

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

国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)

目次

0. 調査設計	2
1. 全体分析	8
1.1 設問・フェーズごとの分析	10
1.2 モダリティごとの分析	22
2. モダリティ分析	28
2.1 モダリティごとの回答傾向分析	30
3. 補足	91
調査・分析方法	92

※本報告書では、国立研究開発法人日本医療研究開発機構をAMEDと表記いたします

0. 調査設計

0. 調査設計

アンケート調査の設計

- 調査方法 | AMED経由で、AMED認定VC23社へアンケート調査を依頼(全社回答済み)
- 調査項目 | 「科学的信頼性」と「投資的信頼性」について大項目1～8および小項目を作成(次頁)
- 分析方法 | 各項目A～E評価(回答基準は下記に記載)とし、VCの回答傾向を分析

回答基準

- 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

分析例と評価基準

円グラフ



回答分布表

A	B	C	D	E
8	8	0	0	1
5	10	1	0	1
0	1	14	2	0

☞『A』評価の割合が多い＝『重要度が**高い**』と評価

☞『C以下』が多くなる＝『重要度が**低い**』と評価

0. 調査設計

調査項目一覧(1/4)

科学的信頼性判断に必要な項目

- 創薬シーズの科学的妥当性を判断する項目
- 研究公正を立証する項目

投資判断に必要な項目

- 大規模試験への移行判断を可能にする項目
- 自社内での事業開発遂行能力を判断する項目

科学的/投資的	項目
投資的	1. 社会的に開発への期待が高い治療標的である 1. 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する 2. 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える 3. 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める 4. 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる
	2. 基礎研究のエビデンスが揃っている 1. <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等) 2. <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど) 3. <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等) 4. <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など) 5. バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) 6. 研究結果が論文や学会で公表されている 7. 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある 8. 第3者(CRO)等により試験が実施されている
科学的(3-1) 投資的(3-2,3)	3. 非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である 1. 初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている 2. 臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる 3. シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある

0. 調査設計

調査項目一覧(2/4)

科学的信頼性判断に必要な項目

- 創薬シーズの科学的妥当性を判断する項目
- 研究公正を立証する項目

投資判断に必要な項目

- 大規模試験への移行判断を可能にする項目
- 自社内での事業開発遂行能力を判断する項目

科学的/投資的	項目
科学的(4-1~4) 投資的(4-5~7)	4. 開発候補が特定されている(特許取得など) 1. 試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている 2. 開発候補医薬品の【物質特許】を取得している 3. 開発候補医薬品の【用途特許】を取得している 4. 開発候補医薬品の【製法特許】を取得している 5. 開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等) 6. 開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している 7. 主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である
	5. GLP/安全性試験が進行中、または完了している 1. non-GLP安全性試験を実施、または完了している 2. げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している ・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性) ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等) ・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験) 3. 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している ・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性) ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等) ・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)
科学的	

0. 調査設計

調査項目一覧(3/4)

科学的信頼性判断に必要な項目

- 創薬シーズの科学的妥当性を判断する項目
- 研究公正を立証する項目

投資判断に必要な項目

- 大規模試験への移行判断を可能にする項目
- 自社内での事業開発遂行能力を判断する項目

科学的/投資的	項目
科学的	6. 薬物動態試験が進行中、または完了している - プレ試験を実施、または完了している - げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している <i>in vitro</i>評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) <i>in vivo</i>評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) - その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験) - 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している <i>in vitro</i>評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) <i>in vivo</i>評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) - その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)
	7. 薬効薬理試験が進行中、または完了している - プレ試験を実施、または完了している - げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している - 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 - 臨床用量が推定できている - その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験) - 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している - 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 - 臨床用量が推定できている - その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)

0. 調査設計

調査項目一覧(4/4)

科学的信頼性判断に必要な項目

- 創薬シーズの科学的妥当性を判断する項目
- 研究公正を立証する項目

投資判断に必要な項目

- 大規模試験への移行判断を可能にする項目
- 自社内での事業開発遂行能力を判断する項目

科学的/投資的	項目
科学的(8-6~8) 投資的(8-1~7)	8. 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である
	1. 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である 2. 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している 3. プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である 4. PMDAに合意/事前相談ができている 5. 患者リクルートが完了している/リクルート中である 6. FIH(First in human)が完了している 7. バイオマーカーが動いている 8. 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている

1. 全体分析

- 1.1 設問・フェーズごとの分析 10
- 1.2 モダリティごとの分析 22

1. 全体分析 – まとめ

全体分析まとめ

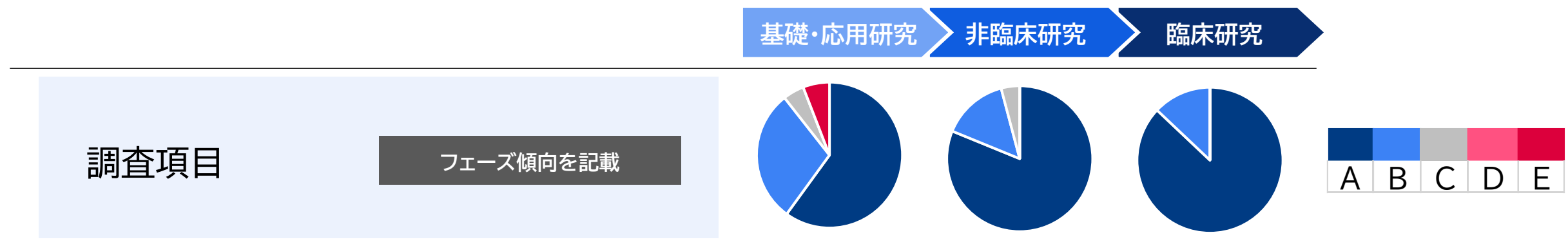
- 各フェーズ・モダリティで投資判断に重要(○)、重要ではない(×)を整理

フェーズ	科学的信頼性	投資的信頼性
基礎・応用研究	○ <i>in vitro/vivo</i> の研究データ (特にMoA解明・POC取得)	○ アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ○ 市場性/収益性の見込み ○ Best in class/First in classの見込み
非臨床研究	(上記に加えて、) ○ 開発候補医薬品の特定、物質特許の取得 ○ 非臨床(安全性・薬物動態・薬効薬理)試験結果	(該当なし)
臨床研究	(上記に加えて、) ○ 臨床試験結果(バイオマーカー・安全性・有効性)	(上記に加えて、) ○ 治験の計画性/実現性 (治験薬製造、申請文書、治験患者の確保)
どのフェーズでも重要ではない	× 研究成果の論文・学会発表 × CROへの委託、第三者からのバリデーション × 製法特許の取得	× 医療経済的インパクト × 専門家からの事業開発コンサルテーションの有無 × 自社における治験薬・候補医薬品の製造能力確保

1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

分析方法

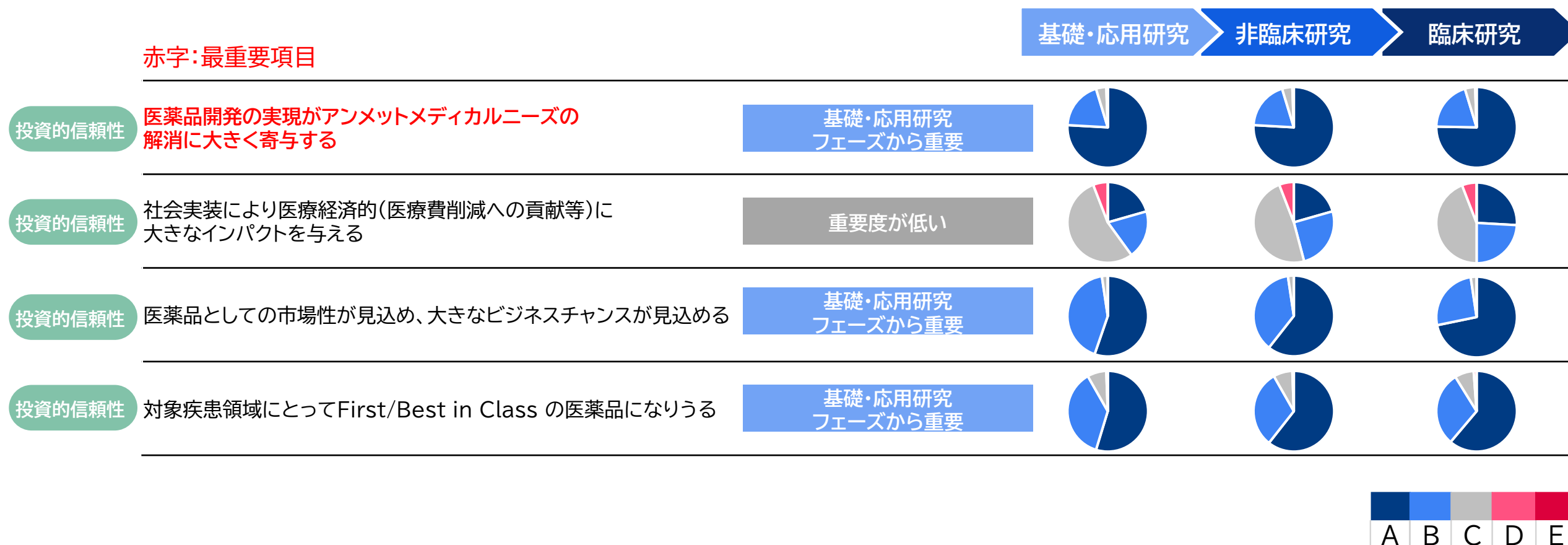
- 各調査項目に対し、各VCがA～E評価を付けた数を集計し、割合を円グラフで標記
- 『A』評価の割合が多い＝『重要度が高い』項目と評価
- 『C・D・E』の割合が多い＝『重要度が低い』項目と評価
- 研究開発フェーズごとに数を集計し、フェーズ移行に伴う回答の傾向変化なども調査
- 各項目で最も重要と回答いただいた数が多かった小項目を『最重要項目』とした



