

IPガイア（IPG）と創出する新薬開発支援のためのエコシステム

研究の提案方法及び提案後の流れ

2024年3月21日

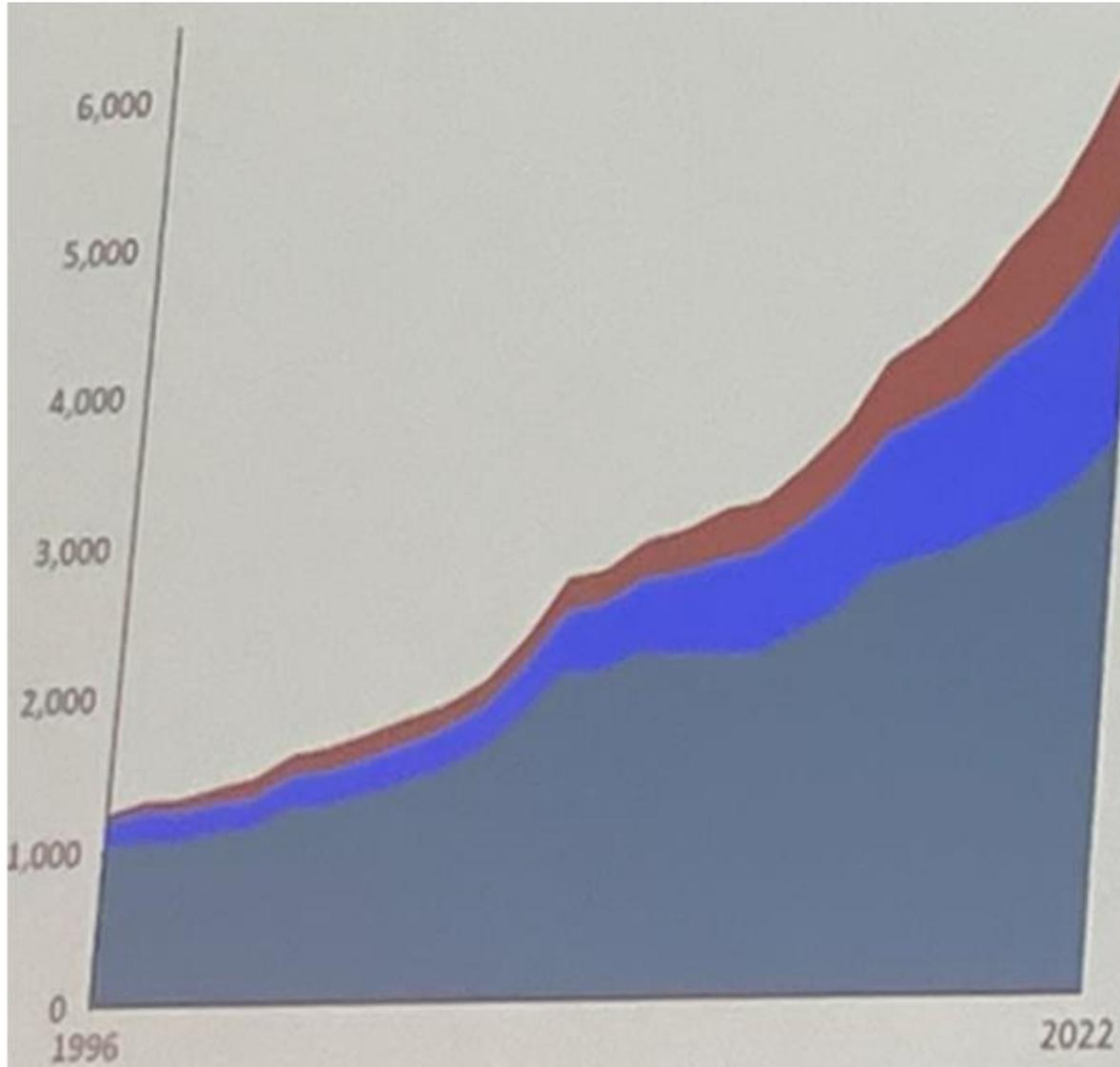
株式会社IPガイア 事業開発リード

矢野 孝彦

本日のアウトライン

- 世界における新薬開発の創薬技術の動向
- 製薬企業における産学連携のニーズの紹介
 - ✓ 国内製薬企業へのアンケートに基づくニーズの動向
 - ✓ 世界大手製薬企業の導入・協業の創薬段階
- 研究の提案方法及び提案の流れ
 - ✓ アイディア提案から個別プロジェクト決定・運用までの流れ

