# 再生医療等製品開発に向けたTPP

　年　　　月　　　日　作成

## 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、応募時点においてすべての項目が確定している必要はありまませんが、現状について記載してください。

|  |  |
| --- | --- |
| 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