

採択番号 28-063

申請区分: 医療費削減効果

## 平成 30 年度医工連携事業化推進事業 成果報告書

### 「骨片と併用する骨再生補助能力を持つ自己集合性ペプチド ゲル骨補填材の開発・事業化」

---

2019 年 5 月

委託者 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構  
委託先 株式会社メニコン



## 目次

1. 事業の概要.....	1
1.1 事業の目的.....	2
1.2 事業の実施体制 .....	2
1.3 最終製品（＝事業化する医療機器） .....	3
1.4 上市（投資回収）に至るまでのプロセス（事業計画） .....	7
1.5 事業化に向けた検討結果.....	9
1.6 2018 年度委託事業の成果概要.....	12
1.7 委託事業の振り返り .....	15
1.8 2019 年度以降の実施内容に関する計画（案） .....	20
1.9 事業に関する連絡窓口 .....	21

# 1. 事業の概要

骨形成能力が低下している高齢者の骨折治療期間の短縮は医療費抑制の課題の一つである。迅速な骨癒合を促すには、骨欠損部位で骨形成細胞が増殖しやすい環境を作り出す必要がある。そのために、骨片を均一に内包、保持し、かつ、生体適合性、細胞増殖性を促し、形状を自由に変形して細部まで充填可能な骨形成足場材料が必要であり、新たにゲル状自己集合性ペプチドナノファイバーを見出した。骨片と併用して用いる骨補填材を医療現場に導入し、骨再生に要する期間を短縮することで、国内の医療費削減を目指す。

H28-063  
Class IV  
(想定)
骨片と併用する骨再生補助能力を持つ自己集合性ペプチドゲル骨補填材の開発・事業化  
**高齢者の骨折治療を助けるペプチドゲル**  
株式会社メニコン、国立大学法人名古屋大学、株式会社メニコネク

**高齢化による骨折症例の増大**

- 社会の高齢化に伴い高齢者の骨折症例数が増大
- 骨再生能の低い高齢者の骨癒合期間の長期化・治療期間中の再骨折が問題に
- 骨癒合を補助し治療期間を短縮するような医療機器が求められている

**ペプチドゲルによる骨再生能の促進**

- 水に溶解ゲル化する自己集合性ペプチドを活用
- ペプチドゲルは骨細胞に快適な環境を提供すると考えられる
- 骨片と混合したゲルを埋め込むことで、骨形成を促進し、入院期間を30%程度短縮することで最大年間500億円程度の医療費削減が期待できる

**株式会社メニコネク: 会社の紹介・事業展開**

コンタクトレンズ及びレンズケア用品の開発・製造メーカー  
本事業では試作品の製造を担当する  
ケア用品の無菌充填技術に応用し、ゲルの無菌充填法及び大量製造法を確立する  
骨補填材市場で国内シェア10%を目指す

**自己集合性ペプチドゲル**



**ペプチドゲル骨補填材**



2016年10月時点

## 委託事業実施体制

```

    graph TD
      subgraph SL [研究機関・医療機関]
        S1[名古屋大学医学部・医学部附属病院  
先端医療・臨床研究支援センター]
      end
      subgraph PL [製販企業]
        P1["(株)メニコン"]
      end
      subgraph M [製造企業]
        M1["(株)メニコネク"]
      end
      subgraph S [販売企業]
        S1[ ]
      end
      subgraph C [顧客]
        C1["(国内、米国、欧州、アジア)"]
      end
      R["医薬品医療機器総合機構 (PMDA)  
米国食品医薬品局 (FDA)"]

      S1 --> P1
      P1 --> M1
      M1 --> S1
      P1 --> S1
      S1 --> C1
      R --> P1
      R --> S1
  
```

2018年3月時点

1

## 1.1 事業の目的

わが国の医療現場では、進行する高齢化により、骨粗鬆症をはじめとした高齢者の骨折症例数が拡大しており、それに伴い、骨折による手術、入院件数の増大が起きている。高齢者の骨折は、骨脆弱性に伴い大きな骨欠損を生じることが多いが、そういった骨欠損が大きい場合の外科的治療法の一つとして、患者の余剰骨を採取・粉碎し得られた自家骨片を骨折患部へと埋植し、骨癒合をめざすという手法が用いられている。自家骨片はその中に骨芽細胞を包含し、骨再生能を有するため、骨癒合期間の短縮を期待して患部に埋植される。しかし、高齢者の場合、自家骨自体の骨再生能が若者と比べて低く、骨癒合期間の長期化や、骨癒合前の再骨折が起きる恐れがある。このため、骨埋植の手術後、退院までの期間は長期化する傾向にあり、医療費を圧迫する一因となっていると考えられている。

こうした問題の解決のためには、骨片と混合することで迅速な骨癒合の達成を補助するような医療機器の使用が効果的であると考えられる。そこで本事業ではペプチドゲルのすぐれた骨形成能の特徴を活用し、骨片と均一に混合し、骨欠損部に埋植することで、骨芽細胞の増殖を補助して骨癒合の迅速化を実現する医療機器を開発する。