世界で臨床試験中のパイプラインにおける創薬技術の変遷



第3の波

CAR-T細胞治療
幹細胞治療
遺伝子治療
RNAベースの治療薬

~50個の細胞もしくは
遺伝子治療薬が
2025年までに上市

第2の波

ペプチド
モノクローナル抗体
組み換えたんぱく
多くの改変抗体（ナノボディなど）

~100個のモノク
ローナル抗体薬がす
でに上市

第1の波

低分子
非組み換えワクチン
天然物

~1500個の低分子
薬がすでに上市

製薬企業が期待するアカデミアシーズとパートナーリングに関するアンケート

目的；我が国における製薬企業と大学との産学連携の実施状況や直面している課題等について
今後我が国の医療系産学連携の推進のために必要な施策等を検討する

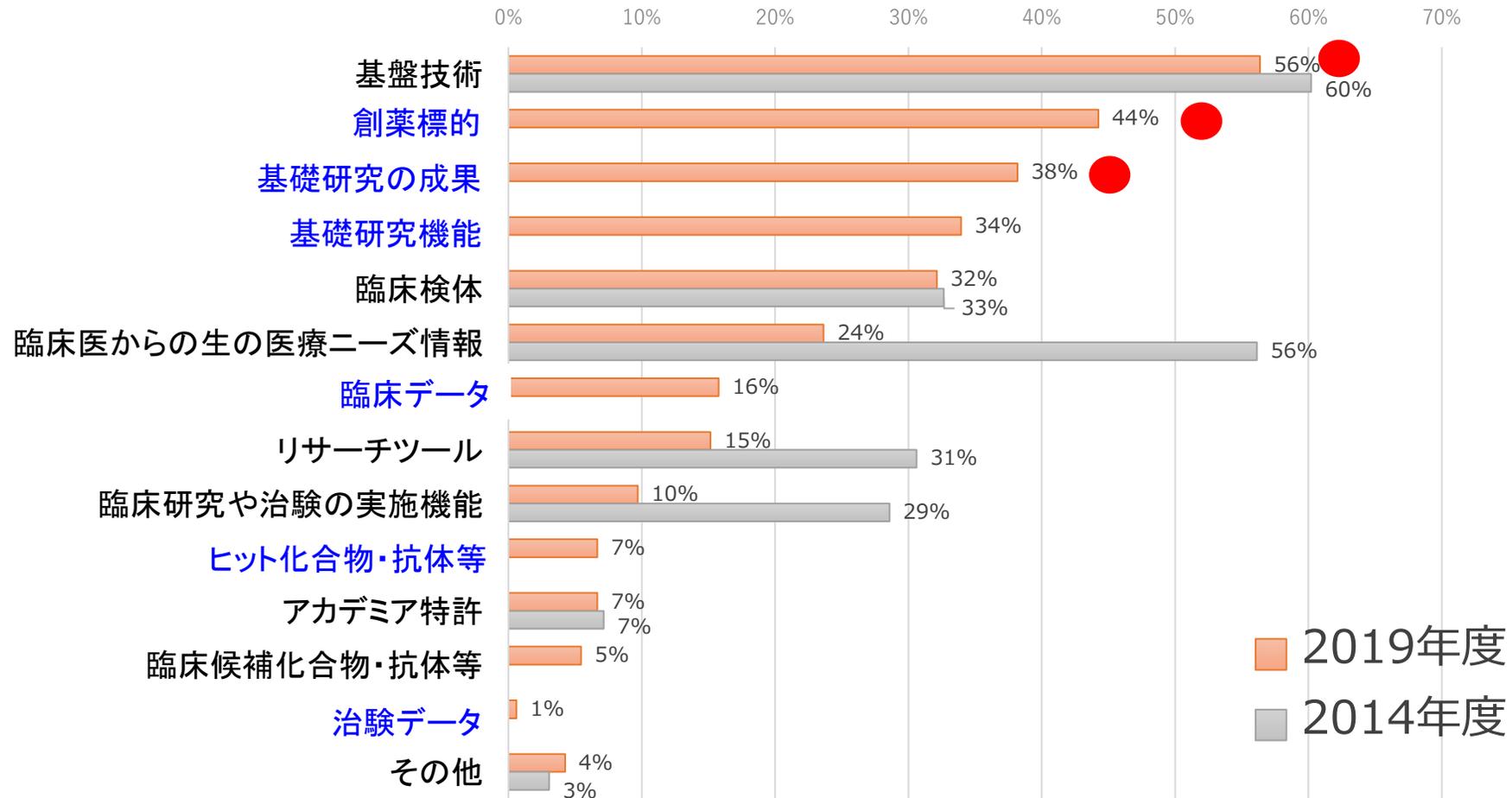
対象者；日本製薬工業協会 研究開発委員会加盟企業36社において現在もしくはこれまで
創薬系産学連携の推進に向けた社内担当者として実施経験のある方

