

厚生労働省 臨床研究総合促進事業 医師研修

2024/10/18

対話で学ぶ“研究者が知っておくべき研究戦略立案のコツ”

2024年10月18日(金) 午後 (13:00~17:00)

順天堂大学 本郷・お茶の水キャンパス 7号館地下1階コラボスペース

PMラボ ポジティブインテンション
今野 浩一

研究者が知っておくべき研究戦略立案のコツ

- 1. はじめに (5分)
- 2. 医薬品研究戦略の本質(5分)
- 3. 研究戦略文書(20分)
 1. 戦略の階層構造
 2. プログラム主要文書の構成
 3. ベネフィットステートメント
 4. ビジネスケース
 5. ターゲットプロダクトプロフィール(TPP)
 6. プログラムチャーター
 7. プロジェクトチャーター
 8. プログラムリスク
- 4. 資金調達戦略 (10分)
- 5. 企業との共同開発戦略 (5分)
- 6. まとめ (5分)

1. はじめに

研修の目的

- 戦略マネジメントの原理・原則を確認し、研究戦略・計画をより**確実(reliable)**なものに進化・適応させる時間を創出する

研修の目標

- 研究戦略に事業戦略の視点と考え方を取り入れ統合する
- 研究の真の価値や提供するベネフィットを明確に定義し、言語化・可視化する
- 国際標準の書式による研究戦略立案のプロセスと作成要領を理解する
- 上記のINPUTを活用し研究戦略をブラッシュアップする

戦略とは包括的な行動指針

- 戦略とは、限られたリソースを最適に配分し、不確実な環境下で長期的な目標を達成するための包括的な行動指針である
- 戦略の機能
 - 方向性の指示: 目標達成に向けた方向性を示すもの
 - 安定性と信頼性: 変化の激しい環境下でも信頼できる指針となる
 - 調整と修正: 状況に応じて柔軟に調整され、目標達成に向けた方向性を示し続ける
 - 目標達成のガイド: 組織や個人が目標を達成するためのガイドラインとして機能する

研究者が知っておくべき研究戦略立案のコツ

- 1. はじめに (5分)
- 2. 医薬品研究戦略の本質(5分)
- 3. 研究戦略文書(20分)
 1. 戦略の階層構造
 2. プログラム主要文書の構成
 3. ベネフィットステートメント
 4. ビジネスケース
 5. ターゲットプロダクトプロフィール(TPP)
 6. プログラムチャーター
 7. プロジェクトチャーター
 8. プログラムリスク
- 4. 資金調達戦略 (10分)
- 5. 企業との共同開発戦略 (5分)
- 6. まとめ (5分)

2. 医薬品研究戦略の本質

不確実性の中で、倫理的配慮と社会的責任を根幹に置き、**価値創造と価値獲得を調和させること**

・不確実性への対応

- ・医薬品開発は、成功確率が低く、長期間を要するリスクの高いプロセス
- ・技術的な不確実性(薬効や安全性)、規制の変化、市場動向の変化など、多くの不確実要素が存在

・価値創造

- ・医療ニーズを満たす革新的な治療法の開発が最終目標
- ・患者のQOL向上、未満足な医療ニーズへの対応、既存治療の改善などの価値創造
- ・科学的な卓越性と臨床的な有用性の両立

・価値獲得

- ・研究開発投資の回収と、将来の研究への再投資を可能にする収益モデルの構築
- ・特許戦略、価格設定、マーケティング、製造・流通戦略の展開

・倫理的配慮と社会的責任

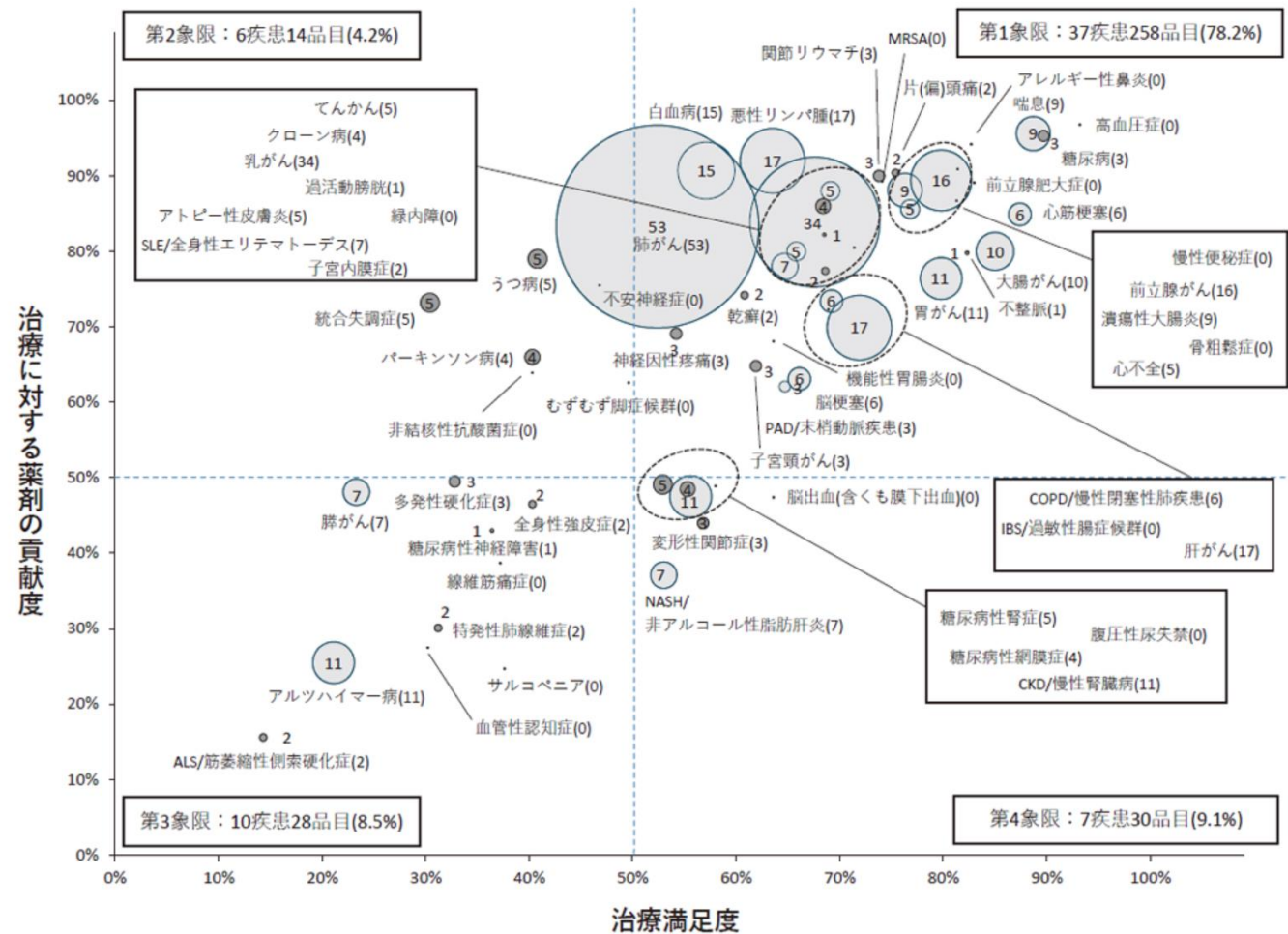
- ・患者の安全と福祉を最優先する倫理的アプローチ
- ・持続可能な医療システムへの貢献を考慮した戦略立案

医薬品開発における戦略立案の特徴

- 多様なステークホルダー：
 - 研究者、投資家、規制当局、患者など、多様な利害関係者が関与。それぞれのニーズを満たしつつ、バランスを取る必要がある
- 市場動向の変化への適応：
 - 競合他社の動向、新技術の出現、医療ニーズの変化など、市場環境が常に変化する。柔軟に戦略を修正できる体制が必要
- 規制環境への対応：
 - 厳格な規制に適合する必要あり。規制の変更にも常に注意を払う
- 投機的な資金の調達：
 - 莫大な資金が必要。継続的な資金調達戦略の重要性
- 高いリスクと不確実性：
 - リスク管理と代替計画の準備が不可欠
- 長期に及ぶ研究開発期間：
 - 長期的な視点で計画を立て、途中で生じる変化に柔軟に対応する必要性

(参考)アンメット・メディカル・ニーズに対する医薬品の開発・承認状況 -2022年の動向-

図1 治療満足度・薬剤貢献度（2019年度）別にみた開発件数（2022年5月末日時点）



注：数字（括弧内含む）は該当新薬の開発件数を示す。

研究戦略と事業戦略の比較

研究戦略とは

- 研究戦略とは、研究目的を達成するに当たっての具体的な研究プログラムを設定し、その目標とそれに至るシナリオと、研究プログラムを構成する個々の研究プロジェクトの目標までを想定する、**研究目的と研究プロジェクトを繋ぐ構造化・論理化された研究展開の単位**

事業戦略とは

- 事業戦略とは、単独の事業がそのドメインの中で**競争優位性を確立するための方針**をさす。事業戦略は、特定の競争環境下において、特定の事業で**戦い勝ち抜いていくための基本枠組み**である。さらに細分化すれば、**営業や開発、生産といった機能分野別の戦略、そして地域別の戦略**などが含まれる。

その研究戦略は事業戦略の構築に貢献できるのか？

小林直人ら 研究戦略の形成とそれに基づいた構成的な研究評価 Synthesiology Vol.4 No.1 pp.11-25 (Feb. 2011)

グロービス経営大学院 MBA用語集 https://mba.globis.ac.jp/about_mba/glossary/detail-12244.html2024/09/07確認

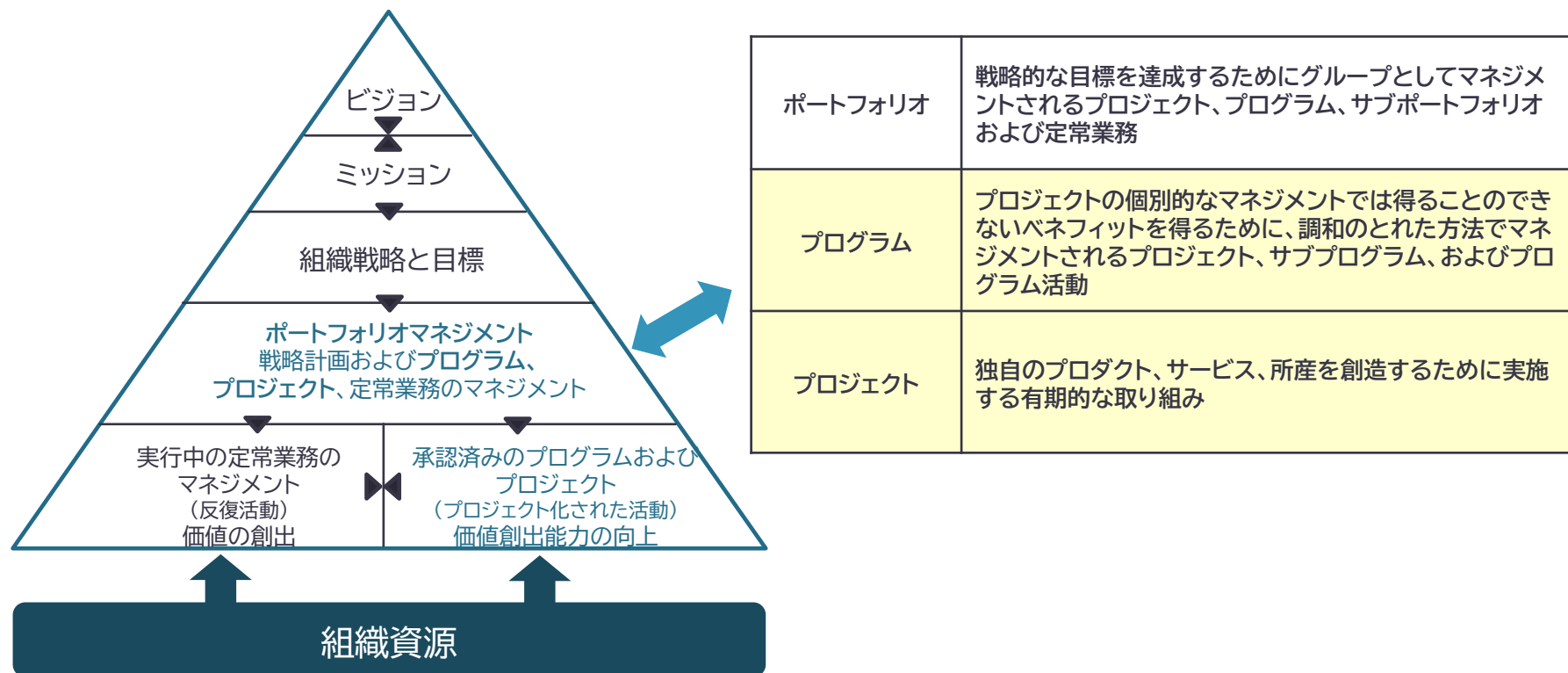
事業戦略とESG投資

- ESG投資とは
 - ESG投資は、環境(Environment)、社会(Social)、企業統治(Governance)要素を考慮する投資のこと
 - 投資先のESGの取り組みを評価して投資対象を選別し、またESG課題への継続的な配慮を促す投資のこと
 - ESG投資は、環境・社会・ガバナンスにおける課題の解決に資する投資ですが、同時に十分な投資のリターンを追求する
- ESG投資と投資リターンの関係
 - 環境や社会に配慮したビジネスを実施し、ガバナンスにも優れた企業は、「ESG課題の解決」という社会の要請に応える技術やサービスを提供することができ、結果として企業価値の向上につながる可能性が高まる

