第15回がん新薬開発合同シンポジウム
第2部医薬品開発の未来予想 NCC SAPでのカンパニークリエーション

投資家視点で見る：日本のDDS・タンパク質医薬品シーズにおける社会実装への課題

株式会社 慶應イノベーション・イニシアティブ　　鈴木利洋

近年のプロテインエンジニアリング薬の社会実装

2013年 KADCYLA
疾患：がん
種類：ADC（初）

2018年 HEMLIBRA
疾患：血友病A
種類：二重特異性抗体（初）

2020年 Trodelvy
疾患：がん(新規標的薬)
種類：ADC

多くの臨床試験が実施
大手製薬企業との提携
/M&Aも活発

2014年 Blincyto
疾患：B-ALL
種類：Tcell engager（初）

2019年 Enhertu
疾患：がん(新たなSOC)
種類：ADC

KEIO INNOVATION INITIATIVE

2023年以降のプロテインエンジニアリングの提携・M&A動向

革新的なモダリティがヒトでの有効性（PoC）を確立した結果、多くのBiotechが開発に参入
これに伴い製薬大手との提携やM&Aが活発に行われている。

	スタートアップ（技術保有企業）	大企業	金額（USD）	内容
提携	LaNova	Merck(MSD)	2.7B	PD-1×VEGFの二重特異性抗体によるがん治療
提携	3SBio	Pfizer	6B	PD-1×VEGFの二重特異性抗体によるがん治療
提携	LegoChem	Janssen	1.7B	TROP2標的ADC。Phase1/2実施中
提携	Synaffix	Amgen	2B	独自のリンカー・DAR制御技術の提供によるパイプライン開発
提携	AimedBio	Boehringer	991M	韓国のADCのがん治療開発に取り組む
提携	Alchemab	Eli Lilly	415M	FTD 発症の遺伝変異を持ちながら健康を保つ稀少者から出されたALS抗体
提携	Earendil Labs	Sanofi	1.7B	AIにより創出したIBD向け二重特異性抗体の2パイプラインを導出
提携	Dren Bio	Sanofi	1.9B	自己免疫疾患に対して二重特異性抗体によるB細胞の除去を目指す
提携	IGI	AbbVie	1.9B	CD38×BCMA×CD3の三重特異性抗体による多発性骨髄腫治療
提携	BioNTech	BMS	11.1B	PD-L1×VEGF-Aの二重特異性抗体によるがん治療
買収	ImmunoGen	AbbVie	10.1B	主力品ELAHEREを含むFRαやCD123標的のADCを獲得
買収	Araris Biotech	大鵬薬品	1.1B	高い血中安定性と腫瘍特異的なリリース能を持つ高溶解性リンカーを保有
買収	ProfoundBio	Genmab	1.8B	FRα標的ADCなど複数のADCパイプラインを保有

プロテインエンジニアリングの開発の加速

PoCが確認されたモダリティは、技術応用が急速に加速し普及が進む。特に今後はAI/ML/LLMの導入により、その開発スピードはさらに加速すると予測

創薬研究のプロセス

アイデア着想	標的分子の特定	リード骨格の探索	リード骨格の最適化	開発候補品の絞り込み	前臨床試験	臨床試験
	評価系構築	in vitro スクリーニング	in vitro/vivo スクリーニング	薬効.薬理 薬物動態/毒性	薬効.薬理 薬物動態/ GLP-Tox	ADC、Tcell Engager、Bispecific抗体などの新モダリティの臨床PoCの確認

