

文部科学省  
科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会  
ライフサイエンス委員会  
『ライフサイエンス分野の動向と展望』

2026年1月16日  
JST研究開発戦略センター  
ライフサイエンス・臨床医学ユニット  
辻 真博



1. ライフサイエンス分野の俯瞰図
2. 論文動向から見るライフサイエンス分野
3. 海外の主なライフサイエンス政策動向（米国、中国）
4. 注目研究領域の例：
  - 【A】生命システム連関（免疫×発生×神経システム）
  - 【B】Human Biology（ヒト生体試料、健康医療データ）
  - 【C】合成生物学テクノロジー×AI（レッドバイオ／ホワイトバイオ基盤）
  - 【D】創薬モダリティ（低分子医薬、核酸医薬、微生物製剤治療）
5. まとめ
- ★. 参考資料集

1. ライフサイエンス分野の俯瞰図
2. 論文動向から見るライフサイエンス分野
3. 海外の主なライフサイエンス政策動向（米国、中国）
4. 注目研究領域の例：
  - 【A】生命システム連関（免疫×発生×神経システム）
  - 【B】Human Biology（ヒト生体試料、健康医療データ）
  - 【C】合成生物学テクノロジー×AI（レッドバイオ／ホワイトバイオ基盤）
  - 【D】創薬モダリティ（低分子医薬、核酸医薬、微生物製剤治療）
5. まとめ：
- ★. 参考資料集

# ライフサイエンス分野の俯瞰図

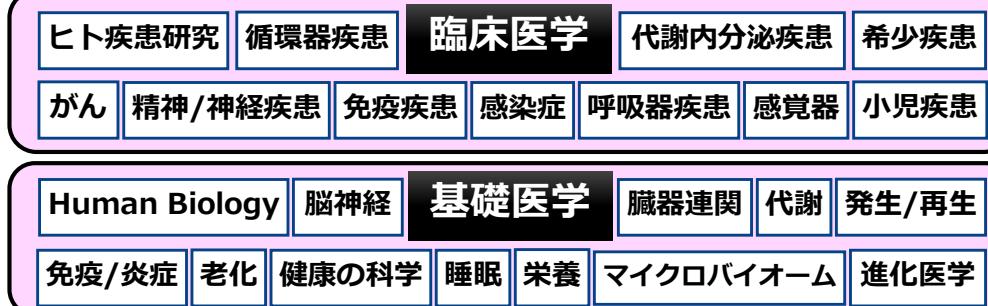
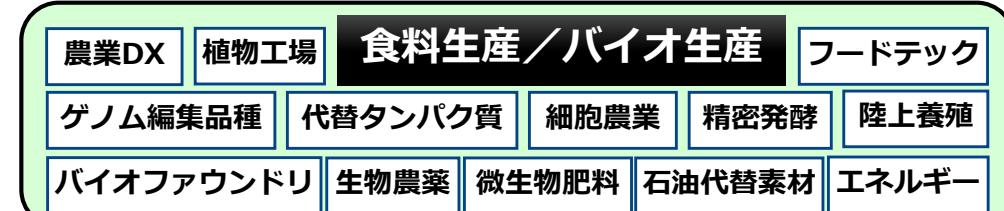
知の創出・技術革新による、人と地球の持続的な健康の実現

応用研究

基礎研究

先端技術

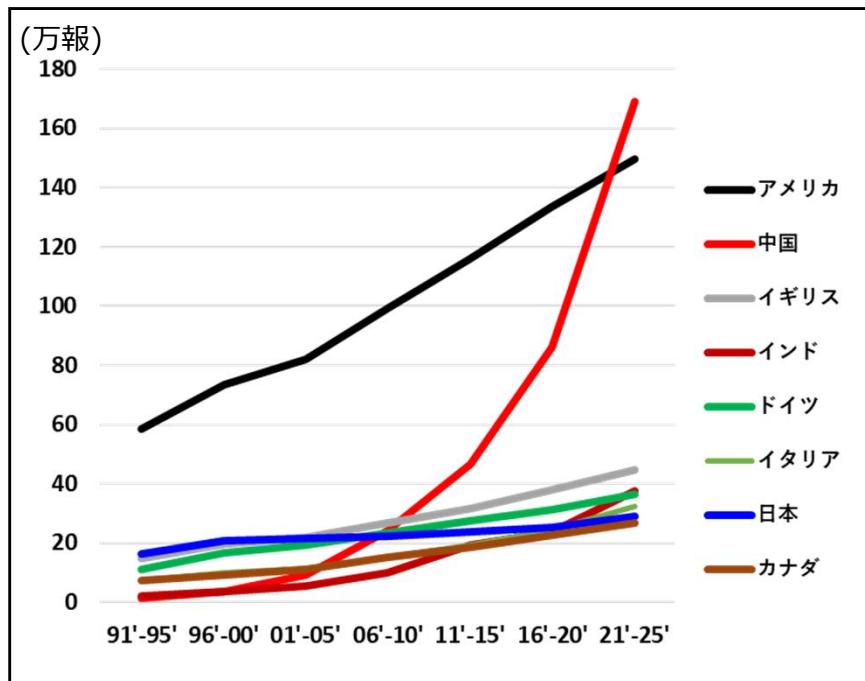
研究基盤



# 論文動向から見るライフサイエンス分野

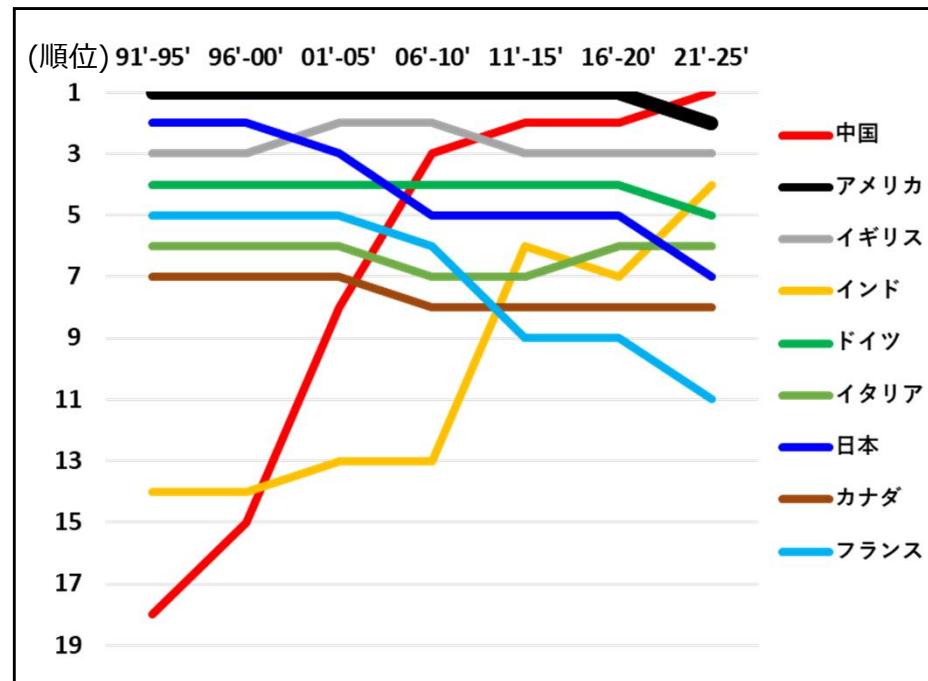
- ✓ ライフサイエンス分野の論文数は、**米中が他国を圧倒**、かつ**中国の躍進**著しい
- ✓ **日本は徐々に順位が低下**

ライフサイエンス分野の論文数推移  
(1991~2025)



- ✓ 論文数は中国、アメリカが他を圧倒
- ✓ **中国がアメリカを抜いて1位に**

ライフサイエンス分野の論文数ランキング推移  
(1991~2025)



- ✓ 中国に加えて、**インドも急上昇**し存在感
- ✓ **日本とフランスは低下傾向**が進む

Scopus使用、2026年1月11日検索実施

# 海外の主なライフサイエンス政策：米国（1/2）



- ✓ 米国はトランプ政権下で動きが激しく、要注目

## A) 政府系機関のFY2026予算（2025年10月～2026年9月）が徐々に決定しつつある

◆ 大統領予算教書で大幅な減額が示されたが、**ライフサイエンス系は昨年並み～微減？**

	FY2025	FY2026予算教書	FY2026下院・上院	決定
NIH	460億\$	279億\$ <b>(-39%)</b>	469億\$・471億\$	調整中？
NSF	91億\$	39億\$ <b>(-57%)</b>	70億\$・90億\$	88億\$ <b>(-3%)</b>

参考:スライド23-28頁

## B) FY2027研究開発予算における優先事項

文書名「M-25-34 Fiscal Year (FY) 2027 Administration Research and Development Budget Priorities and Cross-Cutting Actions」

- 重要・新興技術におけるリーダーシップ  
AI、量子情報技術、半導体/マイクロレトロニクス、先進通信ネットワーク、先進コンピューティング技術、先進製造
- エネルギー優位性、地球上のフロンティア  
エネルギー優位性、極圏研究、海洋探索＆観測
- 安全保障の強化  
高度な軍事技術、Golden Dome、備えとレジリエンス
- 健康とバイオテクノロジーの強化**  
右参照
- 宇宙における優位性の確保

### ①アメリカの健康

- ★慢性疾患、肥満、代謝疾患、自己免疫疾患、がん、神経疾患（アルツハイマー病等）、希少疾患、未診断疾患
- ★植物衛生、動物疾病予防、食品安全技術
- ★次世代オミクスとAI（疾病の理解と予防）

### ②BiosafetyとBiosecurity

- ★潜在的な生物学的脅威の検知、対応、軽減
- ★核酸／タンパク／低分子などの毒性評価技術

### ③アメリカ国内のバイオ製造能力

- ★バイオ製造のイノベーションを支援

# 海外の主なライフサイエンス政策：米国（2/2）



## C) America's AI Action Plan (米国AI行動計画、2025年7月～)

- ◆ **米国のAI優位性確保**を目指しAI開発＆インフラ整備

## D) America First Global Health Strategy (米国第一グローバルヘルス戦略、2025年9月～)

- ◆ 多国間協力によるグローバルヘルスでなく、**米国一相手国との二国間協力への構造転換**  
→現時点では主に**HIV／結核／マラリア／ポリオ治療**が掲げられている

## E) Make America Healthy Again Commission (米国を再び健康にする委員会、2025年2月～)

- ◆ 急増する**小児慢性疾患**（肥満/糖尿病/自閉症など）の解決  
→特に**ワクチン、農薬、食品添加物・食栄養**などの小児への影響を調査し改善

## F) BIOSECURE Act (バイオセキュア法、2025年12月成立)

NDAA FY2026(国防権限法) の一部

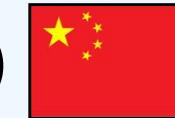
- ◆ **国家安全保障上のリスクと見なされる企業**について、**米国政府機関による調達を禁止**  
→結果的に幅広い取引に影響を与え、サプライチェーンが大きく変化する可能性

## G) 米国へ大型投資を実施する外国籍企業

- 6,000億\$ : **ソフトバンク(日)**／OpenAI(米)／Oracle(米)・・プロジェクト・スターゲート (AIインフラ)
- 2,000億\$ : **JERA(日)**・・シェールガス開発・生産事業権益
- 1,000億\$ : TSMC(台)・・半導体製造施設
- 500億\$ : **AstraZeneca(英)**・・医薬品の製造と研究開発
- 300億\$ : **GSK(英)**・・研究開発、工場拡張
- 260億\$ : **Hyundai(韓)**・・製鉄所およびその他
- 230億\$ : **Novartis(スイス)**・・製造施設の拡張

- ）
- ✓ 米国内での医薬品製造基盤整備
  - ✓ 研究開発段階から米国工コシステムへ

# 海外の主なライフサイエンス政策：中国（1/2）



- ✓ 中国は米国に並び立つ存在感を示し、かつ着実に発展している印象

## A) 中国の公的資金による全分野の研究開発費

参考：スライド29-33頁

- ◆ 総額：1兆1996億元[2023]

→内訳：8,023億元（地方政府）、3,973億元（中央政府）

## B) 中国では、ライフサイエンス系の研究者層が最も分厚い

参考：スライド30頁

- ◆ 国家自然科学基金委員会（NSFC）←中国版“科研費”

→若手枠、一般枠ともに約30%がライフサイエンスor医学系

## C) 基礎研究への支援強化について、具体的な数値目標が現行の5カ年計画に明記

- ◆ 「十四个五年规划」：第14次五カ年計画（2021年～2025年）

→基礎研究費の割合を2025年までに8%以上へ拡充

2018年「国务院关于全面加强基础科学的研究的若干意见」≡ 基礎研究強化に向けた政府の方針

> 2020年までに、いくつかの重要分野で世界トップ集団に入り、オリジナルな科学的成果を創出

> 2035年までに、より多くの重要分野で世界を先導し、科学&人類にとってインパクトの大きな成果を創出

> 21世紀中盤までに、世界の科学&イノベーション拠点となりトップレベルの科学者を輩出、科学技術強国へ

## D) 研究成果の産業化、スタートアップ支援も大規模に進行中

参考：スライド32頁

- ◆ 技術創新引導基金

→いくつかの枠組みで、総額1.5兆元規模のファンド

# 海外の主なライフサイエンス政策：中国（2/2）



## E) 主な中長期戦略で掲げられている重要テーマの概観

<p><b>【2016～2030】</b>  <b>国家創新驅動發展戰略綱要</b>          (国家イノベーション駆動発展戦略要綱)</p>	<p><b>【2021～2025】</b>  <b>十四个五年规划</b> (第14次五力年計画)</p>	<p><b>[研究拠点整備・強化]</b></p>	<p><b>[重要先端科学技術分野]</b></p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 次世代情報ネットワーク技術</li> <li>➤ <b>スマート・グリーン製造技術</b></li> <li>➤ <b>現代的農業技術</b></li> <li>➤ 現代的エネルギー技術</li> <li>➤ 資源効率利用及び環境保護技術</li> <li>➤ 海洋および宇宙技術</li> <li>➤ スマートシティ・デジタル社会技術</li> <li>➤ <b>健康技術</b></li> <li>➤ 現代型サービス業技術</li> <li>➤ 産業変革技術</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 量子情報</li> <li>➤ フォトニクス</li> <li>➤ マイクロナノエレクトロニクス</li> <li>➤ ネットワーク通信</li> <li>➤ <b>人工知能</b></li> <li>➤ <b>バイオメディカル</b></li> <li>➤ 現代エネルギーシステム等</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ <b>次世代人工知能</b></li> <li>➤ 量子情報</li> <li>➤ 集積回路</li> <li>➤ <b>脳科学と脳模倣型人工知能</b></li> <li>➤ 遺伝子とバイオテクノロジー</li> <li>➤ <b>臨床医学と健康</b></li> <li>➤ 深宇宙、深地球、深海、極地探査</li> </ul>	

## F) AIに関する国家戦略が次々と打ち出されている (ライフサイエンスに限定しない)

- ◆ **2017年：次世代AI発展計画**
- ◆ **2024年：人工智能+** (人工知能プラス)

参考：スライド33頁

1. ライフサイエンス分野の俯瞰図
2. 論文動向から見るライフサイエンス分野
3. 海外の主なライフサイエンス政策動向（米国、中国）
4. 注目研究領域の例：
  - 【A】生命システム連関（免疫×発生×神経システム）
  - 【B】Human Biology（ヒト生体試料、健康医療データ）
  - 【C】合成生物学テクノロジー×AI（レッドバイオ／ホワイトバイオ基盤）
  - 【D】創薬モダリティ（低分子医薬、核酸医薬、微生物製剤治療）
5. まとめ
- ★. 参考資料集

# わが国で重要と考えられる8つの方向性

## ①多様な創薬モダリティの開拓/洗練/創出

- D** a) 創薬モダリティ技術の先鋭化、融合  
 b) 創薬関連技術の開発[動物実験代替、時空間動態制御]  
 c) **AI×合成生物学テクノロジー**の開発・実装 [設計/評価]  
 d) **GMP**製造技術の開発[核酸、ベクター、細胞等]

## ③Human Biology、ヒト疾患研究の加速

- B** a) **Human Biology**研究[ヒトを対象とした研究]、基盤整備  
 b) **疾患メカニズム**の解明[細胞-組織-臓器連関、生命システム連関]  
 c) **治療標的**の探索・同定・妥当性評価  
 d) **基礎×臨床**[リバースTR等]、**治療コンセプト**の模索

## ⑤生命現象の統合的理解、メカニズム解明

- A** a) **細胞-組織-臓器連関** [実質-間質細胞連関、多臓器連関]  
 b) **生命システム連関** [免疫/発生/神経システム等]  
 c) **多様な生物**の研究 [微生物/植物/動物/ヒト、モデル/非モデル]  
 d) **マルチスケール**・多項目の動態観察と解析

## ⑦研究開発DX基盤の構築 [AI、データ]

- a) **データ統合/利活用基盤**の構築  
 b) **標準化**、医療・健康・農業・基礎研究データ  
 c) 研究DX関連**人材**の育成・定着  
 d) **AI関連技術**のさらなる利活用[**生成AI**含む]

## ②個別予見的な医療・ヘルスケアの実現へ

- a) **層別化”医療”**の加速[健康医療 & ゲノムデータ統合]  
 b) **層別化”栄養”**の研究開発と社会実装へ  
 c) **AI医療、デジタルヘルスケア**の開発[医療機器、ソフトウェア]  
 d) **感染症研究**の継続的推進[将来のパンデミック対策]

## ④農水畜産、食料/バイオ生産の持続性向上

- C** a) **ネイチャーポジティブ、プラネタリーヘルス**研究の推進  
 b) **環境負荷低減**技術の開発 [石油資源代替、CO2抑制]  
 c) **食料生産/フードテック**の研究開発と社会実装へ  
 d) **AI×合成生物学テクノロジー**の開発・実装 [バイオ生産]

## ⑥先端計測技術/バイオテクノロジーの開発

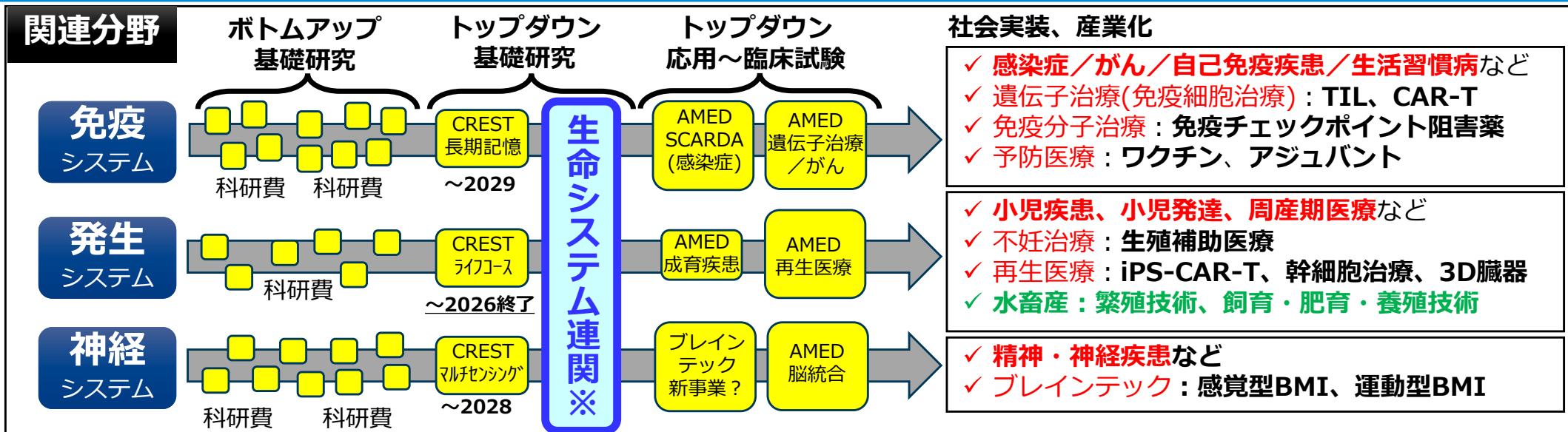
- C** a) **合成生物テクノロジー**の開発 [無細胞系、人工生命、AI]  
 b) **先端計測×AI技術**の開発 [AI×(オミクス&イメージング)]  
 c) **分子・遺伝子・細胞工学技術**の開発 [ゲノム編集、分子改変等]  
 d) **応用領域**への展開 [創薬、食料/バイオ生産、その他]

## ⑧研究開発エコシステムの構築

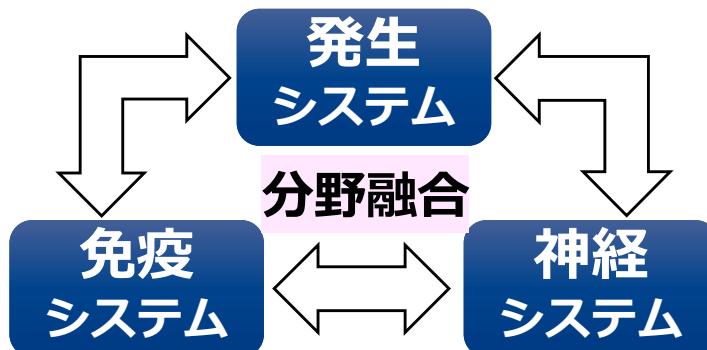
- a) **イノベーションエコシステムの構築**[産・学・スタートアップ・官]  
 b) **安全保障**の観点も踏まえた研究開発[**食料**など]  
 c) **コアファシリティの整備**[最先端技術&機器開発と共通利用]  
 d) **ライフサイエンス・臨床医学と人文・社会科学の連携**

# 【A】生命システム連関（発生×免疫×神経）

✓ 個々の生命システム（発生、免疫、神経）を統合した分野融合型の基礎研究が重要



## ※“生命システム連関”



分野融合により想定外の新展開が期待！

### 研究課題① 「生命システム連関」による新たな学理の探求

- 例：免疫システム×発生システム（免疫の発達・成熟etc）
- 例：神経システム×免疫システム（脳×免疫、抹消神経×免疫etc）
- 例：臓器口一カル連関システム（肝/腎/皮、3次リンパetc）
- 例：多臓器連関システム（脳-心-腎-腸-肝、マイクロバイオームetc）