研究者が知っておくべき研究戦略立案のコツ

- 1. はじめに (5分)
- 2. 医薬品研究戦略の本質(5分)
- 3. 研究戦略文書(20分)
 - 1. 戦略の階層構造
 - 2. プログラム主要文書の構成
 - 3. ベネフィットステートメント
 - 4. ビジネスケース
 - 5. ターゲットプロダクトプロフィール(TPP)
 - 6. プログラムチャーター
 - 7. プロジェクトチャーター
 - 8. プログラムリスク
- 4. 資金調達戦略 (10分)
- 5. 企業との共同開発戦略 (5分)
- 6. まとめ (5分)

3.1. 戦略の階層構造



出所: プロジェクトマネジメント知識体系ガイド(PMBOK®ガイド) 第6版、PMI(2017)

医薬品開発をプログラムととらえる

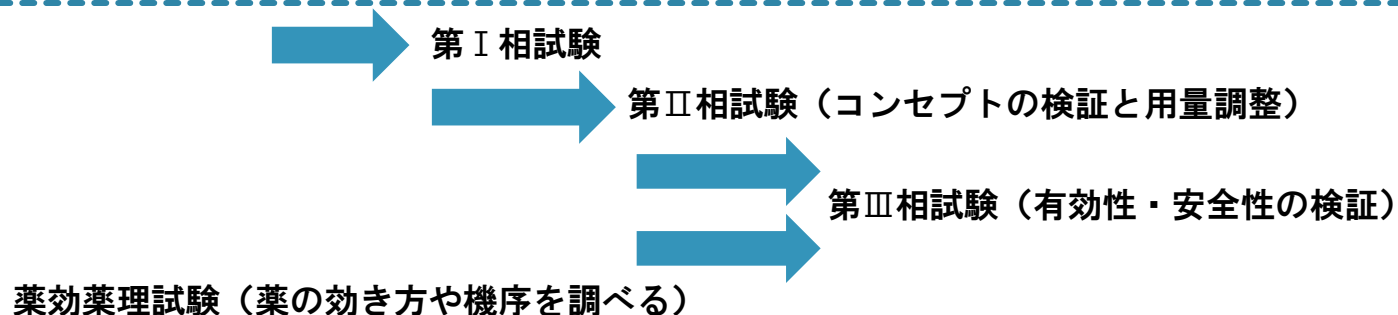
新薬開発プログラム イメージ図

基礎・非臨床研究

基礎研究



臨床試験



薬事承認・発売

製造関連



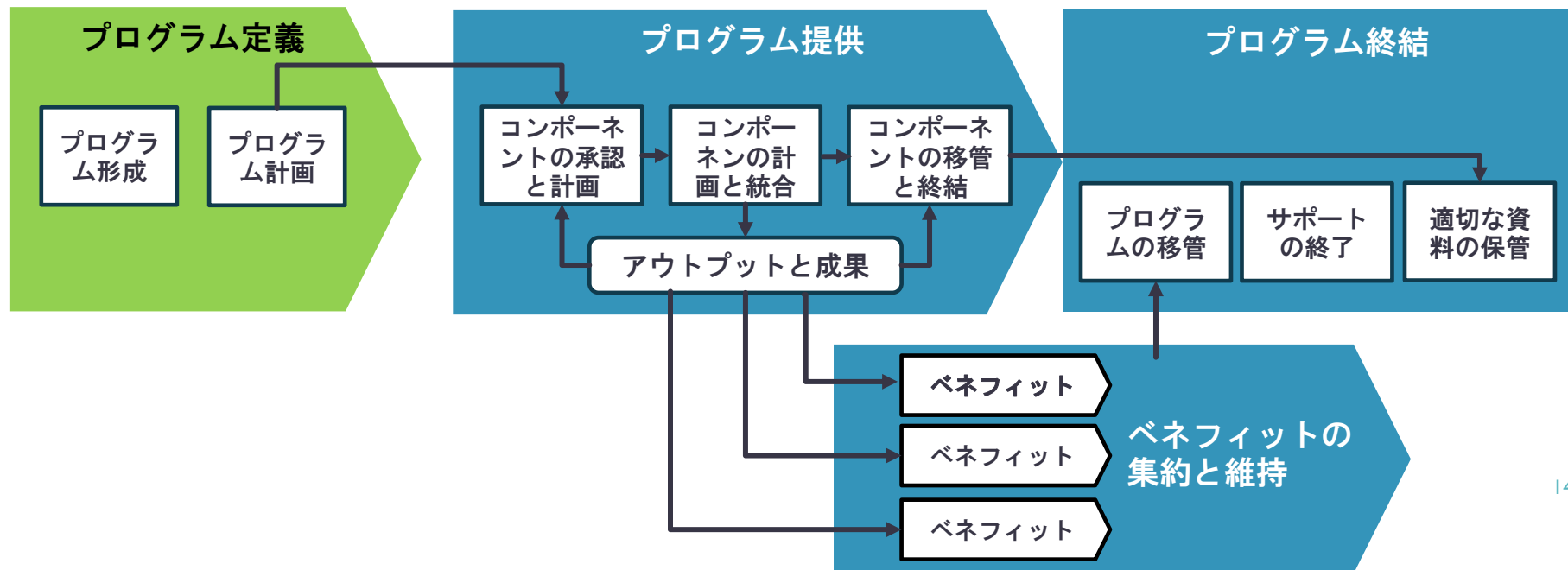
情報提供活動

医薬品情報提供活動

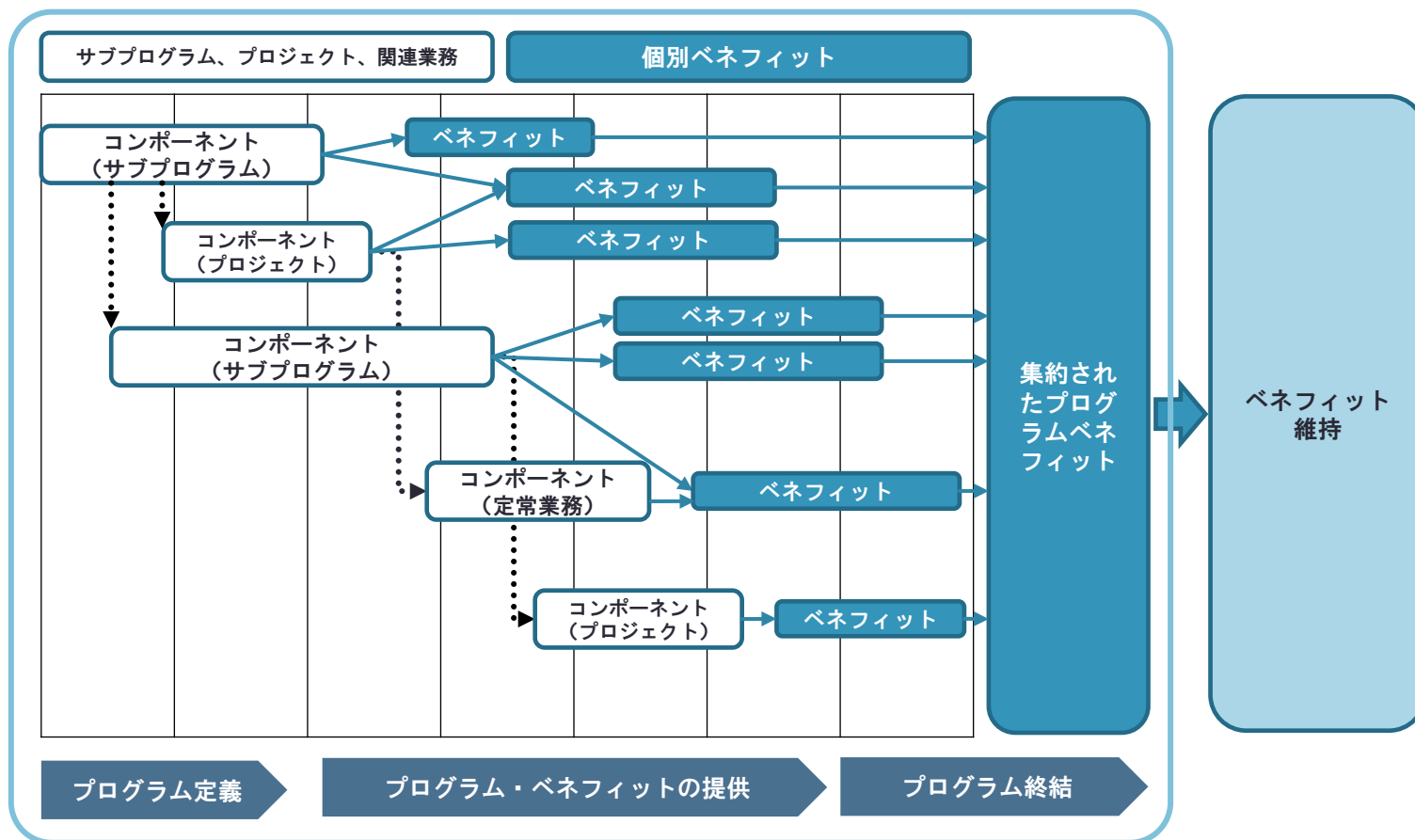
プログラムマネジメントは事業戦略そのもの

- **プログラムマネジメント**: プログラム目標を達成するために、プログラムへの知識、スキル、および原則を適用することで、プログラム・コンポーネントを個別にマネジメントすることでは得られないベネフィットやコントロールを得ること
- **コンポーネント**: プログラムを支援するために実施されるプロジェクト、サブプログラム、またはプロジェクト関連アクティビティ(定常業務を含む)
- **ベネフィット**: プログラムによって遂行された成果の結果として、組織やその他のステークホルダーが実現した利益と資産

