

平成28・29年度 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業 小柳 班
(受託機関 京都大学大学院医学研究科)



平成30年度—令和3年度
橋渡し研究 戦略的推進プログラム
拠点間ネットワーク 人材育成事業
(担当拠点 筑波大学)



Start with the End in Mind

2024年2月16日

ヘルスケアスタートアップ等の振興・支援策検討プロジェクトチーム

京都大学医学部附属病院 特定教授

先端医療研究開発機構(iACT) ビジネスディベロップメント室長

一般社団法人LSP 代表理事

小柳 智義 博士 (理学)

ご提案

Research

- **Bench to Bedside**、
種々の支援体制を含
めた現状の日本のエ
コシステムの**建前を
取り払った実態調査**
- **ビジネス面**に注目し
**Translational Research
を再設計**

**製品につなげるため、
高い目標設定が必要！**

Digital, Biospecimen

- **医療情報**・デジタル
技術、**生体試料**の活
用
- **データの二次利用**の
ルール整備

**急務！
即効性が期待！**

Derisk

- 手が届きにくいアー
リな技術への**適切な
技術評価**と、開発に
対する**リスク低減**
(リスクの管理) の
概念の普及と、適切
な投資体制の整備。

**適切な知財確保
魅力的な市場を
コミット！**

Education

- **教育プログラム、ア
クセラレータ、イン
キュベータ**を再整備
し、アカデミア技術
からの **Venture
Creation**、大企業か
らの**カーブアウト**を
促進する

**でもしか
ベンチャーから
計画的な育成へ！**

スタートアップ関係者の声

1. またか...
 - これまで何度も意見を聞かれたが、**変わらなかった。**
2. **製品を出したスタートアップにヒアリング**し、本当の課題から打ち手を考えてほしい
 - 現行の**薬価制度**は国内市場の魅力を損なっており、**スタートアップのビジネスモデルの魅力も削いでいる。**
 - 海外では求められない**日本だけが求める臨床試験**をやめてほしい。
 - 海外では承認されているが日本では**臨床試験が失敗したケースの原因**は？
 - 企業タイアップ型の**医師主導試験から承認申請**を出すためのルール作りに対して、産学官でそれぞれ何ができて足りないパーツは何かを調査する

既存のスタートアップ支援体制について

1. 支援プログラムの課題

- **専門性のないコンサル**をやめてほしい。必要以上に手間がかかり、場合によっては**適切でないアドバイザー**の紹介を受けることになる。一応時間を取って対応するが、無理をして別の人脈を紹介されてさらに負担が増えることが多い。
- プログラムの特性、期間にあわせて資料作成やピッチ、作業が発生するので、**望まないピッチや面談が増え**て開発に時間がかけられない。

2. 多産多死からポートフォリオマネジメントへ

- Holdings形式核となるベンチャーの傘下に複数のプロジェクト（SPCなど）を置いて、**Holdingsを支援**する方式に切り替えた方が良い。

Stanford SPARKからのコメント

1. 日本の大企業は成功を目指して**リスクを取ることを過度に避ける**。今回の取り組みでリスクをとることを推奨する事はできないか？**→リスクに見合った成功のインセンティブ（市場価値、薬価）が必要**
2. 日本の創薬ベンチャーエコシステム強化事業での助成は魅力的だが、寛大すぎる。**人材育成やインフラ整備**にも力を入れるべき（USのVCでの修行など？）
3. 発明について、1）早期段階でのポテンシャル評価、2）ビジネスパートナーのニーズ、3）Patentabilityを評価する専門特許出願の資金不足のために適切な知財戦略が必要。**→発明評価リソースの充実と、出願費用支援**
4. 他の地域でトランスレーショナルリサーチのエコシステムを成功させた専門家を含む、偏りのない方法での現状の日本のエコシステムの分析が必要**→正確な分析なくして打ち手なし、建前にとらわれないエコシステム分析の実施**
5. アカデミアでの発見の開発リスクを低減させ、スタートアップが臨床段階あるいはM&Aにたどり着くまで持続な支援を提供する。**→分析に基づいたTranslational Research支援（SPARK）プログラムの実施**

