

イノベーションの根源となるアカデミア創薬の活性化

～イノベーションの推進に向けた今後の方策について～

岩崎 甫

山梨大学 副学長 研究推進・社会連携機構 副機構長

AMED 医薬品プロジェクトPD

イノベーションの推進におけるアカデミアの役割

- **革新的な新規医薬品の創出、社会への提供による医療の進展**
 - **先端的な技術による価値の創造**
 - 基礎研究の成果に基づく創薬ターゲットの同定
 - 異分野融合による新規技術の創出（工学、情報工学、生命理科学、農学など）
 - 臨床サンプル、臨床データの活用による研究開発の進展
 - 橋渡し研究の支援による研究開発の進展
 - **社会への提供による医療の進展**
 - 企業への導出による実用化
 - バイオベンチャー、スタートアップの創出による実用化の推進
- **臨床試験の企画・実施による治験の推進、臨床エビデンスの創出**
 - 時代に即応した臨床試験方法、試験デザインの開発
 - 大学病院ネットワークによる効率的な試験の実施
 - 欧米、アジア諸国との連携強化による臨床試験の活性化
- **ライフサイエンス領域における人材育成**

アカデミア発新規医薬品の創出の現状と課題

1, 「新しい医薬品の創出（創薬）」の特徴と課題

- ゲノム、オミックス研究などによる病態の解明、リスクファクターの同定などによる理論的な開発事例が多い
- 難病、希少疾患、小児疾患、一般疾患での重症例など、高いMedical Needsを有している
- 異分野融合、また情報工学、AIの活用による開発事例も増加してきている



- 見出された創薬ターゲットの検証が十分になされておらず、再現性が低い事例が少なくない
- 実用化の視点からの試験薬の品質や安全性に対する検討が十分になされていない
- Medical Needsは高いが、患者数が限られておりビジネス的ポテンシャルが高くない事例が多い
- 強い特許の取得など、知財戦略が十分でない事例が見られる
- 単一アセットのベンチャーはVCからの支援を得ることが難しい

2, 「既存薬の新しい適応の取得（Drug Repositioning）」の特徴と課題

- 実臨床の現場における経験から、有効性に関しての予測性が高い
- 既に臨床で活用されており、安全性についても情報が蓄積されている
- 試験薬が既に準備されており、非臨床開発の必要性が低い
- 医師主導治験によるエビデンスの創出がなされている

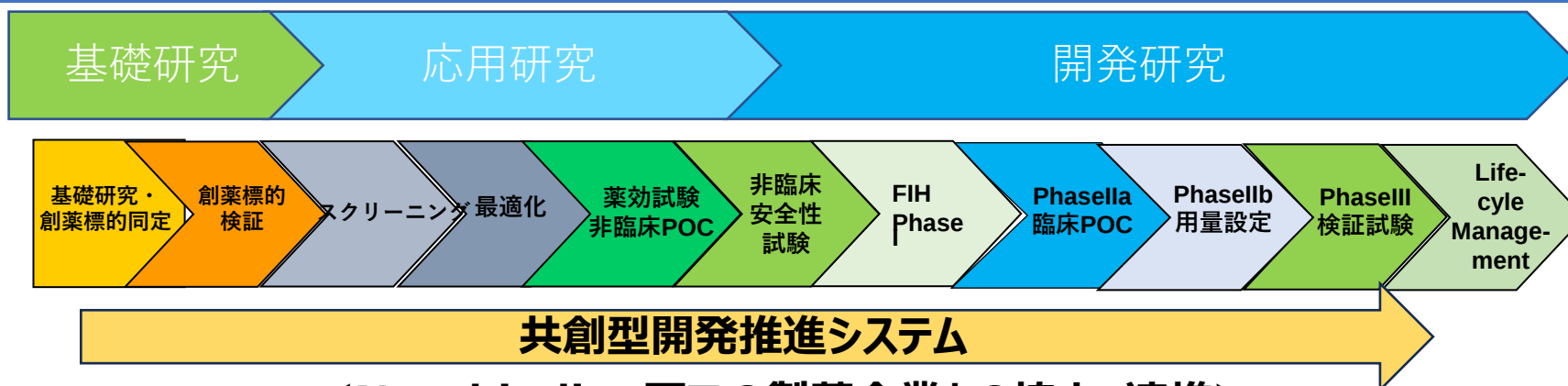


- 臨床試験（治験）のサイズが十分でなく、検証段階に繋がる結果が必ずしも得られない
- 良好な治験結果が得られても、様々な理由から企業への導出は難しく、薬事承認に至る例は限られている

