



## バイオビジネスアワードJAPAN 受賞案件の概要

### バイオビジネスアワード

#### 新規ターゲット抗ガン剤（世界初ユビキリン1阻害薬）

佐賀大学 医学部 血液・呼吸器・腫瘍内科 教授  
医学部附属病院がんセンター長  
医学部附属病院治験センター長 きむら しんや 木村 晋也 氏

#### 〔概要〕

われわれは、ブラジルおとぎり草の茎（くき）から抽出した3環形クマリン物質に強力な抗がん作用があることを発見し、GUT-70と命名した。さらにGUT-70を改変し、より抗がん作用の強力なBNS-22の合成に成功した。理化学研究所・長田博士、川谷博士らとの共同研究により、GUT-70/BNS-22は不要になった蛋白質を運搬するユビキリン1に結合し働くことがわかった。ユビキリン1阻害剤は、これまで見つかっておらず、GUT-70/BNS-22は、まったく新しいタイプの抗がん剤となることが期待される。

### バイオ先端知賞

#### 肝星細胞とサイトグロビンの機能解析を中心とした肝線維症の解明とバイオマーカー、治療法の開発

大阪市立大学大学院 医学研究科 教授 かわだ のりふみ 河田 則文 氏

#### 〔概要〕

「沈黙の臓器」肝臓の病気は徐々に進み、慢性肝炎、肝硬変、さらには肝癌にもなりえる。ウイルス、アルコールや脂肪肝などの肝炎患者は、本邦で2千万人に達すると推測されている。肝炎ウイルスの治療は急展開しているが、それ以外の疾患に対する新薬は未開発である。また、肝臓病の病期を診断する非侵襲的バイオマーカーの開発も遅れている。私達は、肝毛細血管（類洞）の研究を通してサイトグロビンというグロビン蛋白質を発見した。この研究を基軸としつつ新薬やバイオマーカー開発を展開し、世界の肝臓病診療に貢献する。



## 彩都賞 (発表順)

### 核の外側から遺伝子情報を操作する技術 (CytoTune™) を用いた創薬への応用

ディナベック株式会社 取締役、事業部長 <sup>いのうえ まこと</sup> 井上 誠 氏

#### 〔概要〕

人工多能性幹細胞 (iPS 細胞) 技術により、ヒト細胞を容易に実験室や応用の現場で使用できることとなった。それにより、再生医療の早期実現の可能性を高めた他、疾病メカニズム解析、薬物スクリーニング・毒性試験など、創薬プロセスへのパラダイムシフトがもたらされつつある。CytoTune-iPS は、染色体に傷のない iPS 細胞を世界最高水準の作製効率で調整することを可能とした。さらに CytoTune はヒト細胞の分化誘導にも優れた性能を有しており、iPS 細胞技術に基づく創薬への応用に威力を発揮する。

### 難治性神経疾患の治療薬 (HGF 組換え蛋白質)

クリングルファーマ株式会社 取締役 C F O <sup>しもじょう ともや</sup> 下條 智也 氏

#### 〔概要〕

肝細胞増殖因子 (HGF) は、神経系組織の傷害に対する保護や修復を担う生理活性物質である。HGF は筋萎縮性側索硬化症 (ALS) や脊髄損傷などのモデル動物への投与で顕著な薬効を示し、治療アンメットニーズの高い難治性神経疾患に対する新規治療薬となる可能性がある。クリングルファーマ社は、HGF 組換え蛋白質の治験薬製造法を確立し、ALS 患者を対象とする第 I 相臨床試験を東北大学病院において開始した。今後、ALS や脊髄損傷に対する有効性を確認し、大手製薬企業と提携して HGF 組換え蛋白質の医薬品化を実現する。

### 炎症性サイトカイン HMGB1 をターゲットにした新規脳梗塞治療抗体 — 抗体治療の展開 —

岡山大学大学院 医歯薬学総合研究科 教授 <sup>にしほり まさひろ</sup> 西堀 正洋 氏

#### 〔概要〕

High mobility group box-1 (HMGB1) は細胞核に局在し、クロマチン DNA の構造維持や遺伝子転写調節に関与する蛋白性因子である。虚血障害を受けた神経細胞では核から細胞質を経て細胞外へ放出され、脳内炎症を駆動するサイトカインとして働く。HMGB1 のサイトカイン活性を中和する単クローン抗体は、ラット脳虚血による脳梗塞モデルにおいて脳内炎症を抑制することによって、脳梗塞サイズを劇的に縮小し、運動麻痺の症状を著明に改善した。抗 HMGB1 抗体は有望な脳梗塞治療薬である。