期間； 2014年、並びに 2019年9月20日～10月15日

企業が医学系アカデミアとの産学連携で重視している点

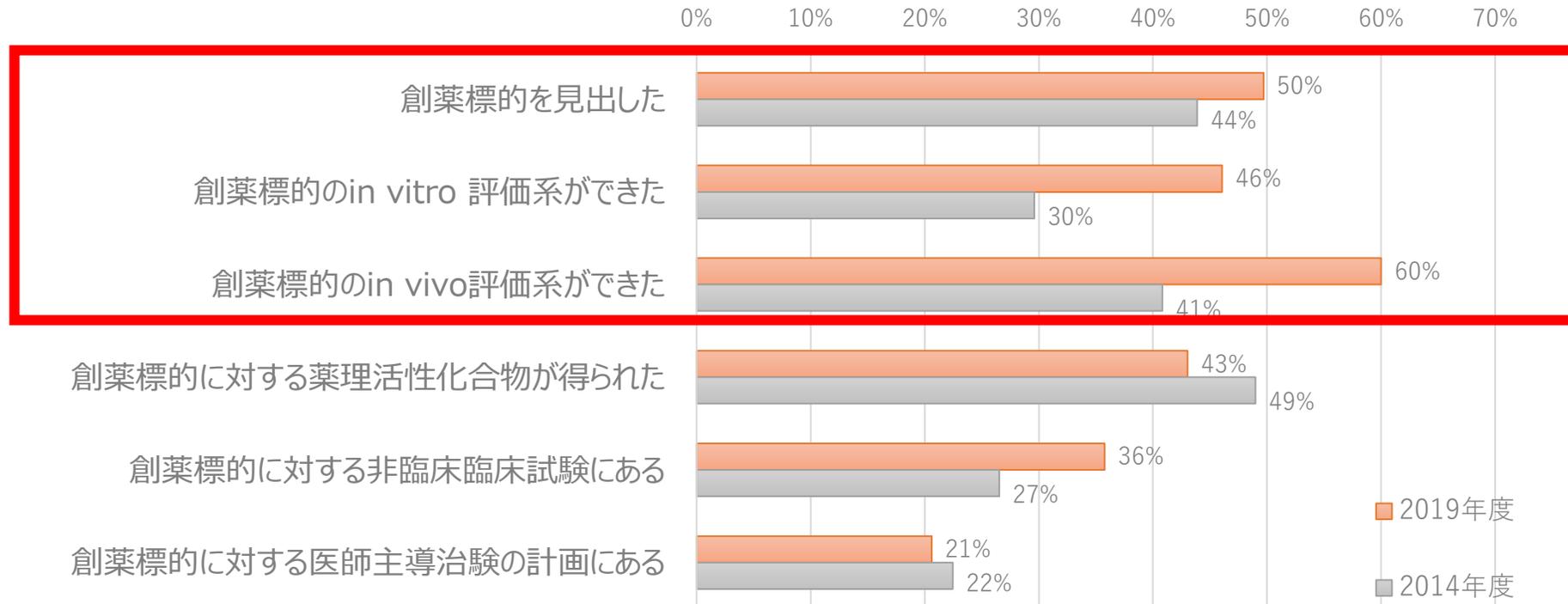
(複数回答可、2019年度調査に追加した項目は青字)

