

GHIT Fund

ANNUAL REPORT

2020

CONTENTS

Message from CEO and Chair コロナ禍におけるレジリエンスとパートナーシップ	03
GHIT Fund Portfolio ポートフォリオ	05
SILVAMP™ TBLAM & Pediatric PZQ SILVAMP™ TBLAM/小児用プラジカンテル ····································	07
Clinical Candidates 第I相試験~第Ⅱ相試験	09
Invested Partnerships in FY 2020 探索研究・非臨床試験への投資	13
Strategic Plan FY 2018-2022 ストラテジックプランの進捗	17
Highlights in FY 2020 2020年度活動ハイライト	19
Prof. Kita stepping down from SC 北潔教授 GHIT Fund選考委員を退任	21
"Together" is all about GHIT's culture and future	23
Finances 2020年度決算書概要	25
Leadership リーダーシップ	27
Acknowledgment 謝辞	20





Message from CEO and Chair

コロナ禍における レジリエンスとパートナーシップ

新型コロナウイルス感染症(COVID-19)は、感染症の脅威に対するイノベーションの重要性とその価値の重みを改めて世界に突きつけました。前例のないパンデミックにも関わらず、COVID-19に対する製品開発は驚異的なスピードで進みました。これは、ステークホルダーが危機感を共有し、十分な資源を迅速に投じることができれば、感染症のためのイノベーションを加速し、スケールアップが可能であることを示しました。GHIT Fundは、顧みられない病気の製品開発において、同様の可能性を最大限に引き出すことに注力しています。2020年度のコロナ禍において、私たちの製品開発パートナーは、驚くべきほどのレジリエンスと創造性を発揮してくれました。また、GHIT Fundの職員も新たなリモートワーク環境下での協働のあり方を再考し、事業や仕事の効率化に取り組んできました。彼・彼女らの揺るぎない熱意と献身を誇りに思います。

このコロナ禍でさらに脆弱な立場に置かれた顧みられない 患者のためのイノベーションを強化することが私たちの責務 であると考えています。顧みられない病気との戦いにおいても、 希望、創造性、連携を生み出し続けようという私たちの思い に、パートナーやステークホルダーの皆様が共感してくだ さっていることに心から感謝申し上げます。

顧みられない病気の製品開発を止めない

マラリア、結核、顧みられない熱帯病(NTDs)の製品開発は、今もなお私たちとパートナーにとって最優先事項です。コロナ禍に見舞われた2020年度は、私たちの活動の大半がオンラインに切り替わりましたが、GHIT Fundは事業を一切止めることなく、仕事の進め方にも工夫を凝らしました。例えば、従来日本で行っていた選考委員会もオンラインでの開催となりましたが、世界各地から出席する製品開発の申請者や選考委員の異なる時間帯(タイムゾーン)を細かく調整し、遠隔での面談を実現させ、滞りなく投資案件候補を選定することができました。さらに、コロナ禍においても、申請書の外部評価を行う外部審査員にも、継続して協力を頂くことが

できました。このように、GHIT Fundがコロナ禍においても 投資することができたのは、多くの方々の強いコミットメントと 寛大な支援を得られているからに他なりません。

2020年度、GHIT Fundは22件の革新的なプロジェクトに 対して約41.6億円を投資し、これまでの累積投資件数、総額 は101件、約251億円となりました。本年度は、特に低中所 得国などの医療資源が限られた現場でも使用可能な診断 キットの開発等を中心に、ポートフォリオを拡充することができ ました。コロナ禍で困難な中にあっても、新たに15団体が 新たに顧みられない病気の製品開発に加わってくれたことを 大変嬉しく思います。2021年3月時点のポートフォリオとして、 23件の探索研究、22件の非臨床試験、7件の臨床試験及 びフィールドスタディが進行中です(P.5-6)。最も臨床後期 段階にある、結核迅速診断キットSILVAMP™ TBLAM や、住血吸虫症小児用製剤プラジカンテルなどは、世界保健 機関(WHO)からの推奨取得や規制当局からの承認取得 に向けて着実に準備を進めています。また、これらの案件は、 患者や医療従事者が確実に製品を利用することができる ように、製品開発パートナーとともにアクセスや供給戦略に ついて継続的な議論を重ねています(P.7-8)。

GHIT FundはCOVID-19に対して直接的な投資を行っていませんが、先述のSILVAMP™ TBLAMに用いられている銀増幅イムノクロマト法のプラットフォーム技術を応用し、富士フイルムはSARS-CoV-2診断用の抗原検査キットを開発しました。私たちが投資したイノベーションが、GHIT Fundの投資対象外の他の感染症にも応用されうることを示す注目すべき事例で、特筆すべきことです。平時から革新的な技術や科学振興に投資することの重要性や、将来起こりうる感染症の脅威に対する準備に繋がる可能性を示しています。

アクセスと供給戦略

日本政府(外務省)、国連開発計画(UNDP)主導のアクセス・デリバリー・パートナーシップ(ADP)、GHIT Fundによる



パートナーシップであるUniting Efforts for Innovation, Access & Delivery (Uniting Efforts)は、本年度2つのレポートを公表しました(P.19-20)。1つ目は「顧みられない病気のための医療技術に関するアクセスと供給:資金・財務に関する現状と機会」で、マラリア、結核、NTDsのための製品を患者に届けるために必要な資金に関する既存の戦略、投資を強化する機会、投資効率を向上させるための施策等をまとめています。2つ目は「顧みられない病気のための国家投資事例(インベストメントケース)策定のためのガイダンス」で、低中所得国の政府に対して、顧みられない病気のための製品に関するアクセスと供給の向上を目的とした投資事例策定に関する助言や、国家プログラム実施に際しての様々な支援について言及しています。

ストラテジックプラン2.0の進捗、3.0に向けて

GHIT Fundの第2期(2018~2022年度)の3年目にあたる本年度は、パンデミックの影響を受けながらも、第二期における戦略目標であるストラテジックプラン2.0の達成に向けて、GHIT Fundと製品開発パートナーは着実に歩みを重ねています。(P.17-18)。こうした取り組みはGHIT Fundの第3期(2023~2027年度)を見据え、ポートフォリオをさらに拡充する上で重要な基盤となります。

北潔教授、GHIT Fund選考委員退任

本年度は、北潔教授のGHIT Fund選考委員としての最後の年になりました。北教授は、GHIT Fundの設立から7年間にわたり初代選考委員長として、類まれな専門性とリーダーシップで、GHIT Fundのプロポーザルの評価および投資案

件の推薦プロセスを牽引して下さいました。このたび、北教授の選考委員退任に際して、GHIT Fundの職員と座談会を行い、北教授のGHIT Fundとの歩みやグローバルヘルスへの情熱についてお話頂きましたので、ぜひご一読ください。(P.21-22)

感謝を胸に、前に進む

コロナ禍の中で、私たちはこれまで以上に創造的で柔軟に、知識、経験、ネットワークを最大限に活用して製品開発を前に進め、事業の継続性を確保することに注力してきました。こうしたGHIT Fundの活動を支援して下さるステークホルダーの皆様のパートナーシップと連帯に心からの敬意を表します。私たちが共有するビジョンに向かって、GHIT Fundはより厳しく、強力に、そして思いやりの心を忘れずに、#Togetherの精神を胸に今後も邁進していきます。

