



令和3年 (2021年) 7月2日(金)

No. 15446 1部377円(税込み)

発行所

一般財団法人 経済産業調査会
東京都中央区銀座2-8-9 (木挽館銀座ビル)
郵便番号 104-0061
[電話] 03-3535-3052 [FAX] 03-3535-5347
近畿支部 〒540-0012 大阪市中央区谷町1-7-4
(MF天満橋ビル8階) [電話] 06-6941-8971

特許ニュースは

●知的財産中心の法律、判決、行政および技術開発、技術
了測等の専門情報紙です。

定期購読料 1カ年61,560円 6カ月32,400円
(税込み・配送料実費)

本紙内容の全部又は一部の無断複写・複製・転載及び
入力を禁じます(著作権法上の例外を除きます)。

経済産業調査会ポータルサイト <https://www.chosakai.or.jp/>

目次

☆令和2年度特許出願技術動向調査 [2]

—中分子医薬—…………… (1)

☆商標審査を約2倍の速度で! SPEED UP! (12)

令和2年度特許出願技術動向調査 [2]

—中分子医薬—

特許庁審査第三部審査調査室 特許庁総務部企画調査課

1. はじめに

医薬品には様々なモダリティ(治療手段)が存在していますが、モダリティを、その「分子量」という観点から見ると、「低分子医薬」の大半が分子量500以下であるのに対して、「抗体医薬」等は分子量が10,000を超えています。これら低分子量医薬品と高分子量医薬品の「中間的な分子量」を有する医薬品を「中分子医薬」と称していますが、その分子

量域については明確な定義はありません。

「中分子医薬」は、「低分子医薬」や「抗体医薬」では標的とすることができなかった細胞内タンパク質間相互作用に主として対応し、かつ化学合成が可能な、新たな医薬として期待されています。「中分子医薬」は、「低分子医薬」の長所(経口投与が可能、製造コストが低い)と、「抗体医薬」の長所(特異性が高く、副作用が少ない)を併せ持ち、また、現状



伊東国際特許事務所

会長 長
副会長 副所長
知財統括部長

*弁理士 伊石 隆治
*弁理士 東原 淳
*弁理士 新山 圭一
*弁理士 横川 二一
*弁理士 新松 晃
*弁理士 本村 猛
*弁理士 田村 真
*弁理士 鈴木 子
*弁理士 寺本 隆
*弁理士 岩岡 介
*弁理士 川崎 平
*弁理士 小野 亨
*弁理士 本田 晴
*弁理士 中嶋 子
*弁理士 中金 紀
*弁理士 柳町 友
*弁理士 藤田 亜
*弁理士 西小 康
*弁理士 大木 恵
*弁理士 大貫 進
*弁理士 スティーブントウ
*弁理士 塗 琪

所長 長
副所長 副所長
商標部長

◎*弁理士 伊藤 新
*弁理士 藤村 加
*弁理士 新加 川
*弁理士 川村 山
*弁理士 杉山 永
*弁理士 原 寿
*弁理士 藤口 美
*弁理士 田口 清
*弁理士 稲上 雅
*弁理士 水口 綾
*弁理士 山池 大
*弁理士 山口 義
*弁理士 酒井 陽
*弁理士 佐井 博
*弁理士 佐々木 誠
*弁理士 請園 信
*弁理士 瀬井 寛
*弁理士 山口 昭
*弁理士 張 則
*弁理士 柳 光

副所長 長
副所長 副所長

*弁理士 重樹 諭
*弁理士 智直 弘
*弁理士 智雅 公
*弁理士 均子 志
*弁理士 美洋 子
*弁理士 清綾 大
*弁理士 義陽 博
*弁理士 正俊 尚
*弁理士 信博 剛

顧問 弁理士 山口 昭
中国弁理士 張 則
韓国弁理士 柳 光

副所長 長
副所長 副所長

*弁理士 吉宮 渡
*弁理士 邊井 村
*弁理士 坂中 青
*弁理士 中野 山
*弁理士 遠藤 部
*弁理士 磯猪 侯
*弁理士 猪谷 田
*弁理士 森谷 東
*弁理士 板東 藤
*弁理士 佐藤 村
*弁理士 島下 真
*弁理士 山押 由
*弁理士 秋友 美
*弁理士 友 涼
*弁理士 友 徹

顧問 弁理士 川崎 芳
中国弁理士 郭 李
韓国弁理士 郭 李

*付記弁理士(特定侵害訴訟代理) ◎米国/パテントエージェント(登録) ◎米国/パテントエージェント(合格)

製薬企業が保持している「低分子医薬」の創薬研究体制を活用できる医薬である点や、AI技術を用いることが想定される点でも、注目を集めています。

このような背景の下、本調査では、「中分子医薬」のうち、「ペプチド医薬」及び「核酸医薬」を対象として調査を行いました。

①調査範囲

・特許文献

出願年(優先権主張年):2008年~2018年

出願先国・地域:日本、米国、欧州、中国及び韓国の5か国・地域

使用した商用データベース:Derwent World Patents Index (DWPI)

(キャメロット ユーケイ ビットコ・リミテッドの登録商標、Clarivate Analytics社提供)

調査対象文献数:日本公報を含むファミリー約8,700件

外国公報のみのファミリー約23,900件

・非特許文献

発行年:2011年~2019年

使用した商用データベース:SCOPUS(エルゼビア ビービーの登録商標、Elsevier社提供)

