

再生医療分野における特許戦略と 事業戦略の新しい実践的枠組の考察

森 田 裕*

抄 録 再生医療分野における開発は、これまでの低分子医薬品とは異なって、他者により特許化された基盤技術を利用する必要がある場面が多く認められ、特許を回避するよりも、そのような基盤技術を利用して早期の開発を達成する必要がある。また、特許の役割は差止による独占（自前主義）からオープンイノベーションによる技術流通に変わってきており、その中で要素技術保護の重要性が高まっている。また、再生医療分野においては、ビジネスモデルの在り方の自由度が大きく、特許保護に向く事業形態とそれに向けた特許戦略を車の両輪のようにマネジメントして競争優位性を確保できる枠組を構築する必要がある。本稿では、再生医療分野における固有の特許戦略と事業戦略の新しい実践的な枠組を考察する。

目 次

1. はじめに
2. 再生医療等製品
 2. 1 オープンイノベーション時代における基盤技術の特許化と実用化技術としての確立の重要性
 2. 2 基盤技術の導入の重要性
 2. 3 事例紹介
3. ビジネス形態と特許戦略
 3. 1 自家細胞に関する権利の危うさ
 3. 2 キメラ抗原受容体発現 T 細胞（CAR-T 細胞）の事例
4. 基盤技術の強力な権利化手法
5. おわりに

1. はじめに

これまでの低分子医薬品の時代からバイオ医薬品の時代へと時代の変遷が進み、世界の医薬品の売上ランキングの上位をバイオ医薬品が占めるようになった。また、再生医療が現実のものとなり、再生医療等製品に基づく医療技術を楽しむ時代がやってきた。この技術の変遷は、特許戦略に実に大きな変化をもたらしつつ

ある。第1には、開発が様々な基盤技術を利用せざるを得ない場合が増えているが、基盤技術自体が特許保護されており、自由に用いることができないという問題である。第2には、技術の変遷が進むとビジネス形態が変わるという問題である。特許は、ビジネスの競争優位性を確保するために獲得するものであるから、ビジネス形態が変われば、特許戦略も変わるのである。また、特許には得意分野と不得意分野が明確にあるから、得意分野を活用できる形態にビジネスを適合させる必要性もあり、ここに知財戦略と事業戦略を両輪としてマネジメントする重要性がある。本稿では、我が国の再生医療ビジネスをどのように発展させるべきなのかの実践的検討に資することを目的として、再生医療およびバイオテクノロジー分野で起きている事例を紹介しながら、ビジネスをどのように展開していくべきであるのか、特許戦略をどのように組み立てていくべきなのかの観点で考察する。

* 弁理士 Yutaka MORITA

2. 再生医療等製品

「再生医療等製品」は、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（医薬品医療機器等法）により定義される医薬品の分類である。医薬品医療機器等法では、再生医療等製品は、具体的には、以下のように定められている。

(1) 次に掲げる医療又は獣医療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したもの
イ 人又は動物の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成

ロ 人又は動物の疾病の治療又は予防

(2) 人又は動物の疾病の治療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に導入され、これらの体内で発現する遺伝子を含有させたもの

具体的な例としては、例えば、自家軟骨細胞を埋め込んだアテロコラーゲンであって、人に投与して軟骨機能の修復を行うもの；他家線維芽細胞であって、免疫活性化物質を表面に結合して、かつ、がん抗原ペプチドを発現するように遺伝子が導入されているもの；および酵素補充療法に用いられるウイルスベクターが挙げられている。もちろん、これらに限らず、上記定義に当てはまるものは再生医療等製品となり得る。

2. 1 オープンイノベーション時代における基盤技術の特許化と実用化技術としての確立の重要性

再生医療分野に限らず、バイオテクノロジー分野の医薬品開発においては、様々な基盤技術を利用して製品開発がなされる。上記の例では、前記の他家線維芽細胞は、様々ながん抗原ペプチドの搭載に利用可能な基盤技術である。また、酵素補充療法に用いるウイルスベクターも、

