

新しいかたちの公的創薬支援

創薬ブースター

~*Innovate Drug Discovery in Japan*~

知

技

資

令和元年5月

日本医療研究開発機構 (AMED)
創薬事業部 創薬企画・評価課

創薬事業部 創薬企画・評価課

Dept. of Innovative Drug Discovery and Development (iD3)



- ### 病気の発生機序解明
- ◆ 新しい創薬標的
 - ◆ 新しいアッセイ系
 - ◆ 新規物質

- ### 創薬支援
- ◆ 創薬支援ネットワーク
 - ◆ 創薬ブースター/ナビ
 - ◆ 創薬アーカイブ

- ### 製品化
- ◆ 物質探索
 - ◆ 安全性・製剤
 - ◆ 臨床治験
 - ◆ 製造販売

アカデミア発創薬シーズの実用化を「支援する」

創薬支援ネットワークの体制

内閣府

【内閣官房】
健康・医療戦略室
医薬品開発協議会
3省・3法人の支援



ネットワーク本部
【AMED 創薬事業部】

- 支援テーマ選定
- 研究計画策定
- CRO経費負担

実用化に向けた

- 企業導出
- 医師主導治験

文部科学省

【理化学研究所】

- 低分子化合物
- 探索・最適化研究

先進技術

**「戦略」「技術」「資金」
真のボトルネック解消**

先進技術

経済産業省

【産業技術総合研究所】

- 天然化合物
- 探索・最適化研究



戦略・資金



先進技術

厚生労働省

【医薬基盤・健康・栄養研究所】

- 抗体・核酸
- 探索・最適化研究
- トキシコゲノミクス

**最先端の科学技術を
保有する研究機関**

**国内大学等の
優れた創薬シーズ**

創薬ブースターの基本的考え方

- 創薬ブースターでは、大学等で生み出された基礎研究の成果を製薬企業等による研究開発に橋渡しすることを目指しているため、支援テーマの選定や出口戦略の策定に当たっては、**原則、製薬企業等への導出を重視**しています。
- 研究開発の実施に当たっては、企業出身の創薬コーディネーターが**産業界の研究開発で要求される基準**を踏まえて策定した研究開発計画や助言に沿って進められます。
- さらに、支援によって得られた成果の製薬企業等への導出を円滑に進めるため、「創薬総合支援事業（創薬ブースター）における**信頼性保証**に関する基本的考え方」や「創薬総合支援事業（創薬ブースター）における**導出**に関する基本的考え方」を設定しています。

※これらの「基本的考え方」はAMEDウェブサイトから入手可能です。

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/001_01-01.html

創薬ブースター

創薬事業部が策定した知財戦略、研究戦略に基づき、創薬支援ネットワークが保有する創薬技術や設備等を活用し、基礎から臨床までを切れ目なく支援し、企業導出、治験等への橋渡しを実施する事業

◆ 支援対象

- 大学や公的研究機関に所属し、実用化の可能性が高いと判定された創薬シーズ（新標的・新物質）を保有する研究者(**Principal Investigator: PI**)
- **創薬シーズ** : **First in Class**の創薬に注力（医療機器は対象外）
- **モダリティ** : 低分子化合物、中分子(ペプチド等)、天然物、核酸、抗体等
- **疾患領域** : がん、難病・希少疾患、肝炎、感染症、糖尿病、脳心血管系疾患、精神神経疾患、小児疾患等
- **研究ステージ** : 標的検証～非臨床開発ステージ

創薬ブースターの支援内容

◆ 支援内容

- 知財戦略および研究戦略の策定
- プロジェクトマネジメント
- 標的機能分子のプロファイリングおよびバリデーションの実施
- スクリーニング系の確立およびHTSの実施
- 構造最適化(構造デザイン、有機化学合成等)の実施
- 非臨床試験(薬効薬理試験、安全性評価試験、代謝薬物動態試験、CMC等)の実施
- 各種バイオマーカーの探索およびプロファイリングの実施
- 支援によって得られた成果の企業導出および医師主導治験への橋渡し等

HTS: High-throughput screening

CMC: Chemistry Manufacturing and Controls

各ステージにおける支援内容



- ◆ これから創薬研究に取り組もうとする研究者を支援
- ◆ 新しい機能分子やパスウェイ等の創薬のアイデアを基にした標的探索も支援 (前期)
- ◆ 研究仮説の確からしさの検証
- ◆ HTSや最適化研究に利用可能なアッセイ方法の確立
- ◆ 実験調査によりシーズを提案したPIが実験を実施
- ◆ 必要経費はiD3が負担
上限: 500万円程度 (前期)
上限: 1000万円程度 (後期)

- ◆ 仮説の確からしさが検証されたテーマ
- ◆ 創薬支援NWおよびDISC等によるHTSの実施
- ◆ 創薬支援NWや構造展開ユニット等によるリード物質選定のための初期合成展開の実施
- ◆ 実験調査によるPIの検証実験 (継続) および薬効評価等の実施
- ◆ 必要経費はiD3が負担
上限: 必要に応じて決定

- ◆ 産業界水準のリード化合物が見出されているテーマ
- ◆ 構造最適化は創薬支援NWおよび構造展開ユニット等で実施
- ◆ 実験調査によるPIの検証実験 (継続) および薬効評価等の実施
- ◆ 必要経費はiD3が負担
上限: 必要に応じて決定

- ◆ 産業界水準の臨床開発候補物質が見出されているテーマ
- ◆ GLP試験やGMP製造等の非臨床開発をCRO等にて実施
- ◆ 実験調査によるPIの検証実験 (継続) および薬効評価等の実施
- ◆ 必要経費はiD3が負担
上限: 必要に応じて決定

