパク質に対する許容範囲内の選択性
- ・ 化学構造の新規性、合成・製造の容易性、化学的に安定、等
- ・ 事前に作成したTPPを満たすことが期待できる化合物
- ・ リード化合物の段階で多少の問題点は許容。ただし開発候補化合物を目指したリード化合物最適化に向けて、問題点の把握及び構造展開による解決の方向性が定まっている

* 通常、プロジェクトに対しリード化合物（構造）は1～数個であり、その後リード化合物最適化に進める

● 「ヒット化合物」、「リード化合物」、「開発候補化合物」の定義明確化

✓ 開発候補化合物の定義

- リード化合物をもとに、リード化合物最適化プロセスを経て一つに決定された化合物
- 毒性やADME、物性等の非臨床試験を行い、臨床試験に向けた製剤開発を行う化合物
- 対象疾患に対しての十分な薬理活性
- 選択性の確保
- 疾患モデル動物での薬効
- 良好なADME/PK（吸収性、半減期、体内分布等）
- 初期安全性を満たす
- 医薬品として化合物開発の見通しが立っている（物性、製造、製剤、構造新規性）等

✓ 非臨床試験を経て臨床候補化合物（Clinical Candidate）が決定

● 創薬モダリティの要件を明示

- ✓ 化学合成可能な低中分子化合物、天然物及び天然物由来化合物等を想定
- ✓ アンドラッグブル標的タンパク質に対して作用することが想定できる創薬モダリティ
- ✓ 本事業領域において新しい送達技術の研究開発等は対象外
- ✓ 細胞内のPOIを核酸やペプチド等、一般的に細胞内への送達が困難とされる創薬モダリティを用いて提案を行う場合は、それらが細胞内に送達でき、薬理作用を持つことを示すデータを提案者自身が事前に有していること
- ✓ 以下の提案は対象外
 - ・ 核酸を標的とした一般的なアンチセンスやsiRNAなどの核酸医薬品
 - ・ 細胞外分泌タンパク質や膜タンパク質を標的にした抗体医薬品
 - ・ 一般的な遺伝子治療（野生型タンパク質発現）、ベクター等のデリバリー技術開発
 - ・ 遺伝子変異修復を行うようなゲノム編集等
 - ・ Drug Delivery System（DDS）の研究開発
- ✓ TPDの場合
 - ・ 従来技術やリガンド、リンカー等を用いる場合は、新しい技術と組み合わせるなど、現状の課題を克服する新しい技術開発を含む医薬品の研究開発の提案に限り対象
 - ・ 提案する課題の従来技術との違いを適切に説明

● Target Product Portfolio (TPP)

- ✓ 書式自由、応募時の提出が必要
 - 新薬開発の設計図と言える文書
 - 開発の初期段階から当該医薬品候補が目標とする製品の特徴を記述
 - 医薬品の添付文書に記載される内容を想定
 - 「効能・効果」、「対象患者」、「非臨床及び臨床での有効性、その評価指標（エンドポイント）」、「安全性」、「投与期間」、「投与経路」、「用法・用量」、「剤型・規格」、「原薬の製造方法」等
 - 既存治療薬との比較
 - 必達目標や努力目標などの分類で記載（例；Must/Nice to have/Ideal）
 - 必要に応じて薬価や製造コスト、市場性とその獲得率等を踏まえた事業性評価
- ✓ TPPは医薬品としての製品の特徴そのものであり、適応症や創薬モダリティにより記載する項目やその方法は異なる（そのため書式は自由）
- ✓ 開発のステージや医療状況によって書き換えることが前提
- ✓ 応募時において記載できない内容は空欄でも可
- ✓ 記載参考資料

● Target Product Portfolio (TPP) cont

✓ 記載参考資料

- 企業が目指す医薬品候補物質の科学的・実務的要件 ～Target Product Profile (TPP) の記載について～ | 研究開発委員会 | 日本製薬工業協会：
<https://www.jpma.or.jp/information/research/TPP/index.html>
- Target Product Profileテンプレート (AMED HP掲載) :
<https://view.officeapps.live.com/op/view.aspx?src=https%3A%2F%2Fwww.amed.go.jp%2Fcontent%2F000111453.docx&wdOrigin=BROWSELINK>

アンドラッグブル標的創薬基盤技術を用いた医薬品研究開発 令和8年度公募と令和9年度公募 比較表



	令和8年度公募		令和9年度追加公募	
公募研究開発課題	# 1 ～ 6		# 1, 2	
	最先端基盤技術 MoAがTPD MoAがTPD以外	ヒット化合物同定ステージ リード化合物最適化ステージ	3区分は無し ゴールを明示	ヒット化合物同定ステージ リード化合物最適化ステージ
	合計13課題程度採択		合計6課題程度採択	
アンドラッグブル標的	標的（オルガネラ等を含む）のアンドラッグビリティを明瞭に説明できればタンパク質以外も可		タンパク質に限定 他の生体成分（例えばmRNA）との複合体も可とするが、タンパク質に作用すること	
語句の定義	（特に規定なし）		ヒット化合物、リード化合物、開発候補化合物をそれぞれ定義	
創薬モダリティ	中低分子、天然物、その誘導体等 抗体、核酸、遺伝子導入も可、この場合は細胞内の標的に対して作用すること		中低分子、天然物、その誘導体等 細胞内標的の場合、核酸やペプチドなど一般的に細胞内への送達が困難なモダリティの場合は、送達が可能である実データ保有が必須	
ヒット化合物同定ステージのゴール（一部省略）	中間評価 ； HTS系樹立、スクリーニング実施、ヒット候補取得・ヒット化合物取得 終了時 ； in vitroアッセイで想定作用機序による活性のあるヒット化合物の取得		中間評価 ； 最低目標/ヒット化合物同定完了 期待・理想目標/リード化合物創製を完了 終了時 ； 最低目標/リード化合物創製完了 期待目標/リード化合物最適化に向けた道筋の明示 理想目標/臨床候補化合物特定に向けたリード化合物最適化の実施	
ヒット化合物同定ステージのゴール（一部省略）	中間評価 ； H2L戦略樹立、リード化合物取得、モデル細胞アッセイで想定作用機序による活性化化合物の取得、動物モデルでの薬効・毒性評価、バイオマーカー検討 終了時 ； 動物モデルで想定作用機序に基づいた活性のあるリード化合物の取得		中間評価 ； 最低目標/リード化合物創製完了 期待・理想目標/臨床候補化合物特定に着手 終了時 ； 最低目標/リード化合物最適化完了、開発候補化合物特定 期待目標/開発候補化合物の非臨床試験プラン明確化 理想目標/非臨床試験の実施	
TPP	（特に規定なし）		必須（様式自由）	
伴走支援体制	（特に規定なし）		製薬企業出身者等の創薬経験者の参加必須	