JPBSA WHITE PAPER
WP-03

Drug Architecture

創薬構造設計入門

— 医薬品を「発見」から「設計」へ —

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

創薬は、候補物質を発見すれば終わるものではない。患者に届ける医薬品として成立させるためには対象疾患、患者、Target Product Profile（TPP）、作用機序、モダリティ、製剤・DDS、製造工程、品質特性、非臨床、臨床、薬事、知的財産、事業モデルを相互に整合させる必要がある。

本書では、この全体を一つの構造として捉え、上流の患者価値から下流の製造・品質・承認・事業化までをつなぐ考え方を「Drug Architecture（創薬構造設計）」と呼ぶ。

WP-01『創薬スタートアップのための薬業支援』は、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。WP-02『創薬スタートアップの作り方』は、一つの創薬事業をどのような順番と判断で組み立てるかを示した。WP-03 では、その中心にある「医薬品そのものの設計」に焦点を当て、各専門領域の判断がどのように依存し合い、どこを変えると何に波及するのかを構造として示す。

Drug Architecture は、特定の規制用語や既存ガイドラインの名称ではない。JPBSA が創薬事業化を体系的に理解するために用いる実務的な概念である。その基盤には、ICH Q8(R2)の製剤開発と品質の作り込み（Quality by Design）、ICH Q9(R1)の品質リスクマネジメント、ICH Q10 の医薬品品質システムと知識管理など、既存の国際的な品質原則がある［3］［4］［5］。これらの実施に関する指針や質疑応答集は、PMDA からも公開されている［15］。

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、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、創薬スタートアップの経営者・研究責任者、CMC・品質・薬事・臨床開発の実務者、その支援に関わる専門家、投資家・事業会社の担当者を主な読者とする。第 1 章と第 2 章で「なぜ構造設計が必要か」と「Drug Architecture とは何か」を定義し、第 3 章から第 7 章で「何を設計するのか」を、第 8 章から第 11 章で「どう検証し、どう更新するのか」を、第 12 章で「どう事業価値につなげるのか」を示す。

各章の表・チェックリストは、候補品選定会議、開発戦略会議、当局相談の準備、投資家や提携先との打合せでそのまま使えるように構成した。モダリティ、開発段階、開発国によって必要な判断は異なるため、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　なぜ創薬に「構造設計」が必要なのか **6**
1.1 専門分化が生む「見えない不整合」 6
1.2 新規モダリティで強まる相互依存 6
1.3 「部分最適の積み重ね」から「全体設計」へ 7
第 2 章　Drug Architecture の定義 **8**
2.1 開発計画・プロジェクトマネジメントとの違い 8
2.2 構造を構成する要素 8
2.3 依存関係を可視化する 9
第 3 章　患者・疾患から始める **10**
3.1 患者と疾患を構造化する 10
3.2 技術の新規性と医薬品としての価値を分ける 10
3.3 患者価値から製品特性へ逆算する 11
第 4 章　TPP を創薬構造の中心に置く **12**
4.1 TPP の項目と依存先 12
4.2 TPP は「生きた設計図」である 12
4.3 部門の計画を TPP に揃える 12
第 5 章　モダリティと DDS を選ぶ **14**
5.1 モダリティ選択の評価軸 14
5.2 DDS は製品の中心的な設計要素である 14
5.3 モダリティごとに構造の重心は異なる 14
第 6 章　品質を後付けにしない **16**
6.1 後付けの品質が生む手戻り 16
6.2 段階に応じて品質の深さを変える 16
6.3 候補品選定から「作り、測り、管理する」を問う 16
第 7 章　QTPP・CQA・Control Strategy **18**
7.1 QTPP から CQA を導く 18
7.2 重要なものをリスクで特定する 18
7.3 管理戦略と分析法を一体で設計する 19
第 8 章　非臨床と臨床を構造に組み込む **20**
8.1 非臨床は「不確実性の解消」として設計する 20
8.2 臨床は TPP の価値を証明する設計である 20
8.3 CMC と臨床の変更を構造の中で評価する 20
第 9 章　規制戦略を出口から逆算する **22**
9.1 承認像を仮置きする 22
9.2 当局相談では仮説と論点を示す 22
9.3 規制上の論点の波及を可視化する 23
第 10 章　知識管理とリスクベース意思決定 **24**
10.1 分散しやすい知識を統合する 24
10.2 構造を共通言語にする 24
10.3 リスクに基づいて優先順位を決める 25
第 11 章　ライフサイクルで構造を更新する **26**
11.1 段階ごとに構造更新の焦点は変わる 26

11.2 変更を避けるのではなく、影響を評価する……26
11.3 承認後の変更管理まで見通す……27
第 12 章　Drug Architecture を事業価値につなげる……28
12.1 5 つの成立条件を同時に見る……28
12.2 仮想事例　肝疾患を対象とする核酸医薬……28
12.3 よくある構造上の失敗パターンと予防策……29
Conclusion……30
付録 A　Drug Architecture チェックリスト……31
付録 B　Drug Architecture マップ記入テンプレート……32
付録 C　主な用語……33
引用文献……34
JPBSA WHITE PAPER SERIES……36
発行情報……37

Executive Summary

創薬開発では、研究、CMC、品質、非臨床、臨床、薬事、事業開発が別々の専門領域として運営されやすい。しかし、医薬品はこれらすべてが整合して初めて成立する。ある領域で合理的な判断が、別の領域では大きな手戻りの原因になることも少なくない。

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［16］。この不確実性のすべてを事前に取り除くことはできない。しかし、設計上の不整合による失敗や遅延は、構造を可視化することで減らすことができる。

Drug Architecture とは、患者価値と目標製品像を起点として、科学、モダリティ、DDS、製造、品質、非臨床、臨床、規制、事業を一つの構造として設計する考え方である。重要なのは、すべてを最初から固定することではない。仮説、依存関係、重要リスクを可視化し、開発で得られる知識に応じて構造を更新することである。

本書の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　患者価値から始める	技術の新規性ではなく、誰に何を届けるかを設計の起点に置く（第 3 章）
2　TPP を構造の中心に置く	TPP を部門横断の「生きた設計図」とし、版を管理して更新する（第 4 章）
3　原薬・製剤・DDS を同時に設計する	モダリティと DDS を、患者価値を満たす一つの製品として選ぶ（第 5 章）
4　品質を後付けにしない	QTPP・CQA・管理戦略を候補品選定の段階から考え始める（第 6・7 章）
5　出口から逆算する	承認像から必要な非臨床・臨床・CMC の証拠を逆算する（第 8・9 章）
6　知識とリスクで意思決定する	判断根拠・変更・失敗を組織知として残し、リスクに基づいて優先順位を決める（第 10 章）
7　構造を更新し、事業価値につなげる	ライフサイクルを通じて構造を更新し、5 つの成立条件を同時に評価する（第 11・12 章）

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

第 1 章　なぜ創薬に「構造設計」が必要なのか

創薬では、一つの意思決定が複数の領域へ波及する。投与経路を変えれば製剤・DDS が変わり、製造工程や品質特性が変わり、非臨床試験や臨床試験の設計にも影響し得る。適応症を変えれば、対象患者、評価項目、比較対象、必要な安全性データ、市場規模、提携先の関心が変わる。

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、初期の設計判断の誤りは、後段階で大きな時間と費用の手戻りとなって現れる。

