

JPBSA WHITE PAPER

WP-01

創薬スタートアップのための 薬業支援

ー ヒト・モノ・カネ・規制・品質をつなぐ ー

Version 1.2
October 2026

一般社団法人 日本薬業支援家協会
Japan Pharma Business Supporters Association (JPBSA)



発刊にあたって

日本には優れた創薬シーズが数多く存在する。しかし、優れた研究成果が存在することと、それが医薬品として患者に届くことは同じではない。

創薬には、研究、知的財産、CMC、非臨床、臨床開発、薬事、品質、安全管理、事業開発、資金調達、経営など、多数の機能が必要である。特に創薬スタートアップでは、これらをすべて自社内に保有することは難しい。

本書は、創薬事業を成立させる基本要素を「ヒト・モノ・カネ・規制・品質」の5要素として整理し、それらをつなぎ、研究成果を医薬品へ、医薬品を事業へ変換する「薬業支援」の考え方を提示するものである。

JPBSA WHITE PAPER シリーズでは、創薬の構造設計、CMC、品質統治、新規モダリティ、海外企業の日本参入、大学発シーズ、資金調達、人材、創薬エコシステムなどを順次取り上げる。WP-01 は、その出発点となる総論である。

本書の位置づけ

本 White Paper は、創薬・医薬品産業に関する一般的な情報および考え方を提供することを目的とする。個別案件に関する薬事、法務、投資その他の専門的助言を構成するものではない。

本書は、大学発シーズの事業化を検討する研究者、創薬スタートアップの経営者、専門機能を担う実務者を主な読者とする。最初に5要素の不足を把握し、次に専門領域の境界を点検し、最後に90日間の行動計画へ落とし込む。研究段階、モダリティ、開発国に応じて必要な機能は変わるため、本書の項目を一律の規制要件として扱わない。

本書が提案する実務の中心は、次に判断すべき事項を一つずつ明確にし、その判断に必要なデータ、担当者、期限、資金を結び付けることである。第12章と付録は、初回の経営会議や専門家との打合せにそのまま使用できる。

目次

Executive Summary	5
第 1 章 日本の創薬に存在する「谷」	6
1.1 谷を意思決定の不足として捉える	6
第 2 章 創薬スタートアップ特有の構造的問題	7
2.1 最初に可視化する機能の空白	7
第 3 章 創薬を成立させる 5 つの基本要素	8
3.1 ヒト	8
ヒトに関する実務の判断	8
3.2 モノ	8
モノに関する実務の判断	9
3.3 カネ	9
カネに関する実務の判断	9
3.4 規制	9
規制に関する実務の判断	9
3.5 品質	9
品質に関する実務の判断	10
図表 1 創薬を成立させる 5 要素	10
3.6 TPP から品質と試験の設計へ	10
第 4 章 専門家を集めるだけでは足りない	11
4.1 境界を管理する会議と記録	11
4.2 会議を判断が進む場にする	11
第 5 章 薬業支援とは何か	12
5.1 支援を具体的な成果物で定義する	12
第 6 章 Drug Architecture – 創薬を構造として考える	13
6.1 一つの変更を全体構造へ戻す	13
6.2 非臨床と臨床を接続する	13
6.3 臨床試験で何を判断するかを先に決める	14
第 7 章 Quality Governance – 品質を経営課題として捉える	15
7.1 小規模企業の品質統治	15
7.2 リスク評価を行動へつなげる	15
7.3 製造変更と同等性 同質性の評価	16
第 8 章 バーチャル製薬企業という選択肢	17

8.1 外部化しても残すべき中核機能	17
8.2 委託先の成果物を受け取れる企業になる	18
第9章 薬業支援人材に求められる能力	19
9.1 能力を実務で確認する方法	19
第10章 日本の創薬エコシステムに必要なもの	20
10.1 接続の成果を測る	20
第11章 JPBSA が目指すもの	21
11.1 学習を案件の改善へつなげる	21
第12章 薬業支援を始める 90 日間	22
12.1 診断から実行への移行	22
12.2 役割分担の例	22
12.3 継続の判断基準を先に決める	22
12.4 仮想事例 大学発の抗体シーズ	23
第13章 開発段階ごとの支援と判断	24
13.1 臨床移行前の合同レビュー	24
13.2 情報が不足しているときの進め方	24
第14章 知財と提携を開発計画へ組み込む	25
14.1 特許を持つことと実施できることを分ける	25
14.2 提携先が判断できる資料を用意する	25
14.3 提携条件と開発範囲を整合させる	25
第15章 資金計画と支援の成果を評価する	26
15.1 資金を次の判断に必要な仕事へ配分する	26
15.2 遅延時に何を守り何を見直すか	26
15.3 薬業支援の成果をどう測るか	26
15.4 支援終了時に残すもの	26
Conclusion	27
付録 A 初回診断チェックシート	28
付録 B 意思決定と支援業務の記録	29
付録 C 主な用語	30
引用文献	31
JPBSA WHITE PAPER SERIES	32
発行情報	33

Executive Summary

日本には、大学・研究機関・企業から数多くの優れた創薬シーズが生み出されている。しかし、優れた研究成果が存在することと、それを医薬品として患者へ届けられることの間には大きな隔りがある。

創薬には研究だけでなく、知的財産、CMC、非臨床、臨床開発、薬事、品質、安全管理、事業開発、資金調達など、多数の専門機能が必要となる。特に創薬スタートアップでは、これらすべての専門人材を社内に保有することは難しい。

本書では、創薬事業を成立させる基本要素を「ヒト×モノ×カネ×規制×品質」の5要素として整理する。そして、これらを横断的に接続し、研究成果を「医薬品」、さらに「事業」へ変換する機能を「薬業支援」として提示する。

薬業支援とは、単なるコンサルティングでも、単なるプロジェクトマネジメントでもない。創薬プロジェクト全体を理解し、異なる専門機能を接続し、次に必要な意思決定と行動を設計する実践的な専門機能である。

第 1 章 日本の創薬に存在する「谷」

創薬では、優れた科学が出発点となる。新しい標的分子、新規化合物、抗体、核酸医薬、遺伝子治療、細胞・再生医療、新しい DDS など、大学や研究機関から多くの研究成果が生まれている。

しかし、研究成果が優れているだけでは医薬品にはならない。研究成果から患者へ届く医薬品になるまでには、研究、知的財産、候補品選定、CMC、非臨床、臨床、承認申請、製造販売、市販後安全管理という長いプロセスが存在する。[4]

さらに、その全過程を支える事業開発、資金調達、人材、経営が必要になる。創薬における「死の谷」は、資金不足だけで生じるものではない。技術、人材、規制、品質、資金、経営が十分に接続されていないことによっても発生する。