■ 2019年調査の基礎・創薬研究での産学連携で重視するトップ3は基盤技術、創薬標的、基礎研究の成果である



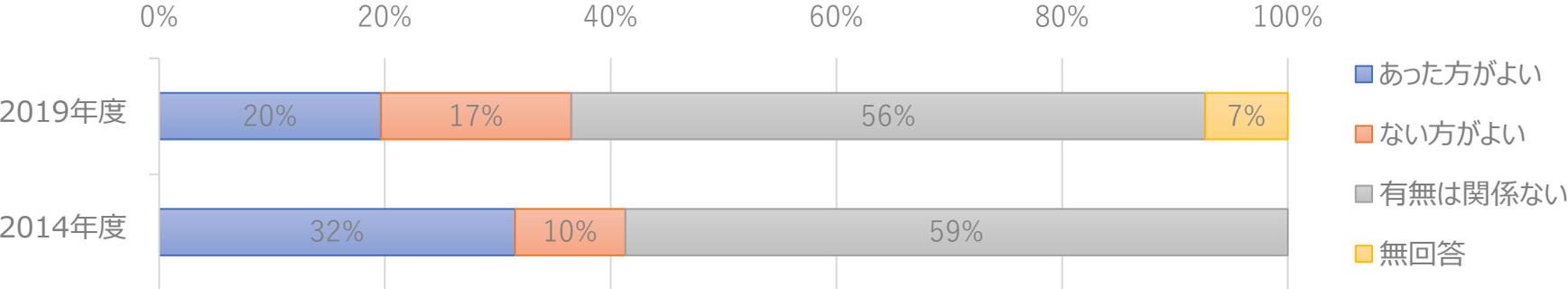
製薬企業が期待している創薬シーズのステージについて（複数回答可）

■ 半数を超えるのは創薬が始まる段階（標的発見、評価系の確立時） = 特許化前のタイミング

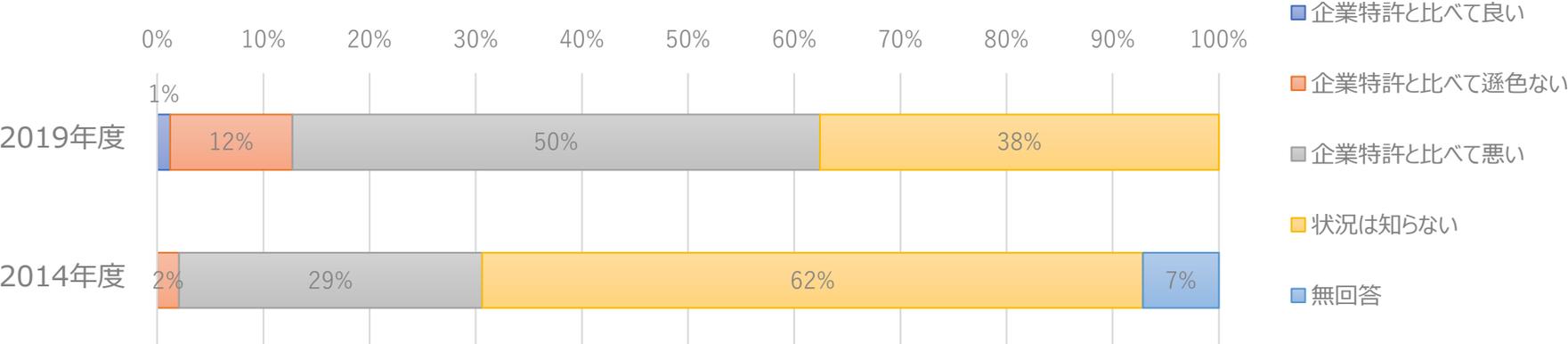


製薬企業が産学連携を実施する上でのアカデミア特許の必要性とその質について

■ 産学連携においてアカデミア特許の必要性は7割以上が有無は関係ないか、ないほうが良いと製薬企業は思っている



アカデミア特許の質や利用性の企業特許との比較



アンケートで得られた製薬企業との産学連携に対する考察

1. 企業が医学系アカデミアとの産学連携で重視している点は“基盤技術”と“臨床検体”であり、創薬の早期ステージに対する期待が高かった

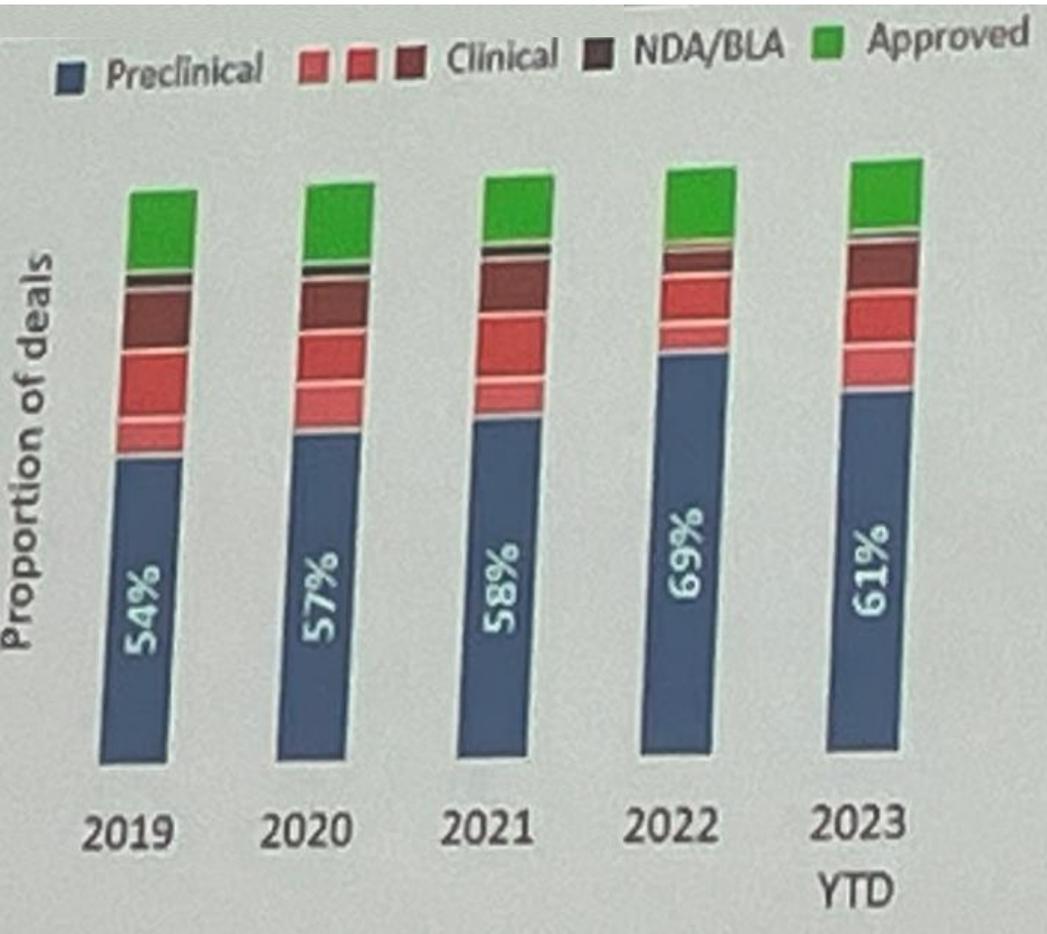