ヒトPoCの確認→次世代モダリティの開発

次世代モダリティの開発

ADCリンカーのリリース・導入数制御、新規ターゲットに対する開発、多重特異性抗体、構造改変タンパク

- AI/ML/LLMを活用した創薬開発の劇的な加速
- 開発の極めて早期段階から製薬企業が高い納得感を持つ実証データの取得を実現

プロテインエンジニアリングは「予測」から「生成」へ

多額の提携や資金調達に成功する企業が増大。デザインをゼロから書き換えていく時代が到来

-直近のAI/ML/LLMを活用したプロテインエンジニアリングのBiotech-

スタートアップ	内容
xaira	・LLMとマルチモーダルデータを統合したプラットフォームを構築。 ・従来の創薬を圧倒的に超える新規標的の同定と多様なモダリティの創出を目指す。 ・2024年に１B USD超の巨額のシード資金調達で設立されたAI創薬ユニコーン。
Profluent	・LLMによる機能性タンパク質のゼロからの生成を強みとする。 ・特にゲノム編集技術や遺伝子治療に注力。LLMにより、天然酵素よりも高特異性・高安定性を持つ人工的な酵素タンパク質を創出。遺伝子治療の安全性と効率を根本から向上。 ・2025年11月には106M USDの大型資金調達に成功。
Generate:Biomedicines	・生成AIを用いて、抗体、ペプチドなどをゼロから設計。 ・複雑な構造を持つ多重特異性タンパク質の設計・最適化に強み。 ・2022年Amgenと最大1.75B USDの大型共同開発契約を締結。累計資金調達額は80M USD超。
Isomorphic Laboratories	・Google DeepMind発。AlphaFoldの知見を基盤とした構造予測・相互作用予測AIに強み。 ・生物学的プロセスをデジタルモデル化し、創薬プロセス全体の効率化と成功率向上を目指す。 ・Eli Lilly、Novartisなど大手製薬企業と数十億USD規模の大型提携を締結。

DDS技術もプロテインエンジニアリングと同じ道筋を辿るのではないか？

2015年 ONIVYDE
疾患：転移性膵臓腺癌
DDS：リポソーム
原薬：低分子

2018年 ONPATTRO
疾患：ATTR-CM
DDS：LNP（初）
原薬：siRNA

2019年 GIVLAARI
疾患：AHP
DDS：GalNAc(初)
原薬：siRNA

2020年 Leqvio
疾患：高コレステロール血症
DDS：GalNAc
原薬：siRNA（希少疾患以外で初）

2017年 VYXEOS
疾患：急性骨髄性白血病
DDS：リポソーム
原薬：低分子

2019年 COMIRNATY
Spikevax
疾患：COVID-19
DDS：LNP
原薬：mRNA（初）

2020年 Oxlumo
疾患：PH-1
DDS：GalNAc
原薬：siRNA

2021年 IZCARGO
疾患：ムコ多糖症II型
DDS：抗体
（初の脳送達DDS）

2022年 AMVUTTRA
疾患：ATTR-CM
DDS：GalNAc
原薬：siRNA

KEIO INNOVATION INITIATIVE

2025年の資金調達・提携・M&Aから見るDDSの現在地

LNP/GalNAc/TfR抗体等のDDS技術の臨床PoC獲得を皮切りにDDSの開発は次の段階へ
送達臓器・適応・対応モダリティが拡大し社会実装フェーズに移行

	スタートアップ（技術保有企業）	大企業	金額（USD）	モダリティ	標的臓器	内容
提携	ABL Bio	GSK	2.5B	Bispesific抗体	脳	IGF1Rを標的としたBBB通過技術を保有。Phase1後に提携
提携	Sangamo	Eli Lilly	1.9B	AAV	脳	BBB通過技術を保有。前臨床で脳内遺伝子発現が約700倍に増加を確認
提携	Manifold Bio	Roche	2B	タンパク	脳	AIと独自のhigh throughput in vivo screeningによるデリバリー因子ライブラリーを保有。
提携	BioArctic	Novartis	802M	抗体	脳	TfRを標的としたBBB通過技術を保有
提携	Sironax	Novartis	175M	不明	脳	BBB通過技術による提携
提携	Camurus	Eli Lilly	870M	タンパク	肥満	液晶技術によるGLP-1作動薬の数か月間の長期徐放製剤を目指す
提携	Re-Vana	Boehringer	1B	低分子/抗体	眼	光架橋DDSによる6-12か月間の長期除放製剤開発を目指す
買収	Capstan	AbbVie	2.1B	in vivo CAR-T	がん	CD8+ T細胞選択的標的(80% CAR-T化の達成)
買収	Avidity	Novartis	12B	AOC（核酸）	神経・筋	筋送達DDSとして初の臨床PoCを確認。Phase1/2後に買収
買収	Verve Therapeutics	Eli Lilly	1.3B	ゲノム編集	心血管	GalNAc-LNPを用いたin vivoゲノム編集治療の開発　P1b終了後に買収
買収	Orbital Therapeutics	BMS	1.5B	in vivo CAR-T	がん	独自のRNAエンジニアリング・LNP・AI設計を統合した独自のプラットフォーム技術を保有
資金調達	Judo Bio	-	100M	siRNA	腎臓	メガリン受容体を標的としたリガンド-siRNA複合体を開発。2025年Non-Human Primatesに対する送達を示す
資金調達	STYLUS	-	85M	in vivo CAR-T	がん	LNPによるin vivo CAR-T治療に取り組む。創業時にRA Capital、Eli Lilly、J&J、中外等から資金調達を受ける