様々な酵素の搭載に利用可能な基盤技術である。これらの基盤技術は、製品を超えて共通したプラットフォームを提供するものである。

再生医療等製品を含むバイオテクノロジー分野の医薬品開発においては、このような基盤技術は重要であり、特許化の対象となっている。特に、そのような基盤技術を狙って特許化することは、広範にわたる製品を広く薄く保護することに繋がり、有益である。

ところで、多くの基盤技術開発において、当該技術が実用化技術となり得ることの実証研究が世界中で精力的になされている。実用化に有利であれば高額ライセンスが可能となるからである。例えば、米国食品医薬品局（FDA）に承認され得る実用化技術となることが一旦明らかになると非常に高額のリценズ料の対象となる。現在、遺伝子治療に用いられているアデノ随伴ウイルスベクター（AAVベクター）も高額のリценズ料で取引される技術となっている。

このようなライセンス料の高額化の背景には、人体への有効性及び安全性を確立することの高いハードルが挙げられ、独自開発により確立するには非常に長い時間と費用と、そして必ずしも成功しないというリスクが存在することがあるように思われる。これに対して、高いハードルを突破した技術を利用することによって失敗リスクを低減させ、かつ早期の製品開発を達成できるならば、利用者側には大きなメリットとなる。したがって、ライセンス料が高額であっても実用化に資する基盤技術をライセンス導入することは採用されるべき選択肢の一つとなり得るのである。

このことを考慮すれば、基盤技術については、その開発者が特許化を果たすと共に実用化技術として早期に仕立て上げて自社技術の実用化を促進し、あるいは、広く世界にライセンスして他者の開発を促進することは、社会的にも、ま

た、技術導出（ライセンスアウト）においても重要であることが明らかである。

2. 2 基盤技術の導入の重要性

当然であるが、有用な基盤技術の多くは特許化されている。しかも、多くの基盤技術は、その有用性ゆえに、高額なライセンス料で技術導出がなされる状況となっている。

製品開発において他者の特許が障害となる事態を避けることをまず考えてしまいがちであるが、一方で技術導入を回避することは必ずしも得策ではない。その理由は、リスクを低減した早期の製品開発を達成することは第1に重要であり、それが金銭的なことで達成できるならばそれほど簡単なことはないからである。これに対して、ライセンス導入を回避するために、重複的に代替技術を開発し、このために多くの時間、労力を犠牲にし、かつリスクを取ることは、技術革新の速度を大きく低下させる原因となる。このようなライセンス回避にどれだけの事業上の意義があるのかは十分に考慮される必要がある。

2. 3 事例紹介

上記のように、オープンイノベーション時代の特許戦略はすでに技術の独占を主体としたものから高額ライセンスアウトの戦略へとシフトしているように思われる。以下ではライセンス戦略事例を紹介しながら現状把握を試みる。

(1) Spark Therapeutics社の事例

Spark Therapeutics社（以下、「スパーク社」という）は、2017年12月に先天性遺伝子疾患の遺伝子治療薬としてFDAから初めて承認を受けた会社である。開発した医薬品は、網膜ジストロフィー治療薬であるLuxturna（ラクスターナ）である。スパーク社は、フィラデルフィア小児病院（CHOP）とアイオワ大学リサーチファ

ウンダーション（UIRF）からAAVベクターに関する臨床利用に関する開発権、商業的権利および特許のライセンスを受け、2013年に設立された。ライセンスを受けたAAVベクタープラットフォームはCHOPによる臨床試験結果に基づくものであり、これをスパーク社はオーファン遺伝子疾患を治療標的として開発した。新規株式公開時に米証券取引委員会に提出された証券登録届出書（FORM S-1；日本の目論見書に相当する）によるとスパーク社は自社特許を保有しておらず、すべての技術をライセンスインし、かつ、CHOPなどからの資金的援助やその他の技術援助を受け、オーファン遺伝子疾患を標的とすることで迅速な開発を成功させている。会社設立が2013年であり、FDA承認が2018年であることから、開発が5年以内で完結したことがうかがえる。これは、積極的なライセンスイン戦略によって自社開発を極限まで減らす戦略と、オーファン遺伝子疾患を選んだ事業戦略の賜物であると思われる¹⁾。