調査対象文献数:約10,000件

②調査手法

・特許文献

中分子医薬に関する出願を抽出するために、国際特許分類、ペプチド医薬、核酸医薬に関連するキーワード等を組み合わせて検索を行いました。特許公報(明細書)の読込により中分子医薬に関する出願かどうかを判断し、「要素技術」と「応用分野」に大別し技術分類を付与しました。

・非特許文献

特許文献の検索式と同様のキーワードを組み合わせ検索を行いました。論文の抄録から特許文献と同様に読込により中分子医薬に関する論文かどうかを判断し技術分類を付与しました。

本調査において中分子医薬として採りあげるペプチド医薬及び核酸医薬には、それぞれその構造、作用機作から様々な種類が存在します(表1)。

本調査では中分子医薬を「要素技術」と「応用分野」に大別しました。中分子医薬の「要素技術」は、新規な中分子医薬を探索し、その特性を最適化し、製剤化し、医薬品として製造するまでの過程で必要な技術であり、具体的には「作用機序の設計」、「中分子医薬の設計」、「製造技術」、「製剤技術」、「インフォマティクス」の技術から構成されています(表2)。

中分子医薬の「応用分野」は、疾患の「予防・治療薬」あるいは、「診断薬」としての活用です(表3)。

表1 中分子医薬の種類

調査対象の中分子医薬の種類	概要
ペプチド医薬	中分子鎖状ペプチド、環状ペプチド、様々な非ペプチド性の部分構造を組み合わせ天然ペプチドの構造を模倣(ミミック:mimic)したペプチドミメティック、天然の抗体よりも分子量の小さなマイクロ抗体等から構成される
核酸医薬	標的とするmRNA等に結合して分解を促進する、あるいはスプライシングの際、エクソンをスキップさせるアンチセンス、標的とするmRNAの分解を促進する二本鎖RNA(siRNA)、疾患で低下しているmiRNAの機能を補強する二本鎖RNA又はヘアピン型一本鎖RNAのmiRNA mimic、疾患遺伝子等の転写因子に結合し標的遺伝子の発現を抑制するデコイ、抗体と同じように標的を認識・結合するアプタマー等から構成される

表2 中分子医薬の「要素技術」

要素技術	概要
作用機序の設計	新規作用機序の提言や改良
中分子医薬の設計	分子デザイン、化学修飾(機能性グルーブの付加)、評価・選抜方法、ライブラリーの作製方法
製造技術	合成技術、精製技術、品質管理
製剤技術	ドラッグデリバリー(キャリアを用いるもの、デバイスを用いるもの、その他)、保存安定化
インフォマティクス	配列の設計、in silicoライブラリー構築、物理化学的性状、毒性、オフターゲット効果、薬物動態、高次構造の予測

中分子医薬の技術俯瞰図を以下に示します(図1)。

日米欧を中心に、これまで120品目のペプチド医薬が上市されてきました(2020年5月末時点)。うち1/4は糖尿病治療薬で、インスリンやグルカゴン、Glucagon-like peptide-1 (GLP-1)などの天然の生理活性ペプチドホルモンとこれをもと

2. 市場動向

(1) ペプチド医薬

表3 中分子医薬の「応用分野」

応用分野	概要
予防・治療薬	ペプチド医薬:アミノ酸が複数つながった構造を持ち、主として生理活性成分あるいは生理活性成分の作用を阻害することで薬効を発揮する。 核酸医薬:蛋白質の発現を介さずに直接、標的に作用するオリゴ核酸(オリゴヌクレオチド)を薬効の主体とする
適応疾患	がん、感染症、血液・免疫系疾患、内分泌・代謝系疾患、神経系疾患、神経・筋疾患、循環器系疾患、呼吸器系疾患、消化器系疾患、肝疾患、眼疾患、筋骨格・結合組織系疾患、皮膚疾患、泌尿器・生殖器系疾患、免疫賦活等
診断薬	ペプチド医薬及び核酸医薬を成分として含み、生体内で標的とする細胞・分子等を検出する

中分子医薬の種類

今回の調査対象:

- ペプチド医薬(中分子鎖状ペプチド、環状ペプチド、ペプチドミメティック、マイクロ抗体等)
- 核酸医薬(アンチセンス、siRNA、microRNA、アプタマー、デオイ、CpGオリゴ等)

調査対象外:

中分子量の合成化合物(非ペプチド性天然化合物あるいはその誘導体等)

応用分野

【予防・治療薬】

ペプチド医薬:アミノ酸が複数つながった構造を持ち、主として生理活性成分あるいは生理活性成分の作用を阻害することで薬効を発揮
核酸医薬:蛋白質の発現を介さずに直接、標的に作用するオリゴ核酸(オリゴヌクレオチド)を薬効の主体とする

【診断薬】

ペプチド医薬及び核酸医薬を成分として含み、生体内で標的とする細胞・分子等を検出する

【適応疾患】

「がん」、「感染症」、「血液・免疫系疾患」、「内分泌・代謝系疾患」、「神経系疾患」、「神経・筋疾患」、「循環器系疾患」、「呼吸器系疾患」、「消化器系疾患」、「肝疾患」、「眼疾患」、「筋骨格・結合組織系疾患」、「皮膚疾患」、「泌尿器・生殖器系疾患」、「免疫賦活」等

