

株式会社ジーピーシー研究所

—病態を可視化するマウスを開発し、革新的医薬品開発に貢献する—

We will contribute to development of innovative drug and medical treatment via generation of genetically engineered mouse to visualize the pathological condition

西田 直史 高山 喜好

株式会社ジーピーシー研究所

Nishida, Tadashi Takayama, Kiyoshi

GPC Laboratory Co. Ltd.
Email: info@gpc-lab.co.jp

新薬開発の変化

1990年代から2000年代にかけては、新薬開発の中心は、感染症、胃潰瘍、循環器疾患、代謝性疾患、アレルギー疾患といったものでした。これらの分野における新薬開発においては、正常マウス、ラットあるいは、偶然の染色体変異により誕生した自然発症疾患モデル動物が、ヒトの病態を比較的忠実に再現できることから汎用されていました。その結果、こうした疾患領域に対する新薬開発の成功確率は向上し、臨床現場においても薬剤はかなり充足されつつあります。

一方、ヒトのゲノム情報がほぼ解読された2000年初頭より、様々な疾患の原因遺伝子や新薬開発のための標的分子が見出され、ゲノム情報に基づきピンポイントに標的分子を狙い撃ちする創薬（例えば分子標的薬や抗体医薬）が主流になってきました。加えて、特に新薬を開発する国内外の製薬企業、先端バイオ企業では、治療薬が少ない所謂“難病”や患者数が少ない先天性遺伝疾患に対する新薬開発に、果敢にチャレンジするようになりました。

しかしながら、ピンポイント創薬が主流である現代でも、臨床開発第Ⅱ相における開発中止理由のうち、実に50%以上が効能によるものと言われています（Nature 477: 526-528, 2011）。これはすなわち、新たな疾患領域での医薬品開発、ゲノム情報に基づいた新規の標的分子に対する創薬、あるいは新しい生命現象に基づく創薬では、効能を評価するためのヒト病態

を忠実に再現する疾患モデル動物の開発、医薬品成功確率を高める細胞評価系構築や有用な実験動物の開発が未だにボトルネックとなっていることを指し示しています。

当社設立の経緯

当社創業メンバーの1人、高山(当社代表取締役)は国内大手製薬企業で13年間新薬開発に携わった経験から、こうした革新的医薬品の創出にかかるボトルネックを新しい技術でブレイクスルーしたいという思いがあり、製薬企業を退職し、新たな創業企業(株式会社エヌビー健康研究所、本社 札幌市)を設立しました。さらに数年後、人工染色体ベクター開発の世界的パイオニアである、鳥取大学名誉教授・押村光雄先生との出会いをきっかけに、創薬技術の開発を目指した鳥取大学との共同研究を進め、染色体工学技術を応用した新たな事業構想を温めていました。押村先生は、世界初のヒト抗体生産マウス開発、ダウン症や筋ジストロフィー等の遺伝性疾患の治療法開発に役立つ実験動物の開発における卓越した実績を持ち、現在も当社の科学顧問を勤めております。

鳥取県のご支援もあり、鳥取県産学共同研究拠点「とっとりバイオフロンティア事業」の設立を機に、染色体工学技術というこのユニークな遺伝子改変技術を創薬研究に活用し、革新的医薬品創出に貢献したいという思いから、2012年3月に株式会社ジーピーシー研究所を鳥取県米子市に設立しました。