

東京大学 TR 機構ドラッグ・リダイレクションプログラム設立のお知らせ

1. 発表者：

齊藤 延人（東京大学トランスレーショナル・リサーチ・イニシアティブ（TR 機構）機構長）

2. 発表のポイント：

- ◆ 東京大学 TR 機構は、製薬企業と連携し開発中止化合物を有効活用するプログラムを立ち上げる。
- ◆ 製薬企業から臨床段階で中止された化合物のリストを入手し、その中から本学研究者が選択した化合物の提供を受け（創薬）研究に活用する。
- ◆ 特に稀少疾患を中心とした新薬の開発が加速される事が期待される。また、将来的に学外の研究機関の参加を視野にいており、日本全体の医療イノベーションの進展に貢献できる。

3. 発表概要：

東京大学 TR 機構は、新たなドラッグリポジショニング (DR) のプログラム、『ドラッグ・リダイレクションプログラム』を立ち上げる。

当プログラムは、製薬企業で臨床開発を中止した化合物を東京大学の研究者に提供することで新たな治療薬の開発を促進するプログラムである。

当プログラムは、大学発のプログラムであること、企業で活用されない化合物を生き返らせるプログラムであること、アンメットニーズにいち早く新規医薬品をとどけることが可能であること、が既存の DR と異なるユニークな点である。

企業は自身の研究成果の更なる活用に繋がり、大学も研究者に化合物を提供できる恒常的な仕組みが出来る事から、特に希少疾患を中心として新規医薬品がより早く、より多く開発されることが期待される。また、研究者を東京大学から当プログラムに賛同する他の大学・研究機関に広げる事で、より広範な研究者の参加が可能となり、成果の加速も期待される。

4. 発表内容：

東京大学トランスレーショナル・リサーチ・イニシアティブ（以下「TR 機構」）は、このたび東京大学独自のドラッグ・リダイレクションプログラム（以下「本プログラム」）を創設しました。

(1). 基本的考え方

- 1) 東京大学の研究者は、自身が研究の対象としている疾患の治療法開発に対してさまざまな可能性を模索しています。その中で研究結果から示唆される具体的な作用機序をもつ化合物を使い、研究仮説の検証をすることで新たな治療法・医薬品の開発に繋がりたいというディマンドがあります。一方現実的には、そのような化合物を入手するのは大変困難です。
- 2) 製薬企業には、創薬・開発研究段階で開発プロジェクトを中止した化合物が存在します。それらの化合物は、いままでは殆ど顧みられる事はなく、いずれ廃棄される運命にあります。一方、近年企業内でもこれらの化合物の有効活用を目的とするリパーパスの活動が盛んになってきています。
- 3) 本プログラムは上記大学のディマンドと企業が開発中止の後保有している化合物とを引き合わせる事により、効率的に新薬を開発し医療ニーズを満たす事を目指しています。

さらに、これにより企業のリパーパシングの目的にも資する事になります。特に、2)の化合物のうち臨床研究段階で中断した化合物は、非臨床試験は実施済みであることから、アカデミア創薬を実施するのに（主に資金面で）非常にハードルの高い部分の殆どを省略できるため大学側の負担も軽減され、製品化されるまでの時間が短くて済むことが期待されます。