タンパク質・ペプチド化学

核酸化学 薬学

分析化学 材料科学 情報科学

要素技術

【作用機序の設計】

→中分子医薬として機能し得る作用機序の提示

【中分子医薬の設計】

・分子デザイン

- i) ペプチド医薬(配列の変更、アミノ酸構造の変更、環状化、低分子化等)
- ii) 核酸医薬(基本骨格の変更、一次構造のデザイン等)

・化学修飾(脂肪酸、PEG、細胞膜透過ペプチド、ターゲティング分子、糖鎖等)

・評価・選抜方法

・ライブラリーの作製方法等

→医薬品の原料となる化合物レベルでの機能の向上

【インフォマティクス】

- ・予測の対象(配列の設計、タンパク質間相互作用、in silicoライブラリー構築等)
- ・予測手法(ニューラルネットワーク、機械学習、深層学習等)
- ・予測に用いるデータの種類の(シミュレーションデータ、オープンデータ・データセット、実験・実測データ、医療データ等)

→探索過程の最適化

【製剤技術】

・ドラッグデリバリー

- i) キャリアを用いるもの(リポソーム、ナノ(マイクロ)粒子、カプセル、デンドリマー、エクソソーム等)
- ii) デバイスを用いるもの(エレクトロポレーション、マイクロインジェクション等)

・保存安定化等

→製剤上の工夫による機能の向上

【製造技術】

・合成技術(有機合成、バイオ法等)

・精製技術(クロマトグラフィー、膜等)

・品質管理等

→コスト、収率、純度等に関わる製造の効率化

課題

- ・オフターゲット効果の抑制
- ・結合親和性の向上
- ・細胞内タンパク質間相互作用の標的化
- ・特異性の向上
- ・複合機能化
- ・経口投与
- ・細胞膜透過性の向上
- ・生体内安定性の向上(酵素分解耐性等)
- ・毒性の低下
- ・免疫原性の抑制
- ・目的組織への送達(ターゲティング)
- ・薬物動態の改善(血中滞留性等)
- ・キャリアーの制御
- ・コスト低下
- ・収率向上
- ・純度向上等

図1 【技術俯瞰図】

に即効性、あるいは作用の持続時間の延長といった工夫を施した改良型ペプチド医薬品がペプチド医薬の主流です。また上市品目数の多い企業を見ても、Sanofi、Novo Nordisk、Eli Lilly、Pfizer、Ferring、GlaxoSmithKline等、欧米の大手～中堅

の製薬企業が中心となっています。

企業が行っているペプチド医薬の臨床開発状況について、企業国籍別－Phase別に表4に示します。2020年5月末時点で、30か国に及ぶ324社・474件のペプチド医薬の臨床試験が行われています。

表4 ペプチド医薬の企業国籍別－Phase別臨床開発状況(2020年5月末時点)

Phase 企業国籍	Phase 1	Phase 1/2	Phase 2	Phase 2/3	Phase 3	合計
日本	7	4	18	0	6	35
米国	66	21	83	4	29	203
欧州	65	22	63	0	18	168
中国	5	0	2	0	1	8
韓国	5	0	2	0	1	8
その他	8	11	20	1	12	52
合計	156	58	188	5	67	474

出典：各社ホームページ、及びNIHの臨床試験登録サイトClinicalTrials.gov

(<https://www.clinicaltrials.gov/>)、EU Clinical Trials Register

(<https://www.clinicaltrialsregister.eu/>)等の検索を基に(株)三菱ケミカルリサーチが取りまとめ

注：Phaseは、当該のPhaseの臨床試験が承認されている、現在実施されている、既に終了しているが、次の段階の臨床試験の開始が確認されていないものを含む。同一開発品で疾患分野が異なるものは個々にカウントした。

企業の国籍で見ると、米国籍企業が146社・203件で、企業数の4割以上、臨床試験数も約4割を占めています。続いて欧州国籍企業が101社・168件、日本国籍企業が19社・35件であった。Phase 3にある67件のうち4割に当たる29件は米国籍企業によるものでした。

臨床試験に至っている324社のうち、9割はペプチド医薬の臨床試験数が2件以下であり、その多くが小規模のいわゆるベンチャー企業です。欧米にはペプチド医薬の臨床開発を専業としている企業もよく見られます。大手の製薬企業では、Bristol Myers Squibb、Eli Lilly、Merck & Co.、Pfizer、AstraZeneca、GlaxoSmithKline、Ipsen、Novartis、Novo Nordisk、Sanofi、塩野義製薬が多くのペプチド医薬開発を推進しています。

ペプチド医薬の種類で見ると、中分子鎖状ペプチドが全体の5割以上、環状ペプチドが全体の2割を占めていました。次いで多くのペプチドワクチンの開発が臨床段階に進んでいます。

(2) 核酸医薬

1998年に米国で世界初の核酸医薬が承認されて以来、アンチセンスが8品目、siRNAが2品目、アプタマー及びCpGオリゴが各1品目の合計12品

目がこれまでに承認されています(2020年8月末時点)。Ionis Pharmaceuticals、Alynlyam Pharmaceuticals等、米国のベンチャー企業が複数の製品の上市に至っており、2020年3月には日本企業の開発した国産核酸医薬が初めて承認されています。これらの核酸医薬の中には、2019年の売上げが20億ドルを超えるものもありますが、それ以外の製品の多くは、承認から間近いため現時点では売上げが立っておらず、核酸医薬の市場は立ち上がり始めたばかりで、まだ確固たる市場が確立しているとは言えない状況にあります。