⇒特許化される前の早期の画期的な創薬標的・基盤技術に興味がある

2. 企業が最も期待している創薬シーズのステージは、今回“in vivo評価系ができた”段階であったものの、各社の規模やR&D戦略により協業のニーズは多様であると想定される結果であった

3. 企業が産学連携を実施する上で、アカデミアの特許を必要と感じるのは今回の調査では前回に比べ減少し、特許の有無が判断になるわけではないと6割の人が考える結果は前回と変わらなかった

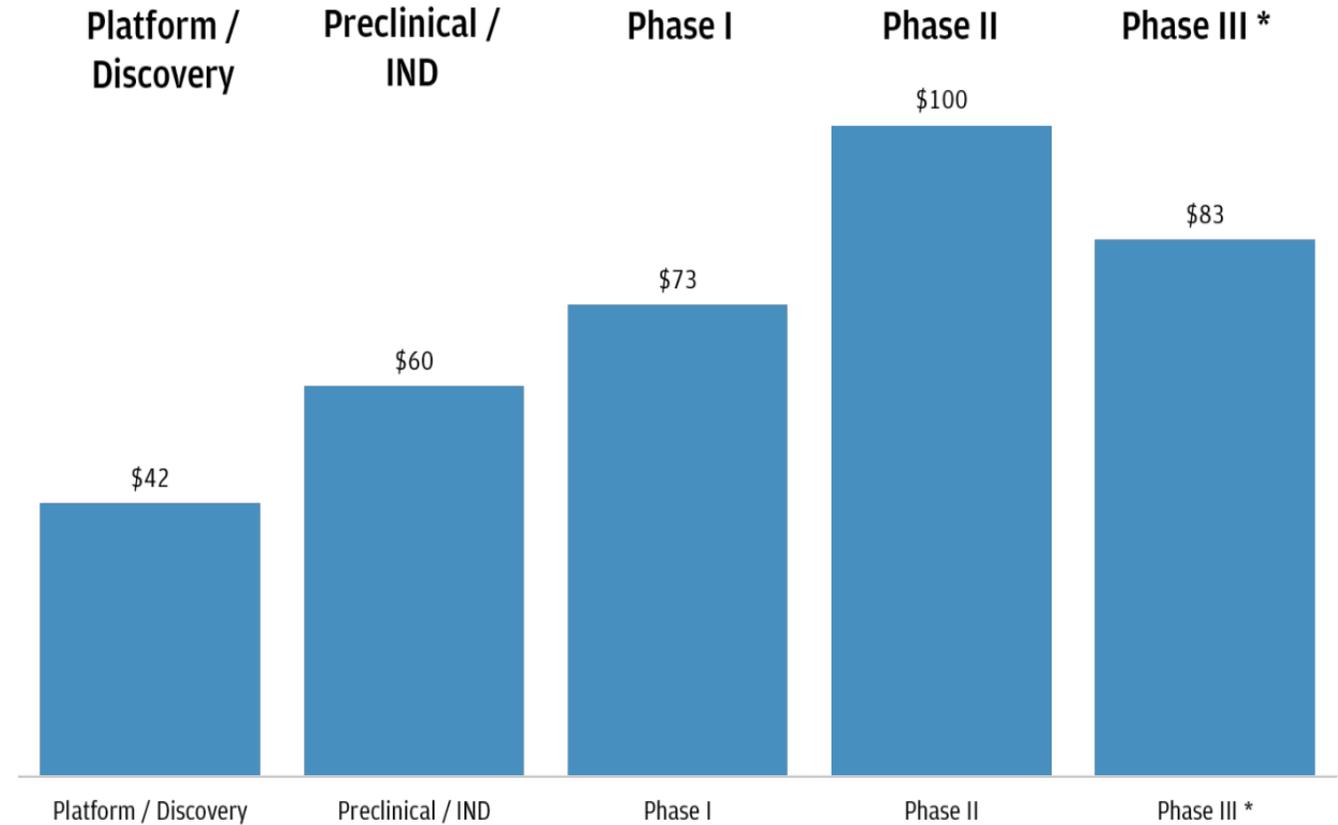
⇒IP化されていなくても産学連携は実施できる = 製薬企業は希望している

製薬企業が協業・導入・買収を行った案件の創薬ステージごとの割合



Source ; BioEurope 2023

In-Licensing by Big Pharma: Median Upfront Cash & Equity by Stage at Signing. 2022-2023 YTD