(2) REGENXBIO社の事例

REGENXBIO社（以下、「リジェンクス社」という）は、ペンシルバニア大学のJames Wilson博士らにより発見された新規AAVベクターに関する独占的なライセンスを取得している。これに基づいて構築されたNAV[®]テクノロジープラットフォームを自社開発に活用すると共に、他者に広くライセンスアウトしている。

2019年5月には、NAV[®]テクノロジープラットフォームを用いた脊髄性筋萎縮症（SMA）に対する遺伝子治療薬としてZOLGENSMA[®]がFDAにより承認され、大きな話題となった²⁾。プレスリリース時点で、リジェンクス社は、ZOLGENSMA[®]を開発したAveXis社から\$190M（約200億円）を獲得したと公表されている。

基盤技術では、その有用性や実用性が開発の大きな推進力となり、高額なライセンス料に繋

がり得る。また、独占するというよりも、収益向上のためにライセンスアウトすることが有利であり得、したがってライセンスアウトに積極的であり得る。すなわち、基盤技術に関する特許は技術を独占するためのものから共有するためのツールへと変わりつつあることが理解できる。

(3) Alnylam Pharmaceuticals社の事例

この事例は、ライセンサーとライセンシーとが市場で競合してしまった事例である。Alnylam Pharmaceuticals社（以下「アルライナム社」）は、トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー（TTH-FAP）の治療薬としてOnpattro[®]を上市した。これに対して、Akcea Therapeutics社およびIonis Pharmaceuticals社（以下、「アイオニス社」という）は、同一疾患の治療薬としてTegsedi[®]を上市した。薬価は、いずれも45万ドル／年である。FDA承認日がいずれも2018年であり、Onpattro[®]がTegsedi[®]よりも2ヶ月早く承認を受けており、強い競合環境が明らかである。

そのような中で、驚くべき事態が見出された。それは、アルライナム社が有効成分であるsiRNAの安定化技術について競合製品を開発したアイオニス社からライセンスインしていたという事実である。ライセンスインされたsiRNAの安定化技術は、RNAの2'-OMe修飾に関するものであった³⁾。

ライセンスアウトの経緯を調べると、アルライナム社が設立されたのはRNAiが発見された直後の2002年であり、安定化技術をライセンスインしたのは2005年であった⁴⁾。Onpattro[®]が上市したのが2018年であるからその遙か前からライセンスインしていたことになる。アイオニス社は1989年に設立された会社であり、RNA創薬に関する様々な技術を保有していた。アルライナム社は、RNAiを医薬応用するためにアイオニス社と連携し、かなりの早期から金銭的

な解決を持って技術導入を図り、協力してRNA創薬を行っていたようであった。2'-OMe修飾の技術は、有用な基盤技術となったわけであるが、協力関係を築けている間にライセンスインすることで、上記技術を活用し、医薬品開発を成功させたのがアルライナム社であったのである。他者へのライセンスアウトはときに諸刃の剣であるが、アイオニス社も共同開発で得るものがあつたのかも知れない。いずれにしても、アルライナム社は首尾よく潜在的な競合会社（当時協力関係にあつた）から重要技術をライセンスインすることで開発を高速化させ、成功させたのである。なお、アルライナム社は、siRNAのデリバリー技術に関しては、Provita Pharmaceuticals社から脂質小胞に関する技術の特許をライセンスインしており⁵⁾、医薬品開発の成功は、これらのライセンスに強く依存している可能性が示唆される。

この事例は、核酸医薬の事例であり、再生医療等製品ではないが、他者により特許化された基盤技術を応用して技術開発をするという観点では、再生医療等製品の開発戦略にも参考になる事例であると考えられる。