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目1:社会的に開発への期待が高い治療標的である

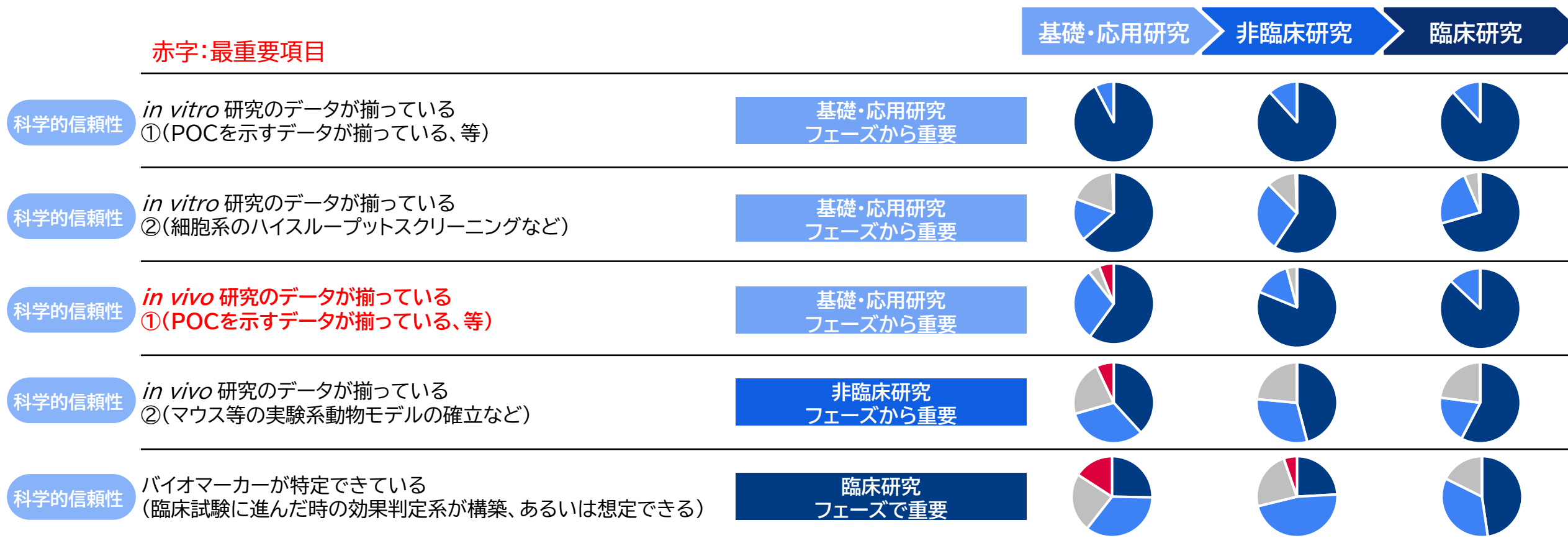
- 基礎・応用研究フェーズから収益性の重要度が高い一方で、医療経済的観点の重要度は低い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目2:基礎研究のエビデンスが揃っている(1/2)

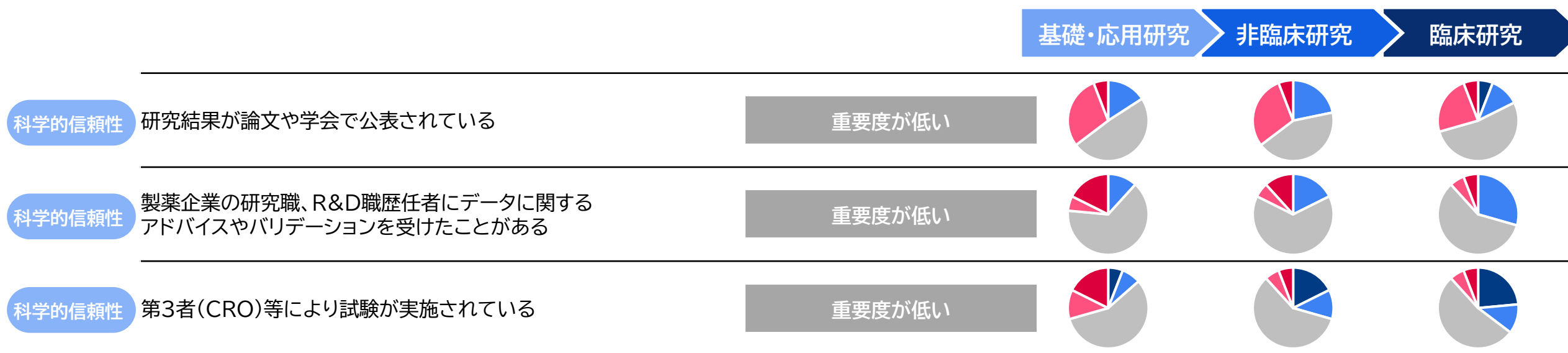
- 基礎・応用研究フェーズから基礎研究データ自体の重要度が高い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目2:基礎研究のエビデンスが揃っている(2/2)

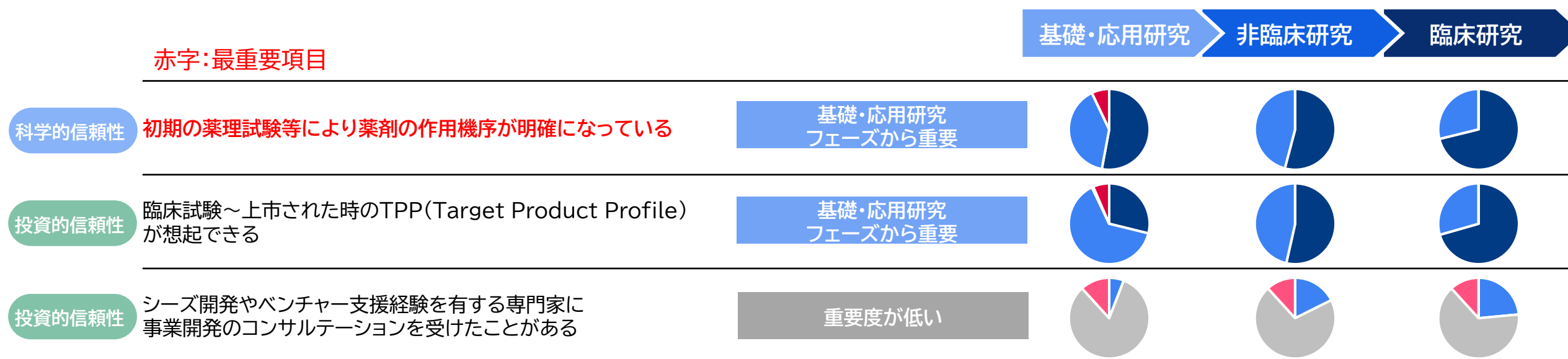
- 外部機関による信頼性担保の重要度は低い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目3: 非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である

- 臨床研究フェーズより前段階におけるMoA解明やPOC取得の重要度が高い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目4: 開発候補が特定されている(特許取得など)(1/2)