### 研究課題② 「生命システム連関」と疾患メカニズムの解明

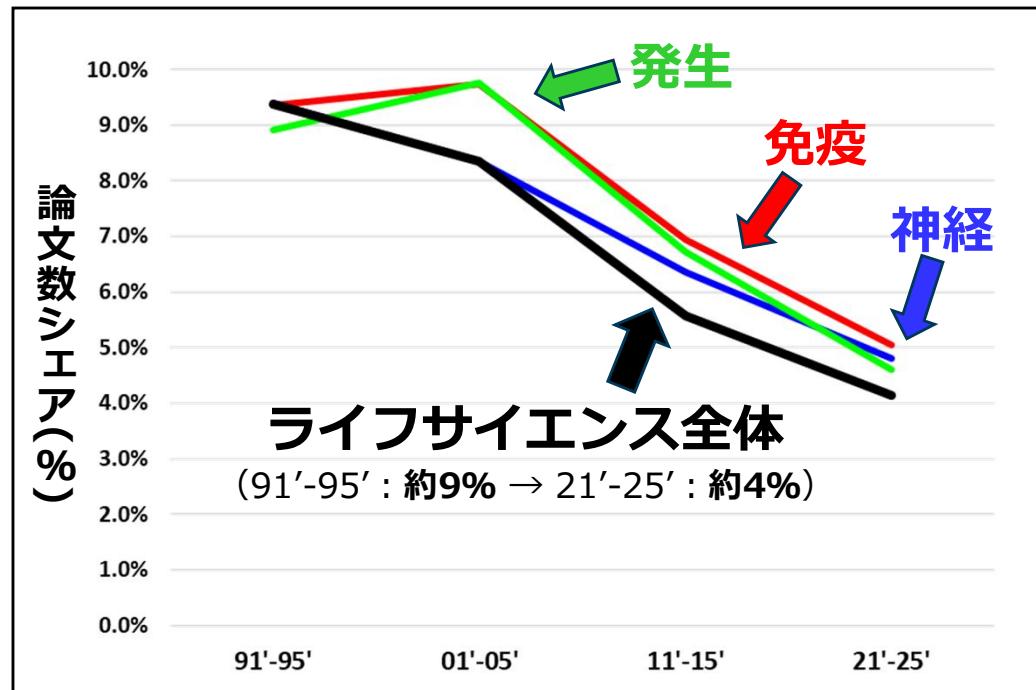
- 例：感染症、がん、自己免疫疾患、精神神経疾患、生活習慣病
- 例：小児疾患、小児発達、周産期、不妊、

### 研究課題③ 「生命システム連関」基盤技術の開発

- 例：実験系の構築（オルガノイド、モデル生物etc）
- 例：計測技術（空間オミクスetc）
- 例：データ解析・モデル開発（AI：ML/LLM、バイオデジタルツイン）

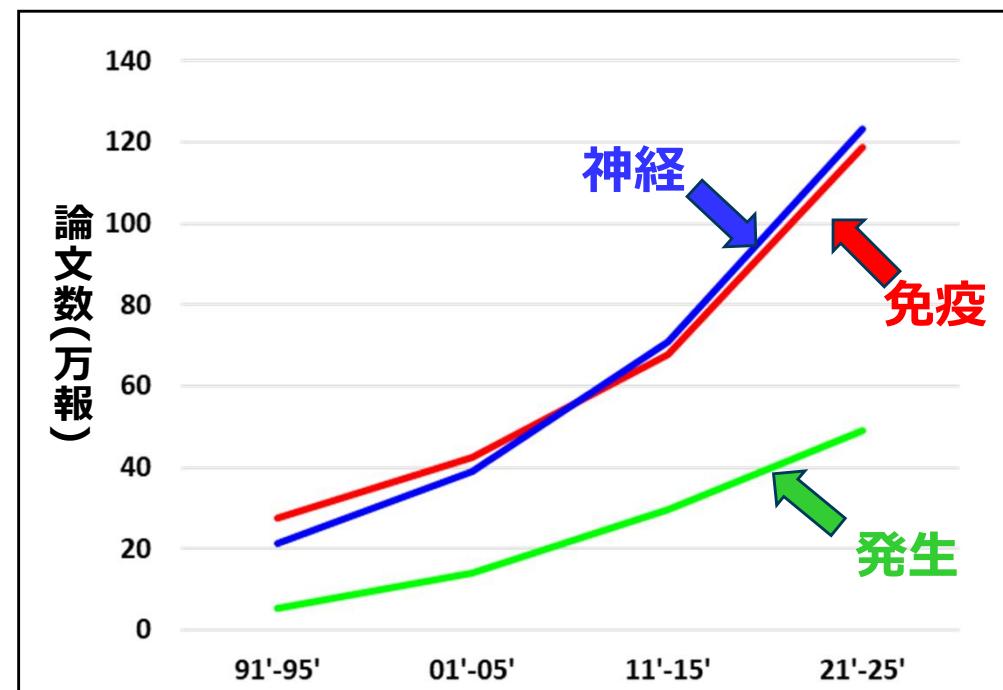
## 【A】補足資料：論文データ

論文数シェアの推移  
(日本／世界、分野別)



ライフザイエンス全体  
(91'-95'：約9% → 21'-25'：約4%)

世界の論文数の推移  
(発生、免疫、神経)



- ✓ 論文数シェアの観点から、**日本のライフザイエンスは急落**
- ✓ そのような中、**発生、免疫、神経は健闘、日本の強み**とも言える

- ✓ 論文数では**神経と免疫が多く、現在では神経の方がより多い**
- ✓ 論文の増加率の観点では、**発生が最も勢い**がある（91'-95'比で8倍以上）

Scopus使用、2026年1月14日検索実施

# 【A】補足資料：生命科学／医学における重要テーマ群

## ヒト研究/ Human Biology

### ⑯ヒト生物学／ヒト医学&疾患

- ・ヒト研究基盤[医療データ、オミクス／画像、サンプル]、ヒト実験系[ヒト化動物、Organ-on-a-Chip、疾患iPS]、ヒト計測技術[オミクス／イメージング]

### ⑯進化医学

- ・多様な生物種に固有の生理現象/疾患のメカニズム、絶滅生物のバイオロジー[旧人類、絶滅動物]、技術基盤[iPS技術、ゲノム解析、オルガノイド]

## 分子細胞基盤

### ①セントラルドグマ

- ・ゲノム動的構造
- ・エピゲノム
- ・RNA／スプライシング
- ・翻訳／翻訳後修飾

### ②細胞内構造

- ・オルガネラ連関
- ・生体相分離
- ・細胞内混雑環境
- ・細胞内外情報伝達

### ③品質管理

- ・タンパク品質管理
- ・オルガネラ品質管理
- ・アポトーシス、細胞競合
- ・人為的制御[PROTAC等]

### ④細胞記憶

- ・長期免疫記憶
- ・非免疫細胞記憶
- ・エピゲノム、液性因子、代謝、形態(ほか)

## 細胞～臓器連関

### ⑤多臓器連関

- ・臓器間分子ネットワーク
- ・臓器間神経ネットワーク
- ・脳腸連関、炎症反射
- ・感覚器～脳～臓器

### ⑥超生命体

- ・マイクロバイオーム
- ・バイローム
- ・クオラムセンシング
- ・宿主－微生物叢相互作用

### ⑦実質-間質細胞連関

- ・臓器固有の間質細胞
- ・実質×間質機能連関
- ・細胞分化系譜
- ・細胞多様性

### ⑧代謝ネットワーク

- ・分子ネットワーク
- ・代謝エピジェネティクス
- ・代謝と細胞機能
- ・代謝×免疫/神経/発生

## 生命システム連関

### ⑨免疫システム

- ・免疫応答システム
- ・免疫ゲノム、レパトア
- ・臓器ローカル免疫
- ・腫瘍免疫、疾患免疫学

### ⑩神経システム

- ・神経システム基盤
- ・中枢神経、高次脳機能
- ・自律神経、末梢神経
- ・神経×免疫/代謝/発生

### ⑪発生システム

- ・発生メカニズム
- ・再生メカニズム
- ・幹細胞のバイオロジー
- ・修復×免疫システム連関

### ⑫性スペクトラム

- ・♂と♀の生物学
- ・性スペクトラムと恒常性維持機構
- ・性スペクトラムと疾患

## 健康～疾患基礎

### ⑬疾病横断的現象

- ・3次リンパ組織
- ・がん微小環境
- ・悪液質
- ・クローン性造血

### ⑭加齢・老化

- ・生命システムの老化
- ・細胞老化、老化時計
- ・partial cell reprogramming
- ・細胞疲弊

### ⑮栄養／運動

- ・食／栄養の代謝制御
- ・運動の分子機構
- ・個別化栄養
- ・健康と栄養／運動

### ⑯睡眠／リズム

- ・睡眠の制御機構
- ・冬眠／夏眠／休止状態
- ・生体リズム／生物時計
- ・非モデル生物[冬眠動物]

## 疾患メカニズム

### [1] がん

### [2] 認知症

### [3] 精神神経

### [4] 感染症

### [5] 生活習慣

### [6] 免疫/慢性炎症

### [7] 小児

### [8] 希少 ほか

【本図では省略】AI／データ駆動型研究、ゲノム・医療データ基盤、先端計測・操作技術

基礎生命科学

基礎医学～疾患研究

## 【B】Human Biology（ヒト生体試料、健康医療データ）

- ✓ わが国は、**モデル動物研究において現在も世界トップ集団**に位置する（例：発生、免疫、神経）
- ✓ 一方、創薬・食栄養など出口を見据えると、**ヒトを対象とした研究開発の強化が重要**

### 【例】“発生、免疫、神経”の論文数の分析

- ◆わが国は、**モデル動物研究で高い順位**にあるが、  
**ヒト研究では後塵を拝する**（表1）
- ◆モデル動物研究よりも**ヒト研究の方が論文数が多く**、かつ伸び率も大きい

表1. 論文数平均順位（日本）

	91'-95'	01'-05'	11'-15'	21'-25'
モデル動物	2.0	2.0	3.0	3.3
ヒト	3.0	3.3	5.3	6.7

表2. 論文数合計（世界）

	21'-25'
モデル動物	537,185
ヒト	2,695,966

Scopus使用、2026年1月11日検索実施

創薬・医療技術開発を進める上で、「ヒト」を対象とした研究は必須

「モデル動物」研究には強いが、**「ヒト」研究に弱い点が、日本の基礎研究の陥路**

### 重要テーマ

参考：スライド36-44頁

### 『Human biology』の推進：ヒト生体試料、健康医療データ基盤の整備

- ① **大学病院(医学部)の研究環境の整備・強化**
- ② **ヒト生体試料／医療データへのアクセス改善**：大学病院と他学部の連携等
- ③ **コホート、バイオバンク、ブレインバンクの整備**
- ④ **ディープクリニカルデータ基盤の整備**：CLIDAS等

# 【C】合成生物学テクノロジー×AI（レッド&ホワイトバイオ基盤）

- ✓ わが国はWETな合成生物学テクノロジーに軸足を置きつつAIを開発実装することが重要
- ✓ レッドバイオとホワイトバイオの両方を加速させる重要な次世代技術基盤である

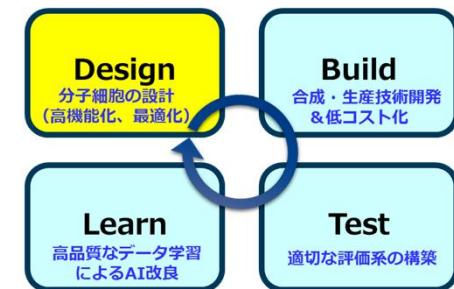
**[背景]**：生成AIが“Design”を急激に発展、膨大な設計図を短時間で生成可能

- その中核はNVIDIA、OpenAI、Metaなど海外の巨大テクノロジー企業

**[注目]**：生成AIの“Design”を「実際に作って評価」する重要性が高まる

- 生成AIは、地球上には存在しない分子や進化的に遠い分子も生成できる

**[目標]**：日本が「WETな合成生物学テクノロジーでは不可欠の存在」となり、かつ「AI×合成生物学でレッドorホワイトの価値創出」も目指す



「合成生物学テクノロジー×AI」～レッド&ホワイトバイオの次世代技術基盤へ～

**研究課題①：次世代バイオ系合成技術の開発**

- 無細胞合成系（セルフリー、人工細胞）
- 人工生命系（コドン圧縮細胞等）

DNA合成  
タンパク合成  
非天然分子合成

参考：スライド47-48頁  
「人工生命系」スタートアップに  
メガファーマが大型投資

**研究課題②：人工分子技術／次世代分子編集技術の開発**

- 分子修飾・改良（安定化、高機能化、非天然分子化）
- 書き換え（ゲノム編集／エピゲノム編集／染色体編集／細胞編集）

**研究課題③：生成AIとWET合成生物学テクノロジーの融合**

**研究課題④：レッドバイオ／ホワイトバイオにおける価値創出へ**

参考：スライド18-19頁

**[成果(レッド)]**：医薬品（低分子／抗体／核酸／細胞治療／遺伝子治療／微生物製剤など）

参考：スライド49頁

**[成果(ホワイト)]**：食品・バイオ・農水畜産素材、石油資源代替

# 【C】補足資料：AIによる“Design”急展開と新たなボトルネック

- ✓ **生成AIを用いた「Design」が急速に進展、膨大な設計図が短時間で得られるように**
- ✓ 「Design」だけでは完結せず、これからは 「Build」以降のプロセスも改めて重要な

参考：スライド45-46頁

## ゲノム生成AI

例：EVO2(2025)  
[Arc Institute(NVIDIA連携)]

## タンパク(抗体)生成AI

例：Chai-2(2025)  
[Chai discovery(OpenAI連携)]

## タンパク生成AI

例：ESM3(2024)  
[EvolutionaryScale(Meta関連)]

## タンパク×低分子生成AI

例：AlphaFold3  
[Isomorphic Labs  
(Alphabet(google)子会社)]

## Design

分子細胞の設計  
(高機能化、最適化)

## Build

合成・生産技術開発  
&低コスト化

## Learn

高品質なデータ学習  
によるAI改良

## Test

適切な評価系の構築

- ✓ 臨床試験、NAM(動物実験代替)
- ✓ 園場試験、生産性評価試験

## [例]全ゲノムの完全合成

[bioarxiv, 2025]  
改良型ΦX174ファージ (5.4kb)  
→全合成は簡単&安価

参考：酵母 (12MB)  
◆“Yeast2.0”で8カ国が連携、  
15年間で合成成功 (~2025)  
→全合成の難易度は高い

参考：ヒト (3GB)  
◆“SynHG”で英国中心に開始  
5年：1,000万£で染色体1本  
→全合成には数十年？

**AIがDesignしたゲノム  
の全合成は高難度**  
(既存生物のゲノム改変ならば簡単)

レッドバイオ：医薬品（低分子医薬／抗体医薬／核酸医薬／細胞治療／遺伝子治療／微生物製剤など）

ホワイトバイオ：食品・バイオ・農水畜産素材（精密発酵／細胞農業／生物農薬など）、石油資源代替

# 【C】補足資料：合成生物学テクノロジー×AIと産業化

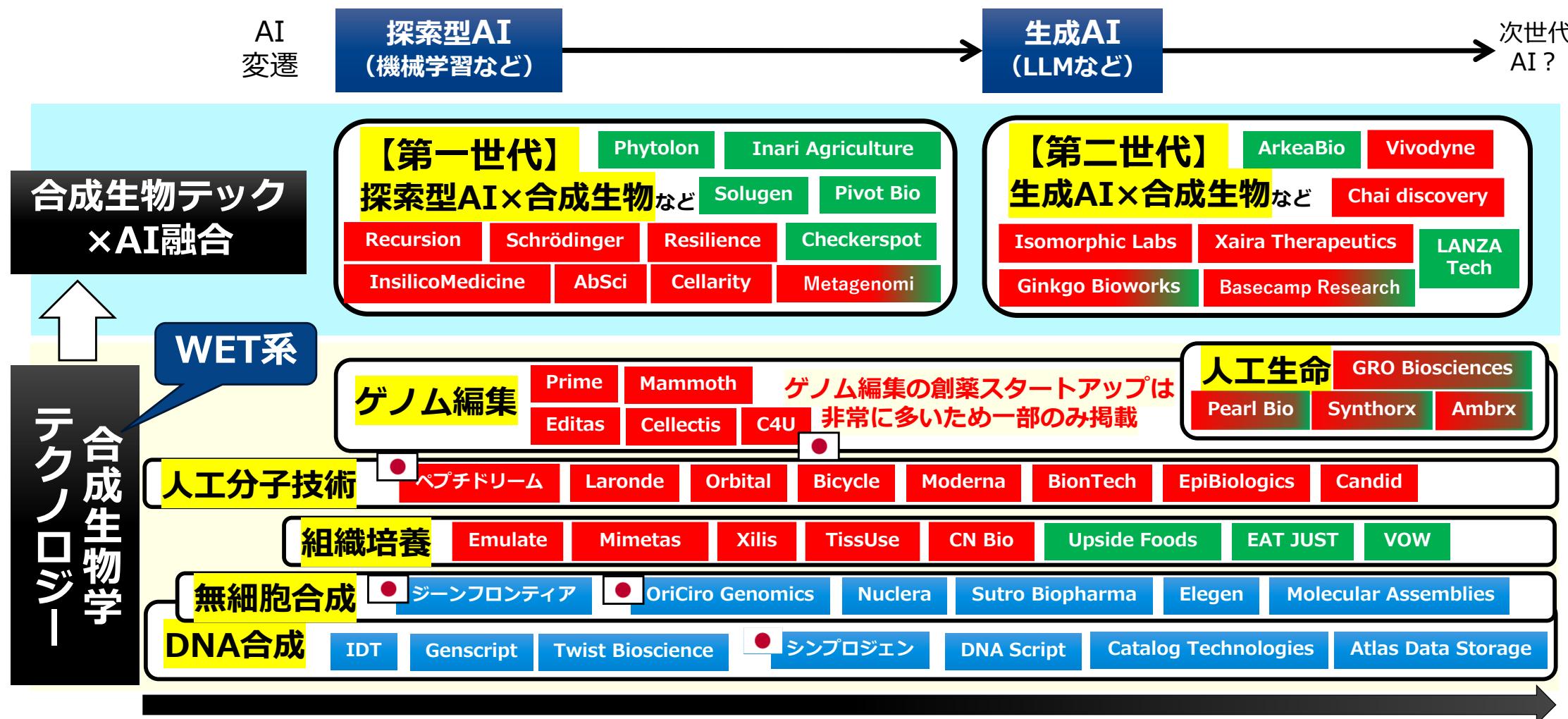
- ✓ 合成生物学テクノロジー×AIにより、**新たな価値につながる分子細胞スペースが開拓**
- ✓ レッドバイオ／ホワイトバイオの両方に大きなインパクトをもたらしうる



# 【C】補足資料：合成生物学／AI関連の主なスタートアップ<sup>JST</sup>

科学を支え、  
未来へつなぐ

- ✓ **WET系の合成生物学テクノロジー**では、**わが国も一定の存在感**がある
- ✓ 大型投資を獲得しやすいレッドバイオで先鋭的技術が磨かれ、ホワイトバイオへ拡張



# 【D】創薬モダリティ（低分子医薬、核酸医薬、微生物製剤治療）

- ✓ 創薬モダリティの多様化が加速し、激しい開発競争が繰り広げられている
- ✓ わが国では①低分子医薬、②核酸医薬、③微生物製剤（遺伝子治療含む）が特に重要である

表. 主な創薬モダリティ  
(大分類12種、中分類60種)

1. 低分子医薬
2. タンパク/ペプチド医薬
3. 核酸医薬
4. 抗体医薬
5. mRNA医薬
6. *in vivo*遺伝子治療
7. *ex vivo*遺伝子治療
8. 幹細胞治療[再生医療]
9. ウィルス製剤治療
10. 細菌製剤治療
11. ワクチン
12. mRNAワクチン



(参照) CRDSレポート  
創薬モダリティの潮流と展望



## ①低分子医薬

←再び存在感を増す、良コスパで重要性高い

参考：スライド56-58頁

- 世界市場：4,500億\$(2024)→6,200億\$(2030)→更なる拡大  
 潮流1：“新しいタイプの化合物”の登場[タンパク分解誘導化合物など]  
 潮流2：AI創薬の実装[低分子医薬が先行]  
 研究課題：新たな化合物機能コンセプトの創出[生命現象再利用型化合物etc]  
 研究課題：AIを活用した低分子医薬シーズの探索・最適化

## ②核酸医薬

←日本の存在感が大きい新型モダリティ、市場拡大中

参考：スライド59-61頁

- 世界市場：30億\$(2021)→350億\$(2030)→更なる拡大  
 潮流1：製品数、開発数ともに順調、主要なモダリティの1つとして確立  
 潮流2：生活習慣病を標的とした核酸医薬の開発にも注目  
 研究課題：核酸分子技術の開発[人工核酸技術、修飾技術、合成技術etc]  
 研究課題：新たな生体制御コンセプトの開拓[RNA編集、エピゲノム編集etc]

## ③微生物製剤

[/遺伝子治療]

←近々、急成長しそうな次世代モダリティ

参考：スライド65-73頁

- 世界市場：3億\$(2025)→28億\$(2030)→更なる拡大  
 潮流1：腫瘍溶解ウイルスで大型製品が複数登場する見込み  
 潮流2：“合成生物学”的レッドバイオ側の出口の1つでもある  
 研究課題：治療用微生物の探索、合成生物“医”学による治療機能改良・搭載  
 研究課題：微生物製剤シーズの開発[腫瘍溶解ウイルス/細菌/ファージ製剤]

- ✓ ライフサイエンスにおける米国・中国の存在感は非常に大きく、今後もその傾向は続くと思われる
  - ✓ わが国において重要と思われる研究開発の方向性
    - ★日本の存在感を向上させるテーマ
    - ★わが国の研究開発の深刻な隘路となっているテーマ
- ①**生命システム連関（免疫×発生×神経システム）**  
→分野融合を強化し、新たな学術潮流と成果創出を加速
- ②**Human Biology（ヒト生体試料、健康医療データ）**  
→「ヒト」を対象とした医学研究を強化し、創薬・医療研究を活性化
- ③**合成生物学テクノロジー×AI（レッド&ホワイトバイオ基盤）**  
→WETな合成生物学テクノロジーの強みを生かし、AIと融合し技術基盤構築へ
- ④**創薬モダリティ（低分子医薬、核酸医薬、微生物製剤治療）**  
→低分子医薬[AI創薬]、核酸医薬[分子技術]、微生物製剤治療[合成生物学]

1. ライフサイエンス分野の俯瞰図
  2. 論文動向から見るライフサイエンス分野
  3. 海外の主なライフサイエンス政策動向（米国、中国）
  4. 注目研究領域の例：
    - ①生命システム連関（免疫×発生×神経システム）
    - ②Human Biology（ヒト生体試料、健康医療データ）
    - ③合成生物学テクノロジー×AI（レッドバイオ／ホワイトバイオ基盤）
    - ④創薬モダリティ（低分子医薬、核酸医薬、微生物製剤治療）
  5. まとめ：
- ★. 参考資料集