これからのDDS

これまで理想のように語られてきた薬剤の選択的送達性が現実味を帯びてきている

	Step1	Step2	Step3
担体	臨床PoC確立 ☑ siRNA×静注（LNP） ☑ mRNA×ワクチン（LNP） ☑ 徐放製剤（PLGA/液晶等）	対応モダリティ・適応拡大 ☐ 対応モダリティの拡大 ☐ 承認品目の継続的増加	広範な難治性疾患と あらゆるモダリティに対応
送達因子（リガンド）	肝臓や脳送達DDSの臨床PoC確立 ☑ 肝臓標的(GalNAc) 脳標的（タンパク） ☑ 承認品目の継続的増加	リガンドによる標的臓器の多様化 ☐ 送達臓器種の拡大 ☐ がん特異的送達性能の強化（オフターゲットの低減）	疾患細胞のみを標的とする 次世代の精密ターゲティング 時代へ

既存機能の改善・新機能付与を目的とした新たな担体・送達因子の開発

（例）エクソソーム、AAV、ポリマーナノ粒子、VLP、デザイナー細胞

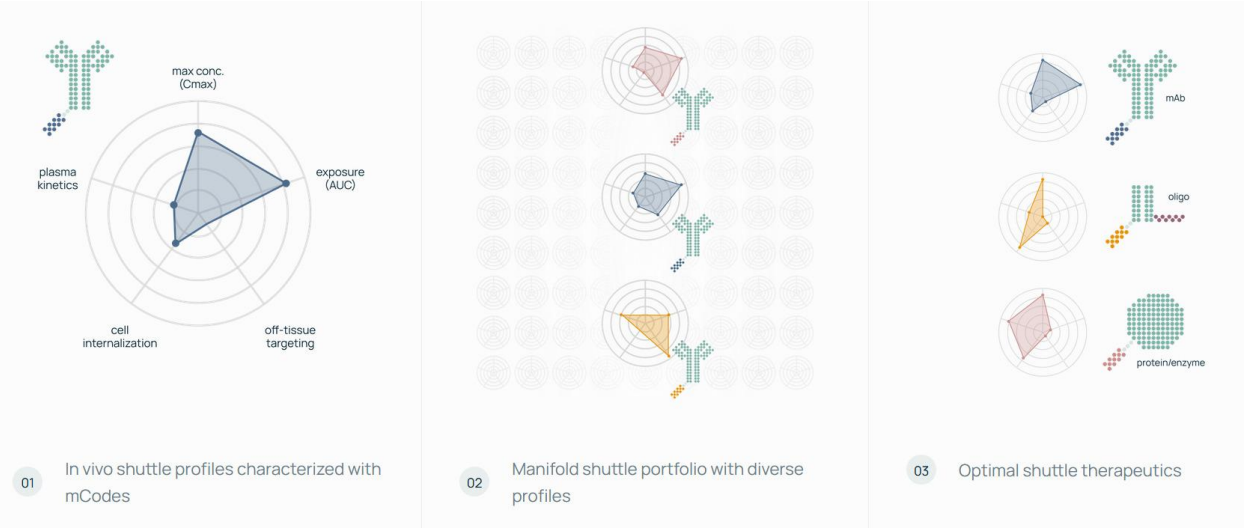
