

実用化に向けた※1信頼性データ※2の確保

※1 基礎研究は対象として含めない

※2 再現性の確認等、結果の信頼性を担保するデータ（信頼性基準適用試験のみを指すものではない）

【課題】

アカデミア

- 研究シーズに投資してもらえない
- 信頼性データ確保のためのリソース不足
- 「再現性」の定義のギャップ
論文文化に必要な「再現データ」と企業の求める厳密な「再現性確認」との差
- 知財・特許等の観点から研究テーマを簡単にオープンにしたくない

VC・製薬企業

- 投資判断に必要なデータが足りていない
- 信頼性データ取得への投資はリスクがある
- 信頼性データ取得前から伴走支援するだけのリソースが足りていない

AMED

- 「基礎研究」、「基礎研究から実用化に向かう段階」の支援事業の出口イメージの明確化
- AMED事業間のシームレスな支援継続
- AMED事業の真の「実用化」の実現

AMED内今後のアクション

- アカデミアシーズが実用化へ向かうための要件の周知を各大学に展開していく（アカデミアシーズマップの構築へ繋げる）
- 実用化に向けた連携の強化（既に創薬ブースター、橋渡し研究拠点、再生と創薬V-ecoの情報共有を行っているが、目線を統一化したことで更なる加速を図る）
- 実用化に向かう前のAMED事業/課題において、先々に目指す指標として周知していく

実用化（投資判断）に必要な
信頼性データの明確化

米国等を中心に、創薬分野で開発・経営の知見が深い VC が主導して、アカデミアに存在するシーズを見出して練り上げ、プロの経営陣と組み合わせる「Venture Creation」なる手法が注目されているように、事業化アプローチの進化にも留意が大切である。

「ヘルスケアスタートアップの振興・支援に関するホワイトペーパー」より

アカデミア研究とVC・製薬企業とのギャップを埋める人材・機能（薬事人材、CRO、橋渡し人材等）の確保に向けた施策の検討

「工程表」より

- ベンチャークリエイトにつながる最適な研究計画・経営計画を立案可能
- 無駄の少ない投資計画を立案可能
- 信頼性データを確保するための外注計画立案を容易に
- 伴走支援をする範囲・役割の明確化

実用化に向け投資を受けるため目指す観点

- **製品コンセプト確立**
細胞レベルや動物レベルでの有効性が明らかであり、実際の治療イメージが想起できる
- **開発候補品の同定**
GLP試験や薬効薬理・薬物動態試験に進むべき化合物や製品が確定している
- **製造手段の確立**
開発品を大量製造（治験薬・市販後製造共に）するための手段や方法が確立できている

【課題】実用化（投資判断）に必要とされる信頼性データは、モダリティごと、研究ステージごとに異なることが言われており、投資検討者（VC、製薬会社等）がそれぞれ何を求めているかを明確にすることで、研究者と投資検討者の間の齟齬を解消し、効率よく開発を進め、スタートアップ企業をより多く創生する一助としたい。

【モダリティ分類】

低分子医薬品、遺伝子治療薬、ワクチン(mRNA製剤)、ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)、バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)、バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)、バイオ医薬品(バイオシミラー等)、ex vivo遺伝子治療製品、再生医療等製品(iPS細胞関連)、再生医療等製品(iPS細胞以外)

調査結果（モダリティ共通）

シーズ探索

- 【市場】・競合がない ・市場が大きい ・新しいメカニズムである
- 【研究】・薬の効き目を証明するデータが揃っている（細胞レベル）
 - ・薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている
- ・薬の効き目が定量評価できる
- ・薬が効く仕組みが明らかである
- ・薬の効き目を証明するデータが揃っている（動物レベル）
 - ・薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている
- ・製品の特長が明らかである
- 【特許】・開発品が決定している ・開発品の品質が安定している

シーズ探索～非臨床・前臨床

- 【非臨床】
 - ・安全性試験（プレ検討、げっ歯類(マウス・ラット)、非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル))が完了している
 - ・薬物動態試験（プレ検討、げっ歯類(マウス・ラット)、非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル))が完了している
 - ・薬効薬理試験（プレ検討、げっ歯類(マウス・ラット)、非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル))が完了している
- 【治験・製造】
 - ・治験薬製造を代替できる業者を決めている
 - ・治験のプロトコル等が完成/準備中
 - ・PMDAへの合意/事前相談が完了
 - ・製品製造を代替できる業者を決めている