プログラムライフサイクル



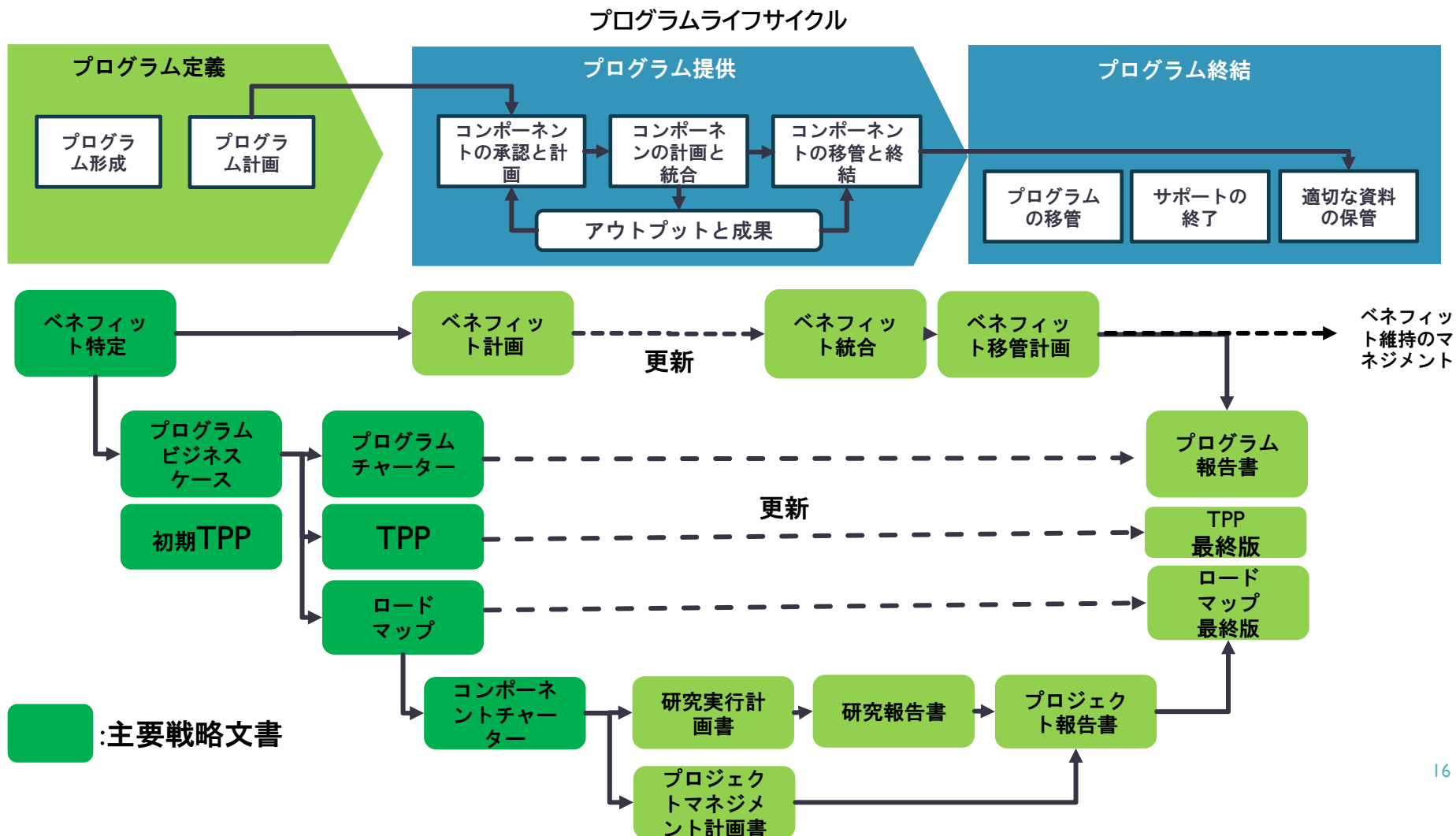
ベネフィット集約と維持の概念図



コンポーネント：プログラムの一部として実行されるプロジェクト、サブプログラム、プログラムマネージャーが実施する関連業務など

3.2. プログラム主要文書の構成

プログラムライフサイクルと主要ドキュメントの関係 イメージ図



プログラムマネジメントの主要ドキュメント(プログラムドキュメント)

	ドキュメント名	定義
1	ベネフィットステートメント (ベネフィット特定)	プログラム実行によって得られるベネフィット(有形・無形)や組織・社会に対する望ましい影響/価値についてあらゆる視点から追求し記述する
2	プログラムビジネスクース	プログラムの提供するベネフィットの妥当性を確立するために使用する経済的可能性(economic feasibility study)を示す文書
3	ターゲット・プロダクト・プロファイル(TPP)	プログラム実行によって得られる目標とする、製品の機能、性能、特徴を具体的に記述し、それぞれの項目の達成手段と、達成目標値(楽観的、標準的、悲観的)を定義し、プログラム・プロダクト・スコープのマネジメントに使用する
4	プログラムチャーター/ ロードマップ	プログラムを実行し、プログラムを組織の戦略的な目標に結びつけるためにプログラマナジメントチームが組織の資源を使用することを認可するスポンサーが発行した文書
5	プロジェクトチャーター(プログラムコンポーネントチャーター)	プロジェクト(コンポーネント)を実行し、プロジェクトをプログラム目標に結びつけるためにプロジェクトマネジメントチームが組織の資源を使用することを認可するプロジェクトスポンサーが発行した文書

3.3 ベネフィットステートメント

- 定義：
 - プログラム・ベネフィット・ステートメントは、何が達成されるかを正確に文書化することで、プログラムを推進することの利点を定義する文書
- 作成目的：
 - プログラムの価値と組織への影響について明確に言及すること
- 作成・更新要領：
 - プログラムのライフサイクルの初期に作成される文書であり、ライフサイクル全体を通じてプログラムが進行するにつれてさらに洗練される
- 使用方法：
 - プログラムを開始し、プログラム管理計画を策定し、プログラム作業プロセスを監視・管理するために使用される

ベネフィットステートメントの記載要領

項目	記載内容
目的	このドキュメントの目的を簡単に記述。 記載例: プログラムのベネフィット・ステートメントは、何が達成されるかを正確に文書化することで、プログラムを推進することの利点を定義するものである
目標と成功基準	プログラムによって実現される予定の有形、無形のベネフィットを記述する(詳細な記述はベネフィットプロファイルに記述)
前提条件リスト	プログラムのベネフィットに関連する具体的なプログラムの前提条件*と、これらの前提条件が誤りであると証明された場合の潜在的な影響を列挙し、説明する
制約条件	チームの選択肢を制限するような、プログラムのベネフィットに関連する具体的なプログラムの制約条件を列挙し、説明する
プログラム内のプロジェクト間の相互依存関係	プログラムを構成する様々なプロジェクトのベネフィットの間の相互依存関係を明らかにする
変更の影響	プログラムの変更がベネフィットの結果に及ぼす潜在的な影響(リスク)を特定する

*:計画を立てるにあたって、証拠や実証なしに真実、現実、あるいは確実にあると考えられた要因

ベネフィットとは何か？

- ベネフィット: プログラムによって遂行された成果の結果として、組織やその他のステークホルダーが実現した利益と資産
- ベネフィットの例
 - 顧客満足度の向上
 - 戦略と実行の整合
 - 差別優位性の強化
 - マーケットにおける競争力
 - コストのコントロール(収益性)の改善
 - 生産性の向上
 - システムやプロジェクトの効果的な運用
 - デリバリー予測性の向上(リードタイムの短縮含む)
 - コミュニケーションの改善
 - 効率的な意思決定

(参考)ベネフィットプロファイルの記述

Benefit Profile

This profile is used to define an understanding of a benefit's attributes and measures:

Initiative Name:		Benefit ID:	
Benefit Name/Label:			
Benefit Description:			
Benefit Categorization (e.g., tangible/intangible, disbenefit, planned/emergent, financial/nonfinancial, etc.)			
Organizational Goal/Objective:			
Benefit Owner:		Key Stakeholders:	
Dependencies:			
Risks:			
Assumptions			
Metrics Description:			
Start Date:	End Date:	Source:	
Responsible Manager:	Reporting Frequency:	Target Value:	

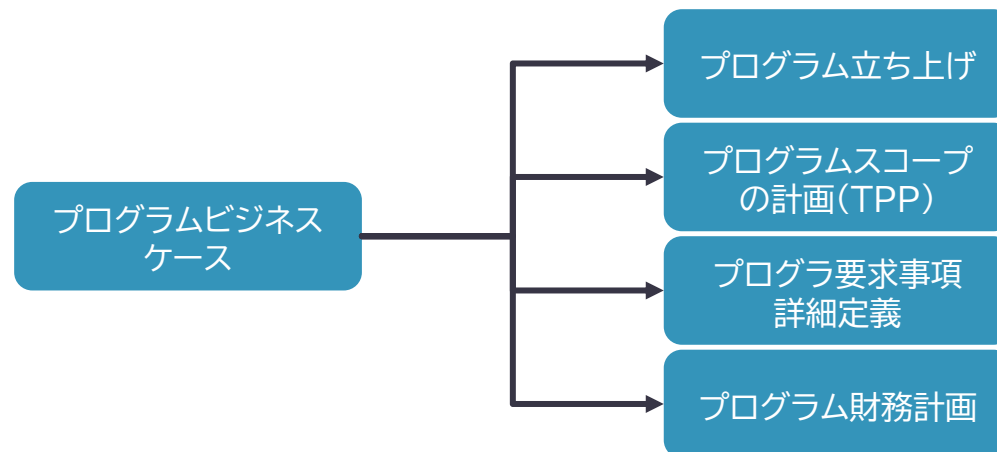
研究・開発におけるアウトカム・ベネフィット・バリューの連鎖(イメージ)

アウトカム(成果)	ベネフィット	バリュー*(価値)
診療工数の大幅軽減	医療費収益性の改善 治療効率の劇的向上	社会経済価値の増大
個別化による早期根治療法の確立 (立証)		
再発率低減効果の確立(立証)	患者の早期の社会復帰	患者・家族のwell-beingの向上 生活の質の向上
低コスト製造技術の確立	原価低減による収益率の向上	事業価値(収益)の増大
戦略領域・疾患での製品開発 (承認取得)	領域競争力の強化・ブランド価値の 強化	
新しい臨床作用機序の明確化	他の領域への事業機会の拡大	

*: バリュー＝ベネフィット－コスト

3.4 プログラムビジネスケース

- プログラム・ビジネス・ケースは、プログラムの**必要性、実現可能性、正当性**を概説する。
- 通常、この文書は、**プログラムのスポンサーが他の主要な利害関係者の協力を得て作成する**。また、クライアントまたは資金提供組織から提供される場合もある
- この文書は、プログラムが承認される前に作成され、**プログラム選考プロセスで使用される重要な文書**であり、承認されるとプログラム立ち上げフェーズが始まる。
- ビジネスケースは、プログラムを開始するために作成されるものであるが、プログラムが継続的にその目的を達成し、期待される利益を提供することを確実にするために、**定期的に見直し、更新される**



プログラムビジネスケースの記載要領

項目	記載内容
目的	このドキュメントの目的を簡単に記述。 記載例: プログラム・ビジネス・ケースは、プログラムの 必要性、実現可能性、正当性 を概説するものである
プログラムの戦略目標	プログラムから期待される結果について記述する。また、これらの期待される結果が組織の戦略的目標をどのように補完するかを明らかにする。プログラムのビジョンまたは最終の状態、プログラムのミッション、そしてプログラム活動に関する決定を行う際に用いられる優先すべき価値等についても記述する
プログラムベネフィット	既存の能力を強化や、新規能力の開発など、プログラムを通じて提供されるベネフィットについて記述する。また、この取り組みを個別のプロジェクトとしてではなく、 プログラムとして管理することがより適切である理由を説明 し、プログラムを構成するプロジェクトの種類と、プログラムマネジメントを通じて実現される集積的なベネフィットについて記述する
必要なリソース	プログラムに必要なリソースのハイレベルな見積もり(超概算見積り)とそれらが必要な理由と時期を示す。また、プログラムの価値を強調し、見積もりの正当性についても記述する
財務分析	投資収益率、正味現在価値、回収期間 などの財務指標に関するプログラムの財務分析を示す。また、プログラムの実行コストと、プログラムによって実現されるベネフィットを比較して示す。これらの指標は、プログラム全体を通じて追跡される。また、 プログラムの資金源 、労働力と材料費の変動可能性、契約コスト等について説明する
内部および外部の影響分析	プログラムに影響を与える内部および外部の要因とその影響について記述する(プログラム環境分析)
代替案分析	上記の影響分析をもとに、 代替分析または「What if」分析を実施し、その結果を示す 。プログラムの意図された目的を達成するために検討できる異なる アプローチ(シナリオ分析) について記述する。(TPPと連動)
プログラムの複雑性	プログラムの複雑性について説明し、それをプログラムとして管理すべきことは何か、組織として取り組むべきことは何かの 最適化案 を示す