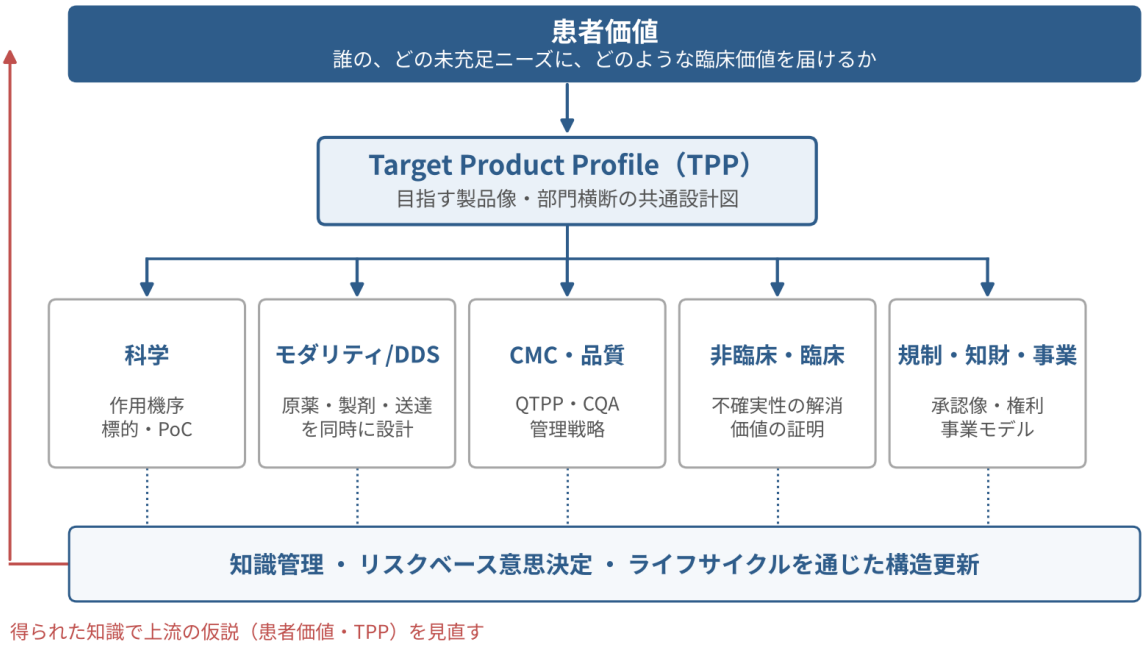


図 1　Drug Architecture の全体像（JPBSA 作成）

1.1 専門分化が生む「見えない不整合」

創薬の各専門領域は高度に分化しており、それぞれに固有の言語、評価基準、時間軸がある。研究は薬効の最大化を、CMC は製造の再現性とスケールを、臨床は評価項目の明確さを、事業開発は市場での差別化を重視する。いずれも正しい観点であるが、全体像を共有しないまま進むと、部門ごとに異なる製品像を前提とした計画が並行して作られる。

例えば、研究段階では静脈内投与で薬効を確認していたが、事業開発は在宅での皮下投与を前提に市場を評価していた。製剤担当は高濃度製剤の安定性に課題があることを把握していたが、その情報が臨床計画に反映されていなかった。こうした不整合は、個々の判断の誤りではなく、構造が共有されていないことから生じる。

1.2 新規モダリティで強まる相互依存

新規モダリティでは、この相互依存性がさらに強い。核酸医薬では核酸そのものだけでなく送達技術が製品性能を左右し、細胞・遺伝子治療では製造工程が製品特性と密接に結び付く。FDA の遺伝子治

療製品の CMC に関するガイダンスも、製造工程、製品の特性解析、分析法に関する情報を治験開始時点から求めている［13］。

低分子医薬品では、原薬の構造が決まれば製剤や製造を比較的独立に検討できる場面も多い。一方、抗体、核酸、細胞、遺伝子治療では「何を作るか」と「どう作るか」を切り離すことが難しい。そのため、上流の設計判断が下流に与える影響を見ながら、全体最適を考える必要がある。

1.3 「部分最適の積み重ね」から「全体設計」へ

したがって、個別機能を順番に処理するだけでは不十分である。表 2 に、機能別に順番に進める従来型の進め方と、構造設計としての進め方の違いを整理する。

表 2　機能別の逐次型開発と構造設計型開発の比較（JPBSA 作成）

観点	機能別の逐次型（例）	構造設計型（Drug Architecture）
起点	見つかった化合物・技術	患者価値と目標製品像（TPP）
CMC・品質の検討時期	候補品決定後、臨床直前に本格化	候補品選定の段階から製造・分析・管理を問う
部門間の情報	成果物の受け渡しが中心	仮説・依存関係・リスクを共有
変更への対応	変更後に影響を個別に調査	変更前に波及範囲を構造上で評価
意思決定の根拠	担当者・担当部門の経験に依存	知識とリスク評価を組織知として記録
投資家・提携先への説明	技術の魅力と個別データ	何が証明され、何が未解決で、次に何を減らすか

構造設計型の進め方は、すべての部門が初期から全力で作業することを意味しない。必要なのは、各部門の判断が他部門のどの前提に依存しているかを明らかにし、その前提が変わったときに誰が影響を受けるかを分かる状態にしておくことである。

第 2 章　Drug Architecture の定義

本書における Drug Architecture とは、「患者に届ける医薬品を成立させるため、患者価値、製品像、科学、モダリティ、製剤・DDS、CMC・品質、非臨床、臨床、規制および事業を相互依存する一つの構造として設計・更新すること」と定義する。

2.1 開発計画・プロジェクトマネジメントとの違い

Drug Architecture は、単なる開発計画ではない。開発計画が「いつ何をするか」を扱うのに対し、構造設計は「なぜその製品像なのか」「各要素がどのように依存しているか」「何を変えると何に影響するか」を扱う。

また、単なる Project Management でもない。Project Management が実行管理を中心とするのに対し、Drug Architecture はプロジェクトそのものの設計原理を扱う。三者は対立するものではなく、Drug Architecture で定めた構造を前提に開発計画を立て、Project Management で実行を管理するという関係にある。

表 3　開発計画・Project Management・Drug Architecture の関係（JPBSA 作成）

観点	開発計画	Project Management	Drug Architecture
主な問い	いつ、何を行うか	計画どおりに進んでいるか	なぜその製品像か。何が何に依存するか
主な成果物	開発スケジュール、試験一覧	進捗・予算・課題の管理表	TPP、依存関係マップ、重要リスク一覧
変更の扱い	日程・資源の再配分	変更管理・課題の追跡	変更の波及範囲と製品像への影響を評価
主な担い手	開発企画・各部門	プロジェクトマネージャー	経営・研究・CMC・薬事・臨床の合議

2.2 構造を構成する要素

Drug Architecture を構成する要素は、患者価値を起点として互いに依存する。表 4 に、各要素で問うべき主な問いと、その要素が依存する上流要素を示す。各要素を独立に検討するのではなく、上流要素の仮説が変わったときに見直す対象として扱う。

表 4　Drug Architecture の構成要素と主な問い（JPBSA 作成）

要素	主な問い	主に依存する要素
患者価値	誰の、どの未充足ニーズに、どの臨床価値を届けるか	疾患理解、既存治療
TPP	適応、投与、有効性、安全性、製品形態の目標は何か	患者価値
科学	作用機序と主要な科学的不確実性は何か	患者価値、TPP
モダリティ・DDS	TPP を満たす分子の形と送達方法は何か	TPP、科学
CMC・品質	どのように作り、測り、管理するか	モダリティ・DDS、TPP

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

要素	主な問い	主に依存する要素
非臨床	臨床へ進むためにどの不確実性を解消するか	科学、モダリティ、CMC
臨床	どの患者で、どの評価項目で価値を証明するか	TPP、非臨床、CMC
規制	どの承認像を目指し、どの証拠が必要か	TPP、臨床、CMC
知財・事業	権利と価値をどのように事業として回収するか	TPP、モダリティ、規制