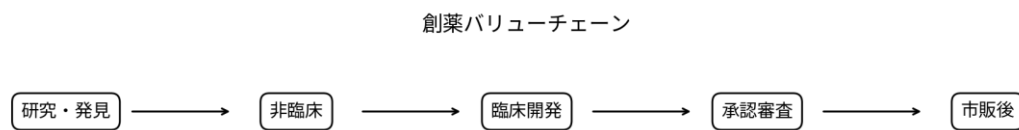


図 1 創薬バリューチェーンの概念図（FDA の開発プロセスを参考に JPBSA 作成） [4]

1.1 谷を意思決定の不足として捉える

例えば、動物モデルで効果が見られたシーズでも、対象患者が不明確であれば臨床評価の方針を決めにくい。研究用試料の製造方法が定まっていなければ、安全性評価に用いた試料と将来の臨床用製品との関係を説明する準備も進まない。問題を「次の実験が必要」とだけ表現すると、製造や臨床への接続が見落とされる。

経営会議では、①現時点で確認できた事実、②未検証の仮説、③次の判断に不可欠な情報を分ける。期待する結果だけでなく、結果が得られなかった場合の変更案と中止条件も先に定める。これにより、研究の継続と事業の継続を別々に検討できる。

第2章 創薬スタートアップ特有の構造的問題

大手製薬企業には、研究、CMC、薬事、臨床、品質、安全管理、知財、事業開発などの専門組織が存在する。一方、創薬スタートアップでは、数人から十数人程度で開発を開始することも少なくない。

すべての専門家を正社員として雇用することは難しい。その結果、「研究はできるが CMC が分からない」「製造先は決まったが品質戦略がない」「PMDA 相談をしたいが、何を相談すべきか整理されていない」「資金調達をしているが、次の企業価値上昇ポイントが明確でない」といった問題が生じる。

これは個々の担当者の能力不足というより、スタートアップという組織形態が持つ構造的な問題である。必要なのは、欠けている機能を早期に可視化し、適切な時点で補完する仕組みである。

2.1 最初に可視化する機能の空白

組織図に担当者の名前があることと、その機能が実際に働いていることは異なる。各機能について、判断できる人、実行する人、最終承認する人を明示する。月に数時間しか関与できない専門家に、日々の委託先管理や緊急時の意思決定まで期待してはならない。

不足の優先順位は、専門家の人数ではなく、次の開発判断への影響で決める。候補品選定前であれば製品像と評価基準、臨床移行前であれば試料・製造・安全性・臨床計画の統合が焦点となる。着手が遅れると他業務全体を止める事項から、専門家を配置する。

第3章 創薬を成立させる5つの基本要素

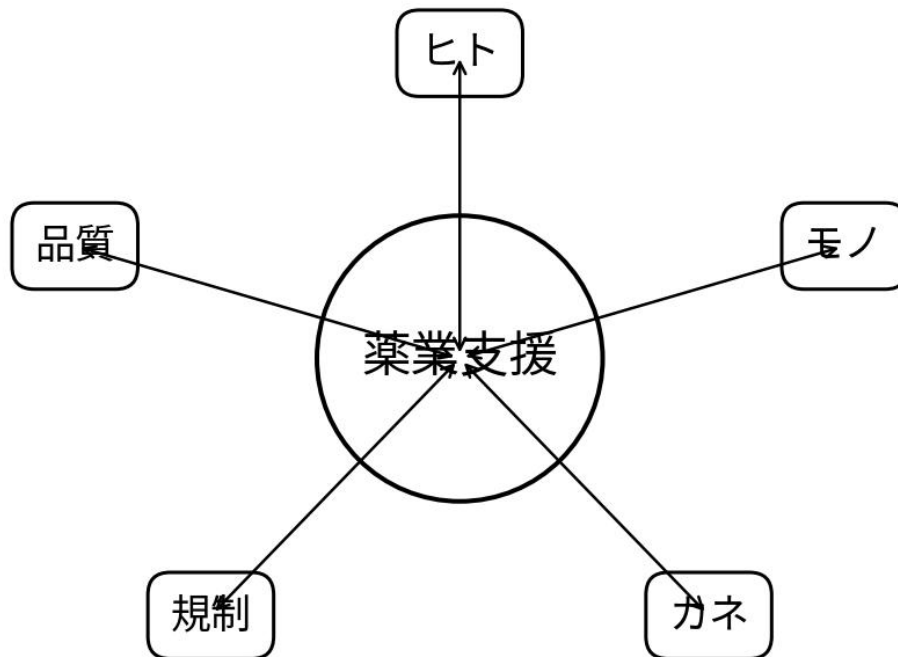


図2 創薬を成立させる5要素と薬業支援（JPBSA 作成）

3.1 ヒト

創薬は高度な専門人材によって成立する。研究、知財、CMC、製造、品質保証、薬事、非臨床、臨床開発、安全管理、事業開発、ファイナンス、経営など、多様な専門性が必要となる。創業初期からすべてを内部人材として抱えるのではなく、「今、このプロジェクトに必要な専門性は何か」を判断し、正社員、外部専門家、フラクショナル人材、CRO、CDMO、アカデミア、海外専門家などを組み合わせることが重要である。

ヒトに関する実務の判断

外部専門家の選定では、資格や職歴に加えて、類似する開発段階で何を判断し、どの成果物を作ったかを確認する。関与範囲、稼働時間、連絡頻度、利益相反、守秘義務、成果物の帰属、終了時の引継ぎを合意する。伴走者は企業の意思決定を支えるが、経営者や法令上の責任者に代わって責任を引き受けるわけではない。

3.2 モノ

創薬における「モノ」は、単なる化合物や細胞ではない。候補化合物、抗体、核酸、細胞、ベクター、DDS、製造技術、分析技術、プラットフォーム技術、知的財産、研究データなどを含む。重要なのは「技術がある」と「製品がある」ことを区別することである。対象患者、適応症、製剤、投与方法、製造、品質、開発国、承認像まで設計されて初めて、技術は医薬品候補として具体化する。

モノに関する実務の判断

まず Target Product Profile (TPP) の仮説を 1 枚にまとめる。対象疾患、対象患者、既存治療の課題、期待する有効性、安全性上の許容範囲、投与経路、使用場面、保存・供給条件を記す。理想条件と最低限必要な条件を分け、根拠と未確認事項を添える。TPP は固定的な約束ではなく、新しい情報で更新する開発の基準である。

3.3 カネ

創薬には長期間にわたる資金投入が必要である。資金調達は「資金がなくなったから行う」のではなく、現在の企業価値、次の Value Inflection Point、そこまでに必要な開発、必要資金、到達後の企業価値を一体で設計する必要がある。候補品選定、非臨床 PoC、治験開始、First-in-Human、Phase I 完了、臨床 PoC などが価値転換点となり得る。

カネに関する実務の判断

開発計画と資金計画は同じ前提で作成する。次の判断点までの外部試験費、製造費、専門家費、社内固定費、契約上の支払時期を並べ、基本シナリオと遅延・追加試験シナリオを比較する。助成金や提携収入は、採択・契約・入金が確定したものと期待段階のものを分けて扱う。