KEIO INNOVATION INITIATIVE

AIを組み合わせたDDS開発事例

極めて早期段階の技術においてもAIとWet実験データを組み合わせることで、製薬企業が信頼できる実証データの獲得を可能にする

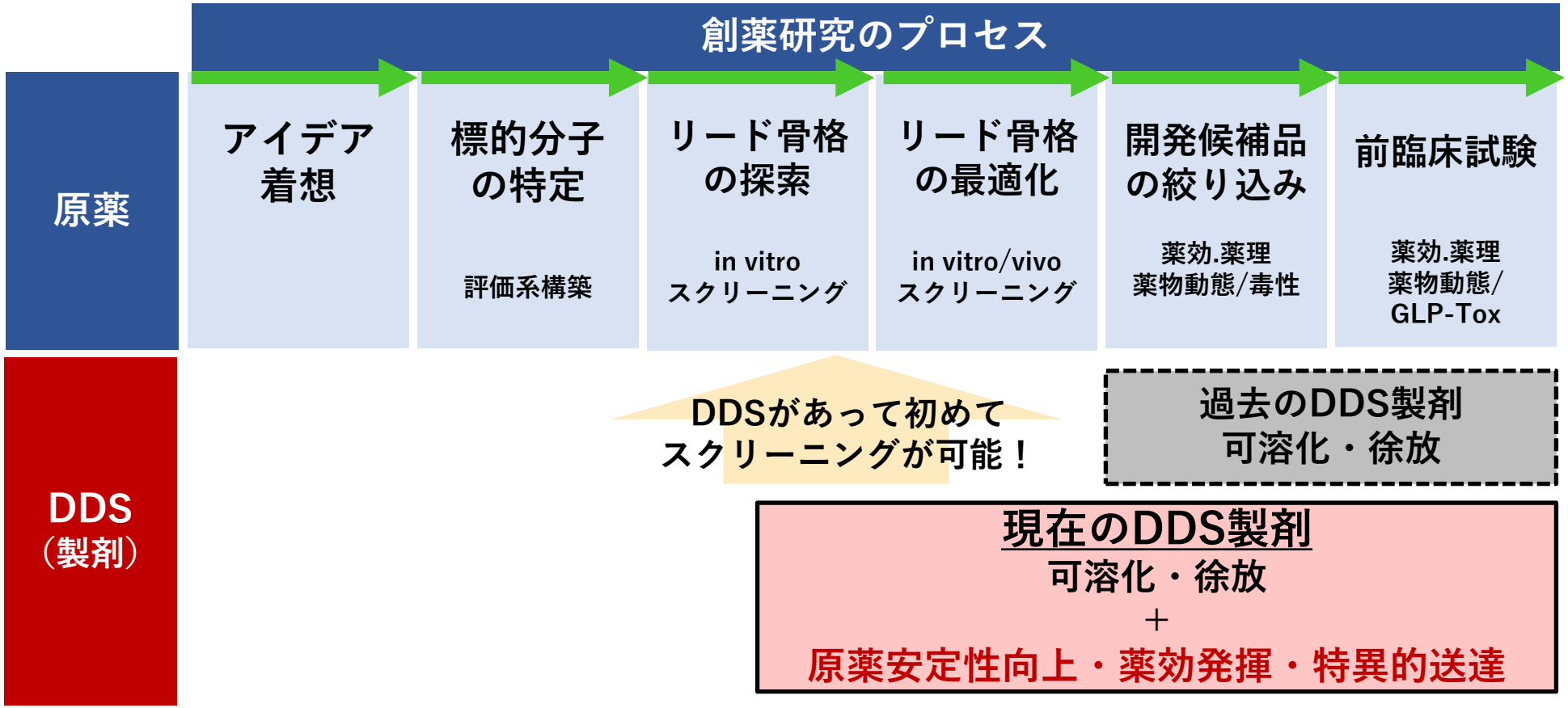
Manifold Bio × Roche

- 2022年ハーバード大George Church教授により設立
- 2025年10月 脳血液関門（BBB）通過DDS技術の開発を目的に総額2B USD越の共同開発契約を締結。Manifold BioがBBBシャトルの探索・開発をリードし、Rocheが前臨床以降を担当。
- 独自のmCodes™タンパク質バーコード技術を開発。AIデザインと大規模な生体内機能解析（direct-to-vivo）を統合したプラットフォーム。
- 一度のin vivo試験で100種類以上のタンパクの性能を評価でき、従来のin vitroでは困難な、複雑なタンパク質の組織特異性を設計・最適化を実現