アカデミア発の創薬の推進のための方策・I

1, 「新しい医薬品の創出（創薬）」に対しての方策

開発経験者と共に歩む共創型開発推進システムの構築



<Non-binding下での製薬企業との協力・連携>

- ・ 試験物の作成 → AMED BINDS の活用
- ・ 戦略的な特許の取得

0 → 1 をサポートするバイオベンチャーの支援システムの構築

- ・ AMEDピッチコンテストの実施

アカデミア発の新規医療技術創出の推進のための方策・II

2, 「既存薬の新しい適応の取得 (Drug Repositioning)」への方策

薬事承認・社会実装を可能とする産官学共創による公的な仕組みの構築



- 有効性が示されても企業では対応が難しい新適応の薬剤を保険診療下で臨床現場への提供する仕組み
 - 誰ひとり取り残さないユニバーサル・ヘルス・カバレッジ(UHC)達成への寄与
- 社会実装を希求するアカデミア（医師・学会）の責任ある参画（治験、製販後調査）
 - 研究の成果を患者さんに届けられることによる医師の「やりがい」と意識の向上
 - フィジシャン・サイエンティストの育成（人材育成）
- 橋渡し研究支援拠点 臨床研究中核病院の積極的参画
- PMDAの協力；パートナーとしての相談助言の充実、承認要件の明確化、薬事審査の国際化
- 企業・CDMOの連携・協力；試験物、医薬品の提供・製造と安定供給

參考資料



生命科学・創薬研究支援基盤事業（BINDS）

幅広い分野のライフサイエンス研究発展に資する高度な技術や施設等の先端研究基盤を整備・維持・共用して支援に活用することにより、大学・研究機関等による基礎的研究成果の実用化を進めるとともに、医薬品研究開発に留まらないライフサイエンス研究全般の推進に貢献する。

創薬等の実用化につなげるための領域横断的な支援機能

ヒット化合物創出ユニット

- ・化合物ライブラリーの整備・提供
- ・新規評価系の構築
- ・ハイスループットスクリーニング（HTS）
- ・インシリコスクリーニング



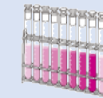
モダリティ探索ユニット

- ・化合物の構造展開によるHit to Lead
- ・新規骨格を持つ化合物合成
- ・in vitro ADMEパラメーター評価



薬効・安全性評価ユニット

- ・疾患モデル動物作出
- ・薬物動態評価
(探索的ADMET)
- ・生体・生体模倣評価
- ・毒性・安全性評価



連携推進オフィス 【BINDS司令塔・調整機能】

- ・PSPO・外部有識者・補助事業代表者・AMED事務局等で構成
- ・窓口＋振り分け＋コーディネート機能（事務局機能）を強化
- ・自然災害やパンデミックの発生時などにも迅速な研究の支援が可能となる体制を構築
- ・重点プロジェクト・産学連携高度化研究を選定し連携を推進
- ・ユニット連携のマネジメント・創薬標的妥当性検証のマネジメント
- ・AI・DX化・自動化・遠隔化の推進

活動サポート班

構造解析ユニット

- ・世界最高水準の放射光施設
- ・最新型クライオ電子顕微鏡等を活用
- ・イメージング・画像による解析
- ・高難度タンパク質試料の生産
- ・ペプチド・核酸抗体等の新モダリティの生産



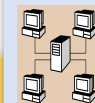
発現・機能解析ユニット

- ・遺伝子・タンパク質発現解析
- ・トランスクリプトーム解析
- ・プロテオーム解析
- ・メタボローム解析
- ・パスウェイ解析



インシリコ解析ユニット

- ・ビッグデータ活用
- ・動態予測・毒性予測などへのAI開発・活用
- ・構造インフォマティクス技術による立体構造や相互作用の推定



大型機器・先端技術等の整備・高度化によるライフサイエンス研究支援基盤

研究基盤の高度化を推進し、質の高い技術支援を継続的に提供することで、幅広いライフサイエンス研究の価値を高める