JPBSA WHITE PAPER
WP-02

創薬スタートアップの作り方

– シーズを「会社」にするための設計図 –

Version 1.0
October 2026

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

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association |

発刊にあたって

創薬スタートアップは、研究成果を法人化すれば完成するものではない。優れたシーズを、患者に届ける製品へ変換し、その開発を継続できる組織・資金・知財・規制戦略を一体として設計する必要がある。

本書は、創薬スタートアップを「会社設立の手続」ではなく「創薬事業を成立させる設計」として捉える。シーズ評価から Target Product Profile（TPP）、知的財産、開発可能性、CMC・品質、非臨床、臨床、規制、チーム、資金調達、提携・Exit までを一つの流れとして整理する。

WP-01『創薬スタートアップのための薬業支援』が、創薬を支える機能を「ヒト・モノ・カネ・規制・品質」の 5 要素として整理した総論であるのに対し、WP-02 では、実際に一つの創薬事業をどのような順番で、どのような判断を重ねて組み立てるかに焦点を当てる。

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、知的財産、税務、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創業者・経営者、その支援に関わる実務者、投資家・事業会社の担当者を主な読者とする。第 1 章から第 5 章で「何を作るのか」を定め、第 6 章から第 10 章で「どう実行するのか」を設計し、第 11 章と第 12 章で「どこへ向かうのか」と「どう進めるのか」を示す。

各章の表・チェックリストは、創業前の検討会、経営会議、投資家や専門家との打合せでそのまま使えるように構成した。研究段階、モダリティ、開発国、資金環境によって必要な判断は変わるため、本書の項目を一律の規制要件や成功条件として扱わない。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association |

目次

発刊にあたって **2**
本書の位置づけ 2
Executive Summary **5**
第 1 章　創薬スタートアップとは何か **6**
1.1 創薬の時間軸と不確実性 6
1.2 「後戻りを減らす設計」とは 6
1.3 会社は開発を継続するための器である 7
第 2 章　シーズから始めない **8**
2.1 問いの順番を入れ替える 8
2.2 未充足医療ニーズを具体化する 8
2.3 技術が活きる場所を複数比較する 9
第 3 章　Target Product Profile を置く **10**
3.1 TPP の構成要素 10
3.2 TPP を部門横断の共通言語にする 10
3.3 TPP と QTPP を区別し、版を管理する 11
第 4 章　知的財産を事業の骨格にする **12**
4.1 権利の層を設計する 12
4.2 大学発シーズの権利を整理する 12
4.3 特許を持つことと実施できることを分ける 13
第 5 章　開発可能性を評価する **14**
5.1 Developability の評価領域 14
5.2 モダリティによって論点は異なる 14
5.3 不確実性を優先順位付けする 15
第 6 章　会社を作る前に事業を設計する **16**
6.1 事実・仮説・次の検証を分けて書く 16
6.2 法人化のタイミングと準備 17
6.3 初期成果物は「投資可能で開発可能なプロジェクト」 17
第 7 章　創業チームをどう作るか **18**
7.1 必要機能は開発段階で変わる 18
7.2 誰が決め、誰が実行し、誰がレビューするか 18
7.3 ガバナンスを小さく始める 19
第 8 章　CMC・品質・規制を早期に組み込む **20**
8.1 段階に応じた品質管理 20
8.2 臨床試験開始に必要な情報 20
8.3 規制当局との対話を開発計画に組み込む 21
第 9 章　資金調達をマイルストーンから逆算する **22**
9.1 価値上昇点を定義する 22
9.2 必要資金を積み上げる 22
9.3 資金源を組み合わせる 23
9.4 資金調達資料に示すこと 23
第 10 章　外部資源を使うバーチャル型組織 **25**
10.1 内製すべき機能と外部化できる機能 25
10.2 委託先管理の基盤を整える 25
10.3 委託先を選ぶ基準 26

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

第 11 章　提携・ライセンス・Exit を設計する 27
11.1 事業化の選択肢を比較する 27
11.2 提携先が評価するもの 28
11.3 Build／Partner／License を再評価する 28
11.4 ライセンス契約の主な条件 28
第 12 章　創薬スタートアップの実行ロードマップ 30
12.1 四つの段階 30
12.2 仮想事例　大学発の低分子シーズ 30
12.3 よくある失敗パターンと予防策 31
Conclusion 32
付録 A　創業前チェックリスト 33
付録 B　TPP 記入テンプレート 34
付録 C　主な用語 35
引用文献 36
JPBSA WHITE PAPER SERIES 38
発行情報 39

Executive Summary

創薬スタートアップの目的は、会社を設立することではない。科学的発見を、開発可能な医薬品候補へ変換し、患者価値と事業価値を同時に高めることである。

創薬は長く、不確実性の高い事業である。米国の業界団体等による 2011〜2020 年の分析では、第 I 相試験を開始した開発プログラムが承認に至る割合は全体で約 7.9%、第 I 相開始から承認までの平均期間は約 10.5 年と報告されている［15］。この時間軸と不確実性を前提にすると、創薬スタートアップの経営とは「最も企業価値に影響する不確実性から順番に減らすこと」と言い換えられる。

そのためには、①患者・疾患、②製品像、③科学、④知財、⑤CMC・品質、⑥非臨床・臨床、⑦規制、⑧人材、⑨資金、⑩事業開発を、互いに矛盾しない一つの設計としてまとめる必要がある。創業初期にすべてを確定する必要はない。しかし、重要な仮説と不確実性を明示し、次の価値上昇点までに何を証明するかを決める必要がある。

本書はこの考え方を、創薬スタートアップの「設計図」として提示する。中心となる提言は次の七つである。

表 1　本書の七つの提言

提言	要点
1　シーズから始めない	技術ではなく、患者と未充足医療ニーズを起点に製品像を描く（第 2 章）
2　TPP を共通言語にする	研究・CMC・非臨床・臨床・薬事・事業が同じ製品像を前提に議論する（第 3 章）
3　知財を事業の骨格にする	権利の層、帰属、残存期間、実施自由度を、資金を投じる前に確認する（第 4 章）
4　開発可能性を早く見る	薬効だけでなく、製造・分析・安定性・安全域・供給を横断的に評価する（第 5 章）
5　会社より先にプロジェクトを作る	初期成果物は「投資可能で開発可能なプロジェクト」と考える（第 6・7 章）
6　資金を価値上昇点から逆算する	次に何を証明するかを決め、必要な作業と資金を積み上げる（第 8・9 章）
7　出口に複数の選択肢を残す	Build／Partner／License を価値上昇点ごとに再評価する（第 10・11 章）

第 1 章　創薬スタートアップとは何か

一般的なスタートアップでは、製品を市場に投入し、顧客の反応を見ながら短いサイクルで改善できる場合がある。創薬では、患者の安全、臨床試験、製造品質、規制当局の審査が必要であり、開発のやり直しには大きな時間と資金がかかる。

FDA は医薬品開発を、Discovery and Development、Preclinical Research、Clinical Research、FDA Review、Post-Market Safety Monitoring という連続したプロセスとして整理している［1］。各段階は前の段階の成果を前提とするため、初期の設計の誤りは後段階で大きな手戻りとなって現れる。

1.1 創薬の時間軸と不確実性

図 1 は、臨床開発の各段階で次の段階へ進んだ割合を示したものである。最も移行確率が低いのは第 II 相から第 III 相への移行であり、ヒトでの有効性を確認する段階に大きな不確実性が集中していることが分かる。第 I 相を開始した時点から見た累積の到達確率は、申請の段階で約 8.7%、承認で約 7.9%となる［15］。

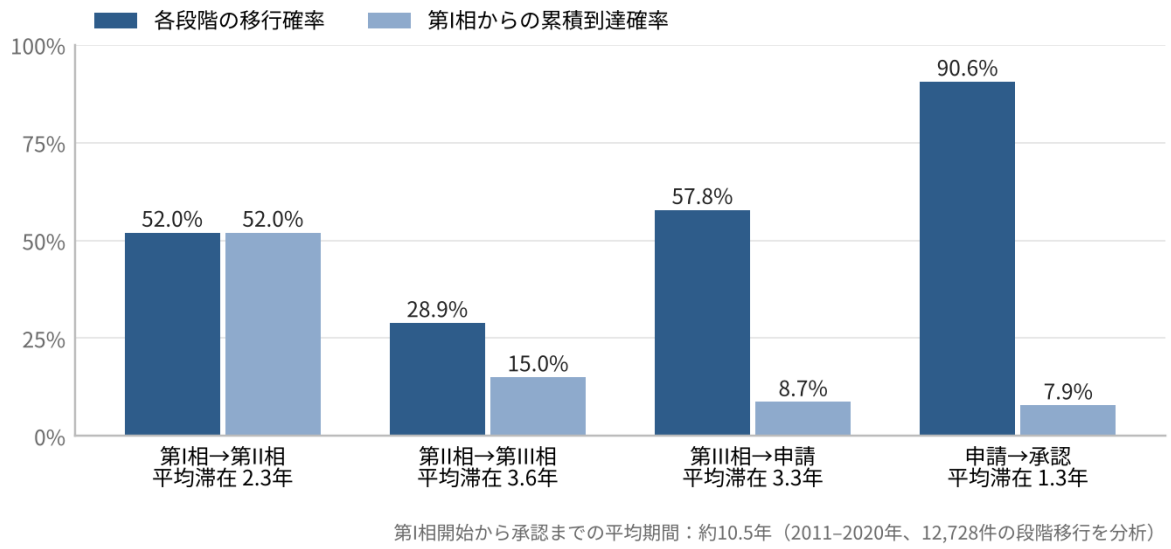


図 1　臨床開発段階ごとの移行確率と累積到達確率（BIO・Informa・QLS 2021 の公表値をもとに JPBSA 作成）［15］

この数値は、疾患領域、モダリティ、バイオマーカーの有無等によって大きく異なり、個別案件の成功確率を示すものではない。ただし、創薬スタートアップの経営者が前提とすべき二つの事実を示している。第一に、臨床試験開始後も多くのプログラムが中止となること。第二に、一つの段階に平均して数年を要するため、組織と資金を長期間維持する設計が必要になることである。

