

独立行政法人医薬基盤研究所



- (独) 医薬基盤研究所は、創薬に特化した研究所として、平成17年4月に創設。
- **難病治療の研究**、毒性評価の研究、次世代ワクチン研究の3分野の研究を積極的に進め、大学等の基礎研究と、民間企業の医薬品開発との橋渡し研究を進める。



臨床と基礎の連携研究体制



各診療科

呼吸器内科・消化器内科
免疫アレルギー内科
皮膚科・眼科 など

特発性間質性肺炎
炎症性腸疾患
レイノー病
ベーチェット病
などの難病患者

臨床検体・臨床的知見の提供



研究成果をフィードバック

医薬基盤研究所



難病・疾患資源研究部

- ・ 不死化細胞
- ・ KOマウス、モデル動物等作成
- ・ DNA調製、シーケンス解析



細胞・動物

難病研究リソース提供



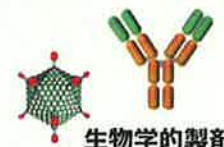
質量分析装置

次世代シーケンサー

創薬基盤研究部

遺伝子・細胞・タンパク質工学
バイオインフォマティクス
などの先端研究技術

- ・ バイオマーカー探索
- ・ 診断法、治療薬の開発



生物学的製剤

創薬基盤技術による研究成果を臨床にフィードバックし、難病の診断・治療に展開

創薬基盤研究部

生物製剤を用いた難病の横断的治療

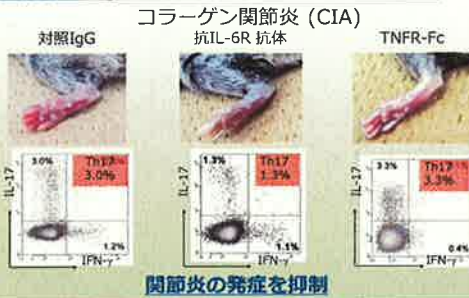
最近、生物学的製剤（レミケド、エンブレル、ヒュミラ、アクテムラ、オレンシアなど）と呼ばれる新薬が次々と開発されています。これら製剤の多くは、関節リウマチの治療薬として使用されていますが、他の難病治療にも有効である可能性があります。われわれの研究室では、生物製剤の作用の違いを動物モデルで詳しく解析し、各製剤のもつポテンシャルにあわせて、これら製剤を難病の横断的治療薬として応用していく可能性について検討しています。

関節炎モデルや炎症性腸疾患モデルにおいて、IL-6阻害療法とTNF阻害療法間の作用機序の相違点を明らかにしました



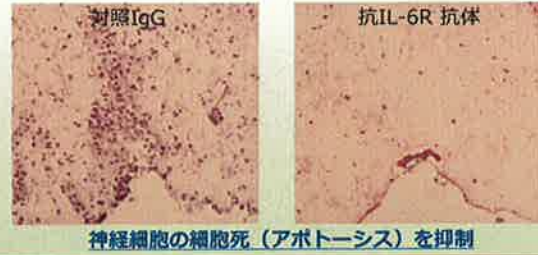
生物学的製剤の効果が期待できるあらたな疾患を提唱しています

(関節リウマチ) Fujimoto et al *Arth Rheum* 2008



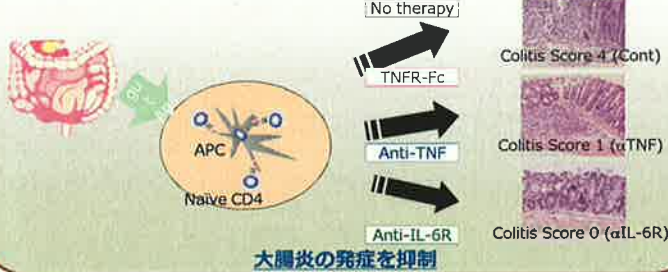
(多発性硬化症) Serada et al *PNAS* 2008

実験的アレルギー性脳脊髄炎 (EAE)



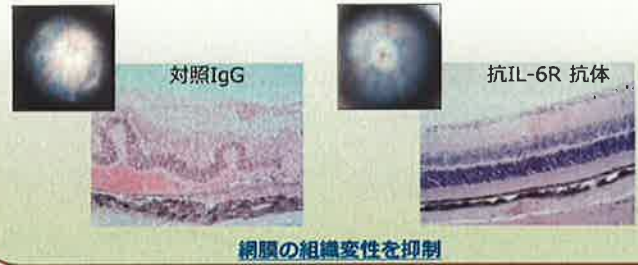
(炎症性腸疾患) Terabe et al *IBD* 2010

トランスファー腸炎



(ぶどう膜炎) Hoki et al. *Exp Eye Res* 2010

実験的自己免疫性ぶどう膜炎 (EAU)