(2). 本プログラムの骨子

本プログラムは、参加する製薬企業（以下「参加企業」）側の負担を極力少なくすることにより実行可能性を高めることとし、以下の内容を骨子としました。

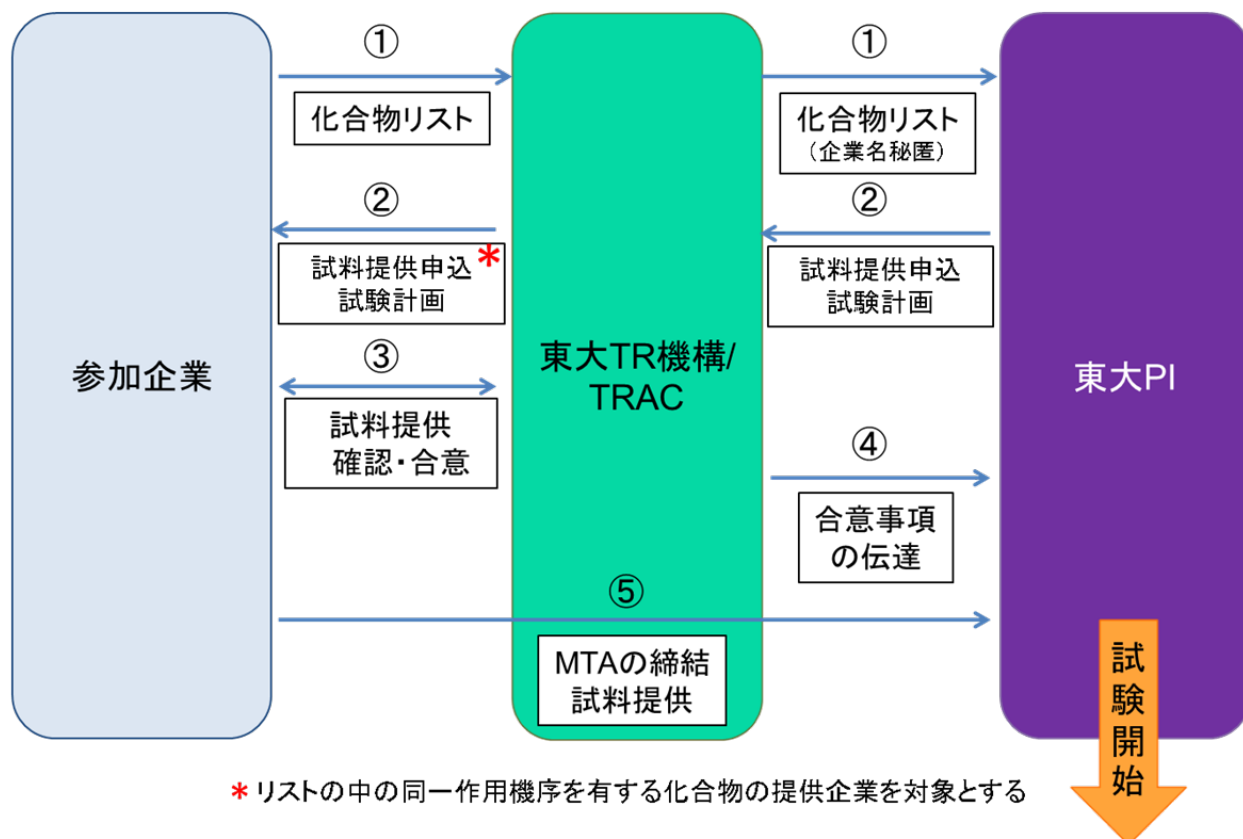
- ① 参加企業には、自社の臨床段階で中断した化合物（以下「試料」）のリストを作成し、TR 機構に提出していただきます。リストに記載する情報は、コード番号、作用機序、目的対象疾患、物理化学的性質 です。
- ② TR 機構は各企業のリストをまとめ、参加企業名を匿名化し、東京大学に所属する本プログラム参加研究者（以下「参加研究者」）に提供します。
- ③ 参加研究者は、自身の研究に使用したい試料がある場合、実施する試験計画と共に TR 機構に使用申請を行います。
- ④ TR 機構は、参加研究者の申請内容を確認後、試料を有する参加企業に当該試料の提供の依頼を行います。その後、当該参加企業と参加研究者間で必要な議論を経て当該参加企業が了承した場合に試料が提供されます。なお、試料は、現状のままを提供されるものとし、提供にあたり追加の製造等はなされないものとします。詳細は試料提供契約締結時に協議することとします。（以上①から④を図1に示す）
- ⑤ 参加研究者は、入手した試料を用いて仮説の検証を行います。この際に得られた知的財産権は参加研究者/東京大学に属することになります。なお、知的財産権が、参加企業の一定の貢献により得られたものである場合には、参加研究者/東京大学と当該参加企業との間で、知的財産権の共同出願やその他知的財産権の取扱いについて協議を行います。
- ⑥ 研究成果は試料を提供した参加企業に提示され、当該参加企業は一定のレビュー期間内に自社での開発の興味の有無やオプション権設定等の希望の有無を東京大学に提示します。
- ⑦ 試料を提供した参加企業が研究成果に何らかの興味を示した場合、当該参加企業と東京大学は個別に共同研究契約や知的財産権のライセンス契約等の協議に入ります。
- ⑧ 試料を提供した参加企業が研究成果に全く興味を示さなかった場合には、東京大学による研究の継続、開発に興味を示す第三者の模索、あるいは、政府系外部 資金調達の取得を目指すこととなります（非臨床試験が終了しているため、政府系外部資金を得る際に有利に働くことが期待される）。この際、試料を提供した参加企業は、自身の持つ当該試料に関する知的財産権（物質特許等）を第三者への許諾する必要がある場合には、当該許諾について誠実に検討することとします。（以上⑤から⑧を図2に示す）