1.2 「後戻りを減らす設計」とは

創薬スタートアップでは、スピードだけでなく「後戻りを減らす設計」が重要である。後戻りとは、例えば次のような事態を指す。研究段階で使っていた試料と臨床用製品の関係が説明できず、非臨床試験をやり直す。対象患者を広く設定しすぎて臨床試験の評価項目が定まらない。製造方法の変更により、すでに取得したデータとの比較が必要になる。権利関係が未整理で、提携交渉が止まる。

これらはいずれも、個々の専門領域の判断としては合理的であっても、全体の設計が共有されていないことによって起きる。後戻りを減らす設計とは、あらゆるリスクを事前に解消することではなく、後から説明が必要になる情報を初期から残し、重要な前提を関係者が共有したうえで作業を始めることである。

1.3 会社は開発を継続するための器である

会社は、この長い開発を継続するための器である。法人設立そのものよりも、どの価値を、どの証拠で、どの順番に高めるかが本質となる。表 2 に、一般的なスタートアップと創薬スタートアップの違いを整理する。

表 2　一般的なスタートアップと創薬スタートアップの比較（JPBSA 作成）

観点	一般的なスタートアップ（例）	創薬スタートアップ
製品の検証	市場投入後に顧客反応で改善できる場合がある	非臨床・臨床試験と規制当局の審査を経て初めて市場に出る
改善サイクル	週〜月単位で反復できる場合がある	一つの段階に年単位を要し、やり直しの費用が大きい
価値の源泉	顧客数・売上・成長率	データ、知的財産、製品像、規制上の到達点
主な不確実性	市場の受容、事業モデル	ヒトでの有効性・安全性、製造可能性、規制、知財
資金の性質	売上による一部の自己資金化が可能な場合がある	長期間、売上のない状態で研究開発費が先行する
組織	製品開発チームが中心	多数の専門機能を、社内外の組合せで統合する

創薬スタートアップの初期の成果物は「会社」ではなく「投資可能で開発可能なプロジェクト」である。この認識に立つと、法人化、採用、資金調達、提携の優先順位が明確になる。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association |

第 2 章　シーズから始めない

創薬起業で最も起こりやすい誤りの一つは、「良い技術がある。だから会社を作る」という順番である。科学的に新規であることと、医薬品として価値があることは同義ではない。

まず問うべきは、誰の、どの未充足医療ニーズを解決するのかである。そのうえで、既存治療に対して何を改善するのか、どの程度の有効性・安全性・利便性を目標とするのかを考える。技術は目的ではなく、患者価値を実現する手段である。

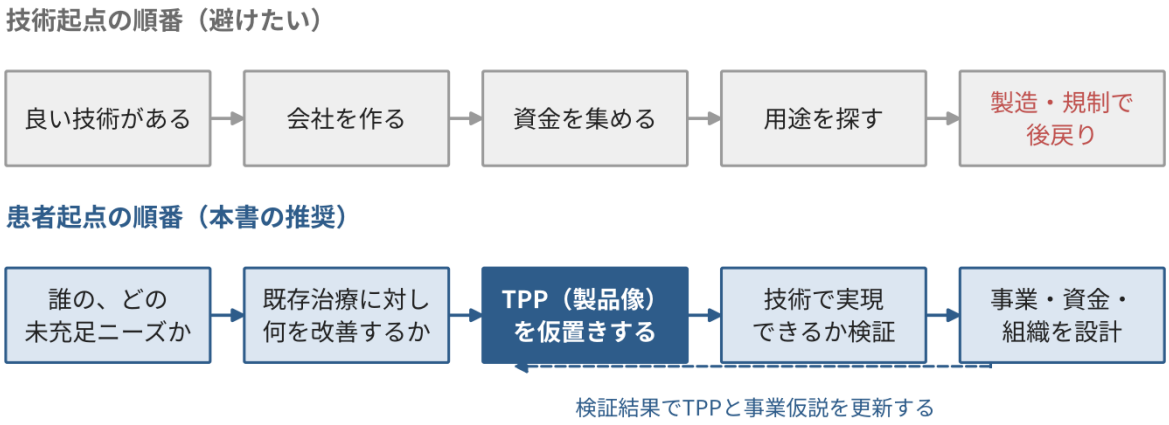


図 2　技術起点から患者起点への問いの順番の転換（JPBSA 作成）

2.1 問いの順番を入れ替える

問いの順番を入れ替えることで、適応症、投与経路、製剤、バイオマーカー、臨床試験、製造、価格・事業モデルまでの議論がつながる。技術起点では、用途探しが資金調達の後に始まり、製造や規制の論点が開発後半になって初めて見つかることが多い。患者起点では、製品像を仮置きした時点で、技術が満たすべき条件と、検証すべき不確実性が明らかになる。

これは研究者の発想を否定するものではない。新しい作用機序やプラットフォーム技術は、既存の発想では解決できなかった疾患に道を開く可能性がある。重要なのは、技術の可能性を、特定の患者と特定の製品像に一度結び付けて検証可能な形にすることである。

2.2 未充足医療ニーズを具体化する

「アンメット・メディカル・ニーズが大きい」という表現だけでは、開発計画にも資金計画にもつながらない。表 3 の問いに答えることで、ニーズを具体化する。

表 3　未充足医療ニーズを具体化するための問い（JPBSA 作成）

観点	確認する問い
疾患・患者	対象疾患の病態、重症度、患者数、診断の確定方法。対象をさらに絞り込める患者層はあるか
既存治療	標準治療は何か。その有効性・安全性・利便性のどこに限界があるか。開発中の競合品は何を目指しているか

観点	確認する問い
改善の目標	既存治療に対して、何を、どの程度改善すれば臨床的に意味があるか。それをどの評価項目で示せるか
医療現場	誰が、どこで、どのように投与・管理するか。投与頻度、来院負担、保管条件は現場で受け入れられるか
評価可能性	臨床試験で効果を測定できる評価項目と期間があるか。自然歴や患者の多様性をどう扱うか
支払・事業	誰が価値を認め、費用を負担するか。想定する提携先は、この疾患領域に関心を持つか

これらの問いの多くは、研究者だけでは答えられない。臨床医、患者団体、薬事・臨床開発の経験者、事業開発の担当者との対話を、法人化や大型の実験より前に行うことが望ましい。対話の結果は、根拠と未確認事項を分けて記録しておく。

2.3 技術が活きる場所を複数比較する

一つの技術が複数の疾患に適用できる場合、最初の適応症の選択は事業全体を左右する。最も患者数が多い疾患が、最初の開発対象として最適とは限らない。科学的根拠の強さ、臨床試験の実施可能性、規制上の道筋、競合状況、必要資金、提携先の関心を並べて比較する。

表 4　最初の適応症を比較する評価軸の例（JPBSA 作成）

評価軸	見るべき点	記録する根拠
生物学的妥当性	標的と病態の関係がヒトのデータで支持されているか	文献、患者検体、遺伝学的知見
評価のしやすさ	短期間・少数例で効果の兆候を確認できる評価項目があるか	既存試験の評価項目、バイオマーカー
臨床試験の実施可能性	患者の特定・登録が可能か。施設・専門医が確保できるか	疫学情報、施設へのヒアリング
競合と差別化	既存治療・開発品に対する優位性を示せるか	競合品の公開情報、臨床医の意見
規制上の道筋	評価方法や承認の考え方に先例があるか。当局相談で確認すべき論点は何か	ガイドライン、承認事例
事業性	提携先の関心、市場、開発費とのバランス	提携候補との対話、市場調査

比較に点数を付ける場合は、点数そのものよりも、評価者間で判断が分かれた理由を確認する。最初の適応症は、最終的に最も大きな市場を目指す道筋のなかで「最初に価値を証明しやすい場所」として選ぶという考え方もある。いずれの場合も、選択の理由と、見直す条件を記録しておく。

第 3 章　Target Product Profile を置く

TPP は、将来どのような医薬品を目指すかを言語化する中心文書である。FDA は 2007 年に公表したドラフトガイダンスにおいて、TPP を、開発プログラムを目標とする添付文書（ラベリング）の考え方に沿って整理し、それを支持するための試験を明らかにする戦略的な開発ツールとして説明している［3］。

TPP を置く意味は、研究者の発想を縛ることではない。むしろ、研究・CMC・非臨床・臨床・薬事・事業開発が同じ製品像を見ながら議論できるようにすることである。初期段階では仮説でよいが、仮説であることと、何を根拠にしているかを明示する。

3.1 TPP の構成要素

TPP は、対象疾患、患者集団、投与経路、用法用量、有効性、安全性、比較対象、製品形態などを整理する。各項目について「最低限必要な水準」と「目標とする水準」を分けて書くと、開発判断の基準として使いやすくなる。表 5 は、仮想の外来用注射剤を例とした記載例である。

