

# バイオテクノロジーの医療分野への応用に関する技術動向調査

平成 13 年 5 月 31 日  
技 術 調 査 課

## 1. 本調査の目的

遺伝子情報の蓄積と遺伝子解析周辺技術を利用し、ゲノム創薬等の全く新しい考え方による創薬研究が始まっており、また、遺伝子治療や再生医療といった治療方法の実用化への期待が高まっている。

また、米国の企業や公的研究機関と比べ、我が国は、ヒトゲノム計画における遺伝子解析自体には出遅れたものの、全遺伝子配列が明らかとなる目処のたった今後は、ポスト・ゲノムの時代として研究開発競争が激しくなることが予測されている。

そこで、「バイオテクノロジーの医療分野への応用」に関して、現在注目されている技術、これらに関する日米欧の特許出願・研究開発・政策の動向、我が国の国際競争力、課題等について調査を行った。

## 2. 技術の俯瞰

バイオテクノロジーの医療への応用として現在注目されている分野は、ゲノム創薬、診断、治療に大別できる。技術俯瞰図を以下に示す。

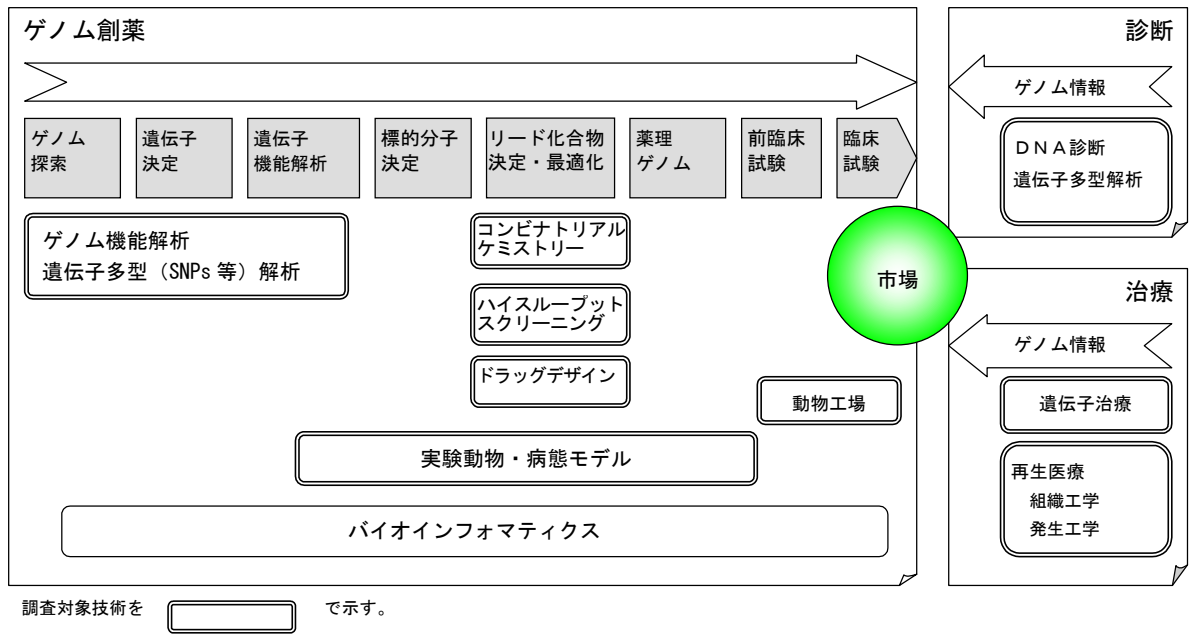
ゲノム創薬に関しては、ゲノム機能解析、遺伝子多型解析、実験動物（病態モデル）、動物工場といった技術がある。また、多種類の候補化学物質を短時間で精度良く合成する技術であるコンビナトリアルケミストリーや、大規模なスクリーニング法（ハイスループットスクリーニング）、ドラッグデザインも創薬研究における新たな研究開発手法として定着しつつある。診断分野では DNA 診断と遺伝子多型解析(SNPs<sup>1</sup> 等)、治療分野では遺伝子治療と再生医療がある。本調査ではこれらの技術について調査を行った<sup>2</sup>。

---

<sup>1</sup> Single Nucleotide Polymorphisms、一塩基多型。

<sup>2</sup> バイオインフォマティクスについては、本「特許出願技術動向調査分析」シリーズの「バイオテクノロジー基幹技術」で詳しく取り上げている。

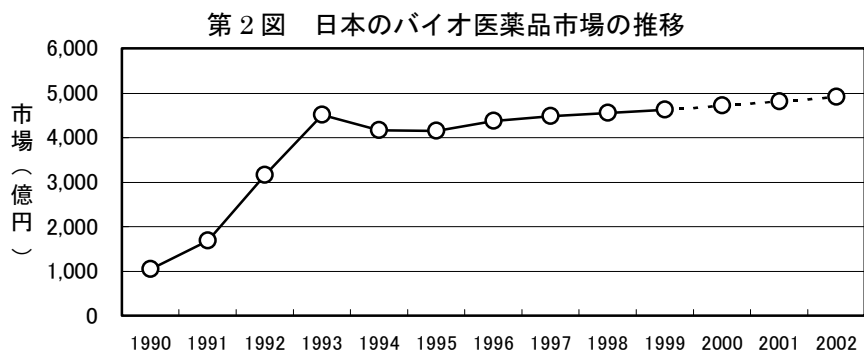
第1図 技術俯瞰



### 3. バイオ医療市場の現状

「バイオテクノロジーの医療分野への応用」による市場として、将来的には、技術俯瞰図で示したゲノム創薬、診断・治療に関する技術分野が大きく発展すると考えられる。しかし、現在、市場として具体的に成立しているのは、遺伝子組換え技術・細胞融合技術・細胞培養といった1980年代からこれまでに開発された技術により生産された医薬品（バイオ医薬品）が中心である。

日本のバイオ医薬品の市場規模推移は下図のようになっており、1999年時点で約4,600億円の市場規模となっている。1990年代前半にバイオ医薬品の市場が急速に拡大し、1990年代後半になって伸びが鈍くなっており、ここ数年は2%程度の成長率となっている。1990年代前半の急拡大の要因は、インターフェロンのC型肝炎市場拡大によるものであり、その後の鈍化はそれほど大きな需要増となるバイオ医薬品がでていないことと、日本の医薬品全体の市場成長率低下が影響していると考えられる。



出典：日経バイオテク「バイオ年鑑」各年より作成（2000年以降は予測）

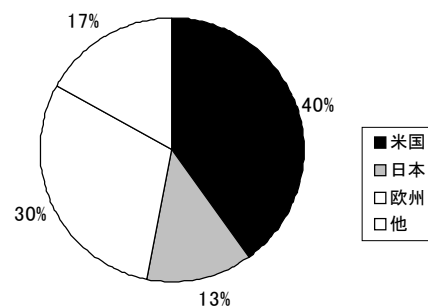
日米欧の、バイオ医薬品を含む医薬品全体の市場規模と最近の成長率は、下図表のようになっている。世界全体では約33兆円で、米国が4割、欧州が3割、日本が1割程度を占める。また、近年（1996年～1999年）の成長率をみると、米国は大きく（14%）、日本はマイナス（-8%）、欧州は微増（6%）となっている。

バイオ医薬品の市場規模は、現在、日本約4600億円、米国約1兆7800億円、欧州約6100億円（1999年の推定値）と日本・米国・欧州いずれの地域でも、医薬品全体の市場規模のおおむね1割となっている。

第3表 医薬品市場の規模・成長率

	市場規模 (1999年) (億円)	平均成長率 (1996年～ 1999年)
米国	133,200	14%
日本	42,550	-8%
欧州	101,750	2%
他	57,350	6%
世界計	334,850	4%

第4図 医薬品市場の地域別構成（1999年）



出典：Glaxo Wellcome（現在、Glaxo SmithKline）社のアニュアルレポートから作成

#### 4. 特許出願からみた国際競争力

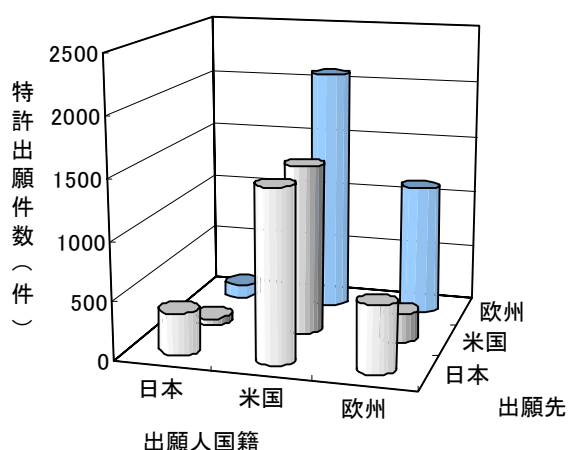
バイオテクノロジーの医療への応用に関して、特許から日米欧の競争力を比較するために、遺伝子治療、コンビナトリアルケミストリー、ハイスループットスクリーニング、SNPs 関連技術、再生医療の 5 技術について、データベース検索 (WPI) を用いて、1990~2000 年の日米欧の特許出願、取得状況を調査した<sup>1</sup>。なお、データは当該期間に公開された特許が対象となるため、日本と欧州は公開された出願であるのに対し、米国は登録された出願が対象となっていることに留意する必要がある。

日米欧からの特許出願件数を出願人の国籍別に整理した結果を下図に示す。図より、5 技術全てにおいて米国からの出願件数が非常に多く、米国の競争力が強いことが分かる。欧州と日本を比較すると、再生医療に関しては日本からの出願件数が欧州からの出願より多いが、その他の 4 技術については欧州からの出願が日本からの出願を上回っていることが分かる。

なお、5 技術の特許出願件数を合計すると、その比率は、米国出願人によるものが約 60%、欧州出願人が約 25%、日本出願人が約 15%の割合になる。

出願人の種別でみたものが、下図中の表である。大手製薬企業に限らず、大学・公的機関・ベンチャー企業も特許出願件数で上位にランクされている。

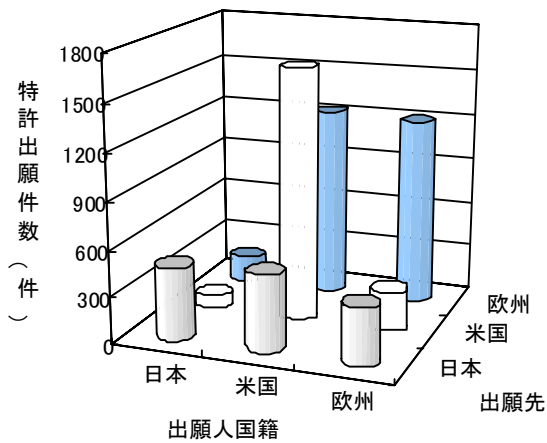
第 5 図 遺伝子治療に関する特許出願状況と主な特許出願人 (1990~2000 年)



No.	出願件数	出願人名	国籍	備考
1	413	SMITH KLINE	英	大手製薬企業
2	152	ISIS INC	米	製薬ベンチャー
3	116	HUMAN GENOME SCI	米	ゲノムベンチャー
4	114	UNIV CALIFORNIA	米	大学
5	114	US DEPT HEALTH & HUMAN SERVICE	米	米国政府機関
6	104	RHONE POULENC	仏	大手製薬企業
7	78	CHIRON CORP	米	診断薬ベンチャー
8	76	CENT NAT RECH SCI	仏	フランス政府機関
9	71	UNIV JOHNS HOPKINS	米	大学
10	65	MEDICAL COUNCIL	英	イギリス政府機関