DDSがあるからこそ新薬が創出できる時代に

DDSは単なる製剤技術として位置づけされるのではなく、創薬研究において初期段階から原薬とともに研究すべき必須な技術になっている



KEIO INNOVATION INITIATIVE

DDS・プロテインエンジニアリング技術によるスタートアップ創出

両技術発のスタートアップはともにアンメットメディカルニーズを解消し、数多くの次世代の医薬品を形作るプラットフォーム技術を保有するスタートアップになりうる

新薬・ブロックバスターの創出

新たな価値を提案するパイプラインの創出

製薬企業等との連携が可能なプラットフォーム技術を保有する事業価値の高いスタートアップ

製薬企業/VCを惹きつけるプラットフォーム技術

DDS

- 臓器/疾患特異的送達
- 薬効向上に資する担体
- アドヒアランス向上を志向した製剤

※一例

プロテインエンジニアリング

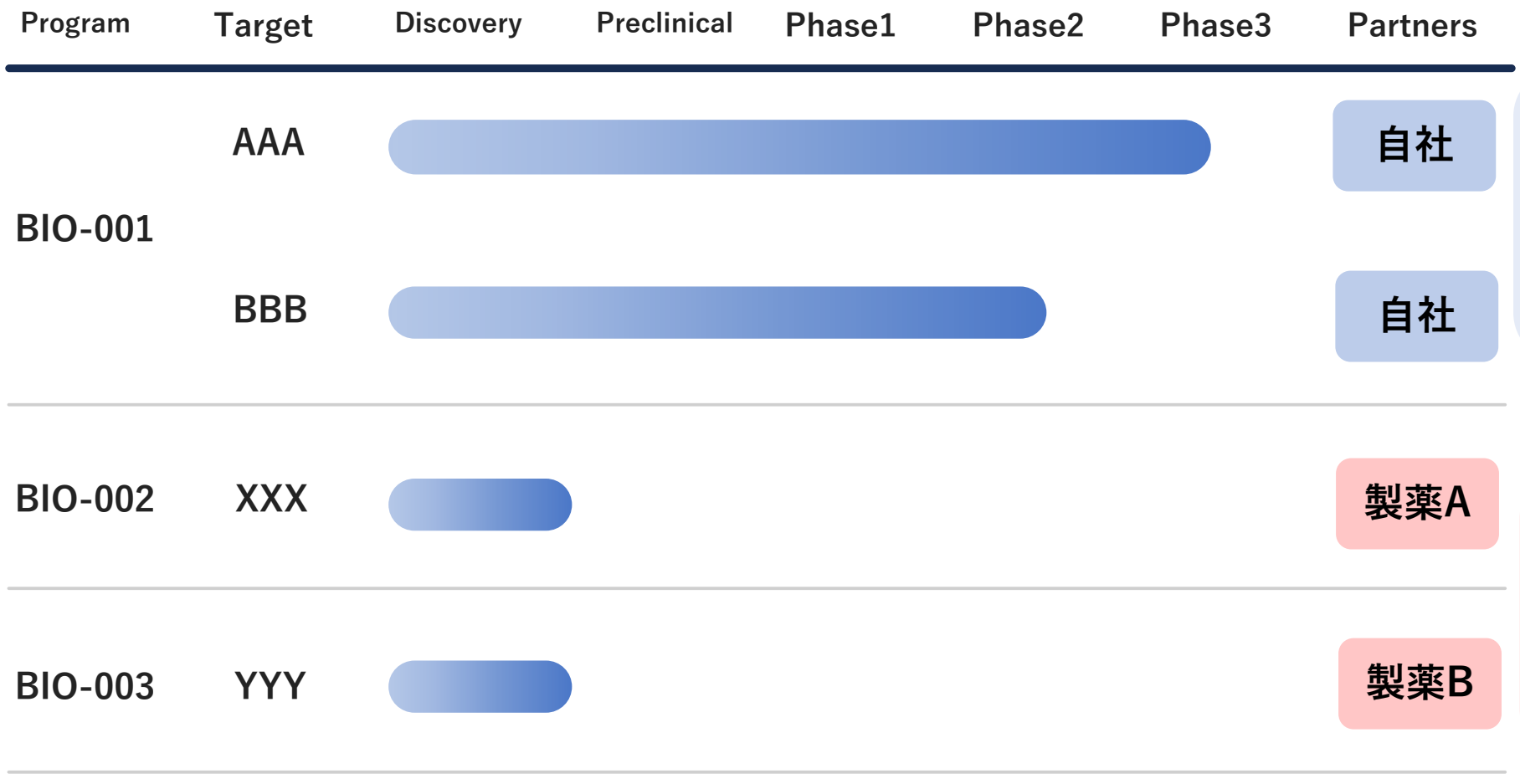
- 高速/高効率なタンパク構造最適化
- 体内/細胞動態を向上させる新規構造提案
- 安定かつ切れ味の鋭いADCリンカー

※一例

DDS・プロテインエンジニアリング由来のスタートアップが目指せる企業像

パイプライン型とプラットフォーム型の両方の絵姿を示せる→パイプライン単独のスタートアップと比べて事業価値の上乗せが可能。近年はプラットフォーム技術の取り込みも視野に入れたパイプライン買収が活発化

