

## 第 3 章 医薬発明

本章は、医薬発明に係る出願における、[審査基準](#)の適用について説明する。  
 なお、本章で説明されていない事項については、[審査基準](#)に従う。

### 本章において用いられる用語の説明

ここでいう医薬発明は、ある物(注 1)の未知の属性の発見に基づき、当該物の新たな医薬用途(注 2)を提供しようとする「物の発明」である。

(注 1) ここでいう「物」とは、有効成分として用いられるものを意味し、化合物、細胞、組織、及び、天然物からの抽出物のような化学構造が特定されていない化学物質(群)、並びに、それらを組み合わせたものが含まれる。以下、当該物を「化合物等」という。

(注 2) ここでいう「医薬用途」とは、以下の(i)又は(ii)を意味する。

(i) 特定の疾病への適用

(ii) 投与時間・投与手順・投与量・投与部位等の用法又は用量(以下「用法又は用量」という。)が特定された、特定の疾病への適用

なお、明細書及び特許請求の範囲の記載要件、特許要件のうち、本章で説明されていない事項については、[審査基準「第 II 部 明細書及び特許請求の範囲」](#)及び「[第 III 部 特許要件](#)」を参照。

### 1. 明細書及び特許請求の範囲

#### 1.1 発明の詳細な説明の記載要件

##### 1.1.1 実施可能要件 ([第 36 条第 4 項第 1 号](#))

医薬発明における実施可能要件の判断は、[審査基準「第 II 部第 1 章第 1 節 実施可能要件」](#)に従って行われる。

医薬発明は、一般に物の構造や名称からその物をどのように作り、どのように使用するかを理解することが比較的困難な技術分野に属する発明である。そのため、当業者がその発明を実施することができるように発明の詳細な説明を記載するためには、出願時の技術常識から、当業者が化合物等を製造又は取得

することができ、かつ、その化合物等を医薬用途に使用することができる場合を除き、通常、一つ以上の代表的な実施例を記載することが必要である。そして、医薬用途を裏付ける実施例として、通常、薬理試験結果の記載が求められる([審査基準「第 II 部第 1 章第 1 節 実施可能要件」の 3.1.1\(3\)](#)参照)。

以下に薬理作用を裏付けるに足る薬理試験結果の記載についての具体的な考え方を示す。

(1) 薬理試験結果についての記載の程度

薬理試験結果は、請求項に係る医薬発明における化合物等に薬理作用があることを確認するためのものである。したがって、原則、(i)どの化合物等を、(ii)どのような薬理試験系において適用し、(iii)どのような結果が得られたのか、そして、(iv)その薬理試験系が請求項に係る医薬発明の医薬用途とどのような関連性があるのか、の全てが、薬理試験結果として明らかにされなくてはならない。なお、薬理試験結果は、数値データで記載されることを原則とするが、薬理試験系の性質上、結果を数値データで記載することができない場合には、数値データと同視すべき程度の客観的な記載で許容される場合もある。数値データと同視すべき程度の客観的な記載とは、例えば、医師による客観的な観察結果などの記載である。また、用いられる薬理試験系としては、臨床試験、動物実験あるいは試験管内実験が挙げられる。

(2) 拒絶理由を通知する場合の例

(a) 薬理試験結果の記載がない場合

通常は、化合物等の構造・名称だけから特定の医薬用途に使用し得るかどうかを予測することは困難である。そのため、当初明細書等に有効量、投与方法、製剤化方法が記載されていても、薬理試験結果の記載のない場合には、当該化合物等が実際にその医薬用途に使用し得るかどうかについて、当業者が予測することはなお困難である。したがって、このような場合には、原則として、拒絶理由を通知する。

(b) 薬理試験に用いた化合物等が特定されないことにより、請求項に係る医薬発明における化合物等に薬理作用があることが確認できない場合

例えば、出願当初の明細書に記載の薬理試験系に用いられた化合物等が「複数の化合物等のうちいずれか」であることが示されているのみで、具体的にどの化合物等を用いるのかが特定されていない場合は、上記「[\(1\)薬理試験結果についての記載の程度](#)」における「(i)どの化合物等を」薬理試験に用いたのかが不

