

アカデミアによる創薬イノベーションへの取組み

近藤 裕郷

国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所 理事長特任補佐

AMED 医薬品プロジェクトPD

我が国の創薬研究課題の解決に向けたアカデミアの取組み

●我が国の革新的医薬品の創出を遅らせている主な要因は？

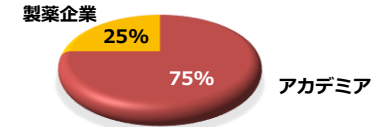
<具体的な創薬課題>

- ・創薬シーズ創出のキーとなる希少・難病疾患の病態解析
- ・POC取得成功率を上げるための標的分子の同定および検証の精度向上
- ・革新的医薬（抗体、核酸、遺伝子、細胞医薬等）のRS研究やGLP/GMP対応
- ・新規医薬創出におけるアカデミア研究の積極的活用
- ・創薬研究から臨床試験まで一貫して進める創薬エコシステムの構築

（例：NIBNの創薬研究開発システム（後述））

米国のアカデミア発医薬品の実績（2020～2024年）

新規有効成分の承認数（245品目）



（参考資料）New Drug Approvals Thus Far in 2024

●アカデミア創薬の実装化に向けたAMED第2期の実績と今後の課題

<実績>

- ・第2期の薬事承認数は約40件で期首目標値10件を大幅に過達。ただし、既存薬の適応拡大の割合が高い

<今後の課題>

- ・アカデミアから新規で魅力的な創薬標的分子の提案が数多くあるが、創薬基礎研究から臨床試験に至る橋渡しの強化が必要
- ・スタートアップ企業や製薬企業がアカデミア創薬に積極的に参加し、連携できる仕組みが重要（アカデミアー企業ギャップの解消）