骨片の持つ骨再生能が効果的に発揮されることで、骨癒合に必要な期間が30%程度短縮され、その結果入院期間が短縮されることで、年間500億円程度の医療費削減につながると予想される。

## 1.2 事業の実施体制

代表機関：株式会社メニコン

PL： 永井 祐介（株式会社メニコン）

SL： 今釜 史郎（国立大学法人名古屋大学）

共同体： ①国立大学法人名古屋大学  
②株式会社メニコンネクト

### 1.3 最終製品（＝事業化する医療機器）

#### (1) 事業化する医療機器の概要

##### 1) 医療機器等の種類

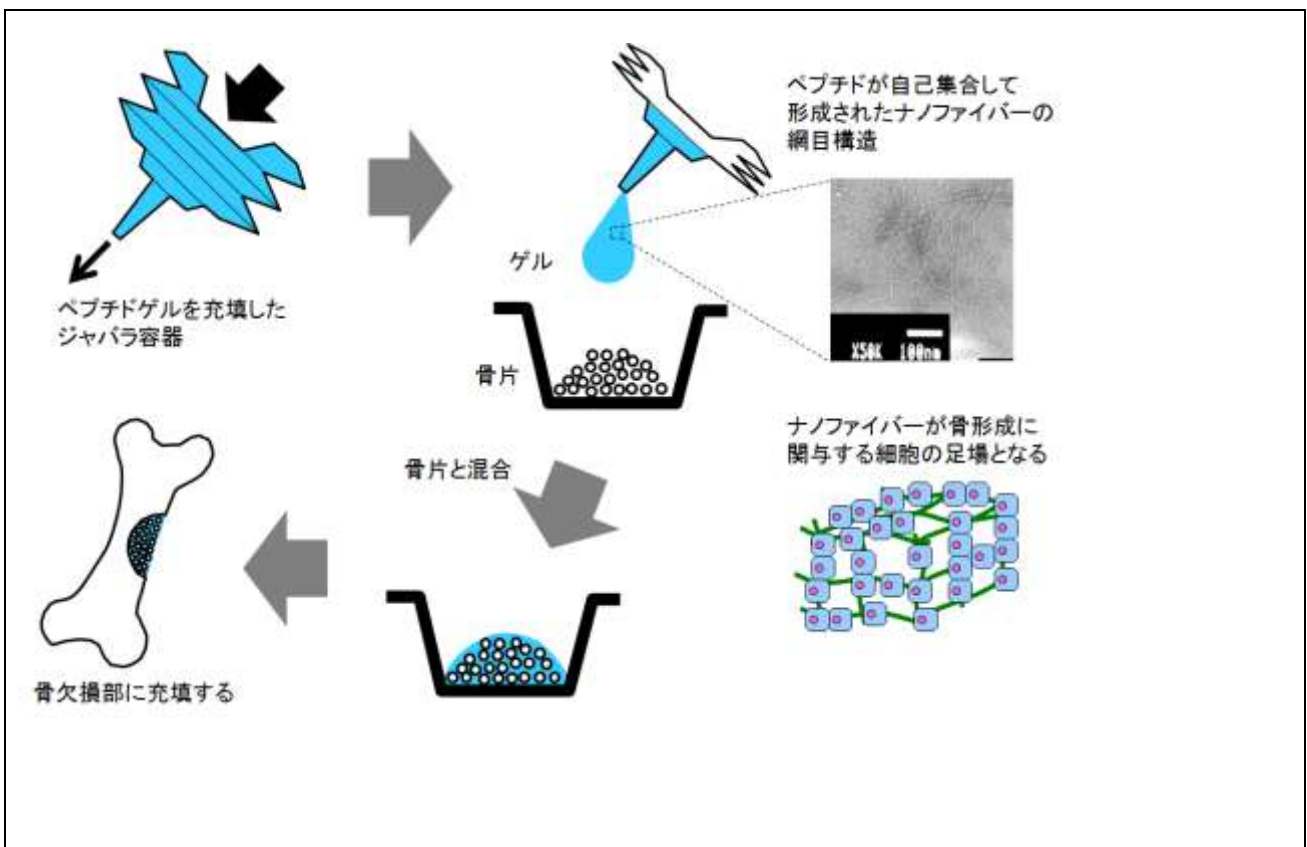
機器等の種類	医療機器	クラス分類	クラスIV
製品名	CK2-100(予定)	分類名称（一般的名称）	吸収性骨再生用ゲル(予定)
対象疾患	脊椎変性疾患(予定)	届出／認証／承認	承認
想定される販売先	整形外科	新／改良／後発	新(予定)
使用目的又は効果	骨片と混合し骨欠損部に充填することで、骨再生を促進し、骨癒合期間を短縮する。		
薬事申請予定者	株式会社メニコン	医療機器製造販売業許可	23B1X00007
当該製品の製造を担う事業予定者	株式会社メニコンネクト	医療機器製造業許可	21BZ006001
		業許可	
		業許可	

##### 2) 医療機器等のターゲット市場

	国内市場	海外市場
		欧州
薬事申請時期	非公開	非公開
上市時期	非公開	非公開
想定売上（上市后3年目）	非公開	非公開
市場規模（上市后3年目）	非公開	非公開
想定シェア(上市后3年目)	非公開	非公開

