「TPPモデルフォーマット」

* TPP Executive Summary　（p.7）
	1. タイトル　（対象疾患と治療コンセプト）
		+ *「○○○（疾患名）に対する△△△（作用機序/モダリティ）治療薬」など、目的と特徴が一目でわかる形式で記載*
	2. 対象疾患とアンメットニーズ
		+ *標的疾患の現状と標準治療の限界点（アンメットニーズ）を簡潔に記載*
		+ *対象患者数と層別化戦略（バイオマーカー等による患者選択）*
		+ *医療経済的インパクト（治療コスト、入院期間短縮等）があれば記載*
	3. 本薬剤のユニークポイントと開発意義
		+ *既存治療と比較した差別化ポイント、競合優位性（有効性、安全性、利便性など）を根拠も含め、明確にわかりやすく記載*
		+ *期待される臨床的ベネフィット（エンドポイント）の概要*
		+ *ユニークな作用機序やモダリティによるアドバンテージ*
	4. 物質情報と開発モダリティ、研究ステージ
		+ *物質名*
		+ *モダリティの詳細（低分子、抗体、核酸医薬、等）*
		+ *剤形・投与経路・投与スケジュールの概要*
		+ *現在の研究ステージ（⓪～⑦のどの段階か）*
	5. 作用機序（MoA）
		+ *標的分子とその疾患における役割*
		+ *薬効発現メカニズムの説明（図表を含めるとより効果的）*
		+ *標的分子の組織分布と特異性*
		+ *関連するシグナル経路と二次的作用*
		+ *作用機序に関する未解明点や検証中の仮説*
	6. 非臨床/臨床データの要約
		+ *in vitro/in vivo試験での主要な有効性データ*
		+ *薬物動態と安全性の概要*
		+ *実施済み/進行中の臨床試験の結果（該当する場合）*
		+ *バイオマーカーデータと臨床アウトカムとの相関*
	7. 今後の計画
		+ *マイルストーンと達成目標のタイムライン*
		+ *次のステージに進むための主要課題と対応策*
	8. 予想されるベネフィットとリスク
		+ *期待される治療効果と安全性プロファイル*
		+ *想定される副作用と対策*
		+ *開発上のリスク（技術的課題、規制対応等）と軽減戦略*
		+ *市場導入におけるリスク（競合状況、市場受容性等）*
	9. **知財状況（出願計画を含む）と競合分析**
		+ *出願/登録済み特許の概要と保護範囲*
		+ *特許期間と市場独占期間の見通し*
		+ *関連特許の状況（自機関/他者）*
		+ *競合製品/開発品の状況と差別化戦略*
	10. **協働・資金調達、ライセンス関係**
		+ *共同研究先（アカデミア/企業）と役割分担*
		+ *外部資金の獲得状況（政府助成金、VCなど）*
		+ *今後必要となる資源（資金、設備、人材等）*
		+ *アライアンス戦略（必要性、候補先業種等）*
* TPPの詳細事項（目標と達成状況）　（p.10～p.21）
	1. 適応症とそれに対する標準治療、シーズの臨床上の位置づけ

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】**標準治療との併用による〇〇〇の二次治療* | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】**〇〇〇の二次治療* | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】**〇〇〇の一次治療* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「本剤は○○○（疾患名、ICD-10: XXX）の二次治療として位置づけられる。
現在の標準治療は△△△であるが、□□□という限界がある。本剤は××作用により、この限界を克服し、▲▲▲という臨床的ベネフィットをもたらすことが期待される。」*

* 1. 投与方法・投与量・剤型

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | （用量）（用法）（剤型）* + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】**（用量）〇〇mg/kg**（用法）１日2回**（剤型）錠剤* | （用量）（用法）（剤型）* + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】**（用量）〇〇mg/kg**（用法）１日1回**（剤型）錠剤* | （用量）（用法）（剤型）* + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】**（用量）〇〇mg/kg**（用法）１日1回**（剤型）錠剤* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「本剤は○○mg錠として1日1回食後に経口投与する。投与期間は原則として××週間とし、効果判定後に継続の可否を判断する。」*