2.3 依存関係を可視化する

構造設計の実務では、「何を変えると何に影響するか」を一覧で把握しておくことが有効である。表5は、開発中によく起こる変更が各領域に与える影響の大きさを、典型例として示したものである。実際の影響はモダリティや開発段階によって異なるため、各プロジェクトで自らの表を作成し、更新することが望ましい。

表5　開発中の主な変更が各領域に与える影響の例（JPBSA作成）

変更の内容	CMC	品質	非臨床	臨床	薬事	事業
投与経路の変更	大	大	大	大	大	中
剤形・濃度の変更	大	大	中	中	中	中
製造方法の変更	大	大	中	中	大	小
製造所・スケールの変更	大	中	小	小	中	中
原材料・供給元の変更	中	大	小	小	中	小
適応症・対象患者の変更	小	中	中	大	大	大
DDS・送達技術の変更	大	大	大	大	大	大

表の「大」が多い変更は、早期に決めるか、変更の可能性を前提に比較データを残す設計にする必要がある。特に投与経路とDDSは、ほぼすべての領域に波及するため、候補品選定の段階で仮説として明示しておくべき要素である。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

第 3 章　患者・疾患から始める

創薬構造設計の起点は技術ではなく、患者と疾患である。誰に、どのような臨床価値を提供するのかが曖昧なままでは、最適なモダリティ、投与経路、製剤、臨床エンドポイントを選べない。

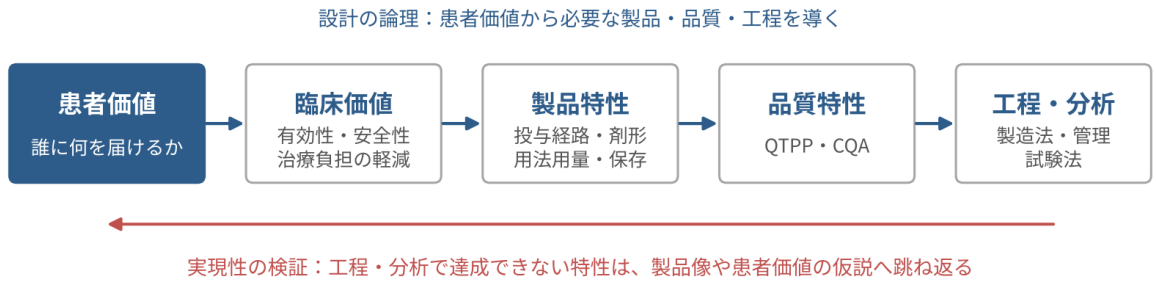


図 2　患者価値から製造工程へ逆算する構造（JPBSA 作成）

3.1 患者と疾患を構造化する

患者集団、疾患ステージ、既存治療、未充足ニーズ、治療負担、投与環境などを整理し、どの価値を優先するかを明確にする。表 6 の観点は、後に続く製品設計・臨床設計・事業評価の前提となる。

表 6　患者・疾患を整理する観点と構造への影響（JPBSA 作成）

観点	整理する内容	主に影響する要素
患者集団	診断基準、重症度、患者数、層別化の可能性	臨床、事業、バイオマーカー
疾患ステージ	どの段階で介入するか。進行速度と可逆性	TPP、評価項目、試験期間
既存治療	標準治療の効果・安全性・利便性の限界	比較対象、差別化、価格
未充足ニーズ	改善すべき臨床上の課題と、その大きさ	TPP、有効性の目標水準
治療負担	投与頻度、通院、併用、副作用管理	投与経路、剤形、DDS
投与環境	病院・在宅・自己注射、保管条件	製剤、安定性、供給

3.2 技術の新規性と医薬品としての価値を分ける

患者価値を起点にすることで、技術の新規性だけではなく「医薬品として何を達成すべきか」を中心に意思決定できる。新しい作用機序や送達技術は重要であるが、それが既存治療に対してどの臨床的改善をもたらすかを示せなければ、開発計画にも資金計画にもつながらない。

研究者の発想を否定するのではなく、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が重要である。WP-02 で示した「シーズから始めない」という考え方は、Drug Architecture においても構造の起点となる。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

3.3 患者価値から製品特性へ逆算する

図 2 に示したように、患者価値が定まると、必要な臨床価値、製品特性、品質特性、工程・分析が順に導かれる。例えば「在宅で月 1 回の自己注射で済む」ことが患者価値の中心であれば、皮下投与可能な濃度、プレフィルドシリンジ等の容器、室温または冷蔵での一定期間の安定性、自己注射を前提とした使用性評価が製品特性として必要になる。

逆方向の確認も欠かせない。工程や分析の段階で達成できないことが判明した特性は、製品特性や患者価値の仮説へ跳ね返る。Drug Architecture は、この双方向の検証を早い段階から繰り返すための枠組みである。

第 4 章　TPP を創薬構造の中心に置く

Target Product Profile（TPP）は、目指す医薬品像を複数部門で共有するための中心的な設計文書となる。FDA は 2007 年に公表したドラフトガイダンスにおいて、TPP を、目標とする添付文書の考え方に沿って開発プログラムを整理する戦略的な開発ツールとして位置づけている［2］。

4.1 TPP の項目と依存先

TPP は、適応症、患者集団、投与経路、用法用量、有効性、安全性、比較対象、製品形態などを仮説として整理する。表 7 に、TPP の主な項目と、各項目が構造の中でどの要素の設計前提になるかを示す。

表 7　TPP の主な項目と構造上の役割（JPBSA 作成）

TPP 項目	記載する内容の例	設計前提となる要素
適応・対象患者	疾患、病期、前治療、バイオマーカー	臨床、事業、規制
有効性	主要評価項目、目標とする効果の大きさ	臨床、非臨床、事業
安全性・忍容性	許容できる有害事象のプロファイル	非臨床、臨床、用量設定
投与経路・用法用量	皮下・静注・経口、投与頻度	モダリティ・DDS、製剤、CMC
剤形・保存条件	濃度、容器、保存温度、有効期間	CMC・品質、供給
比較対象・位置づけ	標準治療、併用、治療ライン	臨床、事業、価格
使用場面・使用者	病院・在宅、医療者・患者自身	製剤、デバイス、使用性評価

4.2 TPP は「生きた設計図」である

TPP は完成品ではない。開発で知識が増えるたびに更新される「生きた設計図」である。各項目には、最低限必要な水準と目標とする水準を分けて記載し、その根拠となるデータまたは情報源と、未確認事項を併記する。

開発中に新しい知識が得られれば、TPP は更新される。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。

4.3 部門の計画を TPP に揃える

TPP を中心に置くと、研究はどの性能を証明すべきか、CMC はどの製品特性を実現すべきか、臨床は何を示すべきか、事業開発は何を価値として説明すべきかを同じ方向へ揃えやすくなる。

また、TPP は品質設計の出発点でもある。ICH Q8(R2)が示す Quality Target Product Profile（QTPP）は、TPP のうち製品の品質特性に関わる目標を具体化したものと位置づけられる［3］。TPP と QTPP を区別しつつ連動させることで、患者価値と品質設計が一本の線でつながる（第 7 章）。

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、CMC 計画、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 と社内用 TPP の内容が整合しているか

第 5 章　モダリティと DDS を選ぶ

同じ標的であっても、低分子、抗体、核酸、タンパク質、細胞、遺伝子治療など、複数のモダリティが考えられる場合がある。選択は科学的実現性だけでなく、送達、投与頻度、製造、品質、免疫原性安全性、コスト、知財、規制経験などを含めて行う。