※“市場規模（上市后3年目）”は市場全体としての見込みを示す。

##### 3) 事業化する医療機器の概観・特長



## (2) 市場性（想定購入顧客）

### 1) 当該機器等の市場性及び医療現場で期待される波及効果

#### ① 提案する機器の想定顧客

- 整形外科領域：脊椎部位での骨移植手術を実施可能な病院・医師
- 外科領域：骨折治療にかかわる病院・医師（適用拡大によって）

#### ② 提案する機器の想定市場規模（競合品も含めた市場全体としての見込み）

矢野経済によれば 2011 年の骨補填材市場は国内で 76 億円である。全世界においては骨補填材の市場は 2008 年で 2,000 億円程度であり、2%/年の割合で市場が成長しているといわれている。また、2016 年の市場レポート（調査会社：Statistics MRC）の試算では、上市時期の脊椎領域における移植骨・代用骨市場は国内で約 160 億円、全世界で約 1,844 億円であった。さらに当該製品の海外展開のターゲットとなる欧州では、脊椎領域の市場規模が全体で約 521 億円であった（1 USD=113.5 円で計算）。

### (3) 競合製品／競合企業との差別化要素

#### 1) 競合製品／競合企業の動向

カテゴリー（一般的名称）：吸収性骨再生用材料

1.  $\beta$  ボーン 60、メディボーン／株式会社カタリメディック
2. アフィノス／株式会社クラレ
3. スーパーポア、スーパーポア EX／HOYA Technosurgical 株式会社
4. オスフェリオン／オリンパステルモバイオマテリアル株式会社
5. マスターグラフト グラニュルス／メドトロニックソファモアダネック株式会社
6. その他

カテゴリー（一般的名称）：コラーゲン含有人工骨

1. リフィット／HOYA Technosurgical 株式会社

カテゴリー（一般的名称）：人工骨インプラント

1. アパセラム（シリーズ多数）／HOYA Technosurgical 株式会社
2. クラボーン／株式会社クラレ
3. セラタイト／日本特殊陶業株式会社
4. ボンフィル／HOYA Technosurgical 株式会社
5. その他

#### [参入障壁]

- ・制度的な障壁：許認可
- ・製品差別化：技術的優位性のアピール、KOLの囲い込み
- ・コスト優位性：流通・販売チャンネル

#### 2) 当該医療機器等と競合製品／企業とのベンチマーキング（競合との差別化要素）

<差別化ポイント1：性能について>

ラット大腿骨実験において、当該医療機器と同濃度ペプチドゲルを直接移植した場合、既存の吸収性骨再生用材料単体（ $\beta$ -TCP、試薬として購入）と比べて1.5倍の骨再生能を有した。

また、家兔の腰椎横突起上への埋植試験において、試験群：骨片+上記ペプチドゲル、対照群1：骨片+ $\beta$ -TCP、対照群2：骨片+生理食塩水の3種類について比較したところ、ややばらつきはあるものの、8週間後の観察において、試験群が対照群1に比べて約4倍の骨再生能を有することが確認された（図1参照）。



図1 家兔横突起上骨移植モデルでの性能比較（埋植期間：8週間）



<差別化ポイント2： 取扱いについて>

競合製品の多くは主成分が $\beta$ -TCPやハイドロキシアパタイトであり、形状がブロック状または顆粒である {例} オスフェリオン：主成分= $\beta$ -TCP、形状は多孔質顆粒、ブロック状多孔体、または、円筒状多孔体、リフィット：主成分=コラーゲン、ハイドロキシアパタイト、形状は定型ブロック、アパセラム-AX：主成分ハイドロキシアパタイト、多孔質体であり必要に応じて術者が加工する場合あり}。そのため、欠損部位に合わせた加工や、顆粒が充填部からこぼれ落ちるといった課題への対応が必要であるが、ペプチド骨補填材はゲル状であり、上述の問題は発生しない点が差別化要因となる。



## (2) 投資回収計画

### ① 国内

	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025
薬事申請時期										
上市時期										
支出額(単位:億円)										
うち委託費					非公開					
うち自己負担										
売上高(単位:億円)										
販売数量(単位:)										

### ② 海外

	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025
薬事申請時期										
上市時期										
支出額(単位:億円)										
うち委託費					非公開					
うち自己負担										
売上高(単位:億円)										
販売数量(単位:)										

### ③ 国内・海外合計

	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025
支出額(単位:億円)										
うち委託費										
うち自己負担					非公開					
売上高(単位:億円)										
販売数量(単位:)										