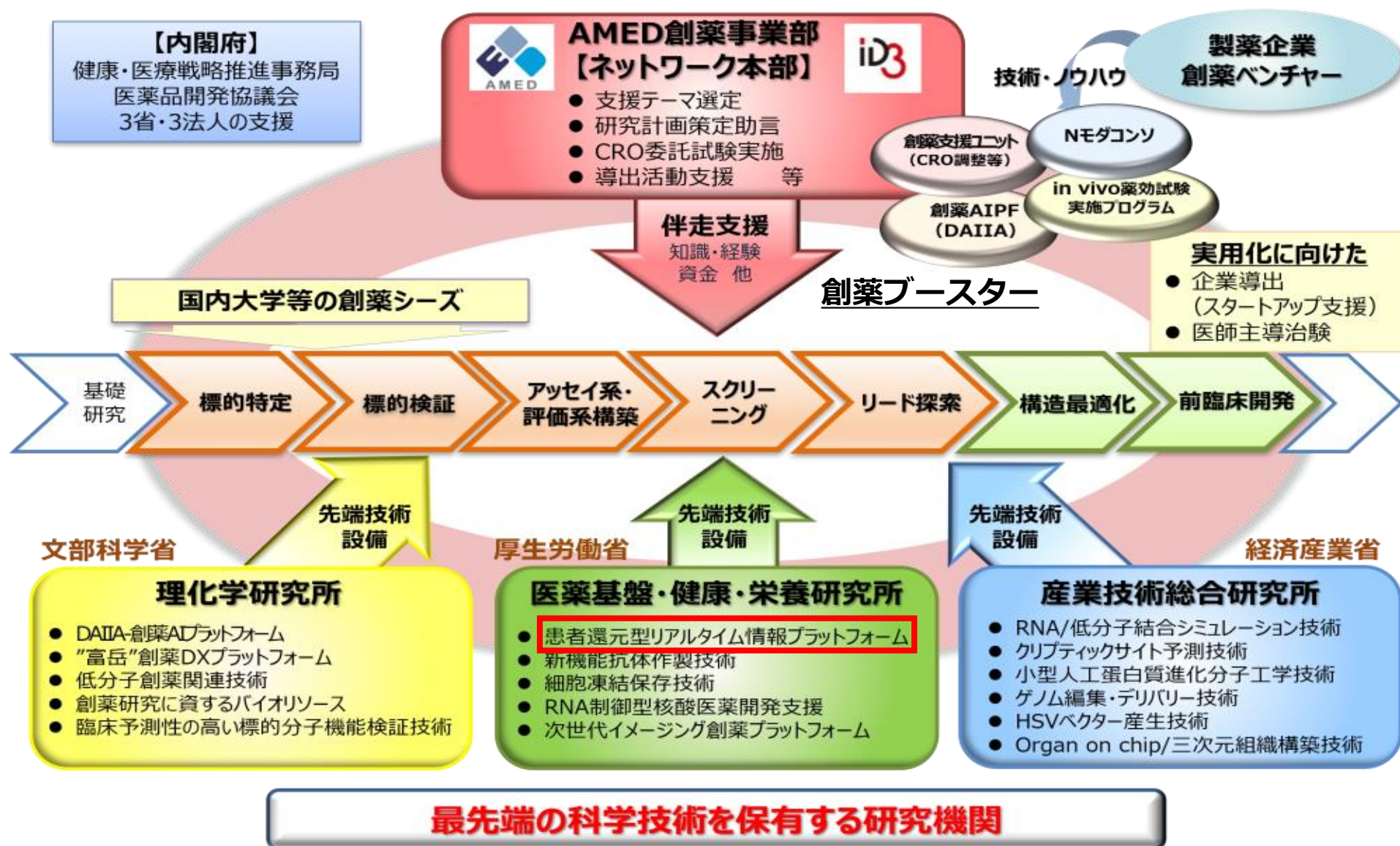
●アカデミア創薬の強化に向けたAMED第3期の取組み

<第3期AMED事業で強化を図る取組み>

- ①創薬研究の強化 → 創薬の効率化に資する基盤の整備・活用(BINDS、創薬ブースター、DAIIA)、RS研究・臨床試験・知財戦略の強化
- ②研究予算の重点化 → 臨床試験や治験の加速を目的に研究予算の“充実”および“調整費の活用”
- ③研究スピードの強化 → AMED事業間の連携やアカデミアー企業間のギャップ改善による連携強化（マッチング、ペアリング）
- ④第2期事業の継続取組み → 企業での開発が遅れている医薬品（オーファン、ウルトラオーファン、AMRなど）の開発支援の継続