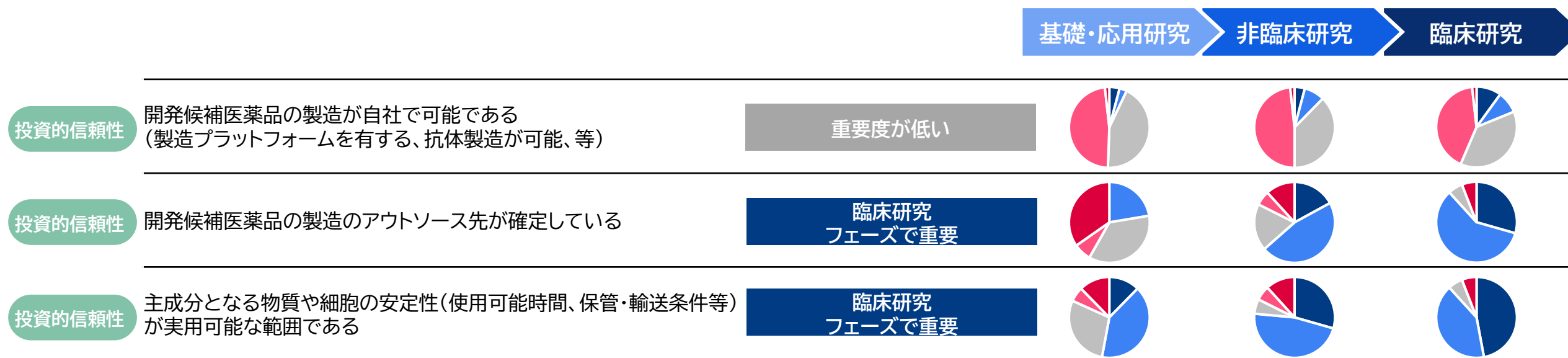
- 非臨床研究から臨床研究フェーズで開発候補品の特定や知財化の重要度が高い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目4: 開発候補が特定されている(特許取得など)(2/2)

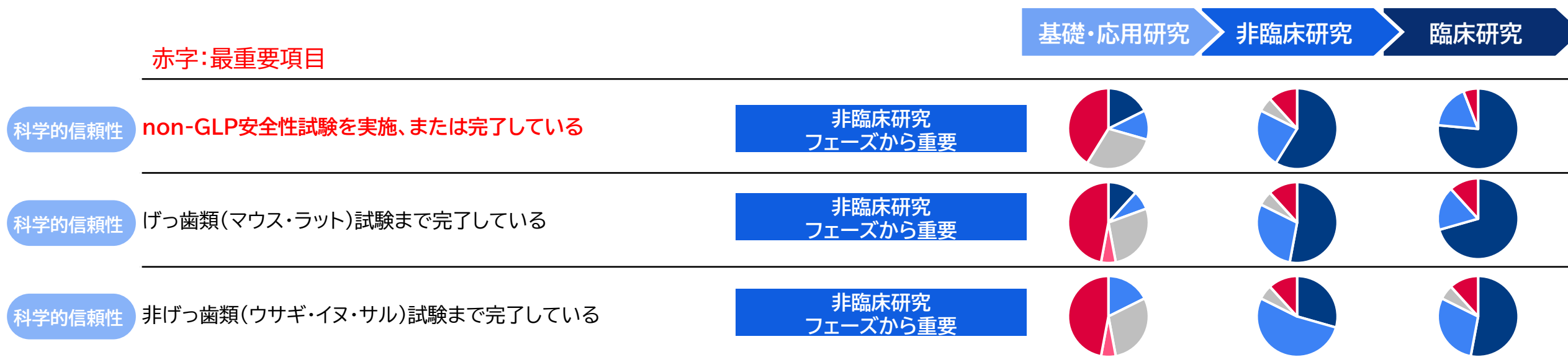
- 自社製造能力の重要度は低い一方で、臨床試験フェーズでは製造委託先の確保の重要度が高い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目5:GLP/安全性試験が進行中、または完了している

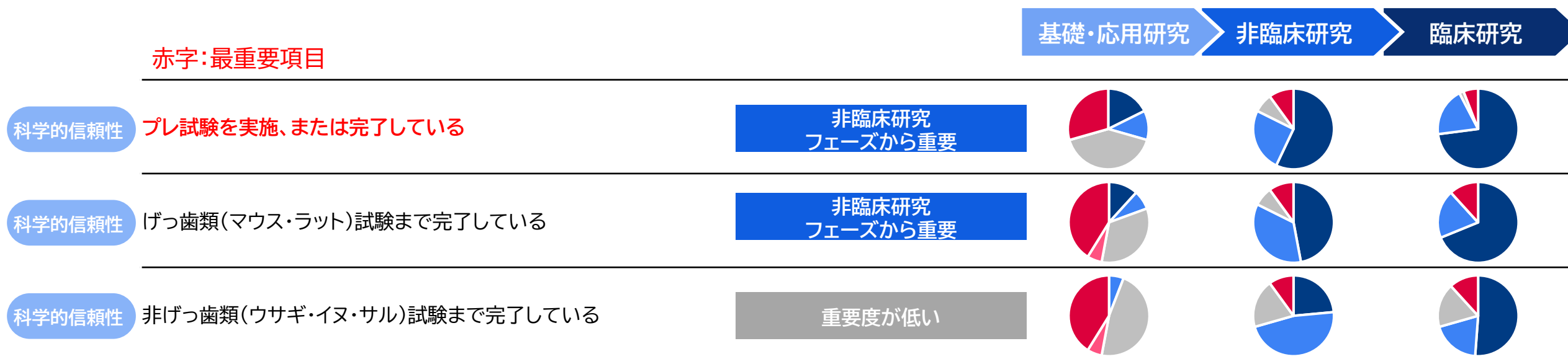
- 基礎・応用研究フェーズにおいて、GLP/安全性試験の重要度は低い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目6:薬物動態試験が進行中、または完了している

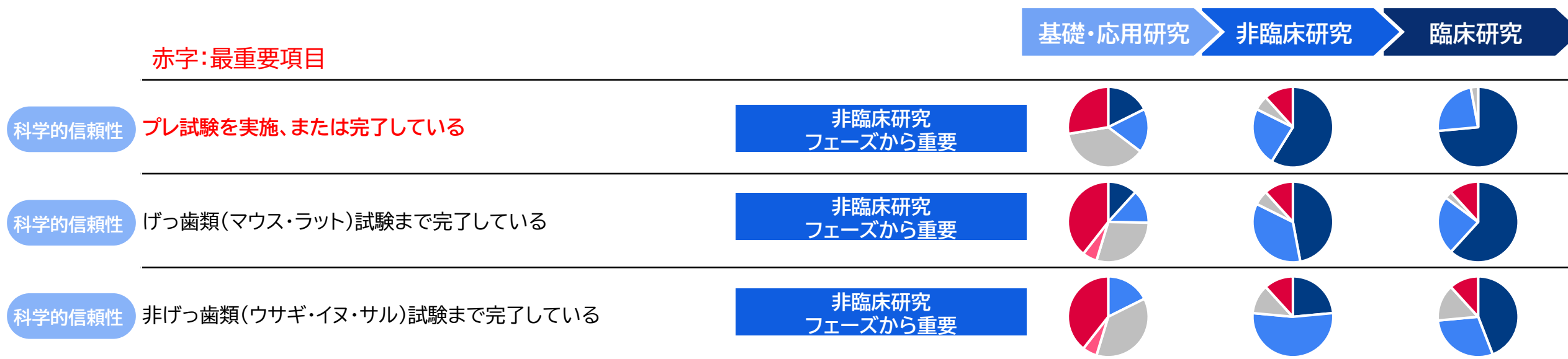
- 基礎・応用研究フェーズにおいて、薬物動態試験の重要度は低い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目7:薬効薬理試験が進行中、または完了している

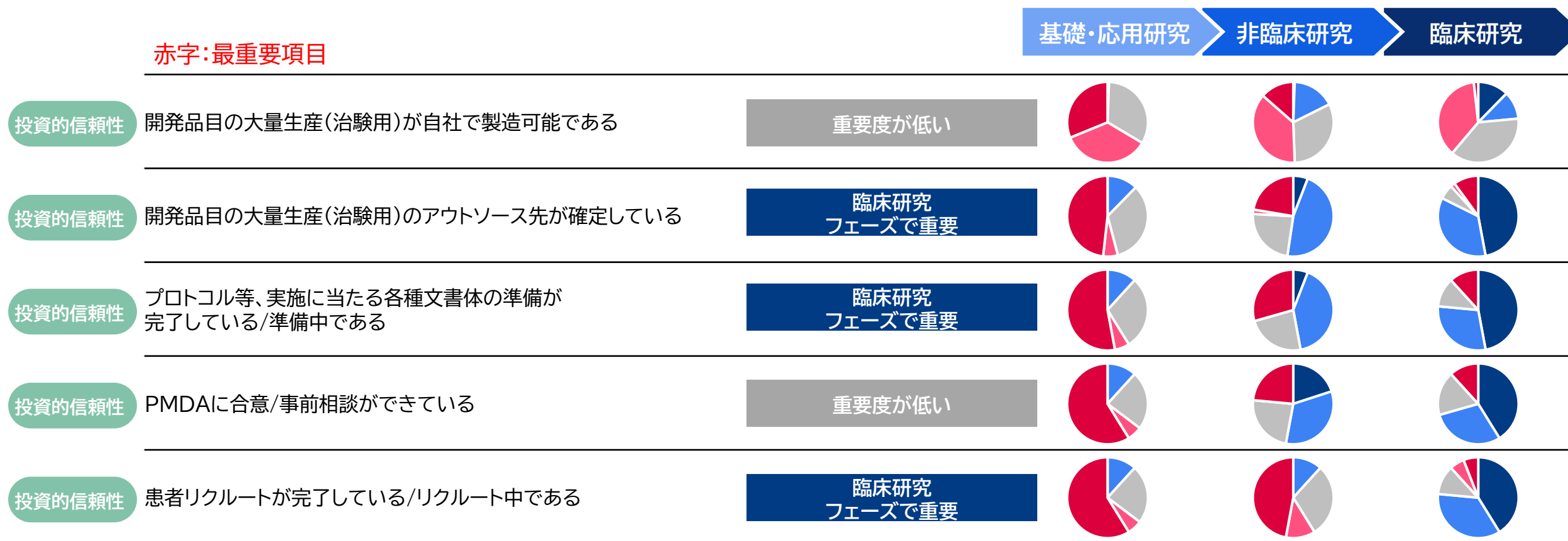
- 基礎・応用研究フェーズにおいて、薬効薬理試験の重要度は低い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目8:人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である(1/2)