※各年4月～3月の年度で表記。

#### <自己負担>

・開発・申請業務（主に人件費）を0.2億円／年とし、2016年には独自動物実験費を0.05億円とした。

営業サポート費用に国内0.1億円／年、海外0.3億円／年とした。また、国内では製造本数増加に伴う金型購入と人件費増加のため、0.1億円／年を追加した。

・海外市場については、第一に国内治験データを用いたCEマーク取得を予定し、申請業務にかかわる費用は、上記費用に含まれるものとした。

## 1.5 事業化に向けた検討結果

### (1) ビジネススキームの特長

#### 1) 売れ続けるためのビジネスの”仕組み”

##### < 量産によるコスト削減 >

当該医療機器は保険収載を検討するが、薬価基準改定などによる収益の低下に備え、原料供給メーカーとともに原料ペプチドの製造コスト削減に取り組む。

##### < 海外への展開 >

国内上市後の状況（売れ行き・市場での評価）を確認後、CE マーキング、FDA 承認、中国承認を申請・取得し海外市場への展開を図る。

##### < 適用拡大 >

治験での適用症例は固定術が必要な脊椎疾患への治療であるが、上市後は他の部位での骨折治療・入院期間短縮への効果を確認し、適用拡大を図る。

##### < 周辺機器の開発 >

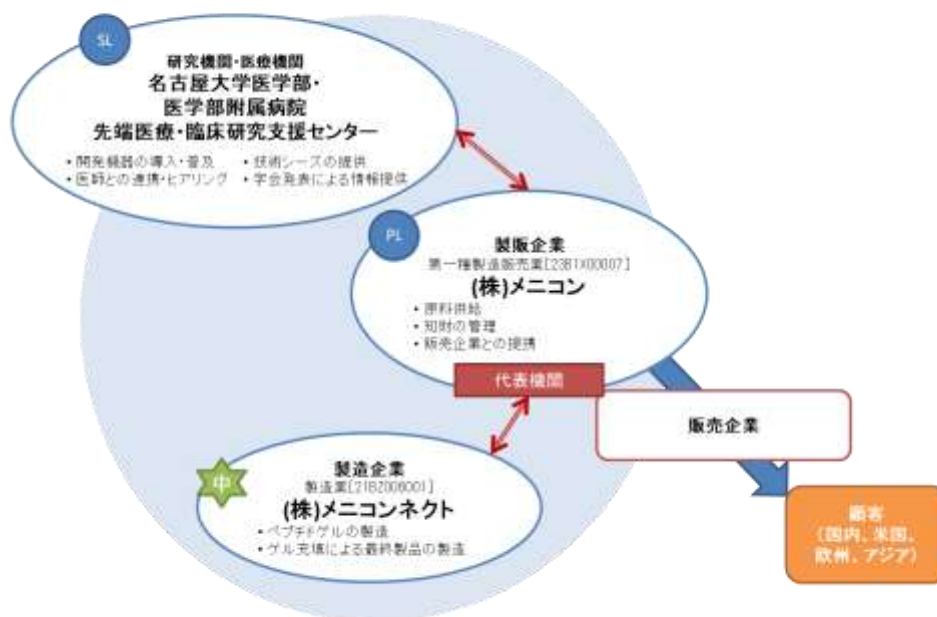
骨固定・骨移植分野においては、骨補填材以外の周辺機器が多数存在し、当該医療機器と共に用いるものもある（例：PEEK ケージ）。それらについて当該医療機器専用製品の開発・セット販売を検討する。

##### < 応用開発製品の検討 >

米国では脊椎医固定などにおいて、骨形成タンパク質(Bone Morphogenetic Protein BMP)の使用が盛んに行われており、国内競合品メーカーは米国などで、自社骨補填材と BMP の組み合わせについて研究を重ねている。当該医療機器においても、ペプチドゲル状材料であることを利用し、BMP の徐放などによって、より高い骨再生能を獲得できるかなど、次世代製品の検討を行う。

### 2) ビジネス体制

#### 上市後のビジネス体制



2018年3月時点

## (2) 事業化に向けた検討結果

### 1) 薬事申請

- プロトコル 治験 事前面談（2018年06月13日@PMDA）  
治験実施のためのプロトコルについて、骨子の確認を行った。

### 2) 知財戦略検討状況

- 国内外の先行技術調査と保有特許の精査（強化のための取組）  
先行技術調査ならびに要注意特許のウォッチングを継続的に実施している。
- 権利化／ブラックボックス化、意匠権・商標権等との組み合わせ等のミックス戦略  
物質特許、用途特許を権利化済み。
- 模倣品・侵害者が現れたときの対応  
知財担当部門と連携し、速やかに解決法を検討する。

### 3) 開発戦略検討状況

- 開発リスクの明確化と対応  
動物モデル試験にて、有効性を確認し、論文発表を行った。治験プロトコル骨子を PMDA に確認し、症例数、期間、費用について見積もりの概算を得た。
- 薬事申請に必要なエビデンス収集  
承認申請用の有効性試験データの取得をおこなった。

### 4) 販売戦略等

- 販売チャネル、供給（生産、物流）体制  
販売パートナーと事業計画について継続して協議した。

## 5) 事業化に向けた課題（隘路）と対応策（まとめ）

領域	事業化に向けた課題(隘路)	左記への対応策
薬事	<p>① 新規材料の使用。 本開発品に用いている原材料の一つである自己集合性ペプチドはこれまでに医薬品や医療機器等で使用されている実績がない。これに伴い、承認申請における審査が長期化する可能性がある。</p> <p>② 治験。 治験の症例数、観察期間が確定できていない。</p> <p>③ 保険収載。 本開発品が保険適用とされるためには、学会を通じて機器の必要性を訴えていかなければならない。</p>	<p>① 先行開発品の販売実績を取得する。 先行開発している医療機器の承認を得ることで、安全性を訴え、審査の長期化を避ける。</p> <p>② プロトコルの設定。 PMDA 相談にて必要症例数、観察期間の方針を示した。</p> <p>③ 学会戦略 KOL の囲い込み。 Key Opinion Leader の先生と面談を行い、本開発品の必要性をアピールしていただけるように依頼する。</p>