SPARKとは何か？

- **トランスレーショナルリサーチ**のトレーニングプログラム
- 2006年にStanford大学医学部で基礎技術、特許の活用のための活動として開始。
- 有望な技術保有者に非臨床データ取得資金を提供し、**専門家メンターによる指導**を提供（年間20件程度）。
- 毎週水曜日の晩に**講義**or**開発進捗報告会**を実施。
- 全世界**70以上の研究機関**が参画するSPARK Global Meetingを年1回開催し、人材育成から研究開発協力に至るまで様々な活動を実施。



SPARK Global websiteより

The screenshot displays the SPARK Global website interface. On the left, a 'NEWS' section features three articles: 'SPARK Japan receives patent award', 'SPARK Finland named a top biotech incubator in Europe', and 'SPARK Africa co-director identified new SARS-CoV-2 variant in South Africa'. Below these is a 'Pharmacogen Research Net' logo and a mention of 'Prof. Collen Masimirembwa to chair Pharmacogenomics Research Network committee' by Justen Manasa. On the right, a featured article titled 'TEDMED: SPARKING A NEW GENERATION IN TRANSLATIONAL RESEARCH' includes a video player with a woman speaking and buttons for 'Watch on YouTube' and 'SPARK Playlist'. Below this is an 'EVENTS' section highlighting 'JUL 23 2020 SPARK Asia Showcase'.

**コミュニティでのスタート
アップ支援を実現**

マサチューセッツ州のバイオ系エコシステムの例

マサチューセッツ州では州政府主導でアクセラレーションプログラム、インキュベーション施設が整備され、大手製薬企業が提携を求め殺到。

州政府による大型助成



ALEXANDRIA.
大手デベロッパ
 自社テナントの活性化のため、自らもVC投資を実施



bioinnovation
 CAPITAL
Venture Capital



Mass General Brigham
 巨大な病院ネットワーク



MassBio
 MASSACHUSETTS BIOTECHNOLOGY COUNCIL
 業界団体、各種支援体制を構築



MC
 MASSCHALLENGE



BLAVATNIK BIOMEDICAL ACCELERATOR
 AT HARVARD UNIVERSITY



aD₂C academic
 DRUGDISCOVERY consortium

KYOTO UNIVERSITY

Accelerators

Incubators



biolabs



Lab | Central



Hi



日本の現状は？

肌感覚から、今後の深掘りの入り口

Translational Researchの不都合な真実

Translational Researchの日米比較

研究なのか？ 開発なのか？

	Translational Research	日本国内の「橋渡し研究」
概念	基礎研究の成果を臨床開発へ進めるための基礎、開発等、あらゆる機能を含む	医師主導治験 および、それを実現するためのPMDAとの交渉、非臨床試験の支援
プレイヤー	<ol style="list-style-type: none"> 1. SPARK等、教育機関+VC、製薬企業が強調してプログラム編成 2. I-CORPS、CTSAプログラム等の政府の研究助成金に付随した支援機能（起業家教育含む） 3. 自治体によるインキュベーション支援（ボストン） 4. 民間のアクセラレータ、Venture Creation Model 	橋渡し拠点 <ul style="list-style-type: none"> • 薬事支援、研究助成（医師主導治験向け）中心。 • 「製品開発」に至るストーリー全体の支援の不足 BINDS等の基礎研究系の予算 <ul style="list-style-type: none"> • 探索研究と開発研究が分断 • 支援件数のごく限られる
資金調達	LabCetralのみで >\$16.7B SPARKのみで >\$5.4B ※時価総額の総計	過去のバイオベンチャーの資金調達額総額で8000億円
課題	開発費の高騰。ボストン、バイエリア偏重。Tech株への投資減	病院の臨床研究機能を強化。 民間の研究開発機能、資金との接続の相性が良くない