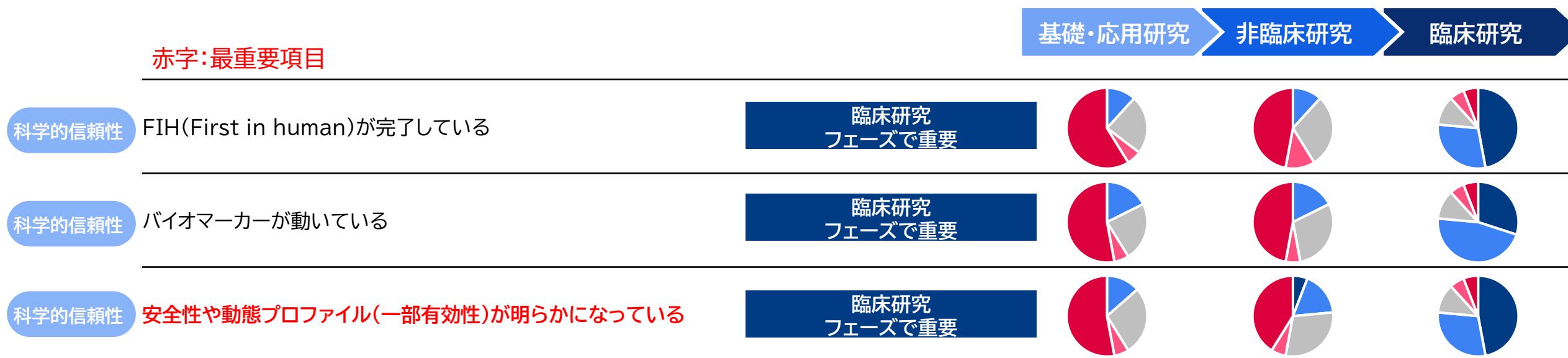
- 臨床試験フェーズにおいて、治験の実現性の重要度が高い



1. 全体分析 -1 設問・フェーズごとの分析

項目8:人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である(2/2)

- 臨床試験フェーズにおいて、治験データの重要度が高い



1. 全体分析 -2 モダリティごとの分析

全体分析:モダリティ(1/3)

- 一部項目でモダリティによる投資判断材料の重要度の差がみられた



1. 全体分析 -2 モダリティごとの分析

全体分析:モダリティ(2/3)

- モダリティつづき



1. 全体分析 -2 モダリティごとの分析

全体分析:モダリティ(3/3)

● モダリティつづき



1. 全体分析

【参考】全設問結果表(1/3)

1 社会的に開発への期待が高い治療標的である	回答の多い選択肢 (回答10社以上)	パターン間での差	モダリティ間での差	順位付け
1 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	A	なし	なし	全パターンで最も重要度高
2 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	C>B	なし	バイオシミラーで重要度高	全パターンで最も重要度低
3 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	A	P1<P2<P3	なし	
4 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	A	なし	なし	
2 基礎研究のエビデンスが揃っている				
1 <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	A	なし	なし	
2 <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	A	なし	なし	
3 <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	A	P1<<P2=P3	なし	全パターンで最も重要度高
4 <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	A>B、全体ばらつき	P1<P2<P3	なし	
5 バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	B>A、全体ばらつき	P1<P2<P3	なし	
6 研究結果が論文や学会で公表されている	C>D	なし	なし	全パターンで最も重要度低
7 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	C	なし	なし	全パターンで最も重要度低
8 第三者(CRO)等により試験が実施されている	C>A	P1<P2=P3	なし	
3 非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である				
1 初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている	A	P1<P2<P3	なし	全パターンで最も重要度高
2 臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる	A>B	P1<<P2<P3	なし	
3 シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある	C	なし	なし	全パターンで最も重要度低
4 開発候補が特定されている(特許取得など)				
1 試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている	A	P1<<P2=P3	なし	全パターンで最も重要度高
2 開発候補医薬品の【物質特許】を取得している	A>B	P1<<P2=P3	低分子・抗体で重要度高 再生医療で重要度低	
3 開発候補医薬品の【用途特許】を取得している	B>A、全体ばらつき	P1<<P2=P3	なし	
4 開発候補医薬品の【製法特許】を取得している	B>C、全体ばらつき	P1<<P2=P3	細胞・再生医療で重要度高	
5 開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)	D>C	なし	細胞・再生医療で重要度高	全パターンで最も重要度高
6 開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している	B>C	P1<P2<P3	なし	全パターンで最も重要度低
7 主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である	B>A	P1<P2<P3	なし	

1. 全体分析

【参考】全設問結果表(2/3)

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している		回答の多い選択肢 (回答10社以上)	パターン間での差	モダリティ間での差	順位付け
1	non-GLP安全性試験を実施、または完了している	A>B	P1<<P2<P3	なし	全パターンで最も重要
2	げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している ・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性) ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等) ・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	A>B	P1<<P2<P3	なし	
3	非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している ・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性) ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等) ・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	B>A	P1<<P2<P3	なし	全パターンで最も重要でない
6 薬物動態試験が進行中、または完了している					
1	プレ試験を実施、または完了している	A>B	P1<<P2<P3	細胞・再生医療で重要度低	全パターンで最も重要
2	げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	A>B	P1<<P2<P3	なし	
3	非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	A=B=C 全体ばらつき	P1<<P2<P3	なし	全パターンで最も重要でない

1. 全体分析

【参考】全設問結果表(3/3)

7 薬効薬理試験が進行中、または完了している		回答の多い選択肢 (回答10社以上)	パターン間での差	モダリティ間での差	順位付け
1	プレ試験を実施、または完了している	A>B	P1<<P2<P3	なし	全パターンで最も重要
2	げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	A>B 全体ばらつき	P1<<P2<P3	なし	
3	非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	B>A 全体ばらつき	P1<<P2<P3	なし	全パターンで最も重要でない
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である					
1	開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	D>C	P1<P2<P3	なし	全パターンで最も重要でない
2	開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	E→C→A(P1→3)	P1<P2<P3	なし	
3	プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	E→C→A(P1→3)	P1<P2<P3	なし	
4	PMDAに合意/事前相談ができている	E→C→A(P1→3)	P1<P2<P3	なし	
5	患者リクルートが完了している/リクルート中である	E→C→A(P1→3)	P1<P2<<P3	なし	
6	FIH(First in human)が完了している	E→C→A(P1→3)	P1=P2<<P3	なし	
7	バイオマーカーが動いている	E→C→A(P1→3)	P1=P2<<P3	なし	
8	安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	E→C→A(P1→3)	P1=P2<<P3	なし	全パターンで最も重要

2. モダリティ分析

- 2.1 モダリティごとの回答傾向分析 30

モダリティ全般の傾向まとめ

- 基礎研究データ取得がベースとなり、遺伝子治療薬など特定モダリティではバイオマーカーの特定なども加わり科学的信頼性が確保される
- 将来の製品に市場的魅力があるかは重要な要素であり、ワクチンなどのモダリティでは社会情勢なども投資的信頼性を確保するために重要と考えられる
- 開発品の物質特許や製法特許の有無が投資判断に影響するモダリティが存在する

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目 (全般的な傾向)	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーの特定 ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験 (特にげっ歯類)	● 市場性/収益性/社会へのインパクト ● 開発候補品の製法、あるいは物質特許の取得
投資判断に影響が少ない項目 (全般的な傾向)	● 研究結果の公表されている ● 第三者による研究成果レビュー	● 第三者(CRO等)による試験実施 ● 開発候補医薬品の自社製造

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

分析方法

- 各調査項目に対し、各VCがA～E評価を付けた数を集計し、分布表で標記
- 『A』評価の割合が多い＝『重要度が高い』項目と評価
- 『C・D・E』の割合が多い＝『重要度が低い』項目と評価
- 研究開発フェーズごとに数を集計し、フェーズ移行に伴う回答の傾向変化なども調査

		A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1	社会的に開発への期待が高い治療標的である															
	① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0
	② 医薬品開発の実現が医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	3	3	10	1	0	3	4	9	1	0	4	4	8	1	0
	③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	10	7	0	0	0	11	6	0	0	0	13	4	0	0	0
	④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	10	6	1	0	0	11	5	1	0	0	11	5	1	0	0
調査項目																
研究開発フェーズ		基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