領域	事業化に向けた課題(隘路)	左記への対応策
	<p>④ 適用について 適用の範囲が明確ではない</p>	<p>治験の症例数・期間を決定し、実現可能な費用に抑えられることを確認した。</p> <p>④ PMDA への確認 PMDA 相談にて確認した。</p>
知財	<p>① 特許出願費、維持費。 特許出願費用(特に海外出願)、維持費用がかさむ。</p>	<p>① 選択と集中により、効率よく出願する。 日本、米国、欧州、中国への出願と限定する。</p> <p>*日本(取得済み) 米国(審査中)、欧州(審査中)、中国(審査中)</p>
技術・評価	<p>① 動物実験に最大6か月(24週)を要する。  PMDA への結果紹介のタイミングを明確にできていない。</p> <p>② 医師による客観評価。 医師による客観評価が必要である。</p> <p>③ 外部委託試験の遅延。 受託機関の業務込み具合により、データ取得と課題への対応が遅延する可能性がある。</p>	<p>① 外部委託機関の活用。  試験結果をPMDAに紹介する。</p> <p>② 専門家(整形外科医)に広く意見を聞く機会の創出。 学会での技術紹介。 適用症例を多く治療している病院を訪問し、ドクターからの意見を抽出する。</p> <p>③ 納期確認と優先順位の決定。 受託機関に納期を確認し、予定よりも遅れる場合は優先順位を決めてデータ取得を行う。 遅れが生じたが、影響を及ぼさない範囲に留めることができた。</p>
その他事業化全般	<p>① 販売パートナーとの継続協議 動物データ、治験相談の進み具合などについて情報共有し、価格・販売戦略について協議を行う。</p> <p>② 最終製品(容器の確定)。 最終製品の形態が確定していない。</p> <p>③ 有効性データの取得 他社製品への優位性を示すデータが不足する可能性がある。</p>	<p>① 定期的な面談実施。 製品の容器容量・価格・販促データの取り方等について協議した。</p> <p>② 試作・量産について本事業で検討する。 ドクターおよび販売パートナーの意見を反映し、最終製品の形状を決定した。</p> <p>③ モデル試験を新たに追加し、予備実験を実施中である。また、市販後の臨床評価を継続的に学会・論文などで発表し、製品力をアピールする。</p>

## 1.6 2018 年度委託事業の成果概要

### (1) 委託事業の事業概要

2017 年度スタートの動物試験承認申請用) を完了し、データを PMDA 治験プロトコル相談に活用する。その後続く治験開始のために、CRO や治験施設の選定などを並行して進め、スケジュール通り治験を開始できるよう準備する。また、治験機器の準備に加え、製品販売に向けて最終製品でのリアルタイム安定性試験を開始する。販促の観点から小動物の腰椎を用いた試験で既承認品に対する優位性を示すデータを出すことが求められており、同データの取得した後に学会発表を行う。販売パートナーと事業計画のブラッシュアップのために継続して面談を行い、腰椎試験データ共有をはじめ、保険収載などについても協議を行う。保険収載について、治験開始前から医政局経済課とのコミュニケーションを行う。

### (2) 委託事業終了時まで完成する試作品の概要

試作品名	概要
ペプチドゲル骨補填材	ペプチドゲルをブローフィルシール(BFS)製法にてプラスチック容器に無菌的に充填したもの。

### (3) 2018 年度の委託事業の成果と今後検討すべき課題

2018 年度実施内容 (業務計画書)	現時点での達成状況 (計画変更理由を含む)	今後検討・実施すべき事項
<p>①動物試験完了(名古屋大学、メニコン) 動物試験(承認申請用)について、外部委託先と連携しながら、手術、経過観察、および評価を完了する。本試験は既承認品に対して非劣性であることを確認することを目的とする。成果として得られるデータは、並行して実施する PMDA・治験プロトコル相談にて情報共有し、治験の速やかな開始につなげる。</p>	<p>【進捗率 100% : ○】 試験を完了した。</p>	
<p>②PMDA 治験プロトコル相談対面助言(名古屋大学、メニコン) 外部コンサルを活用しながら PMDA との相談を進める。既承認品を用いた臨床研究論文から参考文献とできるものを調査し、プロトコルを完成させる。</p>	<p>【進捗率 100% : ○】 ・プロトコル 治験 事前面談完了 (実施日: 6 月 13 日)</p>	

