

## 別紙 1. 今回の投資案件一覧

ID / ステータス	タイトル	製品開発パートナー	疾患・製品	開発段階	投資額
H2020-101 / 継続	新規抗マラリア薬を指向した Prolyl tRNA 合成酵素阻害薬の開発研究	武田薬品工業株式会社、Medicines for Malaria Venture (MMV)	マラリア治療薬	リード化合物探索	¥54,726,800
S2020-113 / 新規	マラリアに対する化合物探索プログラム	第一三共株式会社、Medicines for Malaria Venture (MMV)	マラリア治療薬	ヒット化合物探索	¥12,201,320
T2020-159 / 新規	先駆的なアンチセンスオリゴヌクレオチドによる長時間作用型マラリア予防薬	エーザイ株式会社、カリフォルニア大学サンディエゴ校	マラリア治療薬	ヒット化合物探索	¥92,297,284
T2020-154 / 新規	シャーガス病の治療のためのクルーズトリパノソーマホスホジエステラーゼの標的検証とAIに基づく阻害剤の同定	エーザイ株式会社、ラ・プラタ国立大学	シャーガス病治療薬	標的探索	¥71,007,750

## 別紙 2. 今回の投資案件概要

## H2020-101

プロジェクト タイトル	新規抗マalaria薬を指向した Prolyl tRNA 合成酵素阻害薬の開発研究
製品開発 パートナー	武田薬品工業株式会社、Medicines for Malaria Venture (MMV)
疾患	マalaria
製品	治療薬
開発段階	リード化合物探索
投資額	¥54,726,800
ステータス	継続案件
概要	<p>マalariaは毎年 2.2 億人以上が感染し、2018 年には感染による死者は推定 40 万 5 千人に達しています(1)。マalariaを撲滅させるには、耐性株対策、原虫感染時、そして形態変化時や肝臓休眠体に有効な新しい薬剤の創製が必要です(2)。プロジェクトチームは現在、マalaria原虫の生活環の中の赤血球期および肝臓休眠期において効果を発揮するプロリル-tRNA 合成酵素(PRS)阻害薬の構造最適化研究に取り組んでいます。このケミカルシリーズは武田薬品工業株式会社(武田薬品)の自社研究パイプラインから提供されたものであり、研究開始段階において、Medicines for Malaria Venture (MMV)が提携するアメリカのカリフォルニア大学サイディエゴ校の Elizabeth Winzeler 教授とオーストラリアのグリフィス大学ドラッグディスカバリー研究所の Vicky Avery 教授らによるスクリーニングを実施し、本化合物群が赤血球期及び肝臓休眠期の抗マalaria原虫作用を示すことを確認しました。</p> <p>このプロジェクトでは、マalaria原虫の PRS の働きを強く阻害する化合物を見出し、2021 年 10 月までに GHIT 及び MMV が設定する予防治療薬としてリード化合物最適化段階に進む条件を満たし、in vivo 病態モデルでの効果を示す化合物を少なくとも 1 つ創製することを目指します。</p> <p>このプロジェクトは、2020 年 9 月に終了する現行のリード化合物創出プログラム (H2018-101) の後継です。新しいフェーズにおいては、プロジェクトチームは、さらなる構造最適化を行います。毒性の指標となる細胞障害性の評価を行い、物理化学的性質、安定性そして薬物代謝指標も検討します。その後、有望な化合物についてげっ歯類における薬物動態試験を実施し、ヒトマalariaの評価モデルにおいて有効性を検証します。そして GHIT 及び MMV が設定する基準を満たすリード化合物群を見出し、次のステップへ進むことを目標とします。</p>
プロジェクト詳細	<a href="https://www.ghitfund.org/investment/porfoliodetail/detail/175/jp">https://www.ghitfund.org/investment/porfoliodetail/detail/175/jp</a>

## S2020-113

プロジェクト タイトル	マalariaに対する化合物探索プログラム
製品開発 パートナー	第一三共株式会社、Medicines for Malaria Venture (MMV)
疾患	マalaria
製品	治療薬
開発段階	ヒット化合物探索
投資額	¥12,201,320
ステータス	新規案件
概要	マalariaに対する化合物探索プログラムです。

プロジェクト詳細

<https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/178/jp>

## T2020-159

プロジェクトタイトル	表現型スクリーニングで得られたヒット化合物からリード化合物への開発
製品開発パートナー	エーザイ株式会社、カリフォルニア大学サンディエゴ校
疾患	マラリア
製品	治療薬
開発段階	ヒット化合物探索
投資額	¥92,297,284
ステータス	新規案件
概要	<p>マラリアは低所得国に壊滅的な負担を与え続けており、抗マラリア薬分野において、肝臓期に作用する効果的な新しい予防薬の開発は優先事項です。アンチセンスオリゴヌクレオチド（ASO）はこのアンメットニーズに合致しており、長時間作用と確立されたコンジュゲーションテクノロジーによる肝細胞への効果的な分布が期待されます。さらに、ASOは、マラリア原虫の必須遺伝子を高い選択性で標的化することを可能にするプラットフォームテクノロジーであり、開発困難とされた創薬標的にアクセスし、初期検証に続く薬剤開発を加速する可能性があります。エーザイは、これらの有用性を強化するための核酸技術開発を行っています。</p> <p>新規の抗マラリア治療戦略として、ASOを長時間作用型のマラリア予防薬として用いることの <i>in vivo</i> での創薬概念の検証を目的とした研究を行います。</p> <p>検証済みのマラリア標的遺伝子について適用可能性を精査し、選択された標的に対するASOを、UCSDおよびEisaiの核酸技術とハイスループット細胞培養アッセイを用いて最適化を行います。最適化されたASOは、<i>in vivo</i> 予防動物モデルで有効性を評価します。</p>
プロジェクト詳細	<a href="https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/172/jp">https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/172/jp</a>