ビジネスケースの構成例

項目番号	タイトル
1	エグゼクティブサマリー
2	はじめに
2.1	背景
2.2	目的
2.3	プログラムベネフィットと価値
3	現状分析
3.1	組織の現状(強味・弱み)
3.2	市場動向
3.3	競合分析
3.4	SWOT分析
4	戦略目標
4.1	概要
4.2	主要な特徴と具体的な利点
4.3	プログラム目標
4.4	代替案の分析(シナリオ分析)
5	財務分析
5.1	初期投資コスト
5.2	運用コスト
5.3	予想収益
5.4	ROI(投資収益率)分析
5.5	損益分岐点分析
5.6	キャッシュフロー予測

6	リスク分析
6.1	特定されたリスク
6.2	リスクの影響度と発生確率
6.3	リスク軽減策
6.4	リスク管理計画
7	実施計画
7.1	プロジェクトタイムライン
7.2	主要マイルストーン
7.3	必要なリソース
7.4	実施体制
8	評価と測定
8.1	成功基準
8.2	主要業績評価指標(KPI)
8.3	モニタリングと報告プロセス
9	結論と推奨事項
9.1	主要な発見事項のまとめ
9.2	推奨されるアクション
9.3	次のステップ
10	付録
10.1	詳細な財務予測
10.2	市場調査データ
10.3	技術仕様書(該当する場合)
10.4	参考文献とデータソース

医薬品開発の環境分析(PEST分析の例)

1. Political(政治的要因)

- 薬事規制の変更
- 医療分野研究開発推進計画等
- 医療保険制度改革
- 臨床試験に関する規制

2. Economic(経済的要因)

- 医療費の動向
- 製薬業界の市場規模と成長率
- 研究開発投資の動向

3. Social(社会的要因)

- 疾病構造の変化
- 患者の治療に対する意識
- 健康志向の高まり
- 個別化医療への期待

4. Technological(技術的要因)

- ゲノム医療の進歩
- AI創薬
- ドラッグデリバリーシステムの革新
- バイオマーカー

★PEST分析の活用方法

- 1.各要因について、現在の状況と将来の予測を洗い出す
- 2.それぞれの要因が自身の研究にどのような影響を与えるか分析する
- 3.機会とリスクを特定し、戦略立案に反映させる⇒SWOT分析(次頁)
- 4.定期的に分析を更新し、環境変化に対応する

SWOT分析

外部環境分析

機会

PEST分析から、好機と考えられる要因を抽出

脅威

PEST分析から、脅威と考えられる要因を抽出

環境シナリオ

内部環境分析

強み

弱み

強みで機会を活かす戦略

弱みで機会を逃さない戦略

強みで脅威を機会に変える戦略

弱みで最悪の事態を招かない戦略

実行シナリオ

シナリオ分析

- SWOT分析から導き出された環境シナリオに対して実行シナリオを作成する
- シナリオは、標準的、楽観的、悲観的シナリオを作成するが、悲観的シナリオにおいても何らかの価値を提供できる戦略を記述することが望ましい

項目	環境シナリオ	実行シナリオ
標準的	標準的な環境シナリオ	標準的な環境シナリオ下での価値実現の戦略
楽観的	楽観的な環境シナリオ	楽観的な環境シナリオにおける価値最大化の戦略
悲観的	悲観的な環境シナリオ	悲観的な環境シナリオで最小価値を実現する戦略 (戦略目標の許容範囲内にとどまる方策)

3.5 TPP(ターゲットプロダクトプロファイル)

- プログラム実行によって得られる、目標とする製品の機能、性能、特徴を具体的に記述し、それぞれの項目の達成手段と、達成目標値(楽観的、標準的、悲観的)を定義し、プログラム・プロダクト・スコープのマネジメントに使用する
- **プログラムライフサイクルの極めて初期の段階で作成する**が、プログラム活動の進展によって新たに特定・期待された製品プロファイルを随時追加していく、リビングドキュメントとして扱う。
- このドキュメントはプログラムの実行中にプロダクトスコープ目標として常に参照され、正式なプロセスを経て更新・承認される
- TPPの特徴
 - 開発早期から作成し、開発途中のさまざまな管理、推進、意思決定に利用される
 - **初期には、データの裏づけのない目標(前提条件)も記載され、データの集積によって裏づけのある記述に修正される。承認取得時に完成し、添付文書の記載内容につながる**
 - 各パートは互いに関連し、関連性が深く、構成管理が重要
 - 開発初期では、以下の3つのシナリオを想定することがある
 - Optimistic(楽観的):ベストシナリオに近い目標
 - Base(標準的):実現可能性が高い目標。戦略シナリオのベースとなる目標
 - Pessimistic(悲観的):必要最低限の目標プロフィール。このラインに到達できなければ多くの場合開発を中止

AMED研究開発提案書(案)に記入するTTP

- 候補物名(一般名又は化学名):
- 薬事申請上の分類:
- 医薬品:
 - 新有効成分含有医薬品、□新投与経路医薬品、□新効能医薬品、□新剤形医薬品、□新用量医薬品
- 医療機器:
 - 新医療機器、□改良医療機器(臨床あり)、□改良医療機器(臨床なし)、
 - 後発医療機器(承認基準なし)、□後発医療機器(認証基準あり)
- 再生医療等:
 - 新再生医療等製品、□新用法・使用方法再生医療等製品、□新効能再生医療等製品、□新構造再生医療等製品、□新用量再生医療等製品、□規格追加に係る再生医療等製品、□その他の再生医療等製品()
- □不明・未定(想定する申請区分と理由:)
- 想定効能・効果:
- 剤形・用法(医療機器の場合はクラス分類):
- ポジショニング:
 - ①疾患の現状(診断基準、発病機構の解明状況、長期にわたる支障の程度)
 - ②現在の治療法
 - ③既存治療法との優位性(アンメットメディカルニーズの充足性)
 - ④医療上(承認取得後の診療ガイドライン等)での位置づけ
 - ⑤承認取得後の患者へのメリット
- 有効性:
- 安全性上の課題:
- 臨床開発における課題
(医療機器の場合は、品質・耐久性・信頼性等機器の性能に関する課題の有無についても記載):

スタンフォード大学SPARKの提唱するTPPの構成・項目

- 目的
- 目標(作成・使用目標)
- TPP作成時の設定条件
 - 前提条件
 - 制約条件
- 項目(それぞれの項目の達成手段と、達成目標値を定義)
 - 製品記述(モダリティ、標的分子)
 - 効能・効果(適応症、目的とする患者集団、従来の療法)
 - 開発候補(標的分子の特異性、有効性: *in vitro*, 細胞レベル, *in vivo*)
 - 非臨床試験(疾患モデル動物、安全性/毒性プロファイル)
 - 薬物動態(ADMA、血漿または血中の半減期、薬力学、蛋白結合など)
 - 治験用製剤・製造方法
 - 臨床試験(試験の種類、試験デザイン、実施国、対象集団、適格基準、投与計画、エンドポイントなど)
 - 用法・用量(投与量、投与頻度、投与期間、投与経路、製剤設計、保存期間、貯法)
 - 人における安全性および毒性プロファイル
 - 規制関連の考慮事項
 - 知的財産(FTO、知財に基づいたビジネス戦略)
 - 財務上の考慮事項(製造原価、予想薬価、開発コスト、推定ROI)
 - その他の考慮事項(実施体制、製造販売業、国際共同開発体制など))

TPPの記載例

一般的なTPP

- 合併症のない熱帯熱マラリア治療薬に対するTPP
 1. 経口投与(原則として一日一回服用し一日3回を超えない)
 2. 低価格な製品価格設定(全治療プロセスあたり約1USDドル)
 3. 薬物耐性マラリア原虫に対する有効性(例えばクロロキンまたはスルファドキシシン/ピリメタミン治療に耐性を示すような原虫など)
 4. 即効性および3日以内の治癒
 5. 他の薬剤との併用可能性
 6. 小児用医薬品として利用可能
 7. 熱帯環境において安定
 8. 知的財産:freedom to operate評価の必要性。理想的には物質組成特許の取得

研究志向のTPP

- 原虫病および蠕虫病に対するヒット化合物からリード化合物へのTPP
 1. 抗原虫活性物質スクリーニングにおける *in vitro* 活性
 1. *Plasmodium falciparum*: IC₅₀ < 0.2 μg/ml
 2. *Trypanosoma cruzi*: IC₅₀ < 1.0 μg/ml
 2. 抗蠕虫スクリーニング:
 1. *Schistosoma mansoni*: 成虫の運動性を100%阻害、IC₅₀ < 2 μg/ml
 3. 分子標的の選択性の確立または寄生虫と家主コースの間の感受性の差が10倍以上
 4. 100mg/kg以下の腹腔内注射あるいは経口投与された非感染性マウスにおける前毒性スクリーニング
 5. マウスまたはハムスターモデルにおける *in vivo* 活性: 寄生虫結晶における有意な減少、または4X50mg/kgの腹腔内注射あるいは経口投与において毒性の明白な兆候が見られずにいた寿命が延長
 6. 人を含む少なくとも二つの種にてミクロソームにおける代謝安定性を確認
 7. 10 μMを超える濃度にてヒト遅延整流性カリウムイオンチャネルに結合
 8. CYP450に対する低阻害のプロファイル
 9. 知的財産
 10. 新規であり物質組成特許として提出可能

臨床開発TPP

- 神経膠芽腫治療薬の臨床開発TPP
 1. 母集団:放射線療法とテモゾロミドとの併用療法後に進行した多形グリア芽細胞腫治療に対する単独療法あるいはベバシズマブとの併用療法の承認
 2. 有効性:無増悪生存期間の中央値がベバシズマブ単独療法では4.2ヶ月であるのに対し本剤単独で6.3カ月を超えて延長.併用療法において全生存期間の中央値が9ヶ月を超過
 3. 安全性:大多数の患者においてグレード3または4の好中球減少症が認められることを前提とし、成長因子による治療で対処可能。10%未満の患者でグレード3または4の神経障害が認められる。他の毒性は対処可能であり、予後予測、回復も可能
 4. 投与量:症状が進行するか6クール投与まで、3週間に1回120mg/m²を常駐
 5. 知的財産:ベバシズマブを用いた優れた併用療法のための特許保護
 6. 1バイアル当たり50 usドル未満の製品価格で、持続可能な供給プロセス

標準的なターゲット・プロダクト・プロフィール(TPP)

セクション	項目
製品概要	一般名
	商品名(予定)
	薬効分類
	剤形
	投与経路
	作用機序
適応症	対象疾患
	適応症
	治療ライン
用法・用量	推奨用量
	投与スケジュール
	投与期間
	特別な患者集団での用量調整
臨床的有效性	主要評価項目
	期待される有効性
	比較対照薬
	非劣性/優越性マージン
安全性	想定される主な副作用
	重要な安全性モニタリング項目
	禁忌
	薬物相互作用
患者プロフィール	対象年齢層
	性別特異性
	特定の集団(妊婦、高齢者など)
	遺伝子プロフィール(該当する場合)
製品の利点	既存治療に対する優位性
	患者のQOL改善
	医療経済的メリット

市場性	目標市場規模
	競合製品
	市場シェア予測
	価格戦略
規制戦略	開発阻害要因
	規制当局との主要な協議ポイント
	迅速承認の可能性 承認申請予定時期
知的財産	特許期間
	特許戦略
製造	製造方法の概要
	主要な品質特性
	安定性
	保存条件
非臨床試験	主要な非臨床試験項目
	毒性試験の要点
臨床開発計画	主要な臨床試験デザイン
	患者数の見積もり
	開発タイムライン
ラベリング	予定される主要なラベル情報
	警告・注意事項
市販後	市販後調査計画
	リスク管理計画

※財務上の考慮事項(製造原価、予想薬価、開発コスト、推定ROI)の記載はケースバイケース

3.6 プログラムチャーター

- プログラムを実行し、プログラムを組織の戦略的な目標に結びつけるためにプログラマネジメントチームが組織の資源を使用することを認可するスポンサーが発行した文書
- プログラムチャーターはプログラムが承認された時点で、プログラムのビジョン、主要な目的、期待されるベネフィット、制約条件、および前提条件等が記述される
- (通常は)プログラスマネージャーの権限レベルも記述される