明確な場合に該当する。この場合は、請求項に係る医薬発明における化合物等に薬理作用があることが確認できない場合が多いことに、審査官は、留意する必要がある。

### (3) 拒絶理由に対する出願人の反論、釈明等

出願人は、実施可能要件違反の拒絶理由通知に対して、意見書、実験成績証明書等により反論、釈明したりすることができる。

例えば、審査官が判断の際に特に考慮したものとは異なる出願時の技術常識等を示しつつ、そのような技術常識を考慮すれば、発明の詳細な説明は、当業者が当該請求項に係る発明の実施をすることができる程度に明確かつ十分に記載したものであるといえることを、意見書において主張することができる。また、実験成績証明書により、このような意見書の主張を裏付けることができる(事例 11、13)。

ただし、発明の詳細な説明の記載が不足しているために、出願時の技術常識を考慮しても、発明の詳細な説明が、当業者が請求項に係る発明の実施をすることができる程度に明確かつ十分に記載したものであるとはいえない場合には、出願後に実験成績証明書を提出して、発明の詳細な説明の記載不足を補うことによって、明確かつ十分に記載したものであると主張したとしても、拒絶理由は解消しない(事例 12(請求項 2))。

## 1.2 特許請求の範囲

### 1.2.1 サポート要件(第 36 条第 6 項第 1 号)

医薬発明におけるサポート要件の判断は、[審査基準「第 II 部第 2 章第 2 節 サポート要件」](#)に従って行われる。サポート要件違反となる例としては、以下の場合が挙げられる。

(1) 請求項には、成分 A を有効成分として含有する制吐剤の発明が記載されているのに対し、発明の詳細な説明には、成分 A の制吐剤としての用途を裏付ける薬理試験方法及び薬理試験結果についての記載がなく、しかも、成分 A の制吐剤としての用途が出願時の技術常識からも推認可能といえないため、制吐剤を提供するという発明の課題が解決できることを当業者が認識できるように記載されているとはいえず、したがって、請求項に係る発明が発明の詳細な説明に記載したものでない場合

(2) 請求項には、性質により規定された化合物を有効成分とする特定用途の治療剤の発明が包括的に記載されているが、発明の詳細な説明には、請求項

において有効成分として規定された化合物のうち、ごくわずかな具体的な化合物について特定用途を裏付ける記載がされているにすぎず、出願時の技術常識に照らしても、請求項に係る発明の範囲まで、発明の詳細な説明において開示された内容を拡張ないし一般化できるとはいえない場合

出願人は、サポート要件違反の拒絶理由通知に対して、意見書、実験成績証明書等により反論、釈明したりすることができる。

例えば、審査官が判断の際に特に考慮したものとは異なる出願時の技術常識等を示しつつ、そのような技術常識を考慮すれば、請求項に係る発明の範囲まで、発明の詳細な説明に開示された内容を拡張ないし一般化できることを、意見書において主張することができる。また、実験成績証明書により、このような意見書の主張を裏付けることができる(事例 11、13)。

ただし、発明の詳細な説明の記載が不足しているために、出願時の技術常識を考慮しても、請求項に係る発明の範囲まで、発明の詳細な説明に開示された内容を拡張ないし一般化することができるとはいえない場合には、出願後に実験成績証明書を提出して、発明の詳細な説明の記載不足を補うことによって、請求項に係る発明の範囲まで、拡張ないし一般化できると主張したとしても、拒絶理由は解消しない(事例 12(請求項 2))。

### 1.2.2 明確性要件(第 36 条第 6 項第 2 号)

医薬発明における明確性要件の判断は、[審査基準「第 II 部第 2 章第 3 節 明確性要件」](#)に従って行われる。[特許法第 36 条第 5 項](#)の規定の趣旨からみて、出願人が請求項において特許を受けようとする発明を記載するにあたっては、種々の表現形式を用いることができる。

例えば、「物の発明」の場合に、発明を特定するための事項として物の結合や物の構造の表現形式を用いることができるほか、作用、機能、性質、特性、方法、用途、その他のさまざまな表現形式を用いることができる。したがって、医薬発明においても種々の表現形式を用いることが可能である。

