

iPS細胞の創薬研究への応用について

2008年2月26日

武田薬品工業(株) 医薬研究本部 開拓研究所
中西 淳



Takeda Pharmaceutical Company Limited

iPS細胞の産業化－再生医療と創薬支援

iPS細胞は、創薬という観点から新たな治療薬の創出に繋がる可能性のある重要な研究領域と考えられます
本日は製薬メーカーの立場からiPS細胞の創薬研究への応用について説明させていただきます

1. iPS細胞の創薬研究への応用

- ① 創薬プロセスの効率化
- ② 創薬力の底上げ
- ③ 新たなコンセプトによる創薬

2. 産業化を促進するための課題

アカデミアおよび政府に検討いただきたい事項



iPS細胞の創薬研究への応用①

創薬プロセスの効率化

正常ヒトiPS細胞(健康人由来)の利用

1) 創薬スクリーニング

ヒトiPS細胞から分化させた各種ヒト成熟細胞、組織を用いたスクリーニング

2) 毒性評価

ヒトiPS細胞から分化させた心筋細胞、肝細胞などを用いた毒性アッセイ
ヒトiPS細胞を用いた催奇形性試験

(参考): マウスES細胞由来胚様体を用いた催奇形性試験(Embryonic stem cell test; EST)が2002年にECVAM(European Center for the Validation of Alternative Methods)の諮問機関であるESAC(ECVAM Scientific Advisory Committee)によって代替試験法として承認された。