プログラムチャーターの記載要領

項目	記載内容
目的	このドキュメントの目的を簡単に記述。 記載例: プログラムチャーターは、プログラムの成功的な完了に不可欠な概念である、組織のプログラムの最終状態を定義するビジョン声明を記述する文書である。また、プログラムマネージャーの権限と責任を述べ、プログラムを正式に認可する
プログラムの戦略目標	プログラムから期待される結果について記述する。また、これらの期待される結果が組織の戦略的目標をどのように補完するかを明らかにする。プログラムのビジョンまたは最終の状態、プログラムのミッション、そしてプログラム活動に関する決定を行う際に用いられる優先すべき価値等についても記述する
プログラムビジョン	プログラムビジョンは、プログラムの望ましい最終状態であり、その状態が組織にどのように利益をもたらすかを説明する。また、ビジョンを達成するために必要な成果についても説明する
正当化 justification	プログラムの達成すべき主要な目的のセットについて記述する。プログラムに対する組織のビジネスニーズ、顧客の要求、市場需要、規制などが含まれる。プログラムの目的は、組織のビジネスプランと戦略的目標を支援するので、測定可能な成功基準も記述される
ベネフィット	ベネフィット(利益)とは、プログラムの利害関係者に有用性を提供するための行動や行為の結果で、売上増加、コスト削減、無駄の減少などが該当する。利益は有形(財務目標など)または無形(顧客満足度や従業員のモラル向上など)の場合がある。利益は具体的、測定可能、実際の、現実的、そして時間基準に基づくべきである。このセクションでは、利益とその実現方法について記述する
プログラムの制約条件	制約は、プログラムチームの選択肢を制限する要因のこと。例えば、制約には特定の日までに満たさなければならない規制要件が含まれる場合がある。制約は通常、時間、コスト、リソース、または成果物などのカテゴリーに分類され記述される。制約はプログラムのライフサイクルを通じて変化することが予想される。
プログラムの前提条件	プログラムの計画と実行に影響を与える可能性のある前提条件や要因について記述する。前提条件は一般にある程度のリスクを伴う。これらはプログラムのライフサイクルを通じて変化することが予想される。 35

プログラムチャーターの記載要領 つづき

項目	記載内容
プログラム・スコープ	プログラムのスコープ内にあるものとスコープ外のことを明確に分けて記述する。プログラムの一部となる様々なコンポーネント(プロジェクト)を示し、これらのコンポーネントのハイレベルな計画の観点から、プログラムのライフサイクルを通じてどのように相互作用し、関連するかを示す
既知のリスクと課題	現時点で知られているリスクと課題を列挙
スケジュール	ステークホルダーの課題計画されたプログラムの期間と、現時点で知られているマイルストーンについて記述
リソース要件	プログラムに必要な人的リソースおよびその他のリソースと、後の詳細な計画のための各リソースのコストを列挙
ステークホルダーの課題	プログラム準備段階で初期のステークホルダー特定を行う。ステークホルダーの主要な懸念事項と、プログラムに影響を与えると予想されるステークホルダーの態度(関心度など)を列挙する。また、プログラム開始時にアクティブなコミュニケーションが必要なため、これらのステークホルダーのためのコミュニケーションマネジメント計画も記述する
プログラムガバナンス	プログラムのガバナンス構造と、プログラムの一部である様々なプロジェクトおよびプロジェクト以外の作業のガバナンス構造について説明する
ハイレベルロードマップ	プログラムを前進させるための高レベルな計画と、様々な他の成果物が準備される順序を示す
プログラムマネージャーの権限	憲章にはプログラムマネージャーを列挙し、特にプログラムにリソースを適用する能力の観点から、その権限と責任について説明する

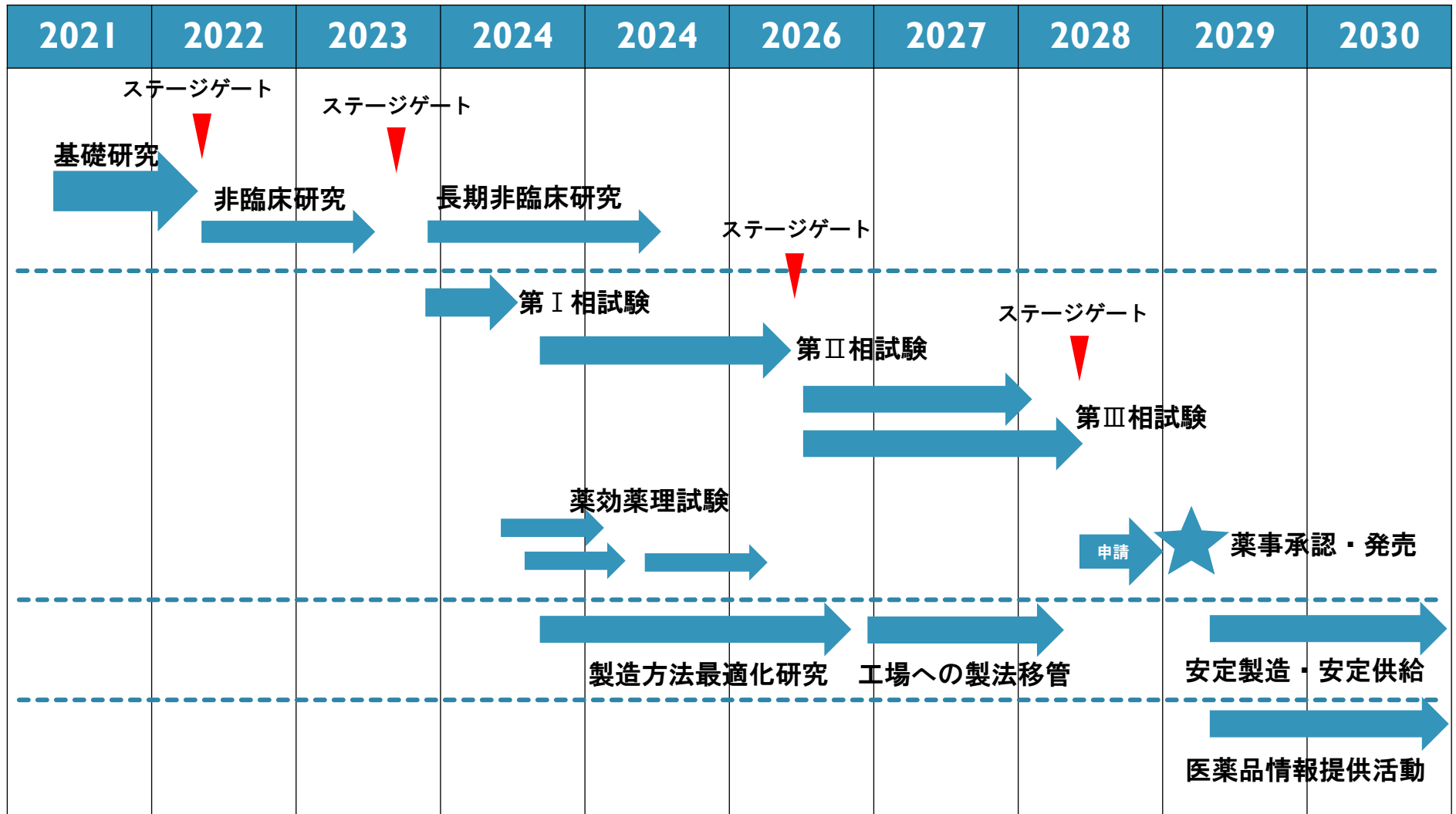
3.7 プログラムロードマップ

- プログラムロードマップは、ビジネスケースと組織の戦略的目標に基づいて作成される
- 主要なマイルストーン、重要な依存関係、計画された優先作業と重要な決定ポイントの間の関連性を示し、時系列でプログラムの意図された方向性を示す
- プログラムロードマップは、プログラムの実行と管理に役立つ
 - プログラムの高レベルの全体的な範囲と実行の確認
 - 利益の提供における進捗の評価
- プログラムロードマップはプログラム開始時に準備されるが、ローリングウェーブ形式で開発され、プログラム管理チーム、他の主要なステークホルダー、およびガバナンスボードのメンバーによって定期的に見直される

プログラムロードマップの記載要領

項目	記載内容
目的	このドキュメントの目的を簡単に記述 記載例: プログラムロードマップは、主要なマイルストーン、重要な依存関係、計画された優先作業と重要な決定ポイントの間の関連性を示しながら、時系列でプログラムの意図された方向性を示す
エンドポイント目標 Endpoint objectives	特に利益実現と最終的な利益の持続の観点から、プログラムの全体的な目標を記述 ビジネス戦略と、プログラムで行われる計画された優先作業との関連を示す
主要な課題とリスク	プログラムに関連する主要な課題と特定されたリスクについて記述する。また、これらの課題とリスクをロードマップの一部として記載し、それらからの逸脱が、プログラムへの他の脅威や潜在的な機会となる可能性を示す
主要なマイルストーンと意思決定ポイント	プログラムの主要なマイルストーンと決定ポイントについて記述する。ロードマップの一部として、プログラムの高レベルの全体的な範囲と実行が示されます。変更要求によってマイルストーンが変更される場合、ロードマップの更新が必要になる可能性がある
プログラム構成	プログラムコンポーネント間の依存関係について説明します。コンポーネントがいつ実行されるか、およびコンポーネントの開始要求がどのように指示されるか記述する
支援インフラストラクチャ	プログラムマネジメントオフィスの使用、ガイドライン、手順、テンプレート、施設、ツールや技術など、プログラム推進のための支援構造と必要な能力について記述する

プログラムロードマップ イメージ



臨床開発計画: CDPの構成例

項目番号	タイトル
1	エグゼクティブサマリー
2	開発対象薬剤の概要
2.1	化合物の説明
2.2	作用機序
2.3	非臨床データのサマリー
2.4	これまでの臨床データのサマリー
3	開発戦略
3.1	対象疾患
3.2	目標適応症
3.3	開発の全体的アプローチ
3.4	開発マイルストーン
4	臨床試験計画
4.1	第I相試験
4.1.1	試験デザインの概要
4.1.2	主要評価項目と副次的評価項目
4.1.3	患者選択基準
4.1.4	試験スケジュール

4.2	第II相試験
4.2.1	試験デザインの概要
4.2.2	主要評価項目と副次的評価項目
4.2.3	患者選択基準
4.2.4	試験スケジュール
4.3	第III相試験
4.3.1	試験デザインの概要
4.3.2	主要評価項目と副次的評価項目
4.3.3	患者選択基準
4.3.4	試験スケジュール
4.4	長期安全性試験
5	規制戦略
5.1	規制当局との相談計画
5.2	申請戦略
6	CMC(化学・製造・品質管理)開発計画
7	非臨床開発計画
8	ファーマコビジランス計画
9	市販後調査計画

10	リスク管理
10.1	開発リスクの特定
10.2	リスク軽減戦略
11	タイムライン
12	リソース計画
13	予算
14	参考文献
15	付録
15.1	用語集
15.2	主要な非臨床データの詳細
15.3	これまでの臨床データの詳細

3.8. プロジェクトチャーター

プロジェクトの枠組みを文書化する

項目		可視化する内容
1	プロジェクトの目的	価値を提供する対象と内容 このプロジェクトで作り出すベネフィット
2	プロジェクトの目標と成功基準	成果物目標、スケジュール目標、品質目標、コスト目標とそれぞれの成功基準
3	要求事項 期待事項	必ず達成すべきこと 遵守すべきこと 可能であれば実現したいこと
4	前提条件と制約条件 制約条件の優先順位	予め満たされている確実と考えられる条件 プロジェクトチームの制御が及ばない(自由に変えられない)条件 ⇒最も優先されるべき制約条件は何か？
5	作業範囲 (スコープ)	やるべき作業(重要課題を含む)の範囲。境界線 プロジェクトに含めない作業の記述
6	重大なリスク	目標に大きな影響を与える不確実な事象・状態(機会と脅威) 計画に含めるべき対応策
7	マイルストーン	スケジュールの中の重要な節目(決定・承認)の期日
8	概算予算	承認済の概算予算(振れ幅: -25%から+50%)
9	利害関係者	チームメンバー。チーム外の関係者の列挙。それぞれの要求と期待の記述。 コミュニケーションマネジメント計画を付記