## T2020-154

プロジェクトタイトル	シャーガス病の治療のためのクルーズトリパノゾーマホスホジエステラーゼの標的検証とAIに基づく阻害剤の同定
製品開発パートナー	エーザイ株式会社、ラ・プラタ国立大学
疾患	シャーガス病
製品	治療薬
開発段階	標的探索
投資額	¥71,007,750
ステータス	新規
概要	<p>シャーガス病の新しい治療法の開発が急務です。既存の薬物療法は慢性感染症に対する有効性に欠け、長期のレジメンを必要とし、いくつかの副作用があります。トリパノゾーマのシグナル伝達における不可欠な役割とヒトの対応分子との低い相同性から、ホスホジエステラーゼ（PDE）はシャーガス病の薬物標的として位置づけられています。同定された標的の少なさと新しい作用機序を持つ薬剤の必須性を考慮すると、これらの酵素は、阻害剤の効率的な同定と開発に非常に有用だと考えられます。</p> <p>このプロジェクトは、PDEをシャーガス病に対する薬物標的として検証し、計算化学で強化されたスクリーニングカスケードを使用して、選択的阻害剤を特定することを目的としています。</p>

	<p>リパーパシニングの機会に焦点を当てることにより、臨床試験に迅速に進むことができ、医薬品開発を加速することができます。これらは、エーザイの化合物ライブラリからの新しい化学物質のスクリーニングにより補完することができます。機械学習に基づいたバーチャルスクリーニングで特定された候補阻害剤は、実験的にプロファイリングされ、有望な化合物が動物実験に進みます。</p>
プロジェクト詳細	<a href="https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/171/jp">https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/171/jp</a>

## 別紙 3. これまでの投資実績 (2020年12月8日時点)

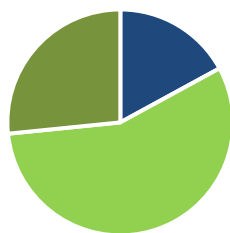
## 1. 累積投資

累積投資額 約 225 億円

累積投資件数 97 件 (内訳：進行案件 53 件、終了案件 44 件)

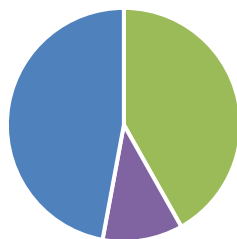
## 2. 累積投資内訳

## 開発段階



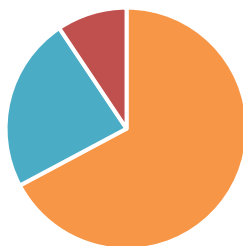
- 探索研究 ¥3,842,411,155 17.1% (56 件)
- 非臨床試験 ¥12,691,106,444 56.3% (28 件)
- 臨床試験 ¥5,990,721,153 26.6% (13 件)

## 疾患



- マラリア ¥9,420,724,074 41.8% (44 件)
- 結核 ¥2,500,809,448 11.1% (18 件)
- 顧みられない熱帯病 ¥10,602,705,230 47.1% (35 件)

## 製品



- 治療薬 ¥15,137,231,067 67.2% (63 件)
- ワクチン ¥5,270,734,063 23.4% (22 件)
- 診断薬 ¥2,116,273,622 9.4% (12 件)

詳しくは、GHIT Fund のウェブサイトをご覧ください。

投資実績：<https://www.ghitfund.org/investment/overview/jp>

ポートフォリオ：<https://www.ghitfund.org/investment/portfolio/jp>

開発状況：<https://www.ghitfund.org/investment/advancingportfolio/jp>

臨床試験：<https://www.ghitfund.org/investment/clinicalcandidates/jp>

**【注意事項】**

1. GHIT Fund では、製品開発案件に対して「助成」することを、「投資」と表現していません。製品開発に対して資金提供だけを行うのではなく、積極的に進捗管理に関与し、成果が見込めないプロジェクトについては直ちに中止するなど、厳格なポートフォリオ・マネジメントを行っています。一般的に用いられる、金銭的利益を目的とした「投資」とは意味合いが異なります。
2. 「継続投資」とは、過去に GHIT Fund から投資を受けている製品開発パートナーが、GHIT Fund から新たな投資を受ける際に用いることを指します。
3. 本プレスリリースの別紙 2 に記載した各プロジェクト概要は、製品開発パートナーが GHIT Fund に提出した資料から該当箇所を抜粋したものです。詳しくは、GHIT Fund のウェブサイトをご覧ください。

**【グローバルヘルス技術振興基金（GHIT Fund）について】**

公益社団法人グローバルヘルス技術振興基金（GHIT Fund）は、日本政府（外務省、厚生労働省）、製薬企業などの民間企業、ビル&メリンダ・ゲイツ財団、ウェルカム、国連開発計画が参画する国際的な官民ファンドです。世界の最貧困層の健康を脅かすマラリア、結核、顧みられない熱帯病（NTDs）などの感染症と闘うための新薬開発への投資、ならびにポートフォリオ・マネジメントを行っています。治療薬、ワクチン、診断薬を開発するために、GHIT Fund は日本の製薬企業、大学、研究機関の製品開発への参画と、海外の機関との連携を促進しています。詳しくは、<https://www.ghitfund.org> をご覧ください。