価値転換点に到達しても、次の資金調達が成立するとは限らない。試験結果の解釈、競合状況、知財、供給可能性、投資家や提携候補の判断が影響する。したがって、企業価値上昇を確約する表現を避け、次の交渉に使える証拠が何かを明示する。

3.4 規制

医薬品は規制産業である。研究成果が科学的に優れていても、規制当局が評価できるデータとして構築されなければ承認には到達できない。研究、CMC、非臨床、臨床、CTD、承認申請は別々の仕事ではなく、最終的な承認を目指す一つの開発ストーリーである。規制戦略とは申請書を書く技術だけではなく、将来の承認から逆算して開発を設計することである。

規制に関する実務の判断

PMDA の RS 総合相談では、相談制度や参考となるガイドライン等について全般的な相談ができる。RS 戦略相談の事前面談は、対面助言の範囲・論点・資料内容を整理するために行われる [1,2]。制度への適否や具体的な手続きは最新の公式情報で確認する。

相談資料には、製品概要、現在のデータ、開発者の提案、提案の根拠、確認したい質問を分けて記載する。「何をすればよいか」という広い質問だけでなく、「この前提とデータで次段階へ進む計画は妥当か」という論点に整理する。助言後は、合意事項、留意事項、追加検討事項を記録し、開発計画と予算へ反映する。相談実施そのものは、承認や計画全体の妥当性を保証しない。

3.5 品質

品質は製品が完成してから検査するものではない。特に新規モダリティでは、製造工程そのものが製品特性を大きく左右する。製造方法、製造所、スケール、原材料、分析法などの変更は Comparability の課題を生む。したがって品質は、開発後半だけではなく、研究開発初期から考えるべき設計課題である。 [5, 9]

品質に関する実務の判断

初期段階では、使用した試料・原材料・製造条件と、得られた試験データを追跡できるようにする。試験ごとのロット番号、分析法、保管条件、委託先、原データの所在を記録し、変更時に何を比較できるかを把握する。研究用データと申請を見据えたデータの区別も明示する。

品質への投資は、将来の変更や説明のために情報を残すことから始められる。すべての研究業務へ商用製造と同じ管理を一律に課すのではなく、開発段階、製品特性、患者へのリスク、適用される要件に応じて管理の程度を設計する。

図表 1 創薬を成立させる 5 要素

ヒト	モノ	カネ	規制	品質
専門人材と組織	技術・製品・知財	開発資金	承認への道筋	製品を成立させる設計

3.6 TPP から品質と試験の設計へ

製品像を決める会議では、臨床上の目標と品質上の目標を接続する。TPP は対象患者、効果、安全性、使い方を含む製品全体の目標像である。一方、ICH Q8(R2)の Quality Target Product Profile (QTPP) は、製品の品質特性について目指す姿を整理する概念であり、TPP と同じ意味ではない。Q8(R2)は QTPP、重要品質特性 (CQA)、工程・原材料と品質との関係、管理戦略を扱う [5]。

例えば、外来で使用する注射剤を目指す場合、投与量や投与間隔の仮説を、濃度、容量、安定性、容器、使用時の操作へ落とし込む。高濃度化が必要になれば、粘度、凝集、投与器具との適合等を検討する。この段階で理想値を最終規格として確定するのではなく、どの特性が患者への影響につながるか、どのデータで確認するかを整理する。

開発初期の管理戦略は、知識の蓄積に応じて更新する。分析結果を並べるだけでなく、製造条件や原材料の違いによってどの特性が動くかを確認し、品質の変動を検出できる評価法を整える。本書では、この作業を臨床・CMC・品質担当の共同課題として進めることを提案する。

第4章 専門家を集めるだけでは足りない

創薬プロジェクトに必要な専門家を集めれば、それだけで開発が進むわけではない。CMC 専門家は CMC の最適解を、臨床専門家は臨床の最適解を、薬事専門家は規制上の最適解を、知財専門家は知財の最適解を考える。

それぞれの判断が専門的に正しくても、プロジェクト全体として最適とは限らない。創薬では「専門領域と専門領域の境界」に問題が生じる。この境界を理解し、異なる専門家をつなぐ機能が必要となる。

4.1 境界を管理する会議と記録

定例会議では専門領域ごとの進捗報告だけでなく、他領域へ影響する変更を取り上げる。例えば製剤の変更は、投与方法、曝露、安全性評価、安定性、供給計画へ影響し得る。変更の発案者が関連領域を列挙し、各担当者が影響の有無と確認事項を回答する。

重要な決定は、選択肢、根拠、残る不確実性、承認者、再評価条件を記録する。議事録だけでは分散しやすいため、意思決定一覧、リスク一覧、変更一覧を維持する。これらは会議資料であると同時に、新しい担当者や提携先への引継ぎ資料となる。

4.2 会議を判断が進む場にする

会議前に、報告事項と承認が必要な事項を分ける。判断事項には、背景、選択肢、推奨案、根拠、費用、日程、未解決のリスクを添える。参加者は自分の専門領域の結論だけでなく、他領域の判断に必要な前提を示す。決裁権限のない会議で結論を出した場合は、誰の承認を得て有効になるかを記録する。

見解が分かれたときは、科学的な不確実性、規制上の解釈、費用や優先順位の違いを分ける。追加データで解消できる論点は試験計画へ、当局の見解を確認すべき論点は相談計画へ、経営上の選択は経営会議へ移す。全員が同意するまで議論する運用は、必ずしも意思決定の質を高めない。

会議終了時には、決定したこと、保留したこと、担当者、期限、上限費用を読み合わせる。次回は作業の実施有無だけでなく、その作業により判断に必要な情報が得られたかを確認する。

第5章 薬業支援とは何か

本書では、この接続機能を「薬業支援」と呼ぶ。薬業支援とは、単一専門領域の知識提供だけを意味するものではない。また、複数の専門家のスケジュールを管理するだけの **Project Management** とも異なる。

薬業支援では、「このプロジェクトを次の段階へ進めるために、何が不足しているのか」を横断的に考える。必要な専門家をつなぎ、必要な資料を作り、意思決定を整理し、外部機関へ接続し、規制対応を準備し、開発計画を組み立てる。

一般的な **Project Management** が「設定されたプロジェクトをどう実行するか」を中心とするのに対し、創薬初期の薬業支援では、何を開発するのか、どの疾患を狙うのか、どこまで自社で開発するのか、どの国で開発するのか、いつ提携するのかといった「プロジェクトそのものの設計」にも関与する。

薬業支援には、専門性×横断性×プロジェクト設計力×事業構想力が求められる。

5.1 支援を具体的な成果物で定義する

薬業支援の成果は、打合せの回数だけで評価しない。初期診断では機能の不足と優先順位、計画策定では統合開発計画と資金計画、実行段階では意思決定記録と課題の解消、引継ぎでは再利用可能な資料と担当者への知識移転を成果物とする。

