

イノベーションの創出による健康未来の実現

研究開発



自社創薬、導入、PLCMの3本柱で
パイプラインの充実を図りながら、
患者さんのことを本気で考えた
研究開発を推し進めていきます。

取締役 研究開発担当
桑野 敬市

日本新薬では「独自性」を大切に、困っている患者さんがいればその数がたとえ少なくとも、自分たちの手で新薬を生み出し届けたいという想いで研究開発に取り組んでいます。近年では、肺高血圧症（PH）治療剤「ウブトラピ」、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤「ビルテプソ」など、難病・希少疾患領域の製品を中心に上市してきました。2024年度には、ウブトラピの価値最大化の取り組みの一環として小児用製剤を発売しました。小児用製剤は直径が3mmと小さく飲みやすい一方で、扱いにくいため、患者さんや医療関係者の方々が行う錠剤の管理や計数の利便性を高めるために、専用の「おくすりケース」を開発しました。これも「独自性」と「患者さんの困りごとを解決したい」という想いが形になった一例です。今後も「血液内科」「難病・希少疾患」「泌尿器・婦人科」の3つを注力領域とし、自社創薬、導入、PLCMによる継続的なパイプラインの拡充を推進します。

自社創薬においては、既存治療薬と比べて優れた効果や特長を持ち、患者さんの“生きる”に貢献できるコンセプトとなることを重視しています。また、核酸医薬

品では中枢神経系領域を標的疾患に加え、さらなる可能性を追求します。加えて、オープンイノベーションを通じて新規創薬技術やモダリティを導入し、核酸ドラッグデリバリーシステムの開発や遺伝子発現増強核酸にも取り組みます。PLCMについては、製剤改良に加え、第一適応症に対するヒトでの有効性確認と並行して第二適応症でも開発を進め、早期に医薬品価値の最大化を図ります。

医薬品を世界中の患者さんのもとに届けるためには、グローバル開発のスピードアップが不可欠であることから、新たにグローバル開発に特化したマネジメント部門を設置するとともに、プロジェクトの優先順位付けや資源配分の最適化を推進する部門を新設しました。また、各国当局との交渉力を向上させ、迅速承認の可能性を追求するとともに、頑健性のある臨床試験の計画立案にも取り組んでいます。これらの取り組みを通じて開発スピードと成功確率の向上を図り、2035年のありたい姿「一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社」の実現に向けて邁進します。

日本新薬とは

価値創出ストーリー

価値創出への取り組み

ガバナンス

コーポレート・データ

マテリアリティと
関連するSDGs

イノベーションの創出による健康未来の実現



地球環境保護への取り組み強化

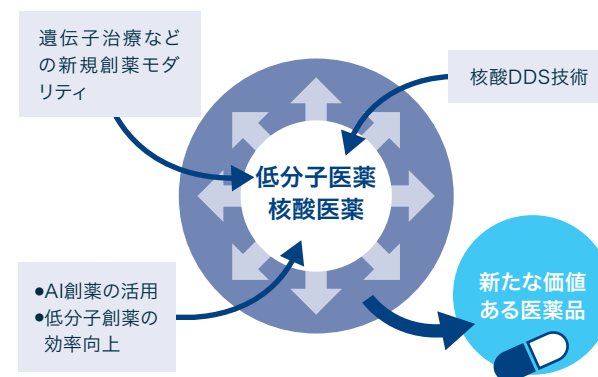


社会課題の解決とコミュニティとの共生



独自性を追求した研究開発

当社では、PH治療剤「ウブトラピ」などの低分子医薬品と、DMD治療剤「ビルテプソ」などの核酸医薬品という異なる二つの基盤技術、創薬モダリティを駆使して、新薬を創出してきました。この強みを生かし、今後も両創薬モダリティの研究を発展させ、さらには遺伝子治療などの新規創薬モダリティにも挑戦し、AIをはじめとする先端的な技術を創薬に活用することで、独自の創薬力を強化していきます。また、国内外の優れた技術やアイデアを積極的に取り入れるオープンイノベーションも活用して、研究開発における独自性を高め、患者さんのニーズに応える革新的な医薬品を迅速に創出していきます。



日本新薬の創薬基盤

当社は、核酸医薬と低分子医薬という、大きく二つの創薬基盤技術を有しており、それぞれの特長を生かし、新薬を生み出す研究に取り組んでいます。

核酸医薬は、遺伝情報に直接作用することで、疾患の根本原因に対する治療を可能とします。当社は、長年にわたり核酸医薬品の研究を続けており、数多くの困難を乗り越えて、国産初の核酸医薬品であるDMD治療剤「ビルテプソ」を上市しました。この過程で構築した核酸配列設計の基盤技術を応用することで、新たな創薬標的に応じた配列設計の最適化を図っています。現在はDMD領域を中心に研究開発を進めていますが、中枢神経系領域などへも展開していきます。

低分子医薬は、従来広く使用されている手法であり、化学合成された化合物が標的分子に結合することで、その機能を調節します。当社は、特長ある化合物ライブラリーの構築やヒット化合物探索体制の強化を通じて、新規低分子医薬品の効率的な開発を推進しています。難病・希少疾患や血液内科領域疾患を中心に注力領域を設定しており、開発の初期段階から複数の適応症で並行して開発を行うことでPLCMを推進しています。

