

創薬のフロンティア 2026 講演要旨

【基調講演】

「睡眠の謎に挑む：原理の追求から社会実装研究まで」

柳沢 正史 氏（筑波大学 国際統合睡眠医科学研究機構(WPI-IIIS)・機構長/教授）

人生の約 1/3 を占める睡眠。健やかな睡眠は、美容と健康、生産性を維持するうえで欠かせません。しかし最先端の睡眠学も「なぜ全ての動物が眠るのか？」「そもそも『眠気』の脳内での実体は？」といった根本的かつ身近な疑問に答えることができません。本講演では、根本的な問いに挑む最先端の研究に加え、ウェアラブル脳波計測と AI を用いて実用化した「在宅睡眠測定サービス InSomnograf(インソムノグラフ)」による睡眠の可視化について、そして最新の研究に基づいた究極の睡眠法についても解説します。

【講演】

次世代創薬モダリティとしての標的タンパク質分解 (TPD) : Astellas の戦略と臨床展開

坂田 千夏 氏（アステラス製薬株式会社 オンコロジーリサーチ長 / 博士（薬学）
MBA）

標的タンパク質分解 (Targeted Protein Degradation: TPD) は、ユビキチン・プロテアソーム系を利用して標的タンパク質を選択的に分解する新たな創薬アプローチであり、従来の阻害型では制御が難しかった標的にも介入可能な次世代モダリティとして注目されている。本講演では、TPD の作用機序や三者複合体形成に基づく分子設計の考え方を概説するとともに、現在の研究開発動向を俯瞰する。あわせて、Astellas における TPD 研究の戦略および方向性を紹介し、迅速なリード創出や PK/PD を踏まえた設計最適化などの取り組みについて触れる。さらに、KRAS G12D を標的とした分解薬 ASP3082 の創製から臨床開発に至る進展を例に、TPD の臨床的可能性と今後の課題について議論する。TPD が切り拓く創薬の新たな可能性と将来展望について考察する。

iPS細胞を用いた再生医療—未来への挑戦

池田 篤史 氏（住友ファーマ株式会社 理事 再生・細胞医薬推進室担当、株式会社 RACTHERA 代表取締役社長）

iPS細胞を用いた再生医療が、いよいよ実用化フェーズに到達しつつある。これまで根本的な治療が困難であった疾患に対し、新たな治療選択肢を提供できる可能性が広がり、次世代の医療として大きな期待が寄せられている。一方で、細胞を治療モダリティとして扱うにあたっては、従来の医薬品とは本質的に異なる多くの課題に直面する。すなわち、細胞は“生きた存在”であるがゆえに、その品質には一定のばらつきが生じることは避けられない。また、一般に製造工程が複雑になり、保存・輸送においても特別な管理が求められる。患者への投与に際して外科的手術を伴うことも多く、専用のデバイスが必要となるケースもある。これらの課題を克服し、再生医療を真に社会に根付かせるためには、製薬・医療分野にとどまらない異業種連携を含む総合的な取り組みが不可欠である。本講演では、実際にわれわれが経験してきた事例を踏まえ、再生医療の社会実装における現状と今後の課題について議論したい。

ペプチド模倣低分子の PepMetrics®化合物による、あたらしい創薬の可能性

竹原 大 氏（株式会社 PRISM BioLab 代表取締役）

細胞内のタンパク質間相互作用は、その重要性や疾患との関連性が認識されつつも制御するモダリティがないために Undruggable な標的とされてきました。当社では複数の飽和環状構造からなるリジッドな骨格に、3~5個の側鎖を配置した構造で、これまで低分子では困難とされていたヘリックス構造を模倣する低分子化合物である PepMetrics®技術を開発し、PPIの制御を可能にしました。

細胞内のPPIへの取り組みは創薬のフロンティアであり様々な想定しない課題に直面します。それを乗り越えるためには化学、生物、生物物理、計算科学など多種多様な技術・ノウハウを要し、不確実性の中であたらしい創薬を作り上げる創造力と粘り強さ、チームワークの重要性を感じます。

また、これらの課題を1社のバイオベンチャーだけで解決することは難しく、製薬会社や他のバイオベンチャーとの連携も欠かせません。

あたらしい創薬への取り組みの中で経験したことをお伝えできればと思います。

64Cu-ATSM による“見える”がん放射線治療薬の開発

吉井 幸恵 氏（リンクメッド株式会社 代表取締役社長）

がん治療では多くの新規治療法が開発されている一方、膠芽腫をはじめとする難治がんにおいては、依然として有効な治療選択肢が限られている。リンクメッド株式会社は、診断と治療を同一薬剤で実現する「True Theranostics」の実用化を目指し、銅の放射性同位体である 64Cu を用いた“見える”がん放射線治療薬の開発を進めている。64Cu は、PET 画像化に利用可能な陽電子を放出すると同時に、治療効果が期待される β 線およびオージェ電子を放出する特徴を有する。主力パイプラインである 64Cu-ATSM (LM001) は、腫瘍低酸素環境を標的としてがん細胞に集積するよう設計された薬剤であり、再発膠芽腫等を対象とした国内第 I 相試験において有望な臨床成績が示され、現在、日本で第 III 相試験が進行中である。本講演では、64Cu-ATSM の科学的特徴、臨床開発の進捗、国内製造体制、ならびにグローバル展開に向けた戦略について紹介する。

遺伝子治療からゲノム編集へ：先天性肝疾患の根治を目指した次世代治療戦略

大森 司 氏（自治医科大学医学部生化学講座病態生化学部門 教授、自治医科大学遺伝子治療研究センター センター長、自治医科大学分子病態治療研究センター遺伝子治療研究部 教授（兼任））

遺伝子治療およびゲノム編集技術は、単一遺伝子性疾患の治療を大きく変革しつつある。実際に、AAV ベクターを用いた遺伝子治療は複数の疾患に対して上市され、実臨床で使用されてきている。我々は、血友病や肝難治性先天性疾患に対する AAV ベクター遺伝子治療およびゲノム編集治療の開発を一貫して行っている。最近では、改変第 VIII 因子 (FVIII) を開発し、これを用いた AAV 遺伝子治療が非ヒト霊長類において既存治療の約 1/30 の用量で有効性を示すことを明らかにした。一方、AAV ベクターは新生児において効果が減弱することから、OTC 欠損症などの先天性肝疾患に対してはゲノム編集への期待が高まっている。中でも塩基編集やプライム編集は、一塩基変異を精密に修復可能な手法であり、近年 LNP による一過性送達により臨床応用が現実味を帯びている。実際に我々は、LNP を用いた塩基編集により血友病 B モデルの遺伝子変異を修復し機能回復を確認するとともに、機能増強変異の導入や単一 AAV によるノックイン技術を確立した。これらの成果を基盤として、先天性疾患の治療を目指した研究開発を推進している。本講演では、これらの研究の進展と臨床応用への展望について概説する。