≪BioTechスタートアップのホームページ例≫



パイプライン型

自社で治験を進める
→治験終了後導出
＝自社でコントロール可能な事業価値

＋

プラットフォーム型

製薬企業と初期から提携
（パートナーが開発）
〇早期収益化
△創業初期の提携は困難
×自社で開発の制御不可

KEIO INNOVATION INITIATIVE

日本のアカデミア発新規技術の社会実装における課題

優れた技術はあるものの技術に適した疾患選定・魅せデータの不足・製造再現性に対する懸念が多い

特性を活かした疾患・原薬の特定

- 相性のいい疾患は何か
- その疾患のデータを取得できているか
- 競合品との優位性を明確に示せているか

開発品となりうるポテンシャルを示す

技術に合った適応疾患が示せていない

×

“尖った”性能データの獲得

- ウリとする性能を明確にデータで示す
- DDSで新規の送達コンセプトはヒトへの外装性が重要

注目してもらうためのデータ取得を追求

製薬企業が評価する魅せデータの不足

×

再現性のある製法

- 複雑系をどこまで制御できるか
- 工程/品質管理法があるか
- 不純物/副反応はないか

安心して使用できる技術であることを示す

再現性確認不足 評価不足/評価系の限界

技術に合ったポジショニングの確立

技術ドリブンのシーズにとってTPPの設計は苦手な傾向。技術特性に合ったポジショニングを仮定し、それに合ったデータ取得が重要な中で臨床・製薬企業からのニーズ聴取・連携は必須

TPP-Target Product Profile-

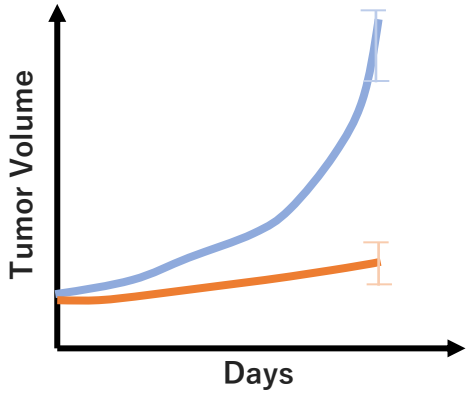
カテゴリー	内容	
対象疾患	最初に狙う疾患は何か　適応拡大の可能性はないか	既存/開発中の治療法と比較した際の明確な差別化要因は何かを意識
対象患者	どの患者層をターゲットとするのか（疾患ステージ、バイオマーカー）	
モダリティ	治療アプローチ	
有効性	どの程度の有効性が期待できるのか（ORR、PFSなど評価指標の目標値）	
安全性	副作用はどの程度か（許容可能な副作用の範囲と競合品との優位性）	
知財・製造	主要特許の残存期間と、治験薬・商用製剤の製造戦略	
投与方法	患者・医師にとって処方を受けやすい製剤設計か	

自身の技術…こんな魅せ方していませんか？

将来提携する製薬企業から興味を引き付けるデータを獲得するために橋渡し資金/期間がある

戦略のない薬効データ

○○がんで有意差出た！

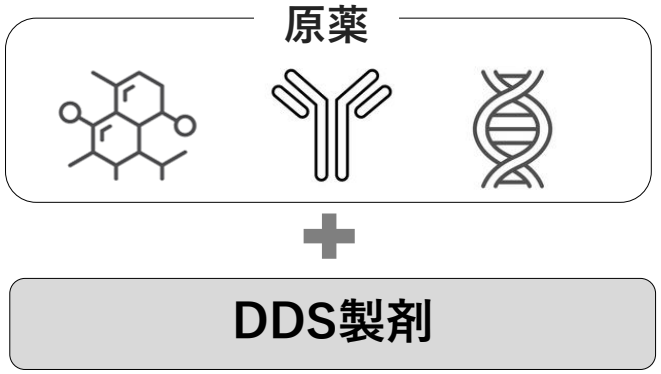


どの適応で使用するのか？
その適応における既存治療等と比べてどうなのか？

技術に適した疾患選定
→データ取得を突き詰める

尖りのない示し方

“何でも”使えます！



“何でも使える“＝”何にも使えない”
現状の技術で成しえない問題は何か？でデータ取得

キラーアプリケーションを示す
→“この技術でしか成しえない”

