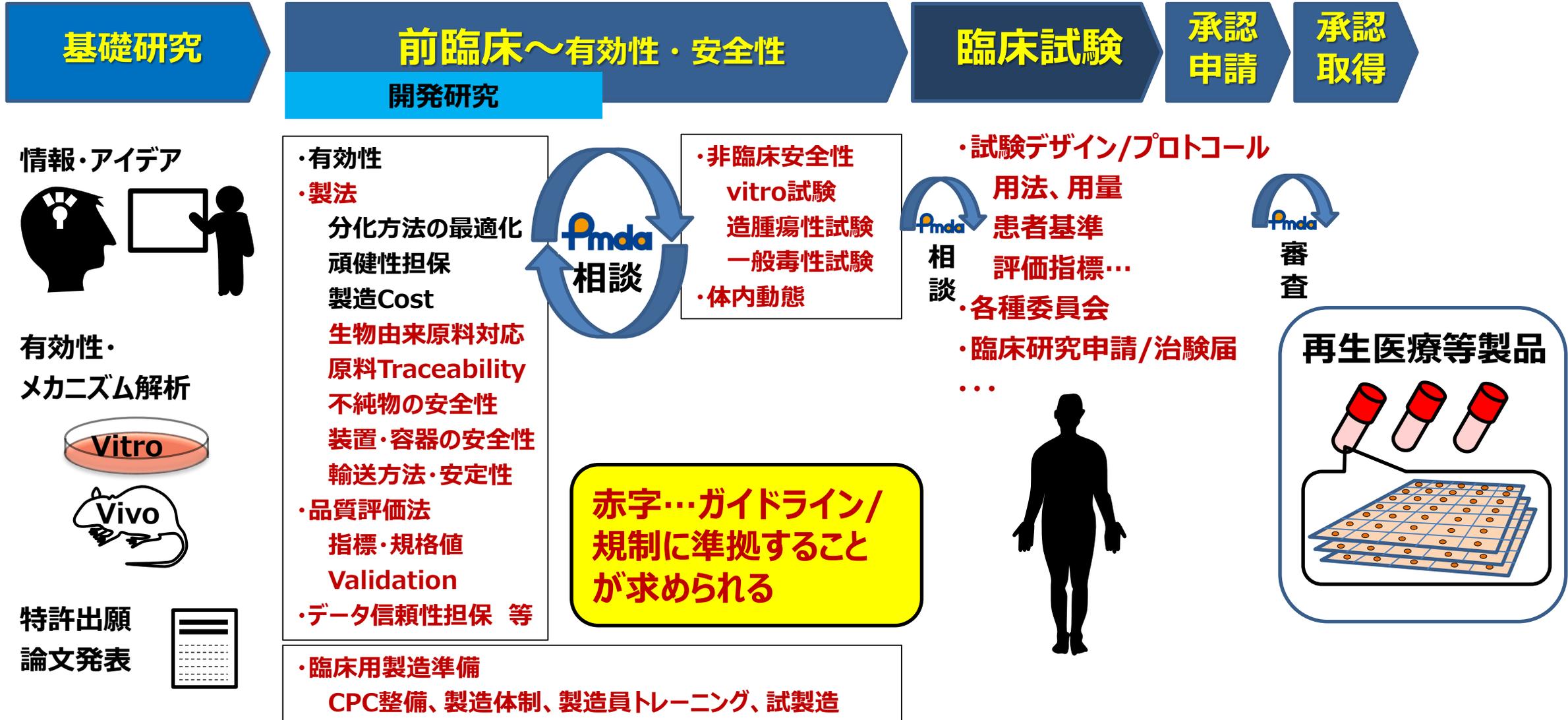


# 製薬企業とのマッチングに至る 研究概要の書き方、アピールポイント

2019年8月26日（月）

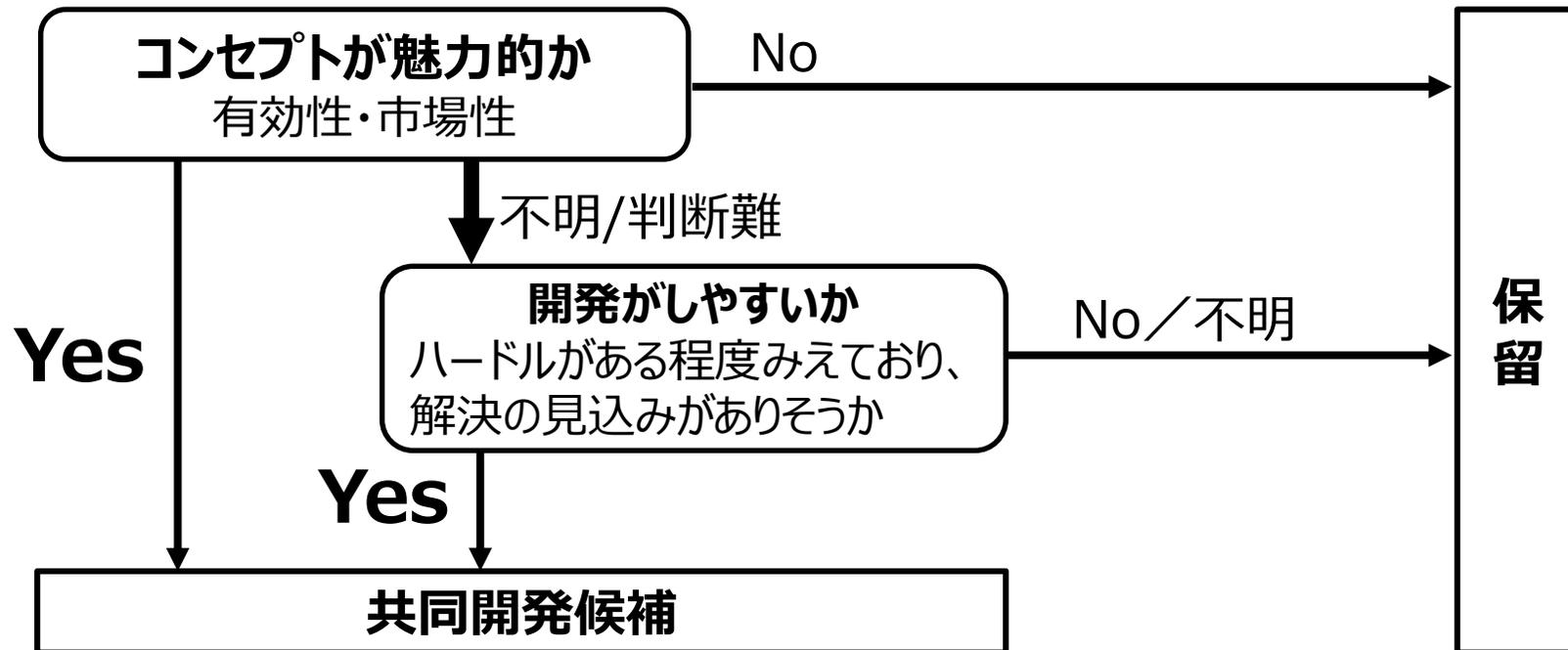
「再生医療実用化研究事業」産学連携課題の公募に関する説明会  
株式会社iPSポータル・平峯

# 再生医療等製品の開発フロー



# 製薬企業の視点

- コンセプトに魅力があるかどうか、が最重要ポイントです。コンセプトの魅力が大きければ、開発ハードルにかかわらず開発意欲が湧きます。
- 一方で、類似コンセプトが他にもある場合が実際には多く、判断不能とされてしまうことも想定されます。その場合、アピールに現実性を持たせることで「目を引く」ことは有効で、最終目標とその道筋を具体的に示すことが重要と考えます。
- 現実性を持たせる手段として、開発のしやすさをアピールすることも有効と考えます。