研究開発フェーズ

基礎・応用研究

非臨床研究

臨床試験

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

低分子(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/BestFirst/Best in Classも含め)、in vitro 研究データの充実が重要
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	3	3	10	1	0	3	4	9	1	0	4	4	8	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	10	7	0	0	0	11	6	0	0	0	13	4	0	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	10	6	1	0	0	11	5	1	0	0	11	5	1	0	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① in vitro 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	16	1	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② in vitro 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	11	3	3	0	0	10	5	2	0	0	12	4	1	0	0
③ in vivo 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	5	1	0	1	14	2	1	0	0	15	2	0	0	0
④ in vivo 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	7	5	4	0	1	8	5	4	0	0	10	3	4	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	4	6	4	0	3	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	2	9	5	1	0	3	8	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第3者(CRO)等により試験が実施されている	1	1	10	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

低分子(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 製造に関しては重要性が低い(低分子化合物は他のモダリティよりも製造に関するリスクや障壁が低い)

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
3 非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である															
① 初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている	8	8	0	0	1	10	7	0	0	0	12	5	0	0	0
② 臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる	5	10	1	0	1	10	7	0	0	0	12	5	0	0	0
③ シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある	0	1	14	2	0	0	3	12	2	0	0	4	11	2	0
4 開発候補が特定されている(特許取得など)															
① 試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている	5	6	2	0	4	13	3	0	0	1	15	1	0	0	1
② 開発候補医薬品の【物質特許】を取得している	4	6	4	0	3	9	5	2	0	1	9	7	0	0	1
③ 開発候補医薬品の【用途特許】を取得している	3	6	5	0	3	5	7	4	0	1	5	8	3	0	1
④ 開発候補医薬品の【製法特許】を取得している	1	5	6	1	4	3	6	5	1	2	3	7	4	1	2
⑤ 開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)	0	0	7	10	0	0	1	6	10	0	1	1	6	9	0
⑥ 開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している	0	3	7	2	5	2	8	4	1	2	5	10	1	0	1
⑦ 主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である	2	7	5	1	2	5	8	1	1	2	8	7	1	0	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

低分子(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している						A B C D E					A B C D E					A B C D E				
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している						3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
② ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						2	2	4	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
③ ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
						基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

低分子(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いですが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	5	1	7	8	6	1	0	2	12	3	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7	4	8	3	0	2	9	3	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	3	6	0	5	10	4	1	0	2	13	4	0	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	3	4	1	7	8	6	1	0	2	11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	6	1	7	4	9	2	0	2	8	5	2	0	2
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

低分子(5/6)

- 第I相試験の実施に向け、非臨床試験まで完了した段階での投資評価は意見が分かれるタイミングであり、VCごとの意向に留意すべきである

8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				
	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	5	6	6	0	3	5	7	2	2	2	6	7	0
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	3	5	1	8	1	8	4	0	4	8	6	1	0	2
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができている	0	2	4	1	10	3	6	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	6	7	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	3	4	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1

基礎・応用研究

非臨床研究

臨床試験

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

低分子(6/6)

- 低分子は基礎研究データに対する科学的信頼性や、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)が重要視される
- 一方、知財等の影響からも、外部公表や他社からのバリデーション等は重要でない

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

遺伝子治療薬(mRNA抗がん剤、ゲノム編集等)(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/BestFirst/Best in Classも含め)、*in vitro* 研究データの充実が重要
- バイオマーカーの特定は重要な投資判断項目である

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	3	4	9	1	0	3	5	8	1	0	4	5	7	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	9	7	1	0	0	10	6	1	0	0	12	4	1	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	9	6	2	0	0	10	5	2	0	0	10	5	2	0	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	16	1	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	11	3	2	1	0	10	4	2	1	0	11	4	1	1	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	5	1	0	1	14	2	1	0	0	15	2	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	6	6	4	0	1	8	5	4	0	0	10	3	4	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	5	6	4	0	2	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	3	8	5	1	0	4	7	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第3者(CRO)等により試験が実施されている	1	1	10	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

遺伝子治療薬(mRNA抗がん剤、ゲノム編集等)(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

	A	B	C	D	E		A	B	C	D	E		A	B	C	D	E
3 非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である																	
① 初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている	9	6	0	0	2		9	8	0	0	0		12	5	0	0	0
② 臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる	5	10	0	0	2		9	8	0	0	0		12	5	0	0	0
③ シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある	0	1	14	2	0		0	3	12	2	0		0	4	11	2	0
4 開発候補が特定されている(特許取得など)																	
① 試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている	4	5	3	0	5		12	3	1	0	1		15	1	0	0	1
② 開発候補医薬品の【物質特許】を取得している	3	5	5	0	4		8	5	3	0	1		8	7	1	0	1
③ 開発候補医薬品の【用途特許】を取得している	2	6	5	0	4		5	7	4	0	1		5	8	3	0	1
④ 開発候補医薬品の【製法特許】を取得している	0	4	7	1	5		3	4	7	1	2		3	5	6	1	2
⑤ 開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)	0	1	8	8	0		0	1	7	9	0		1	2	7	7	0
⑥ 開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している	0	4	6	1	6		3	8	3	1	2		5	10	1	0	1
⑦ 主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である	2	6	5	1	3		5	8	1	1	2		8	7	1	0	1
	基礎・応用研究						非臨床研究						臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

遺伝子治療薬(mRNA抗がん剤、ゲノム編集等)(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している						A B C D E					A B C D E					A B C D E				
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している						3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している																				
②						2	1	5	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)																				
安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
③						0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)																				
安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
								</												

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

遺伝子治療薬(mRNA抗がん剤、ゲノム編集等)(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E		A	B	C	D	E		A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している																	
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5		10	4	1	0	2		13	3	0	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	1	6	1	7		8	6	1	0	2		12	3	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																	
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7		4	8	3	0	2		9	3	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している																	
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	3	6	0	5		10	4	1	0	2		13	4	0	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	5	1	7		8	6	1	0	2		11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																	
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	6	1	7		4	9	2	0	2		8	5	2	0	2
	基礎・応用研究						非臨床研究						臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

遺伝子治療薬(mRNA抗がん剤、ゲノム編集等)(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- 遺伝子治療薬を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていくことが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	6	6	5	0	3	6	6	2	2	2	7	6	0
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	6	1	8	1	7	4	0	5	8	6	1	0	2
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができています	0	2	4	1	10	4	5	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	2	5	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

遺伝子治療薬(mRNA抗がん剤、ゲノム編集等)(6/6)

- 遺伝子治療薬は基礎研究データやバイオマーカーの特定、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)が重要視される
- 治療薬を自社製造できることは必ずしも重要視される項目ではない

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(mRNA製剤)(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/Best in Classも含め)、*in vitro* 研究データの充実が重要であり、他モダリティより重要視される
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	4	3	9	1	0	4	4	8	1	0	5	3	8	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	9	7	1	0	0	10	6	1	0	0	12	4	1	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	9	7	1	0	0	10	6	1	0	0	10	6	1	0	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	10	3	4	0	0	10	5	2	0	0	12	4	1	0	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	5	1	0	1	13	3	1	0	0	14	3	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	6	6	4	0	1	7	5	5	0	0	9	3	5	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	4	6	4	0	3	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	3	8	5	1	0	4	7	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第三者(CRO)等により試験が実施されている	1	1	10	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(mRNA製剤)(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

	A	B	C	D	E		A	B	C	D	E		A	B	C	D	E
3 非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である																	
① 初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている	9	7	0	0	1		9	8	0	0	0		12	5	0	0	0
② 臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる	5	11	0	0	1		9	8	0	0	0		12	5	0	0	0
③ シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある	0	1	14	2	0		0	3	12	2	0		0	4	11	2	0
4 開発候補が特定されている(特許取得など)																	
① 試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている	5	5	2	0	5		13	3	0	0	1		15	1	0	0	1
② 開発候補医薬品の【物質特許】を取得している	3	6	4	0	4		8	6	2	0	1		8	8	0	0	1
③ 開発候補医薬品の【用途特許】を取得している	2	6	6	0	3		5	7	4	0	1		5	8	3	0	1
④ 開発候補医薬品の【製法特許】を取得している	0	4	8	1	4		3	4	7	1	2		3	5	6	1	2
⑤ 開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)	0	0	7	10	0		0	1	6	10	0		1	1	6	9	0
⑥ 開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している	0	4	6	1	6		3	8	3	1	2		5	10	1	0	1
⑦ 主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である	2	7	5	1	2		5	8	1	1	2		8	7	1	0	1
	基礎・応用研究						非臨床研究						臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(mRNA製剤)(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