# 【米国】主な中長期的国家プロジェクト(1/2)

## 中長期的な国家プロジェクト（≒ 21st Century Cures Act）

脳

① **BRAIN Initiative** [FY2013～]バイオバンク  
精密医療② **All of Us Research Program** [FY2015～] ←旧Precision Medicine Initiative

がん

③ **Cancer Moonshot** [FY2016～23] ←FY2025も予算重点事項として継続

(再生医療)

④ **Regenerative Medicine Innovation Project** [FY2017～20] 終了

### ① BRAIN Initiative

Brain Research through Advancing  
Innovative Neurotechnology Initiative

←日本の脳プロ的なイメージ

- 期間、予算規模：FY2013～、**4億\$** [FY2024]
- ミッション：**人間の脳機能の理解のための技術開発と応用**
- プロジェクト数：1,469件（2025年5月時点、公開）
  - a. データ科学と情報科学（データ共有：アーカイブ、統合、解釈、視覚化のインフラ構築）
  - b. 研究・技術支援基盤（基礎・橋渡し・臨床研究のためのツールとリソースの普及・支援）
  - c. ヒトの神経科学（脳の構造や機能を研究するための技術的支援）
  - d. 神経活動の記録とモジュレーション（神経信号の記録等のためのツールの開発、技術支援）
  - e. 神経倫理学（イニシアティブが提供するツールや技術の倫理的・社会的影響の調査）
  - f. 神経イメージング（シナプスから脳全体まで様々な解像度でのイメージング支援）
  - g. システムズ神経科学（神経回路活動が精神的経験や行動をどのように生み出すかの研究を支援）
  - h. 細胞カタログ・マッピング（神経細胞の種類・機能をカタログ化、神経回路等へのマッピング）
  - i. トレーニング、インクルージョン、公平性（若手研究者の育成や多様性のための支援）



# 【米国】主な中長期的国家プロジェクト(2/2)



## ② All of Us Research Program

←日本の東北MMB的なイメージ

- 期間、予算規模：FY2015～、FY2024は前年度から34%減で**3.6億\$**
- **コホート規模：100万人規模**、うち50万人が継続的なデータ提供に参加
- 目的：ゲノム情報や生活習慣に基づくデータ駆動型科学により疾病の予見、各個人に最適な治療法を提供する精密医療を実現させる

## ③ Cancer Moonshot

- 期間：FY2016～23、、、**FY2024以降も重点的な方向性として継承**
- 予算規模：**2.2億\$** [FY2023]、FY2017～23の総予算は18億\$
- 目的：**がん検診の促進、治療法の開発支援、官学民連携の強化**などを通じ、25年間でがんによる死亡率を50%低下
- 主なトピック：
  - ✓ 多発がん検出検査を評価する大規模試験 2024～  
多発がん検出血液検査の実施[4年間、24,000人]、その後のRCT [225,000人]で、がん早期検出と死亡率への影響を評価
  - ✓ Cancer Moonshot奨学生 2023～  
キャリア初期段階の研究者を支援、5年間の支援総額は1億3,500万\$
  - ✓ 遠隔医療研究センター 2022～2027  
がん遠隔医療の効果を調べるため、4つの学術研究機関に対し2,300万ドルを支援



# 【米国】主なライフ系ファンディング機関(1/4)

ライフサイエンス系を(も)扱っているファンディング関連組織 (だいたい7つぐらい)

- ① **NSF**、② **NIH**、③ **ARPA-H**、④ **DARPA**、⑤ **VA**、⑥ **DOE**、⑦ **USDA**

① **NSF** National Science Foundation ←日本の科研費的イメージ

- 予算規模：102億\$ [FY2025要求]  
→うち、ライフ系は8.6億\$ : **Biological Sciences (BIO)**
- **BIO領域の優先課題 [FY2025]**
  - a. Advanced Manufacturing [7.5M\$] **バイオ製造、合成生物学**
  - b. Artificial Intelligence [20.9M\$] **バイオインフォマティクス、AI**
  - c. Biotechnology [154.7M\$] **バイオテクノロジー**
  - d. Climate: Clean Energy Technology [57.5M\$] **クリーンエネルギー**
  - e. Quantum Information Science [3.4M\$] **量子研究／生物物理**
  - f. U.S. Global Change Research Program [242M\$] **地球環境（ヒト&自然）**
  - g. National Nanotechnology Initiative [40M\$] **ナノ×ライフ**
  - h. Networking & Information Technology R&D [79M\$] **AI、人材育成**



# 【米国】主なライフ系ファンディング機関(2/4)

② NIH

National Institutes of Health

←日本の「AMED+国研」なイメージ

- 27の研究所・センターを擁する研究機関であると同時に、ファンディング機関でもあり、いずれも世界最大規模
- 予算規模：501億\$ [FY2024]
  - 72億\$ : NCI (がん)
  - 66億\$ : NIAID (感染症/免疫)
  - 49億\$ : NIMHとNINDS (精神・神経疾患)
  - 45億\$ : NIA (老化関連疾患)
  - 40億\$ : NHLBI (循環器/呼吸器/血液疾患) ほか22の研究所・センターなど
- 注目プロジェクト
  - a. Common Fund [FY2006～]、7.35億\$ [FY2023]
    - NIH主導で分野横断ハイリスク研究を支援
    - 現在、22のプログラムが進行中 [2025年5月時点]

## 【主なプログラム】

- 4次元核内動態/ヌクレオーム
- 体細胞ゲノム編集
- 細胞老化
- ヒトウイルス
- ヒト生体分子アトラス
- ヒト組織体細胞モザイク

□ 疼痛

□ 末梢神経刺激

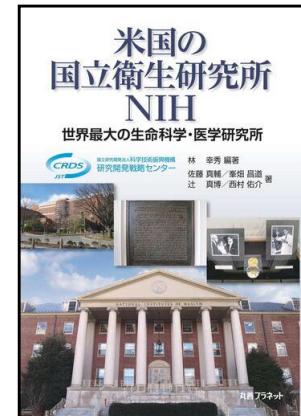
□ 精密栄養学

□ 小児研究

□ クライオ電子顕微鏡

□ AI×バイオ/医療

□ 動物実験の代替 ほか



参考書籍

<https://www.jst.go.jp/crds/report/16BK01.html>



# 【米国】主なライフ系ファンディング機関(3/4)

## ③ ARPA-H、2022～

Advanced Research Projects Agency for Health、医療高等研究計画局

- NIH内の独立したファンディング組織、DARPA型のトップダウンマネジメント
- 予算規模：15億\$ [FY2025]
- 目的：がんや認知症などの疾患研究において革新的な成果の創出
- 重点領域：
  - a. ヘルスサイエンスの未来：メジャー疾患、希少疾患、難治疾患の研究開発
  - b. スケーラブルなソリューション：医療へのアクセス改善と適正な治療コスト
  - c. プロアクティブな健康：疾患の発症予防、重症化予防
  - d. レジリエントなシステム：医療エコシステム
- ARPANET-H：3つのハブを軸にイノベーションを全米展開するネットワーク
  - a. カスタマーエクスペリエンスハブ（ダラス）：臨床試験・患者・ケアラーへのアクセス設計/改善
  - b. インベスター・カタリストハブ（ボストン）：投資家・起業家・研究者の連携強化
  - c. ステークホルダー・運営ハブ（ワシントンDC）：連邦政府との調整

## ④ DARPA

Defense Advanced Research Projects Agency、国防高等研究計画局

- 米国の軍事的優位性の維持を目指す、米国国防総省傘下の研究所
  - ✓ 全7部局で構成、うち**ライフ系は生物技術局：BTO, Biological Technologies Office**
  - ✓ DARPA全体予算は44億\$ [FY2025]、BTO予算は例年1割程度 = 4-5億\$
- BTOのプログラム：40件前後、**ハイリスクハイリターン、トップダウン型**
  - ✓ 神経科学、BMI、感染症、ゲノム編集、合成生物学など



# 【米国】主なライフ系ファンディング機関(4/4)



## ⑤ VA 退役軍人省、Department of Veterans Affairs

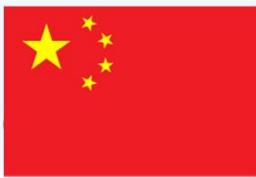
- 予算規模：**9.4億\$** [FY2024] ←医療・人工装具の研究開発予算
- 研究領域：**自殺防止、薬物中毒、PTSD、リハビリ、義肢** → **退役軍人/家族/遺族**
- トピック：Million Veteran Program
  - ✓ 退役軍人の遺伝子や環境要因・健康状態などのデータを大規模に取得＆解析
    - 90万人以上の退役軍人からデータを取得（2023年1月時点）
    - NIH-NCIと共同で遺伝的背景とがん罹患の解明
    - 戦争経験と生物学的見地からPTSDや双極性障害といった精神疾患に関する研究

## ⑥ DOE エネルギー省、Department of Energy

- 予算規模：510億\$ [FY2025] **Biological and Environmental Research**
- DOEは傘下に7つの研究部門を擁し**ライフサイエンス系はBER (9.5億\$)**
  - ✓ **持続可能なバイオ燃料生産**：微生物・植物デザイン（ゲノム、代謝、ネットワーク）
  - ✓ 生物地球科学的システムの理解：大気、土壤、海洋研究

## ⑦ USDA 農務省、US Department of Agriculture

- 予算規模：**40.5億\$** [FY2025]
- 主な研究組織：
  - ✓ ARS : 18.0億\$ **Agricultural Research Service**
  - ✓ NIFA : 19.6億\$ **National Institute of Food and Agriculture**
    - 研究開発イニシアティブ「Agricultural and Food Research Initiative (AFRI)」を実施
      - **持続可能な農業システム、植物の健康と生産性および植物の生産物**など



# 【中国】主なファンディング (1/3)

## 中国の研究開発費の全体像

➤ 公的資金による研究開発費総額：1兆1,996億元 [2023]

- ✓ 地方政府：8,023億元
- ✓ 中央政府：3,973億元

- 米国NSFの中国版  
➤ 日本の科研費的なイメージ

### ①国家自然科学基金委員会 (NSFC)

National Natural Science Foundation of China

- 国家自然科学基金の管理運営を担い、主に基礎研究に対する支援を実施
- FY2023は総額378億元、主なプログラムは次の通り

FY2023	プログラム名	採択件数
131億元	面上项目 (General Program) NSFCの基本的な研究費	20,321件
68億元	青年科学基金项目 (Young Scientists Fund) 若手向け研究費	22,879件
38億元	联合基金项目 産学・地域イノベーション強化 (Programs for Joint Funds)	1,160件
22億元	重点项目 (Key Program) “面上项目”より一回り大きな研究費	751件
16億元	国家杰出青年科学基金项目 (National Science Fund for Distinguished Young Scholars) 若手向け研究費 (とくに国際的リーダー集団育成、海外人材誘致)	415件
103億元	その他の12プログラム	

次頁に  
分析アリ



# 【中国】NSFCの主なプログラムの概観

## ➤ FY2023 「面上项目」分析

分野	応募件数	採択件数	採択率	総額(※)
医学	35,009	4,627	13%	23億元
工学、材料科学	21,921	3,486	16%	18億元
ライフサイエンス	17,005	3,188	19%	16億元
情報科学	12,520	2,183	17%	11億元
化学	9,694	2,015	21%	10億元
地球科学	10,085	2,106	21%	11億元
数学、物理学	8,703	1,872	22%	9億元
経営経済学	4,699	844	18%	3億元
合計	119,636	20,321	17%	101億元

地区	採択件数	割合	主な研究機関(中国大学ランキング)
北京	3,276	16%	精華大(1)、北京大(2)、北京航空航天大(12)、北京理工大(14)
上海	2,173	11%	上海交通大(4)、復旦大(5)
江蘇	2,114	10%	南京大(6)、東南大(13)
広東	2,085	10%	中山大(11)
湖北	1,234	6%	華中科技大(8)、武漢大(9)
浙江	1,094	5%	浙江大(3)
その他	8,325	41%	中国科学技術大(7)、西安交通大(10)
合計	20,301	100%	

## ➤ FY2023 「青年科学基金项目」分析

分野	応募件数	採択件数	採択率	総額
医学	44,253	5,440	12%	16億元
工学、材料科学	22,454	3,909	17%	12億元
ライフサイエンス	18,316	3,073	17%	9億元
情報科学	11,688	2,703	23%	8億元
化学	11,143	2,091	19%	6億元
地球科学	10,280	2,263	22%	7億元
数学、物理学	8,795	2,281	26%	7億元
経営経済学	7,376	1,119	15%	3億元
合計	134,305	22,879	17%	68億元

性別	応募件数	採択件数	採択率
男性	64,424	13,237	21%
女性	69,881	9,642	14%

## 【まとめ】

- ① 「医学+ライフ」分野の存在感は大きい  
→研究費総額[38%]、研究者数[47%]
- ② 「医学」採択率は最低、「ライフ」は低め
- ③ 北京/上海/江蘇/広東地区で全採択数の47%
- ④ 男性の採択率が高い、女性の応募件数が多い



# 【中国】主なファンディング（2/3）



## ②国家科学技術重大プロジェクト、2006年(?)～

- 国務院が所管する、国家の競争力強化（**国防含む**）を目指すトップダウン型研究
- **10年～15年**の長期的支援
- 2014年には中央/地方政府と企業が**437億元**を支援
- 次の**13テーマ**が推進されている（2016年時点、現在も継続）

- |   |  |
|---|--|
| <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 電子デバイス、ハイエンド半導体、ソフトウェア</li> <li>2. 大規模集積回路製造設備および製造技術</li> <li>3. 次世代モバイル通信ネットワーク</li> <li>4. ハイエンドNC工作機械および製造設備</li> <li>5. 大型天然ガス田およびメタン開発</li> <li>6. 大型加圧水型原子炉および高温ガス冷却炉</li> <li>7. 水質汚染抑制と対策技術</li> </ol> | <ol style="list-style-type: none"> <li>8. 遺伝子組み換え技術による新品種の育成</li> <li>9. 重要な新薬の開発</li> <li>10. 重大な感染症の予防と治療</li> <li>11. 大型航空機の開発</li> <li>12. 高精度地球観測システム</li> <li>13. 有人宇宙飛行と月面探査プロジェクト</li> </ol> |
|---|--|

- 「**科技创新2030**」として新たに**16テーマ**が追加

- |   |   |
|---|---|
| <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 航空機用エンジンおよびガスタービン</li> <li>2. 深海探査ステーション</li> <li>3. 量子通信および量子計算</li> <li>4. <b>脳科学および脳型人工知能の研究</b></li> <li>5. 国家サイバーセキュリティ</li> <li>6. 深宇宙探査・車両システム</li> <li>7. <b>種子産業の自主的イノベーション</b></li> <li>8. 石炭のクリーン、効率的利用</li> </ol> | <ol style="list-style-type: none"> <li>9. スマートグリッド電力システム</li> <li>10. 宇宙・地上一体ネットワークシステム</li> <li>11. ビッグデータ</li> <li>12. スマート製造とロボット</li> <li>13. 重点新材料の開発および応用</li> <li>14. 北京・天津・河北地区の環境対策</li> <li>15. <b>国民の健康維持対策</b></li> <li>16. 次世代AI ←2021年に新たに追加</li> </ol> |
|---|---|



# 【中国】主なファンディング（3/3）

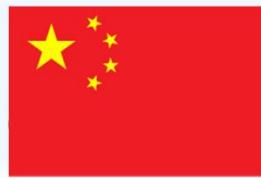
## ③国家重点研究開発計画

- 長期的に重要な分野に対する研究開発支援
  - ✓ 資源・エネルギー、環境、**ヘルスケア**、農業
- 2022年：**総額360億元**（56テーマ、3-5年）
- 2023年の**ライフサイエンス系の公募テーマ**

- |  |  |
|--|--|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>◆ 幹細胞研究と臓器修復</li> <li>◆ 生体分子とマイクロバイオーム</li> <li>◆ 多発性疾患予防と治療の研究</li> <li>◆ 体調管理</li> <li>◆ リプロダクティブ・ヘルスと婦女子の健康</li> <li>◆ 病原体学と防疫技術システム</li> <li>◆ 診断機器とバイオメディカル材料</li> <li>◆ バイオテクノロジーと情報技術の融合</li> <li>◆ バイオセーフティコア技術</li> <li>◆ 植物工場技術とスマート農機</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>◆ 農村と産業のコア技術と応用</li> <li>◆ 農業での重金属汚染防止技術</li> <li>◆ 農業バイオ種子資源の探索と利用</li> <li>◆ 農業生物の重要形質形成と環境適応に関する基礎研究</li> <li>◆ 北部乾燥地での収量拡大技術</li> <li>◆ 食品と農産物物流への科学技術的支援</li> <li>◆ 林業の種子資源の育成と品質向上</li> <li>◆ 動物伝染病の総合的予防技術と応用</li> <li>◆ 家畜新種育成と牧場の科学技術</li> <li>◆ 病害虫駆除に関する研究開発、実証</li> </ul> |
|--|--|

## ④技術創新引導基金

1. 国家科技成果移転 政府引導基金 [2014～] : **624億元**、36のサブファンドで支援
2. 国家新興産業創業 投資政府引導基金 [2016～] : **2,100億元**、VCで5,965社を支援
3. 国家中小企業 発展基金 [2020～] : **800億元**以上、サブファンドで支援
4. 国家創業投資引導基金 [これから?] : 地方や民間の資金も集め、**1兆元**規模へ



# 【中国】主な政策トピック

## 次世代人工知能発展規画（2017）

## 次世代人工知能発展計画

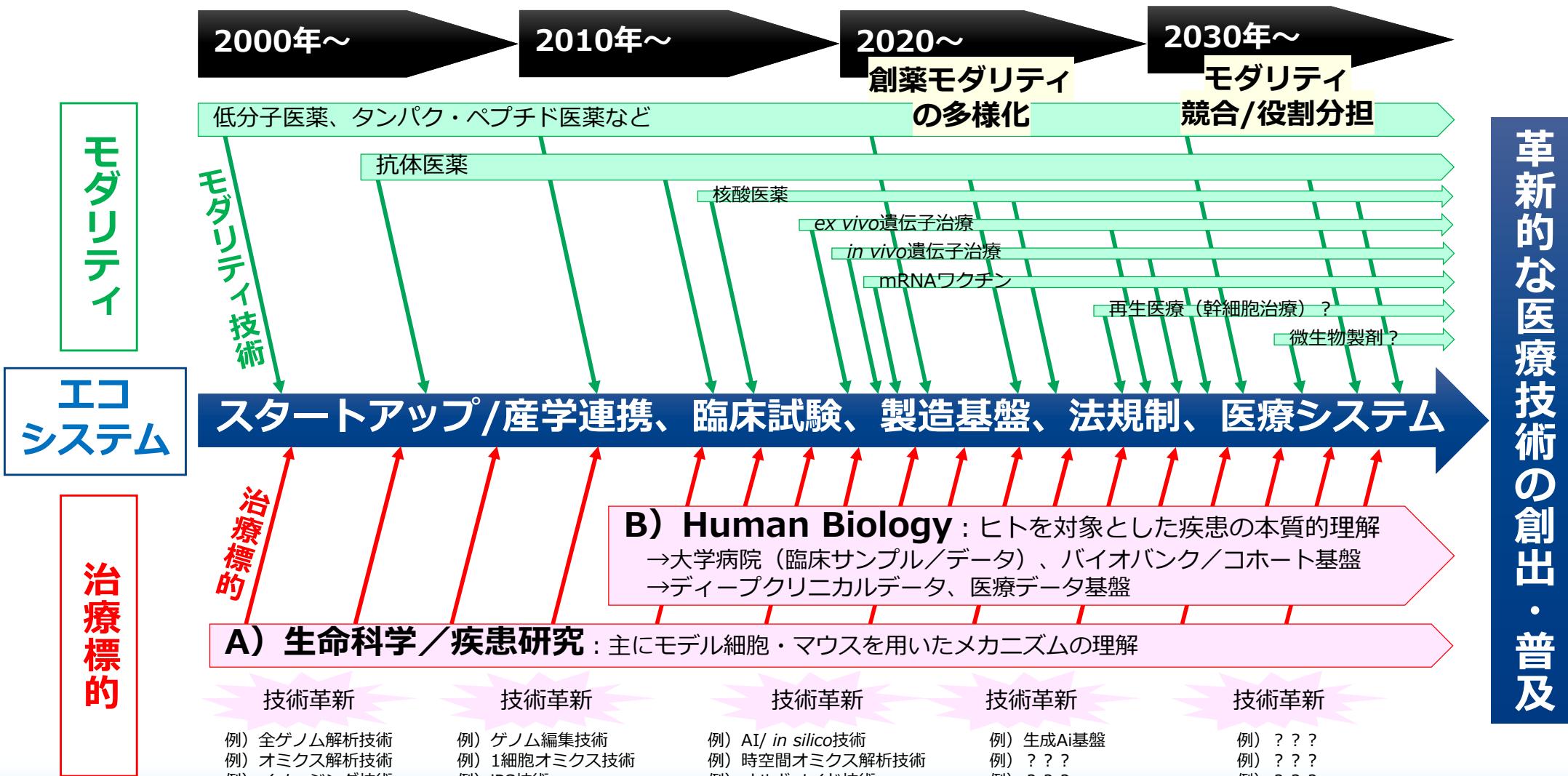
- **人工知能分野で、2020年に世界の先端に追いつき、2030年には理論・技術・応用の全てで世界トップ水準となることを目指す**
- 国家次世代人工知能オープン・イノベーション・プラットフォーム
  - a. 自動運転
  - b. 都市ブレーン
  - c. **医療画像認識** ←テンセント社が官民共同で推進中
  - d. スマート音声
  - e. AI画像処理技術

## 新質生产力 新質生産力

- **科学技術・イノベーション主導による「新質生産力」の形成** [2024年・全人代]
  1. 製造技術向上によるサプライチェーン強化、“中国製造”をブランド化
  2. 戦略的新興産業（新エネ車、水素、新素材、**創薬**等）の育成
  3. 未来産業（量子、**ライフサイエンス**等）の育成
  4. ビッグデータ、AIなどの研究開発と活用を進め、デジタル産業クラスターを建設
- 工業情報化部・科学技術部が「未来産業の革新的発展の推進に関する実施意見」を発表 [2024]
  - ✓ ①製造、②情報、③材料、④エネルギー、⑤空間、⑥**ヘルスケア(BMI、AI医療、合成生物)**
- **AI医療機器イノベーションタスクフォースチーム** (2024年)
  - ✓ 「新質生産力」の形成を加速を目指し、104チームへの資金と政策支援で医療機器分野におけるAI技術の革新と研究開発を奨励