他方、[第 36 条第 6 項第 2 号](#)の規定により、請求項は、一の請求項から発明が明確に把握されるように記載されるべきである。そのため、出願人による前記種々の表現形式を用いた発明の特定は、発明が明確である限りにおいて許容されることに、審査官は、留意する必要がある。

例えば、請求項の記載において医薬発明の有効成分が機能・特性等により特定されている場合であって、出願時の技術常識を考慮すると、機能・特性等によって規定された事項が技術的に十分に特定されていないことが明らかであり、

明細書及び図面の記載を考慮しても、請求項の記載から発明を明確に把握できない場合は、医薬発明が不明確となることに、審査官は、留意する必要がある([審査基準「第 II 部第 2 章第 3 節 明確性要件」の 4.1.1\(2\)](#)参照)。

なお、請求項中に医薬用途を意味する記載のある医薬発明において、医薬用途を具体的なものに限定せずに一般的に表現した請求項の場合(例えば、「～からなる疾病 X 用の医薬」ではなく、単に「～からなる医薬」等のように表現した場合)については、その一般的表現の用語の存在が特許を受けようとする発明を不明確にしないときは、単に一般的な表現であることのみ(すなわち概念が広いということのみ)を根拠として明確性要件違反とはしない([審査基準「第 II 部第 2 章第 3 節 明確性要件」の 2.3\(2\)](#)参照)。

医薬発明は、「物の発明」として、下記のように、請求項に記載することができる。

例 1：有効成分 A を含有することを特徴とする疾病 Z 治療剤。

例 2：有効成分 B を含有することを特徴とする疾病 Y 治療用組成物。

例 3：有効成分 C と有効成分 D とを組み合わせたことを特徴とする疾病 W 治療薬。

例 4：有効成分 E を含有する注射剤、及び、有効成分 F を含有する経口剤とからなる疾病 V 治療用キット。

## 2. 特許要件

### 2.1 産業上の利用可能性 ([第 29 条第 1 項柱書](#))

医薬発明における産業上の利用可能性の判断は、[審査基準「第 III 部第 1 章 発明該当性及び産業上の利用可能性」](#)に従って行われる。

医薬発明は、医薬用途で特定されるため、ヒトへの投与、塗布といった適用を予定したものである。しかし、医薬発明は、「物の発明」であるので、「人間を手術、治療又は診断する方法」に該当しない。したがって、医薬発明は、「産業上利用することができる発明」に該当する。

二以上の医薬の組合せや用法又は用量で特定しようとする医薬発明も、「産業上利用することができる発明」に該当する。

## 2.2 新規性(第 29 条第 1 項)

### 2.2.1 医薬発明に関する新規性の判断の基本的な考え方

医薬発明は、ある化合物等の未知の属性の発見に基づき、当該化合物等の新たな医薬用途を提供しようとする「物の発明」である。そのため、医薬発明の新規性は、以下の二つの観点から判断される。

- (i) 特定の属性を有する化合物等
- (ii) その属性に基づく医薬用途

### 2.2.2 新規性の判断の手法

#### (1) 請求項に係る医薬発明の認定

請求項に係る発明の認定は、請求項の記載に基づいて行う。この場合においては、明細書及び図面の記載並びに出願時の技術常識を考慮して請求項に記載された発明を特定するための用語の意義を解釈する。(審査基準「第 III 部第 2 章第 3 節 新規性・進歩性の審査の進め方」の 2.参照)

#### (2) 引用発明の認定

医薬発明は特定の属性を有する化合物等、及び、その属性に基づく医薬用途から構成される。したがって、刊行物又はウェブページ等(審査基準「第 III 部第 2 章第 3 節 新規性・進歩性の審査の進め方」の 3.1.1(注 2)及び 3.1.2(注 3)参照。以下「刊行物等」という。)に医薬発明が記載又は掲載(以下、単に「記載」という。)されていると認定するためには、当該化合物等及び医薬用途の両者が記載されている(あるいは記載されているに等しい)ことが必要である。