契約形態は支援内容と責任範囲に合わせて検討する。準委任による継続的な支援を採用する場合も、業務範囲、報告、費用、権限、終了条件を明確にする。契約の名称だけで実際の法的性質が決まるものではないため、個別契約は法務専門家と確認する。

第 6 章 Drug Architecture – 創薬を構造として考える

創薬を個別業務の集合として見るのではなく、一つの構造として捉える必要がある。疾患・患者、Target Product Profile、作用機序、モダリティ、製剤・DDS、製造工程、Critical Quality Attributes、非臨床、臨床、薬事戦略、事業モデル、資金調達相互に依存する。

一つを変更すると、別の要素にも影響する。この全体構造を理解しながら創薬プロジェクトを設計する考え方を、本シリーズでは「Drug Architecture（創薬構造設計）」として扱う。

創薬とは候補物質を発見するだけではない。患者へ届ける医薬品というシステムを設計することである。

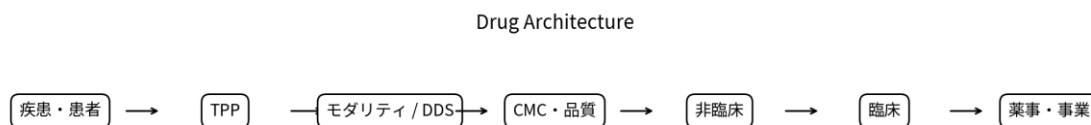


図 3 Drug Architecture の概念図（JPBSA 作成）

6.1 一つの変更を全体構造へ戻す

Drug Architecture は、JPBSA が本シリーズで提示する整理の枠組みであり、規制当局の承認制度や標準化された認証の名称ではない。実務では、TPP、製品・製造、評価、規制、事業、資金の各計画を別々に作り切る前に、相互の依存関係を確認する。

例えば投与頻度を減らすための製剤変更を検討するときは、患者の利便性だけでなく、製造の難易度、分析法、保存条件、非臨床評価、臨床試験の設計、費用を同時に点検する。メリットと追加負担を比較し、どの情報が得られた時点で採否を判断するかを定める。

6.2 非臨床と臨床を接続する

非臨床試験の目的は、単にデータを増やすことではない。予定する臨床試験の対象者、投与経路、用量、投与期間を踏まえ、臨床での評価を支える情報を得ることである。ICH M3(R2)は臨床試験の範囲と期間、および製造販売承認を支える非臨床安全性試験を扱う [6]。製品の種類によって別のガイドラインや考慮事項が必要になるため、M3(R2)をあらゆるモダリティの一律の試験一覧として使わない。

薬理作用を示すモデルと、安全性を評価するモデルが同じとは限らない。標的の種差、薬理学的な反応、曝露、投与方法、試験試料の品質を専門家が確認する。モデルの妥当性が限られる場合は、その限界と補完する評価方法を明示する。動物モデルでの有効性を、患者での効果の確証として扱わない。

臨床移行の検討では、非臨床の結論、臨床用製品との関係、初回投与の考え方、モニタリング、投与中断の条件、供給計画を一つの説明にまとめる。本書の推奨は、各分野の資料を完成させてから矛盾を探すのではなく、試験や製造に着手する前に前提を共有することである。

6.3 臨床試験で何を判断するかを先に決める

ICH E8(R1)は、臨床試験の計画段階で質に重要な要因を特定し、参加者の保護、データの完全性、結果の信頼性、試験目的の達成を支える考え方を示す [7]。試験開始後にすべてを監視することに依存せず、目的と設計の段階で重要なリスクを減らすことが基本となる。

臨床 PoC を目指す場合、対象患者、評価項目、評価時点、比較の考え方を確認し、成功・不成功をどう判断するかを事前に定める。探索的な情報収集と、次の開発判断に用いる中心的な評価を分ける。患者数が限られる場合も、測定のばらつき、欠測、治療背景、自然歴などの影響を検討する。

試験の実施可能性は、症例数の見積りだけでは判断できない。診断や適格性の確認、来院負担、施設での投与・保管、検体の取扱い、データ取得、治験製品の配送を点検する。臨床担当と CMC 担当が供給可能なロット・有効期間を確認し、資金担当が症例登録の遅延による追加費用を評価する。

第7章 Quality Governance – 品質を経営課題として捉える

品質管理を QA 部門だけの仕事と考えると、創薬スタートアップでは対応が遅れることがある。重要な品質上の意思決定には、経営、研究、CMC、製造、QA、薬事、臨床など複数の機能が関係する。

例えば製造工程変更は、品質だけでなく、非臨床データ、臨床試験、規制当局への説明、開発スケジュール、資金、企業価値にまで影響する可能性がある。

品質を企業全体の意思決定として捉える。これが Quality Governance の基本的な考え方である。

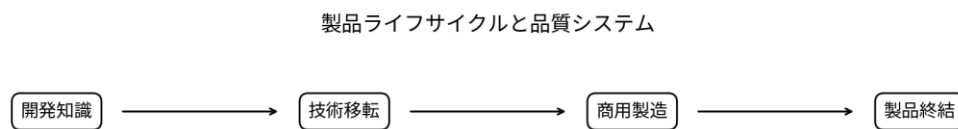


図4 製品ライフサイクルを通じた品質マネジメントの概念（ICH Q10 を参考に JPBSA 作成） [3]

7.1 小規模企業の品質統治

ICH Q10 は、医薬品品質システムにおける経営陣の責任、外部委託業務の管理、変更管理、マネジメントレビュー等を示す [3]。本書ではこの考え方を参考に、小規模企業でも品質に関する重大な問題を経営判断へつなげる運用を推奨する。具体的な適用は開発段階と法令・ガイドラインの要件に従う。

最低限の運用として、品質上の懸念を報告する窓口、重大事項の判断者、委託先との責任分担、逸脱や変更の記録、改善の追跡を定める。納期を優先して懸念を放置することも、影響を評価せずすべての作業を止めることも避け、患者とデータへの影響を評価して対応を決める。

7.2 リスク評価を行動へつなげる

ICH Q9(R1)は品質リスクマネジメントの原則と手法を示し、評価の主観性や意思決定の明確化、品質問題による製品供給への影響も扱う [8]。リスク評価の形式や労力は、リスク、不確実性、重要性に見合うものとする。数値を付けた表を作るだけで、管理が成立するわけではない。

小規模企業では、懸念事項、原因、起こり得る影響、既存の対策、追加対応、責任者、期限を一つの一覧で管理する。発生確率が不明な場合は、根拠のない数値を入れるよりも「未確認」として確認方法を記す。評価者間の点数の違いより、判断に用いた前提の違いを検討する。

対策後は、残るリスクを誰が受容したか、どの情報が出れば再評価するかを定める。例えば製品供給の途絶が重大な場合、代替委託先の有無だけでなく、技術移管期間、原材料、分析法、契約上の権利を点検する。日程や費用への影響は、品質リスクと別の経営上の制約として併記する。