2020年5月末時点で、世界で66社により106品目・162件の臨床試験が行われています(表5)。

企業の国籍で見ると、米国籍企業が34社・99件で、企業数の約5割、臨床試験数で約6割を占めています。続いて欧州国籍企業が18社・44件、日本国籍企業が6社・8件でした。開発のphaseでは、phase 1～phase 2が127件で全体の約78%を占めています。Phase 3にある29件のうち19件は米国籍企業によるものでした。

核酸医薬に関わる企業は世界で204社(2020年5月末時点)あり、所在地で見ると日本52社、米国80社、欧州46社、中国8社、韓国6社、その他が12社でした。世界で行われている核酸医薬の臨床試

表5 核酸医薬の企業国籍別—Phase別臨床開発状況(2020年5月末時点)

Phase 企業国籍	企業数	Phase 1	Phase 1/2	Phase 2	Phase 2/3	Phase 3	合計
日本	6	4	1	2	0	1	8
米国	34	24	18	33	5	19	99
欧州	18	14	5	15	1	9	44
中国	2	1	0	2	0	0	3
韓国	2	2	0	0	0	0	2
その他	4	0	0	6	0	0	6
合計	66	45	24	58	6	29	162

出典：各社ホームページ、及びNIHの臨床試験登録サイトClinicalTrials.gov

(<https://www.clinicaltrials.gov/>)、EU Clinical Trials Register

(<https://www.clinicaltrialsregister.eu/>)等の検索を基に(株)三菱ケミカルリサーチが取りまとめ

注：Phaseは、当該のPhaseの臨床試験が承認されている、現在実施されている、既に終了しているが、次の段階の臨床試験の開始が確認されていないものを含む。同一開発品で疾患分野が異なるものは個々にカウントした。

験数を企業の国籍で見ると、米国籍企業が34社・99件、欧州国籍企業が18社・44件、日本国籍企業が6社・8件でした。「創薬」に係わる企業が米国62社、欧州37社、日本29社であることを考えると、米国及び欧州の創薬企業の約半数(米国：約55%、欧州：約49%)が臨床試験を行っているのに対して、日本企業では約20%にとどまり、臨床試験にまで至っていない企業が日本に多いことが分かります。

3. 政策動向

(1) 日本

日本では、ペプチド医薬は従来の低分子化合物医薬と同じ枠組みの中で開発されてきたため、特にペプチド医薬を対象とした政策は見られませんでしたが。その中で、核酸医薬が新たなモダリティとして政策の中に取り上げられるようになり、これまでの省庁ごとの産業政策からAMEDを軸にした統合的な政策への転換の中で、「中分子医薬」という文言も取り上げられるようになってきています。

(2) 海外

米国NIHの研究開発予算、欧州のHorizon 2020の予算の中で、ペプチド医薬、核酸医薬に関連したプロジェクトに支援が行われています。

中国はイノベーション国家への転換を図っており、ペプチド医薬、核酸医薬に限らず、ビジネスを海外へ広げるよう誘導する施策が採られています。その中で「国家科学技術イノベーション第13次5か年計画(2016-2020年)」で、PCT出願件数の倍増が数値目標として挙げられています。また、

税制面での優遇措置の受けられるハイテク企業の認定要件の中に、事業の核となる知的財産の保有が挙げられるなど、知的財産重視の方向性が明確になってきています。また、国・地方政府レベルで、海外への出願を含む特許出願に対する助成策が打ち出されています。近年、国策として特許出願に関しても「量から質への転換」が図られています。

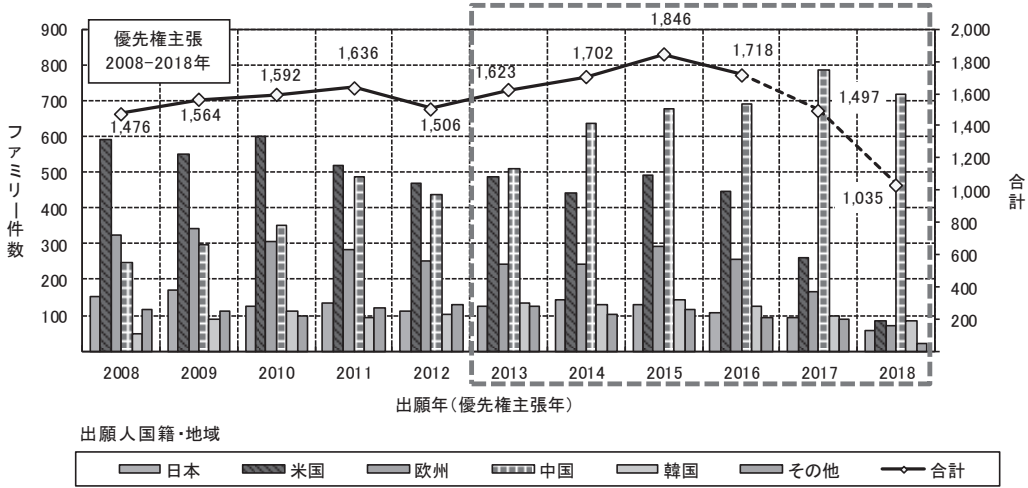
4. 特許出願動向

(1) 出願人国籍別の出願動向

2008年以降、2015年までファミリー件数¹は増加傾向にあります。2012年までは米国籍出願人によるファミリー件数が最も多かったものの、2013年以降、中国籍出願人が件数を大きく伸ばし、米国籍を上回っています。ファミリー件数の合計では、中国籍の5,836件で全体の33.9%を占めており、米国籍が4,943件(28.7%)、欧州国籍が2,789件(16.2%)、日本国籍が1,344件(7.8%)、韓国籍が1,158件(6.7%)となっています(図2)。