5.1 モダリティ選択の評価軸

モダリティの選択は、構造全体の形を決める最も影響の大きい判断の一つである。表 8 に評価軸の例を示す。いずれか一つの軸で優れていても、他の軸で致命的な課題があれば医薬品として成立しない。

表 8　モダリティ選択の評価軸の例（JPBSA 作成）

評価軸	確認する点
科学的実現性	標的への作用様式（阻害・分解・補充・発現制御等）を実現できるか
送達・組織選択性	標的組織・細胞に到達できるか。全身曝露をどう管理するか
投与頻度・投与経路	TPP の用法用量・使用場面を満たせるか
製造・品質	製造の再現性、スケール、分析法、規格設定の見通し
安全性・免疫原性	オフターゲット、免疫反応、長期安全性の懸念
コスト・供給	製造原価、原材料の調達、供給体制
知財	物質・送達技術・製法の権利状況と実施自由度
規制経験	同種モダリティの承認例、当局の見解、ガイドラインの整備状況

5.2 DDS は製品の中心的な設計要素である

DDS は単なる補助技術ではない。特に核酸医薬などでは、送達性能が有効性、安全性、投与経路、組織選択性を左右し、製品の中心的な設計要素になり得る。送達技術を変えれば、原薬と製剤の境界、製造工程、規格、非臨床試験の設計、知財の構成が同時に変わる。

Drug Architecture では「原薬を決めてから製剤を考える」のではなく、患者価値を満たす製品として原薬・製剤・DDS を同時に捉える。候補品選定の段階で、原薬単体の性能だけでなく、想定する製剤・DDS との組合せで評価することが望ましい。

5.3 モダリティごとに構造の重心は異なる

どのモダリティでも同じ要素が必要であるが、構造の「重心」はモダリティによって異なる。表 9 に代表的な例を示す。自社のプロジェクトでどこに重心があるかを把握しておくと、限られた資源を配分する優先順位を決めやすい。

表 9　モダリティ別に構造の重心となる論点（例）（JPBSA 作成）

モダリティ	構造の重心となりやすい論点
低分子	薬物動態・安全域、結晶形・塩、製剤化と吸収、合成経路のスケール

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

モダリティ	構造の重心となりやすい論点
抗体・タンパク質	細胞株と製造工程、糖鎖等の品質特性、高濃度製剤、免疫原性、工程変更時の同等性
核酸	送達技術（コンジュゲート・脂質ナノ粒子等）、組織分布、オフターゲット、不純物プロファイル
細胞治療	原料細胞のばらつき、製造工程と製品特性の一体性、力価試験、輸送・保管
遺伝子治療	ベクター製造、空・充填粒子等の品質特性、力価、長期フォローアップ、免疫応答

バイオ医薬品では、製造工程を変更した場合に変更前後の製品の同等性／同質性を評価することがICH Q5E で求められる［9］。製造工程と製品特性の結び付きが強いモダリティほど、早期の工程設計とデータの蓄積が構造全体の安定性を左右する。

第 6 章　品質を後付けにしない

ICH Q8(R2)は製剤開発において、製品と製造工程の理解を深め、品質を設計に組み込む考え方を示している［3］。品質は最終製品の試験だけで保証するものではなく、設計によって作り込むものである。ICH Q11 は原薬についても、従来型の手法と、より体系的な知識に基づく手法（enhanced approach）の考え方を示している［6］。

6.1 後付けの品質が生む手戻り

創薬初期に製造・品質を考えないと、後に製造方法、原材料、分析法、スケール、製造所を変更した際、Comparability や臨床データとの橋渡しが大きな課題となる。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なければ、非臨床試験のやり直しが必要になることもある。

典型的な手戻りの例を挙げる。研究用試料の製造記録が残っておらず、毒性試験に使ったロットの不純物プロファイルを説明できない。分析法が研究室ごとに異なり、ロット間の比較ができない。安定性の評価を後回しにした結果、臨床試験開始直前に保存条件の変更が必要になる。いずれも、初期に少しの記録と設計を加えていれば避けられた可能性がある。

6.2 段階に応じて品質の深さを変える

品質を後付けにしないことは、初期から商業生産と同じ水準の管理を求めることではない。FDA の第 I 相治験薬の CGMP に関するガイダンスは、第 I 相の治験薬製造について、製造環境のハザードを特定し、それに応じた管理を行う柔軟でリスクに基づく考え方を示している［12］。表 10 に、開発段階に応じた CMC・品質の深まりの例を示す。

表 10　開発段階に応じた CMC・品質の深まり（例）（JPBSA 作成）

段階	CMC・品質で行うこと	後段階のために残すもの
研究・候補選定	製造可能性・分析可能性の初期評価、主要な品質リスクの洗い出し	試料の製法・ロット・分析結果の記録
非臨床	毒性試験用ロットの製造、暫定的な規格と分析法、予備的安定性	毒性試験ロットと臨床用製品をつなぐ情報
初期臨床	段階に応じた GMP 製造、規格・分析法の妥当性確認、安定性試験	製法変更時に比較できるデータと保存検体
後期臨床	工程の特性解析、CQA と管理戦略の確立、スケールアップ	申請・承認後変更管理に向けた知識
申請・商業生産	プロセスバリデーション、管理戦略の最終化、ライフサイクル管理	継続的改善と変更管理の基盤

6.3 候補品選定から「作り、測り、管理する」を問う

Drug Architecture では、候補品選定の段階から「将来どのように作り、測り、管理するのか」を問い続ける。候補化合物や候補配列を比較する際に、薬効の強さだけでなく、製造の難易度、分析の可否安定性、不純物の懸念を評価項目に含めることで、後段階での大きな方針転換を減らすことができる。

候補品選定時に確認すること

- 想定する製造方法で、臨床に必要な量と品質を確保できる見通しがあるか
- 主要な品質特性を測定できる分析法の見通しがあるか
- 安定性や凝集・分解など、製品形態を左右する懸念が評価されているか
- 原材料・試薬・送達技術の調達と権利に問題がないか
- 研究段階の試料と、将来の臨床用製品をつなぐ記録が残されているか

第 7 章　QTPP・CQA・Control Strategy

品質設計では、Quality Target Product Profile（QTPP）から、患者の安全性・有効性に関連する重要品質特性（CQA）を考え、それに影響する物質特性や工程パラメータを理解し、管理戦略（Control Strategy）へつなげる［3］。

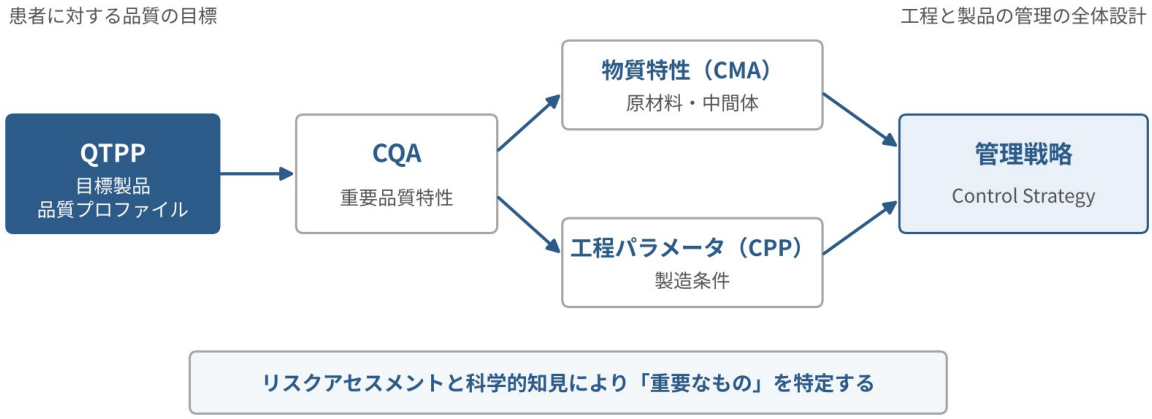


図 3　QTPP から管理戦略への基本連鎖（ICH Q8(R2)・Q9(R1)を参考に JPBSA 作成）［3］［4］

7.1 QTPP から CQA を導く

QTPP は、製品の品質について目指す姿であり、TPP から導かれる。投与経路、剤形、含量、容器、有効期間などの QTPP の項目から、患者の安全性と有効性に影響し得る品質特性を洗い出し、その中から重要なものを CQA として特定する。表 11 に例を示す。

