

別紙 1. 今回の投資案件概要

ID: G2025-102

プロジェクト タイトル	単回経口治療薬および予防薬の双方への展開の可能性のある新規作用機序抗マラリア薬の前臨床研究
製品開発 パートナー	1. Medicines for Malaria Venture (MMV) 2. 田辺ファーマ株式会社 3. ジョージア大学
疾患	マラリア
製品	治療薬
開発段階	非臨床試験
投資額	¥ 698,830,300
ステータス	継続
概要	<p>【プロジェクトの目的】 プロジェクトの第一の目的は、月 1 回経口投与による予防薬を標的とした MMV172 の IND 申請のための前臨床開発試験を完了させることである。また、再発性三日熱マラリア(<i>P. vivax</i>)の霊長類モデルにおける MMV172 の有効性も引き続き検討し、MMV172 が SERCAP(Single Encounter Radical Cure and Prophylaxis)の基準を満たすかどうかを判断するために必要な抗休眠体(hypnozoite)活性についての PK/PD の理解を深める。必要であれば、代替化合物を同系統から選択するための指針を獲得する。プロジェクトの第二の目的は、異なる TPP(Target Product Profile)、つまり再発性三日熱マラリアに対する経口治療薬または予防薬のための長時間作用型注射薬のいずれかの後期リード化合物を 1 つ以上、創出することである。これは、先行する MMV172 がクライテリアを満たさない場合のバックアップ化合物にもなり得る。</p> <p>【プロジェクト・デザイン】 創薬化学、生物学、寄生虫学、薬物動態学、毒性学、製剤学、スケールアップ合成などの多様なスキルや経験からなるプロジェクトチームを組織する。MMV は、科学専門家の世界的ネットワークを活用し、プロジェクトの活動を支援するとともに、進捗状況を確認する。Late Lead 化合物 MMV172 を筆頭に、後継の候補化合物プロファイリングと前臨床開発試験を実施し、本化合物が望ましい開発化合物要件を満たし、ヒトへの投与について当局からの承認に必要なデータパッケージを有していることを確認する。後継化合物についても、寄生虫学、薬効有効性、ADME、PK の各試験を実施し、MMV172 の弱点を補完する、あるいは別の TPP を満たす可能性を検討し、Late Lead 化合物として必要なデータパッケージを構築する。</p>
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/258/jp

ID: G2025-211

プロジェクト タイトル	真菌性マイセトーマに対するホスラブコナゾールのグローバル試験と薬事承認：研究成果を患者のもとへ届けるために
----------------	---

製品開発 パートナー	1. Drugs for Neglected Diseases initiatives (DNDi) 2. エーザイ株式会社
疾患	マイセトーマ
製品	治療薬
開発段階	第 III 相臨床試験
投資額	¥331,404,733
ステータス	継続
概要	<p>【プロジェクトの目的】 セネガル、ケニア、インドといった真菌性マイセトーマの広範な蔓延地域において、<i>Madurella mycetomatis</i> 以外の原因菌も含めた臨床エビデンスを取得するための試験を実施し、ホスラブコナゾールの有効性、安全性、薬物動態を評価します。本試験は、スーダンで実施された第 II 相臨床試験の結果を踏まえ、さらなる科学的根拠を構築することを目的としています。 更に、WHO、Swissmedic などの機関との協議を含む包括的な薬事戦略を推進し、WHO 事前認証 (PQ) 取得に向けた準備を進めます。</p> <p>【プロジェクト・デザイン】 本プロジェクトでは、ケニア、セネガル、インドにおいて多国間非盲検型臨床試験を実施し、真菌性マイセトーマ患者を対象にホスラブコナゾール 200 mg における有効性・安全性・薬物動態を評価します。本試験は、WHO との協議結果に基づき「オープンラベル（非盲検比較）」デザインを採用しており、現在使用されているものより優れた特性を有する新しい治療選択肢を、より迅速に患者へ届けることを目指しています。被験者登録に約 12 カ月、その後 12 カ月の治療およびフォローアップを行い、倫理的・科学的基準に準拠した確実なデータを収集します。 薬事面では、Swissmedic の MAGHP (Marketing Authorisation for Global Health Products) を通じた科学的助言を得ることなどを予定しており、WHO PQ チームや流行国の規制当局と緊密に連携し、WHO 推奨および各国での承認取得に向けた戦略を策定します。</p>
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/263/jp

ID: G2022-210

プロジェクト タイトル	抗マラリア薬を指向した Prolyl tRNA 合成酵素阻害薬の開発
製品開発 パートナー	1. Medicines for Malaria Venture (MMV) 2. GlaxoSmithKline Investigacion y Desarrollo, S.L. (GSK) 3. 東京大学
疾患	マラリア
製品	治療薬
開発段階	リード最適化
投資額	¥183,557,100