# 記載ポイント：コンセプト

## ▶ 「想定する治療の概要」での記載ポイント

### <有効性>

#### ▶ 作用としての特長

効果の高さ、作用の持続性

副作用の少なさ/回避法、免疫抑制の要否

#### ▶ 作用メカニズムの独創性

他にはない独自の作用

### <市場性>

#### ▶ Unmet Needsを満たす

有効な治療法がない/対症療法のみ

#### ▶ 競合優位性がある

既存治療を大きく凌駕する効力、あるいは類似品（低分子・抗体医薬含む）が少ない

#### ▶ 患者数が多い/市場が大きい

## アカデミアシーズと企業との共同開発例

- iPS由来神経幹細胞による脊髄損傷治療
- 大日本住友製薬-慶応大学

iPS細胞からの独自の神経幹細胞分化法の確立

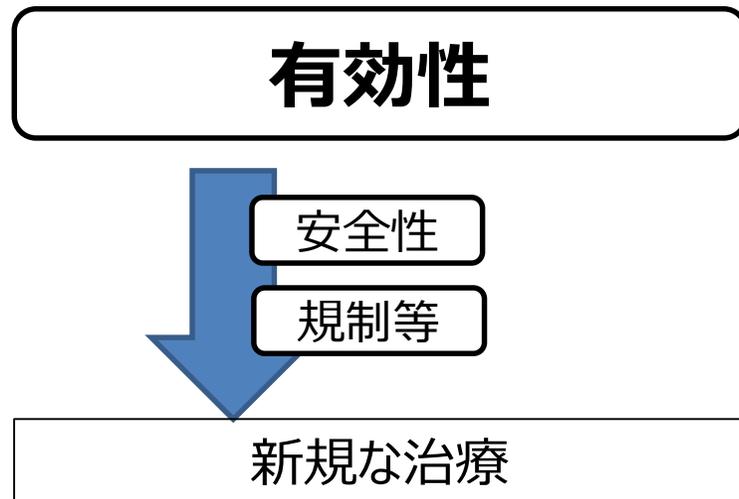
細胞医薬、低分子ともに治療法なし

慢性期脊髄損傷マウス/脊損サルの機能回復

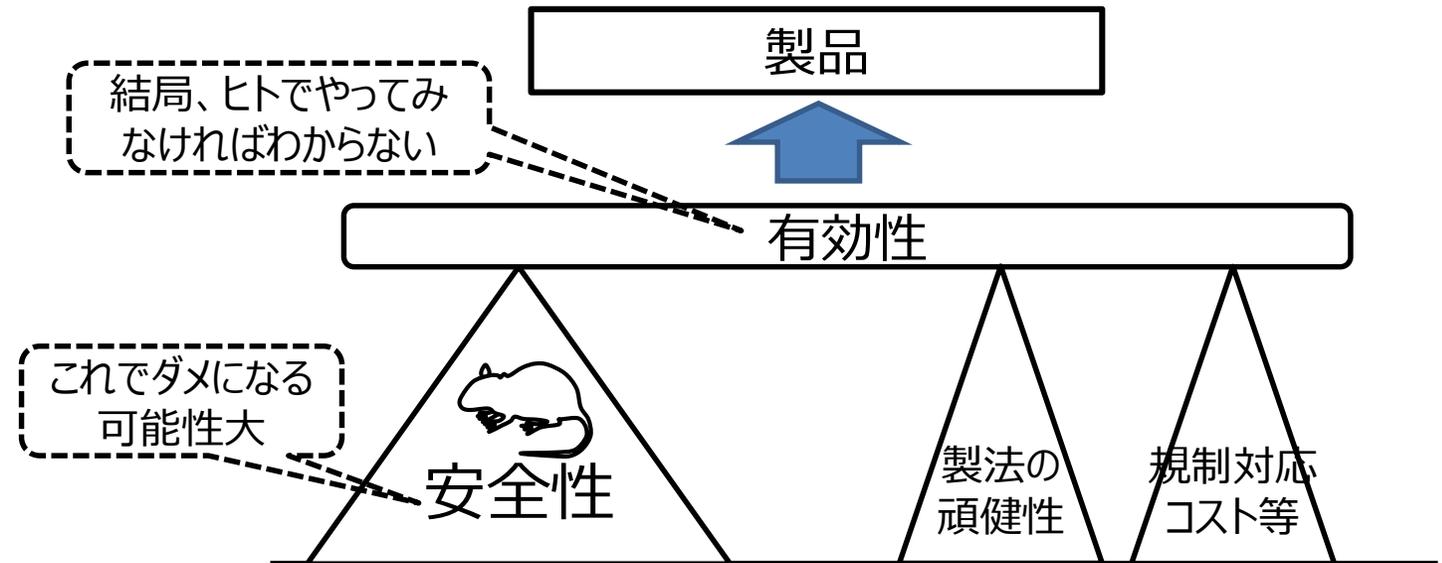
# 記載ポイント：開発のしやすさ

- 新規シーズを見た際、開発を意識して右図のようなイメージでとらえます。柱が1本でも壊れる不安が大きければ、判断は慎重になります。
- 有効性を成立させる必須要件として、安全性データ（＝特に壊れやすい柱）などがあれば積極的に記載すべきと考えます。

## ● 一般的なイメージ



## ● 開発目線のイメージ



# 記載ポイント：エビデンス

- 「想定する治療を有効と考えるエビデンスの概要」には、下記「有効性」の記載がメインとなると思います。
- 加えて、下記に例示する開発側の観点の中からアピール点があれば、ピックアップして具体的に記述するのがよいと考えます。  
(※赤字については触れておいた方がよいと個人的には思います)
- **概要書は第3者に是非チェックしてもらってください**（例：企業出身のUniversity Research Administrator等）

項目	項目	アピールポイント
治療概要	用法・用量	形態（懸濁液/シート/立体組織）と移植量（細胞数）を記載。少ない細胞数で効くデータがあれば、腫瘍化リスクが少ないことをアピールできる。
有効性	vitro作用 動物での効果	類似品/先行品に対する優位性データ、大動物での有効性データなどがあればよい。小動物での有効性は簡潔でOKだが、作用の特長/独自の作用メカニズムを示すデータがあれば記載。
安全性	未分化細胞の混入 造腫瘍性等に関する情報	腫瘍形成が見られていない動物実験データ（目視の簡易評価でOK）があれば、重要なアピールになる。データがなくても、原理的に癌化しにくい、癌化しても除去できるか、等があれば記載。
製法	分化誘導方法 分化誘導の頑健性	誰が何度やっても同じように分化できることは極めて重要なので、頑健性の高い系であることを示す根拠や実例があれば、大きなアピールになる。ソーティング等の工程が少ないシンプルな方法であれば、それ自体もメリットとなる。
	動物由来成分 製造コスト	動物由来成分（例：マトリゲル等。細胞ソーティング時の抗体も含む）が置き換え可能と考える根拠があれば、安全性をアピールできる。不明であったとしても、課題として明記しておけば読み手が判断できるので安心。
品質評価	細胞評価方法	細胞同定のマーカーだけでなく、機能/有効性を示唆するマーカー（例：分泌サイトカイン等）のデータがあれば、開発が非常にやりやすくなるのでアピール。