		A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している																
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している ・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性) ② ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等) ・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験) 非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している ・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性) ③ ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等) ・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)		3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
		2	1	5	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
		0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
		基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(mRNA製剤)(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いですが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E					
6 薬物動態試験が進行中、または完了している																				
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している						3	2	7	0	5	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
② <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)						2	1	6	1	7	8	6	1	0	2	12	3	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
③ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)						0	1	8	1	7	4	8	3	0	2	9	3	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している																				
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している						3	3	6	0	5	10	4	1	0	2	12	4	1	0	0
② 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 臨床用量が推定できている その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)						2	2	5	1	7	8	6	1	0	2	10	4	1	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
③ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 臨床用量が推定できている その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)						0	3	6	1	7	4	9	2	0	2	7	5	3	0	2

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(mRNA製剤)(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- ワクチン(mRNA)を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていることが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	6	6	5	0	3	5	7	2	2	2	6	7	0
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	6	1	8	1	8	4	0	4	8	6	1	0	2
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができています	0	2	4	1	10	4	5	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	2	5	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(mRNA製剤)(6/6)

- ワクチン(mRNA)は基礎研究データに対する科学的信頼性や、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)、社会実装の意義が重要視される
- ワクチンを自社製造できることは必ずしも重要視される項目ではない

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み ● 社会実装の意義
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/Best in Classも含め)、*in vitro* 研究データの充実が重要である
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	4	3	9	1	0	4	4	8	1	0	5	3	8	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	9	8	0	0	0	10	7	0	0	0	12	5	0	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	10	6	1	0	0	11	5	1	0	0	11	5	1	0	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	10	3	4	0	0	10	5	2	0	0	12	4	1	0	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	5	1	0	1	13	3	1	0	0	14	3	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	6	6	4	0	1	7	5	5	0	0	9	3	5	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	4	6	4	0	3	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	3	8	5	1	0	4	7	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第三者(CRO)等により試験が実施されている	1	1	10	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
3 非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である															
① 初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている	9	7	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
② 臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる	5	11	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
③ シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある	0	1	14	2	0	0	3	12	2	0	0	4	11	2	0
4 開発候補が特定されている(特許取得など)															
① 試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている	5	5	2	0	5	13	3	0	0	1	15	1	0	0	1
② 開発候補医薬品の【物質特許】を取得している	3	6	4	0	4	8	6	2	0	1	8	8	0	0	1
③ 開発候補医薬品の【用途特許】を取得している	2	6	6	0	3	5	7	4	0	1	5	8	3	0	1
④ 開発候補医薬品の【製法特許】を取得している	0	4	8	1	4	3	4	7	1	2	3	5	6	1	2
⑤ 開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)	0	0	7	10	0	0	1	6	10	0	1	1	6	9	0
⑥ 開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している	0	4	6	1	6	3	8	3	1	2	5	10	1	0	1
⑦ 主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である	2	7	5	1	2	5	8	1	1	2	8	7	1	0	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

[illegible]

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いですが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	4	1	8	8	6	1	0	2	12	3	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	5	1	8	4	8	3	0	2	9	3	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5	10	4	1	0	2	12	4	1	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	5	1	7	8	6	1	0	2	10	4	1	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7	4	9	2	0	2	7	5	3	0	2
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていることが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	5	6	6	0	3	5	7	2	2	2	6	7	0
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	5	1	9	1	8	4	0	4	8	6	1	0	2
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができている	0	2	4	1	10	4	5	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	3	4	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)(6/6)

- ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)は基礎研究データに対する科学的信頼性や、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)、社会実装の意義が重要視される
- ワクチンを自社製造できることは必ずしも重要視される項目ではない

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み ● 社会実装の意義
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/Best in Classも含め)、*in vitro* 研究データの充実が重要である
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	3	3	10	1	0	3	4	9	1	0	4	4	8	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	9	8	0	0	0	10	7	0	0	0	12	5	0	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	10	6	1	0	0	11	5	1	0	0	11	5	1	0	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	16	1	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	11	3	3	0	0	10	5	2	0	0	12	4	1	0	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	5	1	0	1	14	2	1	0	0	15	2	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	6	6	4	0	1	8	5	4	0	0	10	3	4	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	4	6	4	0	3	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	3	8	5	1	0	4	7	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第三者(CRO)等により試験が実施されている	1	1	10	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 開発候補品の物質特許の取得が他のモダリティと比べ重要視されている
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

3	非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である
①	初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている
②	臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる
③	シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある
4	開発候補が特定されている(特許取得など)
①	試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている
②	開発候補医薬品の【物質特許】を取得している
③	開発候補医薬品の【用途特許】を取得している
④	開発候補医薬品の【製法特許】を取得している
⑤	開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)
⑥	開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している
⑦	主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である

A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
9	7	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
5	11	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
0	1	14	2	0	0	3	12	2	0	0	4	11	2	0
5	5	2	0	5	13	3	0	0	1	15	1	0	0	1
3	6	4	0	4	8	6	2	0	1	8	8	0	0	1
2	6	6	0	3	5	7	4	0	1	5	8	3	0	1
0	4	8	1	4	3	4	7	1	2	3	5	6	1	2
0	0	8	9	0	0	1	7	9	0	1	1	7	8	0
0	4	6	1	6	3	8	3	1	2	5	10	1	0	1
2	7	5	1	2	5	8	1	1	2	8	7	1	0	1

基礎・応用研究

非臨床研究

臨床試験

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している						A B C D E					A B C D E					A B C D E				
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している						3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
② ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						2	1	5	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
③ ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
						基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いですが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E		A	B	C	D	E		A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している																	
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5		10	4	1	0	2		13	3	0	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	1	6	1	7		8	6	1	0	2		12	3	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																	
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7		4	8	3	0	2		9	3	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している																	
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	3	6	0	5		10	4	1	0	2		13	4	0	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	5	1	7		8	6	1	0	2		11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																	
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	6	1	7		4	9	2	0	2		8	5	2	0	2
	基礎・応用研究						非臨床研究						臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていることが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	6	6	5	0	3	5	7	2	2	2	6	7	0
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	6	1	8	1	8	4	0	4	8	6	1	0	2
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができている	0	2	4	1	10	3	6	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	2	5	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)(6/6)

- バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)は基礎研究データやバイオマーカーの特定、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)が重要視される
- 開発候補品の物質特許の取得が重要視される(アミノ酸配列などの情報が重要)

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み ● 開発候補品の物質特許取得
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/Best in Classも含め)、*in vitro* 研究データの充実が重要である
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0	13	3	1	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	3	3	10	1	0	3	4	9	1	0	4	4	8	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	10	7	0	0	0	11	6	0	0	0	13	4	0	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	10	6	1	0	0	11	5	1	0	0	11	5	1	0	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	16	1	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	11	3	3	0	0	10	5	2	0	0	12	4	1	0	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	5	1	0	1	14	2	1	0	0	15	2	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	6	5	4	0	2	8	5	4	0	0	10	3	4	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	4	6	4	0	3	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	2	9	5	1	0	3	8	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第三者(CRO)等により試験が実施されている	1	1	10	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 開発候補品の物質特許の取得が他のモダリティと比べ重要視されている
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

3	非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である
①	初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている
②	臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる
③	シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある
4	開発候補が特定されている(特許取得など)
①	試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている
②	開発候補医薬品の【物質特許】を取得している
③	開発候補医薬品の【用途特許】を取得している
④	開発候補医薬品の【製法特許】を取得している
⑤	開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)
⑥	開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している
⑦	主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である

A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
9	7	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
5	11	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
0	1	14	2	0	0	3	12	2	0	0	4	11	2	0
5	5	2	0	5	13	3	0	0	1	15	1	0	0	1
4	5	4	0	4	9	5	2	0	1	9	7	0	0	1
2	6	6	0	3	5	7	4	0	1	5	8	3	0	1
0	4	8	1	4	3	4	7	1	2	3	5	6	1	2
0	1	7	9	0	0	2	6	9	0	1	2	6	8	0
0	3	6	2	6	2	8	4	1	2	5	10	1	0	1
2	7	5	1	2	5	8	1	1	2	8	7	1	0	1

基礎・応用研究

非臨床研究

臨床試験

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している						A B C D E					A B C D E					A B C D E				
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している						3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
② ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						2	1	5	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
③ ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
						基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E		A	B	C	D	E		A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している																	
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5		10	4	1	0	2		13	3	0	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	1	6	1	7		8	6	1	0	2		12	3	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																	
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7		4	8	3	0	2		9	3	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している																	
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	3	6	0	5		10	4	1	0	2		13	4	0	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	5	1	7		8	6	1	0	2		11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																	
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	6	1	7		4	9	2	0	2		8	5	2	0	2
	基礎・応用研究						非臨床研究						臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていることが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	6	6	5	0	3	5	7	2	2	2	6	7	0
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	6	1	8	1	8	4	0	4	8	6	1	0	2
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができています	0	2	4	1	10	3	6	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	2	5	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)(6/6)

- バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)は基礎研究データやバイオマーカーの特定、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)が重要視される
- 開発候補品の物質特許の取得が重要視される(アミノ酸配列などの情報が重要)