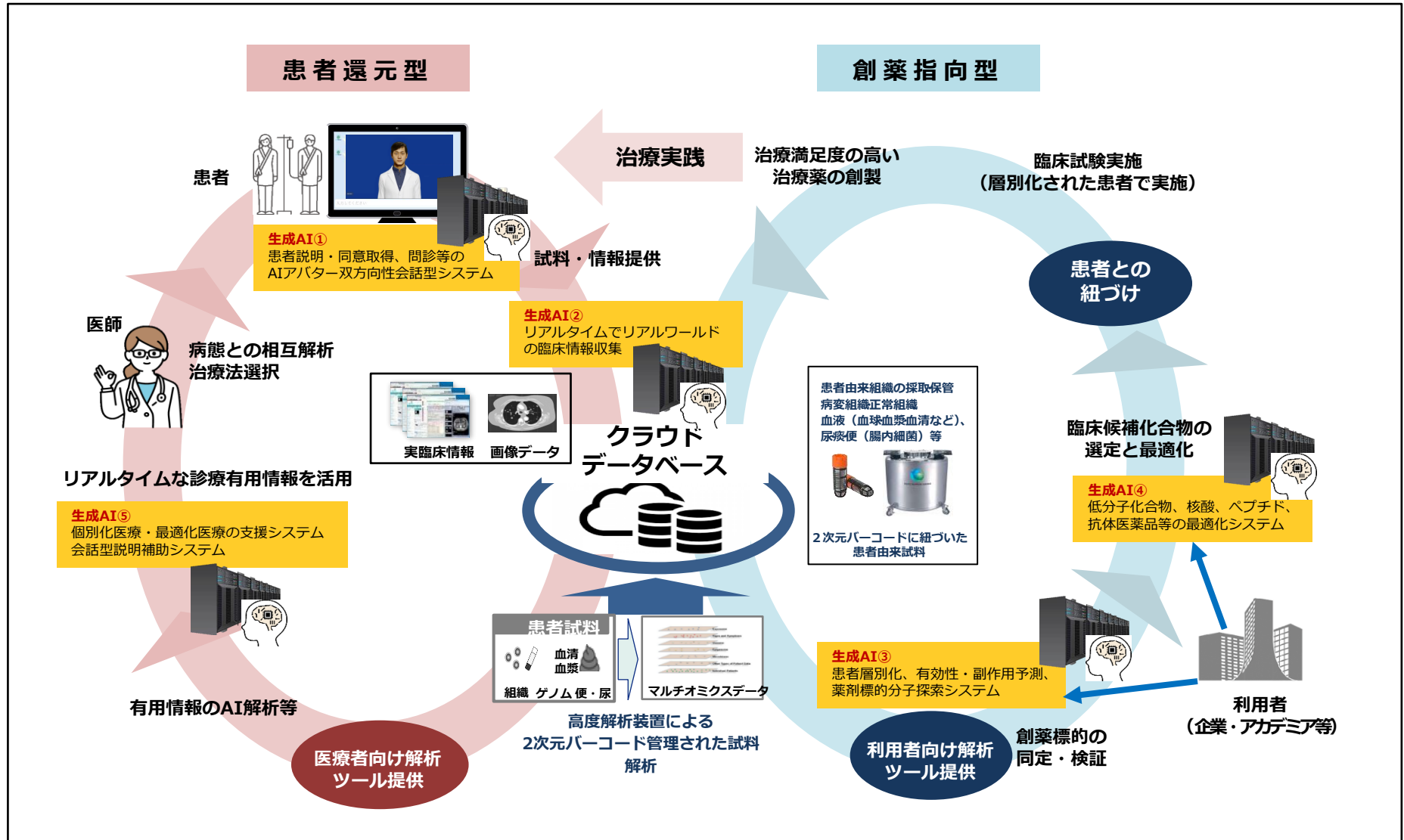
アカデミア創薬における支援プラットフォームの代表例

～創薬支援ネットワーク～



AI創薬指向型・患者還元型創薬プラットフォームの全体像

本プラットフォーム技術はAMED第3期創薬支援NW事業のNIBNの支援技術



参考

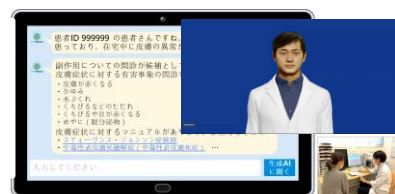
創薬研究と臨床検証の精度を高め、医薬品創生の成功確率を上げるには？

<目的達成に必要な基盤整備>

医療イノベーションを創出する“リアルタイム臨床情報AI解析システム”の整備

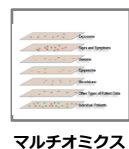
リアルタイム臨床情報データベースの整備

AIアバターによる
説明同意取得（現場の負担軽減）



連携機関：NIBN, OICI, IBM, TXP

- ①リアルタイムな臨床情報DBの収集
- ②ランサムウェア対策
- ③大震災対策



マルチオミクス



臨床情報・解析データ・画像データ

API・構造化

当日の臨床データは、翌朝バックアップ



一挙四得のデータベース

- ・災害にもウイルスにも強いデータベース
- ・医療の質を向上させるためのデータベース
- ・AIによる産業力アップのためのデータベース
- ・患者に即時還元できるデータベース

- ・個人情報コード化（仮名化）管理
- ・秘密分散による暗号化
- ・秘密計算による解析
- ・IC取得患者に限定したデータの提供
- ・AIによる解析情報を集積・共有化