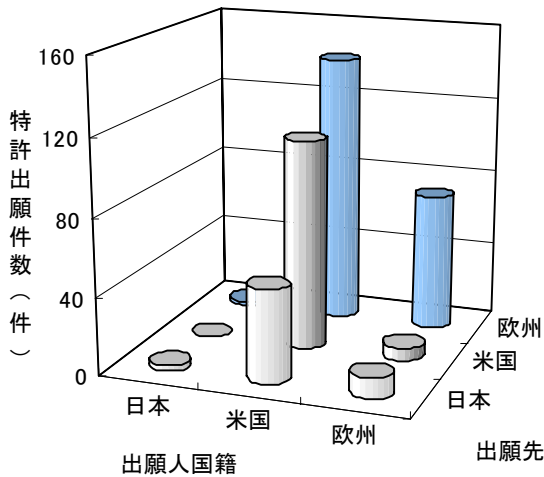
<sup>1</sup> WPI では、ゲノム機能解析については特許検索範囲を特定しにくいいため、また、ドラッグデザイン、動物工場、実験動物については、日米欧全体でも特許件数が少なく有意な地域間比較ができないため、ここでは除外した。ここで除外した技術分野についても、本編では、主要な特許についてはリストアップしている。

第6図 コンビナトリアルケミストリーに関する特許出願状況と主な特許出願人（1990～2000年）



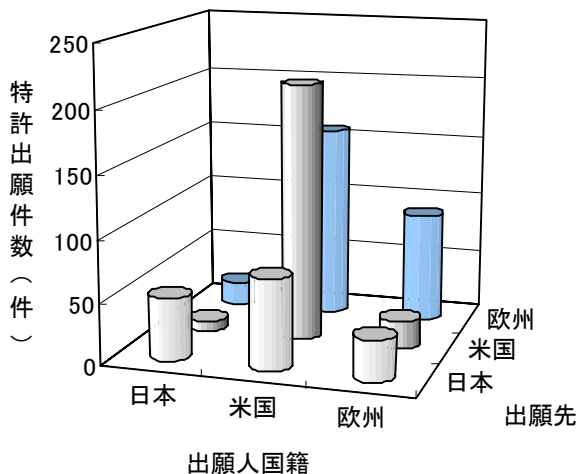
No.	出願件数	出願人名	国籍	備考
1	129	BIO MERIEUX	米	製薬ベンチャー
2	93	BADISCHE STAHLWERKE	独	機械メーカー
3	81	PFIZER CORP	米	大手製薬企業
4	76	INCYTE PHARM CORP	米	ゲノムベンチャー
5	75	BAYER AG	独	化学企業
6	75	SMITH KLINE	英	大手製薬企業
7	73	ELI LILLY	米	大手製薬企業
8	64	OREAD LABORATORIES	米	研究受託企業
9	63	DU PONT	米	化学企業
10	63	PROCTER& GAMBLE	米	製薬企業

第7図 ハイスループットスクリーニングに関する特許出願状況と主な特許出願人（1990～2000年）



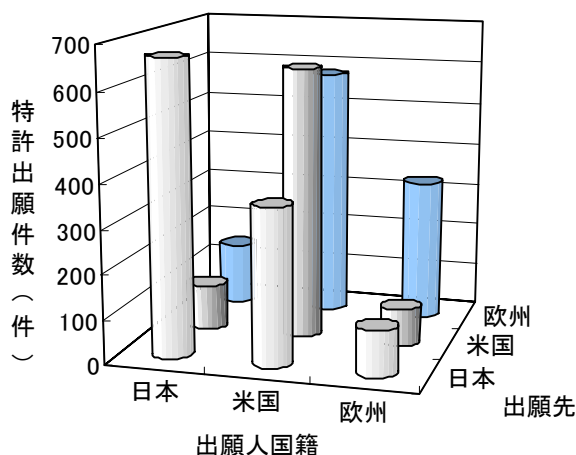
No.	出願件数	出願人名	国籍	備考
1	19	UNIV CALIFORNIA	米	大学
2	11	CELLOMICS INC	米	ゲノムベンチャー
3	11	SMITH KLINE	英	大手製薬企業
4	10	MERCK	米	大手製薬企業
5	10	TULALIC	米	製薬ベンチャー
6	9	PHARMACOPIA INC	米	製薬ベンチャー
7	8	EVOTECH BIOSYSTEMS	独	製薬ベンチャー
8	7	CALIPER TECHNOLOGIES	米	lab-on-a-chip ベンチャー
9	7	INCYTE PHARM CORP	米	ゲノムベンチャー
10	7	SYMYX TECHNOLOGIES	米	コンビケムベンチャー

第8図 SNPs 関連技術に関する特許出願状況と主な特許出願人（1990～2000年）



No.	出願件数	出願人名	国籍	備考
1	48	SMITH KLINE	英	大手製薬企業
2	32	R. DEKA (STANFORD UNIV)	米	個人
3	30	UNIV CALIFORNIA	米	大学
4	18	INSERM INST NAT SANTE & RECH M	仏	公的研究機関
5	18	US DEPT HEALTH & HUMAN SERVICE	米	米国政府機関
6	15	AFFYMETRIX INC	米	DNA アレイベンチャー
7	15	PIONIEER HI-BRED	米	ゲノムベンチャー
8	13	UNIV IOWA COLLEGE PHARM	米	大学
9	12	GENSET	仏	ゲノムベンチャー
10	11	AXYS	米	ゲノムベンチャー

第9図 再生医療に関する特許出願状況と主な特許出願人（1990～2000年）



No.	出願件数	出願人名	国籍	備考
1	67	テルモ	日	医療機器企業
2	34	GENETICS INST INC	米	ゲノムベンチャー
3	32	UNIV CALIFORNIA	米	大学
4	28	GEN HOSPITAL CORP	米	病院
5	24	US DEPT HEALTH & HUMAN SERVICE	米	米国政府機関
6	23	SMITH KLINE	英	大手製薬企業
7	22	UKR HUMAN REPRODUCTIVE FUNCTIONS CENTER	※	公的研究機関
8	21	GENENTECH	米	医薬ベンチャー
9	21	宇部興産	日	化学企業
10	19	人工血管技術研究センター	日	医療機器企業

※ウクライナ

以上のように、件数からみると、再生医療を除き、日本出願の特許は少ないが、主要な特許を調べると、日本の企業や研究機関による出願で注目されるものが含まれている。以下、各技術分野における出願人国籍別の特許出願傾向を簡単に説明する。

遺伝子治療については、上記のように日本出願人による特許件数は少ないが、いくつかユニークなものがある。例えば、第一製薬が出願した動物の胎児への遺伝子導入法に関する特許出願や、住友製薬が出願したリコンビナーゼとその認識配列を応用する細胞内自己複製型発現ユニットを生じさせる新技術等がある。

コンビナトリアルケミストリーとハイスループットスクリーニングについては、内容的にも日本出願で注目されるものはあまりない。

SNPs の解析に関わる基本技術に関する主要特許は、ほとんど米国出願人によるものである。SNPs のデータを利用して疾病に関係する遺伝子を特定する方法に関わる応用技術については、癌を筆頭に、脂質・糖代謝、循環系等の疾病ごとに特許出願がなされており、日本からも、数は少ないが、大塚製薬（糖尿病関連）や住友化学（薬剤代謝関連）等、いくつか注目される特許出願がある。

再生医療に関しては、日本出願人の特許件数も多い。ただし、出願件数上位の日本企業の特許は中空糸型人工腎臓やセラミックス人口関節等のやや古い技術に属するものが多い。出願件数では上位にランクされていないものの、培養皮膚、軟骨細胞の培養、ハイブリッド人工肝臓といった、今後注目される組織工学関連分野で、メニコン、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング、グンゼ、といった企業や名古屋大学等の研究機関から特許出願がされて

いる。ただし、発生工学関連では、幹細胞に関する特許取得が、米国では 1990 年代に、欧州では 1990 年代後半に急速に伸びてきているのに対し、日本では理化学研究所等から特許出願があるもののまだ少ない。

ドラッグデザインについては、特許出願は、世界的にも、1990 年代後半からが多く、これからの技術と考えられる。日本出願人の特許はまだ少ないものの、医薬分子設計研究所といったベンチャー企業からの特許出願や、日本電気等からのタンパク質立体構造解析に関する装置やプログラムに関する特許出願が注目される。

実験動物や動物工場については、全体に件数がまだ少ないが、英国や米国出願人のものが目立つ。日本からは件数は少ないものの、実験動物に関しては注目特許がいくつかある。トランスジェニック動物の作出に関する基礎技術で神奈川科学技術アカデミーといった公的研究機関からの特許出願が、疾患モデル動物に関して第一製薬や武田薬品等の製薬企業からの特許出願等が注目される。

参考として、件数検索に用いた検索式をまとめて、下表に示す。

第 10 表 特許出願件数のデータベース検索に用いた検索式

技術名	検索式
遺伝子治療	IC=A61K-048
コンビナトリアルケミストリー	IC=(C07B? ?+C07C? ?+C07D? ?+C07F? ?+C07H? ?+C07J? ?+C07K? ?+C12N? ?+C12Q? ?+A61K? ?)*(COMBI?*(CHEM?+LIBRAR?))
ハイスループットスクリーニング	(SCREENING?*((COMBI?*CHEM?)+HIGH(W)THROUGHPUT))* (AUTOMA?+MASS(W)SPECTROMETRY?+NMR? NUCLEAR(W)MAGNETIC(W)RESONANCE?+SPA?+SCINTILLATION(W)PROXIMITY(W)ASSAY?+FACS?+FLUORESCENT(W)ACTIVATED(W)CELL(W) SORTER?+IC=G01N? ?)
SNPs 関連技術	((SNP?+CSNP?+GSNP?)*(GENE+SEQUENCE+DNA))+((SINGLE(W)NUCLEOTIDE+RECEPTOR(W)GENE+GENE)*POLYMORPHISM?)
再生医療	((ES+EG+EMBRYONIC?+GERM?+STEM)*CELL?)*(PROSTHESIS?+TRANSPLANT ?+ORGAN?+TISSUE?+IMPLANT?+GRAFT?)*(IC=(A61K-035+A61K-037+A61K-038+A61K-045+A61K-048+A61K-039)+THERAP?+IC=(A61L-027+A61L-033+A61F-002+A61F-005+A61F-009+A61F-011)) OR (ARTIFICIAL?+BIOARTIFICIAL?+TISSUE(W)ENGINEERING)*(ORGAN?+SKIN?+BETA(W)CELL?+TISSUE?+VEIN?+(SOFT+HARD)*TISSUE?)*IC=(A61K-035+A61K-037+A61K-038+A61K-045+A61K-044+A61L-027+A61L-033+A61F-002+A61F-005+A61F-009+A61F-011) OR BIO?*ARTIFICIAL?*BONE?*IC=(A61K-031+A61K-033+A61K-035+A61K-037+A61K-038+A61K-045+A61K-009+A61K-047+A61K-039+A61L-027+A61L-033+A61F-002+A61F-005) OR (ARTIFICIAL?+BIOARTIFICIAL?+TISSUE(W)ENGINEERING)*(CARTILAGE?+LIVER?+PANCREAS?+TRACHEA?+LANGERHANS?+HEPAT?+BLOOD(W)VESSEL?)*IC=(A61K-035+A61K-037+A61K-038+A61K-045+A61K-048+A61K-039+A61L-027+A61L-033+A61F-002+A61F-011)

使用データベース：WPI



## 5. 主要企業・研究機関の動向

各技術分野で、現在活発な研究を行っており注目される企業や研究機関（大学を含む）をまとめる。

### (1) ゲノム創薬

ゲノム機能解析については、ゲノム解析の中心的存在であるセレーラ社に代表される欧米ベンチャー企業が、解析の生データに機能解析のための付加価値をつけたデータベースをいち早く構築している。欧米の大手製薬企業はこれらのデータベースの使用契約を結び、バイオインフォマティクスを駆使してゲノムの機能解析に取り組んでいる。