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み ● 開発候補品の物質特許取得
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(バイオシミラー等)(1/6)

- 先行薬が既に上市されているため、バイオ医薬品(抗体医薬品等)よりもA項目が多少高め
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	12	3	1	1	0	12	3	1	1	0	12	3	1	1	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	6	2	8	1	0	6	3	7	1	0	6	3	7	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	11	5	1	0	0	11	5	1	0	0	13	3	1	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	8	5	3	1	0	9	4	3	1	0	10	3	3	1	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	11	2	4	0	0	11	4	2	0	0	13	3	1	0	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	12	3	1	0	1	14	3	0	0	0	15	2	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	8	3	4	0	2	8	5	4	0	0	10	3	4	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	6	6	4	0	1	5	8	4	0	0	9	5	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	2	9	5	1	0	3	8	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第3者(CRO)等により試験が実施されている	1	1	10	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(バイオシミラー等)(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 開発候補品の物質特許の取得が他のモダリティと比べ重要視されている
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

3	非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である
①	初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている
②	臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる
③	シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある
4	開発候補が特定されている(特許取得など)
①	試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている
②	開発候補医薬品の【物質特許】を取得している
③	開発候補医薬品の【用途特許】を取得している
④	開発候補医薬品の【製法特許】を取得している
⑤	開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)
⑥	開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している
⑦	主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である

A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
10	6	0	0	1	10	7	0	0	0	13	4	0	0	0
6	11	0	0	0	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
0	1	14	2	0	0	3	12	2	0	0	4	11	2	0
6	5	3	0	3	13	3	0	0	1	15	1	0	0	1
4	5	5	0	3	8	5	3	0	1	8	7	1	0	1
3	5	7	0	2	4	7	5	0	1	4	8	4	0	1
2	3	8	1	3	3	4	7	1	2	3	5	6	1	2
1	0	6	10	0	1	1	5	10	0	2	1	5	9	0
0	5	5	1	6	4	7	3	1	2	5	10	1	0	1
3	7	4	1	2	5	8	1	1	2	8	7	1	0	1

基礎・応用研究

非臨床研究

臨床試験

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(バイオシミラー等)(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している		A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している		3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																
②		2	2	4	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
・細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等) ・安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価) ・その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																
③		0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
・各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性) ・細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等) ・安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価) ・その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																
		基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(バイオシミラー等)(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いですが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	5	1	7	8	6	1	0	2	12	3	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7	4	8	3	0	2	9	3	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	3	6	0	5	10	4	1	0	2	12	4	1	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	3	4	1	7	8	6	1	0	2	10	4	1	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	6	1	7	4	9	2	0	2	7	5	3	0	2
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(バイオシミラー等)(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- バイオ医薬品(バイオシミラー等)を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていることが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	1	0	4	6	6	1	2	5	7	2	3	1	6	7	0
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	5	1	9	1	8	4	0	4	8	6	1	0	2
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができています	0	2	4	1	10	3	6	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	3	4	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

バイオ医薬品(バイオシミラー等)(6/6)

- バイオ医薬品(バイオシミラー等)は基礎研究データやバイオマーカーの特定、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)が重要視される
- 開発候補品の物質特許の取得が重要視される(アミノ酸配列などの情報が重要)

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み ● 開発候補品の物質特許取得
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせ等(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/Best in Classも含め)、*in vitro* 研究データの充実が重要である
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	4	0	0	0	13	4	0	0	0	13	4	0	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	3	4	9	1	0	3	5	8	1	0	4	5	7	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	9	7	1	0	0	10	6	1	0	0	12	4	1	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	9	7	1	0	0	10	6	1	0	0	10	6	1	0	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	16	1	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	11	3	3	0	0	10	5	2	0	0	12	4	1	0	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	5	1	0	1	14	2	1	0	0	15	2	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	6	6	4	0	1	8	5	4	0	0	10	4	3	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	4	6	4	0	3	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	3	8	5	1	0	4	7	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第3者(CRO)等により試験が実施されている	1	2	9	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせ等(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 開発候補品の製法特許の取得が他のモダリティと比べ重要視されている
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

3	非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である
①	初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている
②	臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる
③	シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある
4	開発候補が特定されている(特許取得など)
①	試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている
②	開発候補医薬品の【物質特許】を取得している
③	開発候補医薬品の【用途特許】を取得している
④	開発候補医薬品の【製法特許】を取得している
⑤	開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)
⑥	開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している
⑦	主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である

A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
9	6	0	0	2	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
4	11	0	0	2	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
0	1	14	2	0	0	3	12	2	0	0	4	11	2	0
4	5	3	0	5	13	3	0	0	1	15	1	0	0	1
3	5	5	0	4	7	6	3	0	1	7	8	1	0	1
2	7	5	0	3	4	9	3	0	1	4	10	2	0	1
2	5	5	1	4	5	5	4	1	2	6	5	3	1	2
2	1	8	5	1	2	2	7	5	1	3	2	7	4	1
0	3	7	1	6	3	8	3	1	2	5	10	1	0	1
2	7	5	1	2	5	8	1	1	2	8	7	1	0	1

基礎・応用研究

非臨床研究

臨床試験

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせ等(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している						A B C D E					A B C D E					A B C D E				
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している						3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
② ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						2	1	5	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
③ ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
						基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせ等(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E		A	B	C	D	E		A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している																	
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5		9	5	2	0	1		11	4	1	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	1	6	1	7		8	6	2	0	1		11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																	
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7		4	8	4	0	1		8	4	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している																	
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	3	7	0	4		10	4	1	0	2		13	4	0	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	6	1	6		8	6	1	0	2		11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																	
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	7	1	6		4	9	2	0	2		8	5	2	0	2
	基礎・応用研究						非臨床研究						臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせ等(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- 細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせ等製品を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていることが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	6	6	5	0	3	6	5	3	2	2	7	5	1
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	6	1	8	1	8	4	1	3	8	6	1	1	1
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができています	0	2	4	1	10	3	6	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	2	5	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせ等(6/6)

- 細胞医療品、CAR-T等、細胞と遺伝子の組み合わせ等製品は基礎研究データやバイオマーカーの特定、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)が重要視される
- 開発候補品の製法特許の取得が重要視される(臨床で使用可能な細胞等製品の準備可否)

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み ● 開発候補品の製法特許取得
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞関連)(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/Best in Classも含め)、*in vitro* 研究データの充実が重要である
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	4	0	0	0	13	4	0	0	0	13	4	0	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	3	4	9	1	0	3	5	8	1	0	4	5	7	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	9	8	0	0	0	10	7	0	0	0	12	5	0	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	9	7	1	0	0	10	6	1	0	0	10	6	1	0	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	16	1	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	11	3	3	0	0	10	5	2	0	0	12	4	1	0	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	6	0	0	1	14	3	0	0	0	15	2	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	7	6	3	0	1	8	6	3	0	0	10	4	3	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	4	6	4	0	3	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	3	8	5	1	0	4	7	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第3者(CRO)等により試験が実施されている	1	2	9	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞関連)(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 開発候補品の製法特許の取得が他のモダリティと比べ重要視されている
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

3	非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である
①	初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている
②	臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる
③	シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある
4	開発候補が特定されている(特許取得など)
①	試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている
②	開発候補医薬品の【物質特許】を取得している
③	開発候補医薬品の【用途特許】を取得している
④	開発候補医薬品の【製法特許】を取得している
⑤	開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)
⑥	開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している
⑦	主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である

A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
9	7	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
5	11	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
0	1	14	2	0	0	3	12	2	0	0	4	11	2	0
4	6	2	0	5	12	4	0	0	1	15	1	0	0	1
2	5	6	0	4	6	6	4	0	1	6	8	2	0	1
2	7	5	0	3	5	8	3	0	1	5	9	2	0	1
2	5	6	1	3	6	4	5	1	1	6	5	4	1	1
2	1	8	5	1	2	2	7	5	1	3	2	7	4	1
0	4	6	1	6	3	8	3	1	2	5	10	1	0	1
2	7	5	1	2	5	8	1	1	2	8	7	1	0	1

基礎・応用研究

非臨床研究

臨床試験

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞関連)(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している						A B C D E					A B C D E					A B C D E				
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している						3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
② ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						2	1	5	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
③ ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
						基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞関連)(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いですが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5	9	5	2	0	1	11	4	1	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	1	6	1	7	8	6	2	0	1	11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7	4	8	4	0	1	8	4	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	3	7	0	4	10	4	1	0	2	13	4	0	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	6	1	6	8	6	1	0	2	11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	7	1	6	4	9	2	0	2	8	5	2	0	2
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞関連)(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- 再生医療等製品(iPS細胞関連)を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていることが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	6	6	5	0	3	6	5	3	2	2	7	5	1
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	6	1	8	1	8	4	1	3	8	6	1	1	1
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができています	0	2	4	1	10	3	6	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	2	5	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞関連)(6/6)

