

地域イノベーション・エコシステム形成プログラム IT 創薬技術と化学合成技術の融合による革新的な中分子創薬フローの事業化 中間評価結果

(1) 地域イノベーション・エコシステム形成プログラムの概要

○ 提案機関：

国立大学法人東京工業大学
川崎市

○ 事業プロデューサー：

舛屋 圭一

○ 拠点計画の概要：

東京工業大学の情報・生命理工学等とスパコン技術を活かし、IT 創薬技術、人工ペプチド・人工核酸合成技術等のコア技術の融合による革新的な中分子創薬事業フローを構築する。川崎市内企業等との産学官連携により、基礎・基盤研究と創薬事業を橋渡しするイノベーション・エコシステムを形成することで、中分子創薬の開発効率の大幅な向上を目指す。

○ 事業化プロジェクトの概要：

(PJ1) 「AI スパコンを駆使した中分子向け IT 創薬技術」

AI スパコン TSUBAME3.0 を用いた機械学習による体内持続性の予測と分子動力学法による膜透過性予測の 2 つの技術を基に事業化を目指す。従来の試行錯誤の繰り返しでは到達が困難であった医薬品としての特性（体内持続性・細胞膜透過性）を備えた分子に創薬の上流工程から絞り込んで開発を行うことを可能とするサービスを提供する。

(PJ2) 「生体内安定性や標的結合性の高い創薬向け人工核酸」

AI スパコン TSUBAME3.0 を用いた機械学習によるアンチセンス核酸の毒性と活性の予測技術、及びそれらをもとに設計・合成した核酸ライブラリー技術を基に事業化を目指す。従来の、経験則と試行錯誤に頼った分子設計では実現が不可能であった、高い活性を有しかつ毒性が少ない新規アンチセンス核酸の開発を可能とするサービスを提供する。

(2) 総評（総合評価：S）

中分子創薬という日本が今後世界的にリードし得る分野における IT とバイオを融合させた研究開発において、大きな進歩が見られ、また、事業的にも大きな付加価値が期待できる段階まで来ており、事業化への蓋然性があることから、プロジェクト成功に向けて大いに期待できる。

なお、当然ながら結果が担保されている訳ではなく、事業化に資する技術基盤や事業

基盤はこれから創出されてくるため、今まで以上に組織だったプロジェクト運営をして行くことが重要であり、課題やリスクへの対応含め、引き続き全体的なプロジェクトマネジメントが適切に行われることに期待する。

【事業化（出口）目標】

・ 目標設定の妥当性

PJ1 は、AI スパコンを駆使して精度良く予測する技術によって、「ペプチド医薬品の体内持続性・細胞膜透過性予測を主な事業とする創薬支援ベンチャー企業の設立」を目標としており、ペプチド創薬におけるスクリーニング技術を確立するもので、内容・目標精度はグローバルに先端に行くものである。

PJ2 は、独自の配列設計技術と人工核酸ライブラリーによって、「標的臓器で高い活性を有し毒性の低いアンチセンス核酸を開発する技術と核酸医薬創薬支援技術の事業化」を目標としており、独自性の高い人工核酸の開発をライブラリー構築からスクリーニング等創薬支援技術までカバーして行うものである。

総じて、目標設定は妥当である。

・ 実現した場合の社会的インパクト

PJ1 は、中分子創薬分野そのものの立ち上がりを高精度スクリーニング技術によって加速・効率化するため、分野そのものへのインパクトが大きい。

PJ2 は、これまで治療方法がなかった難病に対する核酸医薬品を開発できる可能性が高まり、大きなインパクトがある。

いずれも中分子医薬品の創薬プロセスに新規のアプローチを提案するものであり、複数の企業が有効活用できる基盤技術にもなる可能性がある。

総じて、実現したときの社会的インパクトは大きい。

【研究開発・事業化計画】

・ 研究開発の進捗状況

PJ1 は、潜在的ユーザー調査により事業化に必要な予測精度の数値目標が設定され、適切な難易度のターゲットに対し、「体内持続予測」・「細胞膜透過性予測」の2つの予測エンジンの開発が適切に進捗している。

PJ2 は、「核酸医薬化合物の ADMET 予測技術」の予測精度と「核酸ライブラリー」拡張の数値目標が設定され、核酸合成、アンチセンス核酸のライブラリー構築、肝毒性回避、予測技術開発において、目標通りの進捗がみられる。

・ 事業化計画・戦略の妥当性

PJ1 は、動向調査を重視し、市場・マーケティング、技術、データ収集、オペレー

ションの4つの分野にわたりリスク項目を抽出しながら、業界構造と進捗を見極めつつ、具体化計画が適切に進捗している。

PJ2は、市場分析、競合技術・代替技術に関する分析を継続して実施しており、市場性、業界動向、特許分析など、一定の進捗がみられる。

【事業プロデュース体制】

・事業プロデューサーのリーダーシップ

事業プロデューサーは、事業化戦略を構想し、実行に必要な資源の収集と提供を行ないながら、事業化ワーキンググループにおいて中心研究者と議論しつつ、出口目標へのプロセスを描いている。

十分なリーダーシップを発揮し、全体を牽引している。

・事業プロデュース体制の構築

事業化促進のため2つの事業化ワーキンググループに正副事業プロデューサーをリーダーとして配置し、密な議論が可能となる体制を構築している。

また、運営・開発会議では、主に発生している課題を洗い出し、議論を行うなど、正副事業プロデューサーと地域キーパーソンが積極的に協力し、運営されており、事業プロデュースチームの体制は妥当である。

【地域イノベーション・エコシステムの形成に向けて】

川崎市の殿町キングスカイフロントを中心としたライフサイエンスのクラスター形成に向けた途上であるが、着実にエコシステムの拠点形成がなされている。

東京工業大学、川崎市産業振興財団及び川崎市は、本事業化の推進と次世代の事業・産業の継続的な創成を目標に、共同して「中分子創薬に関わる次世代産業研究会（IMD²）」を立上げ、関係業界・関連企業との情報交換と中分子創薬に関する啓蒙活動が大いに進んでいる。

プロジェクトの参画機関の役割は明確で、積極的に参画しており、大学・自治体組織としてのコミットも妥当である。

【コア技術・知的財産】

PJ1は、ペプチド創薬のための世界最先端のスクリーニング技術における「体内持続性」と「膜透過性」の課題を解消する予測技術がコア技術であり、更なる優位性を付加することで一定の競争優位性を有する。

PJ2は、「核酸化合物の *in silico* による ADMET 評価技術」と「人工核酸ライブラリー」の2つのコア技術により、標的臓器で高い活性を示し毒性の低いアンチセンス核酸を提供する。これまで治療方法のない様々な疾患の治療薬の開発支援事業と

して、一定の競争優位性を有する。

各PJとも、世界的にトップクラスの競争力がアカデミア分野から実用化分野まで
拡張しつつある。