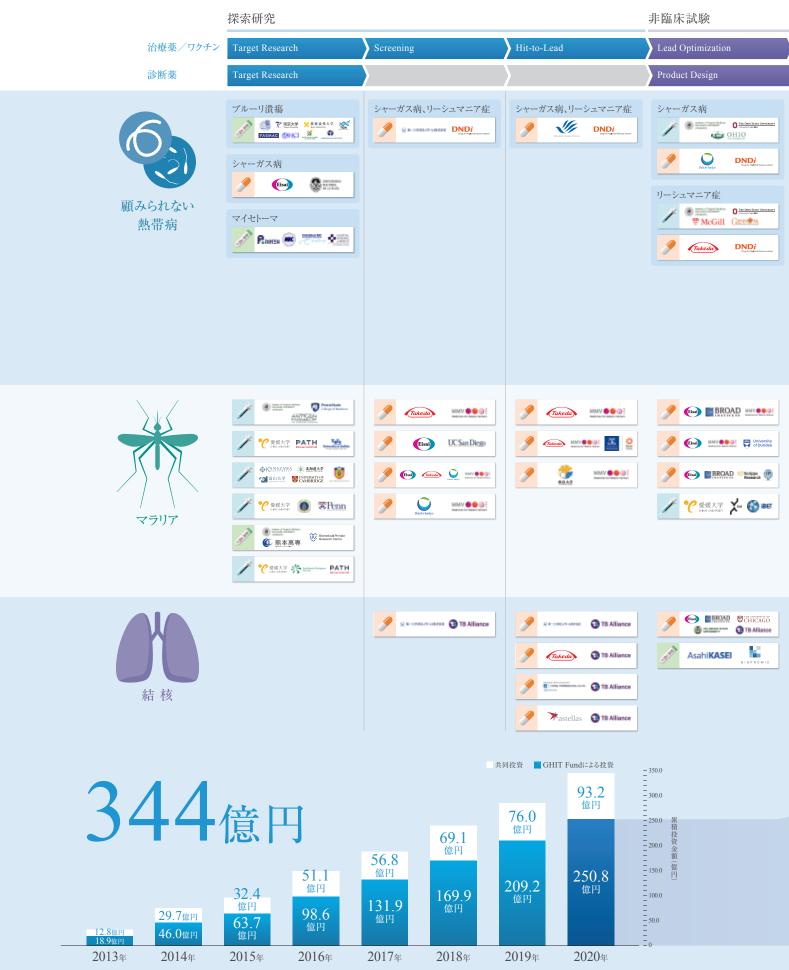






中后 比呂樹 中谷 比呂樹 会長:代表理事

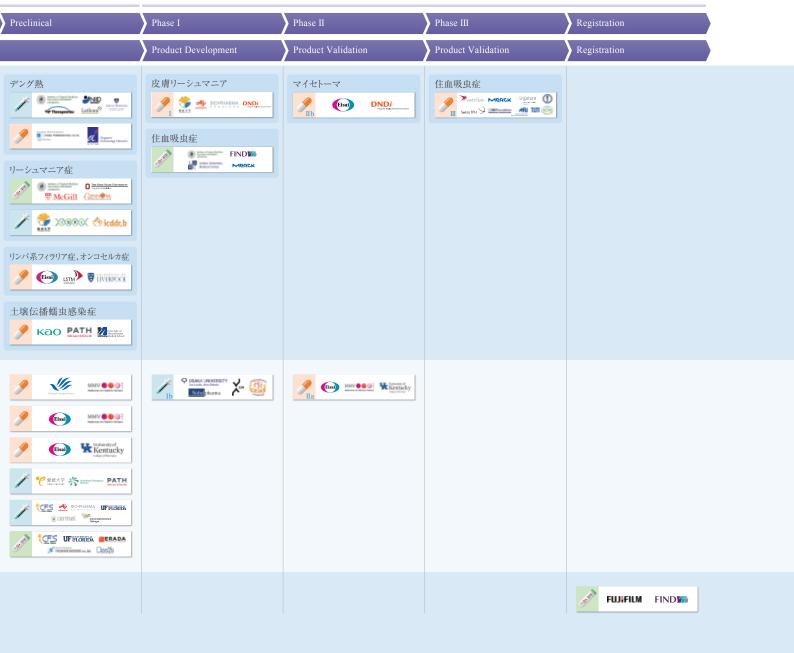
GHIT Fund Portfolio ポートフォリオ



各プロジェクトの詳細については、GHIT Fundのウェブサイト・ポートフォリオのページをご覧ください。 https://www.ghitfund.org/investment/portfolio



臨床試験





SILVAMPTM

TBLAM •





HIV陽性患者の尿を用いた 高感度の結核迅速診断キット 疾患:結核 製品:診断薬 開発段階:フィールドバリデーション

FUJ!FILM

実施国:南アフリカ、マラウイ、ザンビア、タンザニア、ウガンダ、 ベトナム、タイ



COVID-19の影響で一時的にプロジェクト 中断に見舞われましたが、現在は、南アフ リカ、マラウイ、ザンビア、タンザニア、ウガ ンダ、ベトナム、タイで、TBLAMの性能評 価を行うフィールドバリデーション・プロス ペクティブスタディ(フィールド評価・前向き 研究)を実施しています。さらに他のパート ナーである国境なき医師団、マギル大学、 KNCVによる追加試験や、富士フイルム が主導する複数の独立した研究が並行 して行われており、より多くのデータ取得を

見込んでいます。今回の前向き研究は、TBLAMの感度と 特異度に関するエビデンスと、実地での安定性と使いやす さに関するデータを蓄積する上で必要不可欠です。これら の研究は2021年第3四半期までに完了し、WHOガイド ライン策定グループ(GDG)によるレビューを経て、2022年 初頭の製品ローンチを目標としています。WHO GDGから の推奨取得は、今後WHOや各国の結核診断ガイドライン に当該技術を盛り込み、TBLAMの調達を促進する上で 重要なステップとなります。さらに、後ろ向き研究による中間 解析では、TBLAMは現在市販されている他のLAMテスト に比べて約2倍の感度を有することが示されています。さら なる検証が必要ですが、CD4値が高いHIV陽性者や一部 のHIV陰性者においても有望な結果が得られており、結核 のポイント・オブ・ケアによる診断に革新をもたらす可能性 があります。

COVID-19によって、今後結核患者数増加が予想される 中で、TBLAMの迅速な普及拡大が急務になっています。 富士フイルムとFINDは、GHIT Fundの支援を受けて、 薬事、製造、調達、供給までを網羅した包括的なアクセス・ 供給戦略の策定に着手しています。すでに富士フイルムは ベトナムでの製造工場建設や技術移転に投資しており、大量 生産とコスト削減に取り組んでいます。

結核は毎年1.000万人が感染し、150万人近くが死亡し ます。COVID-19パンデミックにより、結核高蔓延国で3ヶ月 間にわたり事業・プログラムが中断され、今後5年間でさらに 130万人の新規患者と死亡者数の増加が予測されています。 毎年1,000万人と推定される結核患者のうち、不十分な 診断などによって約300万人(30%)が見逃されています。 現在の診断法は喀痰によるもので、時間を要し、訓練を受け た検査技師による検査が必要です。しかし、小児や重度の HIV感染者など一部の患者では喀痰の採取が必ずしも 容易ではなく、肺外結核の症例の場合は喀痰による検査 自体が不適切な場合があります。現在、低中所得国の遠隔 地や医療資源の限られた場所で使用できるポイント・オブ・ ケア(POC)で、信頼性の高い正確な結核迅速診断検査 (RDT)はありません。唯一利用可能なRDTは感度が35% しかないため、HIV陽性者、重症者、CD4細胞数(CD4値) が低い患者など、検査の恩恵を受ける可能性のある特定の 患者のみに使用されます。富士フイルムとFINDは、富士 フイルム独自の銀増幅技術を用いて、尿中のリポアラビノ マンナン(LAM)を検出することで、HIV陽性患者を対象とし た高感度・高特異度の迅速診断キットSILVAMPTM TBLAM を開発しました。LAMは、結核菌の細胞壁に存在する糖脂 質で、播種性結核患者、特に重度の免疫不全状態にある 患者の尿中に検出されます。

小児用プラジカンテル・

小さくて、苦味が少なく、水なしでも服用できる、 住血吸虫症小児用製剤

顧みられない熱帯病の一つである住血吸虫症は、全世界で

年間2億人以上が罹患し、そのうち2800万人が子どもです。 住血吸虫症は主にサハラ砂漠以南のアフリカで流行しており、 公衆衛生上の健康負荷、経済的な影響が大きい寄生虫病 の一つです。現在、標準治療薬として使用されるプラジカン テルは、体の小さい子ども、特に6歳以下の子ども(就学前 児童)には錠剤のサイズが大きすぎるため、医療従事者や 介護者は錠剤を砕いて投与するしかありません。しかし、 この方法は集団投薬プログラム(MDA)の状況下においては 必ずしも現実的ではありません。また、錠剤を砕くと薬の苦味 によって、就学前児童には服用が難しくなります。このように、 就学前児童に適した製剤がないため、この年齢の子どもは 公衆衛生プログラムの中で治療を受けることができません。

こうした課題を解決するため、小児用プラジカンテル・コンソーシアムは、6歳までの就学前児童に適したプラジカンテルの開発を行っています。アステラス製薬の製剤技術を用いて新たに開発された錠剤は、従来の四分の一の大きさで、苦味が軽減されており、水をほとんど必要とせずに口の中で溶ける口腔内崩壊錠です。同コンソーシアムは、現在ケニアとコートジボワールにおいて、開発された小児用製剤の安全性と有効性を評価する第Ⅲ相試験を実施しています。

COVID-19パンデミック発生当初は、臨床試験にも影響が及び、進捗に数カ月の遅れが生じ、ジンバブエで実施されていた予備試験は中止を余儀なくされました。しかし、こうした困難にも関わらず臨床試験はその後再開され、2021年第3四半期には終了を予定しています。そして、欧州医薬品庁EMAによる評価(第58条)を経て、2023年末までにWHOによる推奨を取得する見込みです。

同コンソーシアムは2021年1月に実施研究





farmanguinhos









疾 患:住血吸虫症 / 製 品:小児用製剤

開発段階: 第Ⅲ相試験、薬事申請、アクセス / 実施国:コートジボワール、ケニア

「ADOPTプログラム」を立ち上げ、今後アフリカにおける投薬 プログラムのあり方を複数の方法で検証します。具体的には、 社会動員(ソーシャルモビライゼーション)や現地住民による 小児用製剤の受け入れ、公平な医薬品アクセスを確保する ための最適なアプローチの特定などを行う予定です。この プログラムに対して、GHIT Fundと欧州・途上国臨床試験 パートナーシップ(EDCTP)は共同投資により、GHIT Fund が2年間で約2.6億円(約210万ユーロ)、EDCTPが5年間 で約7.2億円(約570万ユーロ)、合計で約9.8億円(780万 ユーロ)の新たな共同投資を行うことを発表しました。2021年 には現地住民による受け入れや就学前児童に対する投薬 の実践に関する分析・評価が行われる予定です。こうした 取り組みは、WHOと各国の住血吸虫症対策ガイドラインの 策定に重要な知見を提供するとともに、蔓延国における 新たな小児用製剤の薬事承認とアクセス・供給のスケール アップの準備段階として位置づけられています。

小児用プラジカンテルのアクセス・供給戦略に関して、GHIT Fundは同コンソーシアムともに検討を重ね、大きな進捗が得られています。現在、小児用プラジカンテルの製造販売権を持つMerck KGaA社(ドイツ)は、アフリカにおける製造業者と、持続的な調達・供給システムを確保するための技術移転について協議を進めています。