日本では、慶応義塾大学や理化学研究所でゲノム解析が行われており、また、かずさ DNA 研究所で cDNA (complementaryDNA) の解析が進められている。日本企業でも、武田薬品工業がセレーラ社とデータベース使用契約を結び医薬開発に利用するといった動きが最近になって出てきている。

コンビナトリアルケミストリーやハイスループットスクリーニングについては、基本的な装置開発は、ほとんど米国企業が中心となって行われており、4.で示したように特許出願件数上位も米国企業が多い。日本の製薬企業はこれらの技術を契約によって導入し、多量化合物の製造・スクリーニングに活用している。

ドラッグデザインについては、欧米の企業や研究機関が強く、主要な特許も欧米勢により占められている。日本でも欧米企業の開発したソフトウェアの導入がほとんどである。しかし、近年、医薬分子設計研究所（1995 年設立）やファルマデザイン（1999 年設立）といったベンチャー企業が設立され、独自システムの開発が行われるようになってきており、4.で述べたように特許出願も行っている。また、タンパク質の立体構造解析に関する装置やプログラムに関して特許出願をおこなっている日本電気等で、これらのシステムあるいは解析結果データを製薬企業等に販売する動きがみられる。

バイオインフォマティクスについても欧米が先行している。近年、日立製作所・富士通・三井情報開発といった、以前からこの分野に関与していた情報系企業が、事業体制を再編・拡充するなど注力を強めており、また JBiC<sup>1</sup> がバイオインフォマティクスの基盤整備を行っている。

実験動物については、ゲノム情報を創薬等に应用するために、モデル生物を用いた研究の重要性が高まっており、大腸菌などの原核生物等よりヒトに近い生物という点や、実験動物としての歴史が長い点で、マウスを用いた研究に期待が寄せられている。米国では、1999 年 10 月に NIH(National Institutes of Health)が、2003 年までにマウスの全ゲノム解析を行うことを発表している。ノックアウトマウス作製技術を開発した米国レキシコンジェネティクス社が行っている変異マウス胚性幹細胞ライブラリーや、ノックアウトマウスの体系的な作製を行っている英国ノッティングラム大学の研究が注目されている。日本では、

---

<sup>1</sup> 1998 年設立。民間企業を中心に、大学、公的研究機関、行政機関が結集した任意団体として発足。現在は文部科学省、厚生労働省、農林水産省、経済産業省が共管する社団法人。

理化学研究所がマウス遺伝子の完全長配列決定と、体系的な変異体作出を進めている。

動物工場については、世界的にもまだ、特許件数も少なく、研究している企業・機関も限られる。英国 PPL セラピューティクス社が行っている遺伝子組換えヒツジによる血清アルブミン生産等や、オランダのファーミング社が行っている遺伝子組換えウシによるヒトラクトフェリン生産等の研究が注目されている。米国企業ではジェンザイム・トランスジェネティクス社が行っている遺伝子組換えヤギによるヒトアンチトロビンⅢの生産研究等がある。日本ではこの分野で注目される企業・研究機関は今のところない。

## (2) DNA 診断

SNPs 解析については、米国のセレーラ社やインサイト社が SNPs データベースを構築して事業化しようとする動きがあり、これに対抗して、欧米の有力企業・研究所は、1999年、SNP コンソーシアム (The SNP Consortium) を設立して、解析を始めている。

日本では 2000 年 9 月、日本製薬工業協会がコンソーシアム (ファルマ・スニップ・コンソーシアム、国内製薬企業 43 社参加) を設立し、日本人に特有の SNPs を解析するために、研究を始めている。また、国としては、ミレニアム・プロジェクトの一環で、2001 年度までの 2 年間で、SNPs15 万個を対象に解析・データベース化を行ない、かつ、それを利用して疾病との関連性などを研究するプロジェクトが東京大学医科学研究所などを中心に進められている。2001 年 3 月時点の情報では、東京大学医科学研究所と理化学研究所は、日本人特有の SNPs2500 個の解析を終え、これらについて特許を取得しようとしているようである。

## (3) 遺伝子治療

これまでの遺伝子治療件数 (プロトコル数) は、米国で 418 件、欧州 98 件に対し、日本では 5 件しかない。試験に用いられるベクターも米国企業の開発したものを利用している。

しかし、遺伝子治療分野での日本出願人による特許取得は、件数は少ないが、4.で述べたようなユニークなものがいくつかあり、また、遺伝子治療の課題の一つである遺伝子導入効率向上に関しては宝酒造の開発した導入助剤が世界で活用されている。1999 年には日本で初めて遺伝子治療薬や新規ベクター等の研究開発・製造を目的としたベンチャー企業メドジーン・バイオサイエンス社が設立され、注目されている。大阪大学では、HGF (ヒト肝細胞増殖因子) 遺伝子を治療に応用する研究などを進めている。

## (4) 再生医療

特許の件数では米国が比較的多く、内容的にも米国出願人は組織工学や発生工学を応用した新しい再生医療に関係しているベンチャーや研究機関が目立つ。日本からは、組織工学関連では、ハイブリッド型人工肝臓や培養皮膚に関して、名古屋大学やいくつかの企業から特許出願がされており、発生工学関連では理化学研究所等から出願されている。

再生医療のうち、組織工学を利用した培養皮膚、軟骨は、米国ですでに実用化されており、最初に培養皮膚を実用化したベンチャー企業アドバンスト・ティッシュ社等数社が製品を供給している。日本では、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング社やメニコンが

培養皮膚等の商業化を目指して、名古屋大学等の技術協力を得て研究開発を実施中である。人工肝臓については、ブタの細胞を利用した体外循環型人口臓器を開発したことで有名な米国サース・バイオメディカル社等が商業化を目指した研究開発をおこなっている。日本でも九州大学等で人工肝臓の研究が世界に伍して進められている。

発生工学関連では、ES細胞を用いた研究が米国ジェロン社等を中心に行われている。ジェロン社はウイスコンシン大学とジョンズホプキンス大学によるES細胞分離・培養研究を支援し、研究成果の独占的商業化権を有する。日本でも、京都大学や大阪大学などでマウスのES細胞の研究が行われている。協和発酵は、2000年10月、京都大学再生医科学研究所などとの共同研究で、マウスのES細胞から高い効率で神経細胞を作り出すことに成功したと発表した。また、京都大学再生医科学研究所では、2000年9月、カニクイザルの体外受精卵からES細胞を樹立させている。これは、霊長類のES細胞樹立としては、ウイスコンシン大学に続き、世界で2例目となる。

第11表 研究開発に従事している主要な企業・研究機関

市場	技術	日本	米国	欧州
ゲノム創薬	ゲノム解析	慶応大学 理化学研究所 かずさDNA研究所 武田薬品(米国セレーラ)	21ヶ所のゲノムセンター セレーラ・ジェノミックス インサイト・ジェノミックス	サンガーセンター(イギリス)
	ゲノム機能解析	ジェンコム 理化学研究所	サーファー・ジェン・バイオシステムズ キュアジェン、キャリパー、オーキッド ラー・スケール・バイオロジー ミリアッド・ジェネティクス	ハイブリジネシス(フランス) オックスフォード・グライコサイエンス ズ(イギリス)
	エピトピック、 ハイブリット スクリーニング	三共(米国アルクレ) 第一製薬(米国ファルマア コペイア)	アクシス キュール	バイエル(ドイツ、米国アルクレ) ノバルティス(スイス、米国トレガ・サ イエンス)
	ドラッグ デザイン	医薬分子設計研究所 ファルマデザイン	ガウシアン ジェネティックコンピュータグループ	バイオベース(ドイツ) シノプシス(イギリス)
	バイオイン フォマ ティクス	日立製作所 富士通、三井情報開発 JBIC	インフォマックス ネットジェニクス ダブルツイスト	ライオン・バイオサイエンス(ドイツ) オックスフォード・モレキュラー・グル ープ(イギリス)
	実験動物	ジェンコム 理化学研究所	レキシコン・ジェネティクス	ノッチングム大学(イギリス)
	動物工場		ジェンザイム・トランスジェネティクス	PPLセラピューティクス(イギリス) ファーマーミグ(オランダ)
DNA 診断	遺伝子多 型解析	東京大学医科学研究所 日本製薬工業協会	セレーラ・ジェノミックス インサイト・ジェノミクス	SNPコンソーシアム
	解析診断 装置	宝酒造 三菱レーヨン	アフメトリックス キャリパー ジーンロジック	アマシヤム(スウェーデン)
遺伝子治療	遺伝子治療	大阪大学、岡山大学 東京大学医科学研究所 宝酒造、扶桑薬品 ディナベック研究所 メドジーン・バイオサイエ ンス	イントロジェン・セラピューティクス アベンティス アビジェン ジェンベック	キアゲン(ドイツ) インベリアル・カレッジ(イギリス)
再生医療	組織工学	九州大学、名古屋大学 北里大学 ジャパンティッシュエンジ ニアリング メニコン、JMS	マサチューセッツ工科大学 アドバンスト・ティッシュ・サイエンス オルガノジェネシス サース・バイオメディカル ジェンザイム・バイオサージェリー	グローニンゲン大学(オランダ) フライエ医学(ドイツ)
	発生工学	京都大学再生医科学研究所 大阪大学	ウイスコンシン大学 ジョンズ・ホプキンス大学 ジェロン	ニース大学(フランス) フランツ・フォルムルト病院(ドイツ)

## 6. 日米欧の産業政策動向

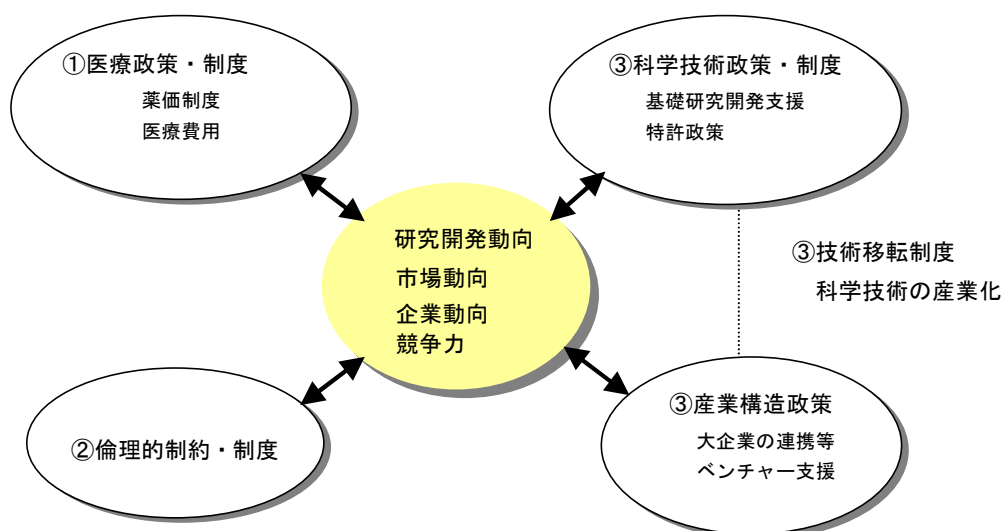
### (1) 分析の枠組み

「バイオテクノロジーの医療分野への応用」に影響する産業政策を検討する場合、一般の製造業やサービス産業の場合よりも広く考える必要がある。具体的には、以下の諸点を考慮する必要がある。