2018 年度実施内容（業務計画書）	現時点での達成状況（計画変更理由を含む）	今後検討・実施すべき事項
<p>③治験機器（治験用ゲル）の製造（メニコンネク、メニコン）</p> <p>既に容器として使用実績があり、安定性が担保された容器にゲルを入れたもの（＝本開発における治験機器）について安全性試験を実施する。</p>	<p>▶ <b>【進捗率 90% : ○】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・安定性試験用ゲルの製造完了。</li> <li>・安定性試験を開始した。（継続実施中）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 報告書完成</li> </ul>
<p>④販促用データ取得・学会発表（名古屋大学、メニコン）</p> <p>実験データを取得し、治験の実施について判断するとともに、販促データとして活用する。得られたデータについて学会発表を行い、KOL へのアピールを行う（ORS にて）。また、2017 年度に得られたデータについても、別途、学会発表によるアピールを行う。</p>	<p>▶ <b>【進捗率 100% : ○】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・日本脊椎脊髄病学会学術集会（神戸）、日本整形外科学会学術集会（神戸）、日本骨代謝学会（長崎）、日本整形外科学基礎学術集会（奈良）にて自己集合体ペプチドの骨再生の足場としての有用性を報告。</li> <li>▶ <b>ORS(Orthopaedics Reserch Society、米国)</b></li> <li>・ウサギ腰椎モデルにおいて本開発品の有効性が確認されたデータが論文としてアクセプトされた（K. Ando, et, al., J Orthop Res. 2018 Jul 27. doi: 10.1002/jor.24109）。</li> </ul>	
<p>⑤最終製品安定試験開始（メニコン、メニコンネク）</p> <p>本開発品を製品として販売する際に使用する容器の形状を検討した後、同容器の安定性・耐久性を確認する。</p>	<p>▶ <b>【進捗率 80% : △】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・容器見本の完成</li> <li>・容器形状のデザイン修正を行った。</li> <li>・最終容器試作完了。微修正の後、安定性試験を開始する。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・安定性試験規格決定</li> <li>・安定性試験開始</li> </ul>
<p>⑥治験開始準備（名古屋大学、メニコン）</p> <p>速やかに治験が開始できるよう、治験施設の選定、CRO の選定などの事前準備をおこなう。</p>	<p>▶ <b>【進捗率 90% : ○】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験プロトコル相談の準備と並行して CRO の選定を開始した。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・試験統計課の選定・契約締結</li> <li>・実施医療機関候補の調査／治験依頼</li> <li>・効果安全性評価委員会の委員調査／契約</li> <li>・CRO 契約締結</li> </ul>



2018 年度実施内容（業務計画書）	現時点での達成状況（計画変更理由を含む）	今後検討・実施すべき事項
<p>⑦販売パートナーとのビジネススキームの検討（メニコン、名古屋大学） 販売パートナーとの継続的な協議のもと、製品仕様（製品の容量などのバリエーションの有無）、卸値、販売計画、治験費用負担割合を決定し、最終成果として上記内容を事業計画のブラッシュアップを行う。</p>	<p>【進捗率 90% : ○】 ・販売パートナーとの面談実施(6/1、9/19)。 ・製品仕様として、容量、最終容器の形状を確定した。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・製品仕様の決定</li> <li>・販促用データの活用、KOL へのアピールの仕方についての協議</li> <li>・保険収載戦略</li> </ul>
<p>⑧保険収載の検討（メニコン、名古屋大学） 医政局経経済課との協議を行い、本開発品の保険収載・償還価格の決定について継続的に取り組む。最終成果物として、加算を狙うかどうかの判断を明確にし、狙う場合はそのための主張の骨子をまとめる。</p>	<p>【進捗率 80% : ○】 ・販売パートナーとの面談実施(6/1)。保険適用希望書の作成方針（加算の希望）について確認した。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・保険適用希望書の仮作成</li> <li>・医政局経経済課との協議</li> </ul>

## 1.7 委託事業の振り返り

### (1) 委託事業の到達点（総括）

本事業では、ゲルタイプの骨補填材という新たな製品開発に取り組み、本事業完了後に治験実施がのぞめる状態に到達することができた。その過程において、承認申請用データ、販促資料（論文・学会発表データ）および販売パートナーを獲得し、事業実現可能性が本事業開始時と比べて飛躍的に向上した。

領域	終了評価で特にアピールしたい点
薬事	・治験を実施できる状態に到達した。
知財	・物質特許を保持していることに加えて、応用特許が事業期間中に権利化された。
技術・評価	・動物を用いた有効性評価において、 $\beta$ TCP に比べて高い骨癒合を示すことが確認できた。同内容について論文かが完了した。 ・有効性以外にも、他社製品との差別化として、ゲルの特性を生かしたハンドリングの良さを明確に打ち出した。
その他事業化全般	・販売パートナーを獲得し、販売体制を強化することができた。 ・探索的治験の省略など、常に費用と期間の短縮を考えた方策を打ち出し、実行に移すことができた。

### (2) 当初目標達成度に関する自己評価

#### 1) 自己評価結果

A：当初目標を上回る成果を得た。

#### 2) 自己評価理由

本事業では販売パートナーの獲得が必須であり、実際に獲得できた。当初予想よりも市場への浸透の早さ、売り上げ規模の拡大が期待される。また、治験の実施について、実現可能な費用・期間による治験プロトコルを確定できた。