表 11　QTPP の項目と CQA 候補の例（注射剤の場合）（JPBSA 作成）

QTPP の項目	目標の例	CQA 候補の例
投与経路・剤形	皮下投与用の液剤	濃度、粘度、浸透圧、pH
含量・力価	表示量に対する一定範囲	含量、生物活性（力価）
純度・不純物	安全性上許容できる水準	類縁物質、凝集体、宿主由来不純物
無菌性・安全性	無菌製剤としての要件	無菌性、エンドトキシン
容器・使用性	プレフィルドシリンジ	容器との適合性、溶出物
有効期間・保存	冷蔵で一定期間安定	分解物、凝集体の経時変化

7.2 重要なものをリスクで特定する

すべての変数を同じ重要度で扱うのではなく、科学的知識とリスク評価に基づいて重要な要素を特定する。ICH Q9(R1)は品質リスクマネジメントについて、品質へのリスクの評価は科学的知見に基づき、最終的に患者の保護に結び付くべきであることを基本原則としている［4］。

開発初期には知識が限られるため、CQA の特定やリスク評価は暫定的なものになる。重要なのは、暫定であることを明示し、どの知識が得られればリスク評価を更新できるかを記録しておくことである Drug Architecture では、このリスクベース思考を品質に限らず構造全体の意思決定へ広げる。

7.3 管理戦略と分析法を一体で設計する

管理戦略は、原材料の管理、工程の管理、工程内試験、規格試験などを組み合わせて、製品品質を一貫して確保するための全体設計である。どこで何を管理するかは、CQA と、それに影響する物質特性（CMA）・工程パラメータ（CPP）の理解に基づいて決める［3］［6］。

管理戦略を支えるのは分析法である。ICH Q14 は、分析法の開発と維持について科学とリスクに基づく考え方を示し、分析法に求める性能を事前に定める Analytical Target Profile（ATP）の考え方を含んでいる［8］。分析法を「後から用意するもの」ではなく、CQA を測るための設計要素として、品質設計と同時に考えることが望ましい。

第 8 章　非臨床と臨床を構造に組み込む

非臨床試験は、単に規制要件を満たすための試験一覧ではない。臨床へ進むために、薬理、安全性、曝露、用量設定などの不確実性をどこまで解消するかという設計である。ICH M3(R2)は、ヒトでの臨床試験と製造販売承認のために必要な非臨床安全性試験の種類と実施時期の考え方を示している［10］。

8.1 非臨床は「不確実性の解消」として設計する

非臨床の計画は、臨床試験で答えるべき問いから逆算する。初回投与量の設定、安全性の監視項目、曝露と効果の関係など、臨床へ進む判断に必要な情報が何かを明確にしたうえで、試験の種類と順序を決める。表 12 に、非臨床で解消すべき主な不確実性の例を示す。

表 12　非臨床で解消すべき主な不確実性と構造上のつながり（JPBSA 作成）

不確実性	主な検討内容	つながる要素
薬理・作用機序	標的への作用、用量反応、動物モデルの妥当性	科学、臨床の評価項目
薬物動態・分布	曝露、組織分布、代謝・排泄、DDS の挙動	モダリティ・DDS、用量設定
安全性	毒性所見の種類・可逆性、安全域	臨床の監視項目、TPP の安全性
初回投与量	ヒトでの開始用量と増量計画の根拠	臨床第 I 相の設計
試験に用いた試料	毒性試験ロットと臨床用製品の関係	CMC・品質、規制

8.2 臨床は TPP の価値を証明する設計である

臨床開発も同様に、試験を実施すること自体が目的ではない。TPP に掲げた製品価値をどの患者集団で、どのエンドポイントで、どの比較の中で証明するかを考える。ICH E8(R1)は、臨床試験の計画段階から「質に重要な要因（critical to quality factors）」を特定し、試験の質を設計に組み込む考え方を示している［11］。

これは品質における QbD と同じ構造である。臨床試験においても、試験の目的に照らして何が重要かを先に定め、そこに資源と管理を集中させる。TPP の有効性・安全性の項目と、臨床試験の主要評価項目・対象患者・比較対象が一致しているかを確認することが、構造上の整合性を保つ鍵となる。

8.3 CMC と臨床の変更を構造の中で評価する

CMC 変更、投与製剤変更、バイオマーカー戦略などが非臨床・臨床へ与える影響を常に構造の中で評価する。臨床試験の途中で製造方法や製剤を変更する場合、変更前後の製品で得たデータをどのように橋渡しするかが問われる。

非臨床・臨床の計画で確認すること

- 非臨床試験の各試験が、臨床へ進むどの判断に必要な情報を与えるか説明できるか
- 毒性試験に用いた試料と、臨床用製品の関係を説明できるか
- 臨床試験の主要評価項目・対象患者が、TPP の有効性・適応と一致しているか

- 試験中の CMC 変更やバイオマーカーの変更が、データの解釈に与える影響を評価しているか

第 9 章　規制戦略を出口から逆算する

規制戦略は、開発後半で申請資料を整える作業ではない。最終的にどの適応、どの製品、どのデータパッケージで承認を目指すかを想定し、必要な証拠を逆算する。

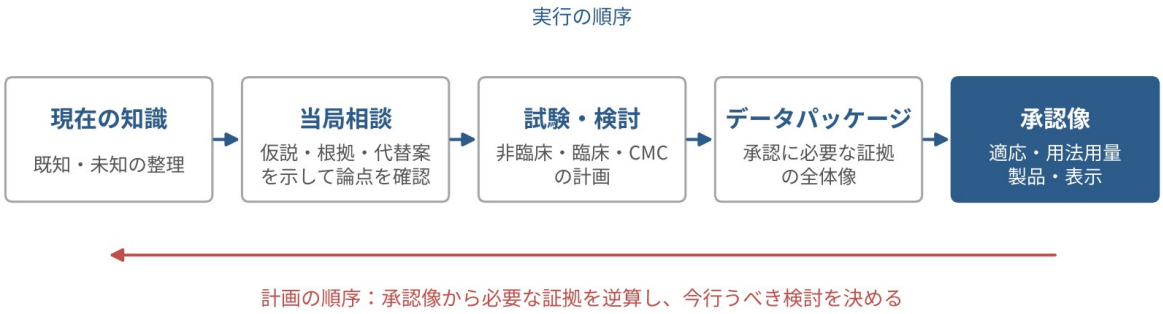


図 4　承認像から必要な証拠を逆算する規制戦略（JPBSA 作成）

9.1 承認像を仮置きする

承認像とは、承認される適応、用法用量、製品の形態、主要な表示内容の想定である。TPP は、この承認像を開発の言葉で表したものと言える。承認像を仮置きすることで、主要な臨床試験の設計、必要な非臨床試験、CMC のデータパッケージ、開発国の順序を一つの道筋として描くことができる。

承認像は開発の進展によって変わり得る。しかし、仮置きがないまま試験を積み重ねると、申請段階で必要なデータが不足していることが判明し、追加試験による大きな遅延が生じやすい。