- ①医薬品・医療サービス産業が、生命・健康に直結するものであり、かつ保険制度との関係から、各国の医療政策・制度の影響を大きく受ける点。
- ②バイオテクノロジーを医療分野に応用する場合、個人のプライバシーや人権にかかわる面があることから、倫理的な規制を受け、とりわけ遺伝子解析やヒト胚を扱うような研究開発については大きな問題となる点。
- ③バイオテクノロジー技術は、大学等における科学的発見がそのまま製品化・産業化に直結しうするため、他の産業よりも、基礎研究の振興政策、技術移転やその結果を保護する特許政策の影響が大きい点。

以下、医療政策、倫理制度、科学技術政策・産業構造政策について順にまとめる。

第12図 「バイオテクノロジーの医療分野への応用」に影響する政策・制度



### (2) 医療政策・制度（医薬品承認と薬剤費・医療費関連）

#### ①制度・環境変化

日米欧で、1990年代に起こっている医療制度・環境面の変化として、以下の点が重要と考えられる。

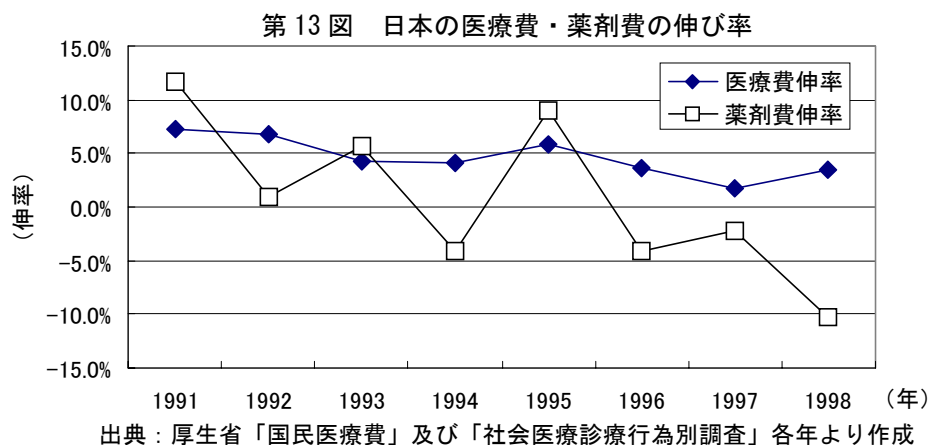
#### (日米欧共通)

- ・日米欧の新薬承認政府機関や製薬業界団体が共に参加して開催されている国際会議 ICH (International Conference on Harmonization<sup>1</sup>) の進展により、医薬品承認申請のための試験方法、評価基準等が日米欧の三極で調和されつつある。
- ・高齢化により各国医療費が増加傾向にあることから、医療制度・政策は医療費抑制を重視した政策へシフトしてきている。

<sup>1</sup> 1991年11月、ベルギーで第1回総会開催。2000年11月、米国で第5回総会開催。

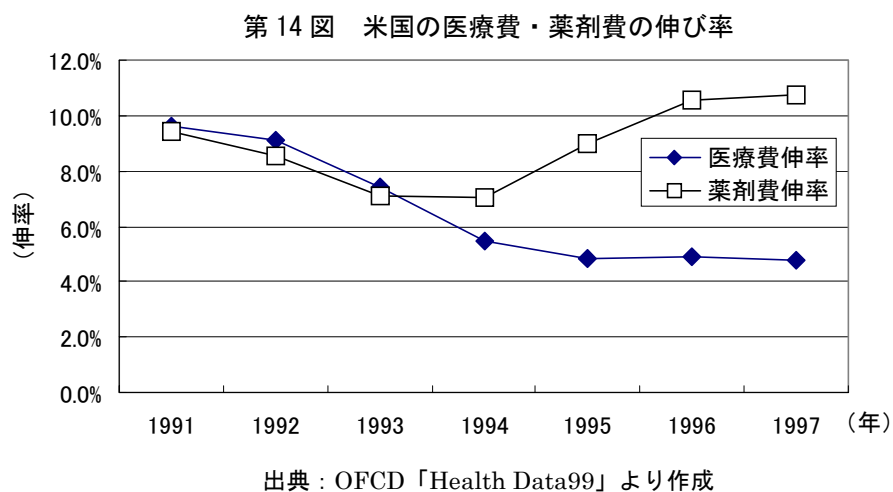
(日本)

- ・ 紆余曲折はあるが、薬価制度の改訂や、診療報酬における定額払い方式の拡大等の薬剤費抑制政策が効果をみせている。人口の伸び率に比べて医療費の伸び率は低く抑えられているところ、下図に示すように、薬剤費<sup>1</sup>の伸び率はその医療費の伸び率と比べてさらに小さく、マイナスとなっている年もある。
- ・ したがって、国内医薬品市場の金額的拡大は望みにくい状況にある。
- ・ 逆に、画期性の高い新薬に対する薬価加算制度等により、画期的新薬開発のインセンティブは増加の方向へ向かっている。



(米国)

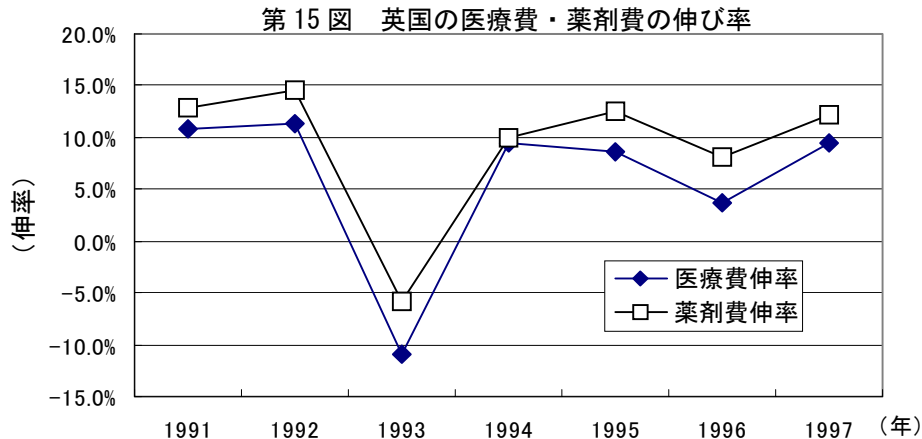
- ・ 医療費抑制策は意識されているが、薬剤費については、むしろ増加する傾向がみられる。下図のように、医療費の伸び率に比べ、薬剤費の伸び率のほうが大きくかつ上昇している。その原因としては、高額な治療費を代替するために薬剤使用が増えていることや、薬品価格が原則として自由価格なので、市場原理により、人気のある（効果の高い）医薬品ほど高価格にできる、といったことが考えられる。
- ・ また、製薬企業による消費者への医療用医薬品の直接宣伝解禁（1997年）により、従来の医療機関からの一方的な薬剤指定の構図が変わり、消費者側が医療機関に対して薬剤を指定する傾向がでてきている。



<sup>1</sup> 薬剤費は、医療用医薬品（医師により使用、処方されることを目的とした医薬品）の費用で、医療費の内数。

(欧州)

- ・医療費及び薬剤費の抑制策は意識されており、例えば英国やドイツでは以下のような施策を試みているが、日本ほど顕著な影響はでていない。英国の場合は下図のように医療費と薬剤費の伸び率はほぼ同じであり、両方とも一時的に下がることはあっても、またもとに戻っている。
- ・英国では薬品価格の設定変更において、新医薬品と既存医薬品を区別して対応。
- ・ドイツでは特許切れ薬品と特許保持薬品とを区別して薬品価格を設定。



出典：OFCD「Health Data99」より作成

②製薬企業等への影響

上記の制度・環境変化は、製薬企業等の動向に以下のような影響を与えると考えられる。

(日米欧共通)

- ・医薬品承認のための試験方法、評価基準等が国際的に調和されつつあることから、製薬企業の世界展開が従来より容易になる。欧米企業の日本市場への参入、日本企業の欧米市場への参入も従来より容易になる。
- ・各国の医療費・薬剤費抑制傾向、他方で画期的新薬・特許保持薬品等に対しては優遇的な薬価設定が行われる制度から、より費用対効果の高い新薬開発を指向する。

(日本)

- ・日本企業による海外展開がしやすくなった反面、臨床試験環境整備の遅れから、日本での臨床試験の実施が、欧米（特に米国）と比較してハードルが高くなる（臨床試験の空洞化）。
- ・図に見られるように、国内市場の単純な成長は期待しづらくなってきたため、日本企業は、費用対効果の高い医薬品開発とともに、日本市場だけでなく欧米市場を視野にいれた製品開発・販売展開が必要となる。

(米国)

- ・医療用医薬品の消費者への直接宣伝解禁により、消費者への直接宣伝費が増加しており、そのコスト吸収のためにも、需要が大きい医薬品開発、効果の高さなど消費者に対してははっきりとアピールできる医薬品の開発が必要となる。

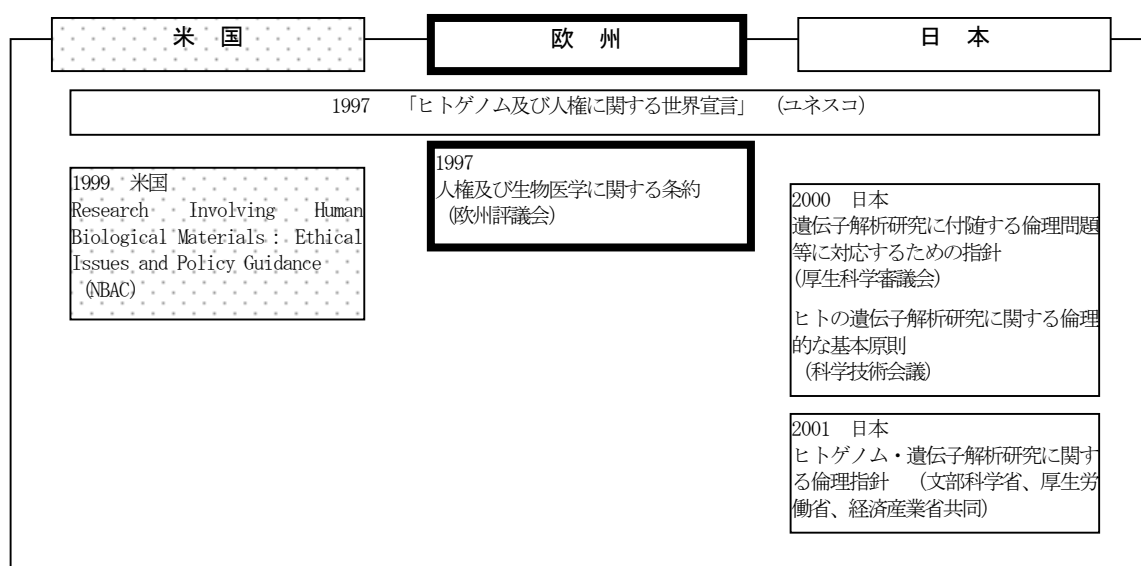
### (3) 倫理制度

#### ① 遺伝子解析研究に関する倫理規制

1997年、ユネスコ総会において、ヒト遺伝子解析研究における倫理的問題に対処するための枠組みの必要性を指摘する「ヒトゲノム及び人権に関する世界宣言」が採択されている。この宣言は、ヒトゲノム研究とその倫理的側面を取り扱ったものとして国際的には最初のものである。

米国では、ユネスコ宣言採択と同時期に大統領がNBAC(National Bioethics Advisory Commission)に諮問を行い、約2年をかけてガイドラインを作成し1999年に公表した(Research Involving Human Biological Materials: Ethical Issues and Policy Guidance)。同ガイドラインでは、遺伝子解析研究を含む「ヒトの生体試料」を研究に用いる場合の守るべき事項をまとめている。