表 5　TPP の記載例（仮想の外来用注射剤。実在の製品・案件ではない）

項目	最低限必要な水準	目標とする水準	根拠・未確認事項
適応・対象患者	既存治療で効果不十分な成人患者	既存治療の前段階にある患者へ拡大	患者数の推定は文献ベース。臨床医に確認予定
有効性	主要評価項目で臨床的に意味のある改善	既存治療に対する優越性	非臨床モデルの予測性は限定的
安全性	既存治療と同程度の忍容性	重篤な有害事象の低減	標的の生理機能に関する懸念を評価中
投与経路・頻度	皮下注射、2 週に 1 回	皮下注射、4 週に 1 回、自己注射	曝露データは未取得
製品形態	冷蔵保存のバイアル製剤	冷蔵保存のプレフィルドシリンジ	高濃度化時の粘度・凝集は未評価
比較対象	プラセボ（既存治療への上乗せ）	標準治療との比較	規制上の考え方は当局相談で確認

3.2 TPP を部門横断の共通言語にする

TPP の各項目は、それぞれの専門機能の計画に直接つながる。例えば「4 週に 1 回の自己注射」という目標は、CMC では高濃度製剤と容器の選択、非臨床では投与経路と期間に見合う安全性評価、臨床では投与間隔を検証する試験デザイン、事業開発では差別化の主張へと展開される。

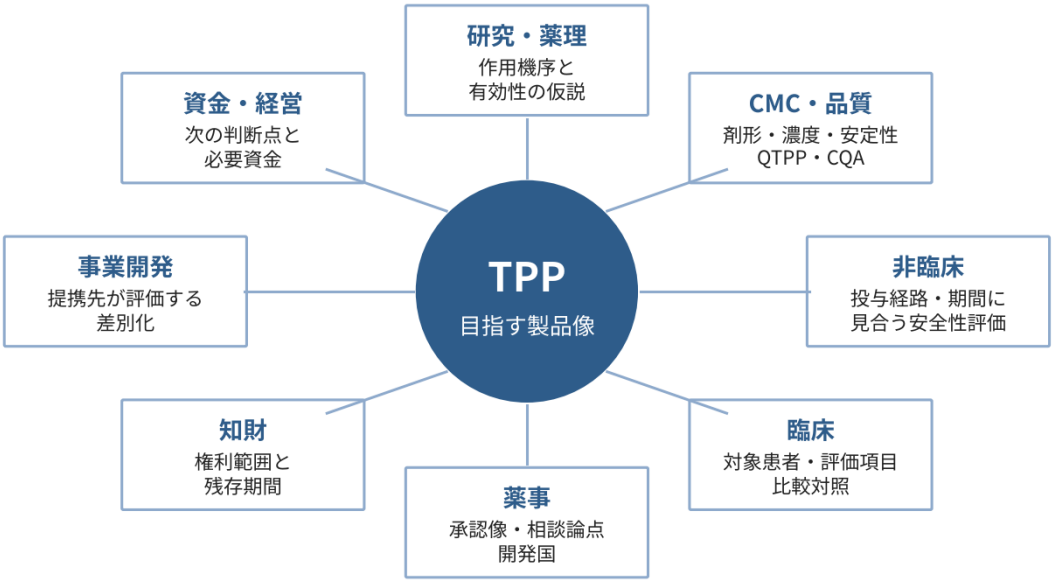


図 3　TPP を中心とした部門横断の連携（JPBSA 作成）

逆に、各部門が TPP を参照せずに計画を作ると、CMC は製造しやすい低濃度製剤を、臨床は投与頻度の少ない試験を、事業開発は自己注射を前提とした市場評価を、それぞれ前提にしてしまうことがある。各部門の計画が出そろってから矛盾に気づくと、修正には時間と費用がかかる。

3.3 TPP と QTPP を区別し、版を管理する

TPP は製品全体の目標像であり、ICH Q8(R2)が示す Quality Target Product Profile（QTPP）とは異なる。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 から導かれる［4］。TPP で定めた投与経路、剤形、保存条件、使用方法は、QTPP と重要品質特性（CQA）の検討の出発点となる。

開発中に新しい知識が得られれば TPP は更新する。重要なのは、各部門が別々のゴールを追わないことである。そのため、TPP には版番号、改訂日、改訂理由、承認者を記録し、変更があった場合には影響を受ける計画を確認する運用を設ける。

TPP の運用で確認すること

- TPP の各項目に、根拠となるデータまたは情報源と、未確認事項が併記されているか
- 最低限必要な水準を下回った場合に、開発を継続するか、方針を変更するかの考え方が共有されているか
- TPP の改訂が、開発計画、予算、規制相談の論点、提携資料に反映される仕組みがあるか
- 社外に提示する TPP（提携先・投資家向け）と社内用 TPP の内容が整合しているか

第 4 章　知的財産を事業の骨格にする

創薬スタートアップにとって知的財産は、単なる防御手段ではなく事業資産である。投資家や提携先は、科学的データと同じく、その製品について誰がどの範囲で、どの期間、独占的に事業を行えるかを評価する。知財の状態は、資金調達や提携の条件に直接影響する。

4.1 権利の層を設計する

物質、用途、製剤、製造方法、投与方法、バイオマーカー、プラットフォームなど、どこに競争優位を構築できるかを検討する。図 4 は、医薬品に関係する主な権利の層と、その事業上の意味を整理したものである。



図 4　医薬品に関係する知的財産の層（JPBSA 作成）

特許は属地的な権利であり、開発・販売を予定する国ごとに権利の状況を確認する必要がある［16］。日本では、特許権の存続期間は原則として出願日から 20 年であり、医薬品については、承認取得のために特許発明を実施できなかった期間について、延長登録により最長 5 年の延長が認められる制度がある［18］。いつ、どの層の出願を行うかは、研究成果の公表時期、開発の進捗、残存期間を考慮して計画する。

4.2 大学発シーズの権利を整理する

大学発シーズでは、発明者、大学、TLO、共同研究先などの権利関係を早期に整理する必要がある。会社設立後に権利が使えないことが判明すれば、事業の前提が崩れる。表 6 は、資金を投じる前に確認すべき主な事項である。法的な判断は、弁理士・弁護士等の専門家と行う。

表 6　大学発シーズの権利整理で確認する事項（JPBSA 作成）

確認対象	確認する内容
発明者・権利者	発明者の範囲、職務発明の取扱い、大学と共同研究先の持分
共同研究契約	成果の帰属、実施権、第三者へのライセンスの可否、公表の条件

確認対象	確認する内容
研究資金の条件	公的研究費や企業資金に付随する成果の取扱い、報告義務
試料・データ	MTA 等による入手条件、商業利用の可否、研究データの移管範囲
ライセンス条件	独占・非独占、対象分野・地域、対価（一時金・マイルストーン・ロイヤルティ等）、サブライセンス、開発義務
改良発明	会社設立後の改良発明や大学での継続研究の成果の帰属と利用条件
利益相反	発明者である教員が会社に関与する場合の、所属機関の規程と手続き

4.3 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。Freedom to Operate（FTO）の調査は、実施に関係する他者の特許等を調査・分析する重要な検討である［17］。物質だけでなく、製造方法、送達技術、製剤、評価方法に関係する他者の権利を確認する。

特許の有無だけでなく、残存期間、実施自由度、競合特許、ライセンス条件、改良発明の帰属まで含めて事業設計することが重要である。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、製造工程、製品構成を変更する際に再評価する。

第 5 章　開発可能性を評価する

シーズ評価では、科学的な魅力だけでなく、Developability（開発可能性）を評価する。薬効があっても、製造できない、安定しない、投与できない、安全域が狭い、分析できない、スケールアップできないのであれば、開発リスクは高い。

ICH Q8(R2)は、製品が患者のニーズと意図した性能を満たすよう設計されるべきこと、製品と工程の理解をライフサイクルを通じて更新できることを示している［4］。また、ICH Q11 は原薬の開発と製造について、従来型の手法と、リスクマネジメントと科学的知見をより活用する手法の考え方を示している［7］。創業初期から製品と製造を一体で考える理由がここにある。

5.1 Developability の評価領域

評価項目はモダリティによって異なるが、少なくとも薬理、毒性、PK/PD、製剤、製造、分析、安定性、原材料、供給、規制上の論点を横断的に確認する。表 7 は、評価領域ごとの主な問いである。

表 7　Developability の評価領域と主な問い（JPBSA 作成）

評価領域	主な問い
薬理・PoC	作用機序は検証されているか。データは再現されているか。ヒトへの外挿にどのような限界があるか
安全性	標的の生理機能や類似薬から予想される懸念は何か。適切な動物種・評価系はあるか
PK/PD	目標とする投与経路・頻度で必要な曝露が得られる見込みはあるか
製剤	目標とする剤形・濃度・保存条件を実現できる見込みはあるか
製造	必要な量・品質で製造できるか。委託できる製造先はあるか。スケールアップ上の課題は何か
分析	品質を評価し、ロット間や工程変更前後の差を検出できる分析法を構築できるか
安定性	保存・輸送・使用時に品質が維持されるか。分解・凝集等の懸念はあるか
原材料・供給	重要な原材料の供給元は限られていないか。品質や規制上の要求を満たせるか
規制	先例のない論点はあるか。当局相談で早期に確認すべき事項は何か

5.2 モダリティによって論点は異なる

同じ評価領域でも、モダリティによって重点は変わる。表 8 は代表的な論点の例であり、個々の製品で必要な評価は製品特性と開発段階に応じて専門家と判断する。

表 8　モダリティ別の主な開発可能性の論点（例）

モダリティ	主な論点の例
低分子	物性（溶解性・安定性）、代謝と薬物相互作用、合成経路と出発物質、不純物の管理、結晶形

モダリティ	主な論点の例
抗体・タンパク質	凝集・不均一性、細胞株と培養工程、高濃度製剤の粘度、免疫原性、工程変更時の同等性／同質性
核酸・DDS	配列設計と標的外作用、修飾・送達技術、体内動態、製造スケールと分析法、送達技術の権利
細胞・遺伝子治療	原材料（細胞・ベクター）の品質、製造の再現性、力価試験、出荷までの時間と輸送、長期フォローアップ