非臨床・前臨床～臨床試験

- 【治験・製造】
 - ・患者リクルート完了/リクルート中
 - ・薬の効き目の定量評価ができる
 - ・ヒトへの投与済み
 - ・ヒトでの安全性や動態が明らかである

実用化に向けた信頼性データに関する調査結果

調査結果(モダリティ別)

特許取得タイミング

【物質特許】(～シーズ探索) (シーズ探索～非臨床・前臨床)	再生医療等製品以外の全モダリティ 再生医療等製品
【用途特許】(～シーズ探索) (シーズ探索～非臨床・前臨床)	下記以外の全モダリティ ワクチン(ベクター, VLP, 不活化, アジュバンド含む), バイオ医薬品(バイオシミラー等)
【製法特許】(～シーズ探索) (シーズ探索～非臨床・前臨床)	ex vivo遺伝子治療製品 低分子医薬品, 再生医療等製品

実用化に向け投資を受けるため目指す観点

- 製品コンセプト確立 細胞レベルや動物レベルでの有効性が明らかであり、実際の治療イメージが想起できる
- 開発候補品の同定 GLP試験や薬効薬理・薬物動態試験に進むべき化合物や製品が確定している
- 製造手段の確立 開発品を大量製造(治験薬・市販後製造共に)するための手段や方法が確立できている

- 起業への投資を期待する際の目指す指標に
- 起業までのコストと時間の最適化の参考に
- 投資検討者と対話をする際の目線合わせに

アカデミア

- 研究者に求める観点を明確化することで対話をスムーズに
- シーズ磨き上げに必要な投資の見える化

VC・製薬企業

- 実用化を目指すAMED事業の成果の参考に
- AMED事業間のシームレスな連携の目線合わせに

AMED

実用化を目指すAMED事業の信頼性確保 の科学的整理に向けた調査

信頼性確保に対する要望調査

(別紙:投資を受けるために目指すべき観点のまとめ)

国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)

投資を受けるために目指すべき観点

- 1.統合メッセージ
- 2.モダリティ別メッセージ
- 3.補足

1.統合メッセージ

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

全モダリティ共通の目指すべき観点

開発候補品の同定／製品コンセプトの確立／製造手段(自家・委託)の確立

- これらはVCが投資判断を行う際にシーズの信頼性確保に欠かせない観点である

製品コンセプト確立 | 細胞レベルや動物レベルでの有効性が明らかであり、実際の治療イメージが想起できる

開発候補品の同定 | GLP試験や薬効薬理・薬物動態試験に進むべき化合物や製品が確定している

製造手段の確立 | 開発品を大量製造(治験薬・市販後製造共に)するための手段や方法が確立できている

※ 補足①;ペプチド製剤等は、物質特性から製品安定性(温度管理・品質の担保)も重要な要素となる

※ 補足②;細胞等製品は、製品特性から製法特許も重要な要素となる

2.モダリティ別メッセージ | 低分子医薬品

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

低分子医薬品 開発候補化合物同定、製造手段の確立、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の物質特許を取得している 開発品の用途特許を取得している 開発品の品質が安定している 	<ul style="list-style-type: none"> 開発品の製法特許を取得している 	—

2.モダリティ別メッセージ | 遺伝子治療薬

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

遺伝子治療薬 開発候補製品の同定、製造手段の確立、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の物質特許を取得している 開発品の用途特許を取得している 開発品の品質が安定している 		—

2.モダリティ別メッセージ | ワクチン(mRNA製剤)

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

ワクチン(mRNA) | 開発候補製品の同定、製造手段の確立、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)

	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の物質特許を取得している 開発品の用途特許を取得している 開発品の品質が安定している 	—	—

2.モダリティ別メッセージ | ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

ワクチン(mRNA以外) 開発候補製品の同定、製造手段の確立、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の物質特許を取得している 開発品の品質が安定している 	<ul style="list-style-type: none"> 開発品の用途特許を取得している 	—

2.モダリティ別メッセージ | バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

バイオ医薬品(ペプチド等) 開発候補製品の同定、製品品質の安定性、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の物質特許を取得している 開発品の用途特許を取得している 開発品の品質が安定している 		—

2.モダリティ別メッセージ | バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

バイオ医薬品(抗体・抗体薬物複合体) 開発候補製品の同定、製品品質の安定性、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の物質特許を取得している 開発品の用途特許を取得している 開発品の品質が安定している 		—