Source ; DealForma

2023年に世界の製薬企業が協業・導入を行った案件の評価額トップ20と創薬段階

Table 1 | Top 20 R&D partnerships by total announced deal value in 2023

Licensors and licensee	Deal	Announced	Stage signed	Total deal value (upfront payment) (\$ million)	Primary therapeutic area
Daiichi Sankyo Co., Merck & Co., Inc	Development and commercialization deal for Daiichi's three antibody-drug conjugates	October 2023	Phase 2	22,000 (4,000)	Oncology
Flagship Pioneering, Pfizer	Research partnership with an option to license novel therapies	July 2023	Platform/discovery	7,050 (50)	Undisclosed
Voyager Therapeutics, Neurocrine Biosciences	Development and commercialization deal for the GBA1 program and three gene therapies	January 2023	Preclinical/IND	4,410 (136)	Neurology
Nurix Therapeutics, Seagen (formerly Seattle Genetics)	Development and commercialization deal for TPD-ADC therapies for cancer	September 2023	Platform/discovery	3,460 (60)	Oncology
Monte Rosa Therapeutics, Roche	Development and commercialization deal for molecular glue degrader therapies	October 2023	Phase 2	3,078 (78)	Neurology
Immunome, AbbVie	Research partnership with an option to license antibody-target pairs	January 2023	Platform/discovery	2,800 (100)	Oncology
Alnylam Pharmaceuticals, Roche	Co-development and co-commercialization deal for zilebesiran	July 2023	Phase 2	2,800 (310)	Cardiovascular diseases
Nanobiotix, Janssen Pharmaceuticals (Johnson & Johnson); Johnson & Johnson Innovation - JJDC	Co-development and commercialization deal for NBTXR3	July 2023	Phase 2	2,760 (30)	Oncology
Valo Health, Novo Nordisk (Novo Holdings)	Development and commercialization deal for AI-based small molecule therapies	September 2023	Preclinical/IND	2,760 (60)	Cardiovascular diseases
Aspect Biosystems, Novo Nordisk (Novo Holdings)	Development and commercialization deal for bioprinted tissue therapies	April 2023	Platform/discovery	2,675 (75)	Endocrine/metabolic diseases
Proxygen, Merck & Co., Inc.	Development and commercialization deal to develop molecular glue degraders	April 2023	Platform/discovery	2,550	Undisclosed
Quell Therapeutics, AstraZeneca	Research partnership with an option to license T _H cell therapies	June 2023	Platform/discovery	2,085 (85)	Endocrine/metabolic diseases
Belharra Therapeutics, Genentech (Roche)	Development and commercialization deal for small-molecule therapies	January 2023	Platform/discovery	2,080 (80)	Oncology
Orionis Biosciences LLC, Genentech (Roche)	Development and commercialization deal for small-molecule therapies	September 2023	Platform/discovery	2,047 (47)	Oncology
Synaffix, Amgen	Development and commercialization deal with an option to license ADCs	January 2023	Platform/discovery	2,000	Oncology
Bliss Biopharmaceutical (Hangzhou), Eisai Co. (formerly Ajinomoto Pharmaceuticals)	Research partnership with an option to license BB-1701	May 2023	Phase 1	2,000	Oncology
Life Edit Therapeutics (ElevateBio), Novo Nordisk (Novo Holdings)	Development and commercialization deal for gene-editing therapies	May 2023	Platform/discovery	1,920	Cardiovascular diseases
Cullgen, Astellas Pharma	Research partnership with an option to license protein degraders	June 2023	Platform/discovery	1,900 (35)	Oncology
Generation Bio, Moderna	Research partnership with an option to license nucleic-acid therapies	March 2023	Platform/discovery	1,876 (40)	Autoimmune diseases
Immatics, Moderna	Development and commercialization deal for TCR therapies	September 2023	Preclinical/IND	1,820 (120)	Oncology

青枠 ; プラットフォーム技術・探索段階

赤枠 ; 臨床候補物質の非臨床検証段階

ADC, antibody-drug conjugate; AI, artificial intelligence; IND, investigational new drug; TCR, T cell receptor; TPD, target protein degradation. Data retrieved as of October 25 2023. Financials in USD millions based on disclosed figures. Blank financials are n/d or n/a. Sorted by largest total deal value. Source: DealForma.com database

アイデア提案から個別プロジェクト決定・運用までのフロー

ジョイントステアリングコミッティ (JSC)