# 創薬モダリティ技術の開発と、基礎生命科学/疾患研究

- 創薬モダリティが急速に多様化し、成熟化が進むが、今後は緩やかになりそう
  - **創薬モダリティ技術の洗練と治療標的の探索のバランスの良い推進が重要**



# 【歴史】「ブレインテック」の研究開発潮流

## ④ 医療以外も含めた 幅広い展開への期待感

## ③ 診断/治療 /リハビリ [医療機器]

## ② 診断/治療 [医薬品]

## ① 「脳」を理解 [基礎研究]

【人工感覚器BMI】人工内耳

【物理的な神経刺激(電気など)】パーキンソン病、てんかん等

【低分子医薬、抗体医薬】アルツハイマー病、精神疾患等

【計測機器】MRI, PET, EEG, ECoG等 / 【データ解析】AI等

「脳科学」国家プロジェクト（米、欧、日ほか）

Elon Musk  
"Neuralink社"  
(2017年)

開発段階  
ゲーム、ヘルスケア、  
生活/ビジネス支援等

開発段階  
【意思伝達BMI】  
脳波等で外部デバイス制御

開発段階  
【運動制御BMI】

開発段階  
人工視覚/網膜

開発段階  
【聴覚刺激】認知症等

【視覚刺激】ADHD (治療用ゲーム)

多様化する  
創薬モダリティ

開発段階

【遺伝子/細胞治療】  
パーキンソン病等

1990年

2000年

2010年

2020年

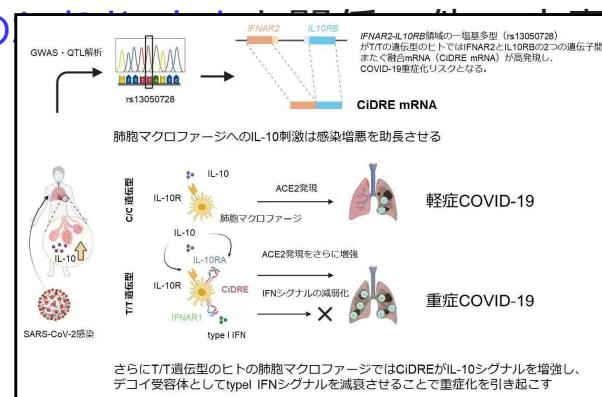
現在

# 【ヒト研究事例】ヒト免疫と疾患研究

## 免疫細胞&疾患発症の個人差 (SNP)

東京科学大・佐藤莊教授ら [Immunity, 2023]

- ✓ 新型コロナパンデミック初期に同大に収集された血液サンプルの解析を経て見出された発見
- ✓ 肺胞マクロファージがIL-10刺激でSARS-CoV-2に対する感染性を獲得、COVID-19の重症化へ寄与
- ✓ COVID-19重症化リスクSNP [rs13050728がT/T遺伝型] がIFNAR2-IL10RB遺伝子間のリードスルーブラントを介して受容体CIDREの発現を誘導しIL-10応答が増強、COVID-19の重症化をさらに促進
- ✓ 遺伝子多型が免疫細胞の機能の個体差となり、病気の

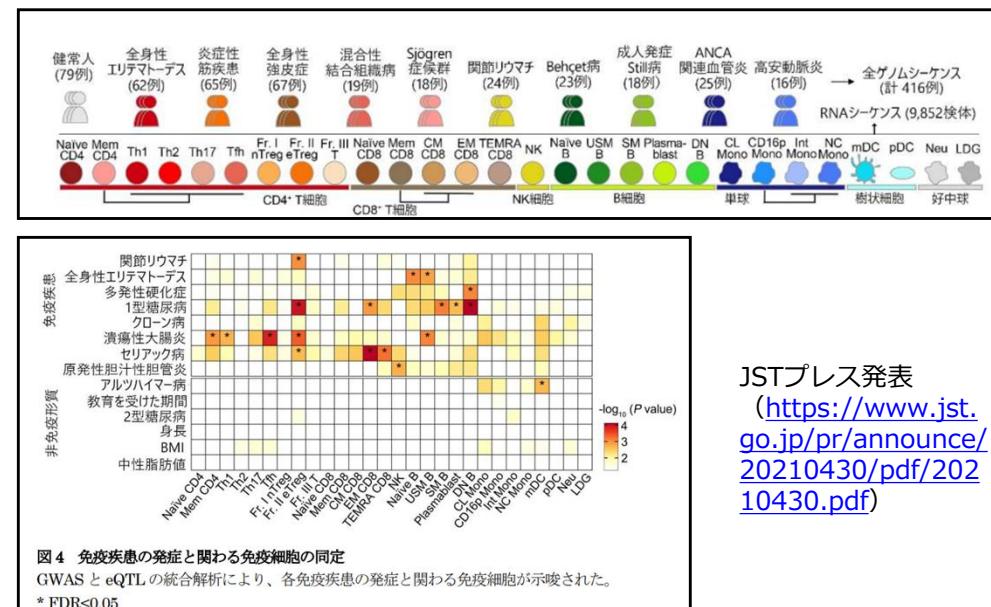


医科歯科大プレス発表 (<https://www.tmd.ac.jp/press-release/20230713-1/>)

## 遺伝子多型の機能力タログ (免疫)

東大・藤尾圭志教授ら [Cell, 2021]

- ✓ 416例の免疫疾患患者／健常者から収集した末梢血の28種類の免疫細胞 (9,852サンプル) を解析
- ✓ 全ゲノム／遺伝子発現量の解析で28種類の免疫細胞のeQTLカタログ“ImmuNexUT”構築
- ✓ GWASと“ImmuNexUT”的統合解析で、免疫疾患の病態理解が進む



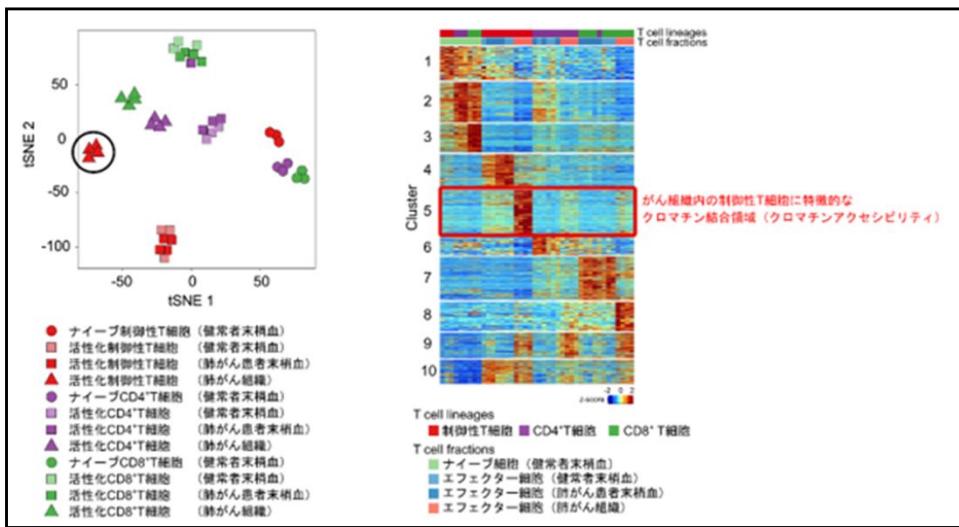
# 【ヒト研究事例】ヒトのがん研究

## がん組織内の免疫制御メカニズム

### 国がん／京大・西川博嘉教授ら [Science]

Immunology, 2022]

- ✓ 生検組織など微量ながんサンプル中の、1細胞レベルでの制御性T細胞解析手法を開発
- ✓ **ヒトの血液、正常肺組織、肺がん組織に存在する制御性T細胞の詳細な解析**を実施
- ✓ 転写因子BATFが、肺がん組織内の制御性T細胞の遺伝子発現制御機構を再構築し、がん組織における制御性T細胞を活性化させることを発見

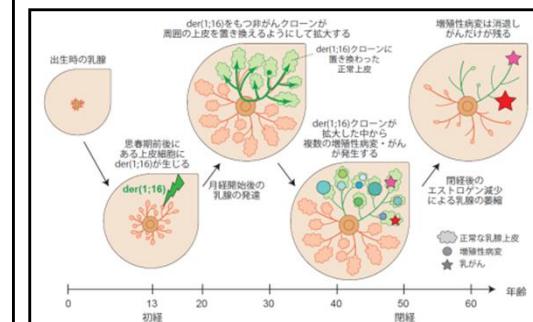
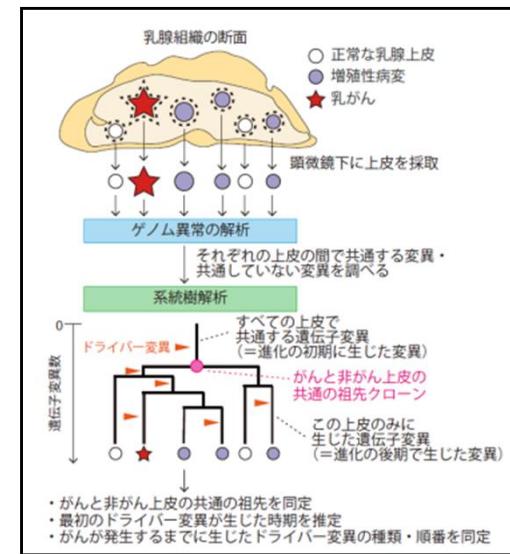


プレス発表 ([https://www.med.nagoya-u.ac.jp/medical\\_J/research/pdf/Sci\\_221011.pdf](https://www.med.nagoya-u.ac.jp/medical_J/research/pdf/Sci_221011.pdf))

## 乳がん発症の自然史解明

### 京大・小川誠司教授ら [Nature, 2023]

- ✓ がん細胞の起源と発症に至る経緯を解析  
→der(1;16)陽性乳がん[乳がんの約20%]
- ✓ **思春期前後に**der(1;16)を獲得した細胞が分裂増殖、**30歳前後に**がん起源となる複数の細胞が生じ**多中心的にがん発症**へ
- ✓ 閉経まで19.5変異/年、閉経後は8.1変異/年、1回の妊娠出産で約50個減少



京大プレス発表 (<https://www.kyoto-u.ac.jp/ja/research-news/2023-07-28>)

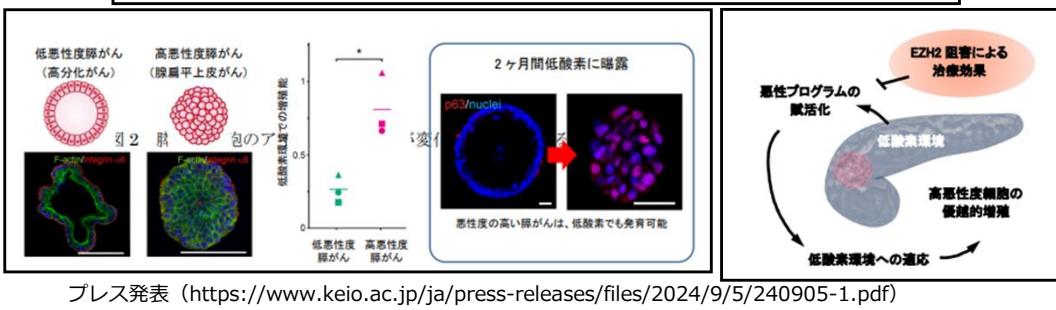
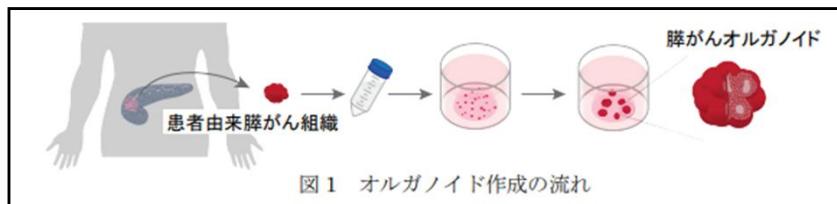
## 【ヒト研究事例】先端テクノロジー×ヒト疾患研究

## ヒト臍がんオルガノイド構築と医学研究

## 慶應大・佐藤俊朗教授ら

[Nature Cell Biology, 2024]

- ✓ 手術時に採取[60例以上]した臍がん細胞を用い、臍がんオルガノイドのライブラリを構築
- ✓ 同ライブラリを用いた研究で、Wntシグナルが無くとも増殖するタイプを発見
- ✓ 低酸素環境などの腫瘍環境でエピゲノムが変化し、悪性の線扁平上皮がんへと変化
- ✓ EZH2阻害剤[ヒストンメチル化抑制]が悪性度の高い臍がんの治療薬として有望である可能性

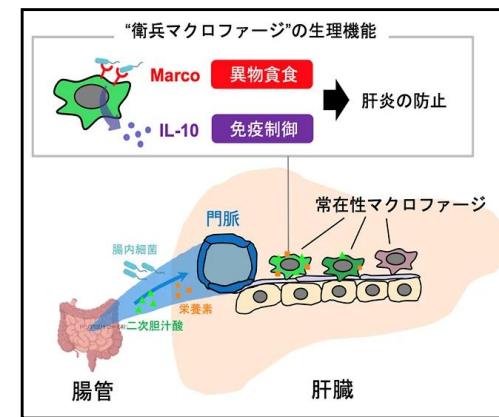


## 生体イメージング&amp;空間オミクス[肝臓]

## 阪大・石井優教授ら

[Nature, 2024]

- ✓ 独自の生体ライブイメージング[肝臓]を確立
- ✓ 空間トランск립トミクス技術も併せて駆使し、肝臓における新たなマクロファージを同定
  - 腸内細菌の侵入による炎症から肝臓を保護
  - 腸内細菌が作るイソアロリトコール酸で誘導



プレス発表  
( <https://www.med.osaka-u.ac.jp/activities/results/2024year/ishii2024-4-22> )



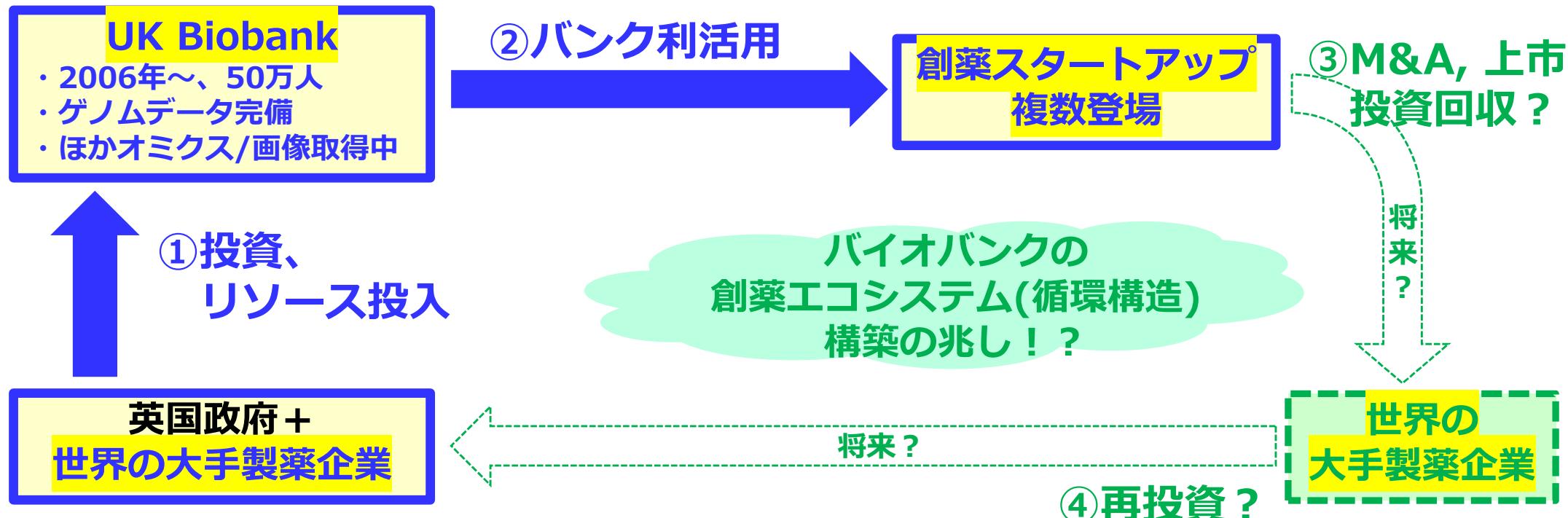
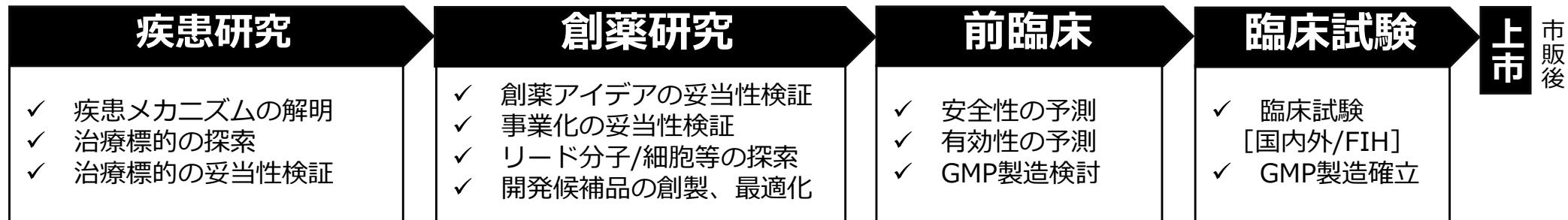
## 【補足】

<http://www.icb.med.osaka-u.ac.jp/handai-nic.html>

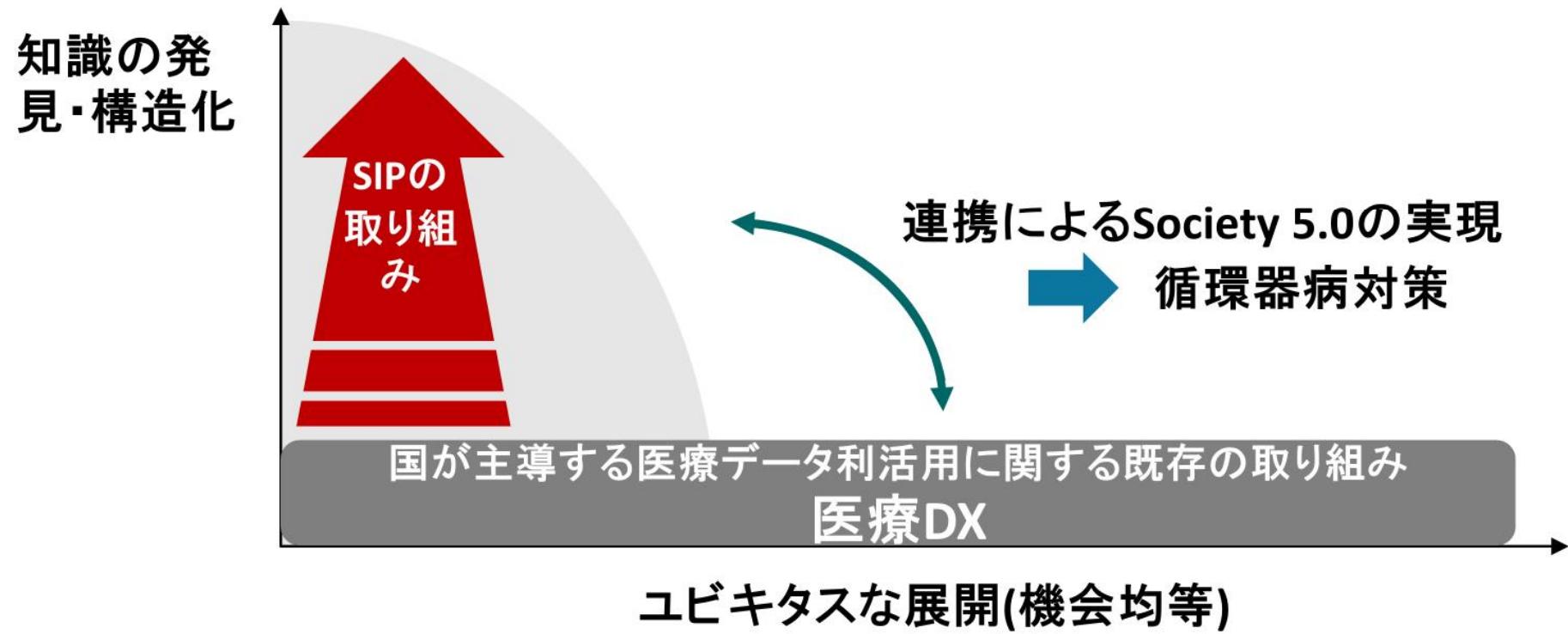
- ✓ 大阪大学ニコンイメージングセンター[石井優センター長]でイメージング技術支援活動を実施中
- ✓ 石井教授ニコン社らで、**ヒトを対象とした生体ライブイメージング技術**を開発中

## バイオバンクを組み込んだ新たな創薬エコシステムの兆し（英国）

✓ 英国UK Biobankを起点とした創薬エコシステムが成立する兆しが見られる



## 第三期SIP「統合型ヘルスケアシステムの構築」と医療DX



## ディープクリニカル&amp;リアルワールドデータ (2/5)

# SIP第3期 統合型ヘルスケアシステムの構築 臨床情報プラットフォーム構築による知識発見拠点形成

## CLIDAS研究グループ



日本循環器学会  
IT/Database部会  
臨床効果  
データベース事業

**日本循環器学会連携**  
2015年 日本循環器学会・臨床効果データベース事業  
2022年 日本循環器学会・自治医大共同研究契約  
2022年 新規参加施設公募  
大阪大学、愛媛大学  
2023年 国立国際医療研究センター  
参加  
2024年 佐賀大学、順天堂大学、大阪公立大学参加  
2025年 新規参加施設の選考中