当業者が当該刊行物等の記載及び出願時の技術常識に基づいて、医薬発明に係る化合物等を製造又は取得できることが明らかであるように、当該刊行物等に記載されていない場合には、当該刊行物等に医薬発明が記載されているとすることはできない。

また、当業者が当該刊行物等の記載及び出願時の技術常識に基づいて、その化合物等を医薬用途に使用できることが明らかであるように当該刊行物等に記載されていない場合にも、当該刊行物等に医薬発明が記載されているとすることはできない。(審査基準「第 III 部第 2 章第 3 節 新規性・進歩性の審査の進め方」の 3.1.1(1)b 参照)。

例えば、当該刊行物等に何ら裏付けされることなく医薬用途が単に列挙され

ている場合は、当業者がその化合物等を医薬用途に使用できることが明らかであるように当該刊行物等に記載されているとは認められない。したがって、当該刊行物等に医薬発明が記載されているとすることはできない。

### (3) 新規性の判断

医薬発明における新規性の判断は、[審査基準「第 III 部第 2 章第 1 節 新規性」の「2. 新規性の判断」](#)及び[本章「2.2.1 医薬発明に関する新規性の判断の基本的な考え方」](#)に従い、以下の(3-1)及び(3-2)により判断する。

以下で「引用発明」とは、[第 29 条第 1 項各号](#)に掲げる発明として引用する発明をいう。

#### (3-1) 特定の属性を有する化合物等に関して

請求項に係る医薬発明の特定の属性を有する化合物等と、引用発明の化合物等とが相違するときは、請求項に係る医薬発明の新規性は肯定される。

#### (3-2) 特定の属性に基づく医薬用途に関して

##### (3-2-1) 特定の疾病への適用

請求項に係る医薬発明の化合物等と、引用発明の化合物等とが相違しない場合であっても、請求項に係る医薬発明と引用発明とが、その化合物等の属性に基づき特定の疾病に適用するという医薬用途において相違点がある場合は、請求項に係る医薬発明の新規性は肯定される([事例 1](#)、[2](#))。

例えば、請求項に係る発明が「有効成分 A を含有することを特徴とする疾病 Z 治療薬」であり、引用発明が「有効成分 A を含有する疾病 X 治療薬」である場合において、出願時の技術常識を参酌することによって疾病 X と疾病 Z が相違する疾病であることが明らかになれば、請求項に係る医薬発明の新規性は肯定される。

医薬発明の新規性についての判断は、以下のとおりである。

- (a) 請求項に係る医薬発明の医薬用途と引用発明の医薬用途とが表現上異なっているとしても、出願時における技術常識を参酌すれば、以下の(i)又は(ii)に該当すると判断される場合は、請求項に係る医薬発明の新規性は否定される。
  - (i) その作用機序から医薬用途を導き出せるとき。
  - (ii) 密接な薬理効果により必然的に生じるものであるとき。

[上記(i)の例]

- (引用発明)気管支拡張剤 → (本願医薬発明)喘息治療剤  
 (引用発明)血管拡張剤 → (本願医薬発明)血圧降下剤  
 (引用発明)冠血管拡張剤 → (本願医薬発明)狭心症治療剤  
 (引用発明)ヒスタミン遊離抑制剤 → (本願医薬発明)抗アレルギー剤  
 (引用発明)ヒスタミン H-2 受容体阻害剤  
 → (本願医薬発明)胃潰瘍治療剤

[上記(ii)の例]

- (引用発明)強心剤 → (本願医薬発明)利尿剤  
 (引用発明)消炎剤 → (本願医薬発明)鎮痛剤

(注) 上記(ii)の例において、医療の分野では、二以上の医薬用途を必然的に有する化合物等がある。しかし、必ずしも、上記(ii)の例に該当する第一の医薬用途を有する化合物等の全てが第二の医薬用途を有するというわけでもないこともよく知られている。したがって、このような場合における請求項に係る医薬発明の新規性を考えるときには、当該化合物等の構造活性相関等に関する出願時の技術常識を勘案する必要がある。