日本では、同様の指針の作成は、1999年、まず厚生省が、同省のミレニアム・プロジェクトに参加する研究機関を対象を絞って指針を作成した。さらに2000年6月、国内で行われるすべての関連研究を対象とする指針が科学技術会議から改めて発表され、2001年3月には、文部科学省、厚生労働省、経済産業省共同で「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」が策定されるにいたった。



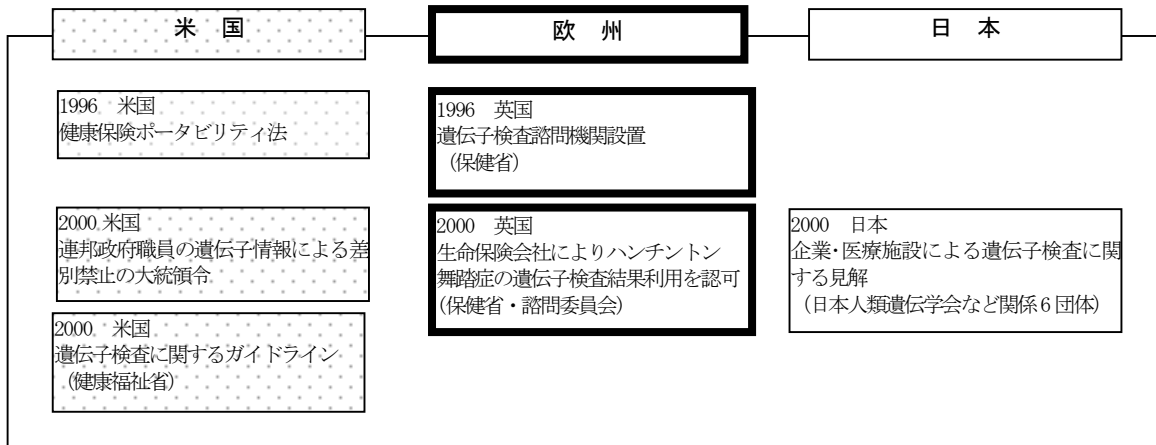
#### ② 遺伝子診断・検査に関する倫理規制

遺伝子検査は、その対象とする疾患や遺伝子によってその信頼性はまちまちであり、また、多くの疾病は複数の要因が複雑に絡み合っているものから、確度の低い検査結果が一人歩きする可能性がある。そのため、遺伝子検査に関する基本的指針として、米国では、健康福祉省が2000年にガイドラインを発表、英国では1996年に保健省に諮問機関が設置されガイドラインが作成されている。しかし、日本では、国レベルではまだ整備されておらず、各学会が個別にガイドラインを作成しているにとどまっている。

遺伝子検査情報に基づき、保険加入や雇用面で差別が行われることに対して、米国では、健康保険ポータビリティ法や連邦政府の採用や昇進にあたって差別を禁止する大統領令等による規制が行われている。他方英国では、生命保険会社が利用できる遺伝子検査の

種類について検討しており、2000年10月には、世界で初めて、ハンチントン舞踏症<sup>1</sup>に限り、遺伝子検査結果の利用を生命保険加入時の情報として正式に認めた。日本では、検討が遅れており、生命保険協会の遺伝子研究会が1997年、報告書をまとめたにとどまっている。

そのほか、遺伝子検査の特徴や意味を被験者に分かりやすく説明し、医師がカバーしきれない受診後の心理的な葛藤などにきめ細かく対応する遺伝カウンセラー制度についても、米国ではすでに養成学校等、制度化されているのに対し、日本ではようやく2000年度から、遺伝カウンセラー育成制度の検討が、厚生科学研究費補助金の事業で開始された。



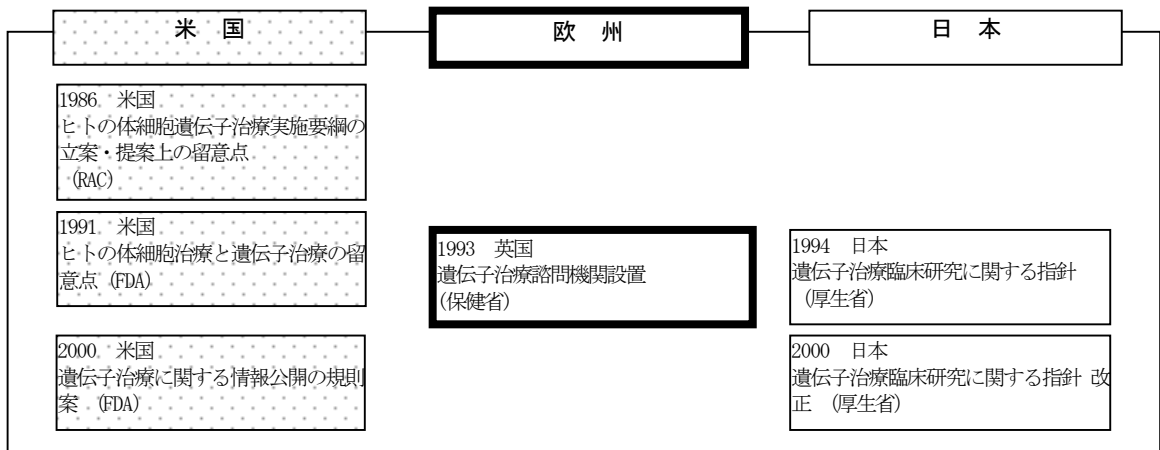
### ③遺伝子治療に関する倫理規制

遺伝子治療に関する規制の必要性は、1980年、米国 UCLA (カリフォルニア大学ロサンゼルス校)において、医師が強行に患者に遺伝子を導入する実験を行うという事件をおこしたことにより、はじめて認識された。米国では、これを契機として遺伝子治療に対するガイドラインが検討され、1986年に RAC (Recombinant DNA Advisory Committee) が、1991年には FDA (Food and Drug Administration) がガイドラインを公表している。これらのガイドラインにしたがって、1990年に米国で世界最初の遺伝子治療が実施された。しかし、1999年に、米国ペンシルバニア大学で遺伝子治療を受けた患者が死亡するという事故が起き、FDA と NIH (National Institutes of Health) は、規制制度の見直しを行っている。

日本では、1994年に厚生省から「遺伝子治療臨床研究に関する指針」が発表された。これに基づき、1995年には北海道大学で日本最初の遺伝子治療が始められた。さらに、同指針では、遺伝子治療を「生命を脅かす先天性または後天性の難治疾患」に限定していたが、2000年に改訂し、「生活の質を著しく損なう難治疾患」にも拡大することが認められた。この改訂により、大阪大学の末梢性血管疾患に対する遺伝子治療計画が認められるようになった。

<sup>1</sup> 中年早期に発症することの多い神経性難病。感情の鈍化や痴ほうなどの症状がでる。病状の進行は緩やかだが一度発病すると食い止めるのは難しい。日本では100万人に5~6人という珍しい病気だが、白人の場合は10万人に4~10人の割合で発症するという。



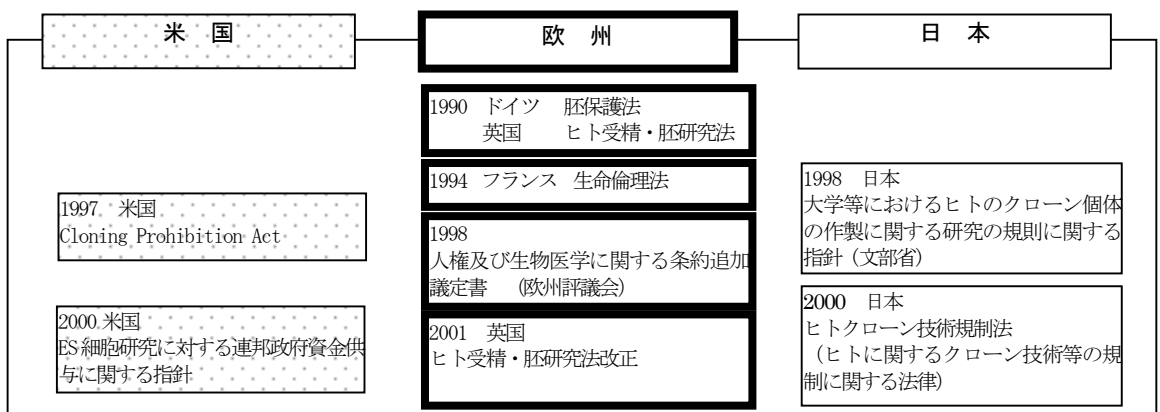


#### ④再生医療関連（特にヒト胚、ヒト ES 細胞を用いた研究）に関する倫理規制

米国では、ヒト胚の研究利用を民間の活動まで含めて規制している連邦法はない。ただし、そのような研究に連邦等の公的資金を使用することは Cloning Prohibition Act で禁じている。一方、ES 細胞研究については、2000 年 8 月、一定条件下で公的資金援助を受けて研究を実施することを認める指針をだした。

欧州では、クローン羊が作成される以前から、体外受精との関連で、禁止的規制が各国で整備されていた。例えばドイツでは、遺伝や生殖への人為的な操作について包括的な法律を定めそのなかでクローン技術のヒトへの適用を禁じ、「胚保護法」では、「ヒト胚はその受精の瞬間から生命として扱われるべき」という考え方を基本に、ヒト胚を扱う研究については ES 細胞の研究を含め一切禁止している。フランスでは、「生命倫理法」によりヒト胚を取り扱う研究を原則禁止しているが、ES 細胞に関連する技術については容認に向けて検討が進められている。また英国では、「ヒト受精・胚研究法」により、ヒト胚の取り扱いを規制してきたが、2001 年 1 月には当該法を改正し、一定の条件下での ES 細胞関連の研究については許容している。

日本では、1998 年に、大学での研究規制指針が文部省からだされた。その後、学術審議会での検討も進展し、2000 年 12 月に、「ヒトクローン技術規制法（ヒトに関するクローン技術等の規制に関する法律）」が成立している。同法は、ヒト胚などをヒトや動物の母胎に入れる行為を禁止し、クローン人間育成などにつながる行為を禁じたもので、生命科学研究に規制を加える国内初の法律である。一方、ヒト ES 細胞研究など、クローン人間作成に直接つながらない範囲のヒト胚を用いる研究については、一定の条件を満足することを要件にして許容することが検討されており、そのための指針が現在文部科学省において検討されている。



#### (4) 科学技術政策・産業政策

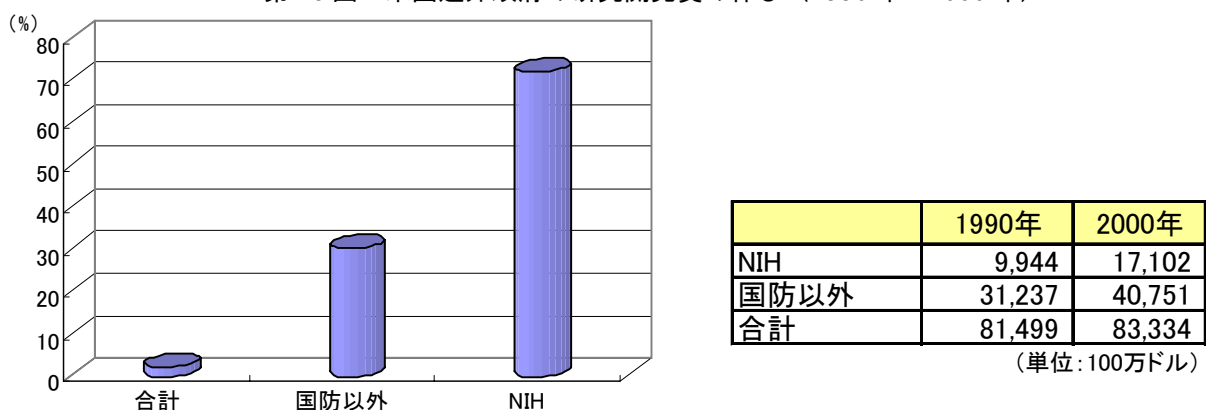
科学技術・産業政策に関しては、米国で1980年代からとられた政策・制度整備が、バイオテクノロジー分野で、うまく機能し、米国の現在の強さが築かれた、といえる。