今後は、核酸創薬と低分子創薬の特長を生かした「核酸・低分子複合体創薬」にも取り組んでいきます。これらの基盤技術を駆使し、高いレベルの創薬研究体制を構築・維持しながら、患者さんのニーズに応える新薬の創出を進めています。

新たな創薬モダリティへの継続的挑戦

PH治療剤「ウブトラピ」、DMD治療剤「ビルテプソ」の成功の背景には、新たな治療コンセプトの創出や、新たな創薬モダリティ活用への継続的な挑戦がありました。

新たな創薬モダリティは、大きな可能性を秘めていますが、ヒトの疾病治療に初めて使用されるケースもあることから、特にその安全性と有効性を慎重に確認する必要があり、実現には時間がかかります。当社が有する技術と親和性が高く、かつ特長ある新たな創薬モダリティを選択し、外部技術も活用することで、スピーディーに、かつ質の高い新たな医薬品を創出し、効果的な医薬品を一刻も早く患者さんのもとへ届けることで、ありたい姿の実現を目指していきます。



イノベーションの創出による健康未来の実現

研究開発

オープンイノベーション

世界の創薬研究開発をリードするスタートアップやバイオテック企業、さらにハーバード大学やマサチューセッツ工科大学などのアカデミアが密集する米国マサチューセッツ州のケンブリッジにInnovation Research Partnering (IRP)を開設しました。地の利を生かしたネットワーキング活動を通じて、最先端の技術情報やシーズへの直接的かつ早期段階でのアクセスが可能となります。IRPの情報収集・ネットワーキング活動で見出した技術あるいはシーズを導入し、当社が強みを有する技術と融合させることで、新たな創薬技術に基づく医薬品のスピーディーな開発を目指します。

また、最先端の研究を行う国内外のアカデミアと新たな治療コンセプトの創出段階から協業を進め、プラットフォーム技術の発掘、育成、開発を一貫して行い、世界に通用するFirst in Classの医薬品の創出を推進します。

これらのオープンイノベーション戦略により、当社の将来の柱となり得る新薬と新技術の創出を実現し、継続的なパイプラインの拡充を目指していきます。



Innovation Research Partneringが入居するビル

研究開発のスピードアップに向けた取り組み

第七次中期経営計画では「経営基盤の強化」の一つとして「研究開発のスピードアップ」を掲げました。

創薬研究については、研究テーマの起案から臨床試験開始までの期間の短縮と、自社品の年1品目以上の上市が可能な体制の構築を進めています。その担い手として、創薬研究を俯瞰的にマネジメントし変革を推進する創薬戦略部門を新設しました。創薬プロセスや標準スケジュールの最適化、進捗管理を徹底することで研究のスピードアップを実現しています。

また、独自で開発したAIを活用した創薬統合データベースを運用し、研究テーマの創出や課題対応を効率化・加速化しています。各研究テーマのリード化合物探索や安全性評価においても、その課題ごとに最適化したAIの活用が進んでおり、研究テーマの進捗に貢献しています。

第六次中期経営計画期間中に明確となった課題の一つである臨床開発の遅延への対策として、プロジェクトマネジメント強化、迅速承認の可能性の追求、頑健なスケジュール立案に取り組んでいます。具体的には、プロジェクトの優先順位付けや資源配分の最適化を推進する体制を整えました。また、研究所から米国子会社の臨床開発部門まで組織横断的に利用できるプロジェクトマネジメントツールの導入により、臨床試験の進捗を管理し、計画に沿った実施を実現します。さらに、グローバル開発のノウハウの共有にも活用し、遅延につながる問題の早期発見やプロアクティブな行動を促進しています。さらに、POC試験準備の前倒しや開発ステップ会議のプロセス整理などにより、開発の相移行期間の短縮にも取り組んでいます。これらによって、臨床開発のスピードアップと成功確率の向上を図ります。

創薬研究の効率化、スピードアップ

年1品目以上の自社品を上市できる体制の構築

▶ 限られた資源をどの分野にどの程度投じるかの資源配分、プロジェクトの優先順位付け

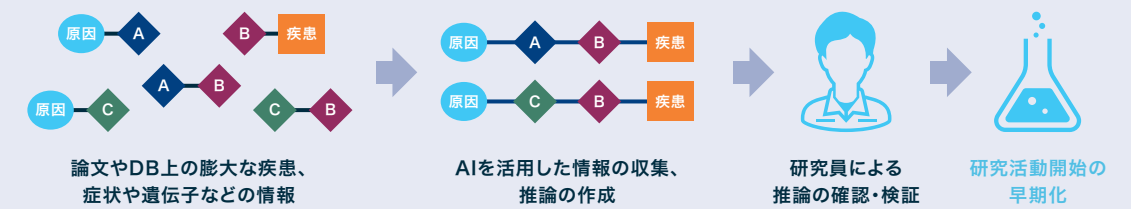
優先順位（成功確率、収益性、注力領域、事業価値など）に基づいた投資による、バランスの取れた研究開発パイプラインのポートフォリオを実現