評価しにくい性能

目的の臓器に送達できた！
※ただし（半）定性的

他の技術と比べてどうなのか？
ヒトへの外装性はあるのか？

比較可能な指標で優位性を明示
→最大限に魅力を引き出す

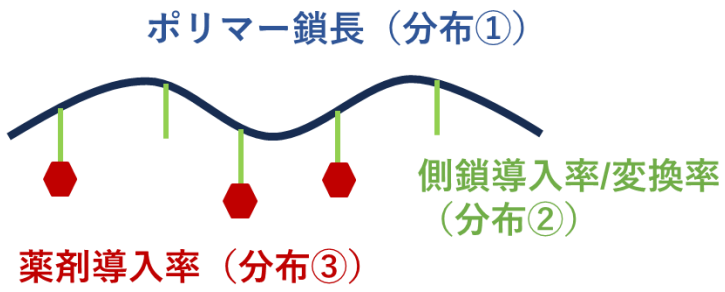
KEIO INNOVATION INITIATIVE

製造に向けた対応

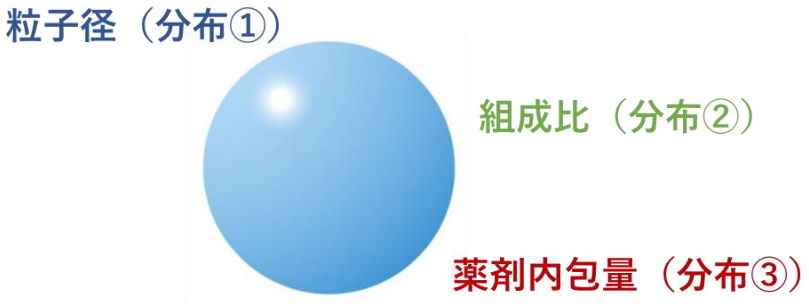
“本当に作れるの？”と問われがちな新技術→制御/GMP製造できる目途を示す必要がある