最後に、本プログラムが実現し機能する事が判明した場合、東京大学に留まらず他の大学や研究機関（海外含む）にお声掛けをさせて頂き、本プログラムへの参加をお願いする予定です。こうする事で、本プログラムにて更に広くアカデミア研究者のアイデアを吸い上げられる可能性があります。

現在6社と本プログラムへの参加のための覚書を締結しています。これら6社とは、本プログラムのスキームに沿った契約を各社毎に締結させて頂き、順次本プログラムを開始していく予定です。また、この6社に留まらず、さらに多くの企業に参加を呼びかけている所です。

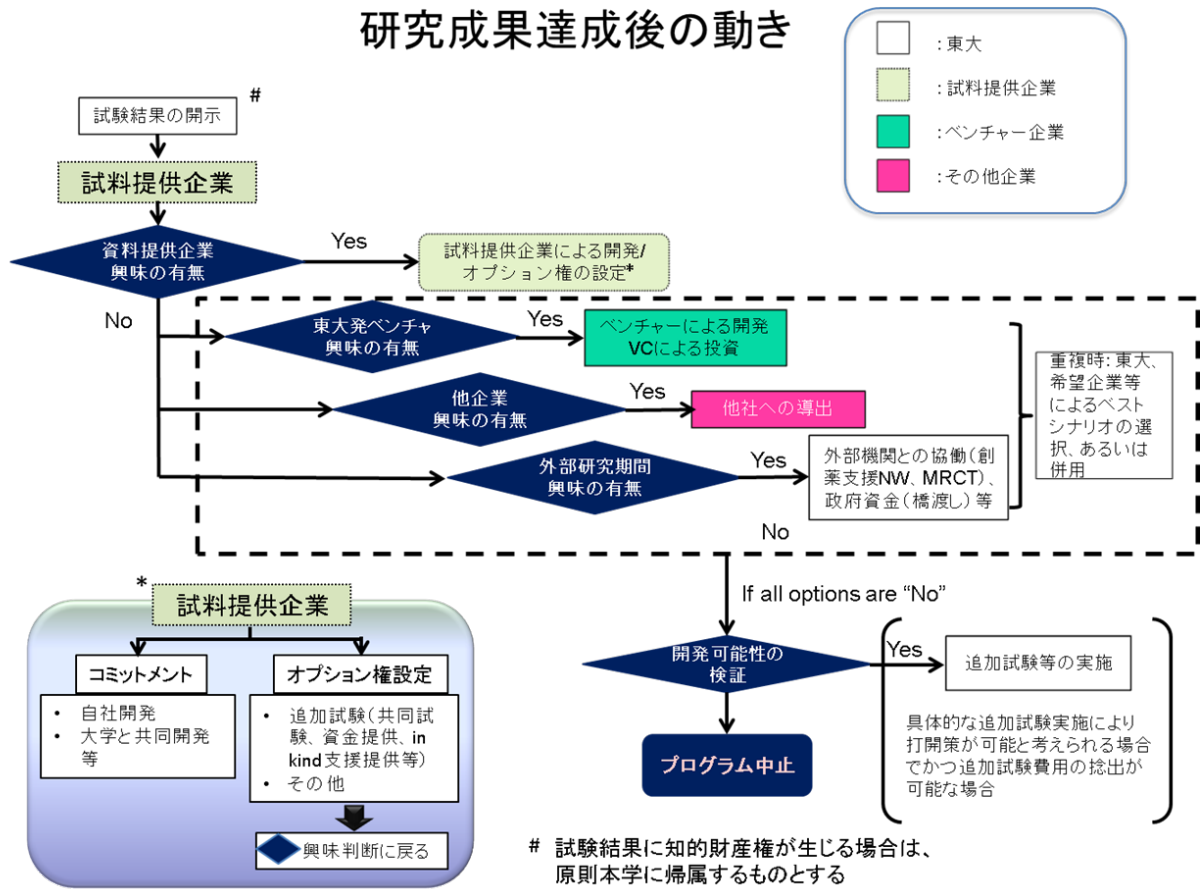
5. 添付資料：

リダイレクションプログラム 試料提供までの動き



(図1) ドラッグ・リダイレクションプログラムにおける試料提供までの動き

ドラッグ・リダイレクションプログラム 研究成果達成後の動き



(図2) ドラッグ・リダイレクションプログラムにおける研究成果達成後の動き