令和６年度　革新的がん医療実用化研究事業（領域３）

【様式５】

**研究開発の概要**

*※各項目について、要点のみ簡潔に記載してください。なお別添資料がある場合には、詳細内容は別添を参照する形とし、本様式にはその概要を記載してください。別添資料は本様式の最後に結合する等して、1つのPDFファイルとして提出してください。*

|  |  |
| --- | --- |
| **１．研究の背景** | |
| 研究開発課題名 | *△△△△の創出を目指した研究* |
| 薬事承認申請上の分類 | 医薬品　再生医療等製品　体外診断用医薬品  その他　非該当  想定している申請区分： |
| 試験物の名称 | *〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 起原又は発見の経緯、及び開発の経緯 | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇*  *※本シーズの起原又は発見の経緯、及び開発の経緯については、簡潔に概要を記述して下さい。* |
| 科学的・技術的な意義 | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇*  *※本シーズの新規性、独創性については、簡潔に概要を記述して下さい。* |
| 競合研究開発状況および競争優位性 | *※本シーズに関して、国内外の研究開発状況（研究開発機関・研究開発状況）を記述してください。*  *※それらと比較して本シーズの優位性を記述してください。* |
| 開発主体者  ※特許保有者、ライセンシー、臨床試験データ保有者、実用化に向けて開発を進める主体 | 自機関　国内他機関　国内企業　海外機関・企業  その他（以下に詳細を記載してください） |
| 特許の出願状況  ※複数の出願がある場合は、必要に応じて記入欄を追加してください。 | 出願特許：*特願20XX-XXXXXXXXXXX*  発明の名称：*〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇*  出願日：*〇〇〇〇年〇〇月〇〇日*  出願人：*〇〇〇〇〇大学*  出願等の状況：*「みなし取下げ」になっていないか、知財ご担当者等へ必ず確認してください。*  *知財戦略上の理由により本公募への応募時点で特許出願をしていない場合は可能な範囲で特許出願していない理由を記載してください。*  *国際出願、審査請求等、今後の方針を記載してください。*  *登録されている場合は、特許番号（登録日）を記載してください。* |
| 試験物の日本での承認状況 | 有　無　※有の場合以下記載 効能・効果等：  製品名： |
| 試験物の外国での承認状況 | 有　無  主な承認国：  【承認がある場合、本研究との関連】 同一の適応症・用途  異なる適応症・用途（　　　　　　　　　　　　　　　　　　） |
|  |  |
| **２．実用化に向けたイメージ** | |
| 想定する 　効能・効果 　使用目的、効能又は効果 　効能、効果又は性能 | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 想定する 　用法及び使用方法等、診療上での使われ方 | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 臨床上の位置づけについて  既存治療に対する優位性 | 既存治療の有無：有　無  臨床上の位置づけ：*〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 本研究提案において期待する結果及びその後の方針 | *※提案する研究においてどのような結果を期待し、その結果が得られた場合のその後の方針を記載してください。*  *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 申請時点までの　　達成事項（企業シーズの場合は可能な範囲で記載） | 主要特許出願（20\*\*年\*\*月）　　　　　非臨床POC取得　（20\*\*年\*\*月）  試験物の規格決定（20\*\*年\*\*月）　　　試験物の製造体制整備（20\*\*年\*\*月）  非臨床安全性評価終了（20\*\*年\*\*月）  医師主導治験届提出（20\*\*年\*\*月）　　企業主導治験届提出（20\*\*年\*\*月）  薬事承認申請（20\*\*年\*\*月）　　　　　薬事承認取得（20\*\*年\*\*月）  国際臨床試験開始（20\*\*年\*\*月）　　　海外での承認申請（20\*\*年\*\*月）  先進医療承認　　（20\*\*年\*\*月）　　　保険適用（20\*\*年\*\*月）  薬事承認後販売（20\*\*年\*\*月）　　　　薬事承認外の商品化（20\*\*年\*\*月）  ライセンスアウト　（20\*\*年\*\*月）　　その他（　　　 ）（20\*\*年\*\*月） |