抗体等の工程変更に伴う同等性／同質性の評価については、ICH Q5E が原則を示している［10］。細胞・遺伝子治療等にこの考え方を参考にする場合は、適用範囲と製品別の規制上の取扱いを確認する。

5.3 不確実性を優先順位付けする

開発可能性の評価で見つかった不確実性は、すべてを同時に解消する必要はない。図 5 のように、事業価値への影響と、解消に要する時間・費用で整理すると、最初に取り組むべき検証が明確になる。

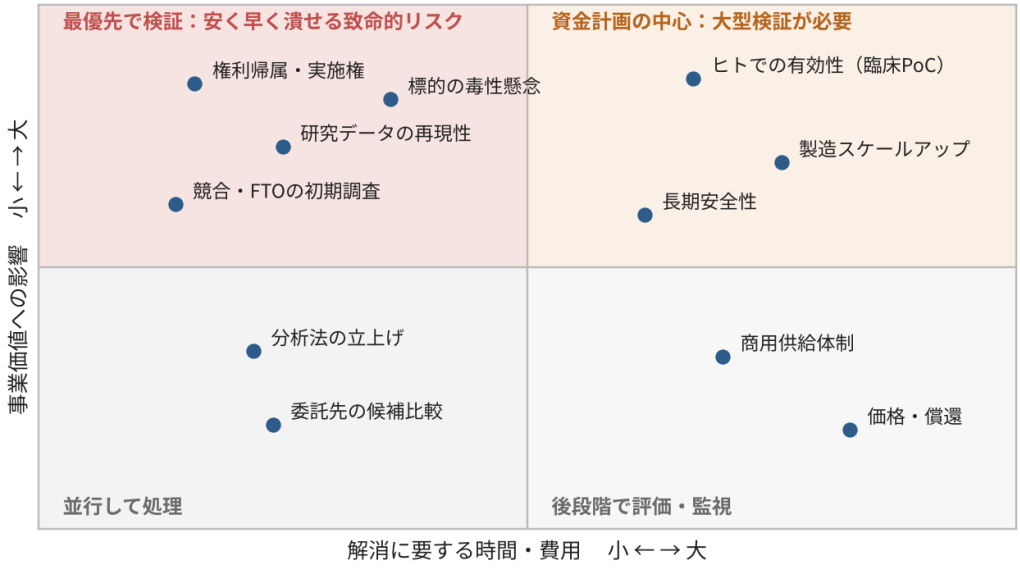


図 5　不確実性の優先順位付けマップ（例示。配置は案件により異なる。JPBSA 作成）

最優先は、事業価値への影響が大きく、比較的少ない時間と費用で検証できる不確実性である。権利帰属、研究データの再現性、標的に関する重大な安全性懸念などがこれに当たることが多い。これらを解消しないまま大型の資金調達や長期の委託契約を結ぶと、後に前提が崩れたときの損失が大きくなる。一方、臨床 PoC のように影響が大きく大型の検証が必要な不確実性は、資金計画の中心に置く。

Go／No-Go 基準を先に決める

各検証について、結果が得られる前に、継続・方針変更・中止の基準を定めておく。例えば「この評価系で一定以上の活性が再現されなければ、候補品の選定をやり直す」といった形である。結果を見た後に基準を都合よく変えることは、自社の判断の信頼性を損なう。

第 6 章　会社を作る前に事業を設計する

法人化の前後で、最低限の事業仮説を一枚にまとめる。対象患者、製品像、科学的根拠、競争優位、知財、開発計画、主要リスク、必要人材、必要資金、次の価値上昇点、想定する提携先・Exit である。本書ではこれを「創薬事業設計図」と呼ぶ。



図 6　創薬事業設計図（Drug Venture Canvas）の構成（JPBSA 作成）

この設計図は固定的な事業計画書ではない。仮説を検証するための地図である。科学的データ、規制当局との対話、競合動向、投資家・製薬企業との対話に応じて更新する。11 の要素は互いに依存しており、一つを変更すると他の要素に影響する。例えば対象患者を絞り込めば、臨床試験の規模と必要資金、競争優位の主張、提携先の候補が変わる。

6.1 事実・仮説・次の検証を分けて書く

設計図の各要素は、「確認できた事実」「未検証の仮説」「次に行う検証」に分けて記載する。表 9 はその記載例である。事実と仮説を混ぜて書くと、投資家や専門家との対話で何が論点なのかが分かりにくくなるだけでなく、自社の判断も楽観的な方向に偏りやすい。

表 9　事実・仮説・次の検証の記載例（仮想事例）

要素	確認できた事実	未検証の仮説	次の検証
対象患者	疾患 X の患者で標的の発現亢進を確認（患者検体）	発現亢進が病態の進行に関与する	疾患モデルでの阻害効果を独立施設で再現
製品像	研究用化合物で経口投与時の活性を確認	1 日 1 回経口投与が可能	候補化合物の体内動態評価

要素	確認できた事実	未検証の仮説	次の検証
知財	物質特許を大学が出願済み	主要国での FTO に大きな障害はない	専門家による FTO 予備調査
提携	製薬企業 2 社と非秘密情報で面談	臨床 PoC 後に提携関心が高まる	提携先が評価するデータの確認

6.2 法人化のタイミングと準備

法人化の時期に唯一の正解はない。公的資金や大学の支援制度を活用して研究を継続し、事業仮説が一定程度検証された時点で法人化する場合もあれば、資金調達や権利の受け皿として早期に法人化する場合もある。いずれの場合も、法人化の前後で表 10 の事項を確認しておくことが望ましい。

表 10　法人化の前後で確認する主な事項（JPBSA 作成）

事項	確認する内容
権利の受け皿	シーズに関する権利を会社がどの条件で利用できるか。ライセンス契約の締結時期と条件
創業者間の合意	役割、意思決定の方法、持分、関与の程度、離脱時の取扱い
資本政策	将来の資金調達と希薄化を見据えた株式・新株予約権の設計
大学との関係	教員の兼業・兼職、利益相反管理、大学施設の利用、共同研究の継続条件
初期資金	法人化から次の資金調達までの費用と、その間に達成すべきこと
記録と文書	研究データ、試料、契約、意思決定を会社に帰属させ、追跡できる状態にする

資本政策や契約の設計は、後から修正することが難しい。特に創業初期の持分設計や権利の取扱いは、将来の資金調達や提携の条件に影響する。個別の判断は、創薬分野の経験を持つ弁護士、弁理士、税理士等の専門家と行う。

6.3 初期成果物は「投資可能で開発可能なプロジェクト」

創薬起業の初期成果物は「会社」ではなく、「投資可能で開発可能なプロジェクト」であると考えると、優先順位が明確になる。投資可能とは、資金を投じることで何の不確実性が解消され、価値がどう変わるかを説明できることである。開発可能とは、製品像、製造、評価、規制の道筋が、少なくとも次の判断点までは描けていることである。

第 7 章　創業チームをどう作るか

創業者が一人ですべてを担うことはできない。初期には Founder／CEO、Scientific Lead に加え、案件に応じて CMC、QA、Regulatory、Clinical、知財、Business Development、Finance の機能が必要になる。ただし、すべてを正社員で採用する必要はない。重要なのは、意思決定を社内に残しながら、必要な専門性へアクセスできることである。

7.1 必要機能は開発段階で変わる

必要な機能とその関与の深さは、開発段階に応じて変化する。図 7 は、主な機能の関与の程度を開発段階別に示した概念図である。例えば、品質保証（QA）や臨床開発は臨床移行の準備段階から関与が深まり、事業開発は提携を検討する段階で中核となる。



図 7　開発段階別に見た主要機能の関与の程度（概念図。案件により異なる。JPBSA 作成）

この図から分かるように、経営と資金調達はすべての段階で中核であり、外部化することはできない。一方、多くの専門機能は、段階に応じて外部専門家やフラクショナル人材、CRO・CDMO との組み合わせで確保できる。採用計画は、次の判断点までに中核となる機能から優先する。

7.2 誰が決め、誰が実行し、誰がレビューするか

取締役、Scientific Advisory Board（SAB）、外部専門家、CRO／CDMO をどう配置するかは、開発ステージに応じて変える。肩書ではなく、誰が何を決め、誰が実行し、誰がレビューするかを明確にする。表 11 はその例である。

表 11　主要な判断の役割分担の例（JPBSA 作成）

判断対象	案の作成・実行	レビュー	最終判断

判断対象	案の作成・実行	レビュー	最終判断
TPP・開発方針	Scientific Lead、臨床・薬事担当	SAB、外部専門家	CEO・取締役会
候補品の選定	研究チーム、CMC 担当	SAB、CMC 専門家	CEO（基準に基づく）
委託先の選定	各機能の担当者	QA、財務	CEO
製造・試験の変更	CMC・非臨床担当	QA、薬事担当	所定の責任者
資金調達・提携	CEO、事業開発担当	取締役会、法務	取締役会

7.3 ガバナンスを小さく始める

小規模な会社であっても、重要な判断が誰の承認で有効になるかを定めておく。取締役会では、科学的進捗だけでなく、資金残高と調達計画、主要リスク、重要な契約、品質上の重大事項を定期的に確認する。

SAB は、科学的な助言を得る場として有効であるが、経営判断を代替するものではない。SAB のメンバーに期待する役割、守秘義務、利益相反、報酬、関与の範囲を明確にする。大学教員が創業者または助言者として関与する場合は、所属機関の兼業・利益相反に関する規程に従う。