▶ 年1品目以上の自社品上市を実現するための体制・取り組み

- 合議制の意思決定会議を新設し、迅速な情報共有・課題対応、徹底した進捗管理を行う
- 全員起案
- 創薬プロセスの整理・最適化による期間短縮

▶ AIを活用した効率的な研究開発の推進

〈イメージ〉



臨床開発のスピードアップ



プロジェクトマネジメント強化

- 経営全体での厳格な進捗確認
- メディカルドクター資格保有者の採用による海外当局との交渉力向上
- グローバルで柔軟に対応できる臨床開発体制の構築
- プロジェクトマネジメントツールの活用
- 開発ステップ会議の見直し、POC試験準備の前倒し



迅速承認の可能性を追求

- 早期からバイオマーカー探索を進める
- 当局との合意形成への取り組み



成功確率の向上

- 頑健性のある臨床計画立案
- POC試験の立案強化
- 臨床試験品目の優先順位付け
- POC取得後のパートナーリング検討
- 試験計画立案時期の徹底
- 医療技術評価 (HTA) と臨床開発を並行して推進する体制構築

イノベーションの創出による健康未来の実現

研究開発



全員起案

当社では「探索薬効部門は誰もが当たり前」に新規研究テーマ起案を行う文化を醸成する」という方針のもと、「全員起案」に取り組んでいます。新規研究テーマの起案は創業の出発点であり、これが滞ると研究開発パイプラインは拡充できません。「全員起案」は、起案業務を特定の研究員のみ

に任せるのではなく、探索薬効部門に所属するすべての研究員が年に一度は、アイデアの創出に挑戦する取り組みです。研究員の年齢層や技術、経験には差がありますが、創業の根底にある「困っている患者さんを助けたい」「自分たちの手で薬を届けたい」という想いは皆同じです。そこで、経験が浅い研究員でもその想いを実現できるように、起案からテーマ推進までをマネジメントする部門を設置し、アイデア創出を支援しています。また、起案に必要な検討項目をリスト化し、それを埋めることでおのずと起案に到達できる仕組みを構築しています。多様な人財がいるからこそ生まれる多様なアイデアによって「独自性」を追求し、互いに切磋琢磨しながら「世界に通用する新薬」の創製を目指しています。

知的財産

当社グループでは経営理念の実現に向けて新たな創薬モデルへの挑戦やグローバル化を掲げています。これらを推進する上で知的財産が重要な役割を担うことを認識し、その保護と活用を通じて自社事業の優位性を強化し、継続的な企業価値向上を図っています。また第三者の権利調査による知的財産リスク管理を徹底しています。

研究開発活動と知的財産

研究の早期段階から知的財産部門と研究開発部門が連携し、自社で創製される医薬品や機能食品を複数の特許で多面的かつ戦略的に保護しています。また、社内委員会においてグローバルな研究開発戦略や事業戦略を強固にするための特許ポートフォリオの構築と活用を検討しています。

知的財産の把握と分析

中長期的に自社に重要になると想定される技術分野を中心に特許動向調査や競合の知的財産分析を行い、早期の知的財産リスク管理のほか、研究開発戦略や事業戦略に活用しています。さらに、自社製品とその周辺を保護する知的財産の分析を行い、戦略的ライセンスを含む自社研究開発や事業拡大の機会創出を図っています。

商標による信用・ブランド構築

自社で創製される医薬品や機能食品に応じた適切な製品名を決定し、それらを商標権で保護することにより、信用・ブランド構築を図っています。

メディカルアフェアーズ

メディカルアフェアーズのミッションは、アンメットメディカルニーズ*を特定し、それを充足させるための医学・科学的なエビデンスを構築し、医療関係者や患者さんへ情報発信することです。すべての患者さんへ最適な医療を届けるため、自社医薬品の医療上の価値を最適化し、患者ベネフィットの向上に貢献することを目指しています。そのため、既存治療や診断の状況など対象疾患に関する課題や、治験情報だけでは補いきれない自社製品に関する情報を、医科学の専門家や患者団体との交流、各種調査を通じて収集しています。収集した情報を基にメディカルプランを策定し、それに沿ってエビデンス創出活動や疾患啓発活動を行っています。

*アンメットメディカルニーズ：医療関係者や患者さんにとって十分に満たされていない医療ニーズのこと。例えば、いまだに有効な治療方法が見つかっていない病気に対するニーズや新しい治療薬や治療法のニーズなどが挙げられる。

患者さんのために

治療を最適化するためのエビデンスを創り出す活動として、自社医薬品における非臨床研究、臨床研究、データベース研究、レジストリ研究などのさまざまな研究に取り組んでいます。いくつかの研究成果については、学会発表や論文投稿にて公表しました。また、患者団体との協働を進め、血液

がんや筋ジストロフィーに関する市民公開講座の開催や、患者さんの声を聴き社会に届けるための企画などを実施しました。これからも患者さんを想い、そして患者さんの意見を取り入れた医薬品開発に取り組んでいきます。