* 1. 対象となる（潜在的）患者数と層別化

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】**△△△陽性の○○○患者で一次治療不応例の患者約◆◆人/年* | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】**△△△陽性の○○○患者で一次治療不応例の患者約◆◆人/年* | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】**△△△陽性の○○○患者**約●●人/年* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「国内の○○○患者は約××万人と推定され、そのうち△△△（バイオマーカー）陽性は約□□%である。欧米での○○○患者は＊＊万人と想定される。年齢別では65歳以上が▲▲%を占め、前治療歴別では一次治療不応例が■■%と推定される。本剤の対象となる潜在患者数は約●●人/年と算出される。」*

* 1. 科学的根拠・作用機序

＜標的分子/経路・作用機序＞

＜科学的エビデンス（参考論文）＞

*【記載例】
「本剤は○○○（標的分子）の選択的阻害剤であり、△△△シグナル経路を抑制することで□□□（疾患メカニズム）を改善する。××らの研究（XXXX年）により、本標的分子の阻害が▲▲▲（臨床効果）をもたらすことが示されている。競合薬との差別化点として、■■■（特徴的な作用機序）が挙げられる。」*

* 1. 特許情報/他者特許情報

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】** *物質特許成立*
 | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】** *関連の物質特許成立*
* *□□□への用途特許の成立*
 | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】** *関連の物質特許成立*
* *□□□への用途特許の成立*
* *◆◆◆ への用途特許の出願*
 |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「本剤の物質特許（特許番号：○○○○○○）は20XX年に出願され、日米欧で登録済み。20YY年に特許満了（見込み）。関連の物質特許も20XX年に出願。また、□□□（適応症）に関する用途特許を20ZZ年に出願予定。」*

* 1. アライアンス・協働、ライセンス関係

【現状】

*【記載例】
「本剤は○○社との共同研究により創出されている。製造技術に関しては××社の特許（特許番号：▲▲▲▲）の実施許諾を受けている。」*

* 1. 非臨床試験から想定される有効性

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】**△△mg/kgでの薬理効果で■■時間持続* | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】**○○mg/kgでの薬理効果で●●時間持続* | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】**○○mg/kgでの薬理効果で○○時間持続* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「本剤は○○○（標的分子）に対してIC50=××nMの阻害活性を示し、△△△モデルにおいて用量依存的な□□□改善効果が確認された（ED50=▲▲mg/kg）。効果発現は投与後■■時間で、●●時間持続した。既存薬と比較して約◆◆倍の効力比を有し、臨床用量では○○mg/日程度で有効性が期待される。」*

* 1. 非臨床試験における薬物動態（ADME）と臨床試験における薬物動態の予測

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】* | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】* | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「本剤は経口投与後の吸収性が良好で（F=○○%）、Tmaxは△△時間である。主にCYP3A4で代謝され、t1/2は□□時間、腎排泄は未変化体として××%である。蛋白結合率は▲▲%で、臨床用量では■■ng/mLの血中濃度が予測される。高齢者では用量調整が必要と考えられる。」*

* 1. 非臨床安全性試験から想定される副作用

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】* | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】* | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「反復投与毒性試験では、臨床用量の○○倍以上で△△（臓器）への影響が認められた。安全域は□□倍と算出される。hERG試験では臨床濃度の××倍でQT延長の可能性が示唆され、臨床試験での心電図モニタリングが推奨される。生殖発生毒性は認められず、遺伝毒性も陰性であった。」*

* 1. 臨床試験計画・臨床試験結果

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】* | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】* | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「第I相試験（n=○○）では、△△mg/日まで忍容性が確認される。」*

* 1. 製造方法・供給方法

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】* | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】* | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「原薬は○○工場（GMP適合）で△△法により合成され、□□工場で製剤化される。現在のラボスケール（××kg/バッチ）から商業生産（▲▲kg/バッチ）へのスケールアップを計画中である。安定性試験では■■℃で●●ヶ月間安定であることが確認されている。」*

* 1. 競合品情報・市場分析

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  | Must（必須要件） | Nice to Have（付加価値要件） | Ideal（理想的要件） |
| **目標レベル** | * + *製品が最低限満たすべき必須の要件*

*【記載例】* | * + *製品の価値を高める付加的な要件*

*【記載例】* | * + *現時点では達成が難しいが、将来的に目指すべき理想的な要件*

*【記載例】* |
| 達成度 |  |  |  |

【現状】

*【目標の記載例】
「○○○市場は現在△△億円規模で年率□□%で成長している。主要競合品は××（シェア▲▲%）と■■（シェア●●%）であり、両剤とも◆◆という限界がある。」*