7.3 製造変更と同等性 同質性の評価

ICH Q5E は、製造工程変更前後のバイオテクノロジー応用医薬品・生物起源由来医薬品の同等性／同質性評価の原則を示す [9]。外観上同じ製品や、主要な規格に適合する製品であっても、それだけで変更の影響を十分に説明できるとは限らない。必要な評価は変更の内容と製品の知識に依存する。

変更前に、変更の目的、影響し得る品質特性、比較対象のロット、分析法の適切性、保存試料、安定性評価を検討する。比較に必要な試料を確保せず工程だけを切り替えると、後から追加の説明や評価が難しくなる。分析で十分に評価できるか、追加の非臨床・臨床評価が必要かは、残る不確実性を踏まえて判断する。

細胞・遺伝子治療等へ Q5E の考え方を参考にする場合も、適用範囲や製品別の規制上の取扱いを確認する。本書はすべての製品へ Q5E を直接適用することを求めるものではない。変更管理では、規制担当者を早期に加え、相談の必要性和実施時期を整理する。

第8章 バーチャル製薬企業という選択肢

創薬スタートアップが、大手製薬企業と同じ組織を最初から構築する必要はない。必要な機能を外部から調達することで、小規模な組織でも創薬プロジェクトを運営できる。

中心となるコアチームの周囲に、CMC 専門家、薬事専門家、QA、臨床専門家、CRO、CDMO、知財専門家、事業開発専門家、海外専門家などを配置する。

これは「人を大量に雇う会社」ではなく、「必要な専門能力へアクセスできる会社」という発想である。薬業支援人材は、このネットワークをつなぐ役割を担うことができる。

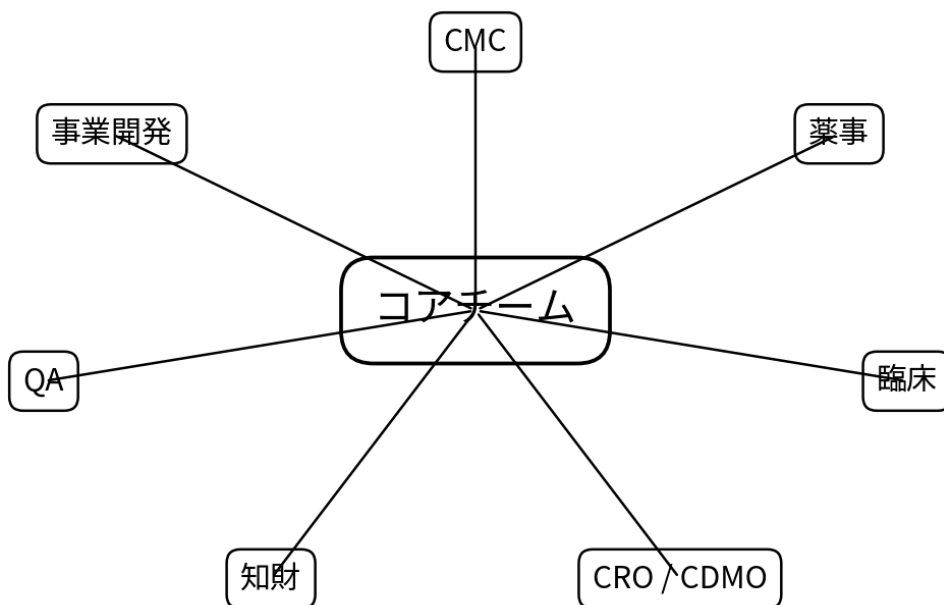


図5 バーチャル製薬企業の組織モデル (JPBSA 作成)

8.1 外部化しても残すべき中核機能

バーチャル型でも、製品戦略、優先順位、予算、重要な変更、データの受領と利用、委託先の評価を判断する機能は企業側に必要である。CRO や CDMO を選ぶ際は、技術力だけでなく、記録へのアクセス、問題発生時の通知、再委託、変更管理、技術移管、契約終了時のデータ・試料の返還を確認する。

委託先の選定、進捗確認、成果物の評価を同じ一人に集中させる場合は、重要な判断に別の専門家によるレビューを設ける。外部への依存が高いほど、企業側に情報が集まり、次の判断ができる仕組みを維持することが重要となる。

8.2 委託先の成果物を受け取れる企業になる

委託仕様には業務名だけでなく、試験の目的、使用する試料、方法、報告書の内容、原データの受領方法、結果のレビュー、逸脱時の連絡を記載する。報告書に結論があることと、企業側がその結論を自社の開発判断に使えることは別である。

成果物の受領時には、合意した範囲が実施されたか、方法変更や逸脱があったか、試料の履歴が確認できるか、結果の限界が記されているかを評価する。再解析、追加試験、説明資料の作成に必要な情報へのアクセスも確認する。ICH Q10 は委託先の適格性評価、書面による責任分担、実績の監視・レビュー等を示す [3]。

担当者や委託先が変更されても、製品知識を企業側に残す。データを個人のメールや外部専門家の手元だけに置かず、索引、版番号、承認状況、保管場所を整理する。受託者の業務が終了した後も、説明に必要な記録を企業が確認できる体制が必要である。

第9章 薬業支援人材に求められる能力

薬業支援人材に、すべての分野の最高レベルの専門家であることを求める必要はない。重要なのは、自分の専門領域を持ち、隣接領域を理解し、自分では判断できない領域を認識し、適切な専門家へつなげられることである。

さらに、プロジェクト全体の目的を理解し、異なる専門家の知識を一つの創薬プロジェクトへ統合する力が必要となる。「何でも自分でできる人」ではなく、「何が必要かを理解し、必要な人をつなぎ、プロジェクトを動かせる人」が重要である。

9.1 能力を実務で確認する方法

人材評価では、架空の開発課題について不足情報を列挙し、他領域への影響を説明し、専門家に何を質問するかを示してもらう。自分の判断範囲を認識できること、根拠が足りないときに保留できること、意見の違いを論点として整理できることが重要である。

育成では、自身の専門性を基盤としながら、他領域との共同レビュー、ケース検討、資料作成、振り返りを組み合わせる。研修を修了したことだけで独立した判断能力が保証されるわけではないため、担当する案件の難易度と支援体制を合わせて設計する。

第 10 章 日本の創薬エコシステムに必要なもの

日本には創薬に必要な多くの要素が存在する。大学には研究成果があり、企業には専門人材がいる。投資家には資金があり、CRO・CDMOには開発・製造機能がある。行政には規制制度があり、海外にも優れた技術と人材がある。

不足しているものの一つは、それらを横断的に接続する仕組みである。創薬エコシステムの強化とは、単にスタートアップの数を増やすことではない。「ヒト×モノ×カネ×規制×品質」をつなぎ、具体的な創薬プロジェクトとして動かす仕組みを作ることである。

10.1 接続の成果を測る

交流会の参加人数だけでなく、案件の課題が具体化したか、適切な専門家へつながったか、次の意思決定が行われたかを確認する。企業秘密や個人情報を守りながら、支援を求める側が開発段階、相談目的、必要な専門性を伝えられる共通の受付項目を整える。