(4) Sarepta Therapeutics社の事例

Sarepta Therapeutics社（以下、「サレプタ社」という）は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）を治療する核酸医薬であるExondys 51[®]について、2016年にFDA承認を受けた。しかし、彼らは特許リスクのない中で開発を成功させたわけではなかった。

サレプタ社のExondys 51[®]は、DMDの原因となるジストロフィンの変異を、エクソン51をスキップさせることにより除去し、短いが活性が高いジストロフィンを産生させてDMDを治療するという治療戦略に基づく医薬品であった。

しかし、エクソン51のスキップ技術については、これを保護する米国特許⁶⁾よりも早く出願

した特許⁷⁾を競合であるBioMarin社（以下、「バイオマリン社」という）が独占ライセンスを保有していた。そして、バイオマリン社の特許の方が広い技術的範囲を有しており、Exondys 51[®]はこの特許に抵触していた。

これらの特許は、2013年より前に出願された特許であったため、先発明主義の下でいずれに特許が付与されるのかを決定するインターフェアランス手続がなされていた。サレプタ社は、出願日が後であった自社の特許が認められるべきとしてバイオマリン社とインターフェアランス手続で争っていたのである。

結局、Exondys 51[®]の承認の数ヶ月後の2017年6月にサレプタ社はバイオマリン社からライセンスを受け、\$35Mの一時金とロイヤリティーの支払いをすることで決着している。

この事例では、特許侵害リスク覚悟の開発がなされていたことが明らかである。もはや、特許侵害のリスクは、開発をしないという決定を結論付けるものではなく、開発リスクの1つとして相対的に位置付けられるように変貌していると思われる。

なお、バイオマリン社の特許であるが、これはバイオマリン社がライセンスインした特許であり、ライセンスインして得た特許を活用してライセンス料を得たという事例であり¹⁾、技術導入が競合企業からの収益に繋がった事例としても興味深い。

(5) CRISPR/Cas9システムの事例

CRISPR/Cas9システムは、ゲノム編集を変える革新的技術であり、もはや遺伝子改変の技術分野において欠かすことのできない必須の基盤技術である。

CRISPR/Cas9システムについては、広くライセンスし、ライセンス料を回収する仕組みが構築され、世界中の企業でライセンスを行ってこの便利で画期的な技術がもたらす果実を享有

している。この意味で、CRISPR/Cas9システムの特許は、技術流通のための特許である。

このライセンスを目的とした特許の出願戦略は極めて興味深い。それは、カリフォルニア大学がCRISPR/Cas9について1つのPCT出願をする間に、ブロード研究所は、米国仮出願61/736,527に基づいて11件のPCT出願（他正規の米国出願を20件程度）を完了していたというところに始まる。

1つの技術開発において、アカデミアの機関がPCT出願を11件出願するということが日本では考えにくいところであるが、その技術に資金を集中投資しようという経営判断である。各PCT出願では技術を細分化して特徴付け、異なるPCT出願として各国に移行する力の入れようである。そして、この経営判断は奏功したように思われ、ブロード研究所の特許は各国において様々に成立し始めている。

これに対して、カリフォルニア大学は、仮出願61/652,086を2012年5月25日に出願し、2012年6月28日にサイエンス誌のオンライン版で論文を公開した。他の競合チームの出願は、この論文公開後に出願されたものが多く、論文公開が他のチームによる出願の特許化の歯止めの役割を果たしているようにも見受けられる。カリフォルニア大学の出願は、PCT出願こそ1件であったが、当該PCT出願の米国国内移行出願であるUS13/842,859からは、約120件の継続出願を行い、多面的に技術の権利化を図っている。そのうち、2020年12月時点において登録されているカリフォルニア大学の36件の特許⁸⁾を詳細に分析したところ、これらの特許は、一本型sgRNAか、crRNAとtracrRNAのハイブリダイズ領域の短縮のいずれかを構成要件として有する技術が権利化されているようであるが、これについてマトリックスシート上で整理したところ、1つのPCT出願を活用して、小さなタイトル（無効にし難い特許）が敷き詰められたかのよ