Clinical Candidates

第Ⅰ相試験~第Ⅱ相試験

SJ733



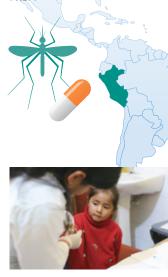




疾患:マラリア 製品:治療薬

開発段階:第Ⅱa相試験

実施国:ペルー



SJ733は、合併症のないマラリアの治療基準を満たすマラリア原虫PfATP4阻害剤です。第I相試験では、優れた安全性プロファイルと忍容性、良好な経口投与可能性、中程度のクリアランスが示されました。プロジェクトチームは、P.vivaxまたはP.falciparumによる血期マラリア単感染の成人患者を対象に、SJ733の抗マラリア効果、安全性、忍容性を検証するため、ペルーにおいて、アダプティブ・オープンラベルによる第IIa相試験を開始しました。SJ733は1日1回、3日間連続して経口投与され、薬効強化剤であるコビシスタットの投与(または未投与)も行われます。COVID-19パンデミックの影響により患者登録開始が遅れましたが、2021年3月に正式に開始され、すでに3名の患者の登録および投薬が完了しました。コホートは3グループに分かれ、P.falciparum(a)とP.vivax(b)の2つの治療群があり、最大で60名の患者を登録する予定です。コホートの進行は、各治療群で独立して管理されます。中間解析では、治療群のデータが成功基準を満たしているか、さらなる評価が必要か、あるいは失敗基準を満たすか等を判断します。抗マラリア薬の有効性は、42日間の投与で検証します。本試験ではSJ733の安全性と薬物動態も明らかにすることで、より大規模な第IIb相試験で検討すべき有効かつ忍容性の高い用量を特定します。

BK-SE36/CpG & NPC-SE36/CpG









製品:ワクチン 開発段階:第Ib相試験

疾患:マラリア





SE36は、主に流行地域の幼い子どもを対象に原虫血症/臨床症状を軽減させる赤血球期マラリアワクチンの候補として、マラリアによる罹患率と死亡率を減らす効果が期待されています。マラリア原虫生活環の各段階はいずれもワクチンの標的となり得ますが、赤血球期は病気を発症し、重症化を引き起こすものであるため公衆衛生的な重要性があります。SE36組換えタンパク質と水酸化アルミニウムゲルを混合したBK-SE36ワクチンの開発初期段階の臨床試験において、副反応は許容される程度であり、予期しない安全性上の問題は認められず、免疫原性が認められました。また、ワクチン群ではマラリア感染によるマラリア発症のリスクが低く、ワクチンレスポンダーではマラリア感染回数が減少していること、マラリア発症のリスク低減が実証されました。さらに、CpG-ODN(K3)アジュバントを製剤に追加することにより、日本人の成人でより強力な免疫応答を示しました。また、成人から1歳児を対象としたBK-SE36/CpGの安全性と免疫原性を検証するブルキナファソでの第Ib相試験では、最後の被験者の最終来院が完了しました。中間解析の時点において、安全性に関する予期せぬ問題は生じていません。今後、SE36及びCpGの新ロット(NPC-SE36/CpGと改称)を概念実証試験向けに製造し、GMPロットが臨床試験および輸入に適合しているかを確認します。また、第IIb相試験の実施施設の選定および臨床試験のデザインを検討しています。

CpG-D35







疾患:皮膚リーシュマニア 製品:治療薬 開発段階:第I相試験 実施国:英国、トルコ





皮膚リーシュマニア症(CL)は、深刻な顧みられない熱帯病です。WHOによれば、CLは 87ヵ国で蔓延し、主に途上国の貧困層に感染が見られ、毎年60万から120万人の新規 患者がいると推計されています。命に関わる疾患ではありませんが、醜い瘢痕により、社会 的偏見や経済的不利益を招きます。現在、CLのいずれの病型においても満足のいく治療 法はありません。CpG-D35はCLの併用療法として開発され、形質細胞様樹状細胞で 発現されるToll様受容体9を刺激し、自然免疫系および獲得免疫系を活性化します。前臨 床試験では、単剤もしくは化学療法との併用により、CpG-D35が感染を抑え、病変の治癒を 早めることが示されており、CL患者のケア改善につながることが期待されています。本プロ ジェクトは、第I相試験として、健常被験者におけるCpG-D35皮下単回投与のプラセボ 群との比較(単回投与漸増試験)、およびL. major感染被験者におけるCpG-D35反復 投与のプラセボ群との比較(反復投与漸増試験)を行い、安全性、忍容性、薬物動態 (PK) および薬力(PD)を検証します。また、CpG-D35原薬の効力および品質向上のため の医薬品原体(API)製造工程の改良、後期臨床試験用の高容量、低コストで使い勝手 の良い皮下投与製剤の開発、CpG-D35の品質コントロール、および安定性試験で使用 するCAL-1力価アッセイの更なる最適化なども行います。

SCH-RDT









疾患:住血吸虫症 製品:診断薬 開発段階:製品開発 実施国:ケニア、フィリピン





1

WHOが発表した新たなNTDロードマップでは、2030年までに住血吸虫症を各地域から 排除することを目指しており、その中でも、効果的な集団薬剤投与やマイクロマッピングの 継続には、標準化されたポイント・オブ・ケアなどの医療現場での臨床検査を含む、適切な 診断テストの開発が特に重要とされています。しかし、WHOによる現行の住血吸虫症診断 ガイドラインでは、便・尿中に排出される住血吸虫卵の顕微鏡による検出が推奨されていま すが、中高度の感染強度では有用でも、有病率と感染強度が低い状況では十分に機能しま せん。従って、検体採取を数日繰り返し、何枚ものスライドを熟練技師が検査するなど、多大 な時間や予算などを要します。本プロジェクトでは、高感度で正確で使いやすく、手頃な価格 で入手可能な住血吸虫迅速診断テスト(RDT)を開発中です。このRDTは住血吸虫に よって継続的に分泌される循環陽極抗原を検出するもので、少量の指刺血を使用して20分 以内に結果を得ることが可能です。本プロジェクトでは、半定量的プロトタイプ住血吸虫RDT のフィールド評価、RDTの最適化・デザイン確定・製造移管、主要住血吸虫種でRDTの パフォーマンスの検証、現行の顕微鏡ベースの診断テストの代替となるかの検証、ならびに 住血吸虫RDTへのアクセス戦略を策定します。なお、このRDTの開発に関して、ビル&メリ ンダ・ゲイツ財団による共同投資を受けています。

E1224





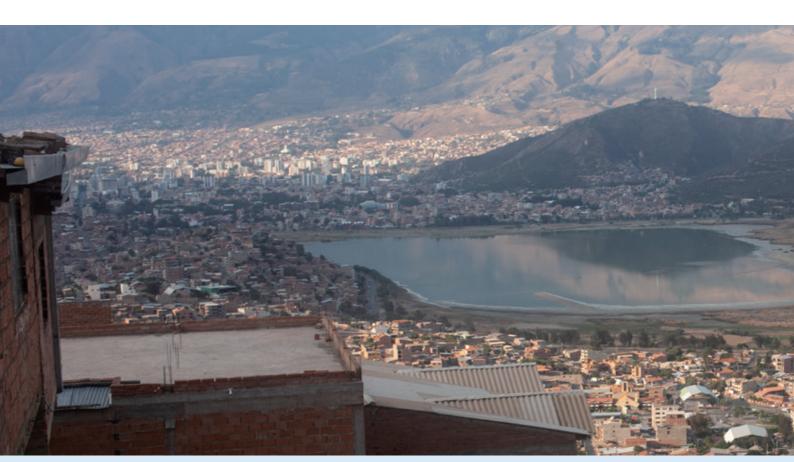


疾患:マイセトーマ 製品:治療薬 開発段階:第Ⅱ相試験





マイセトーマは、真菌または細菌による感染症で、外見上の醜さ、障害、社会的な偏見などを引き起こします。この病気は主に、チャド、インド、マリ、モーリタニア、メキシコ、セネガル、スーダンなど、熱帯・亜熱帯地域で見られます。マイセトーマの有病率や発症率に関するデータは極めて限定的です。診断には、臨床検査、画像診断、組織検査、および(可能な場合は)分子検査等を組み合わせなければなりませんが、低中所得国ではこれらの診断ツールや、診断に必要な専門知識が不足していることが多く、医療現場で使用できる簡便な迅速診断ツールもありません。現在、真菌性マイセトーマの治療薬としてイトラコナゾールが用いられますが、治癒率が26%と低く、治療期間も長く、低中所得国では高価な薬剤です。治療が行われない場合には、最悪の場合は四肢の切断や死亡に至ることもあります。エーザイ株式会社とDrugs for Neglected Diseases *initiative* (顧みられない病気の新薬開発イニシアティブ: DNDi) は、日本ですでに爪白癬治療剤として薬事承認を受けている、エーザイが開発したアゾール系抗真菌剤ホスラブコナゾール(E1224)を用いてマイセトーマに対する第II相試験を実施中で、E1224が安価で有効な治療薬となるかを評価しています。本試験はスーダンのハルツームにあるWHOマイセトーマコラボレーションセンターで実施されています。COVID-19パンデミックの影響で一時的に臨床試験が中断されましたが、2021年3月現在は再開されています。



BENDITA Study





疾患:シャーガス病 製品:治療薬 開発段階:第Ⅱ相試験 実施国:ボリビア



DNDi、エーザイ等のパートナーシップが実施したシャーガス病治療薬の臨床試験成果が、医学誌「The Lancet Infectious Diseases」に掲載されました。掲載された論文の中で、慢性期シャーガス病の成人患者に対する抗寄生虫薬ベンズニダゾール単剤による2週間の治療が、現在の標準治療法である8週間投与と同等の有効性を示し、かつ副作用の大幅な減少につながることが示されました。これらの結果は、ボリビアの3拠点で実施した第 Π 相試験により明らかにされたものです。GHIT Fundの投資を受けて、2016-2018年に実施された本試験は、DNDiが主導し、ボリビアの非営利組織であるCEADES (Science and Applied Studies Foundation for Health and Environment Development)、ラカイシャ財団が支援する組織であるISGlobal (Barcelona Institute for Global Health)、エーザイ、およびアルゼンチンの製薬企業であるEleaを含む、世界中の多くのパートナーの連携により実現されました。今回第 Π 相試験で得られた結果をさらに検証するため、アルゼンチンで第 Π 1相試験を実施し、ベンズニダゾールの2週間投与における有効性と安全性を確認します。