紹介には守秘義務、利益相反、権限、費用の確認が伴う。ネットワークに参加していることや協会との関係のみをもって、個々の専門家の能力、企業の信用、案件の成功を保証する運用にはしない。

第 11 章 JPBSA が目指すもの

一般社団法人日本薬業支援家協会（JPBSA）は、薬業支援に関わる人材、知識、企業、アカデミア、国内外のネットワークをつなぎ、日本の薬業・創薬エコシステムの発展へ貢献することを目指す。

教育、出版、情報発信、専門家交流、研究会、セミナー、国内外連携などを通じ、薬業支援人材の量と質の向上を図る。

重要なのは、知識を学んで終わることではない。学ぶ。つながる。実践する。経験を共有する。そして次の人材を育てる。この循環を形成することである。

薬業支援の先には、優れたシーズを見つけ、医薬品として設計し、専門家を集め、知財を構築し、開発戦略を作り、資金を集め、新しい創薬企業そのものを作る可能性がある。Drug Discovery × Drug Architecture × Venture Building という考え方である。

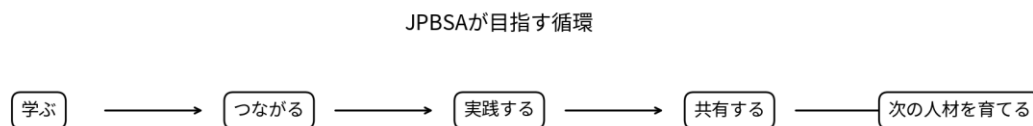


図 6 学習から実践・人材育成へつなぐ循環（JPBSA 作成）

11.1 学習を案件の改善へつなげる

JPBSA の教育・出版・交流は、知識の共有と専門家同士の接続を支える活動として位置付ける。個別案件の受託、契約、規制上の責任を担う主体については、協会との役割を区別し、相談時に確認する。

人材・企業のマッチングを実施する場合は、プロフィール、資格、専門領域、実務経験、希望する関与範囲を明らかにし、双方が条件を確認できるようにする。実施前の構想と提供中のサービスを区別し、登録だけで案件獲得や開発成果が約束される表現は用いない。

第 12 章 薬業支援を始める 90 日間

以下は、創業初期の企業が薬業支援を導入する際の標準的な進め方の例である。90 日で開発上の問題をすべて解決する計画ではなく、現状と優先順位を共有し、次の判断に向けて組織を動かすための計画である。規制相談や試験の完了時期は案件ごとに異なる。

12.1 診断から実行への移行

期間	取り組むこと	確認する成果物
1～30 日	経営者・研究責任者へのヒアリング。試料、研究データ、知財、契約、資金の確認。TPP と 5 要素の診断。	製品像の仮説、機能の不足、重要リスク、次の判断点
31～60 日	専門家のレビュー。試験・製造・規制・知財の依存関係を整理。委託先と費用の検討。	統合開発計画、担当と権限、相談論点、基本・遅延シナリオの予算
61～90 日	経営会議で計画を承認。優先業務を開始。変更・課題・意思決定を記録。	実行状況、未解決事項、次の判断日、継続・変更・保留の条件

12.2 役割分担の例

次の分担は一例である。企業の体制と契約に合わせ、最終判断者を一人または明確な会議体として定める。法令上の責任者や承認権限をこの表で置き換えるものではない。

判断対象	案の作成・評価	最終判断と記録
対象患者・開発方針	研究・臨床・薬事・事業担当が検討。薬業支援者が整合を確認。	経営者・所定の経営会議が承認
製造・試験の変更	CMC・品質・非臨床・臨床等が影響評価。	所定の責任者が承認。必要な経営判断へ上程
予算・委託契約	各専門担当が仕様を確認。財務・法務が条件を確認。	権限を持つ経営者が承認
支援の終了・引継ぎ	支援者が資料、課題、保留事項を整理。	企業側の受領責任者が確認

12.3 継続の判断基準を先に決める

開発の判断点では、あらかじめ定めた必要条件を満たしたかを評価する。科学的な有望性だけでなく、製造・供給、知財、規制対応、資金、実行体制を併せて確認する。条件を満たさない場合は、追加検証で解消できるか、方針変更が必要か、継続を保留すべきかを記録する。

継続は、次段階の主要条件を満たし、残る不確実性を管理できる場合に選ぶ。条件付き継続は、未解決事項、担当、期限、上限費用を定める。方針変更は、適応症・製剤・提携範囲等を見直す。中止・保留は、必要条件が成立せず、合理的な解決策や資金が見込めない場合に検討する。判断基準は試験結果を見た後に都合よく変更しない。

12.4 仮想事例 大学発の抗体シーズ

以下は考え方を説明するための仮想事例であり、実在する企業や案件の成果ではない。大学発の抗体シーズについて、研究用の小規模試料で有効性を示す結果が得られ、企業は臨床移行の資金調達を検討しているとする。

初回レビューでは、対象患者の仮説、試験試料の履歴、将来の製造工程、評価法、大学との権利関係、資金使途を確認する。研究用試料と将来の製品の関係が不明確であれば、試験の追加より先に CMC と非臨床の担当者が接続条件を整理する。対象患者が広すぎる場合は、臨床担当者と事業担当者が最初の開発対象を絞る。

薬業支援者は論点と依存関係を統合し、経営者が判断できる資料を作る。成果物は、TPP の仮説、製造・評価の課題一覧、規制相談の質問案、必要資金と意思決定の予定表である。この事例の到達点は臨床移行を約束することではなく、その可否を判断する準備を整えることである。

第 13 章 開発段階ごとの支援と判断

必要な支援を、専門分野の一覧だけで決めない。企業が現在どの段階にあり、次に何を判断するかによって、機能を組み合わせる。以下は JPBSA が提案する整理であり、規制当局が定めた段階区分や必須書類の一覧ではない。創薬開発の大きな流れは FDA の公開説明を参照できる [4]。

開発段階	中心となる判断	支援の成果物の例
研究・起業検討	患者ニーズと科学的仮説を結び付けられるか。権利と再現性を確認できるか。	製品像、根拠データ一覧、権利関係、機能の不足
候補品の選定	有効性、製造可能性、評価可能性、知財の観点から候補を選べるか。	選定基準、比較結果、製造・分析課題、次段階予算
臨床移行の準備	非臨床・品質・臨床の前提は整合するか。相談と供給の準備はできたか。	相談資料、製品と試料の関係、臨床計画、供給計画
初期臨床・PoC	結果は次の開発や提携を判断する情報になっているか。	データの解釈、TPP 改訂、追加評価、提携資料
後期開発・申請準備	申請資料、製造、品質、供給、安全管理の体制が接続しているか。	申請計画、責任分担、データの不足、移管計画