(3) チェックリストによる自己評価結果

市場	当該機器のニーズは特定の意見ではなく、客観的な情報で確認できていますか。	○十分
	当該機器の販売先(導入・普及場所)は明確になっていますか(一般、診療所、地域中核病院、高機能病院)。	○十分
	対象となる患者が明確になっていますか。	○十分
	対象となる疾病・診療科等が明確になっていますか。	○十分
	当該製品の業界特性は把握できていますか。	○十分
基本戦略	市場規模(導入・普及台数)は明確になっていますか。	△一部
	SWOT分析は十分に行っていますか。	△一部
	5Forces等の市場構造分析は十分に行っていますか。	△一部
	マーケティング戦略(市場のセグメント化、ターゲットとするセグメント、自社のポジショニング等)は明確になっていますか。	△一部
開発戦略	会社としての経営戦略上、当該製品の位置付けは明確になっていますか。	○十分
	臨床試験、申請、認可まで想定したスケジュールは明確かつ妥当ですか。	○十分
	コア技術の開発戦略は明確になっていますか。	○十分
	どのような効果があるか明確になっていますか。	○十分
	既存手段に比べた違いが明確になっていますか。	○十分
	どのようなリスク(含む禁忌)があるか明確になっていますか。	△一部
	既存手段に比べた違いが明確になっていますか。	△一部
	上市までに必要な開発費の想定、その調達計画はできていますか。	○十分
薬事	現行の薬事法下で承認が可能ですか(規制システム面、科学評価体系面)。	○十分
	ビジネスモデルに対応した業許を持っていますか。	○十分
	新医療機器、改良医療機器、後発医療機器のどれに該当するか整理できていますか。	○十分
	機器のリスク分類で、I~IVのどれに当たるか整理できていますか。	○十分
	臨床試験の必要性の有無が明確になっていますか。	○十分
	PMDAとの調整が進んでいますか。	○十分
	薬事法以外の規制についても対応が明確になっていますか。	△一部
	製品の利用方法が明確になっていますか。	○十分
	同時に利用する機器も含めて導入が実現可能になっていますか。	○十分
	これまでのルールや慣行に逆らわない利用方法になっていますか。	○十分
知的財産	当該製品に関連する先行特許調査は十分に行っていますか。	○十分
	当該製品に必要な先行特許についてはライセンス等で使用できるようになっていますか。	○十分
	開発後の特許調査についても実施することになっていますか。	○十分
	コア技術に関して、どのように保護するか(権利化/ブラックボックス)は明確になっていますか。	○十分
	権利化に必要な新規性だけでなく進歩性が明確になっていますか。	○十分
	必要な特許を必要な国に出願・登録していますか。	○十分
	意匠等の他の産業財産権について検討していますか。	△一部
	知的財産の権利化またはノウハウ保護に対する予算・体制・規程は確保されていますか。	○十分
模倣品・侵害者が現れたときの対応について明確になっていますか。	○十分	
販売・物流	販売チャンネルは明確になっていますか。	○十分
	当該製品の供給(生産、物流)体制は明確になっていますか。	△一部
	当該製品のアフターサービス体制、使用教育体制、クレーム処理体制は明確になっていますか。	△一部
	QMS等の品質保証体制が明確になっていますか。	△一部
	広報・普及計画は明確になっていますか。	△一部
事業収支	想定価格は顧客が感じる価値に見合ったものですか。	○十分
	製造原価(あるいは提供コスト)は明確になっていますか。	○十分
	売上、コスト(変動費・固定費)、利益、減価償却等を考慮した計数的な計画は明確になっていますか。	△一部
	十分な収益性が得られることが明確になっていますか。	△一部
その他	事業拡大に伴い、どのタイミングでどのような人材・資金がどの程度必要になるか明確になっていますか。	△一部
	海外に対する戦略は明確になっていますか。	○十分
	当該事業に対するリスクの洗い出しは十分に行われていますか。	△一部

#### (4) 委託事業期間全体を振り返って改善すべきだったと考える点

##### 1) 事業体制

- ・動物実験担当者の増員

信頼性基準（GLP 準拠）で有効性試験を実施する際、外部業者では思ったように実験が進まないことが多かった。各実験に専属の担当者をつけることができていれば、もっと速やかに動物実験を完了することができた。

- ・薬務・治験担当者の早期からの参加

より早期から薬務・治験担当者と協議を重ねることができれば、PMDA との交渉などをより円滑にスピーディーに行うことができた。

##### 2) 事業の進め方

- ・外部専門家の積極活用

従来 of 事業ドメインとは異なる新規事業案件であったため、社内に情報が少なかった。順次アドバイザーを獲得して進めたが、もっと早期から活用することができれば良かった。