現状ではヒトES細胞の使用は倫理面、制度面でハードルが高い

利点: 品質の均一性、供給の制限なし

現状のiPS細胞作製法(ウイルスベクター)で実用可能

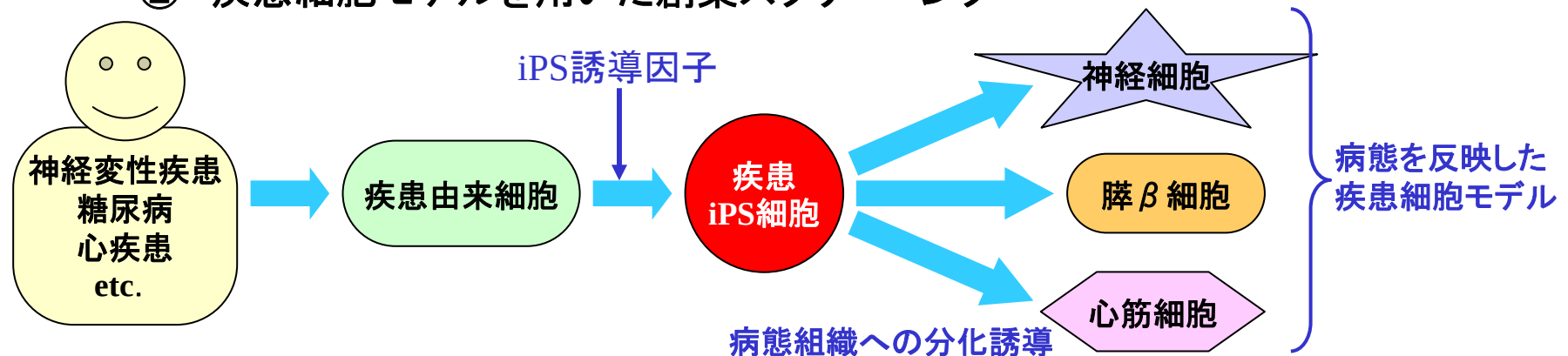


iPS細胞の創薬研究への応用②

創薬力の底上げ

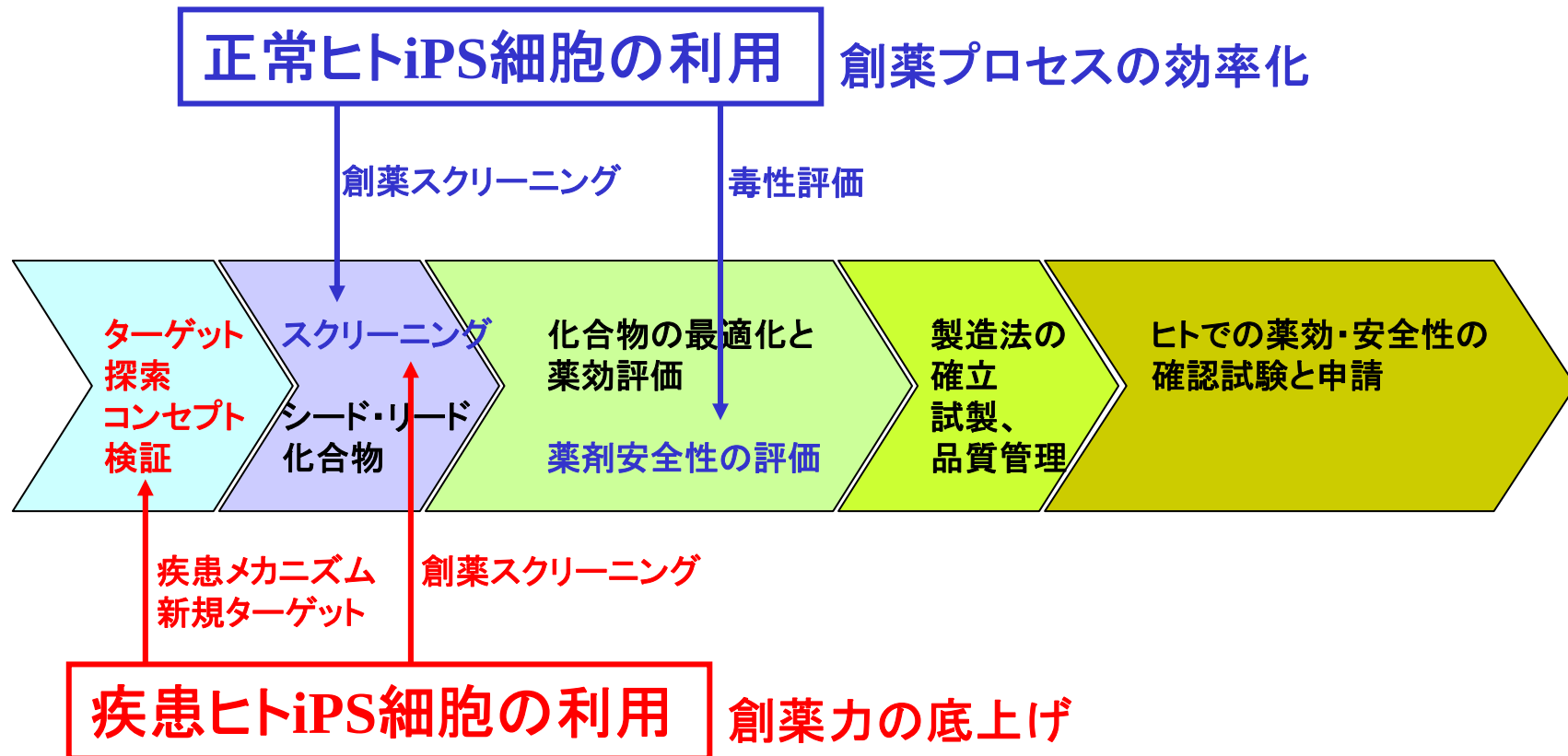
疾患ヒトiPS細胞(患者由来)の利用

- ① 疾患細胞モデルの作製
疾患発症メカニズム、病態の解明
新規創薬ターゲットの発見
- ② 疾患細胞モデルを用いた創薬スクリーニング



疾患細胞モデルの作製はiPS技術を用いて初めて可能になる
発症・進行のメカニズムが不明で有効な薬がない疾患についても創薬の可能性
将来的に創薬研究に多大な貢献をもたらす
アカデミア、臨床施設との連携が必須

医薬品研究開発のプロセスにおける iPS細胞の利用(まとめ)



iPS細胞の創薬研究への応用③

新たなコンセプトによる創薬

低分子再生医薬研究への応用

1. 生体の再生能力を賦活化する薬剤

組織幹細胞活性化薬

分化促進薬(神経、 β 、骨、筋 etc.)

ヒトiPS細胞の分化培養系を利用

2. 再生医療を支援する薬剤(試薬)

再プログラム化促進剤(化合物によるiPS作製)

分化誘導補助剤

製薬企業の強みを生かした研究(化合物ライブラリー)



産業化を促進するための課題

アカデミア及び政府に検討いただきたい事項

1. 民間企業によるiPS細胞利用
 - ◆ 最新のヒトiPS細胞を民間企業にも供給する仕組みの整備
2. アカデミアから民間企業への知財移転
 - ◆ iPS細胞を利用して開発した医薬品候補物質に関する権利の考え方
iPS細胞研究の1次成果との分離
 - ◆ アカデミアが所有している関連知財について、民間企業がうまくアクセスできるような仕組み
3. 研究開発成果の円滑な普及
 - ◆ iPS細胞を用いた毒性評価系の標準化のためのコンソーシアム
 - ◆ iPS疾患細胞モデル作製および病態研究のためのコンソーシアム
4. 制度面の対応
 - ◆ iPS細胞、ES細胞の使用に関する指針
5. アカデミアと産業界の積極的な連携
 - ◆ 上記のような論点を議論できる、アカデミアと産業界の対話の場

スピードが重要



英国の例 : Stem Cells for Safer Medicine (SC4SM)

ヒトES細胞を用いた毒性評価系開発のコンソーシアム

- 幹細胞を使った毒性評価系の開発を行う官民コンソーシアム
- 製薬大手3社が参加
GSK 社(英)、AstraZeneca 社(英)、Roche 社(スイス)が参加
- ヒトES細胞を分化させ、新薬安全性試験に使える安定した体細胞バンクを作る
肝細胞、心筋細胞
- 安全性試験の技術開発は製品そのものの競争力とは直接関係しないためコンソーシアムに参加するメリットが高い
安全性試験の標準化が可能
参加企業は研究成果にいち早くアクセスする権利をもつ

