

マラリア、顧みられない熱帯病（NTDs）などの 治療薬の開発に約 13.7 億円を投資 MMV、GSK、田辺ファーマ、エーザイ、DNDi などへ助成

公益社団法人グローバルヘルス技術振興基金（以下、GHIT Fund）は、マラリア、顧みられない熱帯病（NTDs）の治療薬の製品開発 5 件に合計約 13.7 億円の投資（助成）を決定しました¹。

抗マラリア薬の前臨床研究に約 7 億円の新たな投資

マラリアは世界で年間約 2 億 8 千万人が罹患し、約 61 万人が命を落としている深刻な感染症です。アフリカ地域では全症例の 95%以上が集中しており、そのうち約 75%以上が 5 歳未満の子どもたちです²。特に致死率の高い熱帯熱マラリアと東南アジアおよびアメリカ大陸で流行している三日熱マラリアへの対策は喫緊の課題です。マラリア根絶には、現在のマラリアの治療薬の耐性株に有効な新規の作用機序を持つ新薬が必要であり、急性期の治療や再発の防止に加え、感染を阻止し、予防薬にも使用できる化合物の開発が重要です。

この課題を解決するため、GHIT Fund は、Medicines for Malaria Venture（MMV）、田辺ファーマ株式会社、ジョージア大学が進める月 1 回の経口投与による治療薬および予防薬を標的とした新規作用機序を持つ抗マラリア薬の前臨床研究のプロジェクトに約 7 億円を投資することを決定しました。今回の投資は、GHIT Fund が 2015 年から 2025 年までに合計約 6 億円を投資したプロジェクト³からの継続した投資となります。本プロジェクトを通じて、再発性三日熱マラリアに対する有効性も含め、3 か月以上の予防効果を可能とする長時間持続型の注射剤の創製の可能性も期待されています。

ケニア、セネガル、インドでの真菌性マイセトーマの臨床試験、薬事承認に約 3.3 億円の投資

真菌性マイセトーマは、ゆっくりと進行しながら組織を破壊する深刻な感染症で、身体の障がいや手足の切断、さらには収入の喪失、社会的偏見につながる可能性のある「顧みられない熱帯病」の一つです。アフリカ、アジア、そしてラテンアメリカの医療資源が限られた地方の農村を中心に発生しており、特に南緯 15 度から北緯 30 度に広がる「マイセトーマベルト」で多く報告されています。正確な患者数は十分に把握されていないものの、世界では 10 万人以上がこの疾患とともに生活し、毎年数千人が新たに罹患していると推定されています。しかし、現在利用可能な治療選択肢は限られ、副作用から服薬の継続が難しいといった課題も抱えています。GHIT Fund は 2017 年からエーザイ株式会社と DNDi のマイセトーマの治療薬開発を支援しています。この支援は、スーダンで実施された第 II 相無作為化臨床試験から始まり、2023 年以降は、スーダンにおける同試験結果に基づくホスラブコナゾールの承認取得、ならびに真菌性マイセトーマ患者を対象としたホスラブコナゾールの早期治療アクセスを提供するコホート試験へと拡大しています。私たちの知る限り、GHIT Fund の支援によりスーダンで実施された臨床試験が、マイセトーマ患者を対象に治療薬の有効性を無作為化

比較試験で検証した初めての例でした。今回はこれまでに得られた臨床試験結果を基盤として、ケニア、セネガル、インドでの非盲検型臨床試験と WHO の推奨取得および薬事承認に向けたプロジェクトに約 3.3 億円の投資を決定しました。今回の臨床試験により、これまでの課題であった症例数の少なさ、単一国での実施、病原体の多様性不足が解消されます。

その他にも、以下の 3 つの研究開発プロジェクトに合計約 3.4 億円の投資を決定しました。

- (1) Medicines for Malaria Venture (MMV) 、GlaxoSmithKline Investigacion y Desarrollo, S.L. (GSK) および東京大学による Prolyl tRNA 合成酵素を阻害する抗マラリア治療薬の開発プロジェクト
- (2) Medicines for Malaria Venture (MMV) および第一三共株式会社による PfPR (プロフィリン) を阻害する抗マラリア治療薬のヒット・トゥ・リード研究プロジェクト
- (3) エーザイ株式会社および Medicines for Malaria Venture (MMV) によるセリンヒドロキシメチルトランスフェラーゼ (SHMT) を阻害する抗マラリア治療薬のスクリーニングプロジェクト

各プロジェクトの概要や開発段階など、詳しくは別紙 1 をご覧ください。

2026 年 3 月 31 日時点で 42 件のプロジェクトが進行しており、その内訳は 20 件の標的・探索研究、13 件の非臨床試験、9 件の臨床試験⁴となります。GHIT Fund のこれまでの累積投資金額は約 439 億円となります (別紙 2)。

注記

¹ これらの案件は、2022 年 10 月～2025 年 6 月にかけて実施した公募 RFP2023-001、RFP2025-001 および RFP2025-002 (標的的研究プログラム、スクリーニング、ヒット・トゥ・リードプログラム、製品開発プログラム) の中から選定され、承認されたものです。

² WHO (世界保健機関) <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/malaria> 参照

³ プロジェクト詳細: G2023-104 <https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/211/jp/>

G2018-202: <https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/136/jp>

H2016-101: <https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/93/jp>

S2014-212: <https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/56/jp>

⁴ 薬事申請の段階にある案件を含みます。診断薬開発において、途上国における患者サンプルを使用した臨床的妥当性の評価を行う段階に入った案件については、表現の便宜上、臨床試験として扱っています。

【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、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パートナーシップです。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/jp> をご覧ください。

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】</p> <p>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。</p> <p>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】</p> <p>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。</p> <p>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す。</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。</p> <p>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。</p> <p>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

別紙 2. これまでの投資実績（2026年3月31日時点）

累積投資額 約 439 億円

累積投資件数 146 件（内訳：進行案件 42 件、終了案件 104 件）

詳しくは、GHIT Fund のウェブサイトを御覧ください。

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」と表現しています。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 1 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 のウェブサイトを御覧ください。