第 8 章　CMC・品質・規制を早期に組み込む

創薬スタートアップでは、CMC や品質を「臨床試験直前の仕事」と考えないことが重要である。製造方法や分析法が後から大きく変われば、非臨床・臨床データとの橋渡しや同等性の説明が課題となる。

8.1 段階に応じた品質管理

ICH Q9(R1)は品質リスクマネジメントを、ICH Q10 は製品ライフサイクルを通じた医薬品品質システムと知識管理を位置づけている［5, 6］。これらは商用製造だけの考え方ではなく、開発中の知識を将来へつなぐうえでも重要である。

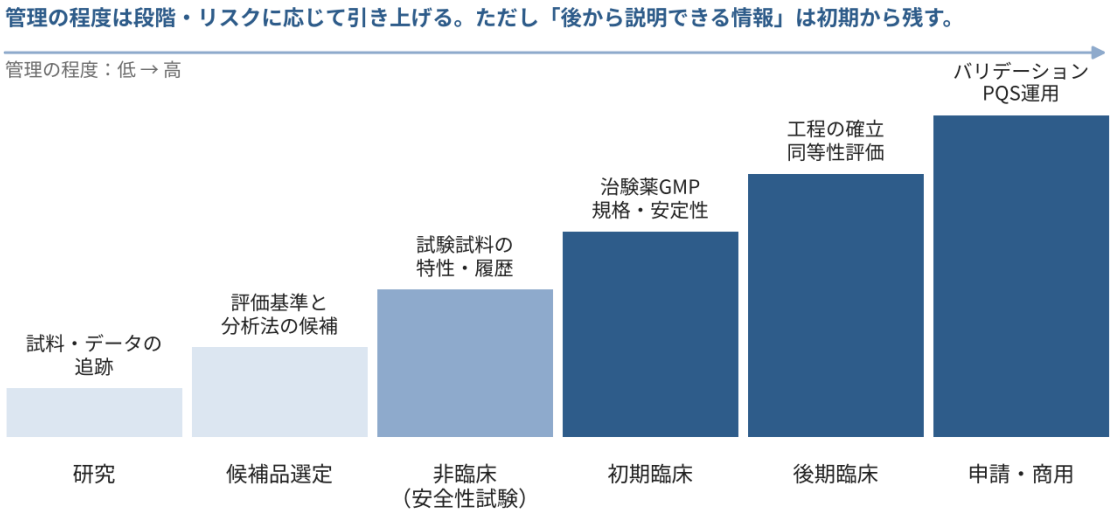


図 8　開発段階に応じた品質管理の考え方（概念図。ICH Q9・Q10 を参考に JPBSA 作成）［5, 6］

すべての研究業務に商用製造と同じ管理を一律に課す必要はない。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。ただし、研究段階から、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しておくことは、後の説明の基盤となる。

8.2 臨床試験開始に必要な情報

FDA は、臨床試験を開始するための治験許可申請（IND）について、動物での薬理・毒性試験、製造に関する情報、臨床試験計画と治験責任医師に関する情報の三つの領域を示している［2］。開発国によって手続きは異なるが、ヒトに初めて投与する前に、非臨床、品質、臨床の情報を一つの説明としてまとめる必要があるという点は共通する。

表 12　臨床試験開始前に整合させる主な情報（FDA の IND 説明を参考に JPBSA 作成）［2, 8］

領域	主な内容	スタートアップで起きやすい課題
非臨床	薬理試験、安全性試験、体内動態。予定する臨床試験の対象・投与経路・期間を支えるデータ	試験に用いた試料と臨床用製品の関係が説明できない
品質・製造	製品の組成、製造方法、規格、安定性、品質管理	分析法や安定性データの準備が遅れ、臨床開始日が先送りになる

領域	主な内容	スタートアップで起きやすい課題
臨床	試験計画、初回投与量の考え方、安全性モニタリング、実施体制	製造可能な量・有効期間と、臨床試験の期間・規模が合わない

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の考え方を示している［8］。製品の種類によっては別のガイドラインや考慮事項が必要になるため、モダリティに応じて専門家が確認する。また、臨床試験の計画段階で質に重要な要因を特定し、参加者の保護とデータの信頼性を確保する考え方は ICH E8(R1)が示している［9］。日本で治験を実施する場合は、治験計画の届出をはじめとする国内の手続きを、最新の公式情報で確認する。

8.3 規制当局との対話を開発計画に組み込む

日本では PMDA が、医薬品の開発に関する対面助言（治験相談等）や、品質・非臨床・臨床を含む各種の相談を設けている［13］。特に、大学・研究機関やベンチャー企業を対象とする RS 戦略相談は、有望なシーズについて実用化までの道筋を明確にすることを目的とし、主に製品候補の選定の最終段階から臨床開発初期（PoC 試験）までを対象としている。一定の要件を満たす場合には、相談手数料の軽減措置がある［12, 14］。

表 13　開発段階と規制当局との対話の例（JPBSA 作成。制度の詳細は PMDA の最新情報で確認する）

開発段階	対話の目的の例	準備する資料の例
研究・起業検討	相談制度の確認、開発の進め方に関する一般的な相談（RS 総合相談等）［11］	製品概要、開発の現状、相談したい事項
候補品選定〜非臨床	品質・非臨床試験の計画、臨床移行までの道筋の確認（RS 戦略相談等）［12］	TPP、品質・非臨床データ、試験計画案、自社の考え方
臨床移行の準備	初回臨床試験の計画、非臨床データの十分性の確認（治験相談等）［13］	臨床試験計画案、非臨床試験の結果、品質情報
初期臨床以降	後期試験の設計、評価項目、申請に向けたデータパッケージ	臨床試験結果、開発計画、論点と自社の提案

規制当局との対話は、単に「答えをもらう」場ではなく、開発上の論点と自社の考えを整理して提示する場として活用する。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。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。相談を実施したこと自体は、承認や計画全体の妥当性を保証するものではない。

第 9 章　資金調達をマイルストーンから逆算する

創薬では、必要資金を年間予算だけで考えると危険である。次の Value Inflection Point（価値上昇点）までに何を証明し、そのためにどの実験・製造・規制対応・臨床準備が必要かを積み上げる。

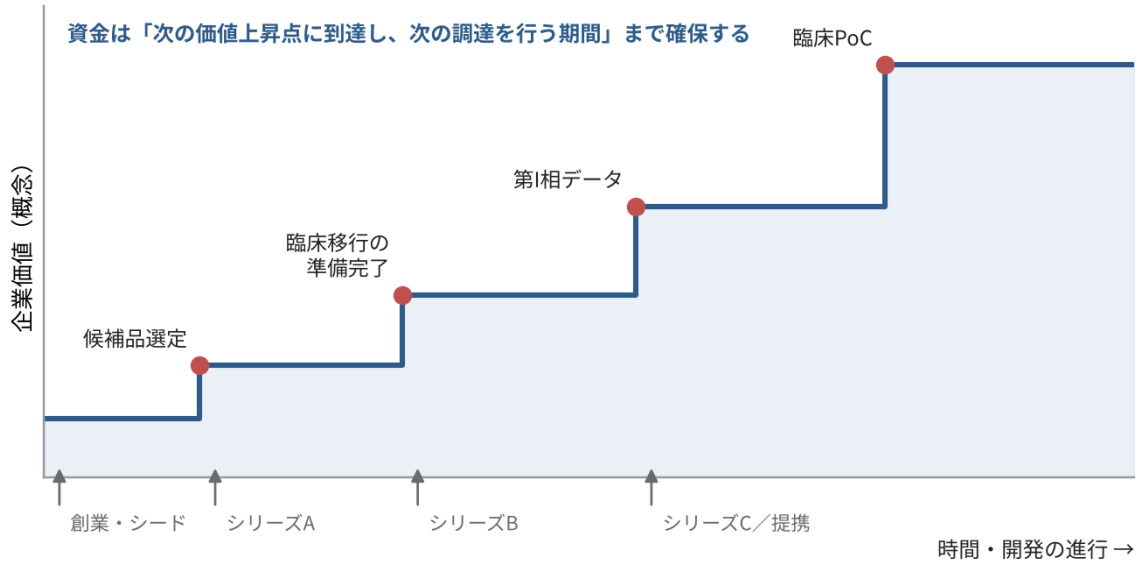


図 9　価値上昇点と資金調達の関係（概念図。数値・時期は案件により異なる。JPBSA 作成）

9.1 価値上昇点を定義する

例えば、候補品選定、臨床移行の準備完了（IND／治験開始が可能な状態）、First-in-Human、第 I 相データ、臨床 PoC などが価値上昇点となり得る。価値上昇点とは、単に作業が完了した時点ではなく、投資家や提携先の評価を変える証拠が得られた時点である。

価値上昇点に到達しても、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、資金市場の環境、投資家や提携候補の判断が影響する。したがって、価値上昇点ごとに、到達した場合と到達できなかった場合の両方の計画を持つ。

9.2 必要資金を積み上げる

必要資金は、次の価値上昇点までの作業パッケージごとに積み上げる。表 14 はその構成例である。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。

表 14　必要資金の積み上げの構成例（JPBSA 作成）

区分	内容の例	見積りの留意点
研究・評価	薬理試験、候補化合物の最適化、評価系の構築	再試験・追加試験の可能性を見込む
CMC	製造法開発、分析法開発、治験薬製造、安定性試験	委託先の空き状況・リードタイム、原材料の調達期間
非臨床	安全性試験、体内動態試験	試験に用いる試料の製造時期との整合