創薬ブースターのプロセス

シーズスカウト

- iD3創薬コーディネーター(iD3-CD)の能動的なシーズ発掘
- iD3組織連携を通じたシーズ情報収集
- 主任研究者(PI)からのシーズ提案 (通年で受付)

支援テーマ選定

- iD3-CDによる目利き評価と面談
- 提案シーズは2-3回/年まとめて評価
- 科学的合理性+事業性+熱意
- 難病・希少疾患創薬にもフォーカス

研究開発支援

- iD3-CDとPIが共同で研究開発計画策定 & PJ運営
- 創薬支援ネットワークによる技術支援
- PIによる実験調査実施
- iD3-CDによる伴走型進捗管理

導出等支援

- iD3による企業導出
- 共同研究契約締結への橋渡し
- 医師主導治験への橋渡し

他事業との比較

	一般的な競争的資金	創薬ブースター
テーマ収集	公募が主流	iD3による発掘、PIからの提案等
テーマ選定	外部評価委員（有識者）	創薬コーディネーター（創薬CD）
評価の視点	科学的独創性	科学的独創性 + 実用化可能性
プロジェクト代表者 研究計画・戦略策定	PI(アカデミアの主任研究者)	創薬CDとPIの 共同作業 で策定（創薬CDはプロジェクトマネージャーとして進捗管理）
資金	研究助成 （研究者が用途を決定）	研究開発 （ 委託実験調査費・CRO経費 ）
技術支援	研究者の個別企画・調整	創薬CDが企画・調整
進捗管理	PS/PO*による定期調査	創薬CDの 伴走型 進捗管理 データの信頼性チェック、実地検査の実施等
特許申請	積極的取得	iD3が判断

* PS：プログラムスーパーバイザー、 PO：プログラムオフィサー

創薬ブースターにおける技術支援の枠組み

【創薬支援ネットワーク構成機関】

- 理化学研究所
- 医薬基盤・健康・栄養研究所
- 産業技術総合研究所

【創薬支援推進ユニット】

- プロモーターユニット (LSIメディエンス)
- イノベーションエンジンユニット (Axcelead Drug Discovery Partners)
- DISCユニット (第一三共RDノバーレ)
- バイオ製造支援ユニット (次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)
- エコシステムユニット (医薬新結合研究所)
- キャタリストユニット (東京大学大学院農学生命科学研究科)
- スタートアップユニット (Beyond Next Ventures)

【その他AMED基盤事業からの支援】

- BINDS (構造展開ユニット)

【外部の機関】

創薬ブースターにおける導出支援

【知財戦略の推進】

- AMED創薬事業部が特許調査や知財戦略構築を行います。
- AMEDが主体となり、支援で得られた成果^{※1}について支援期間中の特許出願・維持、必要国への移行手続き、特許取得・維持に掛かる事務を行い、AMEDが出願人となって費用を負担します。
- 取得した知財は、導出交渉終了後または創薬ブースター支援終了後に、研究機関に返還します。

※1：企業による実用化の際に必要な発明

【AMED担当者による導出活動】

- 様々なチャンネル、機会を活用し、AMEDが窓口となり導出活動を行います。その際の各種契約手続き等の事務費用はAMEDが負担します。

【DSANJ等との連携】

- DSANJ Bio Conference に出展するなど、国内マッチングの活用についてもAMEDが協力します。

【スタートアップユニットによる起業支援】

- 研究者が起業を希望する場合は、そのノウハウをベンチャーキャピタル（VC）であるスタートアップユニットを通じて提供します。

創薬ナビ

大学や公的研究機関で生み出された優れた研究成果（創薬シーズ）の実用化を加速化するため、豊富な経験を持つ創薬事業部のコーディネーターが、創薬研究に取り組む研究者からの様々な相談に応じます。

◆ 支援対象

- 創薬シーズを保有する大学、公的研究機関等の研究者

◆ 相談範囲

- 戦略的相談 研究計画、出口戦略、知財戦略等に関する相談
- 技術的相談 以下の応用研究（探索研究から非臨床試験まで）に関わる相談
 - 創薬標的分子の探索・検証
 - スクリーニング系の確立 及び HTSの実施
 - 構造最適化（構造デザイン及び化学合成）
 - 非臨床試験（薬効薬理、安全性、代謝・薬物動態等）
 - CMC（製造・品質等）及び 製剤化（DDSを含む）
 - 研究計画策定 および 知財取得に対する助言
 - コンパニオン新案薬開発（バイオマーカーの探索）

関連HP

◆ **創薬ブースター** （創薬シーズ提案書へのリンク含）

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/001_01-01.html

◆ **創薬ナビ** （創薬ナビ申込書へのリンク含）

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/001_01-02.html

◆ **支援テーマ一覧**

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/theme_list.html

◆ **産学共同スクリーニングコンソーシアム**

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/001_02-01.html

創薬ブースターによる支援の特徴

三つの支援をワンストップ

知

創薬コーディネーターの知識・経験

- 研究開発計画の策定・助言
- 知財・出口戦略の策定・助言
- 企業導出支援 (iD3の成功報酬なし)

技

創薬支援ネットワークによる技術支援

- 理研・医薬基盤健康栄研・産総研
- 民間CRO等
- 創薬支援推進ユニット

資

実験調査による検証実験

- 研究仮説の検証等をシーズ提案者に依頼
- 実験に必要な経費はiD3が負担

HTS、GLP、GMP等のCRO経費

戦略・技術・資金による総合支援

iD3 solicit your proposal!

【お問い合わせ】

AMED創薬事業部

創薬企画・評価課

id3info@amed.go.jp