うな抜けのない特許網を構築していることが分かってきた⁹⁾。世界中から特許を無効にされるリスクに耐える特許網構築のため、この細分化特許のタイルを敷き詰めてCRISPR/Cas9を包括的に権利化する戦略は有効であろう。重要基盤技術に対する米国アカデミア機関の資金投入の大きさと戦略の精緻さが我が国とは全く異なる点は、注目すべきポイントである。

(6) 小 括

近年の医薬品開発は、多数の基盤技術を統合して成し遂げ得るものであり、それぞれの基盤技術が特許保護されている中ではライセンス戦略は益々重要性を増している。

特にクリアランスの考え方が、低分子医薬品の開発のときとは全く異なっていることには目を見張るものがある。特許リスクは、開発しないことを決定付けるものではなく、開発リスクの一つに過ぎないと位置付けに変わっているように思われる。上記事例では、特許リスクが顕在化している中でFDA承認を得たサレプタ社のようなベンチャー企業が現れている点は興味深い¹⁾。

ところで、FDA承認薬の多くがベンチャー企業由来となっている現状において、ベンチャー企業への十分な資金調達と、技術導入による開発の高速化と開発リスクの低減は重要となる。ベンチャー企業に対する投資に関して、ライセンスインに十分な資金枠を提供できる枠組を確立することは日本発バイオベンチャー企業の開発力強化において喫緊の課題であるといえる。国の公的資金の投入に関しても同様であり、再生医療分野を含むバイオテクノロジー分野においては、障害となる特許のある技術開発にも積極的に資金を投下していくべきであろう。障害となる特許は、対処していくべき課題の一つに過ぎないと考えられるのである。

3. ビジネス形態と特許戦略

特許は、市場に出回る製品やサービスに対して権利化することが有効であると考えられる。この点に関して、従来の低分子医薬品では市場に出回る製品は、有効成分である低分子化合物を含むパッケージされた医薬品であり、製薬会社が製造販売するものであった。したがって、特許の対象も低分子化合物を含む医薬品であり、明確であった。

しかし、再生医療等製品の分野では状況が大きく異なるように思われる。

再生医療の中心は、細胞や臓器の移植による治療である。この移植医療において、同種異系の細胞や臓器（すなわち、他人の細胞や臓器）を移植すると拒絶反応が生じて移植した細胞や臓器が拒絶されることが知られている。また、造血幹細胞移植では、移植した造血幹細胞等に由来するリンパ球が移植を受けた患者を攻撃する移植片対宿主病（GVHD）が知られている。これらは、他者の細胞が混じることを原因とする副作用である。

このような副作用を減じるために、細胞を用いる再生医療では、自家細胞（自分自身の細胞）を加工して活性化等して自身に戻すということがよく行われている。この場合、どのようにビジネスモデルを構築し、どのような特許権利化を果たすのが有効なのだろうか。以下では、この点を論じる。

3. 1 自家細胞に関する権利の危うさ

自家細胞が再生医療技術の中心となる場合に、ビジネスモデルの作り込みが重要である。結論から述べると、自家細胞を用いる再生医療においては、病院外で細胞を加工するビジネスモデルの作り込みが必須となるということである。その理由を以下に説明する。

病院外で細胞を加工しないビジネスモデルと

して、全プロセスが病院内で完結するケース、すなわち、病院の中で患者から細胞が単離され、それが病院内で加工され、加工された細胞がそのまま病院内で患者に戻されるというケースを想定する。このようなケースでは、細胞は医師により採取され、医師または医師の指示に基づいて医療従事者が細胞を加工し、医師が患者に加工した細胞を戻すということが行われる。