共同研究



株式会社プレシジョン

戦略的イノベーション創造プログラム  
Cross-ministerial Strategic Innovation Promotion Program

## 公的研究費

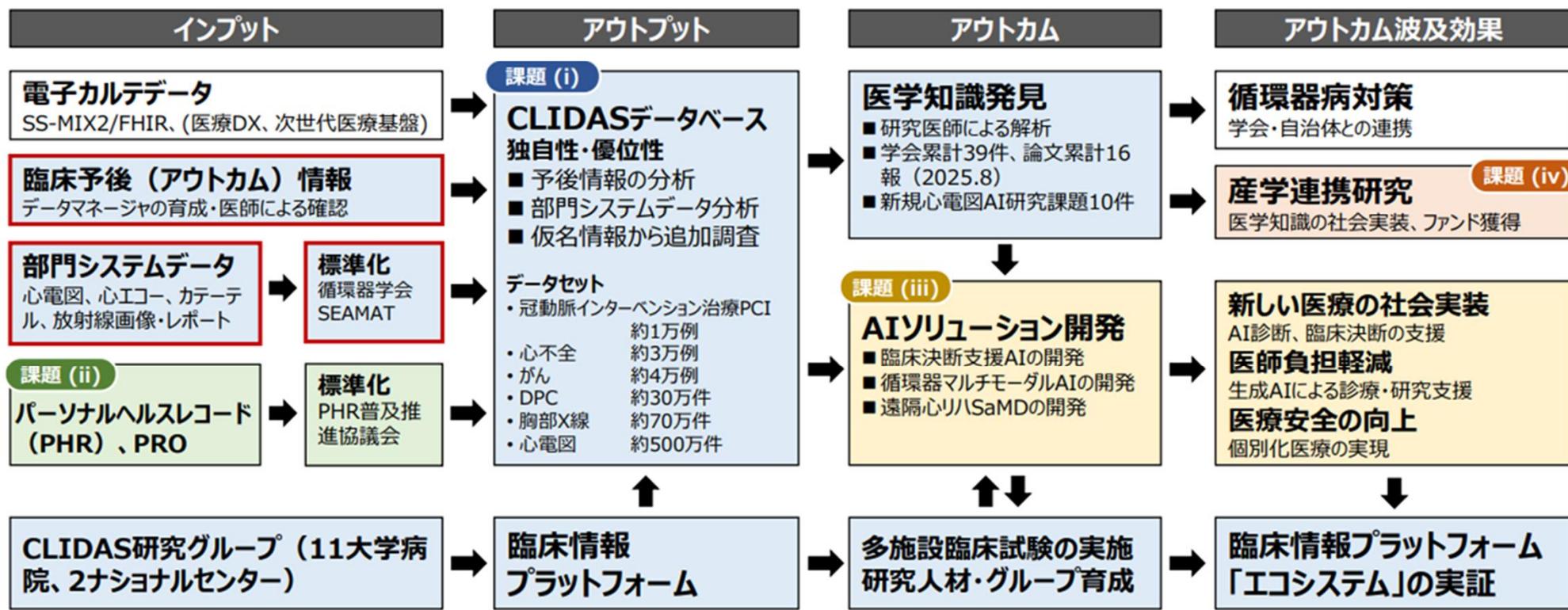
- FIRST (2009~13年、東京大学・永井良三) SS-MIX2
- ImPACT (2015~18年、PL：自治医科大学・永井良三)
- 臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業 (2016~19年、代表：国立循環器病研究センター・宮本恵宏)
- 厚生労働科学研究 (2022~23年、代表：自治医科大学・永井良三)
- 戦略的イノベーション創造プログラム (SIP) (2023年~、PD：自治医科大学・永井良三、研究開発責任者：九州大学・的場哲哉)

# ディープクリニカル&リアルワールドデータ (3/5)

## SIP A-1 臨床情報プラットフォーム構築によるリアルワールドデータ拠点形成

**研究の背景と目的：**リアルワールド医療データには「予後情報」、「部門システムデータ」、「PHRデータ」が欠けており、医学的価値の高い研究は困難であり、匿名データの医療機器開発への利用には一次情報確認において問題があった。

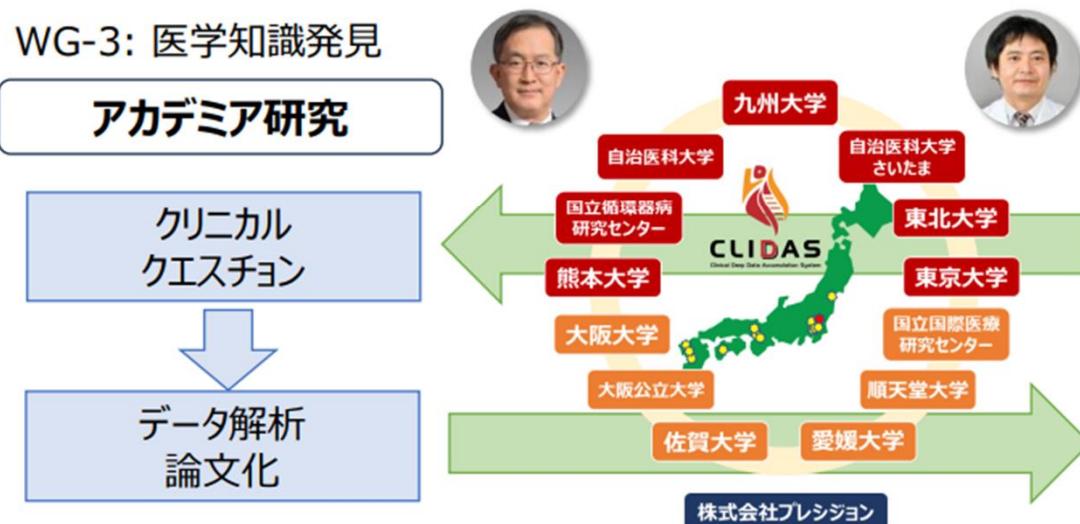
本課題は標準化した多要素データを収集する臨床情報プラットフォームを構築し、CLIDASデータベースを基盤とした医学知識発見、AIを活用した診療支援ソリューション開発、産学連携研究により、臨床情報プラットフォーム「エコシステム」の実証を目的とする。



# ディープクリニカル&リアルワールドデータ (4/5)

## SIP A-1におけるアカデミア研究と产学連携研究 臨床情報プラットフォームの社会実装のモデル

WG-3: 医学知識発見



WG-5: 医薬品・医療機器の評価支援

**产学連携研究**

- 共同研究の立案支援
- フィジビリティ確認
- コンフリクト調整
- 共同研究契約
- 解析結果の提供



### CLIDAS研究グループの产学連携モデル

#### 製薬企業2社と市販後の医薬品処方と共同研究契約を締結

- データはアカデミアが保有し、解析結果を企業に共有する。
- 医薬品処方と詳細な診療情報（心エコーなど）、長期予後データ（死亡、死因、心不全による再入院など）の関連を解析できることが高く評価されている。
- 前向き研究も実施計画中。
- 共同研究契約により研究資金を獲得 → 研究グループの持続可能性。

# ディープクリニカル&リアルワールドデータ (5/5)

## CLIDAS研究グループ・ データベースの特徴

1. 長年にわたる多施設研究者の共同研究  
(顔の見える信頼関係)
2. SS-MIX2拡張ストレージも利用した良質で  
深い臨床データを収集  
(生理検査等を含む1患者100項目以上をクリーニングして収集)
3. 全症例で予後を追跡
4. アカデミアによる良質な統計解析
5. 様々なリアルワールドデータに反論・検証できる体制を構築
6. 論文報告の実績 (2年間に約20報)
7. CLIDAS研究グループとして人材育成 (各施設の論文作成支援)
8. 産学共同研究のグッドプラクティス (すでに数億円の実績)
9. 治験、前向き研究も開始
10. バイオバンクとの連携も可能



# 生成AIによる新展開（ファージ全ゲノム生成AI）

✓ Arc Institute が革新的な **ゲノム基盤モデル** を構築、 **ファージ全ゲノム生成** にも成功

Science [2024.11] → bioarxiv [2025.2]

## 【Evo】 ⇌ 原核生物ゲノム生成AI

[2024年11月、Science]

- StripedHyena アーキテクチャ使用
  - ・ コンテキスト：131,072 (≈131kb)
- **3,000億**の塩基配列を**1塩基単位**で学習
  - ・ 8万以上の細菌／古細菌
  - ・ 数百万のファージ・プラスミド
- 実際に機能するCRISPR-Cas生成に成功
  - ・ 72,831個のCRISPR-Cas配列で追加学習
  - ・ 新規CRISPR-Cas配列を200万個生成
  - ・ 11個に絞りwet実験すると1個が機能した
- 細菌の全ゲノム生成にもある程度成功

## 【Evo 2】 ⇌ 原核/真核生物ゲノム生成AI

[2025年2月19日、bioRxiv]

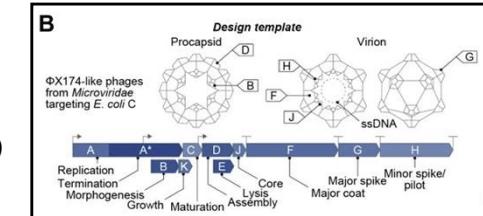
- StripedHyena2 アーキテクチャ使用、
  - ・ コンテキスト：約100万 (≈1Mb)
- **9.3兆**の塩基配列を**1塩基単位**で学習
  - ・ 約15,000種の**真核生物**含む：
    - ✓ 植物、動物、ヒト
  - ・ ウィルスは除外（安全性のため）

bioarxiv [2025.9] **ファージ全ゲノム生成**

### ＜目的＞

5.4kb、11遺伝子

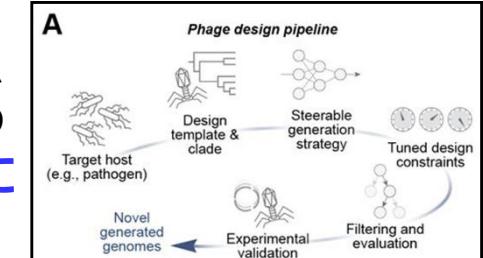
**大腸菌ファージ“ΦX174”**を元に高機能なファージの完全ゲノム配列を生成



<https://www.biorxiv.org/content/10.1101/2025.09.12.675911v1.full>

### ＜手法＞

- ① **Evo1/Evo2**に“ΦX174”的コンセンサス配列の一部をプロンプト入力
- ② **数千件**のファージゲノムが生成、うち**約300種**のΦX174類似配列を**実際に構築し機能評価**



<https://www.biorxiv.org/content/10.1101/2025.09.12.675911v1.full>

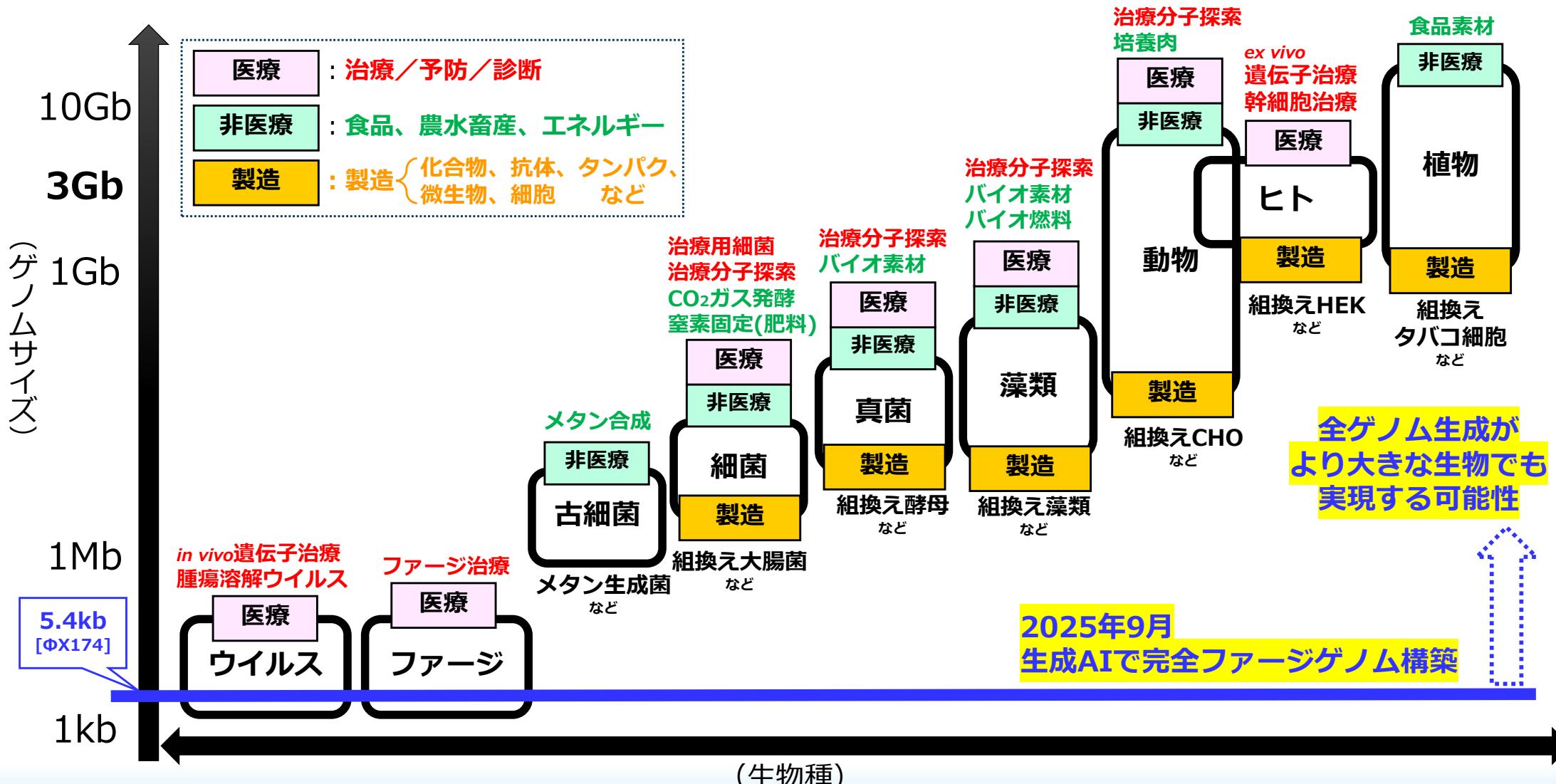
### ＜結果＞

**16種**の生存可能&高機能なファージが得られた  
 ★ΦX174よりも**高い増殖・抗菌活性**  
 ★ΦX174**耐性大腸菌**に対しても**有効**  
 ★**進化的に遠いタンパク構造**を持つファージも  
**【ファージ改良の必須ツールとなる可能性あり】**

注) AIが新種ファージを設計したのでなく「ΦX174ファージの改良型を設計」に留まる

# 生物種のゲノムサイズと産業応用の方向性

- ✓ 小型ファージ( $\phi$ X174)は全ゲノム生成が実現、より大きな生物種でも実現する可能性
- ✓ 全ゲノム生成により、医療／非医療／生産製造の研究開発が大幅に加速しうる



# 合成生物学の最先端：“人工生命”スタートアップの躍進①

- ✓ 短期的には無細胞系の開発が進み、日本発の優れたスタートアップも多数存在
- ✓ 中長期的には人工生命系（細胞様生命体）が確立し、さらに多くの成果が期待
- ✓ 海外大手製薬企業が買収を進めており、これからの創薬の基盤となる可能性が高い

【Nature, 2019】コドンを3個削った61コドン生物を確立、  
23種のアミノ酸（天然20種、非天然3種）の人工タンパク合成が可能に

中長期的

人工生命系  
(細胞)

## ①遺伝暗号改変型人工生命：非天然アミノ酸を含むタンパク創製

### A) コドン圧縮／拡張型細胞

- Pearl Bio社：Merck社と10億\$規模の契約(2024)
- GRO Biosciences社：シリーズBで6,040万\$獲得(2024)

### B) 人工塩基対を追加型細胞

- Synthorx社：Sanofi社が25億\$で買収(2019)

### ●終止コドン等を利活用（遺伝暗号は改変せず）

- Ambrx社：J&J社が20億\$で買収(2024)

## ②鏡像異性体型人工生命

→鏡像異性DNAを合成可能な鏡像DNAポリメラーゼが登場

→鏡像異性抗体の安定性の高さが示唆（Bioconjugate Chemistry, 2024）

短期的

無細胞系  
(cell free)

微生物利用

- ペプチドリーム社：ペプチド医薬探索基盤
- ジーンフロンティア社：タンパク・抗体研究基盤
- オリシロジエノミクス社：環状DNA製造基盤
- シンプロジェン社：長鎖DNA製造基盤

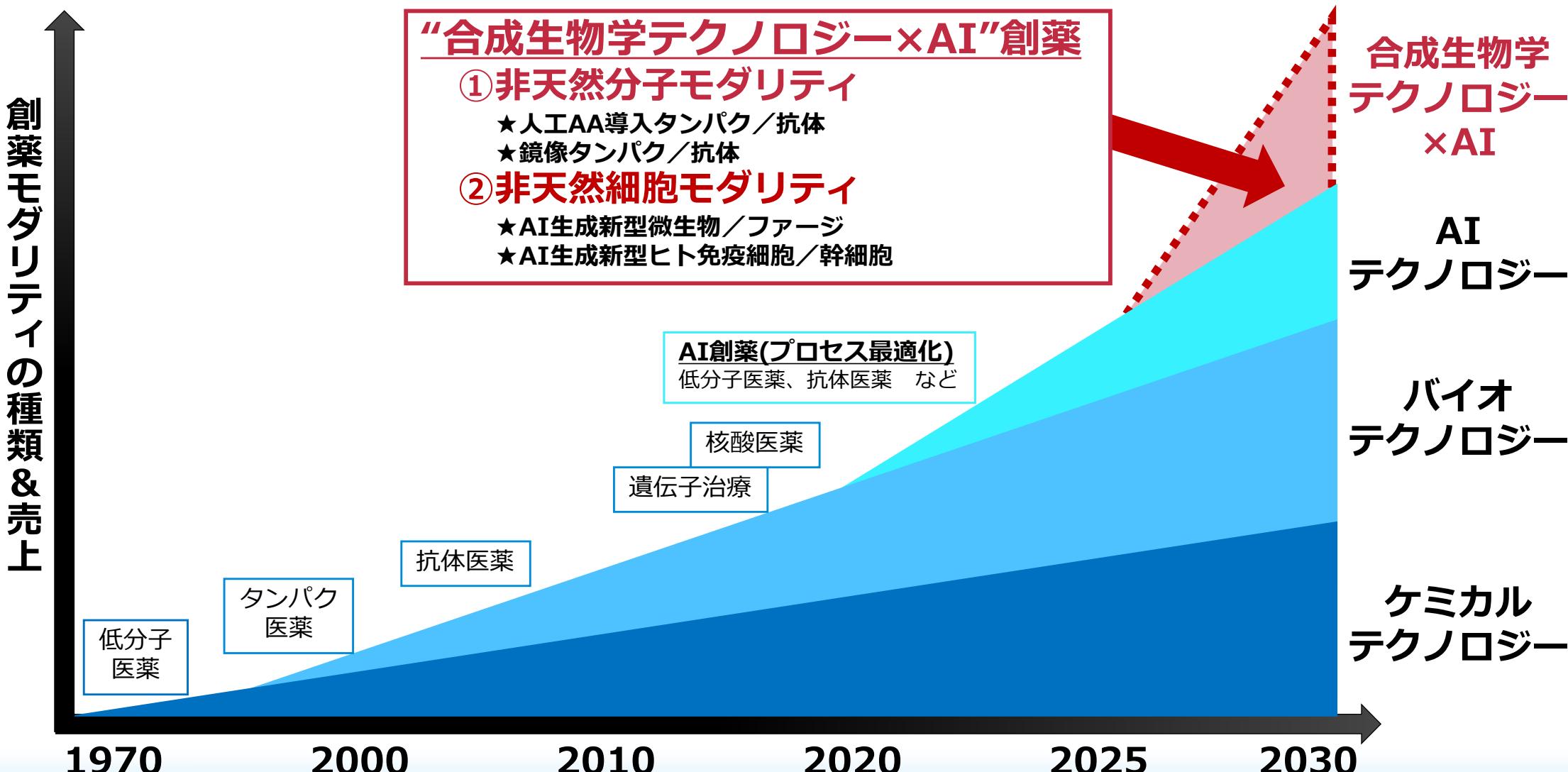
# 合成生物学の最先端：“人工生命”スタートアップの躍進②

- ✓ 遺伝暗号ルールを改造し“人工生命”とも呼ぶべき新技術を掲げるスタートアップが登場
- ✓ **抗体薬物複合体（ADC）** では複数のシーズが臨床試験入り