Invested Partnerships in FY 2020

探索研究・非臨床試験への投資



マラリア原虫肝内休眠体の迅速診断に向けた 実現可能性検証研究

熊本高等専門学校、長崎大学熱帯医学研究所(熱研)、生物医学霊長類研究センター



Target Research Platform Screening Platform Hit-to-Lead Platform Product Development Platform

アジア太平洋地区とアメリカ地区では、ここ十年間にマラリアの臨床 症例は90%以上減少し、三日熱マラリアはアフリカを除いた地区で は最も多いマラリアです。この変化は、三日熱マラリア原虫が肝内 休眠体を持ち、再発するという生物学的特性と関係しているとされ ます。肝内休眠体の感染は無症状のため、人集団中に隠れた原虫 保有者を作り出すこととなり、蚊から新たに感染せずとも、数週間~ 数年間にわたり患者におけるマラリア再発や新たな流行の原因と なります。現在、肝内休眠体の保有者を診断する適切な診断ツール

は存在していません。これまでの研究において、マラリア原虫休眠 体に対する診断ツール標的を同定する培養条件下での概念証明 実験を行った結果、休眠体が多い培養に特徴的なメタボライトを 同定し、様々な特徴により優先順位を付けることに成功しました。 本プロジェクト、in vivo実現可能性検証研究では、P. cynomolgiと アカゲザルのマラリア感染モデルを用いて、in vitro概念証明実験 で同定されたメタボライトがin vivoでも確認できるか、さらに、休眠 体感染を検出する迅速診断テストを開発する段階に進みます。



全長CSP/SA-1マラリアワクチンの 第一世代RTS、S/AS01ワクチンに対する比較検討

愛媛大学、大日本住友製薬株式会社、PATH



Target Research Platform Screening Platform Hit-to-Lead Platform Product Development Platform

世界初のマラリアワクチンRTS、S/AS01は、部分長の熱帯熱 マラリア原虫スポロゾイト表面タンパク質(CSP)を含むウイルス様 粒子を抗原とし、TLR4/QS21を含むアジュバント(AS01)を用いて 製剤化されています。アフリカで実施されたRTS.S/AS01ワクチン の大規模な第III相試験の結果、4年間の観察期間中に幼児の マラリア発症を約40%低下させました。現在、アフリカの3ヶ国で 国家ワクチンプログラムへ試験的に導入しています。より有効で 効果が持続する次世代マラリアワクチンが開発できれば、公衆

衛生上多大なインパクトをもたらすことができます。本プロジェクト では、全長CSP(flCSP)抗原と新規TLR7アジュバントSA-1で 構成される新規ワクチンの有効性について、RTS,S/AS01に 対する優位性を検討し、flCSP/SA-1ワクチンを前臨床開発へ 進めるかどうかを評価します。すなわち、アジュバント(SA-1と AS01)とワクチン抗原(flCSPとRTS,S)をそれぞれ比較評価し ます。また、マウスマラリア感染モデルを用いてflCSP/SA-1と RTS. S/AS01の防御効果を比較します。



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



エリザベス ウィンツェラー博士 (カリフォルニア大学サンディエゴ校)

Target Research Platform Screening Platform

Hit-to-Lead Platform Product Development Platform

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。本プロジェクトでは、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in vivoで の創薬概念の検証を目的とした研究を行います。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、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、 選択された標的に対するASOの最適化を行い、in vivo予防 動物モデルで有効性を評価します。



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、MMV

Target Research Platform Screening Platform Hit-to-Lead Platform

Product Development Platform



落田 温子博士 (武田薬品)

現在、プロジェクトチームはマラリア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t-RNA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。これ らの化合物群は武田薬品の研究パイプラインから提供された もので、研究開始段階においてMMVが提携する機関による 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 期の抗マラリア原虫作用を示すことを確認しました。本プロジェクト では、マラリア原虫のPRSの働きを強く阻害する化合物を見出し、

GHIT Fund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。 今回の新たな段階ではさらなる化合物の構造最適化、毒性の 指標となる細胞障害性の評価、物理化学的性質、安定性そして 薬物代謝指標等も検討します。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、ヒトマラリアの評価 モデルにおいて有効性を検証します。



マラリア/治療薬

東京大学創薬機構化合物ライブラリーからの 新規抗マラリア剤リード化合物の創出

東京大学、MMV

Target Research Platform Screening Platform Hit-to-Lead Platform

Product Development Platform



東京大学とMMVは、2018年~2020年にGHIT Fundの資金 提供を受け、日本国内のアカデミアの保有する化合物ライブラリー を用いて、熱帯熱マラリア原虫の増殖を阻害する化合物を探索 しました。この探索研究の結果、東大創薬機構の保有する21万 化合物から有望な候補ヒット化合物を発見しました。本プロジェ クトでは、発見された3つのヒット化合物に関して、構造最適化を 行い、これまでにない構造と作用機序をもち、安全性に優れた リード化合物を創出することを目指します。本プロジェクトでは、

東京大学とMMVが協働して、候補化合物の構造展開、薬効・ 安全性評価などを実施し、リード化合物を創出します。同時に、 リード化合物がどのようにマラリア原虫を殺滅するのか、その分子 機構を解明します。マラリアはヒトの複数の臓器・組織・細胞 (肝臓・赤血球)と媒介昆虫(蚊)の中で複数のステージで存在 しますが、リード化合物がどのステージに有効かを明らかにし、 新しい作用点をもつ、複数ステージに有効性を示す薬剤の開発 に繋げます。



汎マラリア伝搬阻止ワクチンAnAPN1のFirst In Human試験

味の素バイオファーマサービス・株式会社ジーンデザイン、株式会社セルフリーサイエンス、 フロリダ大学、テュービンゲン大学、Centre de Recherches Médicales de Lambaréné (CERMEL)



ロエル ディングラサン博士 (フロリダ大学)

Hit-to-Lead Platform

Product Development Platform

AnAPN1は、ハマダラ蚊中腸内腔表面タンパク質であり、現在 Plasmodium属寄生虫(PfaとPvi) に対する唯一の万能「伝搬 阻止ワクチン(Transmission Blocking Vaccine: TBV)」 候補です。蚊のタンパク質を使用することで、寄生虫の介入への 抵抗性発現リスクが減少し、根絶環境下でのワクチンの長期 使用を可能にします。プロジェクトチームは、AnAPN1を詳細に 分析することで、伝播阻止活性を持つ唯一のエピトープを同定 しました。TBVが効果を発揮するためには高力価誘導が必須で すが、最適化された免疫原(UF6b)はタグなしで、GLA-LSO アジュバントを配合してマウスやサルに投与すると、強力な伝搬 阻止活性(抗体価)が誘導されました。本プロジェクトは二段階 で構成され、UF6bの前臨床製造と毒性試験を完了し、ワクチン の使用に関する倫理審査の承認を取得してから、ガボン共和国 Lambarénéにおいて第I相a/b試験に参加することを想定して います。第I相a/b試験のエンドポイントとして、安全性と投与量を 確認します。ワクチン接種した個人から得られた抗体は、フロリダ 大学とCERMELで確立された一連の機能的、免疫学的、および 生物学的アッセイにより十分に評価されます。



結核/診断薬

結核に対するPOCアッセイの感度を 改善するためのLFAプラットフォームの開発

旭化成株式会社、Biopromic AB

Product Development Platform



ベストン ハマサー博士 (Biopromic AB)

現在、市場で利用可能な唯一の非喀痰検査は、特にHIV感染 のない結核患者の診断のための信頼できる検査として十分な 感度がありません。旭化成株式会社とBiopromic(スウェーデン) は、HIV感染に関係なく、かつ結核患者の尿中のリポアラビノ マンナン(LAM) TBバイオマーカーのピコグラム量をタイムリーに、 高精度で検出可能な迅速診断検査キットを共同開発しています。 両社が開発した迅速診断検査キットは、新しい独自のサンプル 準備技術と標識粒子を適用し、現在利用可能な検査キットよりも 100倍高い感度である低ピコグラムレベルで、LAMを検出する ものです。本プロジェクトでは、この迅速診断検査キットが、HIV 感染に関係なく、結核患者の診断が可能かどうかを検証します。 さらに、本検査キットがWHOのTarget Product Profile(TPP) を満たすかも検証します。また、南アフリカとウガンダから収集 された1000件以上の臨床サンプル分析によってこの迅速診断 検査キットの性能を評価し、検査精度を検証します。



ブルーリ潰瘍 診断薬

DNAクロマトグラフィーを用いた一体型ブルーリ潰瘍診断キットの開発

帝京大学、慶應義塾大学 医学部・医学研究科、長崎大学、株式会社 TBA、株式会社ファスマック、 Hope Commission International, Institut Pasteur de Côte d'Ivoire, Raoul Follereau Institute Côte d' Ivoire



鈴木 幸一教授 (帝京大学)

Target Research Platform Screening Platform Hit-to-Lead Platform Product Development Platform