- (b) 引用発明の医薬用途が請求項に係る医薬発明の医薬用途の下位概念で表現されているときは、請求項に係る医薬発明の新規性は否定される。

[例]

- (引用発明)抗精神病剤 → (本願医薬発明)中枢神経作用剤  
 (引用発明)肺癌治療剤 → (本願医薬発明)抗癌剤

- (c) 引用発明の医薬用途が請求項に係る医薬発明の医薬用途の上位概念で表現されており、出願時における技術常識に基づいて、引用発明の医薬用途から、下位概念で表現された請求項に係る医薬発明の医薬用途が導き出せるときは、請求項に係る医薬発明の新規性は否定される。

(注) 概念上、下位概念で表現された医薬用途が、上位概念で表現された医薬用途に含まれる、あるいは上位概念で表現された医薬用途から下位概念で表現された医薬用途を列挙することができることのみでは、下位概念で表現された医薬用途を導き出せるとはしない。

- (d) 請求項に係る医薬発明の医薬用途が、引用発明の医薬用途を新たに発見し

た作用機序で表現したに過ぎないものであり、両医薬用途が実質的に区別できないときは、請求項に係る医薬発明の新規性は否定される。

[例]

(引用発明)抗菌剤 → (本願医薬発明)細菌細胞膜形成阻止剤

- (e) 請求項に係る医薬発明と引用発明において、両者の成分組成及び医薬用途に相違はなく、請求項に係る医薬発明に含まれる成分が、引用発明の成分の一部の作用機序を用途的に規定して表現したに過ぎないものであるときは、請求項に係る医薬発明の新規性は否定される。

[例]

(引用発明)インドメタシンとトウガラシエキスを含む皮膚消炎鎮痛剤  
→ (本願医薬発明)インドメタシン、及び、トウガラシエキスからなるインドメタシンの長期安定性改善剤を含む皮膚消炎鎮痛剤

(注) 組成物としての成分組成が同一である以上、主観的な添加目的にかかわらず、両発明の皮膚消炎鎮痛剤が含有する成分が同一の作用効果を奏することは自明である。したがって、含有されるトウガラシエキスがインドメタシンの長期安定性を改善するための安定化剤である旨が規定されているとしても、このことにより、刊行物等に記載されている発明と別異のものとなるということとはできない。

### (3-2-2) 用法又は用量が特定された特定の疾病への適用

請求項に係る医薬発明の化合物等と、引用発明の化合物等とが相違せず、かつ適用する疾病において相違しない場合であっても、請求項に係る医薬発明と引用発明とが、その化合物等の属性に基づき、特定の用法又は用量で特定の疾病に適用するという医薬用途において相違する場合には、請求項に係る医薬発明の新規性は肯定される(事例 3～5)。

## 2.3 進歩性(第 29 条第 2 項)

### 2.3.1 医薬発明に関する進歩性の判断の手法

#### (1) 請求項に係る医薬発明の認定

請求項に係る発明の認定は、[2.2.2\(1\)](#)と同様に行う。

(2) 刊行物等に記載された発明の認定

刊行物等に記載された発明の認定は、[2.2.2\(2\)](#)と同様に行う。

(3) 進歩性の判断

医薬発明における進歩性の判断は、[審査基準「第 III 部第 2 章第 2 節 進歩性」](#)に従って行われる。

### 2.3.2 進歩性の判断の具体例

以下に示す観点のうち、複数の観点を適用することができる場合は、それぞれの観点から判断を行う。

(1) 医薬用途と作用機序との関連

請求項に係る医薬発明の医薬用途が、引用発明の医薬用途と異なっても、出願時の技術水準から両者間の作用機序の関連性が導き出せる場合は、有利な効果等、進歩性が肯定される方向に働く事情がない限り、通常、請求項に係る医薬発明の進歩性は否定される。

(2) ヒト以外の動物用医薬からのヒト用医薬への転用

ヒト以外の動物用の同種又は近似の疾病用である引用発明の化合物等を、ヒト用の医薬へ単に転用したにすぎない請求項に係る医薬発明は、引用発明の内容中に当該転用の示唆がない場合であっても、請求項に係る発明の有利な効果等、進歩性が肯定される方向に働く事情がない限り、通常、請求項に係る医薬発明の進歩性は否定される。