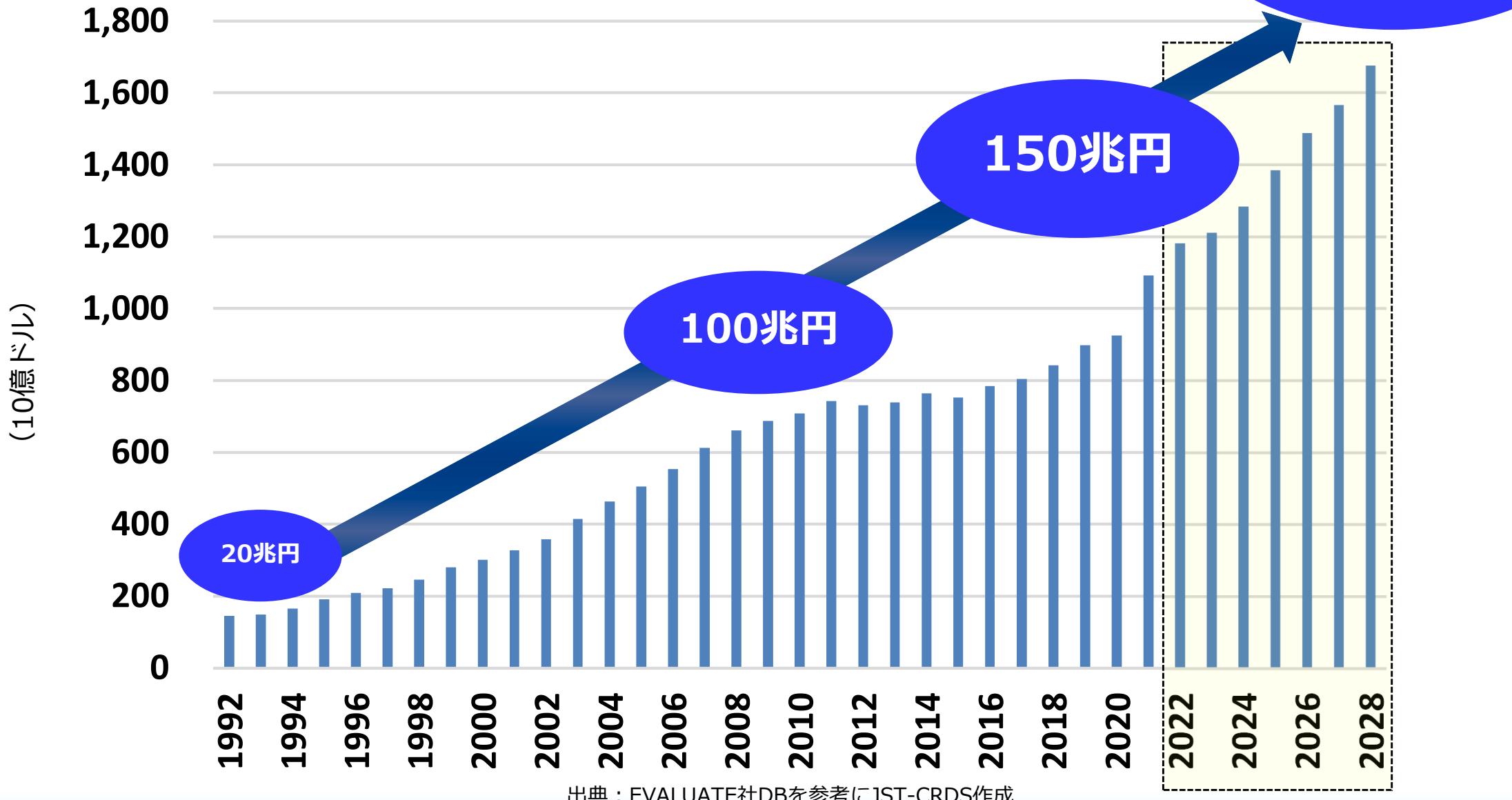
	Ambrx (2003~) → J&J (2024~)	GRO Biosciences (2016~)	Pearl Bio (2021~)	Synthorx (2014~) → Sanofi (2019~)
技術概要	<b>終止コドン利活用</b>	<b>コドン圧縮&amp;拡張</b>	← <b>人工 生命</b> →	<b>遺伝暗号拡張</b>
ベース生物	CHO細胞、大腸菌など 【軽微な細胞改変】	大腸菌 【ゲノムスケールの大規模改変細胞】		大腸菌（、CHO細胞も？） 【DNA基本法則改変】
生産物	<b>特定部位に非天然アミノ酸を導入した人工タンパク</b>	複数の部位に非天然アミノ酸を導入した <b>人工タンパク</b>		
出口の方向性	主に <b>抗体薬物複合体(ADC)</b>  ✓ <b>ADCの機能改善</b> →ペイロード結合数＆部位設計 ✓ <b>CHO細胞等を用いた製造、スケールアップ可能</b>	<b>バイオ医薬</b> （原理的にはバイオ材料等もあり得るが現時点では無し）  ✓ 高い自由度でタンパク設計 →免疫原性の低減ProGly →安定性向上：DuraLogic ✓ <b>大腸菌：糖鎖付与は困難</b>	✓ 高い自由度でタンパク設計 ✓ <b>大腸菌：糖鎖付与は困難</b>	✓ きわめて高い自由度でタンパクを設計可能 ✓ 製造、スケールアップの難易度は高い
臨床試験	JNJ-8177 : P1/2、前立腺がん JNJ-0683 : P2、乳がん JNJ-0631 : P1、腎がん	研究段階	研究段階	SAR444245(IL-2製剤) →P1 : 2022年中止
起源	スクリプス研究所スピンオフ	George Churchラボ関連		スクリプス研究所スピンオフ
投資、買収	2020年：クロスオーバー[2億\$] 2024年： <b>J&amp;J買収[20億\$]</b>	2021年：シリーズA[2500万\$] 2024年：シリーズB[6040万\$]	2024年： <b>Merck提携[10億\$]</b>	2018年：シリーズC[6300万\$] 2019年： <b>Sanofi買収[25億\$]</b>

# 創薬モダリティの背景にある技術群イメージ

- ✓ 様々な新規テクノロジーを背景に、創薬モダリティの多様化、市場規模拡大が続いた
- ✓ 中長期的には、**合成生物学テクノロジー×AI**がその原動力となる可能性がある



# 医薬品の世界市場規模



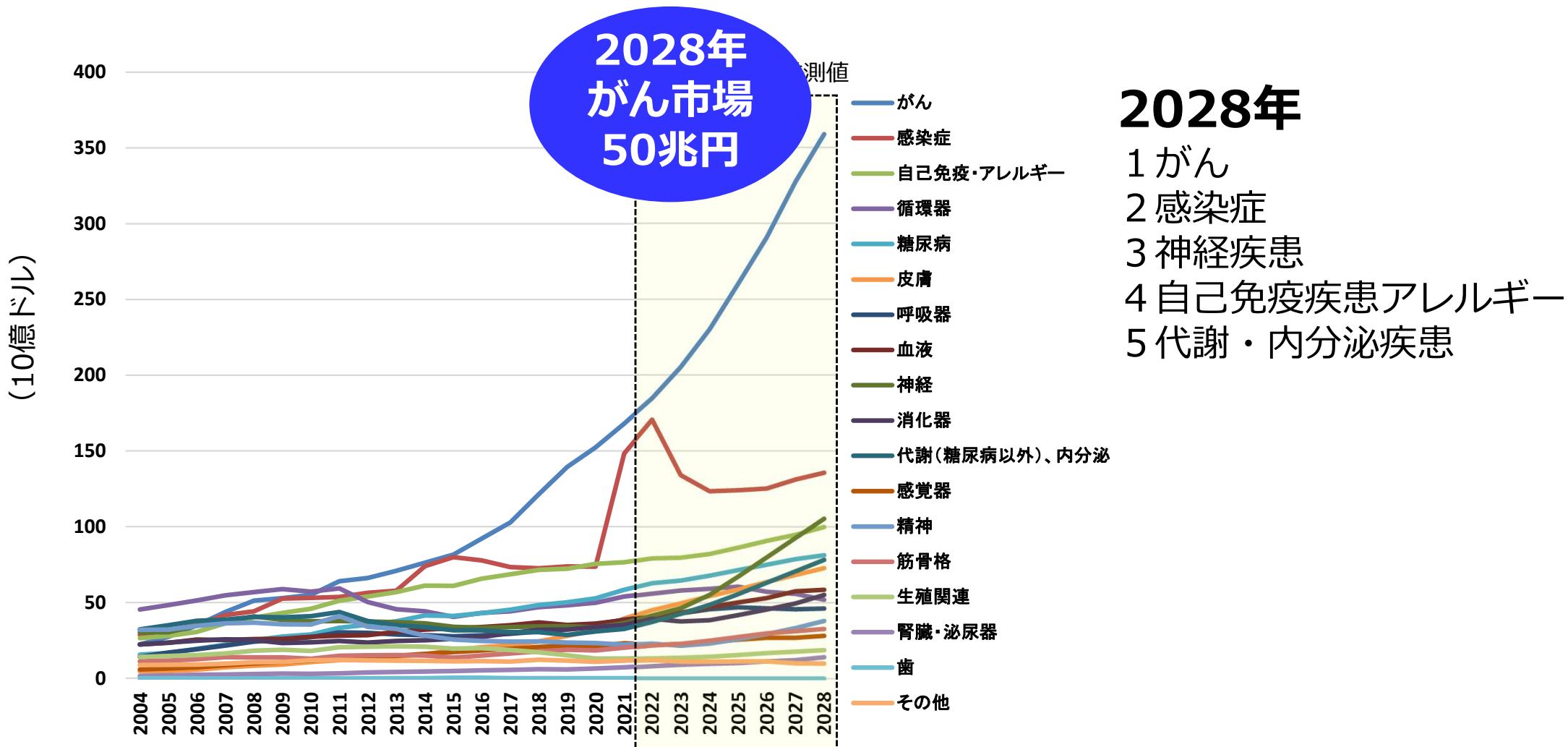
出典：EVALUATE社DBを参考にJST-CRDS作成

2022年以降は推測値

注) 1ドル=150円換算

# 疾患別の医薬品の世界市場の推移 (2004年～2028年)

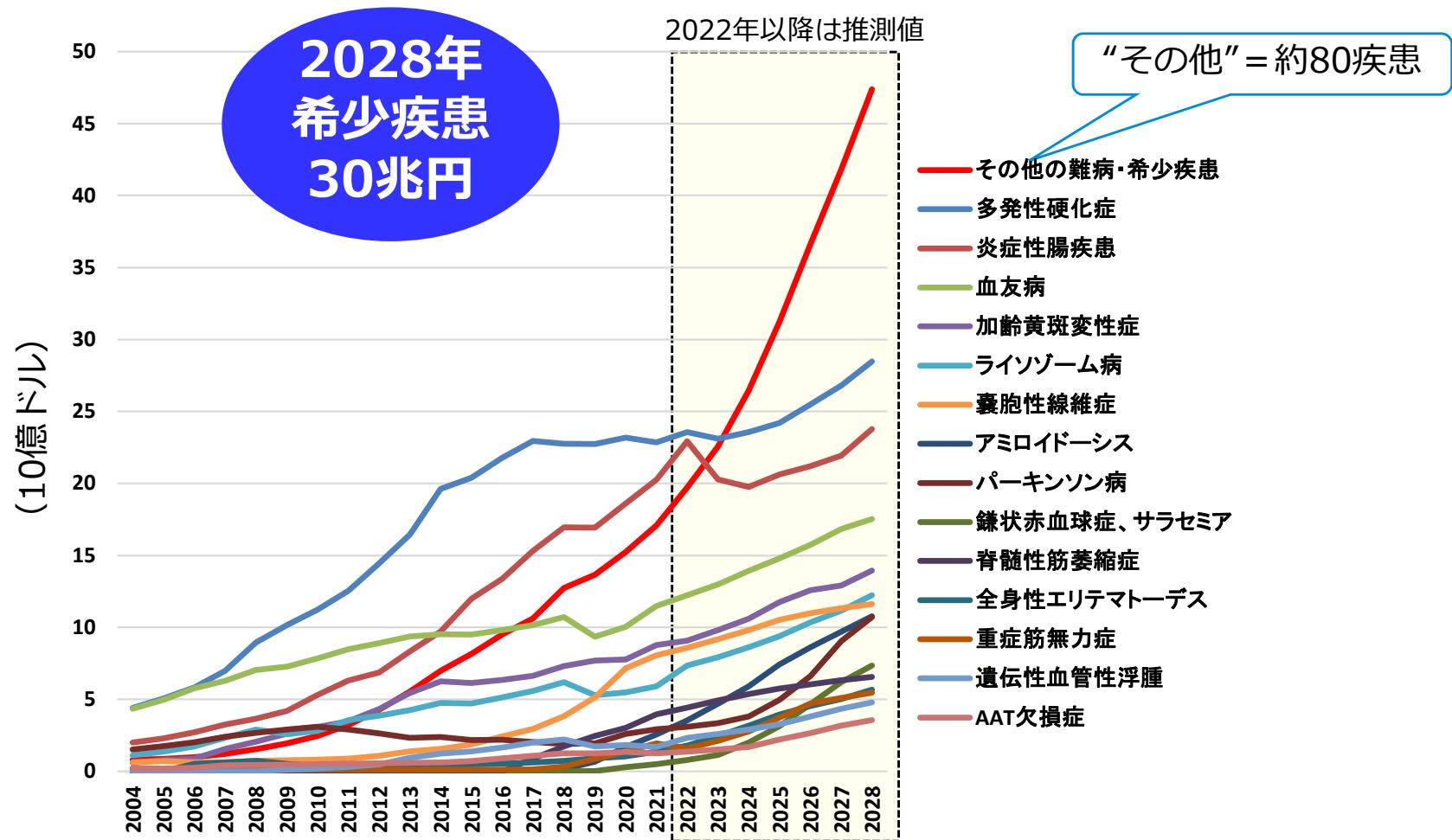
- 疾患を大分類（18疾患など）、中分類（128疾患など）に分類し市場規模を分析
  - **市場規模の大小で疾患の重要性は語れず、複合的な分析が必要**



出典: EVALUATE社DB、ベンチャー/製薬企業HP、各種文献などを参考にJST-CRDS作成

# 難病・希少疾患の医薬品市場の推移（2004年～2028年）

- 難病・希少疾患市場は、2021年は約15兆円、2028年は約29兆円の見込み
  - 様々な難病・希少疾患に対する医薬品が登場し、市場が形成されると期待



出典：EVALUATE社DB、ベンチャー/製薬企業HP、各種文献などを参考にJST-CRDS作成

# 創薬における3つの柱

## 1. 有望な治療標的の開拓

### ①基礎生命科学研究の推進

- 1) 生命原理の探求、生命現象の解明  
→ゲノム、RNA、転写翻訳、細胞内構造、品質管理、細胞記憶、代謝、免疫、神経、睡眠・リズム、超生命体、性差、多臓器連関（ほか）

### ②疾患メカニズムの解明

- 1) 疾患の横断的な研究  
→恒常性、加齢・老化・機能低下、免疫・慢性炎症、栄養・運動（ほか）  
→“進化医学”：多様な動物種の疾患耐性&脆弱性の比較生物医学
- 2) 疾患を深掘りした研究、疾患連関  
→がん、認知症、感染症、生活習慣病、精神・神経、筋骨格、感覚器、代謝・内分泌、自己免疫、慢性炎症関連、難病・希少疾患（ほか）

### ③Human Biology／ヒト疾患研究、治療標的の同定

- 1) ヒトを対象とした研究を通じたヒト疾患の本質的な理解  
→ヒトサンプル、ヒトゲノム・医療データ、リバースTR、種差横断
- 2) 治療標的の探索・同定・妥当性評価（target validation）

### ④AI／データ駆動型のバイオロジー／疾患研究へ

- 1) DRY×WET融合加速：ゲノム/オミクス×疾患×医療データ
- 2) ヒト疾患メカニズムの掘り下げ、治療標的の探索

## 3. 創薬エコシステム／研究環境の整備

### ①有望な開発候補品の創製を加速する研究環境の構築

- 1) 有望な開発候補品の創製に向けたハンズオン支援体制  
→創薬アイデアの妥当性検証、データ補強、知財戦略、事業化の妥当性検証
- 2) 臨床試験の環境整備（First in Human、国際共同治験など）
- 3) スタートアップ／VCの人才培养・確保（教育、製薬企業等人才培养の流動性）

### ②医学研究～臨床医学研究の強化

- 1) 医学部／大学病院の研究環境整備（研究時間の確保、次世代人才培养）
- 2) PhD／MD連携、学部を越えた連携（医×薬×理×工×農×情報/AIなど）

### ③生産・製造体制の構築

- 1) GMP製造基盤の構築（ベクター／核酸など）、Quality by Design

## 2. 次世代モダリティ技術の開発/洗練

### ①創薬モダリティの洗練、新規開拓

- 1) 多様なモダリティの次世代技術の開発、洗練、融合  
→低分子医薬、タンパク/ペプチド医薬、抗体医薬、核酸医薬、mRNAワクチン  
in vivo/ex vivo遺伝子治療、細胞治療[再生医療]
- 2) 新規モダリティ概念の開拓  
→ウイルス製剤治療、細菌製剤治療、放射性核種、EV（ほか）
- 3) “医薬品”の枠を越えたモダリティ融合  
→治療アプリ、自動制御投薬デバイス、BNCT（ほか）

### ②創薬基盤技術の開発

- 1) 次世代送達技術（時空間動態制御、病態特異的、デバイス）
- 2) ヒト代替評価系（MPS、オルガノイド、ヒト化動物、大型動物）
- 3) GMP製造技術（治験薬の迅速供給、ベクター製造、核酸製造）

### ③AI／データ駆動型の創薬技術の開発

- 1) AI/in silico創薬技術（標的探索、分子細胞設計、臨床予測評価）
- 2) 実験自動化（実験ロボットなど）～AI改良

### ④個別化・層別化診断技術の開発（診断と治療の複合化）

- 1) 疾患バイオマーカー（分子/細胞/画像など）、がんゲノム医療
- 2) デジタルバイオマーカー（ウェアラブルデバイス、スマホなど）

### ⑤ゲノム/健康医療データ基盤構築と創薬/医療の加速

- 1) 健康医療リアルワールドデータの収集＆利活用基盤構築  
→ディープクリニカルデータ：創薬等に直接的に貢献しうる精緻な医療データ

### ⑥市場原理だけでは進みづらい創薬領域の制度設計

- 1) N-of-1（アンチセンス核酸など）
- 2) 抗菌薬/ワクチン（Push-Pull型のインセンティブ設計）

### ⑦医療費の最適化へ（持続可能なシステムへ）

- 1) 医療技術評価[HTA]と適切な社会実装
- 2) 医療提供の最適化（疾病管理、服薬コンプライアンス、ICT活用）

### ⑧安全保障の観点（医療、経済）

- 1) 国産モダリティ技術基盤の構築（mRNAワクチンほか）
- 2) 国内製造基盤、CDMO/CMOの整備
- 3) 日本人の健康・医療データ基盤の構築

# 創薬エコシステムの主な問題点

大学／国研

スタートアップ

CRO、CDMO

製薬企業

上市

## 疾患研究

- ✓ 疾患メカニズム
- ✓ 治療標的の探索 + 妥当性の検討

## 創薬研究

- ✓ 創薬アイデアの妥当性検証
- ✓ リード分子/細胞の探索
- ✓ 開発候補品の創製、最適化

## 前臨床

- ✓ 安全性の予測
- ✓ 有効性の予測
- ✓ GMP製造検討

## 臨床試験

- ✓ 臨床試験 [国内外/FIH]
- ✓ GMP製造確立

モダリティ技術の  
新奇アイデア不足  
[工学、理学など]

有望な  
治療標的の不足  
[Human Biology、  
ヒト疾患メカニズム]

基礎研究環境の悪化

次世代を担う  
若手人材の不足

モダリティ技術の  
洗練不足 [基礎 ⇄ 臨床]

創薬アイデアの妥当性検証不足  
事業化の妥当性検証不足 [知財戦略含む]

創薬スタートアップへの投資規模の不足 (特に臨床試験)

製薬企業におけるオープンイノベーション、  
創薬スタートアップ育成の視点が不足

大学病院 (医学部) の研究環境の悪化 / 疲弊

専門性の高いスタートアップ人材の不足、人材流動性の不足  
[経営、研究、知財、事業化、海外展開、開発経験など]

適切  
な  
薬価  
?

大学  
病院  
赤字

# 多様化する創薬モダリティ

治療

予防

赤：巨大市場を形成

青：製品事例有り（市場未成熟）

緑：基礎研究or臨床開発段階

大分類		中分類
①低分子医薬	6,200億\$ [2030]	低分子化合物（化学修飾、人工骨格構造など） 天然化合物 他のモダリティとのコンジュゲート（ADCなど） キメラ化合物、二重特異性化合物 生理活性タンパク・ペプチド タンパク・ペプチドコンジュゲート
②タンパク/ ペプチド医薬	2,700億\$ [2030]	融合タンパク・ペプチド 人工構造ペプチド（人工アミノ酸、特殊環状など） 細胞膜透過型ペプチド アンチセンス核酸 siRNA 核酸アプタマー 核酸アジュvant
③核酸医薬	350億\$ [2030]	miRNA／人工miRNA エピゲノム編集 RNA編集 tRNA
④抗体医薬	4,200億\$ [2030]	モノクローナル抗体 抗体コンジュゲート（ADCなど） 多重特異性抗体 低分子抗体（Fab, scFv, VHなど） 免疫グロブリン製剤、抗体カクテル 機能性抗体（病態特異的結合など）
⑤mRNA医薬 (感染症以外)	0億\$ [2030]	人工構造mRNA（化学修飾、キャリアフリーなど） 人工構造mRNA（自己増幅型、環状など） 人工構造DNA ウイルスベクター（AAV） ウイルスベクター（AAV以外） 非ウイルスベクター（VLP, LNP, pDNAなど） ゲノム編集（CRISPRなど、KO, KI, 修復など） in vivo CAR-T（ex vivo→in vivoへの転換）
⑥in vivo 遺伝子治療	220億\$ [2030]	28億\$ [2030]
		0.4億\$ [2030]

大分類		中分類
⑦ex vivo 遺伝子治療	310億\$ [2030]	造血幹細胞 免疫細胞（CAR-T） 免疫細胞（TCR-T） 免疫細胞（キラーT/NK/NKT/Treg/Mφなど） 組織細胞（神経細胞など） iPS由来細胞（iPS CAR-Tなど） ゲノム編集（CRISPRなど、KO, KI, 修復など） 人工合成細胞
⑧細胞治療 [免疫細胞]	22億\$ [2030]	腫瘍浸潤T細胞 免疫細胞（キラーT/NK/Treg/樹状細胞など） iPS由来免疫細胞（キラーT/NK/NKTなど） 造血幹細胞（骨髄移植：造血幹細胞移植など） 培養組織シート（皮膚など） 組織幹細胞/体細胞（軟骨など） 間葉系幹細胞 ES/iPS由来細胞（胚細胞、神経細胞など） iPS由来培養立体臓器
⑨細胞治療 ／臓器移植 [再生医療]	49億\$ [2030]	異種移植/胚盤胞置換法（ブタなど） 腫瘍溶解ウイルス（ヘルペス、アデノなど） バクテリオファージ（天然or組換え） マイクロバイオーム（FMT, FMT由来細菌など） 組換え細菌（サルモネラなど）、非組換え細菌 α線/β線核種（他のモダリティとの複合化） ミトコンドリア移植 ホウ素薬剤（BNCT） EV/エクソソーム（天然、人工）
⑩ウイルス製剤治療	0.4億\$ [2030]	病原体（弱毒化、不活化） 病原体由来分子（コンジュゲート、組換え、VLP、トキソイド、ポリサッカライド、サブユニット） アデノウイルスベクターウクチン
⑪細菌製剤治療	640億\$ [2030]	人工構造mRNA（化学修飾、キャリアフリーなど） 人工構造mRNA（自己増幅型、環状など） 人工構造DNA
⑫その他	★億\$ [2030]	人工構造mRNA（化学修飾、キャリアフリーなど） 人工構造mRNA（自己増幅型、環状など） 人工構造DNA
⑬ワクチン (mRNA以外)	640億\$ [2030]	病原体（弱毒化、不活化） 病原体由来分子（コンジュゲート、組換え、VLP、トキソイド、ポリサッカライド、サブユニット） アデノウイルスベクターウクチン
⑭mRNAワクチン (感染症)	150億\$ [2030]	人工構造mRNA（化学修飾、キャリアフリーなど） 人工構造mRNA（自己増幅型、環状など） 人工構造DNA

# 【トピック】低分子医薬①

## 標的タンパク等分解誘導分子（化合物系）

### 1) 標的タンパクを分解誘導する化合物のタイプ

- ①molecular glue（分子接着剤、IMiDs：レナリドミド®）
- ②bivalent degrader, trivalent（PROTACなど）

### 2) E3リガーゼ（600種以上）の開拓が進む

- ①任意の標的タンパクに利用可能：CRBN, VHL以外
- ②組織特異的に局在：高発現or低発現
- ③病態組織/細胞特異的に局在：腫瘍細胞など  
ほか、疎水性タグ化合物の開発も

