

別紙 1. 今回の投資案件概要

ID: G2025-217

プロジェクト タイトル	マラリア予防を目的とした、マラリア電子伝達系を標的とする持続性注射剤の前臨床開発
製品開発 パートナー	1. 塩野義製薬株式会社（日本） 2. 長崎大学（日本） 3. Medicines for Malaria Venture (MMV／スイス)
疾患	マラリア
製品	治療薬
開発段階	非臨床試験
投資額	¥ 909,639,207
ステータス	継続
概要	【プロジェクトの目的】 本プロジェクトの目的は、マラリア予防に役立つ持続性注射剤の候補となる薬を臨床試験に進める準備を整えることです。薬の製造方法や製剤の検討、必要な原薬・治験薬の製造、安全性などを確認する非臨床試験を行い、臨床開発に向けた申請を完了することを目指します。具体的には、GHIT Fund の支援のもと、長崎大学、塩野義製薬、国立健康危機管理研究機構、Medicines for Malaria Venture (MMV) の協働により見出された、マラリア原虫の電子伝達系を標的とし、マラリアが体の中でたどる複数の段階に効果を示す薬の候補について前臨床開発を行います。 【プロジェクト・デザイン】 本プロジェクトでは、臨床開発を開始するための申請を2年以内に完了することを目指します。そのために、薬の製造方法や製剤の検討、必要な原薬・治験薬の製造、安全性などを確認する非臨床試験を行い、申請書類の作成を行います。
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/273/jp

ID: G2025-213

プロジェクト タイトル	東アフリカにおける内臓リーシュマニア症 (VL) の WHO 制圧戦略および、世界的な皮膚リーシュマニア症 (CL) 対策に貢献する革新的作用機序をもつ新規化合物の開発
製品開発 パートナー	1. Drugs for Neglected Diseases initiative (DNDi／スイス) 2. エーザイ株式会社（日本）
疾患	リーシュマニア症
製品	治療薬
開発段階	第 I 相臨床試験
投資額	¥ 778,354,588

ステータス	継続
概要	【プロジェクトの目的】 本プロジェクトは、独自の作用機序を持ち、VLのみならず、CLやシャーガス病などを引き起こす幅広いキネトプラスト類寄生虫に対して有効性が期待される経口治療薬候補「DNDI-6174」について、第I相初回ヒト投与試験まで開発を進めることを目的としています。 【プロジェクト・デザイン】 製剤開発: 薬剤製剤の製造を進め、第I相臨床試験に向けて治験薬を供給します。GMP-1 原薬及び製剤の安定性試験も継続します。 第I相臨床試験: 単回投与用量漸増試験 (SAD) で、安全性と薬物動態を評価します。マレーシアでの薬事および倫理審査の承認が得られ次第、セランゴール州のアンパン病院で、国際的な臨床研究基準とデータ保護基準に従って進められます。無作為化、二重盲検、プラセボ対照で、健常成人男女を対象とします。7つの用量コホート (開始は5mg) を設定し、各コホートはセンチネル用量から投与を開始します。被験者には、臨床検査、バイタルサイン、安静時心電図 (ECG) および24時間ホルター心電図モニタリングの実施、有害事象評価など、集中的な安全性モニタリングを行います。盲検化されたデータを専門委員会が評価し、事前に定めた基準に基づき次の用量へ進むかを判断します。 DNDiは本試験において信頼性が高く効率的な生物分析手法として、蔓延地域での将来の臨床試験に適した乾燥血スポット (DBS) 法を使用します。また、皮膚への薬物移行を評価する「皮膚マイクロダイアリス法」の開発は、CLやカラアザール後皮膚リーシュマニア症 (PKDL) における治療効果の評価に役立ちます。さらに、母集団薬物動態解析の実施は、後期臨床試験段階における用量設定の指針となります。 DNDiの臨床および安全性担当スタッフはマレーシアに常駐し、試験の管理と高品質な実施を担保します。 胎児初期発生試験に関する非臨床試験や生理学的薬物動態モデリングの結果は、妊婦の組み入れ可否の検討や避妊要件の緩和、併用療法ガイダンスの策定に活用します。
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/274/jp

ID: G2025-216

プロジェクト タイトル	熱帯熱マラリア原虫 CSP を標的としたモノクローナル抗体の安全性および薬物動態を評価する Phase 1 臨床試験
製品開発 パートナー	1. PATH (アメリカ) 2. 愛媛大学 (日本) 3. GlaxoSmithKline (GSK/イギリス)
疾患	マラリア
製品	治療薬