プロジェクトチャーター 目標の記述

- Specific:具体的に
- Measurable:測定可能、数値化されている
- Agreed-upon:合意されている
- Realistic:達成可能
- Time-Limited:期限が明確

納期、スコープ、品質、コスト等について「解像度」を高めて書く
⇒具体的な計画を立案するのに不可欠な情報

前提条件は重大なリスク要因

- **前提条件**とは、
計画を立てるにあたって、**証拠や実証なし**に真実、現実、あるいは確実にあると考えられた要因
- 証拠はないけど、とりあえず確実なものとしておくこと
⇒あくまでも仮説であることに注意！



- 前提条件が崩れると、重大なリスク事象となり、目的・目標の達成が極めて困難になってしまうことがある
- 前提条件をフォローすることが重要

プロトコール骨子(プロダクトスコープ*)

- 研究目的: 研究の目的と背景
- 研究デザイン: 試験のデザイン
- 対象集団: 選択基準と除外基準を含む対象集団の詳細
- 試験方法: 試験の具体的な方法、手順、使用する薬剤や機器の詳細
- 評価項目: 主要評価項目と副次評価項目
- 統計解析計画: データの解析方法、統計手法
- 倫理的配慮: 被験者の安全性と倫理的配慮
- データ管理: データの収集、管理、保存方法
- 資金調達と利益相反: 研究資金の出所と利益相反
- 研究組織: 研究に関わる組織や担当者の役割

*: プログラムの作り出す製品やサービスの特徴、機能、性能のこと

3.9 プログラムリスクマネジメント

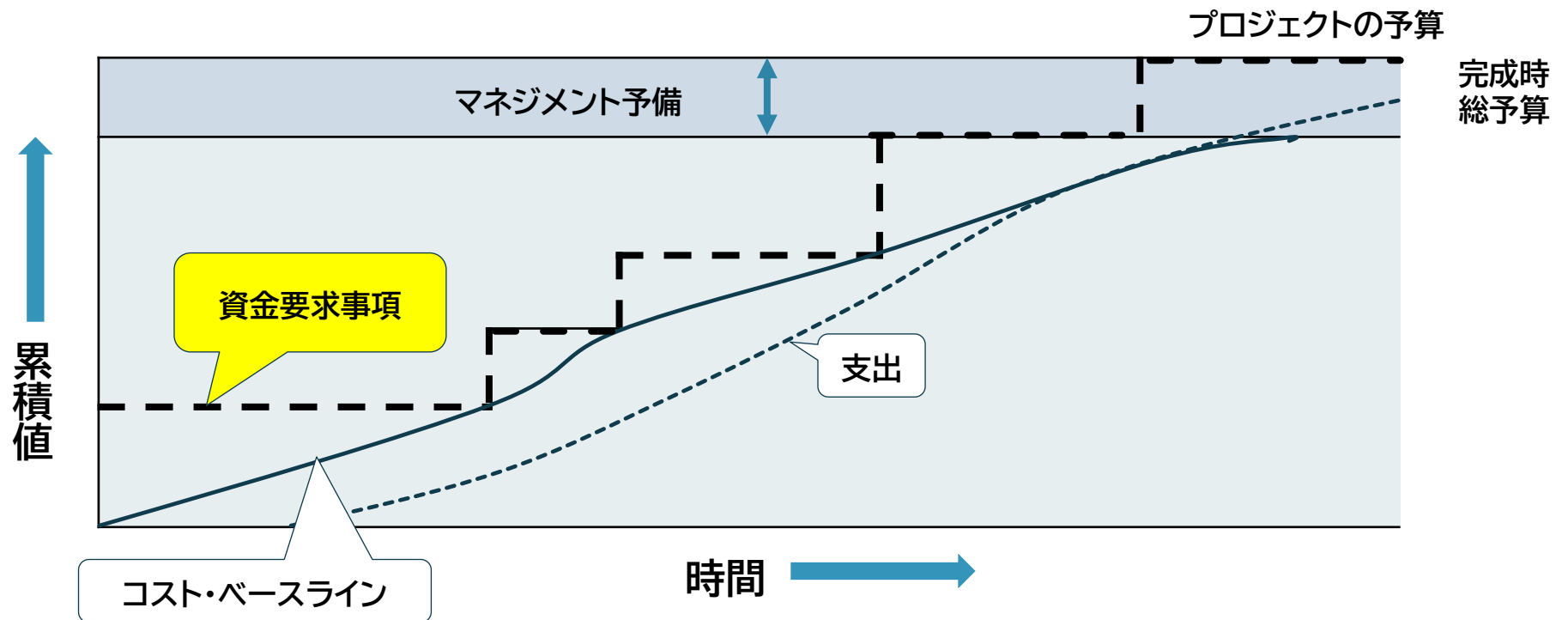
プログラムの目標達成に大きく影響を与える戦略リスク

リスクの分野	リスクの主要な要因
不適切な目標	目標の不明確 過大な目標、遠すぎる目標
市場の不確実性	規模・成長性 複雑性(商品と市場の相互作用、技術開発・学説など) 市場・環境・規制の変化 製品ライフサイクル 未成熟なエコシステム 暗黙の前提の崩壊
取引上のリスク	取引先の破綻 取引の特殊な契約 将来価値の非対称性(不当なライセンスフィーなど)
資源の不備	組織体制 人的資源(技術力など)不足 物的資源(設備、資材)不足 資金
他社からの脅威	サプライヤー、顧客・買手、競合(同業・非同業)、代替品・代替治療、新規参入 破壊的イノベーション
プロジェクト	各プロジェクトの進捗状況または結果 高リスクプロジェクトの進捗状況または結果 プロジェクト間の相互関係 プロジェクト統合時の不整合

研究者が知っておくべき研究戦略立案のコツ

- 1. はじめに (5分)
- 2. 医薬品研究戦略の本質(5分)
- 3. 研究戦略文書(20分)
 1. 戦略の階層構造
 2. プログラム主要文書の構成
 3. ベネフィットステートメント
 4. ビジネスケース
 5. ターゲットプロダクトプロファイル(TPP)
 6. プログラムチャーター
 7. プロジェクトチャーター
 8. プログラムリスク
- 4. 資金調達戦略 (10分)
- 5. 企業との共同開発戦略 (5分)
- 6. まとめ (5分)

4. 資金調達戦略



コストベースライン、支出、資金要求事項

資金調達先の選択

- 公的資金:

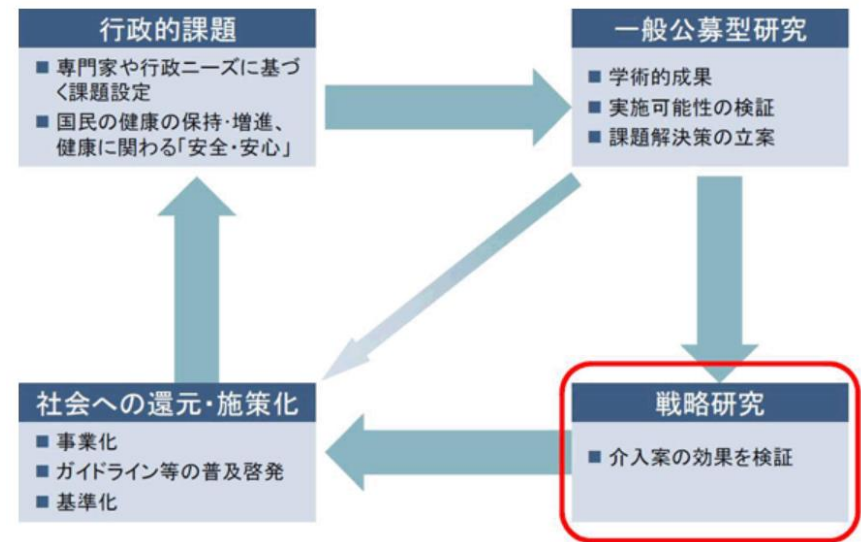
- ① 文部科学省 科学研究費助成事業
(学術研究助成基金助成金／科学研究費補助金:通称;文部科学科研費)
- ② 厚生労働科学研究費補助金(通称;厚労科研費)
- ③ 日本医療研究開発機構(AMED)
- ④ 科学技術振興機構(JST)
- ⑤ 新エネルギー・産業技術総合開発機構(NEDO)等

- 私的資金:

- ① 助成財団(文献:助成財団センター)
- ② 企業
- ③ クラウドファンディング等

厚生労働科学研究における戦略研究

- 戦略研究の定義
- 厚生労働科学研究における戦略研究(以下「戦略研究」という。)とは、わが国の厚生労働政策(とりわけ、健康政策、医療政策、介護政策、福祉政策)における国民的課題を解決するために実施する大規模なアウトカム研究です。
- 国民の健康を維持・増進させるために、**行政的に優先順位の高い生活習慣病等の健康障害を標的**として、その予防・治療介入および診療の質改善のための介入などの有効性を検証し、健康・医療政策の立案に資する科学的な臨床エビデンスを創出することを目的としています。
- 戦略研究では、厚生労働省が、あらかじめ国民のニーズにもとづいて策定した行政の方針に従って**具体的な政策目標を定めた上で、研究目標と研究計画の骨子を定めます**。これは、これまでの厚生労働科学研究が、研究成果の成果目標や研究計画の立案を応募する研究者にすべて一任してきた点で一線を画すものです。



厚生労働科学研究では「戦略研究」を整合させることが必要かもしれない

(参考)日本の医薬品開発政策に関する公式文書リスト

1. 健康・医療戦略(2020年度～2024年度)

- 内閣官房 健康・医療戦略室

URL:<https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/senryaku/>

2. 医薬品産業ビジョン2021

- 厚生労働省

URL:<https://www.mhlw.go.jp/content/10800000/000893831.pdf>

3. 経済財政運営と改革の基本方針2023(骨太の方針2023)

- 内閣府

URL:<https://www5.cao.go.jp/keizaishimon/kaigi/cabinet/2023/decision0616.html>

4. 統合イノベーション戦略2023

- 内閣府

URL:<https://www8.cao.go.jp/cstp/tougosenryaku/index.html>

5. 医療分野研究開発推進計画

- 内閣官房 健康・医療戦略室

URL:https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/senryaku/suishinplan_2022_2026.pdf

6. 革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品創出のための基本的考え方」

- 厚生労働省

URL:https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryoku/iyakuhin/index.html

7. 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基本戦略

- 経済産業省

URL:<https://www.meti.go.jp/press/2022/06/20220614004/20220614004.html>

8. バイオ戦略2023

- 内閣官房 健康・医療戦略室

- URL: <https://www.kantei.go.jp/jp/singi/bio-senryaku/index.html>

9. 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業(BINDS)