- ・事務手続きの円滑化

事務手続きに不慣れで、迷いがあり、時間を取られる場面があった。手続きに詳しい人材を獲得または育成し、円滑に進めるべきであった。

##### 3) その他

- ・研究機関、製版企業、製造企業の活動の現場を訪問する回数をもっと増やすことで、それぞれが抱える課題への理解をより深めることができればよかった。

(5) 当初計画からの変更点（深耕点）とその理由

領域	変更前	変更後	変更理由
対象とする課題・ニーズ	使用方法について本開発品と骨片を混ぜ合わせることを前提としていた。	左記、前提に加えて、本開発品とβTCP製剤の組み合わせによる相乗効果について確認し、学会などでアピールすることとした。	事業性の観点から、将来の競合品との共存の可能性についてもデータが必要と判断したため。
機器スペック・ビジネスモデル	個包装単位の容量について、1mLを基準としていた。	販売当初は他社同様の容量での販売を決定した。	術式によって使用量に幅があり、販売パートナーと事業計画をブラッシュアップするうえでラインナップを考慮する必要が生まれたため。
事業化体制	研究開発参加者リストは研究者中心であった。	薬務、治験、社内プロジェクト統括など関係者を多く参加させた。	社内での体制をより充実させるため。多くの人材を巻き込んで事業を推進した。
事業化計画 (開発・薬事・上市スケジュール)	承認申請用データとして添付予定の動物を用いた有効性試験を名古屋大学で実施する。	試験実施は外注する（手術は名古屋大学医師が行う）。予備試験から開始し、PMDAとのフォローアップ面談を経て本試験を実施する。	動物を用いた有効性試験は信頼性基準で行う必要があり、動物の管理その他を名古屋大学で実施するのは困難であると判断したため、動物試験の受託機関の活用を決めた。また、PMDAからフォローアップ面談を活用してプロトコルを試験計画書まで具体的に落とし込むことの提案を受けたこともあり、確実な動物試験遂行のため、予備試験（予備検討）を実施することを決定した。
	探索的治験を実施後に、検証的治験をおこなう。	検証的治験のみをおこなう。	動物試験での置き換え、必ずヒトで行わなければならない研究はどの部分の見直しを行い、探索的治験が不要と判断した。これにより、費用・期間の大幅な削減ができた。

(6) 有識者委員会・伴走コンサルでの指摘事項とその対応

領域	指摘事項	対応
薬事	探索的治験について、不要ではないかと考えられる。	探索的治験実施を取りやめ、検証的治験のみで行くこととした。それに伴うスケジュールの見直しを実施した。
知財	特許の確認を十分に行うこと。	以下の通り、ビジネスを実施するにあたり十分な知財保護が得られていることを確認した。

領域	指摘事項	対応
		<p>① 自己組織化ペプチド<sup>®</sup>および高強度ペプチドゲル 特許第 4620804 号 出願日（優先日）： 2009 年 3 月 9 日</p> <p>② 自己組織化ペプチド<sup>®</sup>および高強度ペプチドゲル 特許第 5727737 号 出願日（優先日）： 2009 年 3 月 9 日</p> <p>③ 骨形成促進材 特許第 6042038 号 出願日（優先日）： 2014 年 6 月 30 日</p> <p>④ 自己組織化ペプチド誘導体の製造方法 WO2014/010721 出願日（優先日）： 2012 年 7 月 13 日</p> <p>⑤ 自己組織化ペプチド<sup>®</sup>ゲル 特開 2015-124212 出願日（優先日）： 2013 年 12 月 27 日</p>
技術・評価	先行開発品について、本開発品の PMDS 相談の際にアピールすること。	PMDA 相談において、先行開発品があることをアピールした。
その他事業 化全般	販売ルート of 早期確立とニーズの取り込み。	販売パートナーを獲得した。

(7) 継続条件への対応状況

継続条件	対応状況
なし	

## 1.8 2019 年度以降の実施内容に関する計画（案）

### <現状>

全体スケジュール：治験費用・期間について正確な予測が可能となった。

動物有効性試験：報告書が完成した。論文投稿も完了し、既存製品との差を明確に示した。

製品：販売用の最終容器の試作が完了し、来年度に安定性試験を開始する。

保険収載：今後、医政局経済課との協議を開始する。

### <想定顧客・想定市場・競合品>

2018 年度までの活動を通じて、当初目標よりも大きな市場への製品販売が可能であると判断した。競合品については、想定通りである。

### <差別化要因>

論文発表において、競合品の主材の一つである  $\beta$ TCP に対する優位性を示した。今後は治験データにより、さらにアピールできるかどうかを確認する。その他、ゲルという特性上、骨片をまとめることができる、また、小さな隙間を埋めることが容易であるといったハンドリング向上についても実験室レベルで確認できており、今後、臨床医からの評価を確認する。販売パートナーと、事業提携契約へステップアップする予定である。

### <投資回収計画>

PMDA 相談の結果から、スケジュールの遅延が新たなリスクとなるが、結果確認から最終報告書作成までの期間を短縮することでスケジュール遅延を最小限に抑える。現状、申請、販売開始年度の変更は生じないとして、年間売上額についても計画通りとする。

販売パートナーと販売計画のブラッシュアップを続ける。

## 1.9 事業に関する連絡窓口

株式会社メニコン

〒452-0805 愛知県名古屋市西区市場木町 390 番地 ミユキビジネスパーク 四号館

電話：052-325-7382 / FAX：052-325-7386 / E-mail：y-nagai@menicon.co.jp