次の研究費を取るための努力を続けている

官民一体となったグランドデザインが必要！

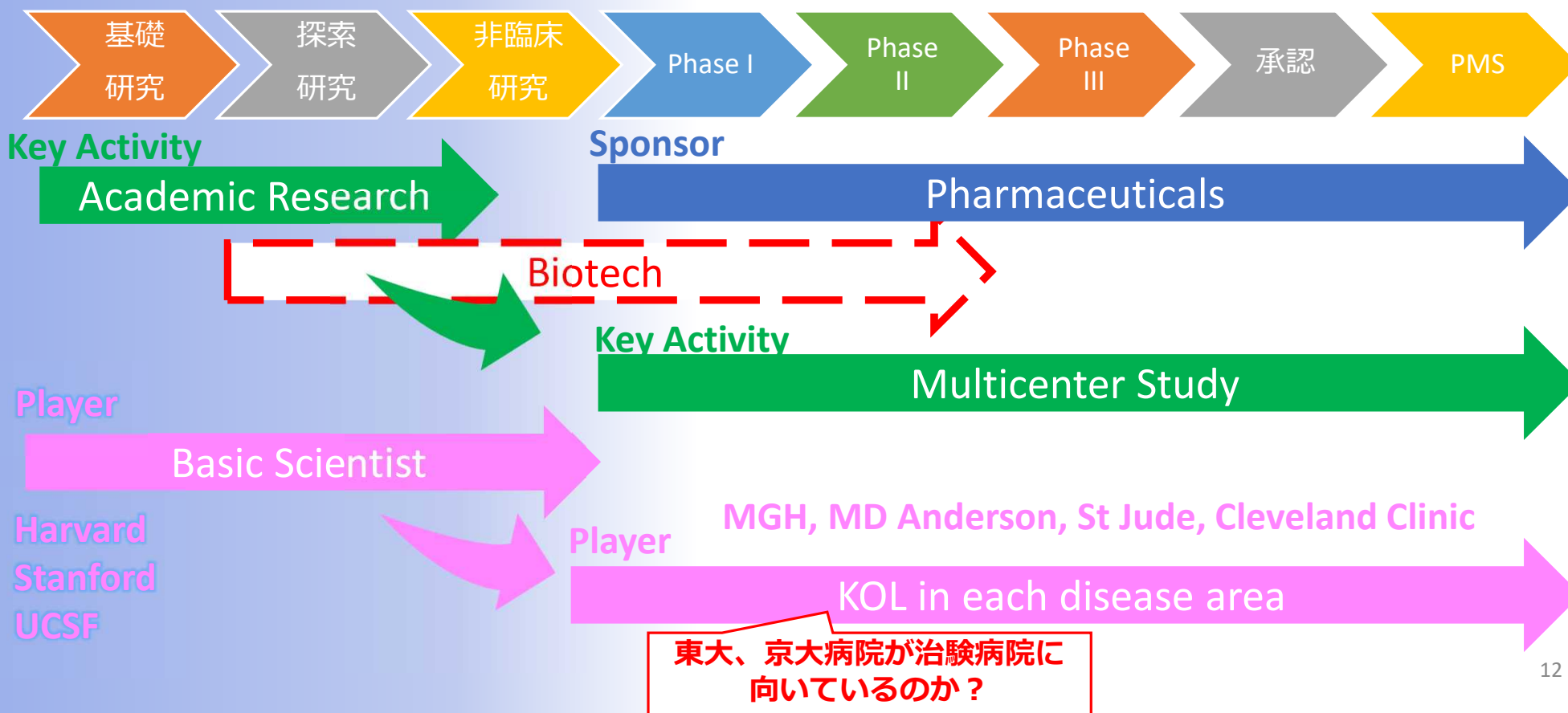
こんな製品はどれくらいありますか？



アメリカ国外のエコシステムの実態

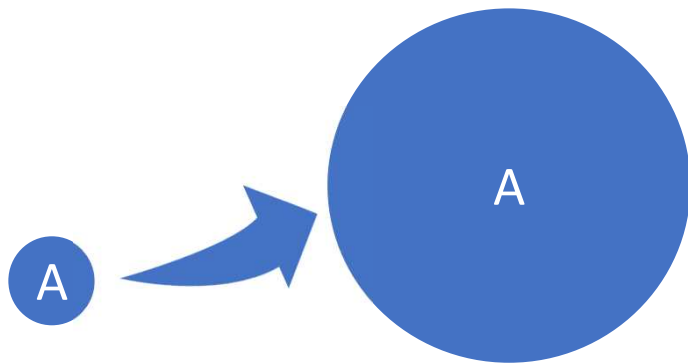


探索と臨床開発でプレイヤーが変わることに 官と学が対応する必要がある

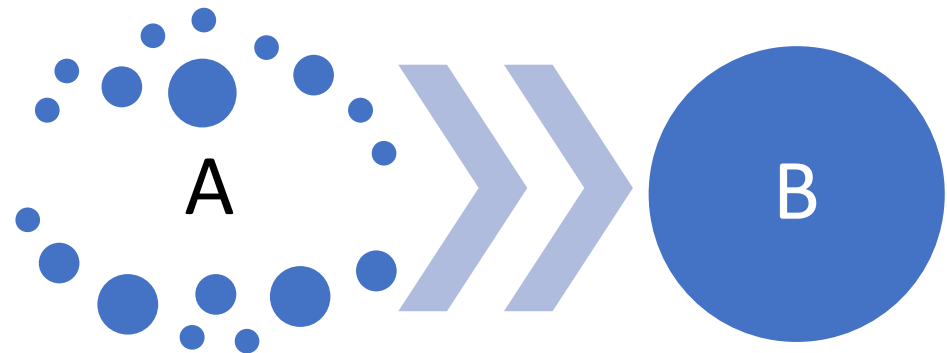


プロジェクトチームのお題

- 日本発のグローバル・ユニコーンや大型M&A EXITが足りない・少ない



一つのアセットだけで
成長はごくまれ



SBIR/I-CORPS
ゲタ

米国で起こっているスタートアップの成長

国内でも M&A事例が出始めた

2024年2月14日
ラクオリア創薬決算説明会資料



KYOTO UNIVERSITY

2024年2月15日
Fimecs社ホームページより



TOP / お知らせ / ニュースリリース / ラクオリア創薬株式会社によるファイメクス株式会社の買収について

2024.02.14

ラクオリア創薬株式会社によるファイメクス株式会社の買収について

Download PDF ↓

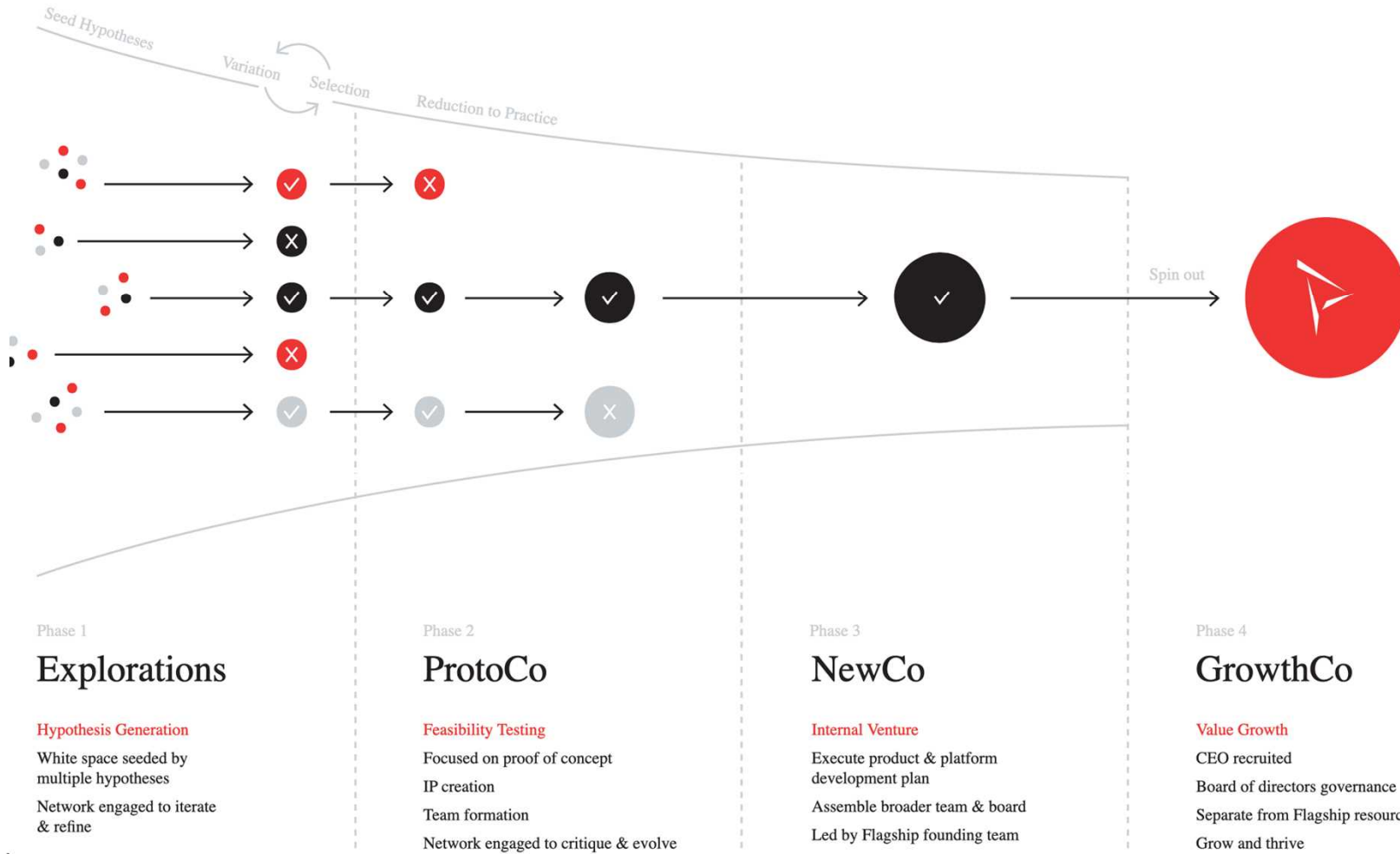
- 1 プラットフォーム技術の獲得による
創薬バリューチェーンの強化
- 2 ビジネスモデルのハイブリッド化による
収益の増加
- 3 がん領域の強化と拡充

- 科研製薬 →アーサムセラピューティクスを買収
- メトセラ →日本再生医療を買収
- スクリーン →AFIテクノロジーを買収
- シスメックス →メガカリオンを買収

Biotech Venture Creation Models