例１.DDS

ポリマー

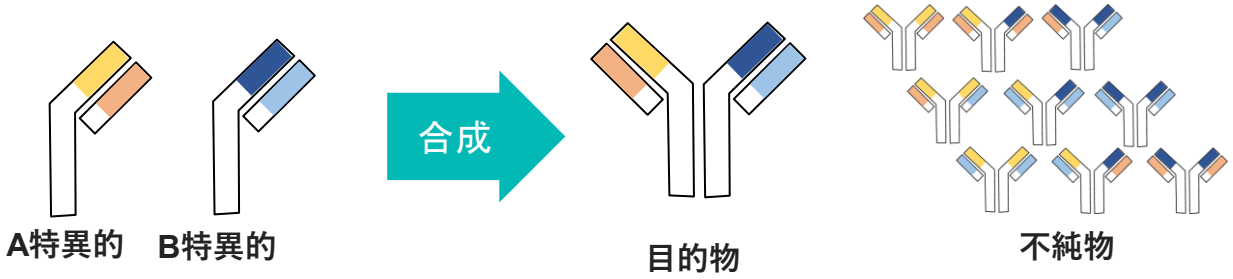


粒子

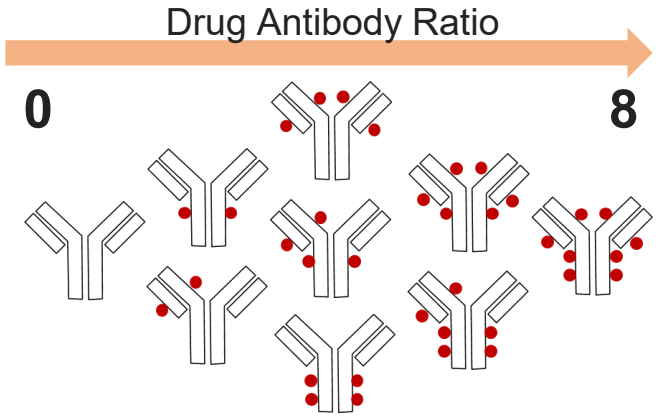


例２.プロテインエンジニアリング

多重特異性抗体



ADC



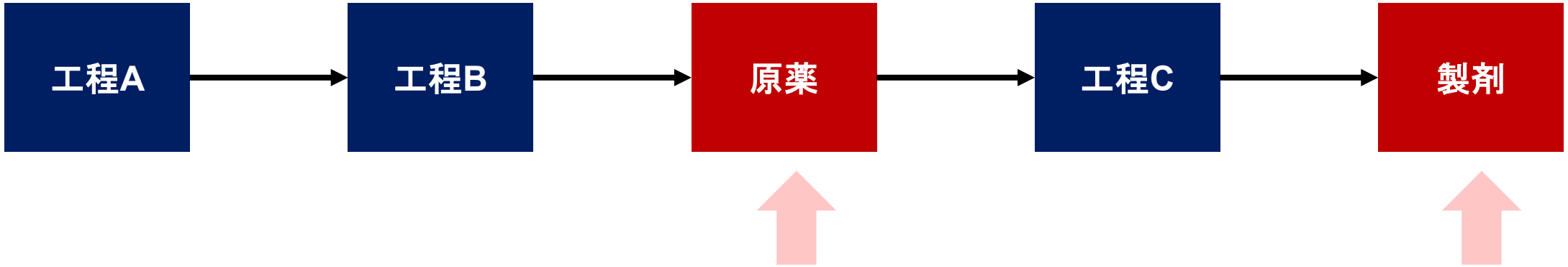
構造が複雑であるほど再現性が取れない原因に・・・

KEIO INNOVATION INITIATIVE

新規技術確立における分析の必要性

新規の技術・構造の製造にあたり、必要十分な工程管理/品質管理法が確立されていない/ベストな調製条件しかラボデータがない結果、製造の再現性を保証しにくいケースが多い。

≪合成プロセス例≫



最終的な品質（状態）を確認していますか？

- 分析項目不足/そもそも測定していない
- “再現性が取れている”＝“薬効で取れている”になりがち・・・

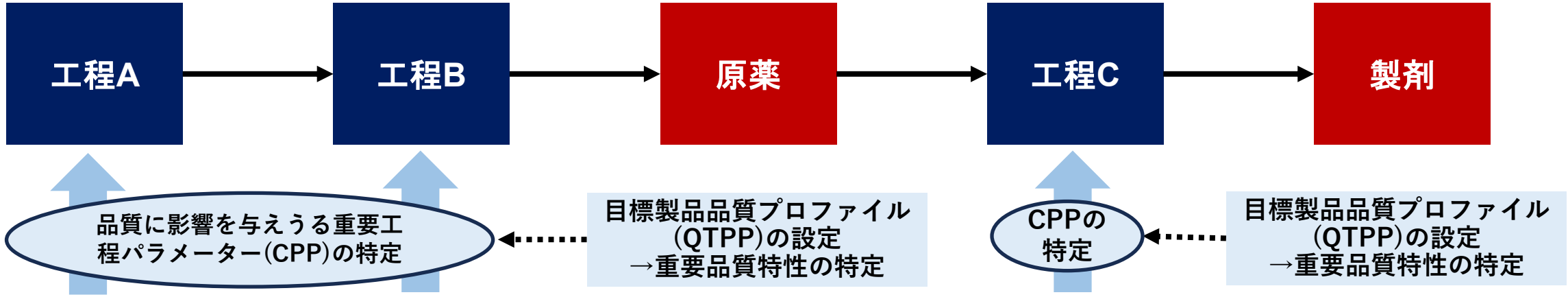
スケールアップ/製造・調製場所の変更で再現性が取れなくなる傾向

KEIO INNOVATION INITIATIVE

新規技術確立における分析の必要性

重要なのはプロセスの制御/そのための分析の実施。プロセスの制御により再現性が取れないリスクの低減が可能。まずはデータをとる/残しておくこと心構えが重要

≪合成プロセス例≫



最終品質をプロセスで管理していく重要性

安全性と有効性を確保するための品質特性を定義し、品質に影響を与えるプロセスの特定/プロセスによる設計・管理を行う→スケールアップの際の指標となる分析項目を設定
(ICH-Q8 Quality by Design(QbD)的アプローチ)

物性データ等をとりあえず取っておく姿勢・心構えが重要
(規格に入れるかはその後)

KEIO INNOVATION INITIATIVE

海外に対してどう戦っていくか

海外との資金力とスケールに対抗していくためには早期の段階からアカデミア・臨床・製薬企業・VCの考えを取り入れ、真に求められる薬剤を臨床に向けて最短で開発を進めていく考えが重要

日本のアカデミアシーズの課題を解決：事業化ギャップを埋める
NCC-SAP独自のカンパニークリエーションモデル

アカデミアとスタートアップ創業の間を埋める橋渡しプログラム

NCC SAPのAMED橋渡し研究プログラムは他拠点にはないCompany Creationモデルを運営
投資家目線だけでなく製薬企業からのフィードバックを受け、真に必要な治療薬創出を目指している

起業/VCからの出資に必要なデータの取得

技術特性を生かした疾患の特定　　魅せデータの取得　　再現性・製法確認

製薬企業/VCからのフィードバック　　知財戦略構築　　専門人材マッチング