プログラム提案

IPGによる
個別プロジェクト
採否決定

個別プロジェクト
契約

- 契約条件
- 知財

個別プロジェクト
開始決定

- プロジェクト進捗確認
- 知財の取扱い
- 公表

討議内容

- (1) 本提携を促進させるための課題の抽出・検討
- (2) 前号記載の課題を解決するための提案・検討
- (3) その他必要な事項
- (4) 個別プロジェクトの計画立案
- (5) 個別プロジェクト全体の進捗確認
- (6) その他必要な事項

研究シーズ提案時に含めていただきたい内容案、赤字は必須

(power point 1枚レベルにまずまとめる)

- ❑ コンセプト・アイデア (疾患との関わり) 、コンセプト検証・アイデアのアプローチ概要
- ❑ What's new?
- ❑ 疾患標的名 (必ずしも必須ではないが、標的クラス (酵素・転写因子など) は示したほうが良い)
- ❑ 作用メカニズム (標的名を非開示でも可)
- ❑ 適応疾患 (想定される適応疾患)
- ❑ 検証のキーとなるIn vitro (細胞含む) 活性データもしくは評価系のアイデア、のいずれか
- ❑ 検証のキーとなる動物評価系・疾患モデル等での検証データもしくは評価系のアイデア、のいずれか
- ❑ 動態・安全性試験概要 (良好など、nice to have)
- ❑ 今後の計画 (可能な場合)
- ❑ 特許出願の状況 (出願済みか否か)
- ❑ 競合品・技術に関する情報 (nice to have)
- ❑ ターゲットプロダクトプロファイル・期待するアウトプット (患者にどのような価値をもたらすことを期待しているか)
- ❑ パートナリング・ライセンスに関する希望 (nice to have)

研究シーズ提案時に含めていただきたい内容・情報のテンプレート

- 本記載前に、アイデア提案に係わる科研費申請書などをご準備いただくのが良いかと思えます
- 先生に記載いただいた内容を、産学連携の方と一緒に確認していくのが良いかと思えます（コミュニケーションツールにもなります）

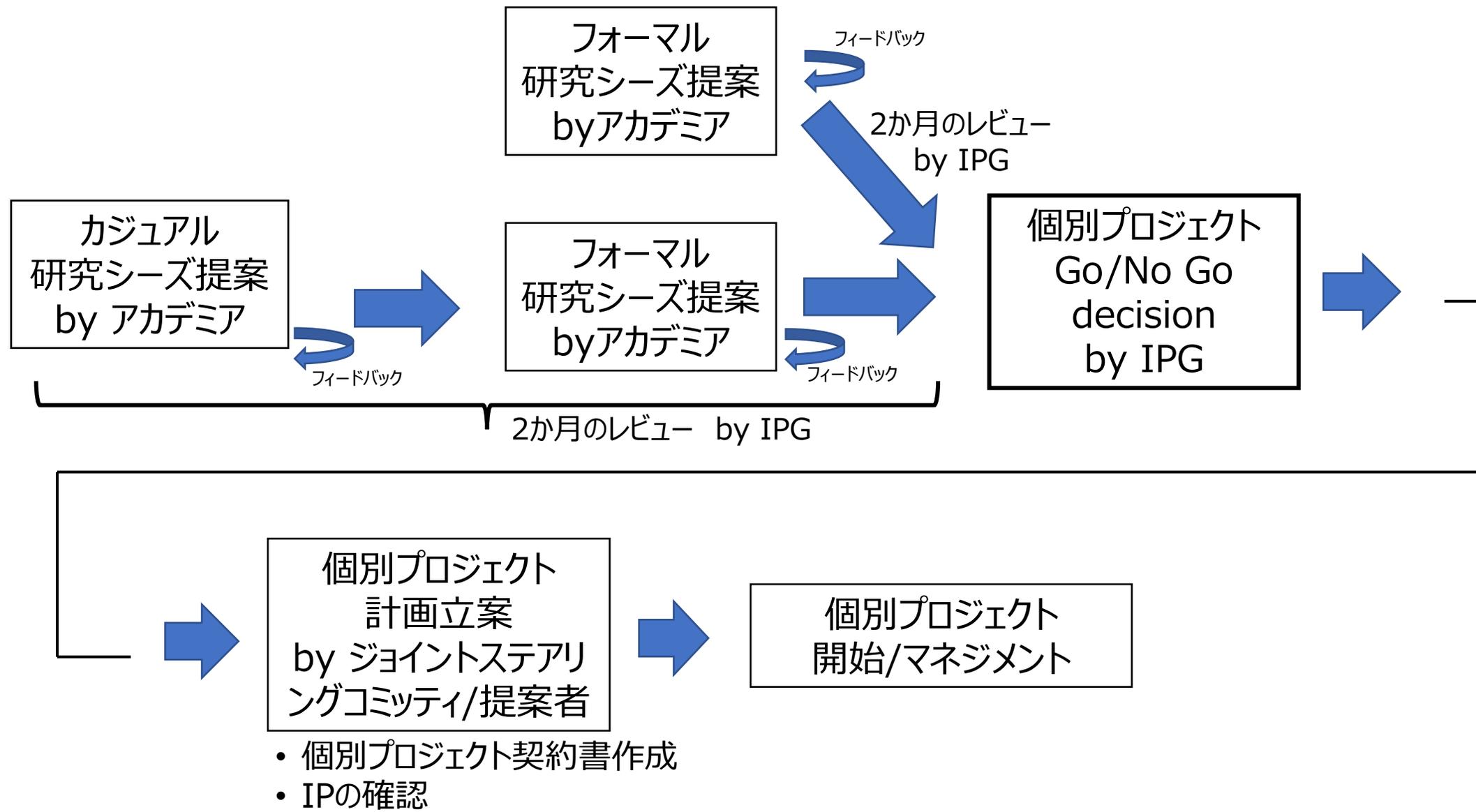
項目	記載項目の有無とサマリ
評価案件タイトル	
コンセプト・アイデア（疾患との関わり）	<ul style="list-style-type: none">• どんな疾患でもOKです• 創薬標的だけでもOK（低分子のタネや抗体取得などは不要）• ヒトの疾患との関わりの記載は必須です
コンセプト検証・アイデアのアプローチ概要	
What's new?	この提案が疾患治療にどのような影響を与えることができるのかを記載してください
作用メカニズム（できるだけ標的名を開示）	
検証のキーとなるIn vitro（細胞含む）活性データもしくは評価系のアイデア	
検証のキーとなる動物評価系・疾患モデル等での検証データもしくは評価系のアイデア	
特許出願の状況（出願済みか否か）	
ターゲットプロダクトプロファイル・期待するアウトプット（患者にどのような価値をもたらすことを期待しているか）	
モダリティ（創薬技術）	どんな創薬技術でもアイデア提案に含めていただいて結構です（記載が無くても結構です）