Capitals	Name/Description of the model/Examples	Fund size (from their website except for references noted)
Third Rock Ventures	Company Creation Strategy <ul style="list-style-type: none"> Discover, Launch, Build, Transform 	\$770M (Fund V), \$2.7B since 2007.
Atlas Venture	Approach <ul style="list-style-type: none"> Discover, Derisk, Shape, Strengthen 	\$450M (Fund XIII), \$2 B since 2015
Versant Ventures	Discovery Engine ex) BlueRock Therapeutics, Century Therapeutics	\$950M (including three funds under current management)
Flagship Pioneering	Flagship's Process for Pioneering <ul style="list-style-type: none"> Explorations, ProtoCo, NewCo, GrowthCo ex) Moderna 30 public companies out of 100 startups 	\$3.37B (current total capital pool. <i>From press release</i>)
RA Ventures	Venture Testimonials	\$880M (Nexus III)
Foresite Capital	Foresite Labs (\$173M)	\$969M (Fund V)
ARCH Venture Partners	Co-found startups with support by ARCH Technical Services. ex) Juno Therapeutics	\$2.975B (Fund XII), \$1.941B (Fund XI), \$1.46B (Fund X)
Polaris Partners	Co-found startups with the investments by Polaris Innovation Fund.	\$4.5B (Total fund raised since 1996. <i>From Crunchbase</i>)
PureTech Ventures	Combination of Wholly Owned Pipeline and Funded Entities	\$3.1B (Investments and Non-Dilutive Funding Raised by Founded Entities Since January 2018 through August 2022)
MPM Capital	Create, incubate and fund startups through BioImpact Capital, which manages private/public impact funds and a public equities fund. ex) Orna Therapeutics	\$850 (OIF2), \$100M (Oncology Innovation Fund) \$3.9 billion of capital since 1997 to 2019 (<i>From press release</i>)