(2) 出願先国・地域別—出願人国籍・地域別の出願件数及び比率

出願先国・地域別—出願人国籍・地域別の出願件数及び比率を図3に示します。日米欧中韓いずれの国籍・地域の出願人も自国・地域が主要な出願先となっていますが、日米欧州国籍出願人の自国・地域への出願が総件数の約35%~45%であるのに対して、中国籍出願人は自国への出願が約90%、韓国籍出願人は50%以上であり、自国への出願が多く、他国・地域への出願が少なくなっています。



注：2017年以降はデータベース収録の遅れ、PCT出願の各国移行のずれ等で全出願データを反映していない可能性がある。

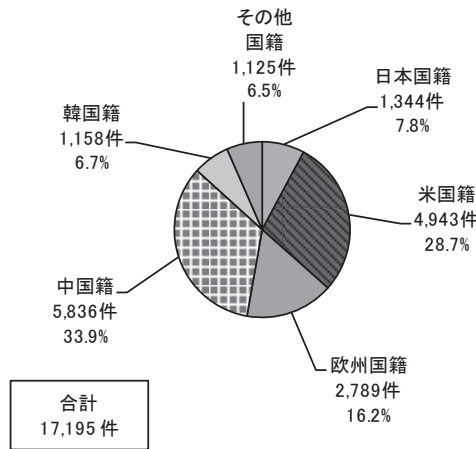


図2 【出願人国籍・地域別ファミリー件数推移とシェア(出願先：日米欧中韓、2008-2018年の出願)】

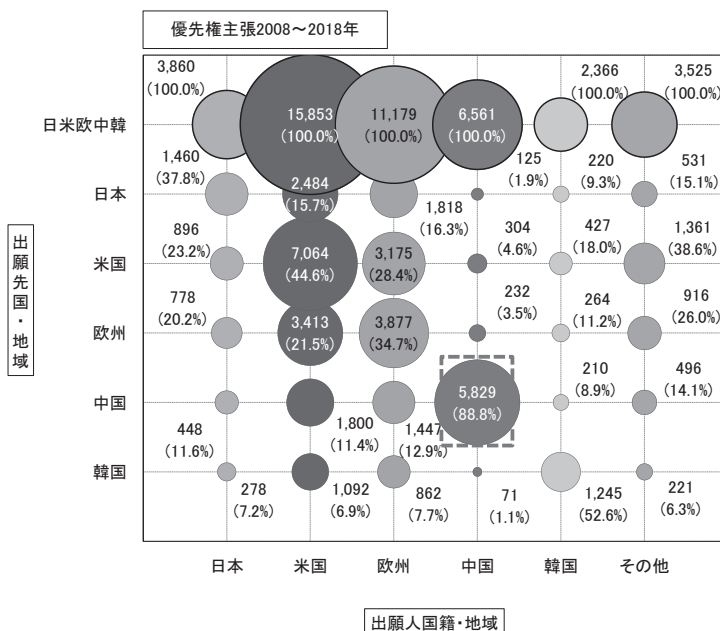


図3 【出願先国・地域別一出願人国籍・地域別出願件数及び比率(2008-2018年の出願)】

核酸医薬では、日本国籍出願人は「アプタマー」に関する出願の比率が高くなっています。欧州国籍出願人は「siRNA」に関する出願の比率が他国・

地域の半分以下となっています。

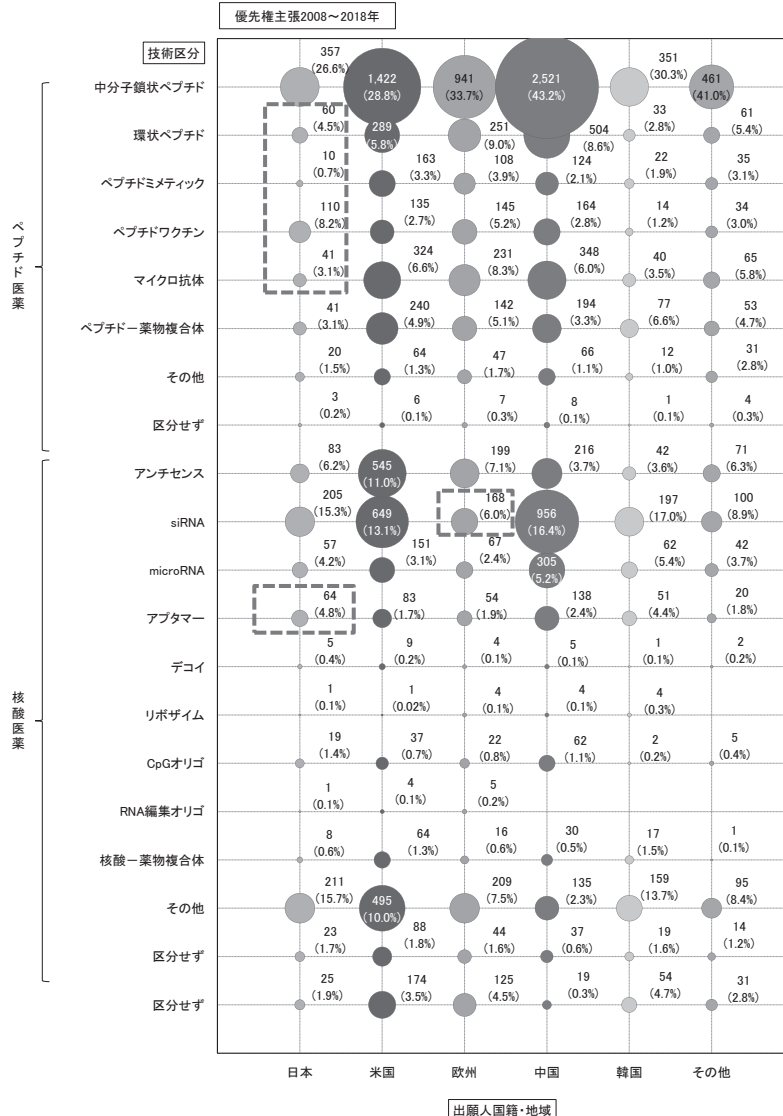
「要素技術」、「応用分野」では、国籍・地域による差異はさほどありませんが、日本国籍出願人は、