このときに、細胞に対する特許権や細胞の加工方法に対する特許権を権利行使する相手は誰になるかを検討してみよう。そうすると、医師や医師の指示に基づいて細胞を加工する医療従事者が権利行使の対象となることが分かる。ここで、多くの国では、医療行為については権利化が認められていないし、医療行為に対する権利行使も認められていない。このような権利化および権利行使の限界がある中で、病院内で実施される再生医療に向けて特許権を取得する意義はあるといえるであろうか。特許は、競争に対する競争優位性を確保するために取得する以上、権利化や権利行使の困難な戦略を採用するメリットはないと考えられる。

したがって、このような自家細胞を用いる再生医療においては、細胞加工センターを病院とは別に病院外に設け、ここで加工するビジネスモデルを必要とするのである。一旦、細胞加工センターで細胞を加工するビジネスモデルを採用するならば、市場に出回る製品は細胞となり、特許を有効に権利行使できるようになる。また、品質管理等々の面からも細胞加工センターで細胞を加工することにはメリットがあるし、そこで用いられる加工方法についても権利化することで、競争に対する競争優位性を確保する道が拓かれると考えられるのである。方法を特定の細胞加工センターに閉じて実施することによってノウハウとして重要な加工技術を秘匿化することも可能となる場合がある。再生医療では、特許化が難しい場合があることが知られ、その

ような場合にも、細胞加工センターで細胞を加工するスキームは馴染む。

3. 2 キメラ抗原受容体発現 T 細胞 (CAR-T 細胞) の事例

近年、がん免疫療法としてがん抗原に対する特異性を有するキメラ抗原受容体を T 細胞に発現させて、T 細胞をがん細胞に標的化させると共に、標的化した T 細胞を活性化させ、がんを治療する方法が確立され、世間を賑わせている。

ノバルティスファーマ社が承認を受けたキムリア[®]は、病院で患者から T 細胞を回収し、米国の細胞加工センターでキメラ抗原受容体を発現するように細胞を加工して、病院で患者に加工した T 細胞を戻すことでがんを治療する。2020年11月には、神戸医療産業都市推進機構でキムリア[®]の市販製品の製造・供給を可能とする製造販売承認事項の一部変更の承認がなされたが、いずれにしても、病院外で細胞を加工するスキームが採用されている。

このようなスキームの下では、最終製品は、CAR-T細胞を含む細胞製剤であり、これが市場に出回る製品であるということになるから、これを保護するように特許を成立させることが望ましい。もちろん、T細胞にCARを発現させるためのCAR発現ベクターも権利化の対象足り得るが、付加価値が最も高いのは細胞製剤であるから、細胞製剤を権利化対象とすることが望ましい。

CAR-T療法の場合、仮に病院内で細胞を加工するという場合には、CAR-T細胞の権利を取得することが望ましくないことは上述の通りである。したがって、CAR-T細胞を作製するためのCAR発現ベクターキットについて承認を取得し、キットに向けて権利を取得することもあり得たであろうが、それは、付加価値の高さからすると当然に細胞製剤には及ばなかったであろう。薬価その他のビジネス上の問

題を考慮しても、細胞を最終製品とする戦略は合理的であるように思われる。もちろん、病院で加工するよりも専門的な技術者を揃えた細胞加工センターで細胞を加工した方が品質管理の面でも有利であろう。

したがって、CAR-T細胞等の自家細胞の移植に関するビジネススキームとしては、原則として、病院外の独立した細胞加工センターで細胞を加工するスキームが優れていることが理解できる。

このように、ビジネススキームの想定と特許保護の対象は、密接に関連し、状況によって変わりうるということが戦略上重要なポイントなのである。したがって、特許権利化に際しては、どのようなビジネススキームが合理性を有するかを出願前から議論し、そのビジネススキームの下で最も適切な保護対象を保護することを考えなければならないのである。