### 3) 様々な品質管理を活用するdegrader創薬へ

#### a) プロテアソーム活用[細胞内タンパク]

：PROTAC, SNIPER, hybrid-PROTAC（低分子&ペプチド）  
BioPROTAC（タンパク、ペプチド、オリゴヌクレオチド）

#### b) オートファゴソーム活用[細胞内タンパク]

：AUTAC, ATTEC

#### c) リソソーム活用[細胞外タンパク、膜タンパク]

：LYTAC, AbTAC(抗体), KineTAC(二重特異性抗体)

#### d) RNAase利用[RNA分解]：RIBOTAC

### 4) 疾患別研究動向

#### a) 臨床試験：血液がん、 固形がん[乳、 前立腺ほか]

#### b) 研究段階：がん以外

- ・ **神経変性疾患**（AD, ハンチントン病関連分子）
- ・ **免疫/炎症関連**（リウマチ、免疫チェックポイント関連）
- ・ **感染症**（ウイルスタンパク、SARS-CoV-2、インフル）

### 5) 上市、臨床試験後期フェーズ一覧

『molecular glue』：サリドマイド誘導体が複数上市  
『bivalent degrader』：PROTACの臨床試験が複数

段階	開発名	開発者	適応症
上市	サリドマイド®	BMS	多発性骨髄腫など
上市	レナリドミド®	BMS	多発性骨髄腫
上市	ポマリドミド®	BMS	多発性骨髄腫
P3	CC-220	BMS/Celgene	SLE、多発性骨髄腫
P3	CC-92480	BMS/Celgene	多発性骨髄腫
P3	LY573636	Eli-Lilly	固形がん
P3	ARV-471	Arvinas/Pfizer	乳がん
P2	CC-90009	BMS/Celgene	急性骨髄性白血病
P2	ARV-110	Arvinas	前立腺がん
P2	ARV-766	Arvinas	前立腺がん
P2	KT-474	Kymera/Sanofi	自己免疫疾患 [アトピー、関節リウマチなど]
P2	GT20029	Kintor (中国)	ニキビ(アンドロゲン受容体分解)

### 6) 国内の主な研究事例

東大, 東北大, 東京医大, 阪大, エーザイ, アステラス  
ARVINAS, Nurix Therapeutics, BMS, C4  
Therapeutics, Kymera

# 【トピック】低分子医薬②

## 共有結合性阻害化合物

- ✓ 標的タンパクの求核的アミノ酸残基と共有結合する、求電子的な反応基を有する化合物
- ✓ 18世紀後半より共有結合型の低分子医薬品は存在したが、偶発的な創製に限られた
- ✓ 既存の可逆的リガンド改良（反応性が弱い求電子官能基を組込む:Neratinib®, Afatinib®）、新規リガンド探索（Sotorasib®）の2つの方法論
- ✓ **特異性の向上が課題：反応性官能基を導入するアミノ酸残基[Cys,Lys,His等]の開拓、標的タンパク[EGFR,BTK,KRAS等]の開拓**
- ✓ 立体構造解析、ケモプロテオミクス技術など
- ✓ 上市事例：Ibrutinib®, Osimertinib®, Sotorasib®, Nirmatrelvir®
- ✓ 九大,エーザイ,大鵬薬品,Atomwise社,Totus medicine社、Matchpoint Therapeutics

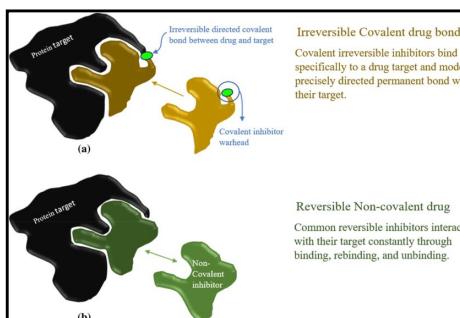


図. 共有結合性阻害のイメージ

[https://www.researchgate.net/figure/The-mechanism-of-a-covalent-binding-through-a-functional-group-in-the-ligand-and-b\\_fig2\\_339386307](https://www.researchgate.net/figure/The-mechanism-of-a-covalent-binding-through-a-functional-group-in-the-ligand-and-b_fig2_339386307)

## 核酸標的型化合物

- ✓ 核酸構造[DNA/RNA]や核酸/タンパク相互作用面に結合し機能制御する化合物
- ✓ 脊髄性筋萎縮症に対するRisdiplam® (PTC社)が2020年に上市され大きな注目を集めます
- ✓ 臨床試験が複数推進中
  - 筋ジストロフィー : PTC社(P3)
  - ハンチントン病 : PTC社(P2)、Novartis社(P2)、Skyhawk社(P1)など
- ✓ **RNA立体構造解明、標的特異性の高い化合物設計、スクリーニングが課題**
- ✓ DNA二本鎖副溝結合分子 (PIP) 、DNA二本鎖中ミスマッチ塩基結合分子 (MBL)
- ✓ 阪大,理研,京大,Veritas社,帝人, xFOREST社, Deep Genomics社, PTC社, Novartis社, Skyhawk社, Designed Therapeutics社

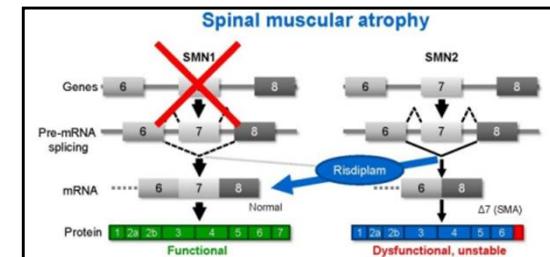


図. Risdiplam®

[https://www.pmda.go.jp/drugs/2021/P20210621001/450045000\\_30300AMX00294\\_H100\\_1.pdf](https://www.pmda.go.jp/drugs/2021/P20210621001/450045000_30300AMX00294_H100_1.pdf)

# 【トピック】AI/*in silico*創薬

## 創薬モダリティの新たなチャレンジをAI/*in silico*創薬が後押し

### ★低分子医薬

- a) 標的分解誘導化合物
- b) 共有結合型化合物
- c) 核酸標的型化合物
- d) PPI制御
- e) アロステリック制御

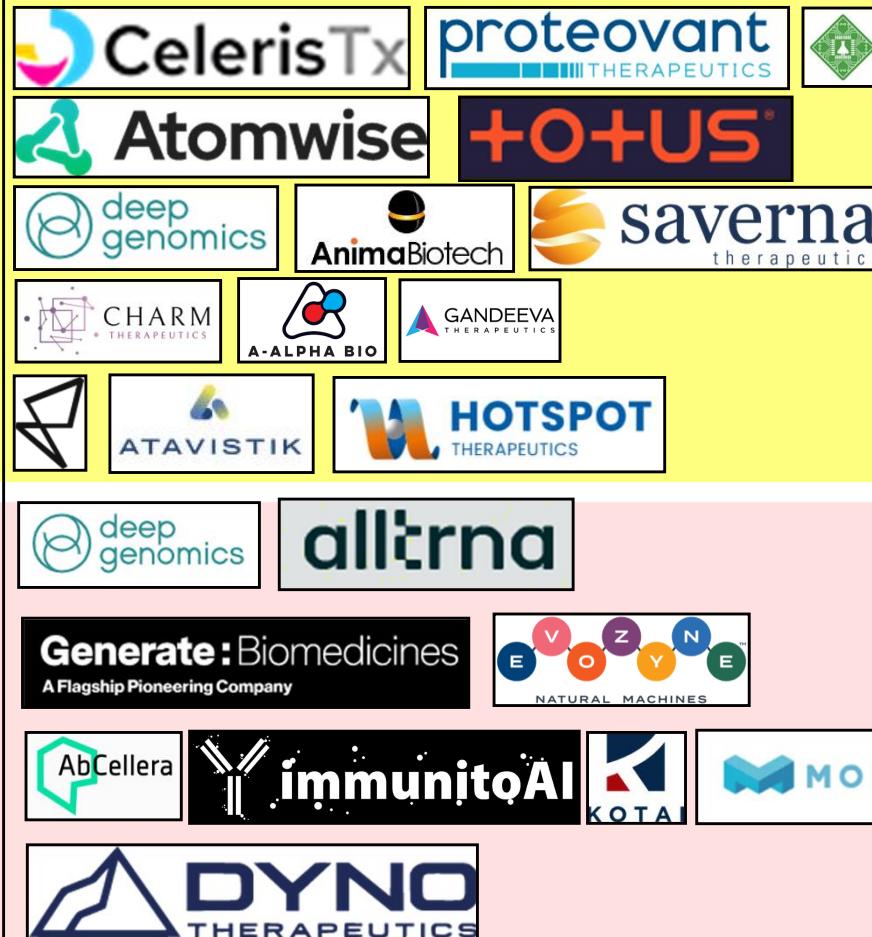
### ★核酸医薬

### ★タンパク/ペプチド医薬

### ★抗体医薬

### ★*in vivo*遺伝子治療

### AI/*in silico*創薬スタートアップ



創薬モダリティ技術を有する  
製薬企業／スタートアップとの連携も

# 【トピック】核酸医薬①

## 国産の核酸医薬が上市、海外展開

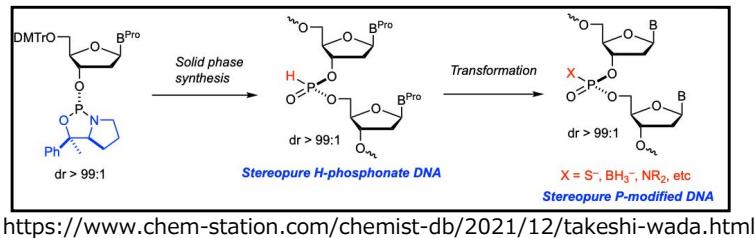
- ✓ 新しい創薬モダリティの多くで日本は出遅れたが、核酸医薬では日本発の製品が海外展開

### Viltolarsen®、日本新薬

- タイプ：アンチセンス核酸（ASO）
- 対象疾患：デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）
- 作用機序：ジストロフィンのエクソン53スキンピング
- 上市：日本[2020年]、米国[2020年]

## 核酸医薬のキラリティ制御合成技術

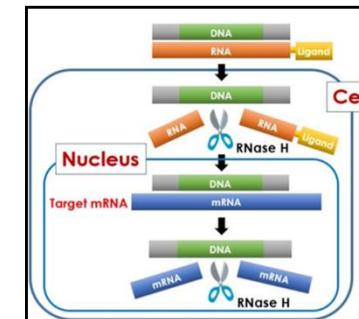
- ✓ リン原子の立体化学を厳密に制御した、リン原子修飾核酸医薬の合成が実現



## 新しいタイプの人工核酸骨格

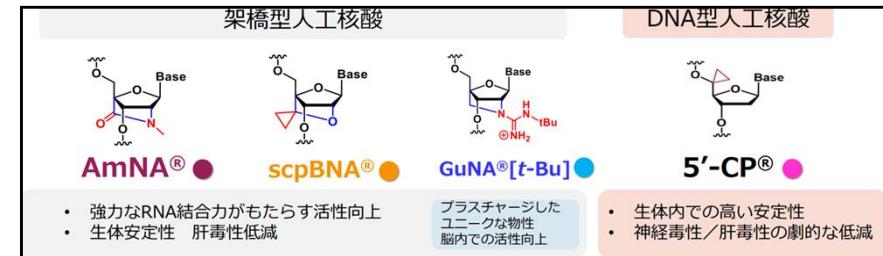
- ✓ わが国で「ヘテロ核酸」技術開発が進む次世代の核酸医薬フォーマットとして期待

→優れた核内移行性とノックダウン活性  
→効率的なエクソンスキッピング  
→タンパクとの相互作用低減による毒性軽減



## 人工修飾核酸技術

- ✓ 毒性を低減させる人工核酸の開発が進む（次世代核酸医薬へ）



https://luxnabiotech.co.jp/wp/wp-content/uploads/2023/07/202307\_cp.pdf

## 【トピック】核酸医薬②

### 生活習慣病を核酸医薬で治療

- ✓ 従来、核酸医薬は希少疾患を中心であつたが、**生活習慣病[高血圧]**に対する臨床試験が推進中
- ✓ **Zilebesiran® [siRNA, Alnylam×Roche]**
  - 対象疾患：高血圧症（標準治療の降圧薬では制御困難なもの）
  - 臨床試験：フェーズ2完了
  - 投与方法：皮下投与
  - 作用メカニズム：血圧を上昇させるアンジオテンシノーゲンのmRNAを阻害
  - 投与頻度：現状の毎日経口より改善と予想（軽度～中等度高血圧症患者を対象としたP1では、**1回の投与で6ヶ月後**も平均10mmHg以上の収縮期血圧低下）
- ✓ **フェーズ2の結果がJAMAで報告**、3か月or6か月間隔の投与での有意な降圧効果
- ✓ フェーズ3の結果次第であるが、生活習慣病の巨大市場に食い込みうる注目事例

### N-of-1 ～究極の個別化医療～

- ✓ **1～10名程度の患者しか存在しない疾患に対する核酸医薬が実現**
- 【事例】 **Milasen**
  - ◇ 神経セロトニン症候群7型(CLN7)の小児に、**わずか1年間で核酸医薬の開発～投与を完了**
    - 疾患の原因同定
    - 核酸医薬[Milasen]設計
    - 前臨床～臨床試験
    - FDA製造承認
    - 患者投与
  - ◇ 超短期間で成し遂げた背景
    - 全ゲノム解析による標的遺伝子同定
    - 作用機序が近い核酸医薬を参考に *in silico* 設計
    - 迅速なスクリーニング・評価（モデル系）
- ✓ **n-Lorem財団**：
 

米国内の超希少疾患[1～10名]の核酸医薬の開発と治療を支援する財団
- ✓ **わが国の開発体制は？費用負担は？**



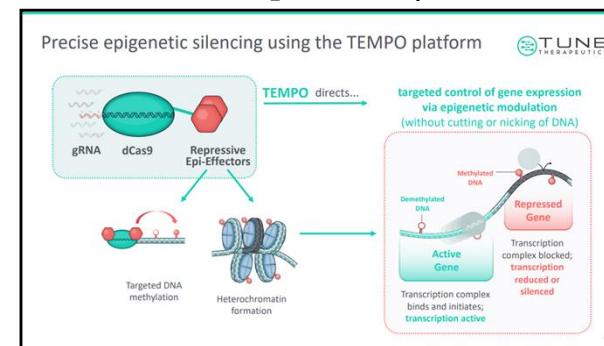
# 【トピック】核酸医薬③

## RNA編集

- ✓ 細胞内のRNA配列を置換/挿入/削除することで治療を目指すモダリティ
- ✓ 内在性A-to-I型RNA編集酵素(ADAR)を合成gRNAで誘導、**RNA上の特定のA(アデノシン)を脱アミノ化しI(イノシン)に置換**する技術開発が多く、臨床試験も複数見られる
  - AIMer[Wave LifeScience社]
    - WVE-006 : P1, AATD, 30塩基
  - Axiomer [ProQR社]
  - RNA編集技術[FREST社]
  - RNAfix[Shape社]
- ✓ mRNA編集効率の向上が課題
  - gRNA改良：環状化、二本鎖RNA追加
- ✓ **pre mRNAの変異エクソンをまとめて正常エクソンに置換**する技術も見られ、臨床試験が推進中
  - ACDN-01[P1/2, ABCA4関連網膜症, Ascidian therapeutics社]

## エピゲノム編集

- ✓ エピゲノムを特異的に操作し遺伝子発現を制御することで治療を目指すモダリティ
- ✓ DNA切断活性を失わせたゲノム編集技術(dCAS等)にエピゲノム制御分子を結合するタイプの技術開発が多い
- ✓ 精密なエピゲノム編集、核構造への影響回避、dCASによる変異回避、デリバリー法の確立など、技術課題が多い
- ✓ Sangamo社、Encoded社、Chroma社、Tune社、Navega社、モダリス社など
  - Tune社が**PCSK9発現をNHPで9ヶ月以上抑制**[TEMPO platform®, 2023年]



[https://tunetx.com/wp-content/uploads/2023/12/HEPDART\\_Dec5\\_Web.pdf](https://tunetx.com/wp-content/uploads/2023/12/HEPDART_Dec5_Web.pdf)

# 複数モダリティで共通する重要テーマ (各モダリティ固有の重要テーマは省略)

## 主な方向性

## 概要

A) 多様な分子間／細胞間相互作用の予測と制御	①天然：分子間相互作用の制御 [PPI、タンパク-核酸、分子複合体、細胞内] ②人工：多重特異的制御 [標的分子分解(PROTAC等)、T細胞engager等]
B) セントラルドグマの精密制御 [DNA, RNAなど]	①宿主ゲノム改変： <i>in vivo</i> ゲノム編集治療 [CRISPR等] ②非改変：核酸医薬、転写翻訳制御 [エピゲノム編集、RNA編集、tRNA]
C) 治療用分子／細胞の生体内現地生産	①分子生産：mRNA医薬、 <i>in vivo</i> 遺伝子治療、プロドラッグ ②細胞生産： <i>in vivo</i> CAR-T、 <i>in vivo</i> 遺伝子治療治療 [ゲノム編集等]
D) living therapeutics [細胞／微生物製剤]	①細胞： <i>ex vivo</i> 遺伝子治療 [CAR-T等]、幹細胞等移植治療 [臍島等] ②組織／臓器：異種移植治療、中長期的基礎研究 [iPS由来立体臓器構築] ③微生物：ファージ治療、治療用ウイルス、細菌製剤治療
E) 次世代送達技術 [時空間動態の精緻な制御]	①創薬モダリティ改良：モダリティ骨格、標的特異的リガンド ②創薬モダリティ搭載：ナノ粒子 [免疫調節等]、投与デバイス
F) 治療標的の同定 [biology研究とAI含む先端技術]	①疾患の理解：発症/重症化メカニズム解明 [免疫、代謝、神経、ゲノム等] ②標的分子構造：標的分子構造の同定 [分子間相互作用の動的構造等] ③標的分子群：分子ネットワーク制御標的群の同定 [合成致死等]
G) 医薬品評価 [MPS、大型動物など]	① <i>in vitro</i> ：MPS洗練 [organ-on-a-chip, オルガノイド、疾患iPS等] ② <i>in vivo</i> ：非ヒト靈長類の確保、ヒト化動物の開発 ③ <i>in silico</i> ：免疫デジタルツイン、創薬評価デジタルツイン
H) GMP製造基盤	①人材：バイオ製造人材の確保・育成 ②体制：治験薬製造体制の構築、CDMO強化

# 生体模倣システム（MPS）が国内外で大きく注目



## FDAが動物利用要件を緩和 (FDA近代化法2.0)

2022年 医薬品開発における動物実験の使用要件を削除

2022年 安全性試験の靈長類利用抑制緊急ガイドライン発行

## FDA近代化法3.0をめぐる動き

2025年2月 FDA近代化法3.0上院紹介

2025年4月 FDA近代化法3.0下院紹介

2025年4月 **FDAがモノクローナル抗体（およびその他医薬品）に対する動物試験の段階的廃止案を発表**

“FDA Announces Plan to Phase Out Animal Testing Requirement for Monoclonal Antibodies and Other Drugs”

2025年4月 NIHが研究革新・検証・応用局（ORIVA）を設立予定と発表

# FDAのロードマップ概要



## Roadmap to Reducing Animal Testing in Preclinical Safety Studies

2025年4月10日発表

<https://www.fda.gov/media/186092/download?attachment>

- ◆ FDAが**前臨床安全性試験における動物実験の削減**を目指し 「Organ-on-a-chip」「コンピュータモデリング」「先進的な *in vitro* 試験」など、科学的に検証された **NAMs**への代替の実現に向けた、戦略的/段階的なロードマップ
- ◆ FDAが、 NIHやVAなどの連邦機関と提携し取り組む

**New Approach Methods**

### FDAにおける動物毒性試験削減のロードマップ

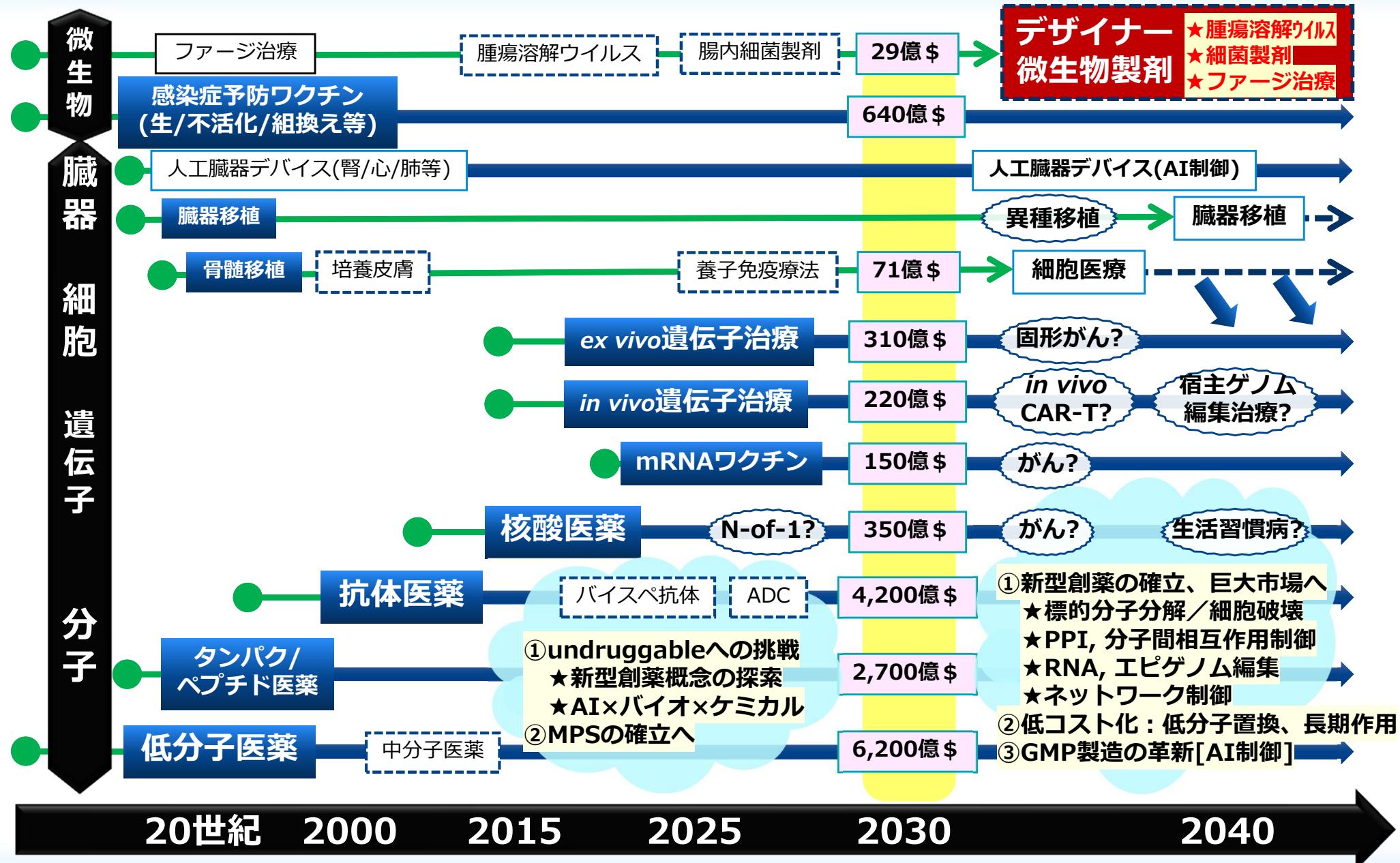
#### ★短期[～3年]