表6 【出願先国・地域別一出願人国籍別出願件数(2008-2018年の出願)】

日本への出願(6,638件)			米国への出願(13,227件)			欧州への出願(9,480件)		
順位	出願人国籍	出願件数	順位	出願人国籍	出願件数	順位	出願人国籍	出願件数
1	米国	2,484	1	米国	7,064	1	米国	3,413
2	日本	1,460	2	日本	896	2	日本	778
3	スイス	378	3	ドイツ	613	3	フランス	754
4	ドイツ	310	4	スイス	544	4	ドイツ	731
5	フランス	290	5	フランス	505	5	スイス	533

中国への出願(10,230件)			韓国への出願(3,769件)		
順位	出願人国籍	出願件数	順位	出願人国籍	出願件数
1	中国	5,829	1	韓国	1,245
2	米国	1,800	2	米国	1,092
3	日本	448	3	日本	278
4	スイス	300	4	スイス	209
5	ドイツ	236	5	ドイツ	144

a. 中分子医薬の種類



b. 要素技術・応用分野

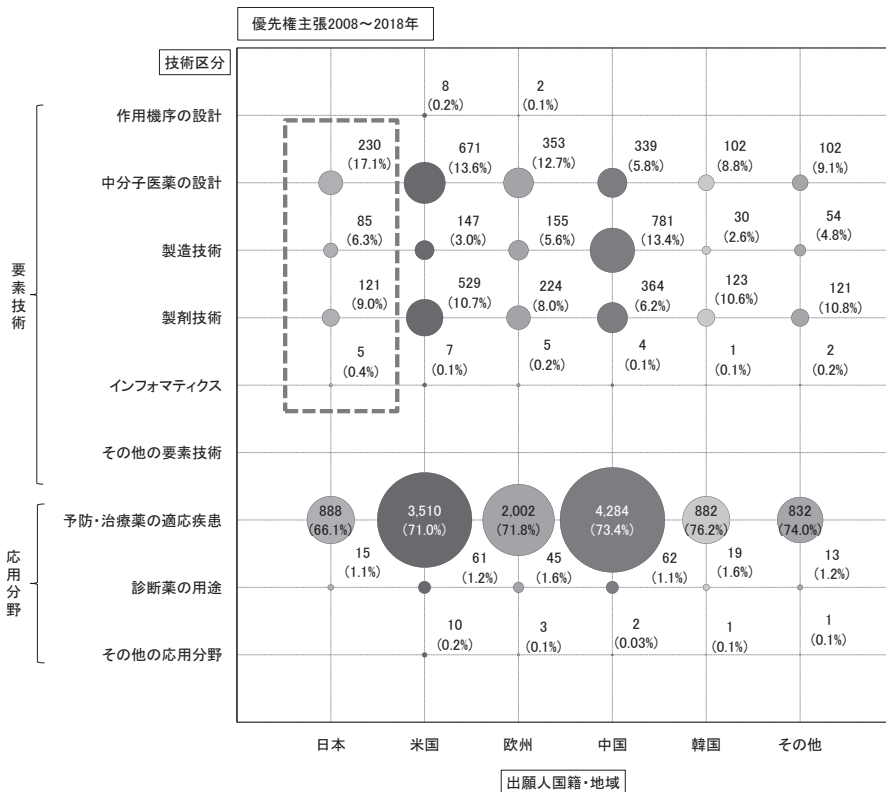


図5 【技術区分別・出願人国籍・地域別ファミリー件数（出願先：日米欧中韓、2008－2018年の出願）】

「要素技術」に関する出願の比率が約33%で、他国・地域に比べて高くなっています。

(6) 主要出願人

日米欧中韓への出願人別のファミリー件数ランキングでは、首都医科大学（中国）が175件で首位となり、次いでアンチセンス医薬の開発を手掛けるIONIS PHARMACEUTICALS（米国）、REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALI-

FORNIA（米国）、siRNA医薬の開発を手掛けるALNYLAM PHARMACEUTICALS（米国）、中国薬科大学（中国）と続いています。上位10位は、中国4者、米国3者、欧州3者でした（表7）。