13.1 臨床移行前の合同レビュー

臨床開始を一つの目標に置くと、各部門が開始予定日から逆算して作業を急ぐことがある。合同レビューでは、日程とは別に「開始してよいと判断できる根拠」を確認する。研究・非臨床・CMC・品質・薬事・臨床担当が、同じ製品と同じ投与計画を前提としていることが重要となる。

レビュー資料には、試験試料と臨床用製品の違い、データが支持する範囲、残る不確実性、当局相談の内容、必要な追加作業を記す。M3(R2)と E8(R1)はそれぞれ非臨床と臨床の検討を支えるが、個別品目の臨床開始の可否を自動的に決めるものではない [6, 7]。薬業支援者は領域間の論点を整理し、所定の責任者が判断できるようにする。

13.2 情報が不足しているときの進め方

すべての不確実性を解消してから進むことは現実的ではない。ただし、患者への重大なリスクや次の判断の前提に関わる不足を、単に後回しにしない。必須の確認、並行して進められる確認、後段階で評価する事項を区別し、保留してもよい理由と見直し条件を記録する。

例えば安定性データが蓄積中の場合、現時点のデータが支持する使用期間、試験期間中の供給、追加データの取得予定を併せて検討する。未確定の期間を確定値として臨床・予算計画へ入れない。条件付きの計画であることを明示し、条件が成立しない場合の代替案を準備する。

第 14 章 知財と提携を開発計画へ組み込む

14.1 特許を持つことと実施できることを分ける

自社の特許出願があることと、予定する製品を他者の権利との関係で実施できることは異なる。WIPO は、特許が属地的な権利であること、および特許情報の調査・分析には専門的な技能が必要であることを説明している [10]。Freedom to Operate (FTO) は実施に関係する他者の特許等を調査・分析する際の重要な検討である [11]。

本書では、物質だけでなく、用途、製造方法、送達技術、製剤、評価方法に関係する権利を知財担当者と点検することを推奨する。対象国、製品の構成、工程、実施時期を定め、関連する請求項、法的状態、権利の存続を確認する。調査時点での評価を将来までの保証として扱わず、開発国や工程を変える際に再評価する。

大学発シーズでは、発明者、権利者、共同研究先との契約、試料の入手条件、成果公表の条件を確認する。事業化に必要な実施権があるか、改良技術や将来成果を利用できるか、大学から企業へ移管できるデータは何かを、開発資金を投入する前に明確にする。法的判断は弁理士・弁護士等と行う。

14.2 提携先が判断できる資料を用意する

提携資料は魅力を伝える紹介資料と、評価に必要な裏付け資料を分ける。非秘密資料には、対象患者、作用の考え方、開発段階、差別化の仮説、求める提携を整理する。秘密情報の開示は契約と権限に従い、データの出典、方法、限界、製品履歴を確認できる資料を段階的に提示する。

データルームには、研究・非臨床・CMC・臨床、知財・契約、規制相談、財務・組織の資料を分類する。各資料に責任者、版番号、確定・暫定の区別を付け、報告書の結論と社外向け説明が整合するかを確認する。望ましい結果だけを強調し、未解決事項を隠すと、後の評価や交渉を難しくする。

14.3 提携条件と開発範囲を整合させる

提携の検討では、対象地域、適応症、開発・製造の役割、データの利用、追加試験の費用、重要変更の判断、終了時の権利を確認する。契約上は利用できるデータでも、製造や分析の詳細情報へのアクセスが不足すると、技術移管や申請説明が難しくなる可能性がある。知財担当、CMC 担当、薬事担当、事業担当が同じ契約案をそれぞれの観点から評価する。

自社でどの段階まで開発し、どの時点から提携先へ引き継ぐかは、事業の選択である。最も先の開発段階へ進むことが常に最適とは限らない。必要資金、組織能力、リスク、提携候補の関心を比較し、企業が担える範囲を決める。

第 15 章 資金計画と支援の成果を評価する

15.1 資金を次の判断に必要な仕事へ配分する

資金計画は年度予算だけでなく、月次の資金繰りと判断点までの必要額で管理する。契約締結時、試験開始時、報告書受領時など、実際の支払条件を反映する。資金調達活動の開始から入金までの期間も考慮し、手元資金がなくなる直前を交渉の開始時点にしない。

以下は計算方法を示す仮想例であり、実際の開発費相場や投資条件ではない。使用可能な現金が 6,000 万円、今後 3 か月の確定支払が 2,000 万円、その他の純支出が月 500 万円で一定とすると、単純な資金余力は $(6,000 - 2,000) \div 500 = 8$ か月である。ただし税金、変動支出、未計上契約、助成金の入金時期等を別途反映する必要がある。

実務では、平均支出による余力の数字だけでなく、月別残高の最低値を見る。製造費が一時に発生する場合や、助成金の入金より先に支出する場合は、平均的には足りていても一時的に資金が不足する。基本、遅延、追加評価の各シナリオについて、残高と対策の発動時点を比較する。

15.2 遅延時に何を守り何を見直すか

日程が遅れた場合、すべての活動を同じ率で削減しない。患者の保護、必要な品質・データの信頼性、契約上の義務を踏まえ、支出の優先順位を再設定する。延期可能な活動、結果が得られるまで保留する活動、追加資金が必要な活動を分ける。

製造や試験の再実施は、費用だけでなく試料、施設、原材料、人材の再確保を伴う。薬業支援者は遅延の原因と他業務への影響を整理し、経営者に選択肢を提示する。資金が厳しいことを理由として必要な確認を省略するのではなく、開発範囲の変更、提携、保留等も含めて判断する。

15.3 薬業支援の成果をどう測るか

支援の評価では、開発成果と支援者が直接改善できる事項を分ける。試験の成功、資金調達、承認取得は複数の要因に依存するため、支援者の単独成果として保証する指標にはしない。本書では、判断に必要な情報の整備、機能の空白の解消、変更の見落としの削減、引継ぎの成立を評価することを提案する。

評価する事項	指標と確認方法の例
意思決定の準備	判断事項に根拠、選択肢、承認者、期限が記載されている割合
重要課題の解消	事前に合意した重要課題の解消状況と、未解消時の対応
計画の整合	製品像、製造、評価、規制、予算の前提の食い違いと修正状況
記録と引継ぎ	受領者が必要資料へアクセスし、保留事項と次の業務を説明できるか
学習と自立	社内担当者が同種の課題を次回自ら整理できるか

15.4 支援終了時に残すもの

支援が終了するときは、完成資料だけでなく、未解決課題、保留した判断、委託先との連絡事項、次の期限、記録の保管場所を引き継ぐ。企業側の受領者が資料を確認し、次の業務を実行できることを確かめる。外部専門家への依存を維持することよりも、企業に知識と判断能力を残すことが継続的な支援の価値となる。