また、医薬品に対する特許に関しては、特許の存続期間の延長登録を考慮する必要もある。具体的には、医薬品に対する特許に関しては、5年を上限とした特許の存続期間の延長が可能となる制度が各国において存在する。CAR-T細胞が有効成分であるときに、例えば、発現ベクターの特許が延長登録の対象となるかは、極めて微妙な問題である。例えば、米国特許法第156条によれば、製品をクレームする特許の存続期間が延長の対象であり、製品には医薬製品が該当するが、医薬製品とは有効成分をいう。したがって、有効成分をクレームする特許の存続期間が延長の対象となる。細胞製剤が製品であるのに対して、CAR発現ベクターを権利化している場合、ベクターは有効成分ではないので延長登録の対象とならないリスクがある。このように、有効成分をどうするかは、特許の存続期間の関係においても重要である。

4. 基盤技術の強力な権利化手法

以下では、基盤技術の権利化はどのような指針に基づいて行うのが有効であるかを論じる。

ここでは、筆者が見出したiPS細胞の製造技術の中心部分の権利化に成功したホワイトヘッド研究所の特許を紹介し、基盤技術保護の要諦となる戦略を抽出する。

今回紹介する特許は、米国特許第8,071,369号である。この特許では、簡単に言えば、Oct4蛋白質を強制発現させた初代体細胞を含む組成物が権利化されている¹⁰⁾。

現在では、iPS細胞の製造においては、体細胞にOct4を発現させることがほぼ必須であることが知られている。したがって、上記特許は、iPS細胞の製造技術の中心を押さえた特許であるということができる。

この特許の出願年は2003年であり、iPS細胞が樹立された2006～2007年よりも前の出願である。出願の内容を見てみると、山中因子などを探索するための系として、少しだけ初期化し易くなったOct4発現細胞が開示されていた。Oct4を単独で発現する細胞であり、初期化には至らなかったのである。

初期化できず、初期化し易くなるだけのこの発明は、Oct4単独でも達成できる簡単な発明である。ハードルが低いがためにOct4のみで達成でき、他の因子は不要であるから広く権利化ができるという利点がある。これに対して、多くの初期化の特許は、Oct4に加えて他の初期化因子を必要とする技術であったがために、Oct4と他の初期化因子を使うとの限定のある狭い特許しか成立していない。すなわち、初期化できなかった発明で最も広い権利が成立し、初期化したノーベル賞級の発明でははるかに狭い権利しか成立しなかったのである。

この点は重要である。効果を高めようとするとうと達成条件が厳しくなって発明を選りすぐる必

要が生じて発明が狭くなり、特許戦略上は却って不都合が生じるからである。そうすると、むしろ低い効果を狙った発明として発明を抽出した方がよいということになる。しかも、この場合には実施例の取得量の勝負にはなりにくい。事実、上記特許では結果としては表が1つ掲載されるのみであり、実施例は実験の説明で1段落、結果の説明で1段落が記載されただけなのである。実施例を多く取得できないアカデミアやスタートアップでは、効果を低くして乗り越えるべき技術的ハードルを低くし、サポート要件の突破を容易にするこの戦略的手法は有効である。ホワイトヘッド研究所が最近成立させた特許¹¹⁾では、体細胞の初期化に対する感受性を高める方法が権利化されているが、これもOct4のみで達成できる発明である。初期化する方法は、Oct4のみでは達成できず、実施可能要件やサポート要件を満たさないことが明確であるためそのような権利の追求はなされていない。すなわち、ホワイトヘッド研究所は、戦略的に発明に求める効果を意識的に低く記載することで広い権利化を達成する手法を実践しているのである。米国のアカデミックな研究機関がこのような高度な特許戦略を実践していること自体が驚くべき米国の実態である。

再生医療分野ではアカデミア発のシーズはこれからも多く創成されるであろうと考えられる。資金的にも人員的にもリソースが限られるアカデミアおよびスタートアップにおいては特に、効果の低い進歩性のある発明の権利化を目指す戦略的取り組みは大いに参考になるに違いないと筆者は確信している。

5. おわりに

本稿では、低分子医薬品の時代には存在し得なかったバイオテクノロジー分野の新しい特許戦略の戦略的枠組について論じた。特許の役割が、差止からライセンス料による収益化に変遷