5. 研究開発動向

論文発表件数は全体的に増加傾向にあります。論文件数の合計（2011年～2019年）は2,923件で、このうち研究者所属機関国籍・地域別で最も多いの

表7 【出願人別ファミリー件数上位ランキング（出願先：日米欧中韓、2008～2018年の出願）、全体】

順位	出願人名称(国籍)	ファミリー件数
1	首都医科大学(中国)	175
2	IONIS PHARMACEUTICALS(米国)	165
3	REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALIFORNIA(米国)	143
4	ALNYLAM PHARMACEUTICALS(米国)	134
5	中国薬科大学(中国)	123
6	F. HOFFMANN-LA ROCHE(スイス)	122
7	IMMATICS BIOTECHNOLOGIES(ドイツ)	106
8	深圳翰宇薬業股份有限公司(中国)	103
9	復旦大学(中国)	101
10	INSERM (INSTITUT NATIONAL DE LA SANTE ET DE LA RECHERCHE MEDICALE)(フランス)	86

は欧州国籍の803件で全体の27.5%を占めています。次いで、米国籍が654件(22.4%)、中国籍が531件(18.2%)、日本国籍が251件(8.6%)、韓国籍が91件(3.1%)でした。研究者所属機関国籍・地域別の

シェアを2011~2014年、2015~2019年に分けて見ると、日米欧韓国籍は論文発表件数が1.3倍~1.7倍増えているのに対して、中国籍研究機関は3.1倍増加しシェアも伸びています(図6)。

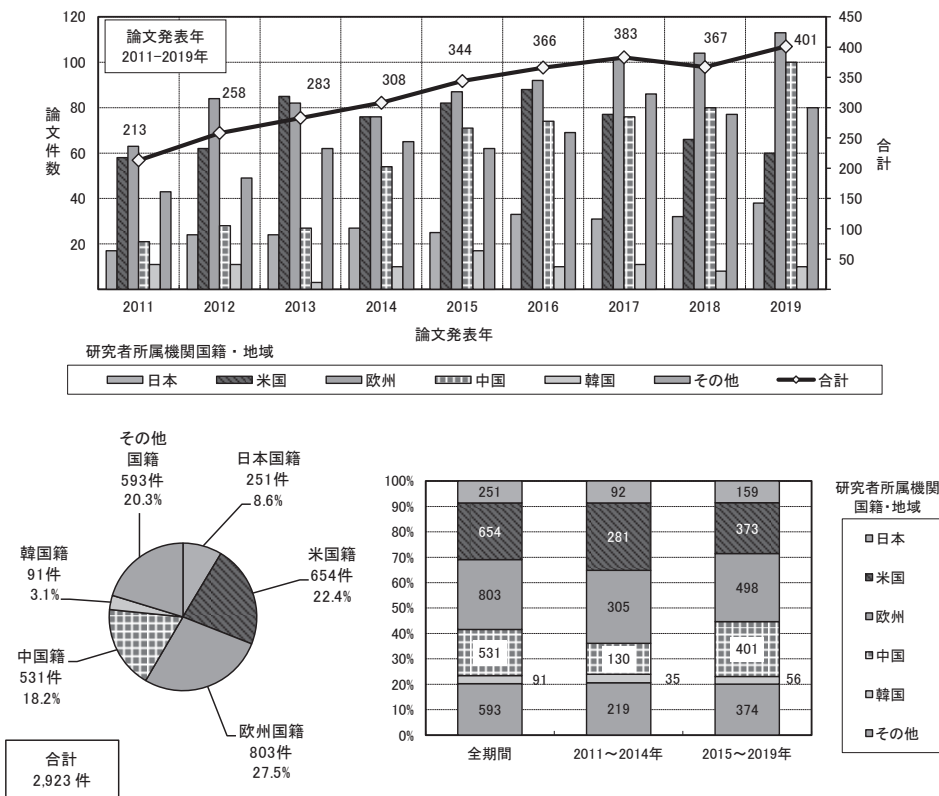


図6 【研究者所属機関国籍・地域別論文発表件数推移、シェアとその推移(発行年:2011-2019年)】

6. 提言

本調査を進めるにあたって設けられたアドバイザーリーボードの助言、有識者へのヒアリング結果等を踏まえ、中分子医薬関連技術分野の目指すべき方向性に関して検討した結果を、以下【1】~【3】のテーマでまとめました。

- 【1】「要素技術」から「応用分野」への展開
- 【2】エコシステムの新構築
- 【3】IT(情報科学技術)の活用

【1】分子設計、製造技術、製剤技術等、日本の強みとするアカデミアの「基礎技術」を、「応用(中分子医薬創薬)」へとつなげていくべき

今回の調査から、日本はPCT出願件数、日米欧中韓への出願件数、日米欧中韓における特許登録件数において上位3位までに入っており、また論文発表

件数においても第3位にあるなど、すぐれた研究開発・技術開発力を有し、その蓄積があることが確認されました。また日本はペプチド医薬、核酸医薬の分子設計、製造技術、製剤技術等、「要素技術」に関する特許出願件数、論文発表件数の比率が他国・地域よりも高いことが判明しました。有識者ヒアリングにおいても、低分子医薬の開発で培われた様々な合成・修飾などのケミストリー、修飾核酸等の「核酸化学」研究の蓄積、「DDS」技術等、「要素技術」を日本の強みとして挙げる回答が複数得られました。これまでの「中分子医薬」の製品化、臨床開発において欧米の大手ベンチャー製薬企業が日本企業より優位な立場にあるのは、日本の知財戦略の欠如が原因で、日本の強みである「要素技術」が企業の創薬活動において十分にいかされてこなかったという側面もあるのではないかと考えられます。