区分	内容の例	見積りの留意点
規制・臨床準備	当局相談、臨床試験計画、CRO 選定	相談の準備期間、手数料、資料作成費
知財・法務	出願・権利化、FTO 調査、契約	国数の増加に伴う費用の増加
人件費・固定費	役員・従業員、外部専門家、事務所、管理費	採用の遅れ・前倒しの影響
予備費・調達期間	遅延・追加作業への備え、次の資金調達に要する期間の運転資金	調達活動の開始から入金までの期間を考慮

考え方を式で示すと、必要資金＝（次の価値上昇点までの作業パッケージの費用）＋（固定費×その期間）＋（遅延・追加作業への予備費）＋（次回の資金調達を完了するまでの運転資金）となる。手元資金がなくなる直前を、次の資金調達の開始時点にしてはならない。

9.3 資金源を組み合わせる

どこまで自社資金で進め、どこから投資家・製薬企業・公的資金を組み合わせるかを決める。表 15 に主な資金源の特徴を示す。資金源ごとに、資金の使途、報告義務、成果の帰属、将来の事業選択への影響が異なる。

表 15　主な資金源の特徴と留意点（JPBSA 作成）

資金源	特徴	留意点
エクイティ（VC・CVC 等）	大きな金額を調達でき、成長に向けた支援を得られる場合がある	持分の希薄化、投資家の期待する Exit との整合
公的資金・助成金	研究開発の初期段階を支える。持分の希薄化を伴わない	採択・入金の時期、使途・報告の制約、成果の取扱い
提携収入	一時金・マイルストーン等。提携先の評価が企業価値の裏付けとなる	権利の一部を手放す。開発の主導権・範囲の調整
融資・その他	持分の希薄化を伴わない	研究開発段階では返済原資の説明が難しい場合がある

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資金計画に入れる。期待段階の資金を前提に支出を約束すると、入金の遅れが資金繰りを直撃する。

9.4 資金調達資料に示すこと

資金調達資料は科学の説明だけでは足りない。資金によって何の不確実性が解消され、企業価値がどう変わるのかを示す必要がある。投資家が確認するのは、主に次の点である。

- 対象患者と未充足ニーズ、TPP、既存治療・競合品に対する差別化
- 科学的根拠と、その限界・未検証の仮説
- 知的財産の状態（権利の層、帰属、残存期間、FTO）
- 次の価値上昇点の定義、到達に必要な作業・期間・資金、到達できなかった場合の計画

- チームと外部の専門家体制、意思決定の仕組み
- 想定する提携・Exit の選択肢と、その根拠

望ましい結果だけを強調し、未解決事項を隠すと、デューデリジェンスでの信頼を損ない、後の交渉を難しくする。不確実性を明示し、それをどの順番で、どの資金で解消するかを説明することが、創薬スタートアップの資金調達資料の中心となる。

第 10 章　外部資源を使うバーチャル型組織

創薬スタートアップは、研究施設、製造設備、臨床組織をすべて保有する必要はない。CRO、CDMO、コンサルタント、大学、病院、専門家を組み合わせることで、固定費を抑えながら高度な機能へアクセスできる。WP-01 では、このような組織形態を「バーチャル製薬企業」として紹介した。

ただし、外注は責任の外注ではない。開発戦略、ベンダー選定、仕様、品質、データ、知識、意思決定をスポンサー側で統合する能力が必要である。

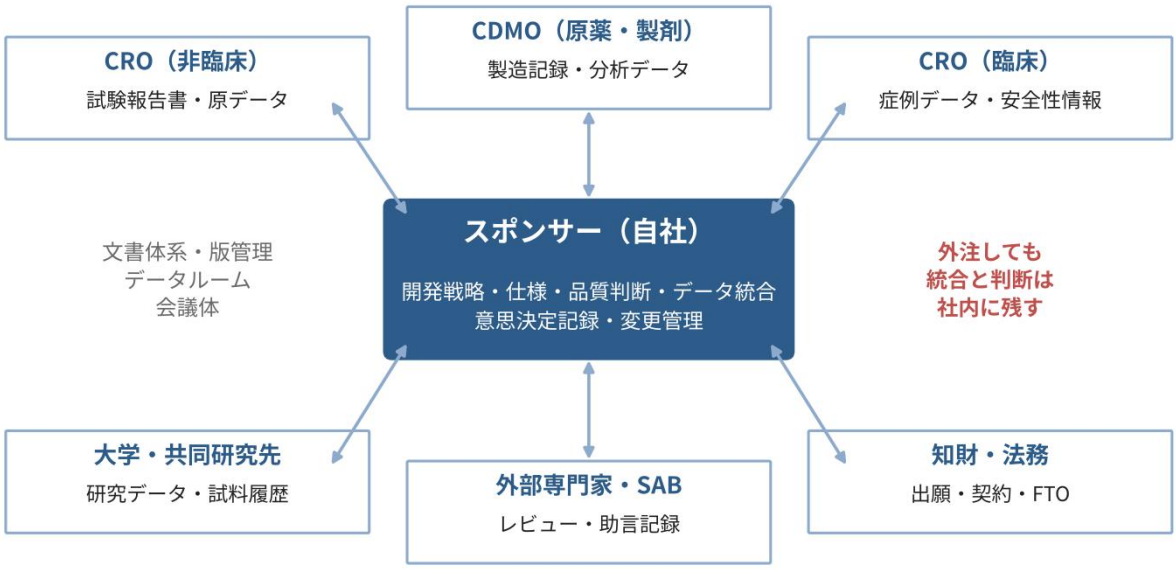


図 10　バーチャル型組織における情報の流れ（JPBSA 作成）

10.1 内製すべき機能と外部化できる機能

表 16　内製すべき機能と外部化できる機能の例（JPBSA 作成）

社内に残すべき機能	外部化できる機能の例
製品戦略・TPP・開発の優先順位の決定	試験の実施（非臨床試験、臨床試験の運営）
委託先の選定と、委託仕様・成果物の評価	原薬・製剤の製造、分析試験
データの受領・統合・解釈と、意思決定の記録	規制関連文書の作成支援、当局相談の準備支援
品質上の重大事項の判断と変更管理	特許出願・調査、契約書の作成
資金計画と資金調達、提携交渉の主導	専門領域の助言（フラクショナル人材・SAB）

10.2 委託先管理の基盤を整える

契約組織が増えるほど、情報が分散しやすい。文書体系、会議体、意思決定記録、データ保管、変更管理を早期に整えることが重要となる。ICH Q10 は、外部委託業務について、委託先の適格性評価、書面による責任分担、実績の監視・レビュー等を示している［6］。

- 文書体系：計画書、仕様書、報告書、契約書を一つの索引で管理し、版番号と承認状況を付ける

- 会議体：委託先ごとの定例会議と、社内の横断レビュー会議を分ける。他領域へ影響する変更は横断会議で扱う
- データ保管：報告書だけでなく原データへのアクセス方法を契約で定め、社内のデータルームに保管する
- 変更管理：製造・試験の変更は、影響する領域を列挙し、所定の責任者の承認を得てから実施する
- 引継ぎ：担当者や委託先が変わっても、製品知識が会社に残るよう、判断の経緯を記録する

10.3 委託先を選ぶ基準

表 17　CRO・CDMO の選定で確認する観点（JPBSA 作成）

観点	確認する内容
技術・経験	同じモダリティ・開発段階での実績。担当予定者の経験
品質体制	品質システム、監査の受入れ、逸脱・変更時の連絡体制
データ・記録	原データ・記録へのアクセス、保管期間、契約終了時の返還
キャパシティ	着手可能な時期、リードタイム、将来のスケールアップへの対応
契約条件	費用と支払条件、再委託、知的財産の帰属、技術移管への協力
コミュニケーション	報告の頻度と形式、問題発生時の通知、言語・時差

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。

第 11 章　提携・ライセンス・Exit を設計する

創薬スタートアップは、必ずしも承認・販売まで単独で進む必要はない。共同開発、地域ライセンス、グローバルライセンス、M&A、IPO、自社販売など複数の出口がある。

出口は開発後に考えるのではなく、初期から仮説を置く。想定する相手が何を評価するかによって、必要なデータパッケージ、知財、製造体制、臨床戦略が変わるからである。ただし、早すぎる Exit 前提は事業の選択肢を狭める。

11.1 事業化の選択肢を比較する

図 11 は、主な事業化の選択肢を、自社が負担する開発範囲・資金・実行リスクと、自社が保持する価値・意思決定権の二つの軸で整理した概念図である。自社が担う範囲を広げるほど、保持できる価値は大きくなり得るが、必要な資金と組織能力、失敗した場合の影響も大きくなる。