9.2 当局相談では仮説と論点を示す

規制当局との相談では、単に質問を並べるのではなく、自社の開発仮説、根拠、代替案、リスクを整理したうえで論点を提示することが重要である。日本では、PMDA が治験相談をはじめとする対面助言や事前面談などの相談制度を設けている［14］。表 13 に、相談に向けて論点を整理する際の項目を示す。

表 13　当局相談に向けた論点整理の項目（JPBSA 作成）

項目	整理する内容
相談の目的	この相談の結果で、どの開発上の意思決定を行うか
開発仮説	目指す承認像、TPP、開発計画の概要
根拠	仮説を支えるデータ、文献、類似製品の経験
論点と自社の考え	当局の見解を求める論点と、それに対する自社の提案
代替案	提案が受け入れられない場合の選択肢と、その影響
構造への波及	相談結果が CMC・非臨床・臨床・日程・資金に与える影響

9.3 規制上の論点の波及を可視化する

Drug Architecture を可視化しておくと、ある規制上の論点が CMC、非臨床、臨床、スケジュール、資金へどう波及するかを検討しやすい。例えば、当局から追加の非臨床データを求められた場合、その試験に必要な試料の製造、臨床試験の開始時期、資金計画の変更までを一体で評価できる。

当局相談の結果は、TPP と構造の更新につなげる。相談記録を個人のメモにとどめず、どの前提が確認され、どの前提が変わったかを組織知として残すことが、次の相談と申請の質を高める。

第 10 章　知識管理とリスクベース意思決定

ICH Q10 は、製品ライフサイクル全体を通じた医薬品品質システムを示し、その達成のための手法として知識管理と品質リスクマネジメントを位置づけている［5］。

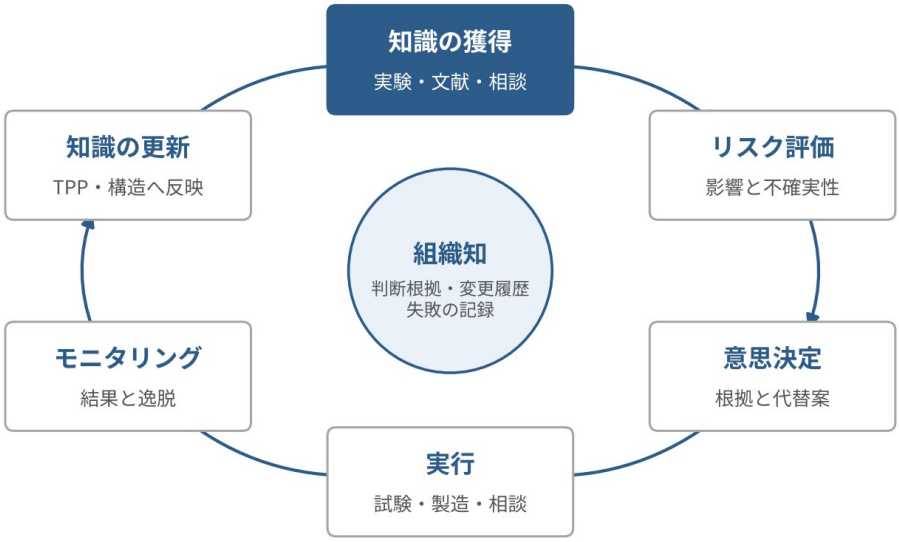


図 5　知識管理とリスクベース意思決定の循環（ICH Q9(R1)・Q10 を参考に JPBSA 作成）［4］［5］

10.1 分散しやすい知識を統合する

創薬スタートアップでは、知識が個人、CRO、CDMO、大学、コンサルタントに分散しやすい。重要な仮説、判断根拠、失敗、変更履歴を組織知として残さなければ、同じ議論や試験を繰り返す。担当者の退職や委託先の変更によって、過去の判断の理由が失われることもある。

表 14 に、創薬プロジェクトで残すべき知識の種類と記録の例を示す。記録は網羅的である必要はないが、後から「なぜそう判断したか」を説明できる状態を目指す。

表 14　残すべき知識の種類と記録の例（JPBSA 作成）

知識の種類	記録の例	活用する場面
仮説	TPP、構造上の前提、モダリティ選択の理由	方針の見直し、投資家説明
判断根拠	意思決定会議の記録、比較した選択肢	後任者への引継ぎ、当局相談
データと試料の履歴	ロット、製法、分析結果、試験との対応	同等性評価、申請資料
失敗・否定された仮説	中止した候補、うまくいかなかった条件	同じ検討の繰り返し防止
変更履歴	製法・分析法・TPP の変更とその理由	変更管理、データの橋渡し
外部とのやり取り	委託先・共同研究先・当局との合意事項	契約管理、提携交渉

10.2 構造を共通言語にする

Drug Architecture は、単なる図ではなく、知識を統合するための共通言語として機能する。何が既知で、何が未知で、どの未知が次の意思決定を左右するかを明示する。各要素について「現在の仮説」

「根拠」「主要な不確実性」「次の検証」を記録しておくと、部門や組織を越えた議論が同じ土台の上で行えるようになる（付録 B）。

10.3 リスクに基づいて優先順位を決める

限られた資金と時間の中で、すべての不確実性を同時に解消することはできない。リスクベースの意思決定とは、構造全体に与える影響の大きさと不確実性の大きさから、次に解消すべき課題の優先順位を決めることである。ICH Q9(R1)は、品質リスクマネジメントの労力、形式、文書化の程度をリスクの大きさに見合ったものにすることを示している［4］。

リスク評価の結果は、意思決定の記録とともに残す。リスクを受け入れて先に進む判断も正当な選択肢であり、その場合には、どのリスクを受け入れたのか、どの時点で再評価するのかを明記しておくことが重要である。

第 11 章　ライフサイクルで構造を更新する

創薬構造は固定物ではない。ICH Q10 は、医薬品品質システムを製剤開発、技術移転、商業生産、製品の終結という製品ライフサイクルの各段階に適用する考え方を示している［5］。Drug Architecture では、この考え方を研究（Discovery）段階まで拡張し、候補品選定の時点から構造を可視化して更新していく。

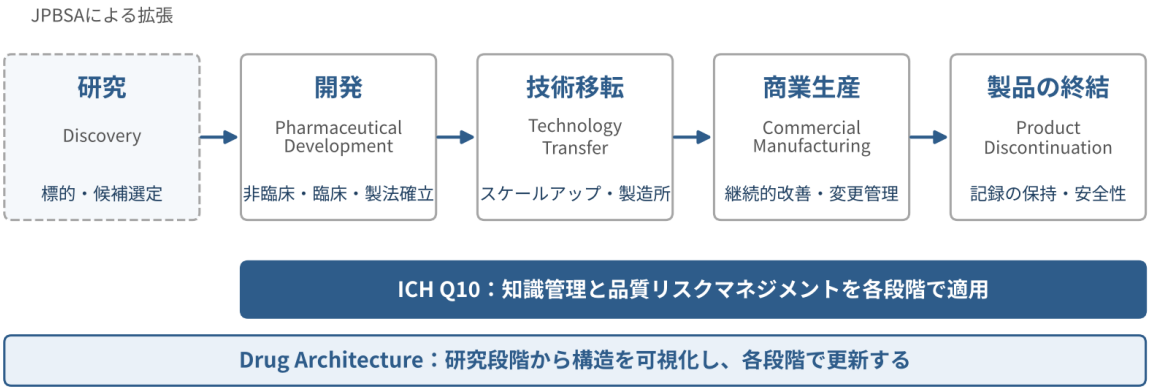


図 6　製品ライフサイクルを通じた構造更新（ICH Q10 を参考に JPBSA 作成）［5］

11.1 段階ごとに構造更新の焦点は変わる

ICH Q10 は、製品ライフサイクルの異なる段階を通じて医薬品品質システムを適用し、イノベーションと継続的改善、開発と製造の連携を促進する考え方を示している［5］。表 15 に、各段階で構造を更新する際の主な焦点を示す。