##### ①米国

1980年代に、大学・政府研究機関から産業界への技術移転制度として、バイドール法(1980年)やCRADA(Cooperative Research and Development Agreement、1986年)などが整備された。また、CAFC(Court of Appeals for the Federal Circuit)設立(1982年)やヤングレポート(1985年)等により、特許保護・促進制度が整備された。並行して、SBIR(Small Business Innovation Research、1982年)等のベンチャーの技術革新支援制度が整備された。これらにより、企業が「科学」技術を商業化していく仕組みが整えられた。これらはバイオ分野に限らない制度整備であるが、科学的発見が商業的技術・製品開発に直結する可能性の高いバイオ分野で特に有効だったと理解されている。

さらに、1990年頃からバイオ産業分野を国として重要分野として位置づけ、予算や施策を重点配分している。下図のように、バイオ研究に関する連邦予算を統括しているNIHの予算は他分野の研究開発予算に比べ大きく伸びている。

第16図 米国連邦政府の研究開発費の伸び(1990年～2000年)



出典：AAAS Reports VII through XXV より作成

##### ②英国

英国でも、米国からやや遅れる形で同様なプログラムが整備された。産学協同研究及び大学等から企業への技術移転プログラムとしては、TCS(Teaching Company Scheme)、CASE(Cooperative Awards in Science and Engineering)、LINKの3つが重要で効果があったとされている。TCS及びCASEは、修士レベル・博士レベルの研究者をフルタイムに近い形で企業に派遣することを通じて、大学から企業への技術移転を果たすものである。1980年代以前からあった制度だが、近年、意義・効果の評価が高まり、TCSは1999年から国の予算が倍増され、CASEには、1994年から新しくIndustrial CASEが追加された。LINKは、産学共同の研究プロジェクトを進めるスキームで、1988年に、英国の優れた科学研究と弱体な産業界の技術開発を埋めるべく始められた。さらに、最近、バイオ分野に特化したBEPチャレンジ(Biotechnology Exploitation Platform Challenge、1999年)など、大学からの技術移転を促す制度が新設されている。

ベンチャー支援としては、1986年にSMART(Small Firms Merit Awards for Research & Technology)が創設され、1990年には特にバイオテクノロジーに特化したBMB(Biotechnology Means Business)が創設された。さらに、最近、米国のSBIRに触発され、良く似たSBRI(Small Business Research Initiative、2000年)が創設された。

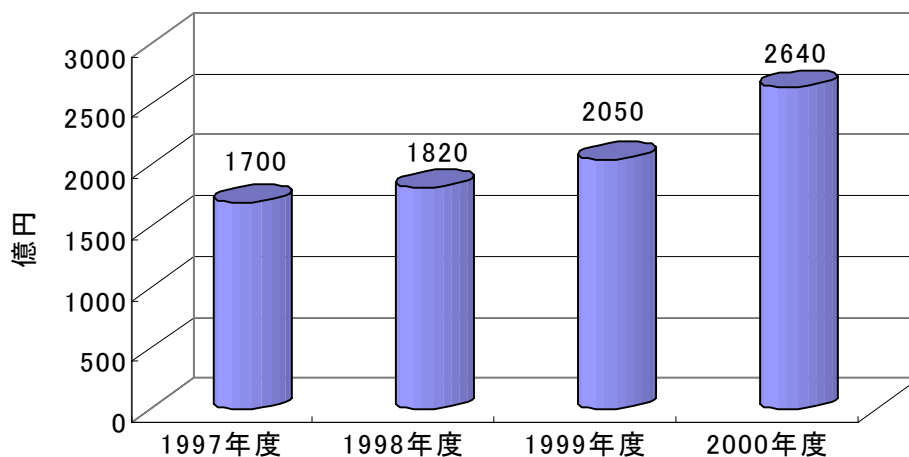
また、1994～1995年に、全国の産・官・学の関係者の参加の下に「テクノロジー・フォーサイト」という大規模な将来技術予測を行った(事務局は貿易産業省)。このなかで、医薬品産業が英国で最も競争力のある産業の一つであると位置づけられ、政府として集中的に支援していくことになった。

### ③日本

日本では、米国と比較したときの立ち遅れから、ここ数年で次々に各種制度が整備されてきている。

技術移転制度については、大学等技術移転促進法(TLO法、1998年)、産業活力再生特別措置法(日本版バイドール法、1999年)等が実施された。特許制度については、特許法改正(1999年)により、権利取得の早期化(審査期間の短縮)、権利侵害に対する救済措置拡充、特許料金の引き下げ等が行われた。ベンチャー支援策については、新事業創出促進法(1998年)、中小企業技術革新制度(日本版SBIR、1999年)に加えてマザーズ創設(1999年)やナスダックジャパン創設(2000年)によりベンチャー資金供給制度も整えられてきた。さらに、ミレニアム・プロジェクトにより、国家予算・施策のバイオ分野への重点配分政策が打ち出され、2000年度当初予算では約640億円が、特別枠として計上された。この結果、下図のように、1999年度に比べ約30%増加している。

第17図 日本のバイオ関連予算の推移



出典：経済産業省ホームページ、諸外国のバイオテクノロジー産業の現状

[平成13年3月3日検索] <http://www.meti.go.jp/policy/bio/genjo3.html> より作成

## 7. 今後の日本の方向性と取り組むべき課題

現在、ゲノム解読に目処が立ち、ポストゲノム（ゲノム解析後）への期待が高まっており、さまざまな基盤技術が活発に研究開発されている。しかし、個別技術分野ごとの傾注すべき詳細な方向性については、いろいろな有識者から種々の意見が出されている状況と見受けられる。たとえばゲノム創薬に関して、「ゲノム配列または SNPs データに基づいて発現タンパク質の機能を予測できるプログラムの開発、SNPs データ解析のための安価で高速な解析技術の開発が重要」という意見の一方で、「タンパク質の立体構造を調べるほうが早道」「疾患モデル実験動物を用いた遺伝子解析、評価が重要」といった意見がある。したがって、各種調査結果をもとに、まず、(1) 今後のバイオテクノロジーの医療分野への応用の大きな方向性と技術群の関わりをまとめ、次に、(2) 各技術分野における日本の状況と課題をまとめた。最後に、(3) 各技術群に共通していえる政策・制度面の課題をまとめた。

### (1) バイオテクノロジーを用いた医療分野の将来像と技術の方向性

ポストゲノム時代における研究課題として、遺伝子の機能解析と遺伝子発現解析、プロテオミクス（タンパク質解析）、さらに遺伝子多型解析が挙げられる。そして、これらのポストゲノム研究の進歩によって、医療に大きな変革がもたらされると考えられる。

まず、機能の解析された遺伝子を用いて、疾病に至るメカニズムが解析されると、その結果を、直接、**遺伝子診断**、ひいては**遺伝子治療**に応用することが可能である。

また、ヒトは遺伝的に多様性に富んでおり、疾患への感受性などに個体差があることが分かっていたが、従来は、個体差は経験論的に知られているだけであった。しかし、SNPs を初めとする**遺伝子多型**の研究によって、個人差を定量的に捉えることができる可能性が出てきており、単因子性疾患だけでなく、多因子性疾患についても、疾患にかかるリスクを予測したり、薬剤感受性に応じた薬剤選択や副作用の少ない医薬品の投与といった、個人の性質に応じた医療（**オーダーメイド医療**）を提供できるようになると期待されている。オーダーメイド医療の実現のためには、遺伝子の機能・発現解析、SNPs 解析などの遺伝子多型解析の研究と、**プロテオーム解析**等を組み合わせたゲノム創薬が必要である。

さらに、ゲノム情報や SNPs を併用した遺伝子診断の結果に基づいて、予防のための投薬や治療も行える可能性がある。それらを押し進めていくことにより、将来は、予防から始まるという意味で、より進んだオーダーメイド医療が実現することが考えられる。

以上の過程で膨大なゲノム情報等をデータベース化するとともに、シミュレーションすることが必要となるため、バイオインフォマティクスが今後ますます重要になってくる。

もう一つの将来の医療の柱として、**再生医療**を通じたオーダーメイド医療が挙げられる。臓器の機能回復を図る手段として、投薬治療では対処できなかった患者に対し、現在の臓器移植に代わる技術として、再生医療の実用化がさらに進むものと期待されている。再生医療

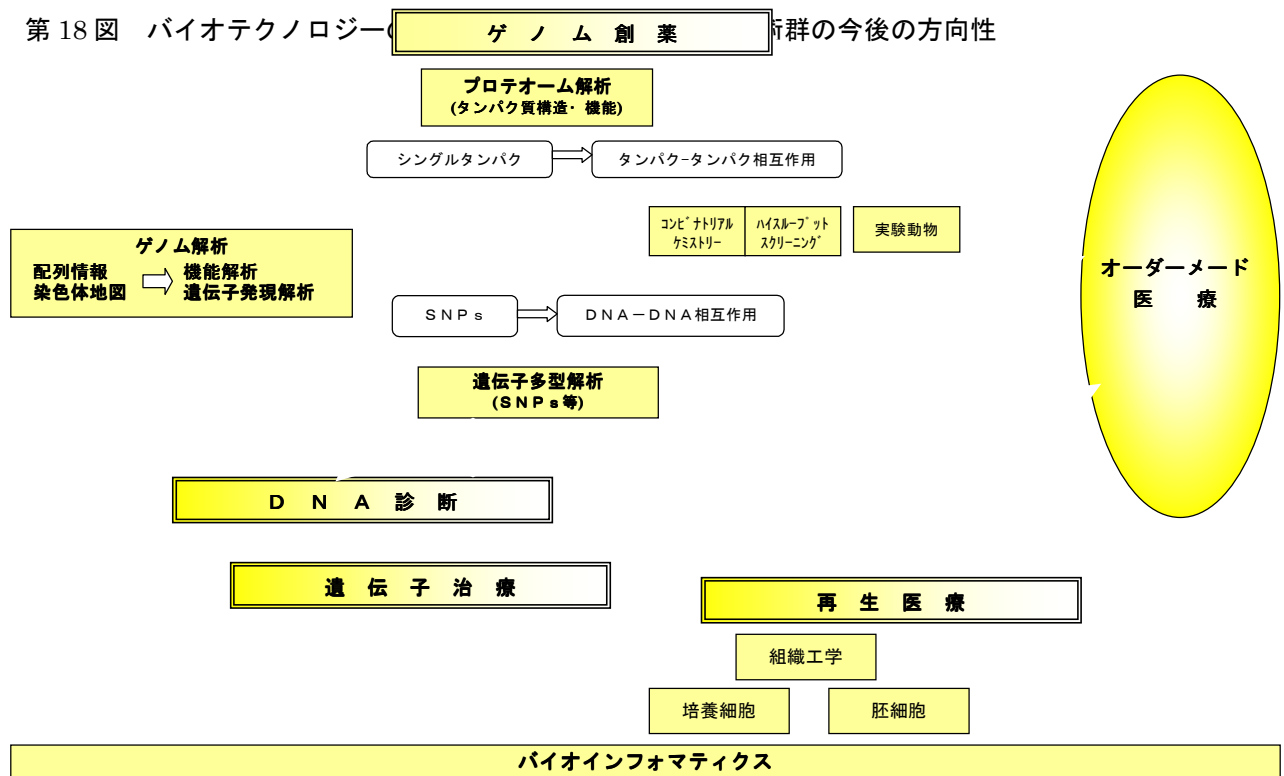
は、現在は組織工学的なものが皮膚、軟骨などにおいて実用化の緒についたばかりであるが、ES 細胞利用技術の樹立をきっかけに、今後は発生工学的な技術によって作製され、拒絶反応などの副作用の抑えられた組織や器官の提供も期待される。(再生医療は、既存医療では治療不可能であったり、単なる延命治療しかできなかった疾病領域に対して、まったく新しい治療方法を提供する可能性がある。