| 開発目標（達成見込み、企業シーズの場合は可能な範囲で記載）） | 主要特許出願　　（20\*\*年\*\*月）　　　非臨床POC取得　（20\*\*年\*\*月）  試験物の規格決定（20\*\*年\*\*月）　　　試験物の製造体制整備（20\*\*年\*\*月）  非臨床安全性評価終了（20\*\*年\*\*月）  医師主導治験届提出（20\*\*年\*\*月）　　企業主導治験届提出（20\*\*年\*\*月）  総括報告書提出（20\*\*年\*\*月）  薬事承認申請（20\*\*年\*\*月）　　　　　薬事承認取得（20\*\*年\*\*月）  国際臨床試験開始（20\*\*年\*\*月）　　　海外での承認申請（20\*\*年\*\*月）  先進医療承認　　（20\*\*年\*\*月）　　　保険適用（20\*\*年\*\*月）  薬事承認後の販売（20\*\*年\*\*月）　　　薬事承認外の商品化（20\*\*年\*\*月）  ライセンスアウト　（20\*\*年\*\*月）　　その他（　　　 ）（20\*\*年\*\*月） |
| 実用化までのロードマップ | |
| *以下のように実用化までのロードマップを作成し、説明して下さい。その際、本研究提案が全体のどこに該当するか、また、企業等の連携先との役割分担も分かるように工夫してください。本研究開発期間の3年間に達成予定の該当項目がある場合には、▲で研究開発ロードマップの図中に重要なマイルストーンとして記載してください。　なお、記載例の図は削除して下さい。*  *（記載例）*  C:\Users\mh000275\Desktop\図1.png  ▲GMP原薬製法確立  ▲GLP毒性試験終了 | |
|  |  |
| **３．研究概要** | |
| 試験名 | *（１）単回経口投与毒性試験*  *（２）○○モデルマウスでの有効性試験* |
| 開発相 | 非臨床  薬理試験　薬物動態試験　毒性試験  品質・安全性評価　有効性評価  その他（　　　　　）  臨床  治験　非治験  第I相　第IIa相　第IIb相　第III相　臨床薬理試験  その他（　　　　　）  ※非治験の場合の理由： |
| 応募するシーズの対象疾患・症状とその頻度について | *例）・○○疾患の○○症状（国内○○万人、世界○○万人、根拠：○○ジャーナル（２０１６年○号）文献名：○○○○○○○○）* |
| 対象とするがんの臓器、がんの種類 | がん（種類・臓器：　　　　）小児がん（種類：　　　　） |
| 各試験の概要  ※実施期間を含む試験デザイン、評価、解析等について簡潔に記載 | *（１）XXX 試験*  *ラット（N=xx）を用いて・・で合成された△△について、～投与によって□□を検証する。投与量は・・・、△△期間は～週、○○期間は～週である。評価項目は～及び・・、解析は・・・。* |
| 生命倫理・安全管理に関する体制 | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 想定する効能・効果等を目的とした場合、提案する研究計画が妥当と考える理由 | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 試験デザイン（群設定、目標例数等）の設定根拠、統計学的な裏付け | *（２）○○モデルマウスでの有効性試験*  *○○○を対象とした研究において～であったため、X段階の投与群を設定した。投与量の設定については、先行する・・・試験結果が△△であったため～と設定した。* |
| 本研究で実施する試験と関連する臨床研究の実施状況 | 関連する臨床研究の実施　有　無  有の場合、具体的な内容：  *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
|  |  |
| **４．企業連携について　臨床課題（領域３－２、３－３、３－５）は企業連携が必須、**  **非臨床課題（領域３－１、３－４）は任意** | |
| 企業連携の有無 | 有　無  有の場合の連携先企業の名称： |
| 企業等からの技術協力 | 有　予定有　無　※有る場合は各年度別経費内訳に企業リソース欄を設けて詳細を記載  治験薬等提供の契約：  有　予定有　無  特記事項： |
| 試験実施上の連携状況 | 【①治験薬等の管理、提供】  有　無　非該当　※有る場合は各年度別経費内訳に企業リソース欄を設けて詳細を記載  特記事項：  【②安全性情報等の管理、提供、当局対応等】  有　無　非該当　※有る場合は各年度別経費内訳企業リソース欄に詳細を記載  特記事項：  【③その他の連携内容】 |
| 資金面等での協力（人件費、物品費、研究開発費の他、施設設備等での貢献等を含む） | 有　無　※有る場合は各年度別経費内訳に企業リソース欄を設けて詳細を記載  特記事項：  *※ベンチャー企業の場合、ＶＣからの出資状況について記載* |
