

希少疾患治療薬創出に向けたアカデミアとの協業
— 進行性骨化性線維異形成症とアルポート症候群の共同研究 —
Research Collaboration with Academia for Orphan Drug
Development in Daiichi Sankyo

高石 巨澄 先生

Kiyosumi Takaishi, Ph.D.

第一三共株式会社 スペシャルティ第一研究所 所長
群馬大学客員教授

**2021年1月22日（金） Friday, January 22nd, 2021
16:00~17:00**

講演（生体調節研究所1階 会議室）およびZoomによる開催
IMCR Gunma Univ.1F Conference Room and Zoom

欧米を中心とした希少疾患治療薬の創出は、バイオベンチャーがそれぞれの専門性が高い疾患に対して、テクノロジーを駆使してリードしてきた。最近では、メガファーマがその成功確率の高さと事業性から、有望な臨床開発パイプラインやテクノロジーを有するバイオベンチャーを積極的に買収している。第一三共では2014年からわずかな薬理研究者のチームにて希少疾患治療薬の研究を開始した。社内研究については当初、第一三共オリジナルの修飾核酸で狙える肝臓の先天代謝異常症や筋ジストロフィーに絞ったものの、オープンイノベーションに関しては標的疾患やモダリティを限定せずに、革新的な治療薬になる可能性によって採用可否の判断を行うことにした。2014年に開始した進行性骨化性線維異形成症（FOP）のアカデミアとの共同研究は、現在AMED医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）のサポートのもと臨床開発試験に向けて推進中である。また、同年から開始したアルポート症候群の共同研究は、令和2年度 AMED「難治性疾患実用化研究事業」希少難治性疾患に対する画期的な医薬品の実用化に関する研究分野医薬品の治験準備に採択された。そして、それまでの成果はNature Communications 11, Article number: 2777 (2020) に掲載された。本セミナーでは、上記二つの共同研究を例にとりて第一三共の希少疾患領域におけるアカデミアとの連携について紹介する予定である。

参加登録方法（生体調節研究所の方は申込不要）：1月20日（木）正午までに所属・氏名・セミナー開催日を明記の上、下記アドレスまでメールでお申し込みください。ZOOMミーティングURLをお知らせします。会議室での聴講希望者はその旨をご記載ください。連絡先：代謝エピジェネティクス分野 稲垣
Registration (Needless for IMCR members): If you are interested in participating from outside of IMCR, please e-mail at inagaki@gunma-u.ac.jp with your name, affiliation and seminar date by noon on Jan. 20th (Please remind us if you prefer to attend at the conference room). The URL of Zoom will be informed. Host: Takeshi Inagaki (8880)