開発段階	第 I 相臨床試験
投資額	¥ 584,238,711
ステータス	継続
概要	【プロジェクトの目的】 本プロジェクトの目標は、開発中のモノクローナル抗体（mAb）を WHO の推奨を通じて実際の導入につなげることである。対象はサハラ以南アフリカに居住する 3 歳未満児である。初期のユースケースは、季節性伝播地域において雨季前に単回皮下投与を行い、高レベルの防御を誘導することである。この目標に向けて、我々は現在、健常成人を対象に安全性および薬物動態（PK）を評価する初回ヒト投与（FIH）Phase 1 試験の実施準備を進めている。GSK-TC-001 mAb は、RTS,S/AS01 接種により防御が得られた被験者由来抗体を基盤とし、半減期延長および Fc 機能強化を施した候補であり、安全性および生物学的活性に基づいて選抜されている。これまでの GHIT（G2021-111, G2023-219）プロジェクトを通じて、製造プロセスの確立、毒性評価および GLP 毒性試験を完了し、原薬・製剤ロットの製造と臨床試験に必要な PK および抗薬物抗体（ADA）測定系の整備を進めてきた。現在は FIH 試験開始に向けた規制当局への申請準備を進めている。 【プロジェクト・デザイン】 目的 1：Phase 1 試験 マラリア非曝露の健常成人を対象に Phase Ia 試験を実施し、安全性、忍容性、PK および免疫原性を評価する。規制・倫理・施設準備を事前に整え、単回皮下または静脈内投与の用量漸増コホート（プラセボ対照含む）を設定する。用量進行前に安全性をレビューし、追跡期間は最大 52 週とする。PK および ADA 解析により用量選択および Phase 2 試験の実施可能性を評価する。 目的 2：探索的機能アッセイの開発。 作用機序に整合した機能アッセイの実現可能性を評価し、試薬調達とパイロット試験を行う。選択したアッセイを開発・適格性確認し、少なくとも 1 つの臨床試料測定に適した系を確立する。 目的 3：Phase 2 臨床開発の準備 CHMI の位置づけ、対象集団、試薬の可用性、マラリア介入環境との整合を検討し、第 2 相開発経路を評価する。最終成果として、プロトコール概要、パートナー候補リスト、更新版の統合製品開発計画（iPDP）を策定する。
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/275/jp

ID: G2025-113

プロジェクト タイトル	人工知能デジタル病理学による土壌媒介蠕虫症・住血吸虫症の統合診断（IDxAID）
製品開発 パートナー	1. Enablers AB (スウェーデン) 2. 新潟薬科大学（日本） 3. 新潟大学（日本） 4. 旭川医科大学（日本）

	5. QIMR ベルクホーファー医学研究所（オーストラリア）
疾患	土壌伝播蠕虫感染症／住血吸虫症
製品	診断薬
開発段階	製品開発
投資額	¥349,778,099
ステータス	新規
概要	【プロジェクトの目的】 寄生虫感染症（土壌媒介蠕虫症および住血吸虫症）診断のための、正確・迅速・廉価かつ WHO のモニタリング、評価およびサーベイランス指針に整合した、フィールドで実装可能な診断プラットフォームを確立・実証する。本プロジェクトは、規制対象医療機器としての承認取得や責任ある大規模な普及に必要な臨床的・分析的・運用上のエビデンスを取得する。 【プロジェクト・デザイン】 本検査プラットフォームは、電力供給が不安定な環境下でも使用可能な堅牢かつ携帯型の顕微鏡を用い、標準的な糞便および尿スライド標本を走査する。人工知能（AI）が寄生虫卵の疑いのある領域を強調することで、習熟した検査者が画面上で迅速に確認・診断できるようなる。本包括的ワークフローは、調査の開始、参加者情報の登録、検体の追跡管理、AI 解析結果の検証、感染強度の自動算出、ならびに保健医療チームによるダッシュボード上での結果共有までを包含している。プロジェクト期間中には、設計の最終化、ハードウェアおよびソフトウェアの高度化、対象とする全住血吸虫種を識別可能な AI モデルの学習・検証、認証に対応した品質管理体制の確立、製造承認の取得、ならびにパイロット機の製造を実施する。その後、ザンジバル（タンザニア）、ラオス人民民主共和国、カンボジア、フィリピン、ブラジルおよびペルーにおいて実地のフィールド研究を行う。
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/276/jp