- 文部科学省

- URL: <https://www.binds.jp/>

10. ワクチン開発・生産体制強化戦略

- 内閣官房 新型コロナウイルス感染症対策推進室

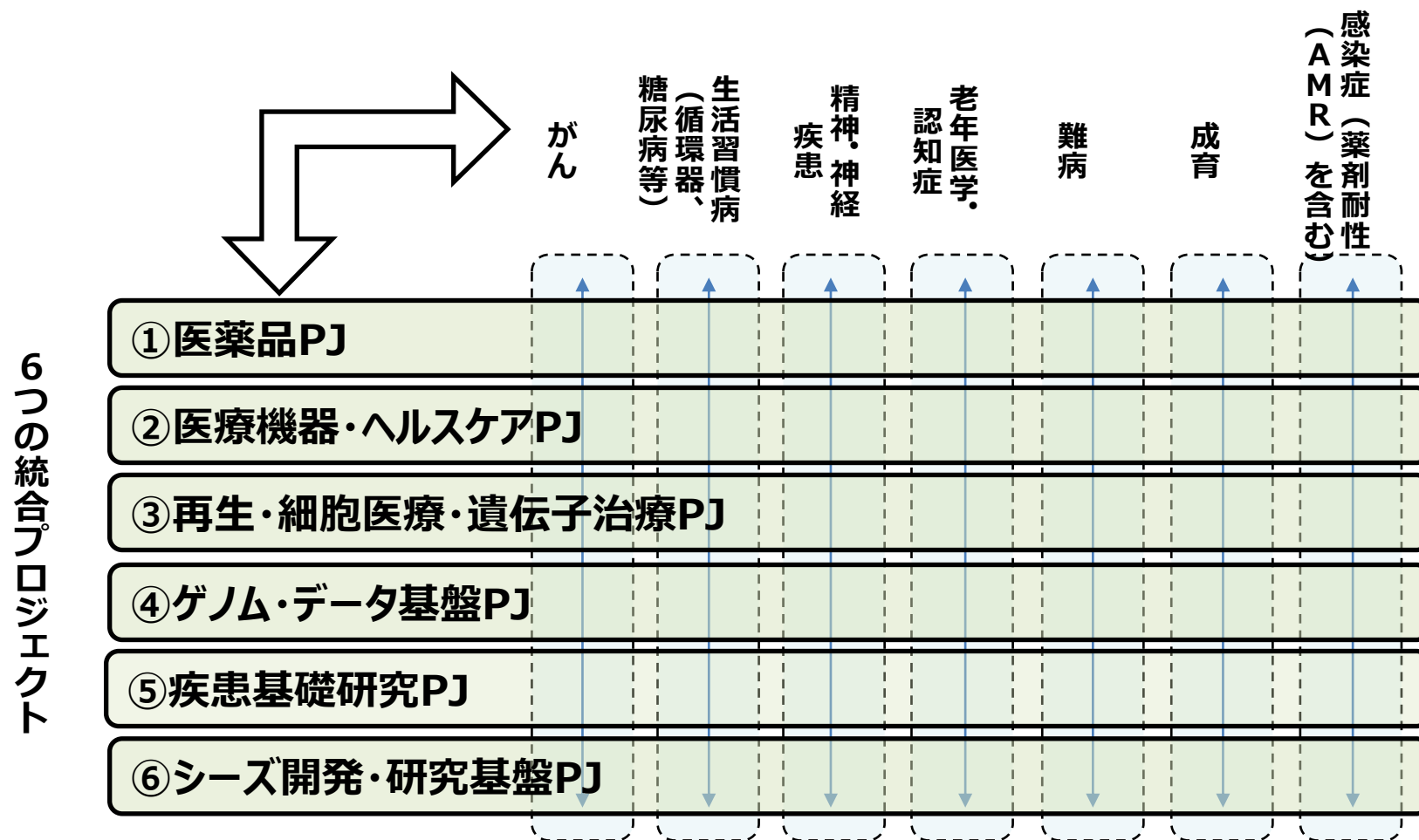
URL:https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/vaccine_research/dai1/siryoku1.pdf

これらの公式文書を適切に活用することで、政府の方針に沿いつつも、独自性のある研究戦略を立てることが可能になる

上位組織の戦略に整合した研究テーマを設定する

- **政策との整合性:**政府の方針に沿ったテーマは資金獲得や産学連携の機会が増える可能性。しかし、単に政策に追随するだけでなく、その中で独自性を見出すことが重要
- **社会的ニーズとの合致:**高齢化社会や感染症リスクの増大など、日本社会が直面する課題に対応する研究テーマ
- **技術トレンドの活用:**AI、ビッグデータ、再生医療など、政府が推進する新技術を研究テーマに取り入れることで、革新的な成果を生み出す可能性が高まる
- **国際競争力の視点:**グローバル市場を見据えた研究テーマは、政府の方針とも合致し、将来的な成功の可能性が高まる
- **医療経済性の考慮:**費用対効果の高い医薬品や医療技術の開発は、今後ますます重要になる。研究の早い段階から経済性を意識することが求められる
- **学際的アプローチ:**複数の専門分野を横断するような研究テーマは、政府が推進する「統合的な研究開発」の方針に合致する
- **予防・先制医療の視点:**治療だけでなく、予防や早期介入に焦点を当てた研究テーマ
- **データ活用の可能性:**研究テーマにデータ活用やデジタル技術の要素を含めることで、政府の推進する医療のデジタル化方針に沿うことができる

AMEDにおける統合プロジェクトでの研究開発の推進



出所: <https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/tyousakai/dai33/siryou1-2.pdf>より作図

プログラムチャーター⇒研究提案書提案書⇒研究計画書へ必要な項目を転記

プログラムチャーター

1. 目的
2. プログラムのビジョン
3. プログラム実施の正当性
4. ベネフィット 利益と価値
5. プログラムの制約条件
6. プログラムの前提条件
7. プログラムスコープ(TPP、WBS)
8. 特定されているリスクと課題
9. プログラムスケジュール
10. 必要な資源見積もり
11. ステークホルダーに関する課題

TPP
ロードマップ
プロジェクトチャーター

研究提案書

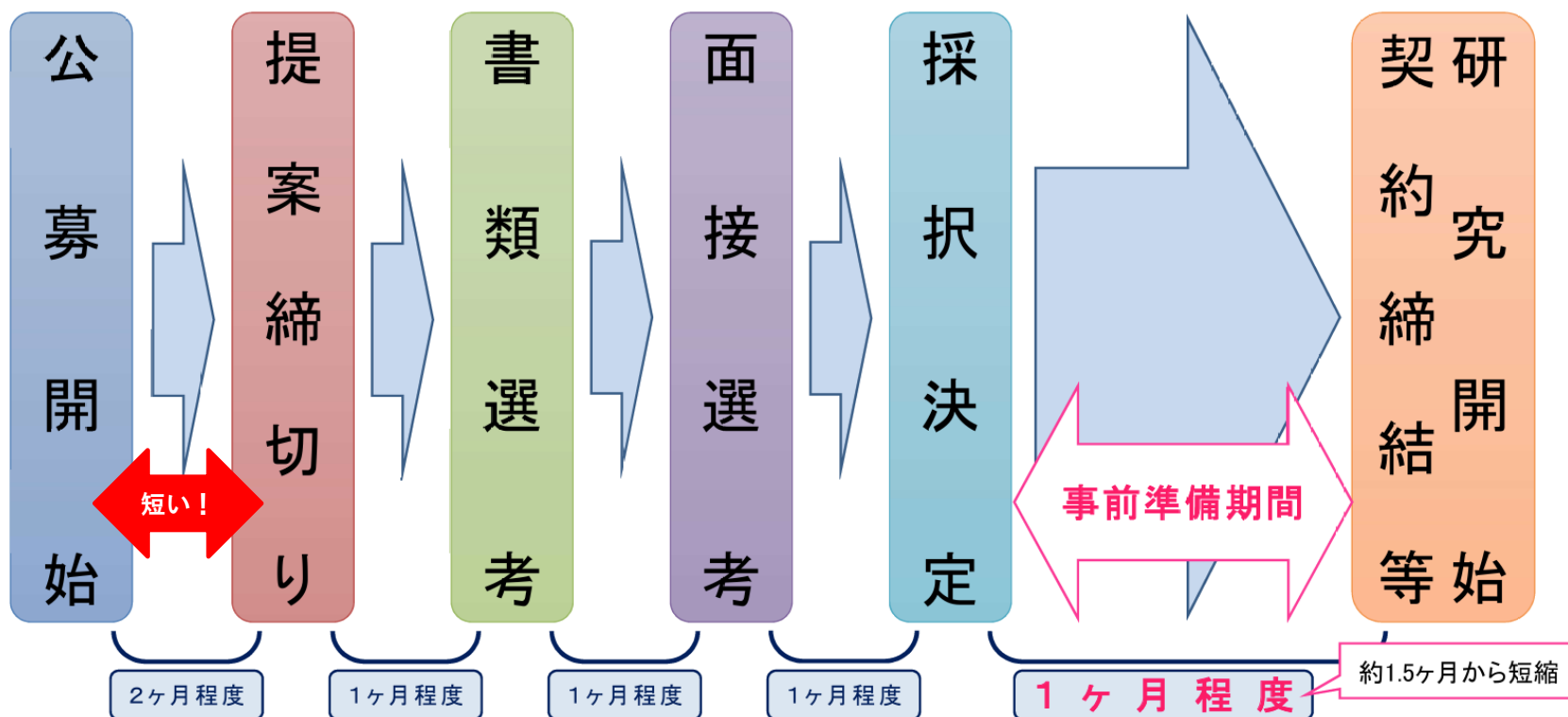
1. 研究開発課題名
2. 研究開発期間
3. 委託研究開発費
4. 研究開発代表者
5. 対象疾患名
6. **当事業の支援対象と考える理由**
7. 対象疾患数及び有病率
8. 国内の対象疾患患者数及び有病率
9. 研究の種類
10. ハイライト
 1. 目的
 2. 特色および独創性
 3. 成果達成の可能性
 4. 期待される成果
11. 開発の目的
12. 研究内容のキーワード
13. **ターゲットプロダクトプロファイル**
14. ガイドライン作成資格基準
15. 研究開発全体の内容
16. 研究開発代表者及び研究開発分担者に関する情報
17. **協力企業・導出先企業**
18. 実施体制図
19. **研究開発の主なスケジュール**
20. **研究開発項目別研究開発概要**
21. 知的財産について
22. など

研究開発計画書

要約

1. 研究の背景・目的
2. 研究計画・方法
3. **研究の将来展望(本研究開発構
想が達成された場合に期待され
る社会貢献、新産業創出、科学技
術イノベーション創出などについ
て想定しうる範囲で記述)**
4. 実施体制図
5. **研究開発項目と担当者**
6. **研究開発の主なスケジュール**
7. 経費内訳
8. 本研究開発課題を実施する上で
特に考慮すべき事項

標準的な公募から研究開始までのスケジュール(初年度)



(参考)AMEDステージゲート項目一覧

項目		内容	1	2	3	4
ターゲット・シーズ そのものの評価		現時点で想定する疾患名	○			
		想定する疾患の発症メカニズム	○			
		想定する疾患との関係(作用機序)	○			
		ターゲットが創薬標的となるか検討した試験結果	○			
		再現性の確認有無	○			
		スクリーニングの方法と結果		○		
		構造等の最適化方法と結果		○		
		臨床試験開始に必要な品質、有効性、安全性にかかるエビデンス			○	
		探索的試験に基づく安全性プロファイル				○
	検証仮説を科学的エビデンス(臨床POC)に基づき立案				○	
TPP	ターゲット	想定する対象疾患の患者数	○		○	
		既存の治療法の有無と内容	○		○	
		将来的のモダリティ	○			
		剤型等のモダリティ			○	
		既存治療より優れた医薬品になると期待する内容	○		○	
	製剤	想定する用法・用量			○	
		薬物動態(曝露量)と有効性との関係			○	
		剤型・製造方法の検討		○		
		原薬・製剤それぞれの物性			○	
		原薬・製剤それぞれの品質情報			○	
		対象疾患の適切性の説明			○	
		品質に関し、剤型・規格試験法の確定				○
非臨床試験	実生産規模での製造の目途				○	
	製剤に関する企業との連携				○	
	non-GLP試験		○	○		
	各種毒性試験実施状況、予定・結果			○		
研究環境	知財戦略	薬物動態試験実施状況、予定・結果			○	
		薬効薬理試験実施状況、予定・結果			○	
	薬事	安全性薬理試験実施状況、予定・結果			○	
		出願状況(出願番号、公開番号)		○		○
研究実施体制	研究実施施設	登録番号、内容		○		○
		特許取得計画		○		○
	協力機関	PMDAとの相談状況及び内容				○
		相談結果の開発計画への反映状況				○
企業	企業	PMDAとの相談予定				○
		研究開発代表者		○		
	企業	分担者		○		
		医薬品開発受託機関(非臨床試験)		○		
企業	医薬品開発受託機関(臨床試験)		○			
	革新的医療技術創出プロジェクト拠点		○			
企業	製薬企業		○			
	製薬企業との連携予定・目処		○			
企業	ドラッグリポジショニング対象薬剤を保有する企業		○			
	製薬企業導出目処や企業との相談状況				○	
検証試験実施体制	治験事務局の設置等、治験実施に向けた組織体制				○	

研究者が知っておくべき研究戦略立案のコツ

- 1. はじめに (5分)
- 2. 医薬品研究戦略の本質(5分)
- 3. 研究戦略文書(20分)
 1. 戦略の階層構造
 2. プログラム主要文書の構成
 3. ベネフィットステートメント
 4. ビジネスケース
 5. ターゲットプロダクトプロフィール(TPP)
 6. プログラムチャーター
 7. プロジェクトチャーター
 8. プログラムリスク
- 4. 資金調達戦略 (10分)
- 5. 企業との共同開発戦略 (5分)
- 6. まとめ (5分)