顧みられない熱帯病の1つであるブルーリ潰瘍は、簡便な検査法が 無いために診断や治療が遅れ、重篤な後遺症を残す例が多く存在 します。WHOに報告されるブルーリ潰瘍の新規患者数は年間約 2,000例程度ですが、これは疾患そのものが未だに認知されていな いために、診断自体がなされていません。また、適切な検査法が無い ために正しく診断されずに放置されたり、誤った治療が行われている 例が多く存在している可能性を示しています。現在、WHOが推奨 する唯一の診断法であるPCR法を行うためには、高額な装置を備え

た専門の検査室と高度な知識と技術を持った検査担当者が必要 です。本プロジェクトでは、どこでも誰でも検査可能なブルーリ潰瘍診 断のための検査キットを開発します。LAMP法などのDNA等温増幅 法を行うためには、特殊な酵素や様々な試薬を正確な割合で検体と 混合して反応させることが必要です。これらの試薬類を安定化した状 態で固着乾燥させ、検体を加えるだけで反応が起こるような小さな キットを開発します。検出感度はPCR法と同程度で、検査に必要な コストや時間が大幅に削減されたキットの開発を目指します。



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

シャーガス病/治療薬

エーザイ株式会社、ラ・プラタ国立大学

ファビアン グソフスキー博士 (エーザイ)



Screening Platform Hit-to-Lead Platform

Product Development Platform

既存のシャーガス病の薬物療法は慢性感染症に対して有効性 が低く、長期の服用を必要とします。また、いくつかの副作用が 課題になっており、新しい治療法の開発が急務です。シャーガス 病の原因となる寄生虫トリパノソーマのシグナル伝達における不 可欠な役割を担い、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(PDEs)という酵素が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。

本プロジェクトは、PDEsをシャーガス病に対する薬物標的と して、CRISPR/Cas9技術を使用して検証し、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。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。また、補足 研究として、エーザイの化合物ライブラリからヒトの安全性プロ ファイルが知られている化合物を用いたリパーパシングによる スクリーニングも行います。



Cry5BのTrichuris -鞭虫に対する最適化

花王株式会社、マサチューセッツ大学医学部、PATH

Product Development Platform



30年以上の間、土壌伝播蠕虫(STH) 感染症を治療する新薬は 導入されていません。STHの集団投薬で最も広く使用される薬剤 は耐性増加に脅かされています。寄生線虫を保持する家畜の 治療では、レバミゾールの様に既に効果を失ったニコチン製剤 がいくつかありますが、全ての承認済み駆虫薬のプロファイルの 重大な欠陥は、妊娠初期の女性に禁忌であり、母親と胎児は STHによる貧血や栄養失調の影響を受けやすく、治療的介入が 行えない状態にあります。Crv5Bは、無脊椎動物のみで知られる 標的に結合する非吸収治療剤として、妊婦や幼児を含む全て の患者に優れた安全なプロファイルを有すると期待されています。 Cry5Bは、STH感染症管理の治療オプションに対して安価で 強力な追加となり、既存薬との併用療法も形成できます。また、 いくつかのニコチン製剤と相乗作用があり、これらの製剤に耐性 のSTHはCry5Bへの感受性が高まります。



シャーガス病・リーシュマニア症を標的とした リード化合物創製研究

田辺三菱製薬株式会社、DNDi

Target Research Platform Screening Platform Hit-to-Lead Platform

Product Development Platform



アイオセット博士

シャーガス病及び内臓リーシュマニア症に対するLeadステージ 移行の成功確度は高くありません。従って、これらの疾患に対する DNDiのTPPに沿った前臨床候補化合物を含む強固なポート フォリオの構築には、Hit to Leadステージの段階で十分な数の新 規化合物が必要です。田辺三菱製薬株式会社とDNDiは、 2019年9月よりGHIT Fundの資金を活用した化合物探索スク リーニングを実施し、主にT.cruziに対して選択的に活性を示す9

種のヒット化合物群(一部はT.cruziとLeishmania donovaniの 両方に活性を有する)の特定に成功しました。これらはGHIT FundとDNDiのHit to Leadへ進む基準を満たし、新規性の高 いT.cruzi 選択的な3系統を優先系統としました。本プロジェク トでは、DNDiが定めるTPPに従い、シャーガス病及び/又は内 臓リーシュマニア症に対するLead基準を満たす化合物の取得を 目的としています。



NTD創薬ブースターで特定した、S07化合物群の内臓リーシュマニア症を 対象としたリード最適化および前臨床候補化合物の選定

武田薬品工業株式会社、DNDi

Product Development Platform

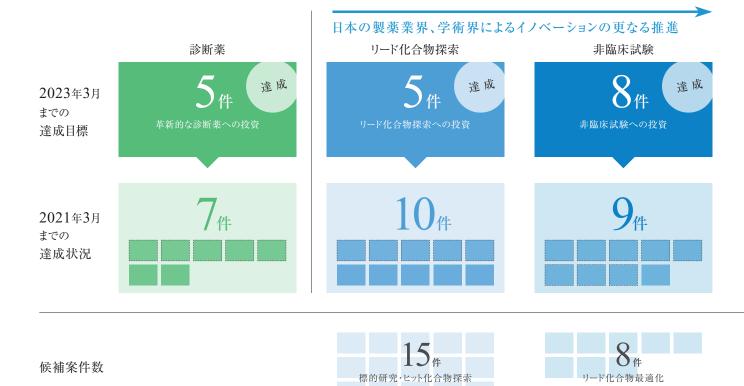


エリック シャテライン博士

GHIT Fundの支援を受け実施したNTD創薬ブースターでは、 寄生原虫を抑制する新規化合物の特定と各種試験に取り組み、 最終的に内臓リーシュマニア症の動物モデルでの十分な有効性 と安全性を有するS07リード化合物群の特定に至りました。この 化合物群の特定は、武田薬品とDNDiの協働による成果です。 本プロジェクトでは、S07リード化合物群の創薬化学による構造 最適化と更なる研究開発プランに基づき、少なくも1つの最適 化されたリード化合物を前臨床候補化合物として選定することを 目指します。S07化合物群は合成化学の面から扱いやすく、構造 活性相関が解明されており、これまで実施した広範なin vitro 試験でも安全性の懸念は示されていません。本プロジェクトでは、 有効性の条件を満たす候補化合物の追加、S07化合物群の 薬物動態/薬力学(PK/PD)に影響を及ぼす因子の研究と特 定、予備的な化学・製造・品質管理(CMC)検討による化合物の 開発支援、臨床試験申請(IND)に向けた前臨床候補化合物の 特定等を行います。



R **♦** D 研究開発の推進と製品化の実現



ストラテジックプラン達成に向けたGHIT Fundの取組み



NTD投資対象疾患拡大

- NTD10疾患 → NTD20疾患*に拡大 *2021年3月時点、製品開発プログラムのみ。詳細はRFPを参照のこと。
- •新たに外部審査員30名増員(現在、合計約150名)



パートナーシップ構築

- •日本機関および海外機関との製品開発に関する相談、パートナーシップ構築支援
- プロポーザルライティングセミナーの実施、各種学会等への参画



ポートフォリオ・マネジメント

半年ごとの製品開発パートナーとの電話会議:プロジェクトのモニタリング・評価およびリスク管理



COVID-19パンデミックに伴う予算措置

• COVID-19パンデミックの影響を受けたプロジェクトに対する緊急的な予算措置





2021年3月31日時点



「製品開発パートナーとの定期・臨時の電話会議によるコミュニケーションはポートフォリオ・マネジメントを行う上で最も重要です。これによって、投資戦略を見直し、製品開発を確実に前に進めていくために、最善の策をパートナーと共に考え、講じることができます。」

金坂 真生

投資戦略兼ポートフォリオディベロップメント&イノベーションズ アソシエイトディレクター



「GHIT Fundの重要な役割は、顧みられない疾患に苦しむ患者のために、まだ活用されていない革新的な技術を探し出し、製品開発パートナーを結びつけることで新たなイノベーションの触媒となることです。これは、GHIT Fundのストラテジックプランを達成する上でも必要不可欠な取り組みであるとともに、グローバルへルスR&Dエコシステムの製品開発パイプラインを強化することにも密接に繋がっています。」

小山 恵理子

投資戦略兼ビジネスディベロップメントマネージャー

Highlights in FY 2020

2020年度活動ハイライト

コロナ禍における選考委員会開催

COVID-19パンデミックによる渡航制限を受けて、2020年6月、初となるオンラインでの選考委員会(SC)を開催しました。このオンライン会議の経験と教訓を踏まえて、2021年1月に開催した2回目のSCでは様々な改善を加えました。世界20カ国以上、様々なタイムゾーンから参加する研究者(プロポーザルの申請者)とGHIT Fundの選考委員が同時に会議に参加できるように調整し、双方向に議論する場を確保するなどの工夫を行いました。最終的には理事会に推薦する投資案件を選定することができました。今後も、適切な投資選定プロセスを遵守しつつ、新たな会議の形態を取り入れたり改善を加えながら、選考委員会を効率的・効果的に運営していきます。





連続ウェビナー「顧みられない熱帯病対策: 世界の潮流と日本の経験」

2020年11月、今後10年間の世界のNTD対策の重要な指針となる「WHO NTDロードマップ2030」が発表されました。この発表に合わせて、Japan alliance on Global NTDs (JAGntd)と連携し、NTDs対策における世界の動向と日本の経験を紹介する、計6回の連続ウェビナーを開催しました。ウェビナーでは、日本人の専門家が携わるNTDsプログラムや活動の紹介、2030年までにNTDsを制圧するという大きな目標に向けて、現状の課題や機会について議論を行いました。ウェビナーの動画はJAGntdのウェブサイトにてご覧いただけます。

https://jagntd.org/ntdwebinar2020

プロポーザルライティングセミナー

2020年7月に開催したオンラインによるプロポーザルライティングセミナーでは、GHIT Fundの投資プログラムに申請を検討する民間企業、大学、研究機関の研究者を対象に、プログラムの概要や投資プロセスに関する説明を行いました。セミナーでは、「標的研究プログラム」と「製品開発プログラム」に焦点を当て、プロポーザルを作成する際に考慮すべき点について解説を行いました。本セミナーを含め、過去のセミナーの動画はGHIT Fundのウェブサイトにてご覧いただけます。

https://www.ghitfund.org/newsroom/films/jp



Publications

アクセスと供給戦略:

Uniting Efforts for Innovation, Access and Delivery

GHIT Fundと日本政府(外務省)、そして国連 開発計画(UNDP)が主導するアクセス・アンド・デリバリー・パートナーシップ(ADP)によるプラット フォーム「Uniting Efforts for Innovation, Access and Delivery」は、2つのレポート「顧みられない病気のための医療技術のアクセスと





提供のための資金調達と投資機会の現状」と、「顧みられない病気のための国家 投資ケースの開発のためのガイダンス」を発表しました。これらのレポートは、顧みられ ない病気に取り組む低中所得国の政府が、医療技術に対するアクセスと供給や国家 プログラムの実施を改善することを支援することを目的に作成されました。

https://www.unitingeffortsforhealth.org/resources

学術論文アーカイブ

製品開発パートナーがGHIT Fundから全てまたは一部 投資を受けて研究開発を行い、その結果得られた重要 な科学的知見やプロジェクトの進捗として学術誌に掲載 されたものを、学術論文アーカイブとしてGHIT Fundの ウェブサイトに公開しました。GHIT Fundの設立から8年 間で、合計40本以上の学術論文が発表されました。



https://www.ghitfund.org/newsroom/scientificarticles/jp

Publications contributed by GHIT

Hooft van Huijsduijnen R, Kojima S, Carter D, Okabe H, Sato A, Akahata W, Wells TNC, Katsuno K. Reassessing therapeutic antibodies for neglected and tropical diseases. PLoS Negl Trop Dis. 2020 Jan 30;14(1):e0007860. doi: 10.1371/journal.pntd.0007860. PMID: 31999695; PMCID: PMC6991954. https://journals.plos.org/plosntds/article?id=10.1371/journal.pntd.0007860

Katsuno K. Japan's innovation for global health - GHIT's catalytic role. Parasitol Int. 2021 Feb;80:102232. doi:

10.1016/j.parint.2020.102232. Epub 2020 Nov 2. PMID: 33144196.

https://www.sciencedirect.com/science/article/pi i/S1383576920301823

Nakatani H, Katsuno K, Urabe H. Global health landscape challenges triggered by COVID-19. Inflamm Regen. 2020 Sep 15;40:34. doi: 10.1186/s41232-020-00144-5. PMID: 32939226; PMCID: PMC7491013. https://inflammregen.biomedcentral.com/articles /10.1186/s41232-020-00144-5

DEIの推進

GHIT Fundの多様性、公正、包摂(DEI)に対するコミットメントは、コロナ禍においても変わることはありません。GHIT Fundは、グローバルヘルス領域における男女平等とDEIのための行動とアカウンタビリティを推進する団体、Global Health 50/50のエビデンスに基づくアプローチを支持しています。今後もGlobal Health 50/50との連携を通じて、規定やポリシー、プログラム、働く環境や働き方を改善しながらDEIを推進していきます。 https://globalhealth5050.org/2021-report/



COVID-19への対応

GHIT Fundは、COVID-19の製品開発には直接投資していませんが、COVID-19対策に寄与する可能性のある技術やイノベーションを持つ製品開発パートナーを、他の資金提供機関に紹介するなどの対応を行い、その結果、複数の機関が助成を受けています。また、国際協働の枠組み「Access to COVID-19 Tools Accelerator (ACTアクセラレーター)」のワークストリームにも参画し、



GHIT Fundの知識と見解を共有しました。さらに、GHIT Fundが投資する、富士フイルムが開発した銀増幅イムノクロマト法を用いた結核迅速診断キットに関して、富士フイルムはSARS-CoV-2診断用の抗原検査キット開発にも応用しました。これは、GHIT Fundが投資したイノベーションが、GHIT Fundの投資対象外の他の感染症の製品開発にも貢献しうることを示しています。

北潔教授

GHIT Fund選考委員を退任

2013年のGHIT Fund発足当時から選考委員長・委員を努めて来られた 北潔教授が、2021年1月の選考委員会を最後に退任されました。北潔 教授のこれまでのGHIT Fund選考委員会に対する多大な支援と 貢献や、GHIT Fundと日本のアカデミアとの関係構築強化にご尽力 頂いた数々の取り組みについて、GHIT Fund投資チームのメンバー とともに振り返りました。

鹿角 GHIT Fund(以下GHIT)設立 時より、8年にわたって選考委員会を 牽引してくださいました。就任当時を 振り返って頂けますか?

GHITの設立の話を聞いたとき、一研 究者として公募に申請したいと思いま した。私自身もいくつかの感染症研究 をしておりましたので重要な研究費を 得られる機会だからです。しかし、その 後、厚生労働省と外務省の方が私の 所に来られて、選考委員長就任のご 依頼を頂いたのですが、その時初めて GHITの資金規模をお聞きし、良い製 品開発を進めるためには公平、公正な 選考プロセスが必要であると感じ、最 終的にお引き受けすることに決めまし た。資金を良いプロジェクトに投資して 製品開発を後押しすることが、私にで きる貢献だと考えました。

鹿角 選考委員会の8年間の変遷を 振り返って頂けますか?

GHITの選考委員はR&Dの経験が 豊かで、科学に大変厳しく誠実に取り 組む方ばかりです。GHITの設立間も ない頃は、限られた選考委員のメン バーでプロポーザルを評価していた



のですが、より多様で客観的な意見 が必要だと感じていました。その後、 選考委員会がプロポーザルを評価す る前に、国内外の製品開発や感染症 の専門家が査読を行う「外部審査」の 仕組みを導入したことで、私たち選 考委員も外部審査員の客観的なコ メントを見た上で、より公正な採択が できるようになりました。現在も100名を 超える外部審査員の専門性とコミット メントに心から感謝しています。

鹿角 日本人、外国人の選考委員と ご一緒に仕事をされる中で、メンバー の特徴や専門性をどのように見てい らっしゃいましたか?

経験や専門性の観点から、多様性に 溢れた構成になっていると思います。 設立以降、常に専門性が高い人材を 探し続けてきたこともあり、GHITが成 果を出すうえでほぼ理想的なメン バー構成になっています。個人的に 思うことは、GHITは日本発のプロジェ クトでありながらも、世界との連携を 求めているので、日本と海外の経験 が豊富な人がリードをしていくのが 望ましいと考えています。その点で、上 村尚人教授(大分大学)が選考委員 長を引き継いでくれたことは、GHITに とって更なる飛躍に繋がると思ってい ますので、大変期待しています。また、 今後も常に良い人材を確保できるよう に、目を光らせておくことが肝要です。

浦辺 日本のアカデミアはGHITの 設立をどのように受けてとめていらっ しゃいましたか?

感染症領域の中でも例えば寄生虫学 領域などは、若手研究者の強化が功 を奏してハングリー精神を持つ研究 者が増えてきた時期でした。そこに GHITが設立されたことで、アカデミア



にとっても追い風となり、多くの研究者が公募に挑戦してくれましたし、プロポーザルの数も増加していきました。今後さらにアカデミアとのパートナーシップを強化していくためには、もっとGHITの活動を認知してもらう必要があります。2015年に東大、MMV、GHITが共催したシンポジウムでは、大村智・北里大学特別栄誉教授にも基調講演を頂き、国内外の専門家にも好評を得ました。今はコロナ禍でこうした大規模イベントの開催は難しいですが、今後も研究者が集う場や機会をGHITが提供してくれることを期待しています。

大畑 これまでの8年間で、日本の研究者への変化はありましたか?

大きく進歩したと思います。初期の頃は、日本の組織が研究代表者となっているプロポーザルは、英語での説明や内容が不十分なものが散見されました。ここ数年間で段々と骨太な内容になってきたと感じます。GHITが求めるレベルと申請者が提出するプロポーザルのギャップが埋まりつつあり、良いプロジェクトが増えてきました。その結果、嬉しい悩みではありますが、逆に審査が難しくなったと感じます。

また、日本の感染症領域の研究者の グローバル人材化も進みました。若手 の活躍にも目を見張るものがあります。 GHITのユニークな点である日本と海 外の組織の共同研究に投資するとい う条件がこれを後押ししていると思い ます。過去には、選考委員会での英 語インタビューを突破できていれば採 択されたかもしれないという案件が数 多くありました。英語での質疑応答は 不慣れな日本人には辛いものですが、 世界で活躍するためにもこの壁は 逞しく乗り越えてほしいと思います。 そして、GHITはこれからも意欲ある 研究者を勇気付け、日本発のシーズ や技術をグローバルに展開する支援 をして欲しいと願っています。



大畑 今後のGHITについてメッセージをお願いします。

日々一緒にお仕事をさせて頂き、GHITの皆さんのモチベーションの高さや、設定した目標に誠実に向き合っている点を強く感じます。このままスピード感を落とさずに、目標達成に向けて多様なパートナーとの連携をさらに強化していって欲しいですね。また、GHITを通じて、年々革新的なマッチングができていると感じています。これからも研究者が良いパートナーに巡り合えるように、マッチング支援を継続してほしいと思います。

