

＜シンポジウム 24—2＞創薬研究を推進するためには何が必要か？

## アカデミアでの先端創薬・早期探索的臨床開発

宮田 敏男

(臨床神経 2011;51:1084)

**Key words** : インシリコ創薬, 早期探索的臨床試験, PAI-1阻害薬, 規制科学, 分子イメージング

新薬開発は、市場の大きさや開発にかかるリスクなどに影響を受けるため、医薬品は必ずしも必要な分野で開発されているわけではない。また、ヒトの病気と類似の動物モデルが無ければ、また、臨床エンドポイントの評価に長時間が必要（その代替の臨床バイオマーカーも無い）な疾患など、医薬品開発に注力され無い医療分野も多く有り、アカデミアの役割もある。新薬開発を推進する「鍵」は、先端創薬技術を駆使して、病態に基づいた合理的な開発をおこなうこと、ヒト臨床試験に早く進め PK, PD, POC を早期に取得すること (First-in-man) である。in silico での薬剤探索や薬物動態解析など創薬科学も進歩している。臨床試験も、マイクロドーズ試験や早期探索的臨床試験によって、アカデミアの研究者も今まで以上

に迅速にヒト臨床試験に導入できる可能性が出て来た。薬物動態的にドロップアウトするような化合物、ヒトの生理や病態に作用する有用化合物をより早い段階でみいだすことによって、医薬品開発に費やす時間や費用を削減、少しでも多くの可能性ある薬剤を探索できる道が開かれた。病気や薬効鋭敏なバイオマーカー、PET をもちいた分子イメージングなども、早期探索的臨床試験を加速させるための強力な手段となりうる。今後は、基礎と臨床が一体となってオープンイノベーションを展開できる「新たな研究の場」が必要になる。本講演では、in silico での化合物探索、構造最適化、前臨床試験、早期探索的臨床試験など現在われわれが取り組んでいる新薬開発の現状と課題に関して紹介したい。

### Abstract

#### Drug discovery and development in academia

Toshio Miyata, M.D.

United Centers for Advanced Research and Translational Medicine (ART), Tohoku University Graduate School of Medicine

(Clin Neurol 2011;51:1084)

**Key words**: In silico screening, exploratory clinical trial, PAI-1 inhibitor, regulatory science, molecular imaging