個人情報を厳密管理に

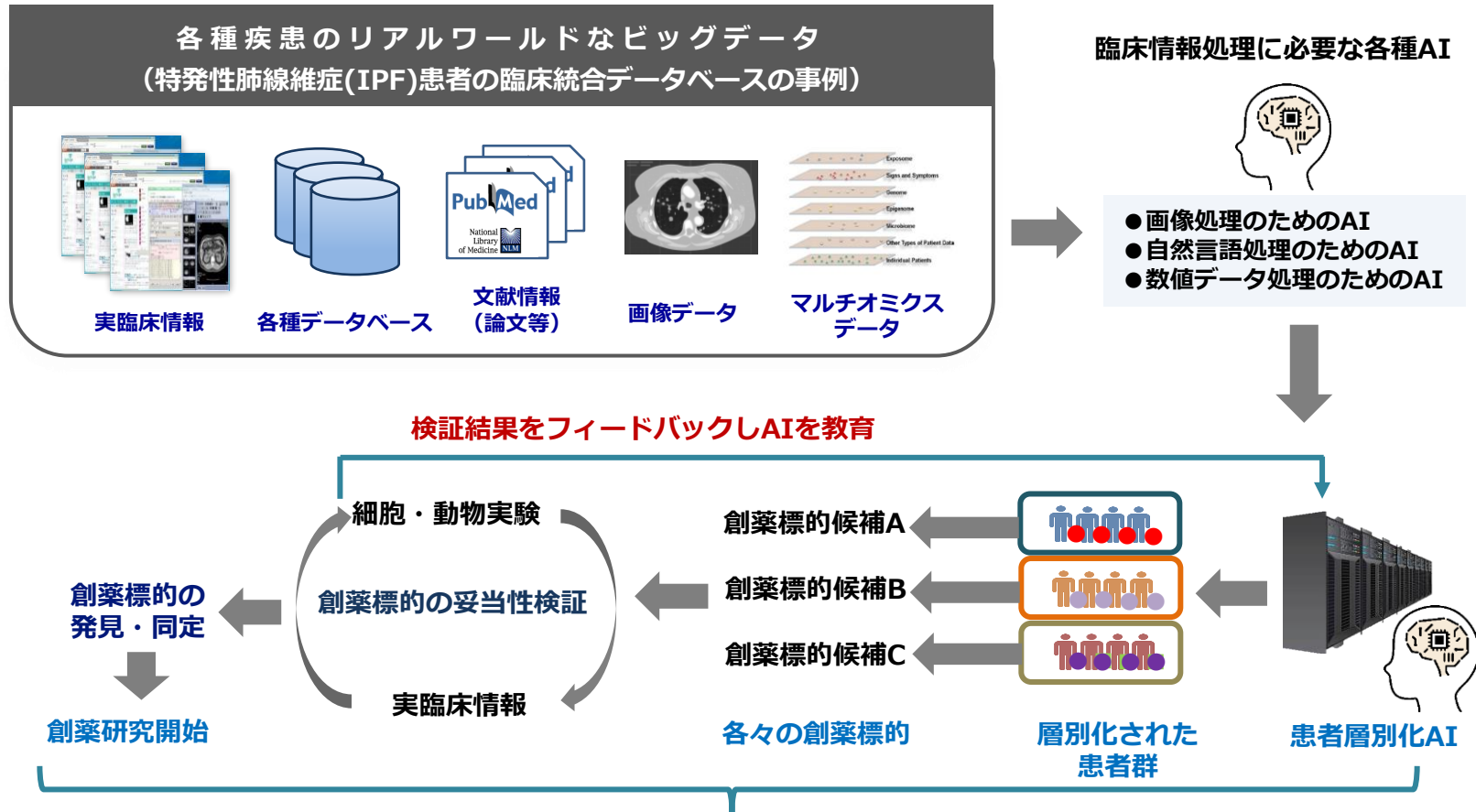
毎日の診療情報をリアルタイムで取得

本データベースの大きな特徴

- ✓ 患者の診療情報をリアルタイムに、経時的に自動収集した臨床データをクラウド内に格納
- ✓ 患者検体の統合解析データ（ゲノム、プロテオーム、腸内細菌等）から患者情報を正確かつ迅速に把握
- ✓ AI解析による層別化された患者群の標的分子の同定・検証を行うことで創薬研究から臨床試験までの一体型創薬研究が可能（創薬研究への利用）
- ✓ 医療機関では、AI解析による患者の診療有用情報を入力し病態の相互解析や治療法の選択に活用して、患者に適切な治療を施すことが可能（患者治療への利用）

リアルタイム臨床情報AI解析システムの整備

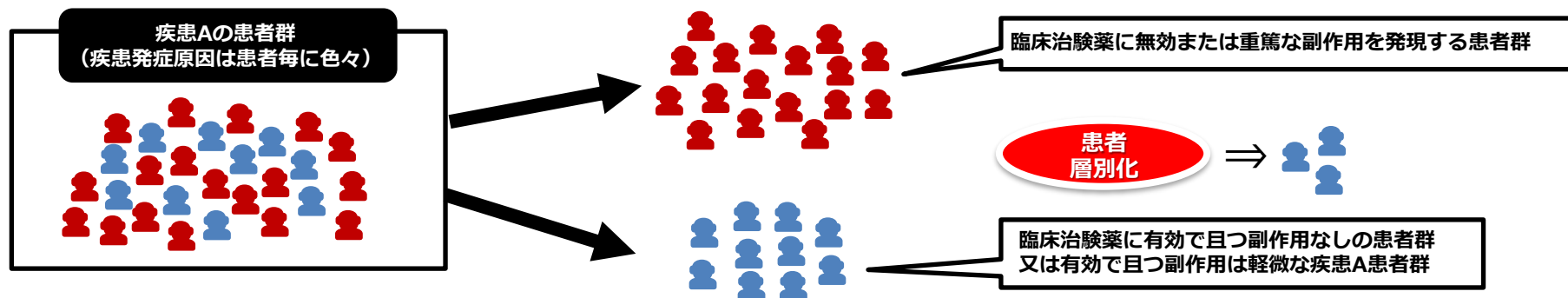
臨床統合データベースの患者層別化AI解析による創薬標的の同定と検証の実例



層別化AIによる波及効果

- ・ 臨床試験における成功確率のアップ
- ・ 開発費用、臨床試験期間の大幅な削減
- ・ 少ない患者登録数で有効性/安全性を確認
- ・ 個別化医療を実現し患者QOL改善に貢献

患者層別化マーカーは臨床試験を成功させる上で極めて重要!