中分子医薬の開発においては、疾患メカニズムの

詳細な解析から優れた標的を見出し、その標的に最適なモダリティを選択し、剤を設計・探索・選抜して改良を加えるとともに、製剤の観点からも、「中分子医薬」の特徴をいかしつつ、より優れたものにしていく必要がありますが、疾患の標的等、非常にイノベティブな部分に加え、分子設計、DDS技術等、汎用性の高い技術もあれば、工業レベルでの実用化を図るうえで開発しなければならない周辺技術もあります。

イノベティブな部分や汎用性の高い技術はアカデミアから生まれることが多く、これらについてはアカデミアが技術を磨き上げ、知的財産を固め、例えば開発を予定している適応疾患等に応じて、企業がアクセスできるようにした方が、中分子医薬の創製に知財がよりいきてきます。一方、実用化に関わるより出口に近い周辺技術は、共同研究あるいは企業主体で開発を進めていくことが望ましいです。このように、技術の内容により、アカデミアと企業とで分担を明確にし、適切な「棲み分け」を図り、アカデミアの基礎技術がより応用(中分子医薬創薬)へとつながっていくようにすることが重要であります。

【2】 真のオープンイノベーションにより、シーズを探索するアカデミア、そのシーズを引き継ぐベンチャー企業、ベンチャー企業に資金を供給する(コーポレート)ベンチャーキャピタル、ベンチャー企業の成果を製品化へと結び付けていく製薬企業、臨床開発～商業生産段階の製造にあずかる受託製造企業(CMO)、開発された中分子医薬を投与される患者という全てのプレーヤーが、ともに恩恵を受けwin-winの関係となる「中分子医薬エコシステム」の構築を目指すべき

最近の創薬は、様々なモダリティで構成されていることから、製品化に必要とされる「要素技術」は多岐にわたるため、一社で全てを開発することはできず、必要な技術をアカデミア、他の企業等、外部に求める「オープンイノベーション」が普通のこととなっています。

疾患メカニズムの詳細な解析に基づく優れた標的の探索に関しては、アカデミアの寄与が大きく、DDS等の製剤技術についても、アカデミアの発明を基に事業を展開しているベンチャー企業は多数あり、またそれらをいかして中分子医薬創薬を目指すベンチャー企業も存在します。これらのベンチャー企業

への投資を専らの事業とするベンチャーキャピタル(VC)、製薬企業CVCがそこに資金を提供します。製薬企業は、アカデミアのシーズ、あるいはそれを引き継いだベンチャー企業の研究開発資産を基に、臨床開発を続け、承認・上市を目指します。さらにベンチャー企業あるいは製薬企業の臨床開発に対して、受託製造企業(CMO)が開発品あるいは上市品の小～大スケールのGMP製造サービスを提供します。

真のオープンイノベーションにより、これら中分子医薬の開発に関わる全てのプレーヤーが利益を得られる「中分子医薬エコシステム」の構築ができれば、「中分子医薬」がモダリティの一つとして確立するとともに、日本が世界をリードすることも十分可能であります。

【3】 IT(情報科学技術)の積極的活用で、効率的な「中分子医薬」開発を目指すべき

中分子医薬は、低分子医薬と異なり、基本的にペプチド医薬であれば約20種、核酸医薬であれば4程度程度のbuilding blockから構成されており、その配列が立体構造、物理化学的性状、効能等を規定していることから、IT(情報科学技術)のデータ分析で対応できるものとなっています。

さらに中分子医薬は、細胞内でのタンパク質間相互作用を標的とし得ることが期待されているが、立体構造の情報を利用した相互作用のシミュレーションなど、まさにIT技術の活用が期待されています。

中分子医薬の開発においてIT技術の活用を進めるためには、開発したIT技術を実験的に評価してその結果をフィードバックすることが重要です。また機械学習には、質と量の揃った学習用データが必要ですが、そのようなデータの入手には実験サイドの協力が不可欠です。

このようにIT技術の活用による中分子医薬開発の効率化には、wet(実験科学の部分)、dry(IT技術の部分)が両輪となって回ることが大事であり、両者の積極的な連携が強く求められます。

¹ ファミリー件数とは、同じ発明を複数の国へ特許出願する場合、各国(自国も含む)へ特許出願した「特許出願のまとまり」をパテントファミリーと呼び、このファミリーを1件とカウントした件数

商標審査を約2倍[※]の速度で! **SPEED UP!**

申請手続・手数料不要

ファストトラック審査

※期間は令和2年2月現在

注目!!

自動で審査対象になる方法

早さの違いは、出願時の “ひと工夫”にありました。

ヒント

指定商品・指定役務の記載

簡単!

申請不要

無料!

手数料不要



6ヶ月早い!

ファストトラック審査

審査結果

約6ヶ月後

同時に
出願

なぜ?



通常審査

審査順番待ち

審査結果

平均約12ヶ月後

とっきょ

特許庁WEBサイトでも詳しく解説中!

みんなのギモン? 「ファストトラック審査」

https://www.jpo.go.jp/news/koho/kohoshi/vol45/07_page1.html

