# 非臨床PoC取得にむけた準備状況

　年　　　月　　　日　初版

## 本研究申請の社会的意義（ポジショニング）

|  |
| --- |
| 疾患の現状 |
|  |
| 現在の治療法（臨床開発中の治療法含む）とその対象ステージ/グレード |
|  |
| 既存治療法（臨床開発中の治療法含む）への優位性・市場からみた対象疾患の戦略的意義・優位性 |
|  |
| 医療上の位置づけ（保険収載、対象ステージ等） |
|  |
| 患者利益（短期的および長期的） |
|  |
| 社会実装までの時間的な目論見 |
|  |
| 社会実装までの開発コスト（人/物/資金）の目論見 |
|  |
| 医療経済的利益（社会的波及効果） |
|  |
| 医療政策への貢献 |
|  |

## 本研究による非臨床PoC取得時のイメージについて

本紙の各項目は、ステージゲート①の達成確認のために作成したものであり、応募時点においては達成できている必要はありまません。未検討や検討中の項目があると考えています。作成にあたっては、今後の予定ではなく、現状について記載してください。

また、今後の実用化に向けて研究を進める際には、本紙を参考にしてください。

|  |  |
| --- | --- |
| 想定するFirst in Human試験 | □臨床研究（再生医療等安全性確保法下）　　□治験（薬機法下）選択した理由： |
| 想定する社会実装 | □医療技術として保険収載□医療技術として自費診療□製造販売承認取得後　保険収載□製造販売承認取得後　自費診療選択した理由： |
| 類別及び一般的名称等 | □再生医療等製品名：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　□特定細胞加工物名：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 |
| 想定する形状、構造、成分、分量及び本質 | 形状、構造：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　成分・分量

|  |  |
| --- | --- |
| 成分 | 分量/含量 |
| 構成細胞 | 　　　　　　　　　　　　　　 | 　　　　　　　　　　　　　 |
| 副成分 | 　　　　　　　　　　　　　　 | 　　　　　　　　　　　　　 |

（必要に応じて欄を増やしてください。懸濁基液等副成分が未定の場合は未定と記載ください）本質：　　　　　　　　　　　　　　由来　　　　　　　　　　　　　細胞遺伝子導入（mRNA含む）□有　　導入遺伝子：　　　　　　　　　　　　　　　　導入手段（ウイルス/ベクター/TF試薬等）：　　　　　　　　　　　　　　□無遺伝子操作□有　　対象遺伝子：　　　　　　　　　　　　　　　　操作技術：：　　　　　　　　　　　　　　□無その他：（開発する再生医療等の特徴があれば必要に応じて記載ください） |
| 想定する効能、効果または性能 |  |
| 想定する用法（経路・部位）用量具体的手技投与方法（回数、間隔を含む）使用するデバイス |  |

## 細胞加工物の品質について

*※検討中・未検討の項目には、その旨を記載してください。*

|  |  |
| --- | --- |
| 細胞数ならびに生存率 |  |
| 目的細胞（目的細胞の細胞特性の一部） |  |
| 目的外細胞（想定される目的外細胞） |  |
| 細胞由来目的外生理活性物質（想定される目的外生理活性物質） |  |
| 製造工程由来不純物（想定される製造工程由来不純物） |  |
| 効能/力価/力学的適合性（目的細胞の細胞特性の一部） |  |

## 非臨床PoC関連試験開始に向けた細胞加工物製造法の準備状況

　※検討中・未検討の項目には、その旨を記載してください。該当しない場合、空欄でかまいません。

|  |
| --- |
| 製造方法の概略 |
| 研究申請時までに検討に用いた細胞加工物（A）の製造法の概略（フロー図） |  |
| (A)と非臨床PoC取得に用いる予定の細胞加工物（B）との差異 |  |
| 差異がある場合、品質同等性（又は外挿性）を説明する方法の現時点での方向性 |  |

## これまでに実施した非臨床PoC関連試験から得られた作用機序

*※検討中・未検討の項目には、その旨を記載してください*。

|  |
| --- |
| 原理・メカニズム |
| 想定する原理・メカニズム |  |
| 原理・メカニズムを説明する根拠データの概要（in vitro試験および（6）これまで実施した非臨床PoC関連試験の詳細を取りまとめてください。） |  |
| 想定される体内動態 |  |

## これまでに実施した非臨床PoC関連データの詳細

※試験数に応じて行を追加してください。該当しない場合、空欄でかまいません。

|  |
| --- |
| 作用機序を担保すると想定する*in vitro*試験 |
| 試験名あるいは評価項目: | 結果の概要: |
| 試験名あるいは評価項目: | 結果の概要: |
| 試験名あるいは評価項目: | 結果の概要: |
| その他の項目 |
| 試験名あるいは評価項目: | 結果の概要: |
| 試験名あるいは評価項目: | 結果の概要: |
| 試験名あるいは評価項目: | 結果の概要: |

※試験数に応じて表を追加してください。該当しない場合、空欄でかまいません。体内動態試験を実施していればこの表に記載してください。

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  | *in vivo*試験１ | 臨床試験への外挿性 |
| 試験名 |  |
| 結果の概略 |  |
| A | 動物種（齢） |  |  |
| 免疫状態 |  |
| モデル |  |
| N数 |  |
| I | 細胞同等性 |  |  |
| 投与細胞数 |  |
| 投与形状 |  |
| 投与方法・経路 |  |
| 投与計画 |  |
| C | 群 |  |  |
| 統計解析法 |  |
| O | バイオマーカー |  |
| サロゲートマーカー |  |
| エンドポイント |  |

Animal:モデル動物に（対象）、Intervention:何によって（介入）、Comparison:何と比較して（比較対象・統計解析法）、Outcome:どうなる（評価時点・成績）

## 想定される安全性上の課題

## 非臨床開発における課題