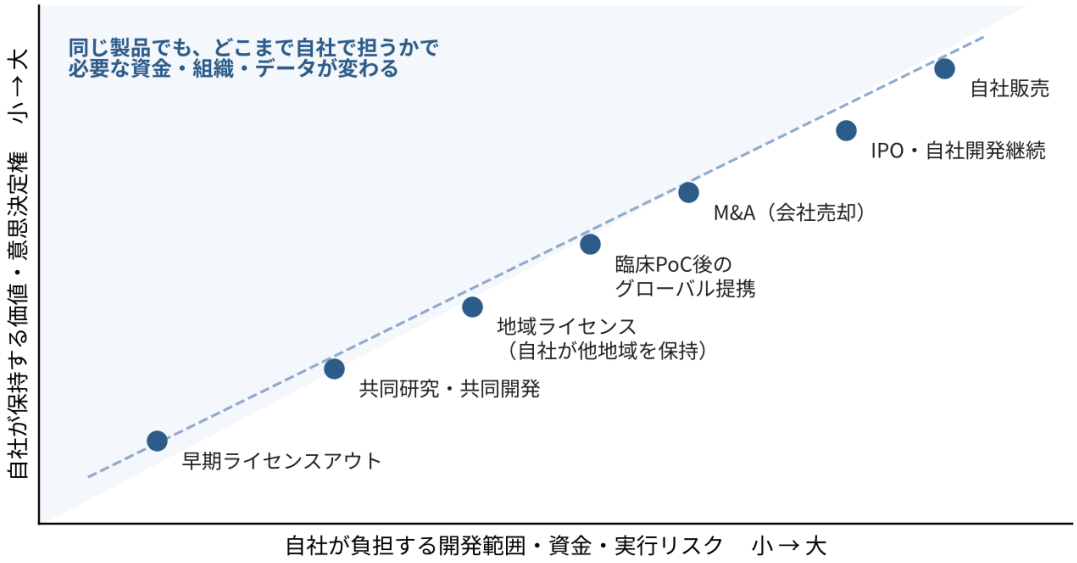


図 11　創薬スタートアップの事業化オプション（概念図。JPBSA 作成）

表 18　主な事業化の選択肢の比較（JPBSA 作成）

選択肢	向いている状況の例	利点	留意点
早期ライセンスアウト	自社で開発を進める資金・組織が限られる	早期の資金化、開発負担の移転	保持できる価値が限られる。開発の主導権を失う
共同開発	提携先の能力（臨床・製造等）が必要	負担とリスクの分担	意思決定の調整、データ・権利の取扱い
地域ライセンス	地域ごとに開発・販売能力が異なる	一部地域の権利を保持できる	地域間の開発計画・供給の整合
M&A	買い手にとって戦略的価値が明確	株主にとっての出口が明確	買い手の評価基準に合ったデータが必要
IPO・自社開発継続	複数のパイプライン、長期の資金調達力	価値と意思決定権を保持	上場維持の負担、長期の資金需要

11.2 提携先が評価するもの

提携先の評価は、科学的な魅力だけでは決まらない。提携先は、自社のポートフォリオ戦略との適合、差別化、データの質と再現性、知財の強さと残存期間、製造の実現性、規制上の道筋、開発費用と期間を総合的に評価する。

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。秘密情報の開示は秘密保持契約と社内の権限に従い、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・組織の資料を分類し、各資料に責任者、版番号、確定・暫定の区別を付ける。

11.3 Build／Partner／License を再評価する

複数の戦略オプションを維持しながら、価値上昇点ごとに Build／Partner／License を再評価する。図 12 は、その判断の枠組みである。資金、組織能力、提携条件の三つの問いへの回答を組み合わせて選択肢を検討する。

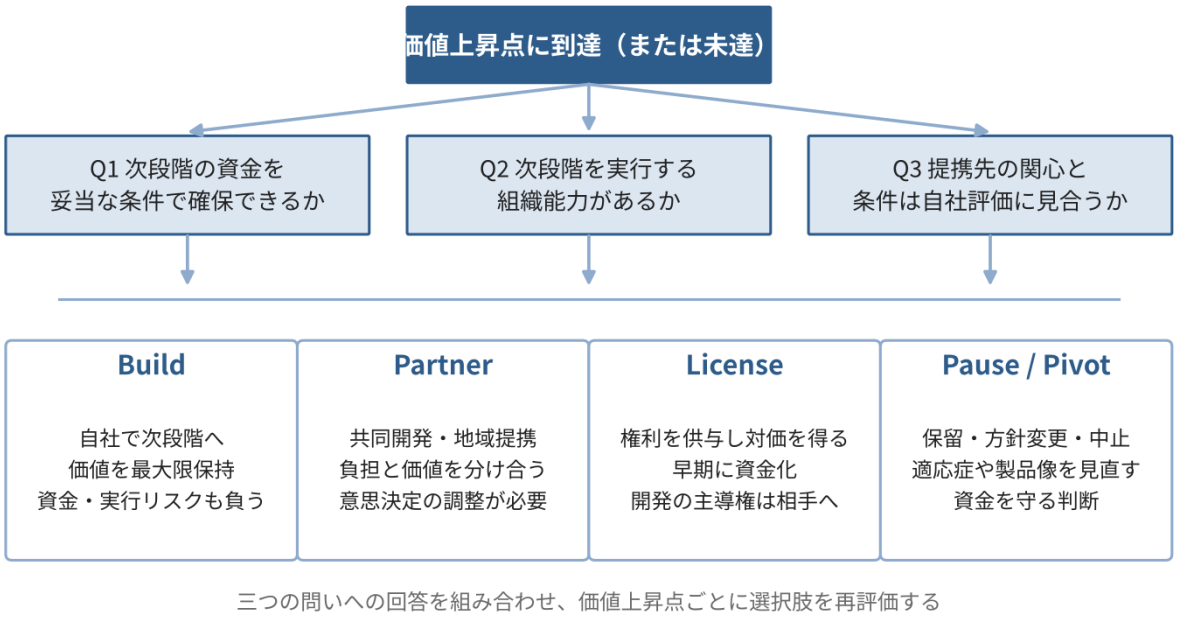


図 12　価値上昇点ごとの Build／Partner／License 判断（JPBSA 作成）

11.4 ライセンス契約の主な条件

ライセンス契約では、対価の金額だけでなく、権利の範囲や開発義務、終了時の取扱いが事業の将来を左右する。表 19 は主な検討項目である。契約の検討は、知財、CMC、薬事、事業の各担当者がそれぞれの観点から同じ契約案を評価し、法務専門家と確認する。

表 19　ライセンス・提携契約の主な検討項目（JPBSA 作成）

項目	検討する内容
対象・範囲	対象製品・技術、適応症（分野）、地域、独占・非独占、サブライセンスの可否

項目	検討する内容
対価	契約一時金、開発・販売マイルストーン、ロイヤルティ、費用負担の分担
開発義務	提携先の開発努力義務、開発計画の共有、進捗報告
意思決定	共同委員会の構成、重要な判断の権限、意見が分かれた場合の手続き
データ・技術	データの利用範囲、技術移管、製造・分析の詳細情報へのアクセス
知的財産	改良発明の帰属、出願・維持の責任と費用、権利行使
終了時の取扱い	解約条件、権利・データ・試料の返還、開発が中止された場合の取扱い

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。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association |

第 12 章　創薬スタートアップの実行ロードマップ

これまでの章で示した要素を、実行の順番として整理する。図 13 は、四つの段階と主な活動の流れを示したものである。各段階の境目では、経営会議で継続・変更・保留を判断する。

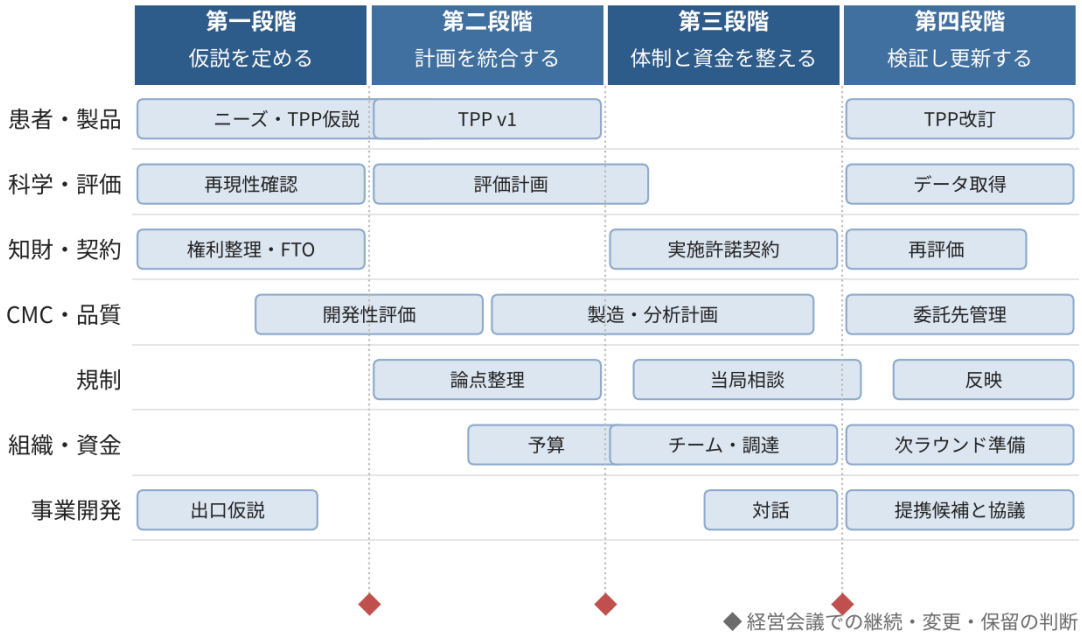


図 13　創薬スタートアップの実行ロードマップ（JPBSA 作成）

12.1 四つの段階

表 20　実行ロードマップの四つの段階（JPBSA 作成）

段階	取り組むこと	段階の終わりに確認する成果物
第一段階 仮説を定める	患者・疾患と製品仮説を定め、シーズの科学的・知財的・開発的評価を行う	TPP 仮説、不確実性マップ、権利関係の整理結果、事業設計図 v1
第二段階 計画を統合する	TPP、開発計画、CMC・非臨床計画、規制戦略、予算を統合する	統合開発計画、資金計画（基本・遅延シナリオ）、規制上の論点一覧
第三段階 体制と資金を整える	コアチームと外部専門家を組み、次の価値上昇点までの資金を確保する	役割分担と決裁権限、主要委託契約、資金調達の完了
第四段階 検証し更新する	データを取得しながら TPP と事業仮説を更新し、当局・投資家・提携候補との対話を進める	価値上昇点の到達判断、TPP 改訂版、次段階の選択（Build／Partner／License）

12.2 仮想事例　大学発の低分子シーズ

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ではない。ある大学の研究室が、線維化疾患に関与する新しい標的を見いだし、研究用化合物で疾患モデルにおける効果を確認した。研究者は会社を設立し、すぐに資金調達を始めたいと考えている。