FlagshipのPioneeringモデル



Four steps toward the Venture Creation

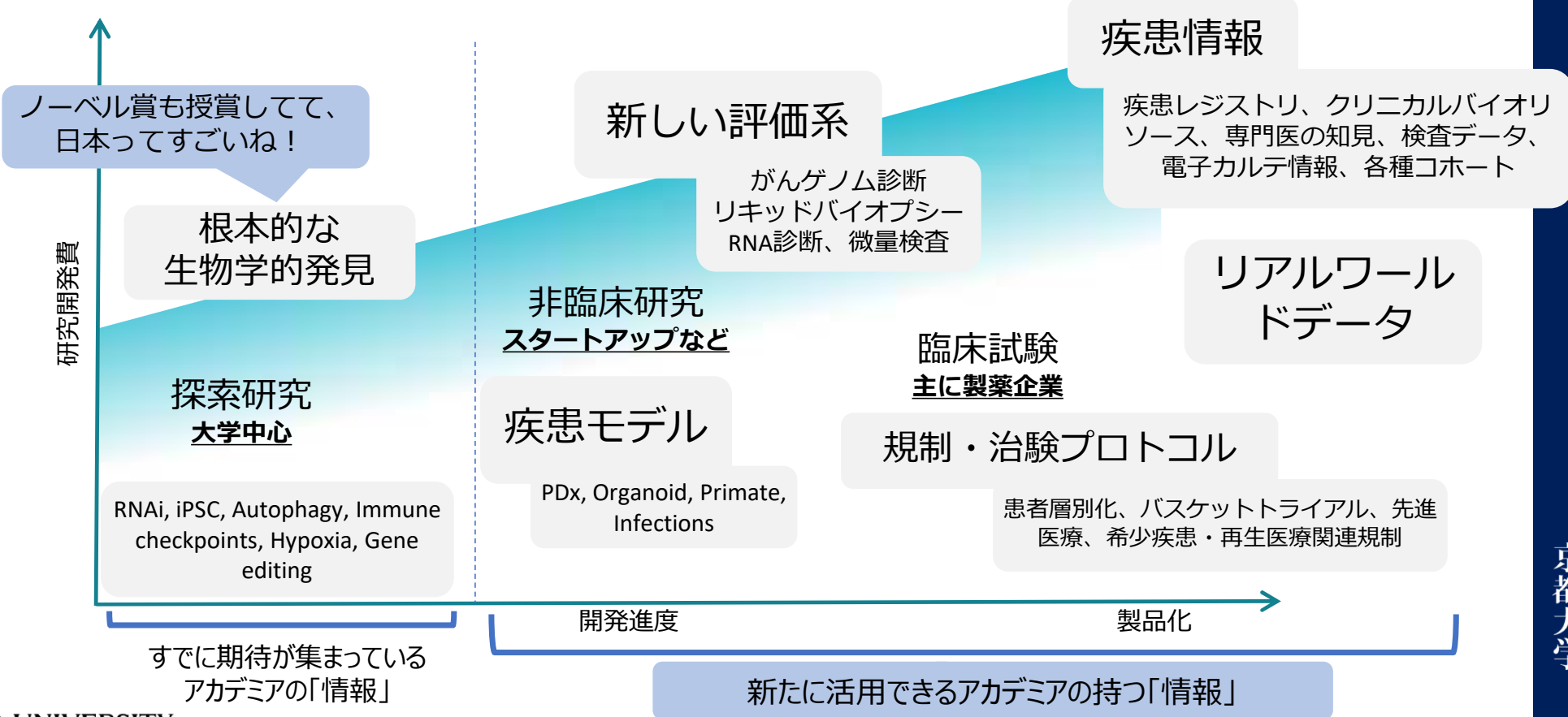


1) VCが企画立案、 2) ステージ毎にプレイヤーが変わる

新薬開発の鍵となる情報はどこに？

アカデミアは
もっと役に立つ！

医療・創薬情報基盤→スタートアップの事業評価が可能！



Cognition Gap of Translational Research between Academia and Industry

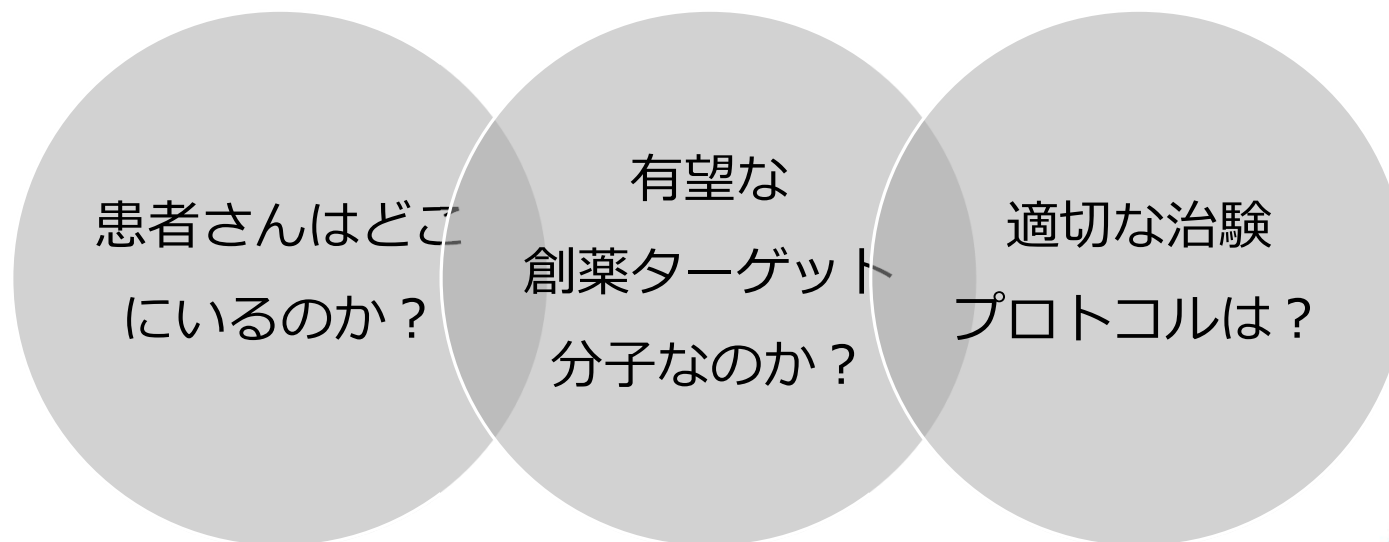
Image of Translational Research from Academia → **One way**



Image of Translational Research from Industry → **Selection**



バックキャストでの創薬を実現する 情報インフラ



医療情報での確証



ヒト由来サンプルで確証



Ki-CONNECT
次世代医療・iPS細胞治療研究センター
Kyoto Innovation Center for Next Generation Clinical Trials and iPS Cell Therapy

早期臨床試験支援

京都大学では先端的かつ独創的な臨床研究環境を民間との協業で整備

ご提案

Research

- **Bench to Bedside**、
種々の支援体制を含
めた現状の日本のエ
コシステムの**建前を
取り払った実態調査**
- **ビジネス面**に注目し
**Translational Research
を再設計**

**製品につなげるため、
高い目標設定が必要！**

Digital, Biospecimen

- **医療情報**・デジタル
技術、**生体試料**の活
用
- **データの二次利用**の
ルール整備

**急務！
即効性が期待！**

Derisk

- 手が届きにくいアー
リな技術への**適切な
技術評価**と、開発に
対する**リスク低減**
(リスクの管理) の
概念の普及と、適切
な投資体制の整備。

**適切な知財確保
魅力的な市場を
コミット！**

Education

- **教育プログラム、ア
クセラレータ、イン
キュベータ**を再整備
し、アカデミア技術
からの **Venture
Creation**、大企業か
らの**カーブアウト**を
促進する

**でもしか
ベンチャーから
計画的な育成へ！**