再生医療には、種々の技術の融合が欠かせない。組織工学系の再生医療では、化学工学・医学・生物学の融合した境界領域の研究が、また、ES 細胞などを用いた発生工学的な再生医療においては、細胞治療や遺伝子治療との境界領域の研究を支援する体制の構築が必要とされる。

上記のようなオーダーメイド医療においては、患者個々の特性に応じた投薬や治療となるので、無駄な投薬を避け、より効率的な治療が行えるので、費用対効果が高くなると考えられる。従って、6.で述べたとおり、医療費及び薬剤費の抑制政策が導入されている日本においては医療経済的側面からも必要性が高いと考えられる。

ゲノム創薬では、従来の創薬手法より効率よく医薬品が開発できると期待され、したがって投資効果が高くなると考えられる。また、効能を明確にアピールできるとともに、画期的新薬として、高価格が期待できる。こうした面で、製薬企業にとっても意義が高いと考えられる。また予防を含めたオーダーメイド医療は、新規市場の創出に繋がることである。

以上のバイオテクノロジーの医療への応用における基礎技術群の今後の方向性を模式的に示したのが下図である。このような大きな流れの中で現在の状況を押さえ、今後取り組むべき課題を考察する必要がある。



## (2) 個別技術分野における将来性・課題

本編での各種調査や、日本製薬工業協会の協力を得て日本の製薬企業に対して行ったアンケート結果などから、将来性や課題を個別技術分野ごとにまとめる。

### ①ゲノム創薬

ヒトゲノム解析については、欧米、特に米国に立ち遅れたが、より、実際の創薬に直結する可能性の高いプロテオーム解析については、巻き返し余地があると考えられる。発現タンパク質の機能推定については、ゲノム配列情報に基づいて推定する方法もさることながら、タンパク質の立体構造からアプローチするほうが早道という見解もある。下記のような、日本の保有する世界有数の施設の効率的利用などにより、ゲノム解析で遅れたところを取り戻せる可能性がある分野といえる。

タンパク質の立体構造解析は、現在、各国の研究テーマとしても重要視されている。例えば、米国 NIH は、5年間で総額1億5千万ドルを投じて、タンパク質の基本構造である約1万種のうち5000種以上の構造決定を目指す方針を打ち出している。ゲノム解析で名をあげたセレーラ社も今後はタンパク質の解析に注力していくようである。

日本では、理化学研究所が、世界有数の施設である大型放射光施設「Spring-8<sup>1</sup>」と NMR（核磁気共鳴装置）を利用して5年間で3000種以上のタンパク質解析を手がける予定である。日本企業では、ジェンコム社（1999年、三菱化学・ウェルファイド・協和発酵の3社共同で設立）がプロテオーム解析を進めているほか、製薬企業の間で協力してプロテオーム解析を進めようという動きが見られる。

今回調査対象とした技術のうち、プロテオーム解析に関する技術が含まれているのはドラッグデザインである。5.で述べたようにドラッグデザインに関する特許は世界全体でもまだ少ないが、そのなかに日本企業によるものもいくつかあり、独自技術を開発している日本のベンチャー企業もでてきている。上記アンケート結果でも、ドラッグデザインに関しては「これからの技術であり、今回の調査対象技術のうちでは、最も欧米との格差が小さい」との意見が多く、「プロテオーム解析を今後の注力分野として重視する」コメントが多かった。

プロテオーム解析については、特許や産業化に直結する可能性が高く、企業間の協力がどこまでうまくいくか難しいところがあり、この点が課題と考えられる。

コンビナトリアルケミストリーやハイスループットスクリーニング、バイオインフォマティクスといった情報技術を活かす必要のある分野については、4.及び5.で述べたように、今までのところ特許も技術開発状況も欧米が先行している。今後、注力を強めている日本の情報系企業による展開が期待される。ただし、上記アンケート結果でも指摘されているが、生物系と工学系の両分野に通じた人材育成が課題となる。

実験動物に関する主要な特許には、米国出願人のみでなく、日本や欧州の出願人も相当程度入っており、日本が比較的競争力がある分野と見受けられる。上記アンケート結果でも、「実験動物については欧米に対してさほど差を感じない」といった評価がされている。現在、アル

---

<sup>1</sup> Spring-8は、エックス線をタンパク質に照射して形を割り出すエックス線解析の施設で、1997年兵庫県に建設された。世界で最も強力な高輝度な放射光線を利用するものである。

ツハイマー病の病態動物モデルについて飛躍的な技術進歩や特許出願がみられる。今後、ゲノム創薬進展に伴い、他の様々な疾病についても、ヒトの疾患を反映した病態モデル動物の必要性が高まり、これに応じた技術開発が課題と考えられる。

## ②DNA 診断

SNPs 関連技術の特許出願状況を見ると、日本出願人による特許出願件数は、非常に少なく、これまでのところ、SNPs 関連技術に関して日本の競争力は弱いといえる。

現在、5.で述べたように、米国ベンチャー企業の独自の、もしくは欧米の有力企業・研究所の SNP コンソーシアム (The SNP Consortium) による SNPs 解析に対し、日本では日本製薬工業協会によるコンソーシアム (ファルマ・スニップ・コンソーシアム) や国のミレニアム・プロジェクトで解析が行われている。予算規模をみると、欧米の The SNP Consortium は、5年間で約 4500 万ドルを投入予定であるのに対し、日本のファルマ・スニップ・コンソーシアムは3年間で 10 億円、国のプロジェクトは 1999 年度補正予算と 2000 年度予算で約 200 億円、2001 年度予算 (内示ベース) で約 100 億円が投じられることになっている。したがって、SNPs 解析に対しては、日本は、国際的にみても重点的な予算配分を行なっているので、今後成果が期待できる。

多くの疾患の成立には複数の SNPs が関与しており、単一の SNP が解明された次には、複数の SNPs の相互作用の研究が課題となると考えられる。

## ③遺伝子治療

遺伝子治療分野での日本出願人による特許取得は、件数は少ないが、4.や 5.で述べたようにいくつかユニークなものがあり、また、遺伝子治療の課題の一つである遺伝子導入効率向上に関しては宝酒造の開発した導入助剤が世界で活用されている。

上記アンケートでは、ベクターの開発が今後日本が注力する分野、という意見が非常に多かった。しかし、一方で、「ベクターの細かい改良はあるが、大きな飛躍がない」「技術開発もさることながら、臨床試験がボトルネック」といった意見が課題として指摘されている。

これまでの遺伝子治療件数 (プロトコル数) は、米国で 418 件、欧州 98 件に対し、日本では 5 件しかない。ユニークな技術開発は見られるものの、欧米に伍していくには臨床試験が課題と考えられる。

## ④再生医療

再生医療に関しては、4.や 5.で述べたとおり、日本出願人による日本および米国での特許出願件数も多く、京都大学等の大学で世界に伍した研究が行われている。

さらにミレニアム・プロジェクトの一環で、発生・分化・再生領域における研究開発を総合的に実施する、理化学研究所「発生・分化・再生科学総合研究センター」が神戸に開設される (施設建設費 30 億円)。

再生医療をとりまく倫理的な環境面でも、6.で述べたように、ES 細胞研究の指針が定まりつつあり、英米と同じスタートラインに立ちつつある。

日本では特に臓器移植に関してドナー問題があるため、他国より再生医療のニーズが高いと考えられ、上記のような技術開発状況、設備面や倫理面の整備状況を見ると、日本で期待できる分野といえる。

### (3) 政策・制度面の課題

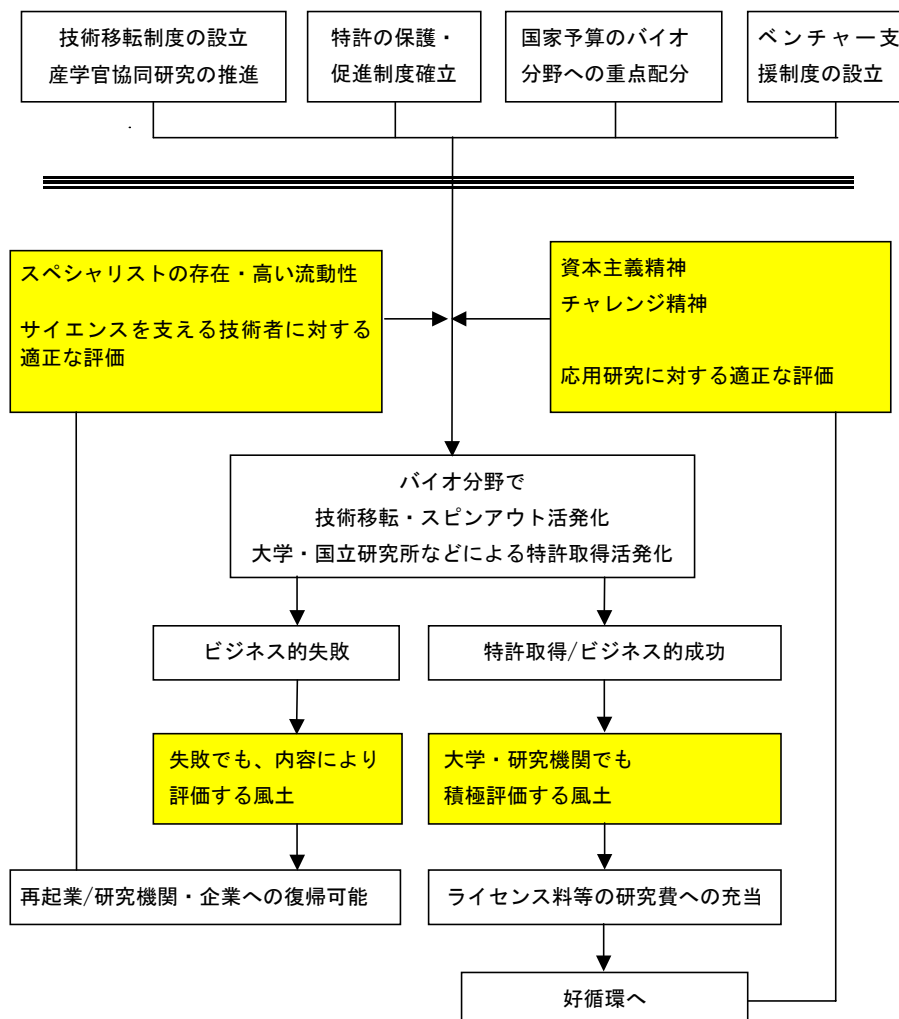
日本でも、バイオテクノロジー及びその医療分野への応用を発展させるための政策・制度が急速に整えられつつあることは、6.で整理したとおりである。すなわち、科学技術・産業政策面で、米国が成功した要因と考えられる各種制度を次々に取り入れ、また倫理制度面では、遺伝子診断・治療に関わるガイドラインやカウンセラー等の整備は遅れているが、遺伝子解析・再生医療に関わる規定は整備されてきた。また、医療制度・政策面の変化は製薬企業等にとり、欧米企業との競争激化やゲノム創薬等画期的新薬の効率的開発を促している。

