

キシダ化学株式会社は、英 DefiniGEN が有する特殊疾患モデル細胞作製技術を導入し、自社が有する創薬向けビルディング・ブロックや化合物ライブラリーのビジネスと合わせた新たな付加価値提案を、創薬向け研究者様向けに行って参ります

[DefiniGEN](#) は、2013年に英ケンブリッジ大学からスピンアウトした企業であり、OptiDiff プラットフォームと称する、iPS細胞から肝細胞、膵β細胞、小腸オルガノイド等に高効率に分化誘導および凍結保存できる特許化技術を有しています。また、DefiniGENは早期より疾患モデル開発に向けた研究開発を並行させ、ドナー由来のモデルに加え、ゲノム編集（CRISPR/CAS）を導入したiPS由来疾患モデル細胞作製に関する実績を多く挙げております。

特に米国FDAにおけるOrphan Products Development (OPPD) という希少疾患をターゲットとした創薬開発加速プログラムにおいて、スピーディかつ安価に疾患モデルを作製できる本法が、疾患動物作製等に代わる新たな方法として、メガファーマおよびバイオベンチャーに広く採用されています。また、iPS細胞を起点として、一方をゲノム編集における疾患モデル化、他方を非疾患モデルとすることにより、isogenic controlの提供が可能となる利点が高く評価されています。

新たな創薬ターゲットとして、代謝系を中心とした希少疾患モデルに加え、NASH・NAFLD等の脂肪肝モデルや、各種糖尿病モデルを作製することのできるDefiniGENの技術を採用したプロジェクト実績をご紹介します。

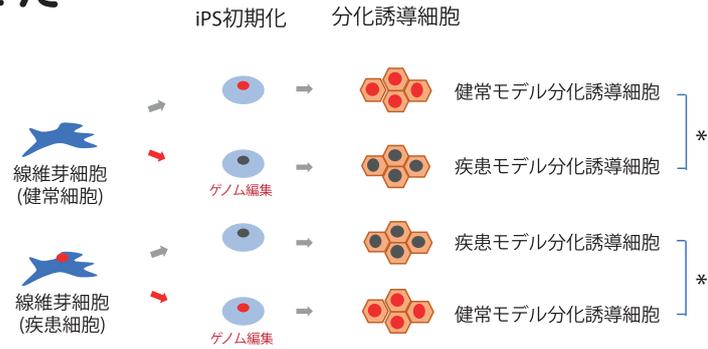
キシダ化学は、創薬開発者の視点を取り入れたビルディング・ブロックやそれらを組合わせた化合物ライブラリーの品質および、ドラッグビリティの高さに定評があり、DefiniGENが作製するiPS由来疾患モデル細胞と組み合わせ、効率的にヒット～リード探索を行うプラットフォームを提唱して参ります。

<ブース番号> D-24

iPS由来疾患モデル細胞と 高次元化合物ライブラリーを組合せた 次世代創薬プラットフォーム

疾患のOn/Offが遺伝子レベルに明確に定義されるIsogenicコントロールを採用することにより、ハイスループット等におけるスクリーニングの精度を向上させます。

また、製薬メーカー開発者の視点を取り入れた独自デザインによる化合物ライブラリーを採用することにより、探索におけるヒットの確立が向上する実績を有しております。



(* 同系-isogenic ペアとしての提供が可能)

本コンセプトが採用される6つの理由!!

<DefiniGENによる、iPS疾患モデルの品質・実績>

<キンダ化学による、化合物ライブラリー設計>

グローバルファーマへの豊富な納入実績

希少疾患モデル開発への補助金スキームが存在する米国グローバルファーマや創薬ベンチャーを中心に多くの実績が上がっています。

高ドラッグビリティ & 多様性

スピロ、フラン-ピラン環構造等の薬効の高い化合物を合成し、それらを組合せた多様性ライブラリーを構成することを得意としています。

新規化合物の 高頻度更新

ほぼ隔月のペースで数十種類の新規化合物を更新しています。

また、全ての化合物がパーシャルでなく合成済かつ品質保証が担保されています。

ゲノム編集は 業界最大手とコラボ

CRISPR/CASデザインとiPS細胞への編集は業界トップのHorizon Discovery社とのアライアンスにより、技術・ライセンスともに確実性を担保しています。

NAFLD、 糖尿病モデル等

希少疾患のみならず、トレンドに応じた各種疾患モデルの開発にも積極的に取り組んでいます。

現役トップサイエンティスト監修による設計

グローバルファーマ等において、化合物の設計から臨床、上市に至るプロセス開発まで携わった経験のある現役サイエンティストが監修することにより、創薬探索研究者のニーズに合った化合物を設計しています。

疾患モデル実績一例

Crigler Najjar
Gaucher's disease
Wilson's disease
Genetic cholestasis (PFIC)
Hereditary hemochromatosis
Phenylketonuria (PKU)
Ornithine transcarbamylase deficiency (OTC)
Tyrosinemia type 1
Glycogen storage disease (GSD) type 0 - XII
Maple syrup urine disease (MSUD)
Organic acidurias
Alagille syndrome
Primary hyperoxaluria type 1
Urea cycle disorders (except ASL)
Acute intermittent porphyria
Argininosuccinic aciduria (ASL)
Atypical haemolytic uremic syndrome-1
Cystic fibrosis
Erythropoietic protoporphyria
Familial amyloid polyneuropathy

プロジェクトスキーム一例

ゲノム編集可能性評価
専門技術を有する提携先との協議による

疾患機能評価

市販iPS由来疾患モデルを用いフェノタイプ等検証

小規模スクリーニング

iPS由来細胞(野生型)と初代細胞等との比較検証

大規模スクリーニング

iPS由来細胞(野生型)と初代細胞等との比較検証

化合物ライブラリー基本スペック

化合物数	5,639 (2018年9月現在)
化合物純度	> 95%
フォーマット	固体(粉末) ※溶液化も可能
ライブラリーフォーマット	化合物(BB)を96wpへ小分けライブラリーとすることも可能
在庫状況	1g/bottleにて全化合物を在庫。必要に応じ再合成。