Conclusion

優れた科学だけでは、医薬品は完成しない。創薬には、ヒト、モノ、カネ、規制への理解、品質が必要である。そして、それらをつなぐ機能が必要である。

日本の創薬力を高めるためには、個々の専門領域をさらに高度化するだけでなく、専門性と専門性の間をつなぐ人材を育てる必要がある。

研究成果を医薬品へ。医薬品を事業へ。専門家をチームへ。個別の活動をエコシステムへ。その「つなぐ力」が、薬業支援の重要な役割である。

付録 A 初回診断チェックシート

各項目を「確認済み・不足あり・未確認」で評価し、根拠となる資料、担当者、期限を併記する。未確認を不適合と同一視せず、確認が必要な事項として扱う。

要素	確認する問い	記入欄
ヒト	次の判断に必要な専門家と最終判断者が決まっているか。稼働・利益相反・引継ぎは確認したか。	評価： 根拠： 担当・期限：
モノ	対象患者、製品像、試料・データの履歴、知財・契約上の権利が説明できるか。	評価： 根拠： 担当・期限：
カネ	次の判断点までの費用と支払時期が分かるか。遅延時の資金余力と代替案はあるか。	評価： 根拠： 担当・期限：
規制	開発国と製品区分の仮説があるか。必要な相談と、相談すべき論点が整理されているか。	評価： 根拠： 担当・期限：
品質	試料とデータが追跡できるか。変更・逸脱・委託先の問題を判断者へ報告できるか。	評価： 根拠： 担当・期限：

付録 B 意思決定と支援業務の記録

記録項目	記載する内容
判断事項	いつまでに、誰が、何を決めるか
選択肢と根拠	選択肢ごとのデータ、制約、費用、他領域への影響
不足情報	判断前に必須の情報と、判断後も残せる不確実性
決定と再評価条件	採用案、承認者、決定日、見直しを行う条件
支援業務	担当、成果物、稼働、報告頻度、受領者、終了・引継ぎ条件

付録 C 主な用語

語	本書での意味
TPP	Target Product Profile。対象患者と期待する製品特性を整理する開発上の目標像。
CMC	Chemistry, Manufacturing and Controls。製品の特性、製造、管理に関わる領域。
CQA	Critical Quality Attributes。望ましい製品品質を確保するために管理すべき重要品質特性。
PoC	Proof of Concept。特定の仮説や概念を支持する検証。非臨床と臨床の PoC は区別する。
CRO / CDMO	開発関連業務を受託する機関／開発・製造を受託する機関。対応範囲は各社・契約で異なる。
CTD	Common Technical Document。医薬品承認申請資料の共通様式。
フラクショナル人材	一定の時間・範囲で専門機能を担う人材。本書の説明用語であり、法令上の資格区分ではない。

引用文献

本文中の番号は以下の引用文献に対応する。ガイドラインは適用範囲と開発国での実装状況を確認して使用する。JPBSA の実務提案、仮想事例および記入様式は文献の規制要件をそのまま転記したものではない。ウェブ資料の参照日：2026 年 10 月 4 日。

[1] PMDA. RS 総合相談. 更新日表示によらず現行ウェブページ.

参照箇所：相談の目的・範囲。

<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/strategies/0006.html>

[2] PMDA. 事前面談 RS 戦略相談. 現行ウェブページ.

参照箇所：事前面談の目的と手続き。

<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/strategies/0008.html>

[3] ICH. Q10 Pharmaceutical Quality System. 2008.

参照箇所：第 2 章 経営陣の責任、第 2.7 節 外部委託、第 3.2 節 品質システム要素。

https://database.ich.org/sites/default/files/Q10_Guideline.pdf

[4] FDA. The Drug Development Process. 現行ウェブページ.

参照箇所：研究、非臨床、臨床、審査、市販後の開発段階。

<https://www.fda.gov/patients/learn-about-drug-and-device-approvals/drug-development-process>

[5] ICH / FDA. Q8(R2) Pharmaceutical Development. FDA 版 2009 年 11 月.

参照箇所：Annex 第 2.1 節 QTPP、第 2.2 節 CQA、第 2.5 節 管理戦略。

<https://www.fda.gov/media/71535/download>

[6] ICH / FDA. M3(R2) Nonclinical Safety Studies for the Conduct of Human Clinical Trials and Marketing Authorization for Pharmaceuticals. FDA 版 2010 年 1 月.

参照箇所：第 1 章 適用範囲、臨床開発と非臨床安全性試験の関係。

<https://www.fda.gov/media/71542/download>

[7] ICH / EMA. E8(R1) General Considerations for Clinical Studies. 2021 年採択 EMA 実施 2022 年.

参照箇所：第 3 章 臨床試験における質、第 3.3 節 質に重要な要因。

<https://www.ema.europa.eu/en/scientific-guidelines/ich-e8-general-considerations-clinical-studies>

[8] ICH / FDA. Q9(R1) Quality Risk Management. FDA 版 2023 年 5 月.

参照箇所：第 3 章 原則、第 4 章 プロセス、第 5 章 方法論。

<https://www.fda.gov/media/167721/download>

[9] ICH / EMA. Q5E Comparability of Biotechnological/Biological Products Subject to Changes in Their Manufacturing Process. ICH 2004 年 EMA 実施 2005 年.

参照箇所：第 1 章 適用範囲、第 2 章 同等性／同質性評価。

https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/ich-q-5-e-comparability-biotechnologicalbiological-products-step-5_en.pdf

[10] WIPO. Frequently Asked Questions Patents. 現行ウェブページ.

参照箇所：特許の属地性と特許情報の検索・分析。

https://www.wipo.int/en/web/patents/faq_patents

[11] WIPO. Identifying Inventions in the Public Domain A Guide for Inventors and Entrepreneurs. 2020.

参照箇所：FTO 判断のための特許調査・分析。

<https://www.wipo.int/publications/en/details.jsp?id=4501>

JPBSA WHITE PAPER SERIES

- WP-01 創薬スタートアップのための薬業支援
- WP-02 創薬スタートアップの作り方
- WP-03 Drug Architecture – 創薬構造設計入門
- WP-04 創薬スタートアップの CMC 戦略
- WP-05 Quality Governance – 創薬企業の品質統治
- WP-06 核酸医薬・DDS の事業化戦略
- WP-07 細胞・遺伝子治療の事業化戦略
- WP-08 海外バイオベンチャーの日本参入ガイド
- WP-09 大学発創薬シーズを事業に変える方法
- WP-10 創薬スタートアップの資金調達戦略
- WP-11 創薬人材とバーチャル製薬企業
- WP-12 日本の創薬エコシステム Annual Report

発行情報

発行：一般社団法人 日本薬業支援家協会（JPBSA）

発行部門：JPBSA 出版部

シリーズ：JPBSA WHITE PAPER

文書番号：WP-01

版番号：Version 1.2

発行年月：2026 年 9 月 改訂年月：2026 年 10 月

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association. All Rights Reserved.

「薬業支援家」は一般社団法人日本薬業支援家協会に関する登録商標です。

免責事項：本 White Paper は、創薬・医薬品産業に関する一般的な情報および考え方の提供を目的とするものであり、個別の医薬品開発、規制、法律、投資その他に関する専門的助言を構成するものではありません。