第一段階では、まず対象患者を検討した。線維化疾患は多岐にわたるため、臨床医との対話を通じて、既存治療の限界が明確で、効果を評価する指標があり、臨床試験の実施施設を確保しやすい疾患を最初の適応症の候補とした。並行して、大学の知財部門と、物質特許の出願状況、共同研究先の持分、会社へのライセンス条件を確認した。不確実性マップでは、疾患モデルでの効果の再現性と、標的の阻害に伴う安全性懸念を最優先の検証項目とした。

第二段階では、1 日 1 回の経口投与を目標とする TPP を置き、候補化合物の物性と体内動態、合成経路のスケールアップの見通しを評価する計画を立てた。規制上の論点を整理し、RS 戦略相談の活用を含めて、非臨床試験の計画について当局の見解を確認する時期を定めた。資金計画では、候補品選定までと、臨床移行の準備完了までの二つの価値上昇点を設定した。

第三段階では、CEO と Scientific Lead をコアチームとし、CMC と薬事は経験のある外部専門家をフラクショナルに起用した。候補品選定までの資金は、公的資金とシード投資の組合せで確保し、助成金は採択が確定するまで支出計画に含めなかった。

この事例の到達点は、会社の設立や資金調達そのものではない。最初の価値上昇点で、候補品を選定してさらに開発を進めるか、適応症を見直すか、早期の提携を模索するかを、根拠をもって判断できる状態を作ることである。

12.3 よくある失敗パターンと予防策

表 21　創薬スタートアップで起きやすい失敗パターン（JPBSA 作成）

失敗パターン	兆候	予防策
技術先行	対象患者・製品像を聞かれると複数の可能性を挙げる	最初の適応症を選び、TPP を 1 枚にまとめる
権利の未整理	大学・共同研究先との契約内容を把握していない	資金調達前に権利帰属・ライセンス条件を確定する
CMC の後回し	研究用試料の製造履歴が記録されていない	開発可能性評価に CMC 専門家を初期から加える
資金計画の楽観	助成金・提携収入を確定前から支出計画に含めている	確定・期待段階を分け、遅延シナリオを作る
外注への過度の依存	報告書の結論を自社で評価できない	成果物の受領・評価とデータ統合の機能を社内に置く
出口の固定	特定の提携先・Exit だけを前提に計画している	価値上昇点ごとに複数の選択肢を再評価する
判断基準の後付け	結果を見てから継続の基準を決めている	検証の前に Go／No-Go 基準を記録する

創薬スタートアップの経営とは、不確実性をゼロにすることではない。最も企業価値に影響する不確実性から順番に減らし、次の意思決定へ進めることである。

Conclusion

創薬スタートアップは、技術を法人の中に入れれば生まれるものではない。患者価値を起点に製品像を描き、科学、知財、CMC、品質、非臨床、臨床、規制、人材、資金、事業開発を一つの構造として設計することで初めて、持続可能な創薬事業となる。

会社を作る前に、創薬プロジェクトを作る。資金を集める前に、価値上昇点を決める。専門家を集める前に、必要な意思決定を明らかにする。そして、出口を考えながらも、複数の選択肢を残す。

これらは、いずれも WP-01 で示した「ヒト・モノ・カネ・規制・品質」をつなぐ薬業支援の考え方を、一つの創薬事業の設計に適用したものである。JPBSA は、このような創薬事業化を支える人材・知識・ネットワークを育て、学習から実践へつなげることを目指す。

付録 A　創業前チェックリスト

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。

領域	確認する問い	評価	根拠・担当・期限
患者・製品	対象患者、未充足ニーズ、TPP が言語化され、根拠と未確認事項が分けられているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
科学	作用機序と PoC、データの再現性、主要な技術的不確実性が整理されているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
知財	権利帰属、特許戦略、FTO、ライセンス条件、改良発明の取扱いを確認したか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
開発可能性	製造可能性、分析、安定性、原材料、安全性上の懸念を横断的に評価したか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
CMC・品質	試料とデータの履歴を追跡できるか。変更時に比較できる情報を残しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
非臨床・臨床	次の意思決定に必要なデータと、Go／No-Go 基準が明確か	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
規制	主要な規制上の論点と、当局相談の目的・時期が整理されているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
チーム	必要機能、責任者、決裁権限、外部専門家の役割が明確か	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
資金	次の価値上昇点までの必要資金を積み上げ、遅延シナリオを作成したか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
事業開発	想定する提携先・Exit の選択肢と、必要なデータパッケージを考えているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
ガバナンス	意思決定、文書、データ、変更管理、利益相反管理の仕組みがあるか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：

付録 B　TPP 記入テンプレート

各項目について、最低限必要な水準と目標とする水準を分けて記入する。根拠欄には、データまたは情報源を記し、未確認の場合はその旨と確認方法を記す。

TPP（版番号：　　改訂日：　　承認者：　　）

項目	最低限必要な水準	目標とする水準	根拠・未確認事項
適応・対象患者			
有効性（主要評価項目）			
安全性・忍容性			
投与経路・用法用量			
剤形・保存条件			
比較対象・位置づけ			
使用場面・使用者			
差別化のポイント			

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。
QTPP	Quality Target Product Profile。製品の品質特性について目指す姿。ICH Q8(R2)の概念であり、TPP とは区別する。
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。
CMC	Chemistry, Manufacturing and Controls。製品の特性、製造、管理に関わる領域。
Developability	開発可能性。薬効に加え、製造・分析・安定性・安全域・供給等の観点から医薬品として開発できるか。
Value Inflection Point	価値上昇点。投資家や提携先の評価を変える証拠が得られる開発上の到達点。
FTO	Freedom to Operate。予定する製品・工程を、他者の権利との関係で実施できるかの検討。
IND	Investigational New Drug Application。米国で臨床試験を開始するために FDA へ提出する申請。
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。
SAB	Scientific Advisory Board。科学的助言を行う外部有識者の会議体。経営判断を代替しない。
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。
創薬事業設計図	本書の説明用語。対象患者から提携・Exit 仮説までの 11 要素を一枚にまとめた事業仮説。

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、概念図および記入様式は、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 17 日。

[1] 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

[2] FDA. Investigational New Drug (IND) Application. 現行ウェブページ.
参照箇所：IND に含める情報（動物薬理・毒性、製造情報、臨床計画・治験責任医師）。
https://www.fda.gov/drugs/types-applications/investigational-new-drug-ind-application

[3] FDA. Draft Guidance for Industry and Review Staff on Target Product Profile—A Strategic Development Process Tool; Availability. Federal Register, Vol. 72, No. 61, 2007 年 3 月 30 日.
参照箇所：TPP の目的と位置づけ（任意の要約文書、目標とする添付文書の考え方に沿った開発の整理）。
https://www.govinfo.gov/content/pkg/FR-2007-03-30/pdf/E7-5949.pdf

[4] 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。
https://www.fda.gov/media/71535/download

[5] 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。
https://www.fda.gov/media/167721/download

[6] 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、知識管理。
https://database.ich.org/sites/default/files/Q10_Guideline.pdf

[7] ICH / FDA. Q11 Development and Manufacture of Drug Substances. FDA 版 2012 年 11 月.
参照箇所：第 III 章 A.3 開発の手法（従来型と、より進んだ手法）。
https://www.fda.gov/media/80909/download

[8] 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

[9] 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、質に重要な要因。
https://www.ema.europa.eu/en/scientific-guidelines/ich-e8-general-considerations-clinical-studies

[10] 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

[11] PMDA. RS 総合相談. 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

[12] 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

[13] PMDA. 医薬品・医薬部外品の相談業務について. 現行ウェブページ.
参照箇所：新医薬品の治験相談等をはじめとする対面助言・事前面談の区分。
https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/consultations/0017.html

[14] PMDA（松本潤）. 再生医療等製品の早期実用化に向けた課題と将来展望～審査・相談の最前線から～. 第 24 回日本再生医療学会総会, 2025 年 3 月 22 日.
参照箇所：RS 戦略相談の対象者・相談範囲、手数料の軽減要件（手数料 1/10）。
https://www.pmda.go.jp/files/000274702.pdf

[15] BIO, Informa Pharma Intelligence, QLS Advisors. Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011–2020. 2021 年 2 月.
参照箇所：全疾患の段階移行確率（第 I 相→第 II 相 52.0%、第 II 相→第 III 相 28.9%、第 III 相→申請 57.8%、申請→承認 90.6%）、第 I 相からの承認到達率 7.9%、平均期間 10.5 年。
https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011_2020.pdf

[16] 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

[17] 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

[18] 特許庁. 特許・実用新案審査基準 第 IX 部 第 2 章 医薬品等の特許権の存続期間の延長. 現行ウェブページ.
参照箇所：医薬品等の特許権の存続期間の延長登録（延長は 5 年が限度）。
https://www.jpo.go.jp/system/laws/rule/guideline/patent/tukujitu_kijun/ht/09_0200.html

注：図表は、公的資料の考え方を参考に JPBSA が独自に再構成した概念図であり、原資料の図を転載したものではない。図 1 の数値は文献［15］の公表値に基づく。

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（本書）**

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

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association |

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-02

版番号：Version 1.0

発行年月：2026 年 10 月

関連文書：WP-01『創薬スタートアップのための薬業支援』Version 1.2

© 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係する登録商標です。

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、知的財産、税務、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。本書に記載した制度・手続き・数値は作成時点の公開情報に基づくものであり、利用に当たっては最新の公式情報を確認してください。本書の仮想事例は説明のためのものであり、実在の企業・案件を示すものではありません。