表 15　ライフサイクル段階ごとの構造更新の焦点（JPBSA 作成）

段階	構造更新の主な焦点
研究（Discovery）	患者価値と TPP の初版、モダリティ・DDS の選択、製造・分析可能性の初期評価
開発	非臨床・臨床データによる TPP の更新、CQA と管理戦略の確立、規制相談の反映
技術移転	製造所・スケールの変更に伴う知識の移転、同等性の確認、管理戦略の再確認
商業生産	製造実績に基づく継続的改善、承認後変更の管理、供給の安定化
製品の終結	記録・検体の保持、市販後安全性の対応、得られた知識の次のプロジェクトへの還元

11.2 変更を避けるのではなく、影響を評価する

開発初期に置いた仮説は、データにより否定されることもある。重要なのは変更を避けることではなく、変更の影響を構造的に評価し、知識を次の設計へ反映することである。第 2 章の表 5 のような依存関係の一覧を更新し続けることで、変更の影響範囲を素早く把握できる。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

11.3 承認後の変更管理まで見通す

ICH Q12 は、既承認条件（Established Conditions）、承認後変更管理実施計画書（PACMP）、製品ライフサイクル管理文書（PLCM）などの考え方を通じて、承認後の変更をより予測可能かつ効率的に管理する枠組みを示している［7］。開発段階で得た製品と工程の知識が深いほど、承認後の変更管理を合理的に設計しやすくなる。

創薬スタートアップが商業生産まで自ら担うとは限らない。しかし、提携先や導出先は、承認後も含めた製品のライフサイクルを見据えて評価する。開発段階で知識を構造として残しておくことは、提携・導出時の価値にも直結する。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association |

第 12 章　Drug Architecture を事業価値につなげる

優れた Drug Architecture は、科学的な整合性だけでなく事業価値にもつながる。投資家や提携企業が知りたいのは、技術の魅力だけではなく、何が証明され、何が未解決で、次の資金でどのリスクが減るのかである。

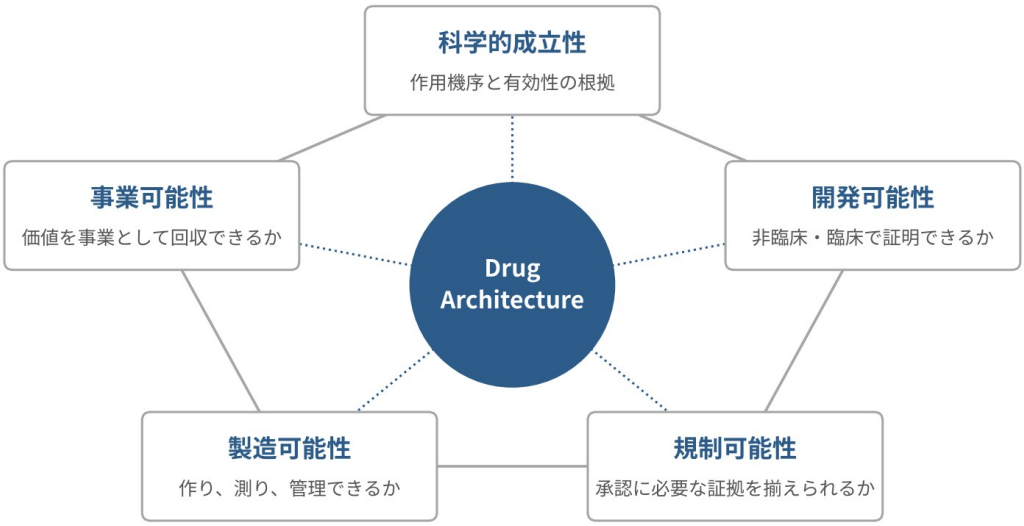


図 7　Drug Architecture の 5 つの成立条件（JPBSA 作成）

12.1 5 つの成立条件を同時に見る

科学的成立性、開発可能性、規制可能性、製造可能性、事業可能性の 5 つを同時に見ることで、単一の成功指標に偏ることを防げる。表 16 に、各条件について投資家・提携先が問うことの例を示す。

表 16　5 つの成立条件と投資家・提携先が問うこと（JPBSA 作成）

成立条件	問われることの例	示す証拠の例
科学的成立性	作用機序はヒトの病態で妥当か。PoC は再現性があるか	ヒト検体データ、独立した再現実験
開発可能性	非臨床・臨床で価値を証明できる道筋があるか	評価項目、試験計画、安全域
規制可能性	承認に必要な証拠を現実的な期間で揃えられるか	承認像、当局相談の結果、類似品の前例
製造可能性	必要な品質と量を、許容できるコストで作れるか	製法、分析法、CDMO の見通し
事業可能性	価値を事業として回収できるか	市場・価格の仮説、知財、提携先の関心

12.2 仮想事例　肝疾患を対象とする核酸医薬

以下は考え方を説明するための仮想事例であり、実在の企業・案件を示すものではない。

ある大学発スタートアップが、肝臓で発現する疾患関連遺伝子を抑制する核酸を見いだした。研究段階では、脂質ナノ粒子を用いた静脈内投与で、動物モデルにおいて標的の低下を確認していた。

患者価値から検討すると、対象は慢性疾患であり、長期にわたる通院負担の軽減が重要と考えられたそこで TPP の初版では「皮下投与、投与間隔は月 1 回以上」を目標とした。この判断により、送達技術は肝臓への選択的な送達が可能な別の方式との比較が必要になり、モダリティ・DDS の再評価が行われた。

送達方式の変更は、構造全体に波及した。CMC では、核酸の合成に加えて送達のための修飾・結合工程が加わり、不純物プロファイルと分析法を新たに設計する必要が生じた。非臨床では、新しい送達方式での組織分布、オフターゲット作用、安全域を評価し直す必要があった。臨床では、標的の低下を示すバイオマーカーを早期の評価項目として設定する計画が立てられた。知財では、送達技術の権利状況と実施自由度の確認が必要になった。

このスタートアップは、変更前に第 2 章の表 5 のような波及範囲の整理を行い、投資家に対して「送達方式の変更により失うもの（既存データの一部）と得るもの（TPP への適合、事業価値）」を説明した。そのうえで、次の資金で証明すべき事項を「新しい送達方式での動物における標的低下と安全域の確認」と定めた。

12.3 よくある構造上の失敗パターンと予防策

Drug Architecture の観点から見ると、創薬プロジェクトの多くの失敗は、科学そのものではなく構造の不整合から生じている。表 17 に代表的なパターンと予防策を示す。

表 17　よくある構造上の失敗パターンと予防策（JPBSA 作成）

失敗パターン	典型的な状況	予防策
技術起点の製品像	技術の新規性を優先し、患者価値が曖昧なまま開発が進む	患者価値と TPP を起点に構造を描く（第 3・4 章）
TPP の形骸化	初版を作ったまま更新されず、部門ごとに異なる前提で計画	版管理と改訂時の影響確認を運用する（第 4 章）
送達・製剤の後回し	原薬のみで候補を選び、後に製剤・DDS で行き詰まる	原薬・製剤・DDS を同時に評価する（第 5 章）
品質の後付け	研究試料の記録がなく、臨床用製品との関係を説明できない	段階に応じた品質の作り込み（第 6・7 章）
出口不在の試験	試験を積み重ねたが、承認に必要な証拠が不足	承認像から逆算する（第 8・9 章）
知識の散逸	担当者・委託先の変更で判断の理由が失われる	判断根拠と変更履歴を組織知にする（第 10 章）