今後は、制度整備もさることながら、その運用面を考え、実効を挙げていく必要がある。

#### ①制度運用面の課題

日本の最近の科学技術・産業制度整備は、米国のそれをかなり取り入れたものになってきており、ベンチャー企業設立や、TLOによる大学や研究機関等からの特許出願の増加といった効果が出始めている。しかし、米国においてこれらの制度が効果的に機能し、バイオ分野で、大学や研究機関等からの特許出願が多くなされ、かつベンチャー企業が次々と設立されているのは、下図のような土壌や、バイオ関連分野の人材の厚みがあるからといえる。日本では図の網掛けの部分に不足しており、こうした面の意識改革が必要である。

第19図 科学技術政策・産業化政策が機能する米国の土壌





こうした土壌ができるのには、日本では時間がかかるという意見も多い。しかし、米国でも英国でも制度ができてすぐに大学・研究機関の意識がかわったわけではない。例えば米国ジョンズ・ホプキンス大学の「1990年頃までは、技術ライセンスも学問の精神に反する行為ととらえられていた。しかし、大学がライセンス供与する技術に関して教授もロイヤリティや株式持分を受け取ることが可能にするなどの方針を打ち出して以来、風潮が変わり、現在は非常に積極的に技術移転に取り組むようになっている。」といった事例が示すように、時間や工夫が必要である。

## ②経済資源（資金・人材）の戦略的配分・活用

### ・研究開発費の現状

技術移転やベンチャー育成が機能するためには、意識改革・工夫が必要であり、またバイオ関連分野における人材の厚みが醸成される必要があり、時間がかかる。したがって、これらと並行しながら、より早く米国等へのキャッチアップを果たすには、現在の限られた資源（資金・人材）の戦略的配分・活用が必要になる。

日本の大手製薬企業は、欧米の大手製薬企業と比較して、規模が小さいことから、研究開発費の絶対額がかなり少ないというのはよく知られている。また、日本の国家予算についても、バイオ関連にかける額がミレニアムプロジェクトで大幅に増えてきたものの、米国に比べると依然少ない。

したがって、企業においても国においても、規模拡充はもちろんであるが、限られた資金を効果的に配分・活用していく必要がある。

第20表 日米欧 大手製薬企業の研究開発費

(単位：億円)

会社名	研究開発費
メルク(米)	2,358
ファイザー(米)	3,165
アベンティス(仏)	3,709
グラクソ・ウェルカム(英)	2,348
武田薬品工業(日本)	772
三共(日本)	644

注：欧米は1999年12月末期、日本は2000年3月末期

出典：各社アニュアルレポートより作成

第21表 日米バイオ関連予算

米国	日本
約1兆6000億円	約2600億円

注：米国は1999年度、日本は2000年度

出典：経済産業省ホームページ

諸外国のバイオテクノロジー産業の現状

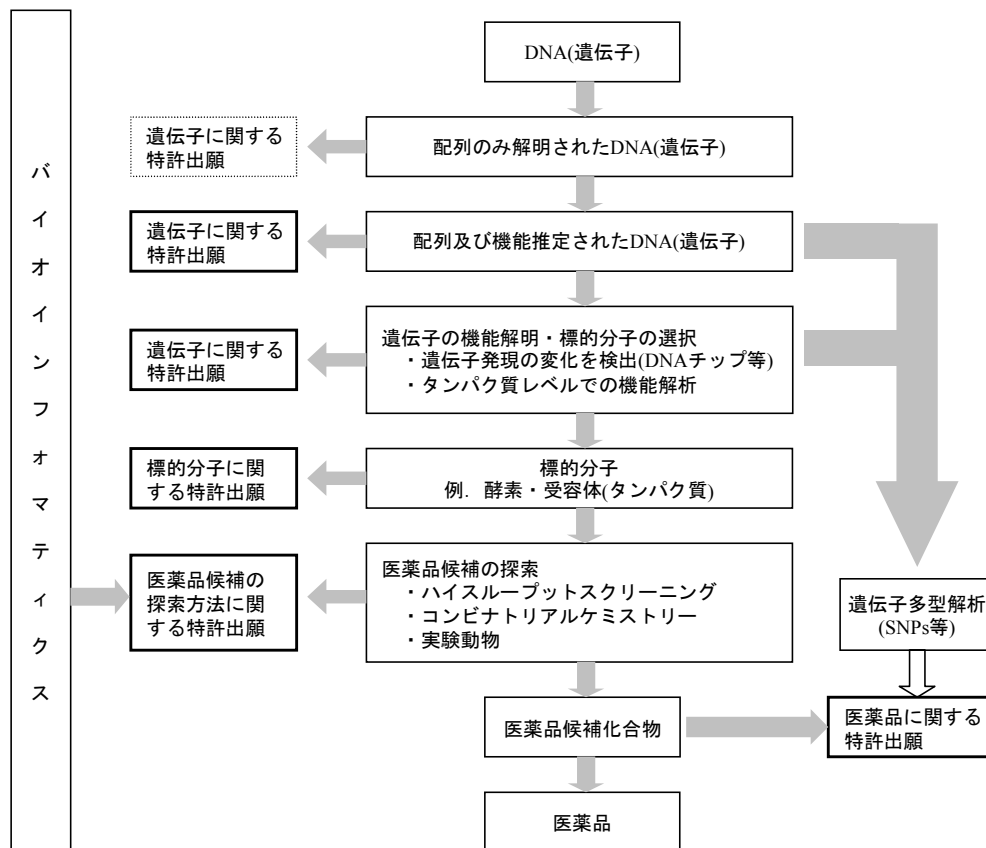
[平成13年3月3日検索]

<http://www.meti.go.jp/policy/bio/genjo3.html>  
より作製

### ・配分の対象分野

経済資源の戦略的配分分野を特許戦略的観点から考察する。どの分野で特許権を取得するのが重要かという点について、最近の日米欧の三極特許庁での議論をふまえながら検討すると次のようにいえる（下図参照）。

第 22 図 ゲノム創薬に係わる特許



出典：特許庁ホームページ、テクノトレンド、バイオテクノロジーの特許について、[平成 13 年 3 月 3 日検索]，インターネット URL:[http://www.jpo.go.jp/techno/tt1210-0005\\_tokkyo.htm](http://www.jpo.go.jp/techno/tt1210-0005_tokkyo.htm) を改変

ゲノム解析に関連する遺伝子特許は、単に配列を決定しただけでは特許を取得することができなく、機能や特別な有用性が必要である<sup>1</sup>。機能や特別な有用性を確定するには、遺伝子から直接確定したり、タンパク質レベルで機能解析を行うなど様々な方法が考えられる。また、標的分子レベルで特許出願を行うことも考えられる。

一方、ゲノム創薬に関する特許としては、ハイスループットスクリーニング方法の特許、研究ツール（コンビナトリアルケミストリー、実験動物）の特許も存在する。さらに、そのような技術を用いて、有効な薬理作用を有する特定の化学物質や、それを有効成分とする医薬の特許の取得も可能である。

ゲノム創薬では、このように様々な技術に関し特許が出願され、上流の技術の開発だけで下流の特許権まで取得できるものではない。逆に、下流での技術開発は上流の複数の特許に関連するため、可能であれば、できるだけ上位の特許権を取得することは大切である。一方、たとえ遺伝子自体の上流の特許が取得されていたとしても、下流の特許の取得も別途可能であるため、その遺伝子を用いたスクリーニングで得られる具体的な新規化合物や医薬用途の特許などの取得を積極的に推進していくことが必要と考えられる。

<sup>1</sup> 第 18 回三極特許庁専門家会合（2000 年 6 月 14 日～16 日開催）による。同会合の結果概要については、<http://www.jpo.go.jp/saikin/press120616.htm> 参照

## ・配分決定のプロセスの重要性

7.(2)では、各種調査結果から、プロテオーム解析やSNPs解析、実験動物、再生医療を今後期待できる注力分野として挙げた。しかし、調査過程で明らかになったのは、どの分野へ注力すべきか、あるいは各分野内でもどの方向に注力すべきか、識者の間でも非常に意見が異なっていることであった。特許戦略からみても、上記のように色々なアプローチが成立しうる。また、これまでは臨床試験に時間がかかることや国際間の新薬承認基準等が不統一であったため、技術開発とその具体化に時間がかかったが、技術の進展と6.(2)で述べたような制度変更でこうした状況が変わりつつある。このように対象分野が、まさに動いており、スピードが要求される状況では、注力分野を慎重に検討することが重要であるとともに、配分の意思決定の柔軟性も必要である。つまり、技術開発の動向に応じて、スピーディーに方針を定め、実績を適正に評価し、必要にあわせ、配分をフレキシブルに変えていくことが必要である。そのために、ある程度トップダウン的であると同時に意思決定プロセスと評価結果がオープンであることが必要になる。

これまで、こういった柔軟な動きは、日本では少なく、それが、米国に遅れをとる大きな要因となっていたが、国としては、2001年1月、強いリーダーシップで日本の科学技術の戦略を練る「総合科学技術会議<sup>1)</sup>」(議長：内閣総理大臣)ができた。同会議は、国家的な科学技術プロジェクトについて、資源配分の方針に加え、その実施体制等が最も効果的・効率的なものとなるよう、府省間の不必要な重複排除等の調整に必要な意見を述べる。さらに、プロジェクトの実施段階においても、実施状況や施策の効果に関し必要な評価を行い、国全体として整合性を持った効果的・効率的な施策の推進を図るものである。

また、製薬業界では、プロテオーム解析に関して、世界的にも貴重な施設であるSpring-8を活用するため、日本製薬工業協会が音頭を取り、製薬企業が専用に利用できる施設を新設するという動きがでてきている<sup>2)</sup>。個別企業では、従来の総花的な研究開発から、分野を絞った研究開発、組織再編、内外企業との連携強化等で対応しようとしている<sup>3)</sup>。

国、業界、個別企業の各レベルで、こういった機動的な動きこそが重要と考えられる。

---

<sup>1)</sup> 総合科学技術会議は、科学技術会議を引継ぎ、国の科学技術政策の司令塔として、内閣府内に発足した。内閣官房長官、科学技術政策担当大臣を含め14名の議員から構成され、科学技術の総合的かつ計画的な進行を図るための基本的な政策、科学技術に関する予算や人材等の資源の配分方針、国家的に重要な研究開発の評価等について調査審議し、内閣総理大臣等に対し意見を述べる。

<sup>2)</sup> Spring-8は、タンパク質解析専用ではなく、半導体や化学など様々な分野の基礎研究に使われている。そこで、日本製薬工業協会は、製薬企業が専用に利用できる施設をSpring-8に新設することを決め、施設利用を希望する企業が必要経費を共同出資し、2002年に施設を完成させる方向で調整中である。

<sup>3)</sup> 企業における資源配分見直し体制の例

三共：2001年2月公表の長期経営計画で、研究テーマの半減・農薬化学事業の分社化・ゲノム研究の強化を打ち出した。①現在約200ある研究テーマを2003年3月までに半分に絞り込む。免疫・循環器・がんなどの広い研究分野の研究を手がけてきたが、テーマを、得意とする循環器領域などを中心に絞り込む。

②今後3年間で過去3年間の2倍に相当する260億円のゲノム研究投資を行う。

山之内：2000年、ゲノム創薬研究の指令的機関として、若手研究者50～60人で、横断的な専門組織「ゲノム・ユニット」を設立。ゲノム創薬に関する研究開発費を最優先で投入。

**【お問い合わせ先】**

特許庁 総務部 技術調査課 技術動向班  
担当：千壽、田代、八町

〒100-8915

東京都千代田区霞ヶ関 3-4-3

電話：03-3581-1101（内）2155

FAX：03-3580-5741

E-mail：[PA0930@jpo.go.jp](mailto:PA0930@jpo.go.jp)