臨床検体を用いた難病研究

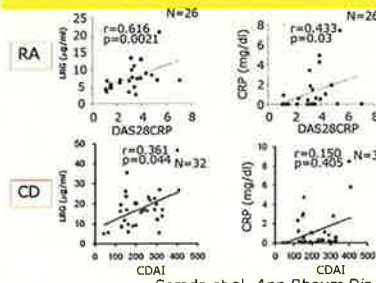
血清などの臨床検体から得られる蛋白をプロテオミクス手法により解析しています。

最新の質量分析計を解析に使用します



クローン病や関節リウマチなど炎症性疾患の活動性を評価する新規血清マーカーを同定

現在使用されている炎症性マーカーCRPより新規マーカーLRGは鋭敏に炎症に反応する



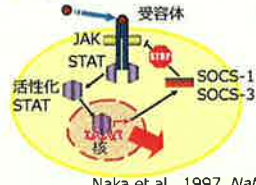
LRGは新規難病マーカーとして有用である

関節リウマチ
炎症判断の物質特定
薬理学的研究 早期発見しやすく

日本経済新聞
2009年10月28日

難治性の癌に対する新規治療開発

サイトカイン



- 増殖 (→ 癌)
- 活性化 (→ 免疫病)

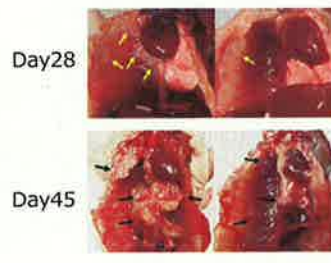
新開発のアデノウイルスベクターを用いたSOCS分子導入による遺伝子治療への応用



SOCS (Suppressor of cytokine signaling) と呼ばれる分子群は、癌の増殖因子となるサイトカインシグナルのブレーキ役として生体内で作用しています。SOCSの作用を増強すれば、癌などの治療に応用できると期待されます。

有効な治療法が確立されていない悪性胸膜中皮腫の新規治療として、胸腔内へのSOCS遺伝子治療が有望であることを明らかにしています。

SOCS遺伝子治療は生体においても悪性胸膜中皮腫に対して有効である



Iwahori et al *Int J Cancer* 2010

新規治療法として有望

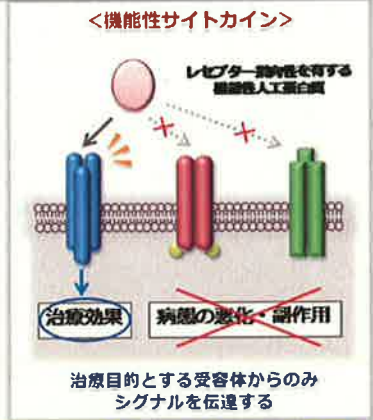
中皮腫治療に道
毎日新聞
2010年10月13日

創薬基盤研究部

タンパク質工学を駆使した難病の分子病態解明と治療薬の開発

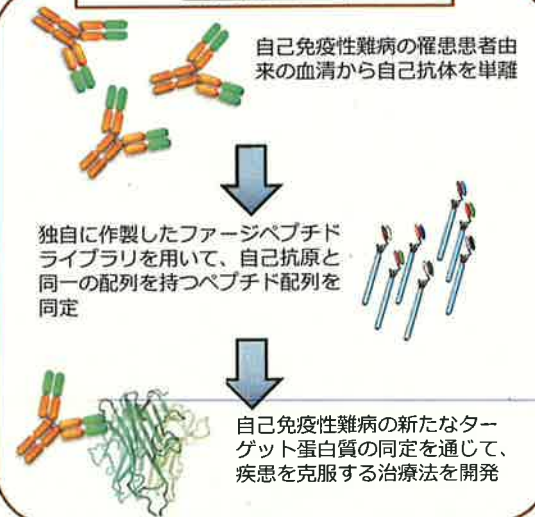
疾患プロテオミクス研究の進展
疾患の発症・悪化、治療に関わる蛋白質の同定

▶▶▶ 蛋白質を有効活用した医薬品開発



難病治療に向けた生物学的製剤の創製に寄与

自己免疫性難病患者の血清抗体に対する
抗原の網羅的検索



難病・疾患資源研究部

高水準の生物資源の供給による研究開発支援

難病・疾患研究

霊長類医科学研究センター
Tsukuba Primate Research Center

培養資源
バンク



Laboratory of
Cell culture

難病資源
バンク



Laboratory of
Rare Disease Biospecimen

疾患モデル
小動物



Laboratory of Animal Models
for Human Disease

薬用植物資源
研究センター



Research Center for
Medicinal Plant
resources

政策・倫理研究室(研究資源の流通枠組みの検討)
Office of Policy and Ethics Research

研究者



研究機関・製薬会社

臨床



患者・医師



難病・疾患研究用生物資源の収集・保管・品質管理・供給を行う国内有数の総合生物資源バンク！
医療機関と、製薬企業や大学など研究分野との橋渡しをすることで、研究発展に寄与します！