ID: H2025-204

プロジェクト タイトル	フラビウイルス感染症治療薬創出に向けた新規抗ウイルス活性ヒット化合物の最適化研究
製品開発 パートナー	1. エーザイ株式会社（日本） 2. Drugs for Neglected Diseases initiative (DNDi／スイス) 3. 国立健康危機管理研究機構 (JIHS／日本)
疾患	デング熱／ジカ熱
製品	治療薬
開発段階	リード化合物探索
投資額	¥154,868,833

ステータス	継続
概要	【プロジェクトの目的】 本プロジェクトでは、前段階で同定された化合物群を基盤として、デングウイルスおよびジカウイルスの複製抑制効果を示すリード化合物を創製することを目指します。そのために、化合物の抗ウイルス活性を向上すると同時に、溶解性・脂溶性といった物性、代謝安定性、安全性など、抗ウイルス薬として求められる多面的な薬剤特性を兼ね備えた化合物をデザインしていきます。最終的には、前臨床モデルにおけるウイルス量を低下させ、次段階の医薬品開発へ進めることが期待される有望なリード化合物を同定します。 【プロジェクト・デザイン】 本プロジェクトでは、化合物の最適化を効率的に進めるために AI を活用したメディシナルケミストリーを導入し、化合物設計、合成、評価、そして AI による学習を短い周期で連続的に実施する体制を整えています。生化学的評価および細胞を用いた抗ウイルス活性評価とともに、溶解性や脂溶性、代謝安定性など薬としての適性に関わる情報を取得しながら次の設計に反映させます。こうした評価結果は AI に蓄積され、化合物設計の精度を高めていきます。さらに、DNDi は高度な抗ウイルス活性評価ならびに初期安全性評価を実施し、JIHS では複数のウイルス株や宿主細胞を用いた評価を実施することで候補化合物のフラビウイルスに対する生物学的妥当性を検証していきます。これらの情報を総合的に活用しながら化合物最適化研究を進め、最終的には有望な化合物について前臨床モデルを用いた薬効評価試験に進め、高質なリード化合物の創出に繋がります。
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/277/jp

ID: H2025-202

プロジェクト タイトル	結核菌の休眠を標的とした、薬剤耐性結核の治療および治療期間短縮に資する抗結核薬リードの創出
製品開発 パートナー	1. 新潟大学（日本） 2. The Global Alliance for TB Drug Development, Inc. (TB Alliance／アメリカ)
疾患	結核
製品	治療薬
開発段階	リード化合物探索
投資額	¥87,594,013
ステータス	新規
概要	【プロジェクトの目的】 チームは、細菌の休眠を誘導できるタンパク質を発見し、それに強く結合する化合物を探索して、新しい化合物を見出しました。この化合物は、増殖している結核菌にも効果がありました。多くの結核菌が休眠する条件では、さらに効果が高まりました。増殖している結核菌と休眠結核菌にも作用する治療薬を開発できれば、薬剤耐性結核の治療に加え、治療期間の短縮や、結核

	の再発を防ぐことができ、結核の根本的な解決につながると期待されます。これまで本プロジェクトに関する基礎研究は文科省科研費 24K02277 等で、開発研究は AMED の課題管理番号 JP16nk0101351 および 23gm1610009h の支援を受け進められてきました。本プロジェクトでは、この新しい化合物が、将来のリード化合物として十分な可能性を持っているかどうかを、科学的に詳しく検証することを目的としています。 【プロジェクト・デザイン】 本プロジェクトでは、候補化合物の創薬ポテンシャルを評価するため、以下の試験を段階的に実施します。まず放線菌から産生される対象化合物を精製し、またその誘導体を合成します。化合物の物性評価として、生理的条件下における溶解性および脂溶性の評価を行います。あわせて、細胞膜透過性および排出の有無について検討します。次に、薬物動態特性の評価として、血漿タンパク結合率の測定を行います。さらに、肝ミクロソームおよび肝細胞を用いた代謝安定性試験を実施し、体内動態の基礎特性を評価します。安全性評価として、主要なオフターゲット阻害作用の有無を検討するとともに、心毒性評価として hERG 阻害試験を実施します。加えて、遺伝毒性評価として AMESs 試験および in vitro 小核試験を行います。これらの基礎評価を踏まえ、有望な化合物についてマウス結核感染モデルを用いた有効性試験を実施し、体内における抗結核効果を検証します。
プロジェクト詳細	https://www.ghitfund.org/investment/portfoliodetail/detail/278/jp