- (1) 既存の国際データの活用
- (2) NAMデータの並行提出の奨励
- (3) 国際的な薬物毒性データのオープンアクセスリポジトリ開発
- (4) mAbに対する靈長類毒性試験期間の短縮
- (5) 他の薬物カテゴリーに対する動物毒性試験期間の短縮
- (6) 毒性試験の変更の追跡と定量化

#### ★中長期[3～5年]

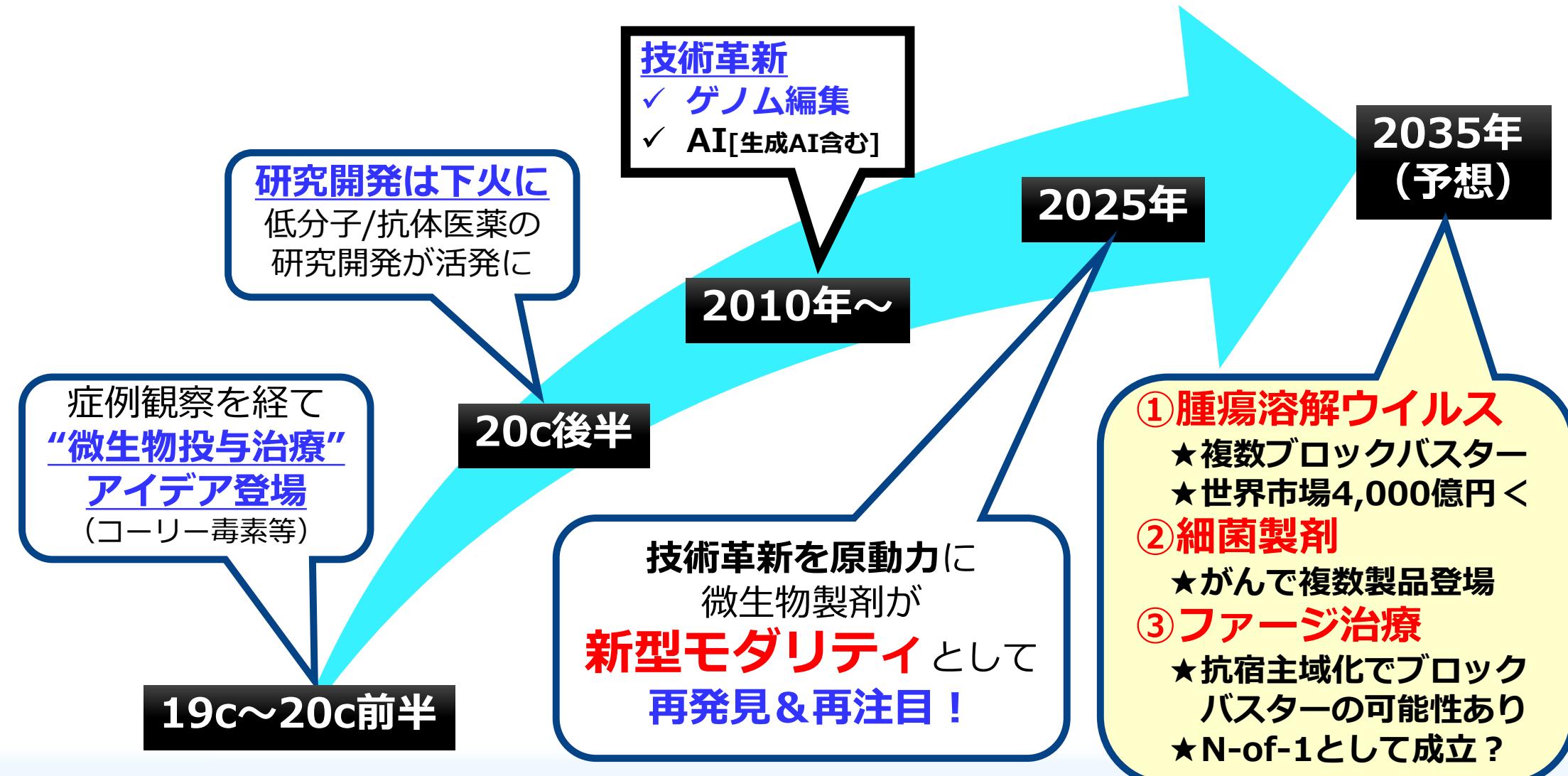
- ★動物実験を標準ではなく例外としたい（NAMsで評価困難な場合のみ使用）！
- ★将来的には、mAbに限定せず全ての医薬品に対して動物実験を不要としたい！
- ★統合NAMツールボックス（ヒト細胞モデル+計算モデル）を新標準にしたい！

# 創薬モダリティの歴史と展望



# 微生物製剤の歴史と現在と未来（イメージ図）

- ✓ 「微生物の投与による治療」という基本的なコンセプトは20世紀初頭にまで遡る
- ✓ 一時は下火になりつつも、近年再び注目が集まる **「温故知新な医療イノベーション！」**



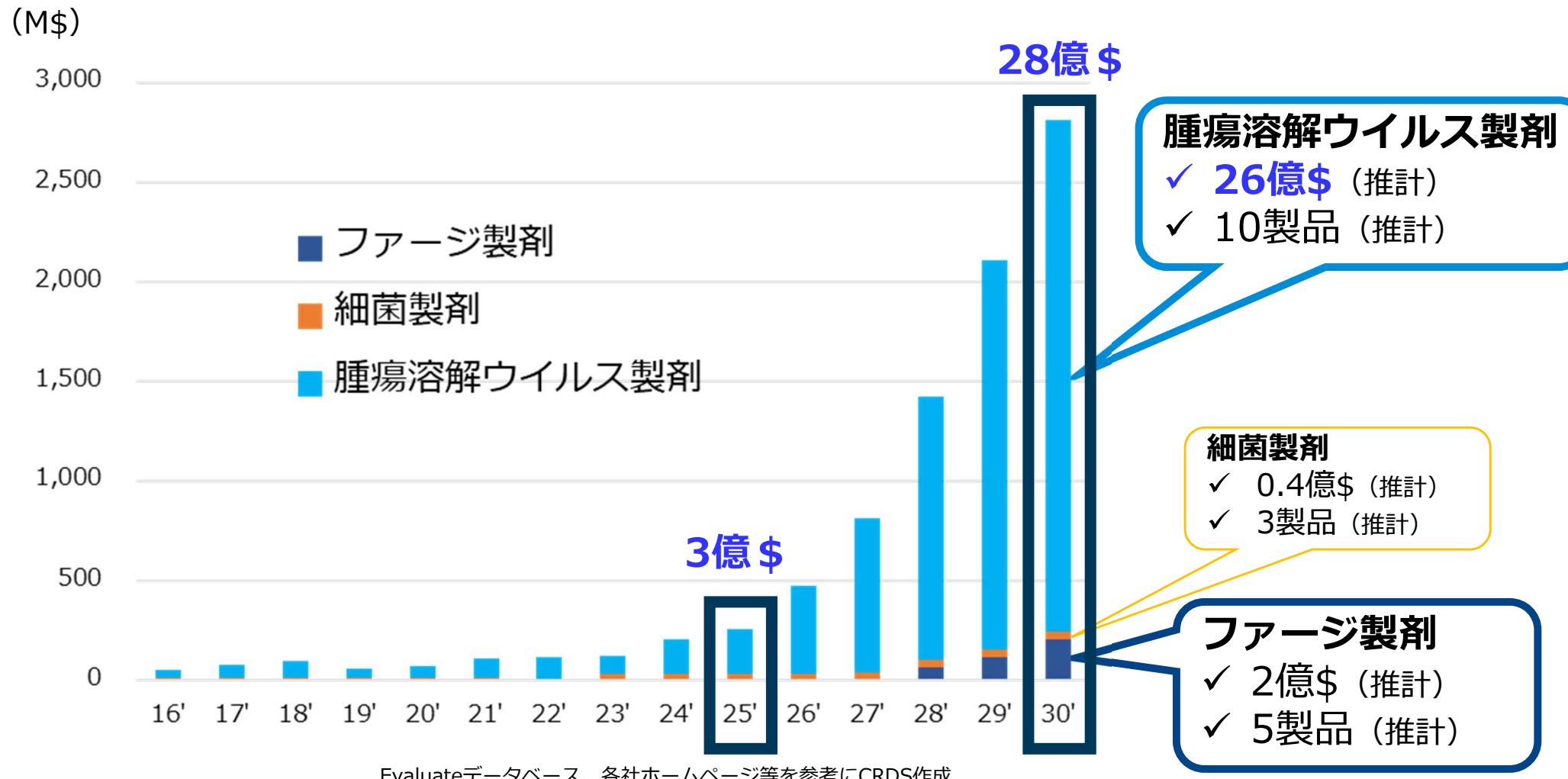
# 微生物製剤の歴史と現在と未来（概説）

- ✓ 「微生物の投与による治療」という基本的なコンセプトは20世紀初頭にまで遡る
- ✓ 一時は下火になりつつも、近年再び注目が集まる **「温故知新な医療イノベーション！」**

腫瘍溶解 ウイルス製剤		細菌製剤① (糞便以外)	細菌製剤② (糞便関連)	ファージ 製剤
<b>発見経緯</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 1900年ごろ、ウイルス感染での腫瘍縮退が報告</li> <li>➤ ウィルス投与による腫瘍縮退の報告が続くが、副作用も多く制御困難</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 19世紀後半、丹毒感染がん患者で腫瘍退縮</li> <li>➤ 1891年、がん患者に不活性化レンサ球菌を含む混合物投与、完全寛解も</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 紀元4世紀、中国で下痢患者に糞便を投与</li> <li>➤ 1958年、偽膜性腸炎の患者へ糞便を投与し治療に成功（@米国）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 1915年ごろ、細菌感染症に対するバクテリオファージ発見</li> <li>➤ ソ連、グルジア等で多くの投与例</li> </ul>
<b>20世紀後半</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 抗がん剤（化学療法）の登場で、<b>開発は下火</b></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 20世紀末、BCGが膀胱がん治療で確立するも、それ以外の<b>開発は下火</b></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 健康関連プロバイオティクスは盛んだが、治療法としての<b>開発は下火</b></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 抗生物質の確立が転機           <ul style="list-style-type: none"> <li>・西側：<b>抗生物質ヘシフト</b></li> <li>・東側：ファージ治療継続</li> </ul> </li> </ul>
<b>2000年 ～2020年</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ ゲノム編集等を駆使した<b>人工ウイルス開発</b>が加速</li> <li>➤ 組換えHSV-1が複数上市</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ ゲノム編集等を駆使した<b>人工細菌開発</b>が進む</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 2013年、<b>糞便移植RCTで高い有効性</b>を実証（@オランダ、NEJM）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 西側諸国でAMR深刻化、ファージ治療が<b>再注目</b></li> <li>➤ <b>人工ファージ開発</b>も進む</li> </ul>
<b>現在 (2025年)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 組換えアデノが複数上市</li> <li>➤ ブロックバスター化が見込まれる製品/候補も</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ フェーズ2が複数進行中</li> <li>➤ がんだけでなく、遺伝性代謝疾患も標的に</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 粪便抽出物が複数上市</li> <li>➤ 特定の細菌群のみの製剤化・臨床試験も進む</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 著効症例は多いが臨床試験は苦戦続き</li> <li>➤ ファージ由来分子も注目</li> </ul>
<b>将来予想 (2035年)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ <b>ブロックバスターが複数登場（特にアデノ系）</b></li> <li>➤ 膀胱がんなど複数のがん治療選択肢として確立</li> <li>➤ 固形がん全般へ展開する可能性あり</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ <b>ブロックバスター登場はもう少し先の未来か</b></li> <li>➤ 一部のがん、遺伝性代謝疾患で製品が出る可能性あり</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ <b>ブロックバスター登場の可能性が少しある？</b></li> <li>➤ 炎症性腸疾患の治療選択肢として確立</li> <li>➤ がんなど消化器疾患以外で製品が出る可能性あり</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 広宿主域ファージ設計でブロックバスターも期待</li> <li>➤ 個別化ファージ療法が薬剤耐性細菌感染症対策の切り札の1つとして確立</li> </ul>

# 世界市場の動向と展望

- ✓ 2025年現在、腫瘍溶解ウイルス製剤と細菌製剤のみ製品が存在し、世界市場は約3億\$
- ✓ 2030年に微生物製剤市場は28億\$へ成長、その後もさらなる成長が見込まれる



# 世界市場の動向と展望（腫瘍溶解ウイルス製剤への注目）

- ✓ 腫瘍溶解ウイルス製剤で、**初のブロックバスター化が見込まれる製品候補**が2件登場

	cretostimogene grenadenorepvec	CAN-2409
開発元	CG Oncology [日本国内ではキッセイ薬品がP3推進中]	Candel Therapeutics
治療法	組換えアデノウイルス [GM-CSF発現]	組換えアデノウイルス + プロドラッグ [非増殖型、HSV-TK発現→経口パラシクロビル毒性変換]
P3結果	<Cretostimogene単剤療法 [46/110]> ✓ 高リスク非筋層浸潤性膀胱がん[CIS含む] ✓ 24ヶ月CRが41.8% ✓ 忍容性良好、重篤な副作用少ない	<CAN-2409 + 放射線療法 [496/745]> ✓ 早期前立腺がん（監視療法） ✓ 放射線療法単独と比べ、DFS : HR0.70、 がん特異的DFS : HR0.62で有意に改善 ✓ 忍容性良好、重篤な副作用少ない
今後の予定	✓ BLA申請中 (2026年申請完了予定)	✓ 2026年第4四半期にBLA申請予定
市場予測	【世界市場（予測）】 ✓ <b>2030年：10億\$ &lt;</b> ✓ 2035年：20～25億\$ ? 【市場リスク要因】 ✓ 各国承認、償還価格 ✓ GMP製造／提供体制構築／普及展開 ✓ 競合品登場「TAR-200」(2025.9) →J&J、膀胱内ゲムシタビン持続投与	【世界市場（予測）】 ✓ <b>ピーク時売り上げ：10億\$ &lt;</b> 【市場リスク要因】 ✓ 各国承認、償還価格 ✓ GMP製造／提供体制構築／普及展開

# 臨床試験／上市動向に基づくブロックバスター化の期待感

- ✓ **腫瘍溶解ウイルス**は早い段階で**ブロックバスター化**が期待、**それ以外**も**中長期的に**期待

## 腫瘍溶解ウイルス製剤、細菌製剤(がん治療)

**固形がん治療に成功すれば、10年以内のブロックバスター化の可能性あり**



**疾患市場：固形がん市場は将来性がある**

★微生物製剤での固形がん攻略は、これから世界中で開発&上市が活性化しそう！

→血液がんCAR-Tがレッドオーシャン化し固形がん開発が進むが、CAR-Tだけでは制圧不可  
→固形がんにおいて抗体薬物複合体（ADC）の躍進が著しいが、ADCだけでは制圧不可

● **日本の強み：日本に優れたプレイヤー&技術が相対的に多い**（←希有な分野）

★腫瘍溶解ウイルスでは世界に先駆けた上市実績有り&臨床シーズも複数存在、  
マイクロバイオーム基礎研究に強み&臨床シーズも登場

→CAR-T、AAV遺伝子治療では日本は数周遅れ（でも重要、遅れててもやるべし）

## ファージ製剤、細菌製剤(がん以外)

**地道な開発／改良を重ねれば、中長期的にはブロックバスター化も期待**



① **ファージ製剤：広宿主域&高抗菌活性な**ファージ製剤[準抗生物質化]

② **細菌製剤：根治に等しい治療効果** ←マイクロバイオーム基礎研究に強み

③ **遺伝子治療：AAVを凌駕する臨床成績の**ウイルス/細菌ベクター

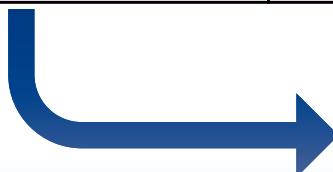
# 治療機能のデザインの方向性

- ✓ 腫瘍溶解ウイルス、細菌製剤、ファージの治療機能のデザインが進む
- ✓ その他の微生物種／細胞様粒子についても基礎研究が進む

		腫瘍溶解ウイルス	細菌	ファージ	その他
主な対象疾患		✓ 固形がん	✓ 固形がん ✓ AMR ( <i>C. difficile</i> 等) ✓ 遺伝性代謝疾患	✓ AMR ✓ 腸内細菌関連疾患	✓ がん？
治療機能デザイン	有効性向上	<b>①人工ウイルス[組換え]</b> > GM-CSF登載 > IL、ICI、腫瘍抗原登載 > アジュバント機能制御 <b>②併用療法</b> > ICI > 化学療法／放射線療法	<b>①人工細菌[組換え]</b> > IL、ICI、腫瘍抗原登載 > アジュバント機能制御 > 生理機能分子(補充療法) <b>②細菌カクテル設計</b> > 疾患マイクロバイオーム <b>③併用療法</b> > ICI投与	<b>①人工ファージ[組換え]</b> > CRISPRシステム搭載 > 宿主域拡張：尾部 <b>②天然ファージカクテル</b> > ファージライブラリ <b>③ファージ由来分子</b> > エンドライシン等 <b>④併用療法</b> > 抗生物質	臨床試験入りはかなり先になりそうだが、基礎研究レベルで様々なアイデアが登場  ★原虫 ★微細藻類 ★酵母 ★古細菌 ★細胞様微粒子 ★人工合成細胞
	安全性向上	<b>人工ウイルス[組換え]</b> > 特異的プロモーター	<b>人工細菌[組換え]</b> > 弱毒化、標的特異性	<b>人工ファージ[組換え]</b> > 生物学的封じ込め	
	中和抗体回避 (全身投与へ)	<b>新規ウイルス株の確立</b> > Ad35型 > 投与方法/DDS > 局所投与、デバイス	投与方法/DDS > 局所投与、デバイス	恐らく不要	

## 今後5年間で推進すべき主な研究開発テーマと、期待される成果数？

研究開発の要素		腫瘍溶解 ウイルス製剤	細菌製剤療	ファージ 製剤	その他 微生物種	
基礎研究	治療用微生物種の新規開拓	✓ HSV-1、Ad5以外	✓ 腸内細菌由来 ✓ 腫瘍組織由来	✓ ファージ種拡張 ✓ ライブライアリ構築	✓ 微細藻類? 原虫? 古細菌?	
	メカニズムの解明	✓ 腫瘍溶解性 ✓ アジュバント機能	✓ 標的部位生着 ✓ アジュバント機能	✓ 細菌VSファージ	✓ 免疫調節機能? ✓ アジュバント機能	
創薬研究	対象疾患の拡張	✓ 各臓器がん	✓ 固形がん ✓ 生活習慣病	✓ マイクロバイ オーム関連疾患		
	治療機能デザイン	✓ 治療遺伝子登載 ✓ 標的特異性 ✓ 静注/全身投与	✓ 治療遺伝子登載 ✓ 標的特異性 ✓ カクテル設計	✓ 治療遺伝子登載 ✓ 広宿主域&強活性 ✓ カクテル設計		
	開発候補品の創製	2-4件は手堅い?	1-2件は手堅い?	1-2件は手堅い?		
臨床/橋渡し	臨床試験の推進	0~4件	0~2件	0~2件		
	(スタートアップ設立)	(1件前後)	(1件前後)	(1件前後)		
製造	GMP製造	✓ アデノ製造 ✓ ヘルペス製造				
10年後は?		✓ ブロックバスターが複数登場	✓ 複数の製品登場	✓ 複数の製品登場 ✓ N-of-1医療実現	✓ 開発候補品が複数登場	



## 【スピナウト成果】

- 1) *in vivo*遺伝子治療用の新型ベクター (AAV, LV以外)
- 2) 微生物由来の次世代バイオテクノロジー (ゲノム編集、 DDSほか)

# わが国で推進すべきと考えられる研究開発テーマ案

- ✓ “デザイナー微生物製剤”治療の実現に向けた基礎～臨床～製造の強化が重要

上市

## デザイナー微生物製剤治療

[腫瘍溶解ウイルス、ファージ、細菌]

臨床

### ①開発候補品の創製、臨床試験

### ②治療機能のデザイン

- 1) 有効性：治療分子分泌、免疫制御等
- 2) 安全性：標的特異性、封じ込め等
- 3) 治療対象疾患の拡張

### ③治療用微生物種の新規開拓

- 1) ウィルス：腫瘍溶解、ベクターも
- 2) 細菌：腫瘍溶解、ベクターも
- 3) 微細藻類、原虫、酵母、古細菌等

### ④技術プラットフォーム構築

- 1) 探索／評価技術：AI利用含む

### ⑤微生物に学ぶ次世代バイオテクノロジーの開拓：DDS、ゲノム編集等

### ⑥GMP製造基盤（アデノウイルス、ヘルペスウイルス等）

創薬  
研究技術  
基盤

製造

*in vivo/ex vivo*遺伝子治療、  
再生医療[異種移植含む]

臨床開発シーズの  
積極的な海外展開 & 海外市場獲得  
(米国でのスタートアップ設立含む)

CAR-T  
[血液がん]AAV  
遺伝子治療再生医療  
[幹細胞治療]

### 遺伝子治療／再生医療の次世代化

- ◆ 固形がん治療：CAR-T改良ほか
- ◆ *in vivo* CAR-T、ゲノム編集治療
- ◆ AAV改良、新型ベクター創製
- ◆ 異種移植治療

### ⑦新規ベクター開拓[ウィルス/細菌]