5. 企業との共同開発戦略

企業の要求と期待は：事業価値

- 有形価値
 - 金融資産、設備、備品、株主資本、ツール・システム、市場占有率、実益
- 無形価値
 - のれん*、ブランド認知度、公益性、商標、コンプライアンス、評判、戦略上の整合、能力

*：「のれん」は、企業買収や合併の際に発生する無形の経済的財産を指します。具体的には、買収価額が企業の時価評価純資産を上回る場合、その差額が「のれん」として計上されます。これは、企業のブランド力、ノウハウ、技術力、信用力など、数値化しにくい価値を表しています

その研究戦略は事業戦略にどのようにして貢献できるのか？

再掲

研究戦略とは

- 研究戦略とは、研究目的を達成するに当たっての具体的な研究プログラムを設定し、その目標とそれに至るシナリオと、研究プログラムを構成する個々の研究プロジェクトの目標までを想定する、**研究目的と研究プロジェクトを繋ぐ構造化・論理化された研究展開の単位**

事業戦略とは

- 事業戦略とは、単独の事業がそのドメインの中で**競争優位性を確立するための方針**をさす。事業戦略は、特定の競争環境下において、特定の事業で**戦い勝ち抜いていくための基本枠組み**である。さらに細分化すれば、**営業や開発、生産**といった機能分野別の戦略、そして**地域別の戦略**などが含まれる。

臨床研究における製薬企業との協力関係構築プロセス

1. 準備段階

- 1.1 研究概要の作成
- 1.2 市場分析と企業リストの作成
- 1.3 知的財産戦略の策定
- 1.4 内部チームの編成

2. 初期アプローチ

- 2.1 初期コンタクト
- 2.2 企業への研究概要プレゼンテーション
- 2.3 企業の興味・ニーズの把握

3. 提案と交渉

- 3.1 研究計画書の作成
- 3.2 デューデリジェンスの実施
- 3.3 予算案の作成
- 3.4 リスク分析と対策の提案
- 3.5 利益配分モデルの提案
- 3.6 交渉とフィードバックの反映

4. 契約と実施

- 4.1 法務部門との契約書確認
- 4.2 研究倫理委員会の承認取得
- 4.3 資金受け入れ手続き
- 4.4 研究開始とプロジェクト管理

5. フォローアップと関係維持

- 5.1 定期的な進捗報告
- 5.2 中間結果の共有と評価
- 5.3 追加資金や継続研究の提案
- 5.4 研究成果の発表と特許出願

臨床研究における製薬企業との交渉ポイント

1. 研究の価値提案

- 独自性の強調: 研究の革新性や他の研究との差別化ポイントを明確に説明する
- 市場ポテンシャル: 対象疾患の市場規模、成長予測、競合状況を提示する
- 科学的根拠: 予備的データや過去の研究成果を用いて研究の実現可能性を示す

2. 知的財産権

- 特許戦略: 既存の特許や今後の出願計画を明確にする
- 所有権の配分: 研究成果に対する知的財産権の帰属を交渉する
- ライセンス条件: 必要に応じて、相互のライセンス条件を設定する

3. 資金と資源の配分

- 必要資金の明確化: 研究に必要な総額と内訳を提示する
- 段階的資金提供: マイルストーンに基づく段階的な資金提供を提案する
- 非金銭的資源: 設備、人材、ノウハウなどの非金銭的資源の提供も交渉する

4. リスク分担

- 開発リスク: 臨床試験の失敗など、開発リスクの分担方法を決定する
- 財務リスク: 予算超過や追加投資が必要になった場合の対応を協議する
- 法的リスク: 知的財産権侵害や安全性問題などのリスク対策を検討する

5. 利益配分モデル

- ロイヤリティ: 製品販売後のロイヤリティ率を設定する
- マイルストーン支払い: 研究進捗に応じたマイルストーン支払いを設定する
- エクイティ: 適切な場合、株式取得などのエクイティ参加を検討する

臨床研究における製薬企業との交渉ポイント

6. 研究の自由度と管理

- 意思決定プロセス: 研究方針の変更や重要決定のプロセスを定める
- データアクセス: 研究データへのアクセス権と使用条件を明確にする
- 公表権: 研究結果の公表に関する権利と制限を設定する

7. タイムラインと成果指標

- マイルストーン: 明確な研究マイルストーンと期限を設定する
- 進捗報告: 定期的な進捗報告の頻度と形式を決定する
- 成功基準: 各段階における成功基準を明確に定義する

8. 契約期間と終了条件

- 契約期間: 協力関係の期間を明確に定める
- 更新条件: 契約の更新や延長に関する条件を設定する
- 終了条項: 契約終了の条件と手続きを明確にする

9. 機密保持と情報管理

- 機密情報の定義: 機密情報の範囲と取り扱い方法を明確にする
- 情報共有の制限: 第三者への情報開示に関する制限を設定する
- データセキュリティ: 研究データの保管と管理方法を取り決める

10. 紛争解決メカニズム

- 調停プロセス: 意見の相違や紛争が生じた場合の解決プロセスを定める
- 仲裁条項: 必要に応じて、中立的な仲裁機関による解決方法を設定する
- 準拠法: 契約の解釈に使用する法律を明確にする

(参考) 臨床研究における利益配分モデル

1. ロイヤリティモデル

製品の売上に応じて一定比率のロイヤリティを受け取る

一般的に売上の2-10%程度

段階的なロイヤリティ率を設定可能(売上増加に伴い率が上/下)

- メリット: 製品が成功した場合の長期的な収入が期待できる
- デメリット* 製品が市場で失敗した場合、収入が少なくなる

2. マイルストーン支払いモデル

研究開発の各段階達成時に一定額を受け取る

(前臨床試験完了、臨床試験フェーズ完了、承認申請、市販承認など)

- 各マイルストーンで数百万～数億円規模の支払い
- メリット: 研究の進捗に応じて確実に資金を得られる
- デメリット: 製品の市場成功に関わらず、支払いが限定される

3. 共同開発・利益折半モデル

開発コストと利益を一定比率で分担・分配する

- 通常50:50や60:40などの比率で設定
- 両者が開発リスクを共有
- メリット: 大きな成功時に大きな利益を得られる可能性がある
- デメリット: 開発コストの負担が大きく、リスクも高い

4. ライセンス料+ロイヤリティモデル

初期のライセンス料と継続的なロイヤリティを組み合わせる

- 初期に一時金(数千万～数億円)を受け取り、その後ロイヤリティも得る
- ロイヤリティ率は通常、単純ロイヤリティモデルより低く設定
- メリット 初期資金を確保しつつ、長期的な収入も期待できる
- デメリット 初期ライセンス料の交渉が難しい場合がある

5. エクイティモデル

- 研究機関が企業の株式を取得する
- ベンチャー企業との協力で多く見られる
- 株式の割合は数%～数十%程度
- メリット: 企業価値上昇時に大きな利益を得られる可能性がある
- デメリット: 企業が失敗した場合、利益を得られない可能性がある

6. ハイブリッドモデル

上記のモデルを組み合わせ使用

例: 初期ライセンス料 + マイルストーン支払い + ロイヤリティ
各段階でのリスクと報酬のバランスを取る

- メリット: 柔軟で双方にバランスの取れたモデルを構築できる
- デメリット: 交渉と契約が複雑になる可能性がある

研究計画の売り込みのポイント

1. ユニークセリングポイント(USP)の明確化
 - 競争研究との差別化を明確にし、自身の研究の革新性を際立たせる
 - 市場ニーズとの適合性を評価し、研究の実用的価値を示すこと
2. ストーリーテリングの技術
 - 研究の背景から期待される成果まで、一貫性のあるナラティブを構築する
 - 研究者の個人的な動機や情熱を組み込むことで、聴衆の共感を得る
3. データの効果的な提示方法
 - 最も説得力のあるデータを選び、適切な視覚化ツールを用いて表現する
 - データの階層化と構造化により、複雑な情報を理解しやすく提示する
4. 想定される質問と対応策
 - 技術的質問から財務・市場関連の質問まで、幅広い質問を想定して準備する
 - 質疑応答のリハーサルを行い、自信を持って対応できるようにする

製薬企業向けプレゼンテーションの構成例

1. イントロダクション
 - 研究チームの簡単な紹介
 - プレゼンテーションの概要
2. 研究背景と目的
 - 対象疾患の現状と未満たされているニーズ
 - 研究の目的と期待される成果
3. 研究の独自性と革新性
 - 既存の治療法や研究との比較
 - 本研究のユニークな点や革新的なアプローチ
4. 研究計画の概要
 - 研究デザインと方法論
 - タイムラインと主要なマイルストーン
 - 必要なリソースと予算の概要
5. 予備的データまたは根拠
 - これまでの研究成果や予備的データ
 - 成功の可能性を示す科学的根拠
6. 市場性と商業的価値
 - 対象市場の規模と成長予測
 - 潜在的な経済的インパクト
 - 競合分析
7. 知的財産戦略
 - 既存の特許や出願状況
 - 今後の知財保護計画
8. 研究チームの強み
 - 主要メンバーの専門性と実績
 - 関連する研究施設や設備
9. 製薬企業との協力の利点
 - 期待される相乗効果
 - 企業のメリット(技術、市場、評判など)
10. 提案と次のステップ
 - 具体的な協力や支援の提案
 - 今後のアクションプラン
11. Q&A
 - 予想される質問とその回答

研究者が知っておくべき研究戦略立案のコツ

- 1. はじめに (5分)
- 2. 医薬品研究戦略の本質(5分)
- 3. 研究戦略文書(20分)
 - 1. 戦略の階層構造
 - 2. プログラム主要文書の構成
 - 3. ベネフィットステートメント
 - 4. ビジネスケース
 - 5. ターゲットプロダクトプロフィール(TPP)
 - 6. プログラムチャーター
 - 7. プロジェクトチャーター
 - 8. プログラムリスク
- 4. 資金調達戦略 (10分)
- 5. 企業との共同開発戦略 (5分)
- 6. まとめ (5分)

まとめ

- 戦略とは、限られたリソースを最適に配分し、不確実な環境下で長期的な目標を達成するための包括的な行動指針である
- 医薬品研究戦略の本質は不確実性の中で、倫理的配慮と社会的責任を根幹に置き、価値創造と価値獲得を調和させること
- 医薬品開発全体をプログラムととらえ、プログラムマネジメントの考え方を適応する
- 研究戦略にプログラムベネフィットとビジネスケースの視点を取り入れ、資金調達、協働開発に備える
- ターゲットプロダクトプロファイルは戦略シナリオを可視化した非常に重要な文書である
- 資金調達戦略は戦略整合性を重視する 特に厚生労働省は戦略研究の傾向が強いので政府やAMEDの組織戦略を十分に理解し、それに整合する研究戦略シナリオを組み立てる
- 企業との共同開発戦略では、その企業が求める事業価値にフォーカスして売り込む必要がある

参考資料

- プロジェクトマネジメント知識体系ガイド(PMBOKガイド)第7版+プロジェクトマネジメント標準 プロジェクトマネジメント協会 2021
- プロジェクトマネジメント知識体系ガイド(PMBOKガイド)第6版 プロジェクトマネジメント協会 2017
- プログラムマネジメント標準 第5版 プロジェクトマネジメント協会 2024
- プログラムマネジメント標準 第4版 プロジェクトマネジメント協会 2009
- PMIビジネスアナリシスガイド プロジェクトマネジメント協会 2019
- ビジネスアナリシス実務ガイド プロジェクトマネジメント協会 2016
- The Standard for Benefits Realization Management: A Practice Guide PMI 2019
- Implementing Program Management Ginger Levin CRC Press 2008
- P2M プログラム&プロジェクトマネジメント標準ガイドブック 改訂4版 日本プロジェクトマネジメント協会
- アカデミア創薬の実践ガイド ダリア・モックリー=ローゼン 東京大学出版会 2017失敗
- JSCTRスタディマネージャーテキストブック理論編/実践編 日本臨床試験学会 2024

END OF FILE

KOICHI KONNO, PMP, PMS

Contact Information:

✉ : koichi.konno@pmconsulting.jp