さらに、既存の投資事業だけではなく、 GHITがサポートできることはまだまだ たくさんあると考えています。例えば、 若手研究者へのサポートです。十分 なデータは無いけれど良いアイデアを持っている人はいます。例えば、スタートアッププロジェクトなどを支援することで、将来GHITに応募する人が出てくるかもしれないですし、研究者にとっては本番に向けた良い訓練になるのではないかと思います。

浦辺 海外と日本の研究者へメッセージをお願いします。

海外の研究者の皆さんにお伝えしたいのは、日本の研究者は良い意味で諦めが悪く粘り強い人が多いので、もっと日本の研究者と連携して欲しいということです。また、若い日本人の研究者を受け入れて共同研究をする機会が増えて欲しいと思います。

日本の研究者の皆さん、特に次世代を担う研究者の皆さん、特に次世代を担う研究者の皆さんには、自分の研究分野で常に100%の力を発揮できるようになって欲しいと思います。研究は世の中や人の役に立つものから、真理の探究まで幅広いですが、どこにいても自分にしかできないオリジナルの研究を見つけることが何より重要です。そして、良い研究はいつか必ず世の中や人の役に立ちます。1%でも新しい発見をしたらそれは自分の楽しみとして、残りの99%は困っている人のために研究をすることを心に留めて欲しいと願っています。



写真左から、浦辺 隼(投資戦略兼ポートフォリオディベロップメント&イノベーションズ シニアディレクター)、北 潔教授 (長崎大学大学院熱帯医学・グローバルヘルス研究科長)、大畑 美菜(投資戦略兼ポートフォリオディベロップメント &イノベーションズ マネージャー)、鹿角 契(投資戦略兼ビジネスディベロップメント シニアディレクター)

"Together" is all about

GHIT's Culture and Future



写真左から、井本 大介(エクスターナルアフェアーズ&コーポレートディベロップメント ヴァイス プレジデント)、新井七菜(プランドコミュニケーション マネージャー)、森脇理陽(HR&オフィス マネジメント アソシエイトディレクター)

COVID-19のパンデミックにより世界が一変し、設立から8年目を迎えたGHITにとっても投資事業への影響や働き方の転換など、多くの変化が起きた年でした。3名のGHITスタッフが、コロナ禍の活動を振り返りながら、これまであまり語られてこなかった GHITの組織戦略、人事戦略、カルチャーについて、そしてGHITが目指す未来について語りあいました。

Togetherでひとつになる

#本:2020年はGHITにとって第2期 の折り返し地点でした。設立してから 8年が経ち、製品化目前のプロジェクト を含め、現在は約50件の研究開発プロ ジェクトが進んでいますが、2023年から 始まる第3期に向けて、更にイノベー ションを加速して第2期の成果を対外的 にしっかりお示しするべき時期に入って きています。製品開発は、オープンイノ ベーションで知識や経験を共有し協働 することで初めて成し遂げることができ ます。GHITとしても、一日も早く製品を 顧みられない患者に届けることを目指 す中で、世界中の多様なステークホル ダーと今まで以上に連携を強化しようと いう機運が高まっています。そうした 私たちの想いを内外と共有するために 生まれたのが「Together」というスロー ガンでした。

森脇:2020年はCOVID-19のパンデミックによって世界が混乱に包まれました。GHITの活動においても、製品化に近づいていた案件の臨床試験が遅延する等、大きな影響がありました。そん

な中、この危機を乗り越え、必要としている人に製品を届けるというミッションの達成に向け、歩みを止めずに進む上で、「Together」はステークホルダーやGHITスタッフを支えるスローガンとなったと思います。

新井:新しいイノベーションを生み出 し、新薬開発を進めるためには、既存 の枠やコミュニティから

飛び出し、今まで関わったことのない人たちと協働し、ダイナミックな行動をすることが

重要です。経験したことのない課題に 直面した時も然りです。前に進むため に背中を押し、多くの人を巻き込んでい くための言葉としての「Together」でも あるのではないでしょうか。

井本:製品化の可能性を持つ研究 開発プロジェクトを一つでも多く増やす ために、公募をかけるだけではなく、 良い化合物やテクノロジーを持ってい るパートナーがいないか、GHITからも 働きかけを行い、パートナーシップ構築 を側面支援しています。国内外の国際 会議にも積極的に参加し、グローバル ヘルスにおけるどのステークホルダーと 効果的な連携が取れるかを常に試行 錯誤し、新たなパートナーとも効果的な 連携ができるように、常にアンテナを 張っています。

また、GHITのポートフォリオには製品化目前のプロジェクトがいくつかありますが、低中所得国における製品へのアクセスと供給についても、世界中の関係者と対話を重ねています。日本政府、国連開発計画のアクセス・デリバリー・パートナーシップと共に立ち上げたプラットフォーム「Uniting Efforts for Innovation, Access and Delivery」なども、まさに「Together」の具現化と言えるでしょう。

浸透する Togetherの精神



井本:「Together」の精神はGHIT スタッフに間違いなく浸透していると 感じます。スタッフ全員がチームの一員 として組織に貢献するという責任感と自 負を持っているのではないでしょうか。 これはGHIT創立初期の頃から根付いているカルチャーなのだと思いますが、全員で「物事を成し遂げる」という強い意思を持って業務に臨んでいます。また、私は2020年よりGHITに参画しましたが、中途入社であっても声を上げやすいオープンな環境で、風通しが良く、私が経験した他の組織と比較しても意思決定がスピーディであると感じています。

新井:こういったことができるのは、GHITスタッフ全員が持てる知識を柔軟に活かし、互いの違いを自然に受け入れることができているからだと思います。DEI(多様性、公正、包摂)がGHITの強みなのではないでしょうか。

井本:GHITは日本の組織ですが、同時に国際機関のような側面を持っています。多様なバックグラウンドをもつ多くのステークホルダーとの協働なしにはミッションを達成できません。GHITが成果を出すためには、職員に優れた国際感覚や語学力、専門性が備わっていることも重要ですが、DEIの考え方を深く理解し、常に「Together」の精神を持って業務を実践できることが、不可欠な要素なのだと思います。

GHITが目指す組織像

森脇:GHITは20名以下の少数先鋭のチームで、大きなインパクトを生み出す必要がありますので、全員が高い意識を持ち、プロフェッショナルに働くことが求められます。また、自分自身でキャリアビジョンを定め、自己管理ができることもGHITで働く上では必要不可欠です。その上で、人事としては、グローバルヘルスに貢献したい情熱がある人はもちろんですが、人種、国籍、性別、性的嗜好、年齢、文化などのあらゆる属性

に関わらず、ユニークな経験や高い専門性を持つ人を組織に取り込むことで、組織の活性化を促し、新たな試みや価値を生むことができると考えています。そして、多様性のある環境であるからこそ、「Together」の精神を持つ、すなわち「チームプレイ」ができる人には活躍の機会が大いにあると思います。

新井:スタッフに求められることは大きいですが、プレッシャーを感じることはありません。困難な課題があっても一人で解決するのではなく、全員が「Together」でやっていこうという気持ちがあるからだと思います。そして何よりも、「製品を顧みられない患者さんに届ける」というGHITのミッションを全力で実現したいという想いがあるからです。

変革が 後押しされた一年



森脇: GHITは、COVID-19のパンデ ミックが宣言される前の2020年2月に は在宅勤務を開始しました。元々2018 年の冬より、働き方改革の一環として 週に一度の在宅勤務をテスト導入して いたので、毎日在宅というのは初めて の経験であるものの、スムーズな移行 ができたと思います。在宅勤務を実施 したことで、適切な感染症対策が取れ ましたし、オンラインが中心になったこと で、業務の効率化や電子化も進みまし た。GHITには小さなお子さんを持つ お父さん・お母さんや、早朝深夜に海 外と電話会議等をする職員もいます。 在宅勤務で柔軟な働き方を推進する ことで、高いパフォーマンスを維持した まま、ワークライフバランスを実現できる 環境になったと思います。組織としての 生産性を高め、最大限の価値を生み 出すためには、職員の健康面に最大 限配慮して勤務環境を常に見直し改善していくことや、時間を有効かつ効率的に使う働き方の推進が求められます。COVID-19は多くのマイナス面がありましたが、このように働き方を一気に変革できた機会でもありました。

新井:在宅勤務が始まってから、コミュニケーションにおいて大きな問題は感じませんでした。職員のライフステージはそれぞれ異なりますし、海外に住んでいて時差があるスタッフもいますが、全員がワークライフバランスの大切さを理解し、互いに支え合いながら、物事を前に進めています。これは、お互いに信頼しているからできることですし、GHITが、スタッフが精神的にも身体的にも健康であることを尊重する組織だからだと思います。

未来に向けて

井本:COVID-19のインパクトがあったのは事実ですが、その困難を経てこれからどのような活動をするのか、そして更なる未来に向けて何をする必要があるのか、ステークホルダーの皆様との対話と協働を進めていきたいです。

2020年にパンデミックを経験した私たちは、政府、企業、アカデミア、国際機関、あらゆるセクターが連携・連帯することで、様々な困難を乗り越え、迅速に製品を開発して人々に届けることが不可能ではないことを目の当たりにしました。GHITは顧みられない病気においても不可能を可能にしたい。そのためには、国内外のステークホルダーの皆さまと「Together」の想いを共有し、これまで以上にしっかりと手を携えて、顧みられない患者さんのための製品開発を着実に進めていきたいと思います。

Finances

2020年度決算書概要

貸借対照表

具旧 的 為	
資産の部	百万円
流動資産	467.1
固定資産	4,970.8
資産合計	5,437.9
負債の部	百万円
流動負債	520.0
固定負債	0.5
負債合計	520.5
正味財産の部	百万円
指定正味財産	4,917.4
一般正味財産	-
正味財産合計	4,917.4