2.モダリティ別メッセージ | バイオ医薬品(バイオシミラー等)

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

バイオ医薬品(バイオシミラー等) 開発候補製品の同定、製品品質の安定性、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の物質特許を取得している 開発品の品質が安定している 	<ul style="list-style-type: none"> 開発品の用途特許を取得している 	—

2.モダリティ別メッセージ | 細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせなど

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

細胞医療品・細胞&遺伝子組み合わせ等 開発候補製品の同定、製造・用途特許取得、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の物質特許を取得している 開発品の用途特許を取得している 開発品の製法特許を取得している 開発品の品質が安定している 		—

2.モダリティ別メッセージ | 再生医療等製品(iPS細胞関連)

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

再生医療品等製品(iPS細胞関連) 開発候補製品の同定、製造・用途特許取得、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の用途特許を取得している 開発品の品質が安定している 	<ul style="list-style-type: none"> 開発品の物質特許を取得している 開発品の製法特許を取得している 	—

2.モダリティ別メッセージ | 再生医療等製品(iPS細胞以外)

投資を受けるために目指すべき観点

(投資をするためにVCが求める情報)

再生医療品等製品(iPS細胞以外) 開発候補製品の同定、製造・用途特許取得、候補品を用いた製品コンセプト確立(効くメカニズムの解明)			
	～基礎研究	基礎研究～非臨床試験 (GLP試験、FIH試験までを想定)	臨床試験 (PhI/IIを想定)
市場	<ul style="list-style-type: none"> 競合がない 市場が大きい 新しいメカニズムである 	—	—
研究 基礎	<ul style="list-style-type: none"> 薬の効き目を証明するデータが揃っている(細胞レベル) 薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている 薬の効き目を証明するデータが揃っている(動物レベル) 薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている 薬の効き目が定量評価ができる 薬が効く仕組みが明らかである 製品の特長が明らかである 	—	—
研究 非臨床	—	<ul style="list-style-type: none"> 安全性試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の安全性試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の安全性試験が完了している 薬物動態試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬物動態試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬物動態試験が完了している 薬効薬理試験のプレ検討が完了している げっ歯類(マウス・ラット)の薬効薬理試験が完了している 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)の薬効薬理試験が完了している 	—
治験・製造	—	<ul style="list-style-type: none"> 治験薬製造を代替できる業者を決めている 治験のプロトコル等が完成／準備中 PMDAへの合意/事前相談が完了 製造を代替できる業者を決めている 	<ul style="list-style-type: none"> 患者リクルート完了/リクルート中 ヒトへの投与済み 薬の効き目が定量評価ができる ヒトでの安全性や動態が明らかである
特許	<ul style="list-style-type: none"> 開発品が決定している 開発品の用途特許を取得している 開発品の品質が安定している 	<ul style="list-style-type: none"> 開発品の物質特許を取得している 開発品の製法特許を取得している 	—

3.補足

調査・分析方法

- 調査方法
 - アンケート調査
- 調査対象
 - AMED認定VC23社(右記参照)
- 調査実施時期
 - 2024年8月
- 調査方法
 - 39項目の研究データに関し投資をする上での必要性について、5段階(「A. 投資判断に絶対に必要、無いと投資意思決定できない」「B. 投資判断に必要」「C. あればいいが、必要ではない」「D. 必要ない」「E. いずれ必要だが、この時点では必要ない」)で確認
- 分析方法
 - AあるいはBが最多回答の項目を「投資を受けるために最低限確認すべきデータ・情報」として整理

調査対象一覧

(アルファベットおよび五十音順)

ANV Management, LLC
Astellas Venture Management LLC
Beyond Next Ventures株式会社
Catalys Pacific, LLC
DBJキャピタル株式会社
DCIパートナーズ株式会社
D3LLC
Eight Roads Ventures Japan/F-Prime Capital Partners
JICベンチャー・グロース・インベストメンツ株式会社
MP Healthcare Venture Management, Inc.
Newton Biocapital Partners, SRL
Remiges Ventures, Inc.
Saisei Ventures LLC
Taiho Ventures, LLC
大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社
京都大学イノベーションキャピタル株式会社
ジャフコ グループ株式会社
株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ
東京大学協創プラットフォーム開発株式会社
株式会社ファストトラックイニシアティブ
三菱UFJキャピタル株式会社
みやこキャピタル株式会社