Drug Architecture は、研究者、経営者、CMC、QA、薬事、臨床、投資家、提携先が同じ創薬プロジェクトを議論するための共通設計図となり得る。

Conclusion

創薬は「発見」だけでは完成しない。患者価値を起点として、TPP、科学、モダリティ、DDS、CMC、品質、非臨床、臨床、規制、事業を一つの構造として成立させる必要がある。

Drug Architecture の目的は、複雑な創薬を単純化することではない。複雑さを見える形にし、依存関係と重要リスクを理解し、より良い意思決定を可能にすることである。

研究成果を医薬品へ変えるために、創薬を「見つける仕事」だけでなく「設計する仕事」として捉える。この視点は、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、WP-02 で示した創薬事業の設計図と一体のものであり、創薬スタートアップや新規モダリティの事業化において一層重要になる。JPBSA は、このような創薬構造設計を担う人材・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。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

付録 A　Drug Architecture 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、次に確認すべき事項として扱う。開発段階が進むごとに再評価し、前回からの変化を記録する。

領域	確認する問い	評価	根拠・担当・期限
患者価値	対象患者、未充足ニーズ、既存治療との差が明確で、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:
TPP	適応症、投与、有効性、安全性、製品形態の仮説が版管理され、部門間で共有されているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:
科学	作用機序と主要な科学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:
モダリティ・DDS	患者価値と TPP に対して、原薬・製剤・DDS の選択理由を説明できるか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:
CMC	製造可能性、スケール、原材料、分析、安定性を候補品選定の段階から評価しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:
品質	QTPP・CQA の初期仮説と、重要な品質リスクを整理しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:
非臨床	臨床移行に必要な不確実性を解消する設計になっているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:
臨床	TPP の価値を証明する対象患者・評価項目・比較対象になっているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:
規制	承認像から必要なデータを逆算し、当局相談の論点を整理しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:
知識管理	判断根拠、変更履歴、失敗を組織知として残しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:
事業	5 つの成立条件を同時に評価し、次の資金で減らすリスクを説明できるか	□確認済 □不足 □未確認	根拠: 担当: 期限:

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

付録 B　Drug Architecture マップ記入テンプレート

各要素について、現在の仮説、根拠、主要な不確実性、次の検証を記入する。仮説が変わった場合は依存する要素（第 2 章 表 4・表 5）を確認し、影響を受ける行を同時に見直す。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。

プロジェクト名:　　**版番号:**　　**改訂日:**　　**承認者:**

要素	現在の仮説	根拠	主要な不確実性	次の検証・期限
患者価値				
TPP				
科学				
モダリティ・DDS				
CMC・品質				
非臨床				
臨床				
規制				
知財・事業				

付録C　主な用語

語	本書での意味
Drug Architecture	創薬構造設計。患者価値、製品像、科学、モダリティ、製剤・DDS、CMC・品質、非臨床、臨床、規制、事業を相互依存する一つの構造として設計・更新する考え方。JPBSA が本書で提示する実務的な概念であり、公式の規制用語ではない。
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 Attribute。望ましい製品品質を確保するために、適切な限度・範囲・分布内にあるべき重要品質特性。
CMA／CPP	Critical Material Attribute／Critical Process Parameter。CQA に影響する重要な物質特性／工程パラメータ。
管理戦略	Control Strategy。製品と工程の理解に基づき、工程性能と製品品質を確保するための一連の管理の全体設計。
QbD	Quality by Design。製品と工程の理解と品質リスクマネジメントに基づき、品質を設計段階から作り込む体系的な開発手法。
モダリティ	低分子、抗体、核酸、細胞、遺伝子治療など、医薬品の分子・製品の形態による分類。
DDS	Drug Delivery System。薬物を標的組織・細胞へ送達し、体内動態を制御する技術。
同等性／同質性	Comparability。製造工程の変更前後で、製品の品質・安全性・有効性に悪影響がないことを示す評価（ICH Q5E）。
ATP	Analytical Target Profile。分析法に求める性能を事前に定めたもの（ICH Q14）。
知識管理	製品と工程に関する知識を獲得・分析・保存・伝達するための体系的な取組み（ICH Q10）。
品質リスクマネジメント	製品ライフサイクルを通じて、品質へのリスクを評価・コントロール・コミュニケーション・レビューする体系的なプロセス（ICH Q9(R1)）。
既承認条件（EC）	Established Conditions。製品品質を保証するために必要とされる、法的拘束力のある承認事項（ICH Q12）。
PACMP	Post-Approval Change Management Protocol。承認後の変更を計画的に管理するための実施計画書（ICH Q12）。
承認像	本書の説明用語。承認される適応、用法用量、製品の形態、主要な表示内容の想定。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

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。ウェブ資料の参照時期：2026 年 10 月。

[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. 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（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

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

参照箇所：Part I 序文（品質は設計により作り込む）、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

[4] 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

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

参照箇所：第 1.2 節 適用範囲（製品ライフサイクルの段階）、第 1.6 節 知識管理と品質リスクマネジメント。

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

[6] ICH / FDA. Q11 Development and Manufacture of Drug Substances. FDA 版 2012 年 11 月.

参照箇所：第 3 章 製造工程の開発（従来型の手法と、より進んだ手法）、第 6 章 管理戦略。

https://www.fda.gov/media/80909/download

[7] ICH. Q12 Technical and Regulatory Considerations for Pharmaceutical Product Lifecycle Management. 2019 年 11 月.

参照箇所：第 3 章 既承認条件（EC）、第 4 章 承認後変更管理実施計画書（PACMP）、第 5 章 製品ライフサイクル管理（PLCM）文書。

https://database.ich.org/sites/default/files/Q12_Guideline_Step4_2019_1119.pdf

[8] ICH / EMA. Q14 Analytical Procedure Development. Step 5 Revision 1, EMA 実施 2024 年 6 月.

参照箇所：科学とリスクに基づく分析法開発、Analytical Target Profile、分析法のライフサイクル管理。

https://www.ema.europa.eu/en/ich-q14-analytical-procedure-development-scientific-guideline

[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] 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実施時期の関係。

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

[11] 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のデザイン、質に重要な要因。

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

[12] FDA. Guidance for Industry: CGMP for Phase 1 Investigational Drugs. 2008 年 7 月.

参照箇所：第 I 相治験薬の製造における、ハザードの特定とリスクに基づく管理の考え方。

https://www.fda.gov/media/70975/download

[13] FDA. Chemistry, Manufacturing, and Control (CMC) Information for Human Gene Therapy Investigational New Drug Applications (INDs). 2020 年 1 月.

参照箇所：治験届に含める製造工程、製品の特性解析、分析法に関する情報。

https://www.fda.gov/media/113760/download

[14] 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

[15] PMDA. 品質に関するガイドライン実施作業部会. 現行ウェブページ.

参照箇所：ICH Q8/Q9/Q10 の実施に関する指針（Points to Consider）および質疑応答集。

https://www.pmda.go.jp/int-activities/int-harmony/ich/0085.html

[16] BIO, Informa Pharma Intelligence, QLS Advisors. Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011–2020. 2021 年 2 月.

参照箇所：第 I 相からの承認到達率 7.9%、第 I 相開始から承認までの平均期間 10.5 年。

https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011_2020.pdf

注：Drug Architecture（創薬構造設計）は、本 White Paper において JPBSA が提示する実務的な概念であり、ICH・FDA・PMDA の公式用語ではない。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。

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（本書）**

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-03

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／WP-02『創薬スタートアップの作り方』Version 1.0

© 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、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・ガイドライン・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。