本概要は、EY新日本有限責任監査法人の監査に基づくGHIT Fundの財務諸表(第9期 令和2年4月1日~令和3年3月31日)から抜粋したものです。 GHIT Fundは、公益社団法人として日本国内に登記されています。

資金拠出パートナー・スポンサー

Full Partners

負債及び正味財産合計



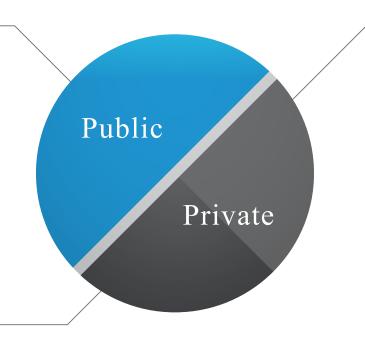




Full Partners







5,437.9

正味財產增減計算書

一般正味財産増減の部	百万円
経常収益	
受取補助金等	3,350.9
受取寄附金	463.1
雑収益	0.5
経常収益計	3,814.5
経常費用	
事業費	3,694.3
管理費	120.2
経常費用計	3,814.5
指定正味財産増減の部	百万円
受取補助金	
受取助成金(政府、国際機関等)	1,003.3
受取助成金(財団)	1,645.2
受取寄附金	788.2
指定正味財産合計	3,436.7

Full Partners













Associate Partners







Affiliate Partners















Sponsors













Leadership

リーダーシップ

評議会

GHIT Fundに資金を拠出している日本政府、財団、民間企業により構成され、評議会と理事会メンバーの選任又は解任、定款の変更、決算書類の承認など、法令又は定款に定められた重要事項の決議を行う。



小野 啓一 外務省 地球規模課題審議官(大使)



佐原 康之 厚生労働省 大臣官房 危機管理·医務技術総括審議官



トレバー マンデル ビル&メリンダ・ゲイツ財団 グローバルヘルスプログラムプレジデント



ジェレミー ファラー ウェルカム 代表



アステラス製薬株式会社 畑中好彦 代表取締役会長



エーザイ株式会社 内藤 晴夫 代表執行役CEO



塩野義製薬株式会社 手代木功 代表取締役社長



第一三共株式会社 中山 讓治 常務顧問



武田薬品工業株式会社 クリストフウェバー 代表取締役社長 CEO



中外製薬株式会社 小坂達朗 代表取締役会長

理事会

グローバルヘルスやマネジメントの領域で豊富な経験を持つエキスパートにより構成され、リーダーシップチームの業務を監督し、重要な規程、中期戦略・年次計画及び予算、 投資案件の承認など業務執行に係る重要事項の決議を行う。

副会長



会長·代表理事 中谷 比呂樹 慶應義塾大学医学部 訪問教授



ピーター ピオット ロンドン大学衛生熱帯医学大学院学長 元国連合同エイズ計画(UNAIDS)事務局長



専務理事 大浦 佳世理 GHIT Fund CEO



アン ヴェネマン 元国連児童基金(UNICEF)事務局長 元米国農務長官



江副 聡 外務省 国際保健政策室長



田口 一穂 厚生労働省 大臣官房国際課 国際保健·協力室長



マヒマ ダトラ バイオロジカル・イー・リミテッド社 マネージングディレクター



門間 大吉 元財務省国際局長 元IMF日本代表理事



監事 石黒 光 株式会社インスパイア 監査役





オブザーバー スティーヴン キャディック ロンドン大学教授 前ウェルカム・イノベーションディレクター



オブザーバー ケイティ アインテルス オウエン ビル&メリンダ・ゲイツ財団 顧みられない熱帯病/ 製薬業界リーダーシップエンゲージメント ディレクター

選考委員会

治療薬、ワクチン、診断薬における研究開発において豊富な知識と経験を持つ国内外のエキスパートにより構成され、プログラム申請者からの申請書、及び進捗報告書の審査・評価を 行い、その結果に基づいて、理事会に対して投資案件を推薦する。なお投資プログラムとの利益相反の可能性を排除するため、選考委員会には民間企業の役職員を含んでいない。



共同選考委員長 上村 尚人 大分大学医学部臨床薬理学講座 教授



共同選考委員長 デニス シュマッツ 元米国メルク・リサーチ・ラボラトリーズ 感染症研究所所長 元日本MSD研究所所長



ソフィー アラウゼン 診断薬専門家



石井 健 東京大学医科学研究所 教授 大阪大学免疫学フロンテイア研究センター ワクチン学 教授



ラルフ クレメンス ワクチン専門家



小山 裕雄 国立研究開発法人 理化学研究所 環境資源科学研究センター 創薬化学基盤ユニット基盤ユニットリーダー



ケン ダンカン ビル&メリンダ・ゲイツ財団 Discovery & Translational Sciences部門次長



アナ カリン ティデン 創薬化学専門家



アン ミルズ ドゥガン ウェルカム イノベーション パートナー



ゲルドミシェル Vela Diagnostics チーフ・サイエンティフィック・オフィサー



矢島 理恵子 スタンフォード大学医学部 SPARKプログラムトランスレーショナルリサーチ 創薬イノベーションディレクター

リーダーシップチーム

事業や投資戦略の策定、理事会の承認に基づいた戦略の遂行、管理業務の実施、および組織の成長を促進する。



大浦 佳世理 CEO



山部 清明 Chief Operating Officer



井本 大介 エクスターナルアフェアーズ & コーポレートディベロップメント ヴァイス プレジデント



浦辺 集 投資戦略 兼 ポートフォリオディベロップメント & イノベーションズ シニアディレクター



鹿角 契 投資戦略 兼 ビジネスディベロップメント シニアディレクター



高澤 美保 ファイナンス & オペレーションズ シニアディレクター



玉村 文平 ブランドコミュニケーション シニアディレクター

Acknowledgment

謝辞

資金拠出パートナー&スポンサー

GHIT Fundの投資事業や組織運営は、資金拠出パートナーやスポンサーの多大な支援によって成り立っています。

Full Partners























Associate Partners







Affiliate Partners















Sponsors













外部審查員

Michael Free

Michael Frimpong

Dennis Kyle

Ole Lagatie

世界中の感染症および製品開発の専門家が、GHIT Fundの外部審査員としてプロポーザルの評価を行っています。

Yukihiro Akeda Takashi Fujitsu Nancy Le Cam Bouveret Wanji Samuel Marco Albonico Tamio Fujiwara James LeDuc Fred Santos Pedro Alonso Jennifer Gardiner Carole Long Alejandro Gabriel Schijman Peter Andersen Nisha Garg Timothy Lu Dirk Schnappinger Lewellys Barker Ricardo Gazzinelli Christian Mandl Ami Shah Brown Michael Barrett Birgitte Giersing John Mansfield George Siber Clif Barry Ann Ginsberg Greg Matlashewski KJ Singh David Bell Geoffrey N. Gobert James McCarthy Peter Smith Maria Elena Bottazzi Daniel Goldberg Joseph McCune Lynn Soong Teun Bousema Federico Gomez de las Heras James McKerrow Gerald Spaeth Tom Brewer Glenda Gray Donald Peter McManus Nathalie Strub-Wourgaft Enrico Brunetti Brian Greenwood Charles Mgone Yasuhiko Suzuki Martin Brusdeilins Sanjay Gurunathan Gerd Michel Francesca Tamarozzi Simon Campbell R. Kiplin Guy Toshiyuki Miura Marcel Tanner Adriano Casulli Lee Hall Valerie Mizrahi Kaoru Terashima Katsuhiko Mochizuki Grant Theron Eric Chatelain Rashidul Haque Philip Cole Yoshihisa Hashiguchi Dinesh Mondal Katsushi Tokunaga Stewart Cole Thomas Hawn Kouichi Morita Nadia Tornieporth Paul L.A.M. Corstjens Chris Hentschel Charles Mowbray Bruno Travi Simon Croft D. Gray Heppner Ivo Mueller Takafumi Tsuboi Alexandre Cuenat Philip Hill Peter Myler Moriya Tsuji Roy Curtiss Toshihiro Horii Daniel Neafsey Mickey Urdea Peter Dailey Eric R. Houpt Christian Ockenhouse Govert J. van Dam Julian Davies Sanjay Jain Tsuyoshi Ogiku Wendy van de Sande Christine Debouck Joseph Kamgno Giuseppe Pantaleo Lisette van Lieshout David W. Denning Takushi Kaneko David Persing Samuel Wanji Keertan Dheda Niranjan Kanesa-thasan Meg Phillips Mark Wansbrough-Jones Thierry Diagana Punnee Pitisuttithum Stephen Ward Shigeyuki Kano Thomas Dick Subhash Kapre James A. Platts-Mills Tim Wells Carter Diggs Paul Kaye Gerd Pluschke Bruce Weniger David W. Dowdy Naoto Keicho David Pompliano George Whitesides Jennifer Keiser Dominic Pucci Samuel Wickline Boro Dropulic David Kelso Filip Dubovsky Rino Rappuoli Judith Wilber David Edwards Kent Kester Zarifah Reed Elizabeth Winzeler Sabine Ehrt Akinori Kimura Rebecca Richards Kortum Dyann Wirth Hiroyoshi Endo Sue Kinn Paul Roepe Michael Witty Hermann Feldmeier Somei Kojima Polly Roy Paul Wyatt David Fidock Peter Kremsner Eric Rubin Kazuhisa Yoshimura Peter U. Fischer Sanjeev Krishna Peter Ruminski Takeshi Yura JoAnne Flynn Michael Kurilla Fidel Zavala Philip Russell

David Sacks

Judy Sakanari

Donato Zipeto