研究シーズ提案に含めていただきたい内容・情報の事例

<https://www.igakuken.or.jp/topics/2021/0629.html> 記載情報を元に発表者が想像して作成

評価項目	記載項目の有無とサマリ
評価案件タイトル	NGLY1欠損症の治療薬開発を目指したFBS2（もしくはXXX）阻害剤の創製
コンセプト・アイデア（疾患との関わり）	異常糖タンパク質からN結合型糖鎖を切り離すことによりERADの経路によるタンパク質の分解を効率的にしているNGLY1の欠損により細胞質内で異常蓄積したたんぱくによる細胞死、機能異常をrescueする
コンセプト検証・アイデアのアプローチ概要	糖鎖認識ユビキチン付加酵素のひとつであるFBS2（もしくはXXX）が過剰に発現していることでNRF1を異常にユビキチン化し、プロテアソームの活性回復機能を損なうため、FBS2（もしくはXXX）の活性を抑制させることでNGLY1欠損症の治療につながる可能性がある
What's new?	発症のメカニズムがわからず、治療法もなかった重篤な希少遺伝疾患NGLY1欠損症に対し、発症メカニズムの解明により、創薬標的FBS2（もしくはXXX）の機能を阻害することが新薬創出の可能性となることが示された。
作用メカニズム（できるだけ標的名を開示）	NGLY1の欠損により過剰に発現しているNRF1をユビキチン化する役割を持つFBS2（もしくはXXX）の機能を阻害する
検証のキーとなるIn vitro（細胞含む）活性データもしくは評価系のアイデア	<ul style="list-style-type: none">• NGLY1が作れない細胞にFBS2（もしくはXXX）を発現させると、分解シグナルであるユビキチン鎖がついたままの異常な糖タンパク質が細胞中に溜まり、細胞死を起こす• NGLY1がない細胞でFBS2（もしくはXXX）が働くと、分解シグナルであるはずのユビキチン鎖が異常についた糖タンパク質が細胞に溜まってしまい、プロテアソームの機能が落ちる
検証のキーとなる動物評価系・疾患モデル等での検証データもしくは評価系のアイデア	<ul style="list-style-type: none">• 糖タンパク質からN型糖鎖を外す酵素NGLY1の遺伝子破壊マウスは、発生期に異常が生じ生まれてこない。• NGLY1遺伝子と同時に糖鎖を認識してユビキチン鎖を付加するFBS2（もしくはXXX）の遺伝子を破壊した二重変異マウスは、正常に発育する
特許出願の状況（出願済みか否か）	（不明）
ターゲットプロダクトプロファイル・期待するアウトプット（患者にどのような価値をもたらすことを期待しているか）	これまで治療法がなかったNGLY1欠損症の患者に対する治療機会を提供できる
モダリティ	（不明）

先生方からの研究シーズ提案から個別プロジェクト開始までのフロー



ご拝聴いただきましてありがとうございました

研究シーズのご提案をお待ちいたしております