- 再生医療等製品(iPS細胞関連)は基礎研究データやバイオマーカーの特定、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)が重要視される
- 開発候補品の製法特許の取得が重要視される(臨床で使用可能な細胞等製品の準備可否)

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み ● 開発候補品の製法特許取得
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞以外)(1/6)

- アンメットニーズへの貢献、ビジネス的要素(First/Best in Classも含め)、*in vitro* 研究データの充実が重要である
- 成果発表の有無や第三者機関からのバリデーション等は投資判断の重要項目ではない

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
1 社会的に開発への期待が高い治療標的である															
① 医薬品開発の実現がアンメットメディカルニーズの解消に大きく寄与する	13	4	0	0	0	13	4	0	0	0	12	5	0	0	0
② 社会実装により医療経済的(医療費削減への貢献等)に大きなインパクトを与える	3	4	9	1	0	3	5	8	1	0	4	5	7	1	0
③ 医薬品としての市場性が見込め、大きなビジネスチャンスが見込める	9	8	0	0	0	10	7	0	0	0	11	6	0	0	0
④ 対象疾患領域にとってFirst in Class/Best in Class の医薬品になりうる	9	7	1	0	0	10	6	1	0	0	10	5	1	1	0
2 基礎研究のエビデンスが揃っている															
① <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	16	1	0	0	0	15	2	0	0	0	15	2	0	0	0
② <i>in vitro</i> 研究のデータが揃っている ②(細胞系のハイスループットスクリーニングなど)	11	3	3	0	0	10	5	2	0	0	12	4	1	0	0
③ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ①(POCを示すデータが揃っている、等)	10	6	0	0	1	14	3	0	0	0	15	2	0	0	0
④ <i>in vivo</i> 研究のデータが揃っている ②(マウス等の実験系動物モデルの確立など)	7	6	3	0	1	8	6	3	0	0	10	4	3	0	0
⑤ バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる)	4	6	4	0	3	4	8	4	0	1	8	6	3	0	0
⑥ 研究結果が論文や学会で公表されている	0	3	8	5	1	0	4	7	5	1	1	2	9	4	1
⑦ 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	0	2	11	1	3	0	3	11	1	2	0	5	10	1	1
⑧ 第3者(CRO)等により試験が実施されている	1	2	9	2	3	3	2	10	1	1	4	2	9	1	1

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞以外)(2/6)

- 開発候補品(化合物)や作用機序が確定し、TPPが描けていることが重要
- 開発候補品の製法特許の取得が他のモダリティと比べ重要視されている
- 自社で製造プラットフォームを有している必要性はないが、製造のアウトソース先や治療薬の物質安定性は重要な投資判断項目となる

3	非臨床試験を基に、作用メカニズム(MoA)やPOCが明確である
①	初期の薬理試験等により薬剤の作用機序が明確になっている
②	臨床試験～上市された時のTPP(Target Product Profile)が想起できる
③	シーズ開発やベンチャー支援経験を有する専門家に事業開発のコンサルテーションを受けたことがある
4	開発候補が特定されている(特許取得など)
①	試験実施に当たり開発候補医薬品が特定できている
②	開発候補医薬品の【物質特許】を取得している
③	開発候補医薬品の【用途特許】を取得している
④	開発候補医薬品の【製法特許】を取得している
⑤	開発候補医薬品の製造が自社で可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)
⑥	開発候補医薬品の製造のアウトソース先が確定している
⑦	主成分となる物質や細胞の安定性(使用可能時間、保管・輸送条件等)が実用可能な範囲である

A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
9	7	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
5	11	0	0	1	9	8	0	0	0	12	5	0	0	0
0	1	14	2	0	0	3	12	2	0	0	4	11	2	0
4	6	2	0	5	12	4	0	0	1	15	1	0	0	1
2	5	6	0	4	6	6	4	0	1	6	8	2	0	1
2	7	5	0	3	5	8	3	0	1	5	9	2	0	1
2	5	6	1	3	6	4	5	1	1	6	5	4	1	1
2	1	8	5	1	2	2	7	5	1	3	2	7	4	1
0	4	6	1	6	3	8	3	1	2	5	10	1	0	1
2	7	5	1	2	5	8	1	1	2	8	7	1	0	1

基礎・応用研究

非臨床研究

臨床試験

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞以外)(3/6)

- 基礎・応用研究フェーズではGLP/安全性試験の重要度は低いが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

5 GLP/安全性試験が進行中、または完了している						A B C D E					A B C D E					A B C D E				
① non-GLP安全性試験を実施、または完了している						3	2	5	0	7	10	4	1	0	2	13	3	0	0	1
げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
② ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						2	1	5	1	8	9	5	1	0	2	12	3	0	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している																				
・ 各種毒性試験(単回投与/急性毒性/急性全身毒性)																				
③ ・ 細胞毒性試験、遺伝毒性試験(Ames試験等)						0	3	5	1	8	5	9	1	0	2	9	5	1	0	2
・ 安全性薬理試験(hERGなどの心血管系評価)																				
・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)																				
						基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞以外)(4/6)

- 基礎・応用研究フェーズでは薬物動態や薬効薬理試験の重要度は低いですが、フェーズの進行に伴い重要度は増し、特にげっ歯類のデータ取得が必要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
6 薬物動態試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	2	7	0	5	9	5	2	0	1	11	4	1	0	1
② ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	1	6	1	7	8	6	2	0	1	11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ <i>in vitro</i> 評価試験(代謝・CYP分子同定・酵素阻害、トランスポーターなど) ・ <i>in vivo</i> 評価試験(探索的PK、内因性化合物定量など) ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	1	8	1	7	4	8	4	0	1	8	4	3	0	2
7 薬効薬理試験が進行中、または完了している															
① プレ試験を実施、または完了している げっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	3	3	7	0	4	10	4	1	0	2	13	4	0	0	0
② ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	2	2	6	1	6	8	6	1	0	2	11	4	0	0	2
非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル)試験まで完了している															
③ ・ 標的疾患に適した動物モデルを用いた薬効薬理試験 ・ 臨床用量が推定できている ・ その他(各モダリティにおいて評価が必須な試験)	0	3	7	1	6	4	9	2	0	2	8	5	2	0	2
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞以外)(5/6)

- 非臨床試験までは各項目とも投資判断に重要ではない
- 再生医療等製品(iPS細胞関連)を自社製造できることは投資判断に重要ではなく、アウトソース先の確保ができていることが重要となる

	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E	A	B	C	D	E
8 人を対象とした第I相試験で安全性が確認できている、あるいは確認中である															
① 開発品目の大量生産(治験用)が自社で製造可能である	0	0	6	6	5	0	3	6	5	3	2	2	7	5	1
② 開発品目の大量生産(治験用)のアウトソース先が確定している	0	2	6	1	8	1	8	4	1	3	8	6	1	1	1
③ プロトコル等、実施に当たる各種文書体の準備が完了している/準備中である	0	2	5	1	9	1	7	4	0	5	8	5	2	0	2
④ PMDAに合意/事前相談ができています	0	2	4	1	10	4	5	4	0	4	7	5	3	0	2
⑤ 患者リクルートが完了している/リクルート中である	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	7	6	2	1	1
⑥ FIH(First in human)が完了している	0	2	4	1	10	0	2	5	2	8	8	5	2	1	1
⑦ バイオマーカーが動いている	0	3	4	1	9	0	3	5	1	8	5	8	2	1	1
⑧ 安全性や動態プロファイル(一部有効性)が明らかになっている	0	2	5	1	9	1	3	5	1	7	8	5	2	1	1
	基礎・応用研究					非臨床研究					臨床試験				

2. モダリティ分析 -1 モダリティごとの回答傾向分析

再生医療等製品(iPS細胞以外)(6/6)

- 再生医療等製品(iPS細胞関連)は基礎研究データやバイオマーカーの特定、治療標的の新規性(アンメットメディカルニーズの解消やBest/First in Classの医薬品であること)が重要視される
- 開発候補品の製法特許の取得が重要視される(臨床で使用可能な細胞等製品の準備可否)

	科学的信頼性	投資的信頼性
投資判断に重要な項目	● <i>in vitro/vivo</i>の研究データ ● バイオマーカーが特定できている(臨床試験に進んだ時の効果判定系が構築、あるいは想定できる) ● GLP/安全性試験、薬物動態試験、薬効薬理試験がげっ歯類(マウス・ラット)試験まで完了している	● アンメットメディカルニーズ解消への寄与 ● 市場性/収益性の見込み ● Best in class/First in classの見込み ● 開発候補品の製法特許取得
投資判断に影響が少ない項目	● 研究結果が論文や学会で公表されている ● 製薬企業の研究職、R&D職歴任者にデータに関するアドバイスやバリデーションを受けたことがある	● 第三者(CRO等)により試験が実施されている ● 開発候補医薬品の製造が可能である(製造プラットフォームを有する、抗体製造が可能、等)

3. 補足

- 調査・分析方法 92

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