ステータス	継続
概要	<p>【プロジェクトの目的】 最終的なゴールは、MMV の予防薬 (TCP-4) 又は治療薬 (TCP-1) の基準を満たす前臨床候補化合物を創製することが目的である。 https://www.mmv.org/frontrunner-templates この2年間のプロジェクトは、候補品プロファイリング研究へのエントリーに適した後期リードを同定することを目的としている。詳細については以下に示す。</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 寄生虫力価の上昇 2. ヒト薬物動態の予測値が、治療薬及び予防薬の用量基準を満たすよう改善 3. hERG 阻害を最小限に抑え、許容範囲に到達 4. ヒト ProRS に対する選択性を 1000 倍以上 5. ヒトマラリア感染マウスモデルでの有効性、耐性リスク等を含む寄生虫学的プロファイルの決定。 6. 開発可能性及び安全性リスクの特定及び軽減 <p>【プロジェクト・デザイン】 このプロジェクトでは、医薬化学、分子モデリング、寄生虫学、DMPK 及びファーマコメトリクス、毒性学、製剤化およびスケールアップ化学の専門知識を有するプロジェクトチームのインプットと多様なスキルを活用し、学際的な創薬アプローチを用います。初期リードを出発点とし、MMV、GSK 及び東京大学がもつ最先端の研究開発力により、データに基づいて、リード化合物の薬剤としての特性を合理的かつ体系的に向上させます。リードの分子標的はマラリア原虫の増殖に不可欠な酵素であり、構造情報に基づいたドラッグデザイン (SBDD) のアプローチが適用されません。</p>
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/260/jp

ID: H2025-102

プロジェクト タイトル	第一三共の化合物ライブラリから見出された複数のライフサイクルステージを標的とする新規 PfPFN (プロフィリン) 阻害剤の Hit-to-Lead 研究
製品開発 パートナー	1. Medicines for Malaria Venture (MMV) 2. 第一三共株式会社
疾患	マラリア
製品	治療薬
開発段階	リード化合物探索
投資額	¥ 129,679,263
ステータス	継続
概要	<p>【プロジェクトの目的】 本プロジェクトは、GHIT HTLP/MMV Early Lead Criteria (初期リード化合物基準) を満たす化合物シリーズを開発することを目的としています。これに</p>

	<p>は、in vivo での薬理作用により proof-of-concept を示すこと、ならびに薬物開発に求められる化合物の活性、安定性、薬剤として好ましい特性の最適化が含まれます。</p> <p>【プロジェクト・デザイン】 本プロジェクトでは、化合物のデザイン、合成、および評価のサイクルを繰り返し実行していきます。化合物のデザイン戦略は、代謝に対する安定性の改善、高マラリア活性の維持、物理化学的特性の最適化に焦点を当てています。また、このプロジェクトチームは活性を保ちながら薬物に求められる特性を向上させるために、化合物の中心骨格の変換と重要な部分構造の構造活性相関 (SAR) の探索に取り組みます。</p>
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/261/jp

ID: S2025-111

プロジェクト タイトル	マラリアを標的としたセリンヒドロキシメチルトランスフェラーゼ (SHMT) の阻害
製品開発 パートナー	1. エーザイ株式会社 2. Medicines for Malaria Venture (MMV)
疾患	マラリア
製品	治療薬
開発段階	スクリーニング
投資額	¥26,589,376
ステータス	新規
概要	<p>【プロジェクトの目的】 本プロジェクトの目的は、マラリア原虫の SHMT の活性を選択的に阻害するヒット化合物を見出して検証し、特定することです。</p> <p>【プロジェクト・デザイン】 本プロジェクトでは、TropIQ がエーザイの化合物ライブラリーから、プローブベースの生化学アッセイにより一次スクリーニングを実施します。ヒト SHMT との標的選択性を確認するためにカウンタースクリーニングを行います。 さらに、マラリア原虫 SHMT に対して選択性を示すヒット化合物は、二次アッセイで評価され、活性の検証と用量反応を確認します。 抗原虫アッセイでは、マラリアの複数のライフサイクル段階（無性血中期の複製、ガメトサイト、肝臓ステージ）に対して試験し、細胞毒性も評価します。すべてのアッセイは TropIQ で確立されたプロトコルに従って実施します。 エーザイ、MMV、TropIQ は、トップ化合物をレビューし、構造的に関連するケモタイプのクラスターを評価して、化学シリーズを特定し初期の構造活性相関 (SAR) を確立します。</p>
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/262/jp