| 製造販売を担当する企業への導出に関する交渉状況 | 有（内諾含）　交渉中　交渉予定　未定/予定無  根拠となる文書等　有　無　※有る場合は添付資料として提出 文書名：*〇〇〇〇〇〇〇〇*   1. 有（内諾含）の場合、具体的な内容・条件   ②交渉中、交渉予定の場合、状況  　（企業シーズの場合は効能追加に関する交渉状況を記載）  ③未定/予定無の場合、今後の方針  　上記で該当するケースについて、以下詳細を記載してください。  *〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 連携企業及び導出予定先企業における引き受け後の事業化の内容 | *※連携企業と協議の上記載してください。採択後にその実効性等を確認する場合があります。*  ①対象・提供価値：  *本研究開発の対象（対象疾患・患者等）と、その対象に提供する価値（有効性・効果）を記載してください。*  ②市場規模・売上げ計画  *本研究開発が対象とする市場規模（日本・世界）および売上げ計画（日本・世界）を記述してください。*  ③事業化に向けた取組および計画  *事業化に向けた取組および計画（開発（非臨床・治験・薬事等）、特許網構築、製造体制構築、販売体制構築）を記述してください。*  ④研究開発の将来展望  *本研究開発により将来実現することが期待される、新たな医療価値の創出（アプリケーションの拡大等）、科学技術イノベーション創出、新産業創出、社会貢献、知的財産の取得・活用等を想定しうる範囲で記述してください。*  ⑤リスク  *内部環境・外部環境を含めたリスクを記述してください。* |
| 企業連携、導出に関する各種書類の有無 | 上記「４．企業連携」に関する各項目の根拠となる各種書類（例、共同研究契約書、特許実施許諾契約書、覚え書き等）  有　無　※有る場合は添付資料として提出  *※契約書等の写しを提出してください。* |
|  |  |
| **５．連携して臨床研究を実施する病院、ARO、CRO、CMO/CDMO等の活用・支援について** | |
| プロジェクトマネジメント | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法：*〇〇〇〇〇〇*  *※数行以内で簡潔に記載して下さい。*  *※「無」とした場合でも体制・方法を記載して下さい。* |
| 知財戦略・調査 | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| CMC検討 | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| 非臨床試験の計画・実施・評価 | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| 試験物製造 | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| 企業交渉・連携構築 | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| 文書作成  （各種申請書・契約等） | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| 開発・薬事対応 | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| プロトコールの作成 | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| その他  （*〇〇〇*） | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
| その他  （*〇〇〇*） | 支援　有　活用予定　無　未定　非該当 具体的な体制、実施方法： |
|  |  |
| **６．応募までに取得済のデータについて** | |
| 非臨床試験の充足性  ※応募までに完了又は開始している非臨床試験があれば試験名と完了（予定）年月を記載 | 完了している非臨床試験（完了年月）   * *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇試験（20xx年xx月）* * *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇試験（20xx年xx月）*   実施中の非臨床試験名（完了予定年月）   * *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇試験（20xx年xx月）* |
| CMCに関する検討の充足性あるいは基本要件への適合性対応状況（該当する場合） | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| その他に取得している特筆すべき主なデータ | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
| 非臨床試験データ等より臨床試験実施に当たり見出された課題と対応 | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |
|  |  |
| **７．PMDAレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談等の活用について** | |
| RS戦略相談の実施状況 | 事前面談実施　対面助言実施　未実施/今後予定 実施日（研究期間1年の場合は実施予定年月）：  *非臨床試験の充足性〇〇年○○月○○日*  *治験薬等の品質・規格〇〇年○○月○○日*  *治験デザイン〇〇年○○月○○日* 　対面助言記録添付有（添付資料として提出）　無 　事前面談の概要メモ添付有　無 |
| RS戦略相談以外の相談区分の利用状況 | 該当　非該当 該当する場合、その概要： |
| 各種面談結果の概要 | *〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇〇* |