【有用な点】

- ・ 開発に必要な症例数が少なくて済む（患者症例数の大幅な低減）
- ・ 試験対象者の登録作業（enrollment）が早くなる（登録数の減少による登録期間の短縮）
- ・ 開発リスクが小さくなる（承認確率のアップ）
- ・ 開発期間の短縮、スピードアップ（例えば、10年以上かかる開発期間は大幅に短縮）
- ・ 開発コスト削減（莫大な研究開発費を大幅に削減）
- ・ 承認が得られやすい（臨床試験による有効性・安全性の確保）
- ・ 個別化/層別化医療への対応 → ヒト多様性に対応した適切な投薬により治療満足度が上がる！

これらの実現には

層別化による創薬研究から臨床試験までの一貫した創薬プラットフォームが必要

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。

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



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

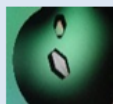
領域連携・実用化推進 【BINDS司令塔・調整機能】

- ・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



- ・膜タンパク等高難度タンパク質試料の生産（発現、精製、結晶化及び性状評価など）
- ・核酸・ペプチド等新規モダリティの解析試料作製

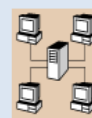
発現・機能解析ユニット

- ・遺伝子・タンパク質発現解析
- ・トランスクリプトーム・エピトランスクリプトーム
- ・プロテオーム
- ・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

創薬支援推進事業（創薬ブースター）



アカデミア発創薬シーズの
実用化に向けて
創薬コーディネーターが
「伴走支援」する

創薬標的検証等の
前臨床開発までを支援

創薬ブースター 各ステージにおける支援内容



創薬ブースター 第1期・2期の成果（まとめ）

R7.9時点

創薬シーズの評価 **2,460件**

- 研究者からのシーズ提案、創薬コーディネーターによる発掘・評価
- 不採択の場合、創薬研究上の課題を記載した評価報告書を研究者へ提供

創薬ナビ **324件**

- 疾患領域に応じた創薬CDチームによる面談の実施
- 面談報告書を相談者へ提供

支援開始

創薬支援 **278件**

支援ステージ※ステージアップの場合は（アップ後）のステージ



支援終了= **229件**

終了理由

- A) 導出 **17件 (7%)**
 ※導出活動実施= **57件 (25%)**
 1年支援の85件を除くと40%
 ※導出活動を実施した30%を導出

加えて、支援終了後に、

19件の共同研究等の企業連携（共同研究、成果の実施許諾、医師主導治験の実施等）

9件のスタートアップ設立に繋がっていることを確認

創薬支援推進事業・産学連携による創薬AIプラットフォーム開発

最新のAIとシミュレーションを融合した汎用生成AIに基づく“創薬ターゲット予測・シーズ探索AIプラットフォーム”を構築し、産学連携体制による効率的なデータ収集と予測精度の向上を図り、近年の創薬ターゲットの枯渇に対応すると共に、超効率化創薬を実現する。

創薬ターゲット予測・シーズ探索AIプラットフォーム

最新のAIとシミュレーションを融合した汎用生成AI

最先端AI技術
(生成AI等)



AIによる計算
加速と結果解析

最先端
シミュレーション技術



高精度予測
学習データの補完

AI専用機
・次世代
スパコン

・大規模学習・
シミュレーション
データ生成
・精密計算による
高精度化

マルチモーダル事前学習

公共DB

オミクス、パスウェイ、患者ゲノム、
DNA/RNA配列、タンパク配
列

AI駆動型データ収集と
ファインチューニング

実験系アカデミア研究機関
・医療機関

製薬企業
・製薬協、ベンチャー、既存コンソ

連携によるDX体制構築

新規創薬ター
ゲット候補の
効率的推定と
絞り込み実現

創薬ブースター及
び企業等にお
けるWet検証
支援を実施

産学間の早期
創薬シーズ橋
渡しシステムの
構築

超
効
率
的
創
薬
を
実
現

低分子に加え、
高分子+中分子へ
適応モダリティを拡張

創薬ターゲット探索

- ・ターゲット候補推定
- ・疾患メカニズム推定等

ターゲット検証
創薬シーズ探索

- ・Wetによる検証
- ・AIPFを駆使した創薬シーズ探
索

ヒット to リード
リード最適化(AMED DAIIA)

- ・先行事業との連携→加速・効率化
- ・企業共同又は導出（企業での最適
化）

創薬プロセスにおける複数のAIを統合した創薬AIプラットフォームの構築を目指す。