を見せつつある中で、技術流通のための特許という考え方がより一層重要になることが明らかとなった。また、技術流通のためには実用化技術としての早期の確立が極めて重要であり、それによって高額の特許料で技術を流通させると共に、皆でその技術を共有して技術開発を促進させることにより社会的使命も果たすことができることも明らかとなった。その反面、特許化が進む基盤技術についてライセンスインすることにより、開発リスクを低減させ、開発の時間を短縮するライセンスイン戦略は、すべての研究開発企業を取り入れるべき戦略であると考えられる。また、紹介した事例の中には、障害となる特許に対する侵害リスクを抱えながら開発を進め、成功させるアグレッシブな戦略事例も認められた。

再生医療においては、病院外で細胞を加工するスキームの作り込みが重要となるであろうことを述べた。また、特許化の際には市場に出回る製品やサービスに向けて権利化することが重要であるが、特許の存続期間の延長の観点では、それが医薬有効成分であるように設定することの重要性も述べた。

さらには、基盤技術の広い権利化のためには、効果の高さに依存しない特許戦略、もっと言えば、進歩性がある効果の低い発明の探究とその権利化が重要であることも述べた。これにより少ない取得実施例で広い権利を確保する手法は、アカデミアやスタートアップ向きの強力な戦略であり得ることを紹介した。

これらの戦略はいずれも低分子医薬品時代には存在しなかった戦略であるが、再生医療においては、最重要視されるべき戦略であると筆者は考えている。日本のアカデミアおよび産業界が特許のこの位置付けの変遷を明確に認識し、新しいこの戦略的枠組を活用することによって日本の技術開発を強力に推進することができるであろうと筆者は考えている。

注 記

- 1) 大澤健一, 横田修孝, 森田慶子, 小林元悟, 田中信治, 櫻井通陽, 森田裕, パテント, Vol.71, No.10, pp.25-41, 2018
- 2) REGENXBIO社の2019年5月24日のプレスリリース
- 3) 米国特許第9,943,539号および米国特許第9,943,538号
- 4) アイオニス社の2005年9月12日のプレスリリース
- 5) 米国特許第9,364,435号および米国特許第8,822,668号
- 6) 米国特許第8,48,6907号
- 7) 米国特許第7,534,879号
- 8) 米国特許第10,000,772号, 米国特許第10,077,445号, 米国特許第10,113,167号, 米国特許第10,227,611号, 米国特許第10,266,850号, 米国特許第10,301,651号, 米国特許第10,308,961号, 米国特許第10,337,029号, 米国特許第10,351,878号, 米国特許第10,358,658号, 米国特許第10,358,659号, 米国特許第10,385,360号, 米国特許第10,400,253号, 米国特許第10,407,697号, 米国特許第10,415,061号, 米国特許第10,421,980号, 米国特許第10,428,352号, 米国特許第10,443,076号, 米国特許第10,487,341号, 米国特許第10,513,712号, 米国特許第10,519,467号, 米国特許第10,526,619号, 米国特許第10,533,190号, 米国特許第10,550,407号, 米国特許第10,563,227号, 米国特許第10,570,419号, 米国特許第10,577,631号, 米国特許第10,597,680号, 米国特許第10,612,045号, 米国特許第10,626,419号, 米国特許第10,640,791号, 米国特許第10,669,560号, 米国特許第10,676,759号, 米国特許第10,752,920号, 米国特許第10,774,344号, 米国特許第10,793,878号
- 9) 先行技術に開示のない複数の新しい技術事項それぞれについて, 各技術事項を満たすか満たさないかで発明を分類し, それぞれを権利化するイメージである。
- 10) 米国特許8,071,369号のクレーム1では, “A composition comprising an isolated primary somatic cell that comprises an exogenously introduced nucleic acid encoding an Oct4 protein operably linked to at least one regulatory sequence.” が権利化されているので, 厳密なクレーム解釈はこの文言に従って行われたい。
- 11) 米国特許第10,017,744号

(原稿受領日 2020年12月11日)