ヒト用医薬からのヒト以外の動物用医薬への転用についても、同様である。

(3) 二以上の医薬成分を組み合わせた医薬

薬効増大、副作用低減といった当業者によく知られた課題を解決するために、二以上の医薬成分の組合せを最適化することは、当業者の通常の創作能力の発揮である。したがって、請求項に係る医薬発明が、上記課題を解決するために、二以上の公知の医薬成分を組み合わせたにすぎない場合には、通常、当該請求項に係る医薬発明の進歩性は否定される。

例えば、該組合せが、以下の(a)から(c)まで等の場合には、公知の医薬成分に基づいて、通常、請求項に係る医薬発明の進歩性は否定される([事例 7～10](#))。

(a) 主作用が同じである公知の成分同士の組合せ

(b) 公知の主成分の効能に係る問題を解消することができる公知の副成分との

組合せ(例えば、副作用を有することが公知の主成分と、その副作用を減弱させることができる公知の副成分との組合せ)

- (c) 主疾病から生じる種々の症状のそれぞれに治療効果を有することが公知の成分の組合せ

しかし、上記公知の医薬成分それぞれの効果と比較した有利な効果が、出願時の技術水準から予測される範囲を超えた顕著なものであること等、他に進歩性の存在を推認できる場合には、請求項に係る医薬発明の進歩性は肯定される(事例 6)。

二以上の医薬成分を組み合わせた医薬は、「～治療用配合剤」、「～治療用組成物」、「…組み合わせたことを特徴とする～治療薬」等として特許請求されることが想定できるが、判断手法としては、いずれの場合にも基本的に差異はない。

- (4) 特定の用法又は用量で特定の疾病に適用するという医薬用途に特徴を有する医薬

特定の疾病に対して、薬効増大、副作用低減、服薬コンプライアンスの向上といった当業者によく知られた課題を解決するために、用法又は用量を好適化することは、当業者の通常の創作能力の発揮である。したがって、請求項に係る医薬発明と引用発明とにおいて、適用する疾病が相違しないものの用法又は用量が異なり、その点で請求項に係る医薬発明の新規性が認められるとしても、引用発明と比較した有利な効果が当業者の予測し得る範囲内である場合は、通常、その進歩性は否定される(事例 5)。

しかし、引用発明と比較した有利な効果が、出願時の技術水準から予測される範囲を超えた顕著なものである等、他に進歩性の存在を推認できる事情がある場合は、請求項に係る医薬発明の進歩性は肯定される(事例 3、4)。

### 3. 事例

医薬発明の審査に関する運用に関して、具体的な事例に基づいて説明する。

#### (留意事項)

本事例は、医薬発明の審査に関する運用を説明する目的で作成したものである。そのため、事例における特許請求の範囲等の記載は、医薬発明の説明を容易にするため、簡略化するなどの修正が加えられている点に留意されたい。また、各事例で検討されている以外の拒絶理由がないことを意味するものではない点にも留意されたい。

### 3.1 新規性、進歩性に関する事例

#### 3.1.1 特定の疾病への適用という医薬用途に特徴を有する医薬

〔事例 1〕 有効成分が公知であって、医薬用途が新規であるもの

##### 発明の名称

アルツハイマー病治療薬

##### 特許請求の範囲

###### 【請求項 1】

化合物 A を有効成分とするアルツハイマー病治療薬。

##### 発明の詳細な説明の概要

本発明では、抗菌剤の有効成分として知られていた化合物 A が、アセチルコリンエステラーゼを可逆的に阻害して、アセチルコリンの分解を抑制することを見出した。

実施例において、化合物 A が、優れたアセチルコリンエステラーゼ阻害活性を有すること、及び、アルツハイマー病の症状を軽減させたことを示す薬理試験結果が示されている。

###### 〔先行技術調査の結果〕

化合物 A は、抗菌剤の有効成分として既に知られた化合物であるが、化合物 A を有効成分とするアルツハイマー病治療薬はいずれの先行技術文献にも記載されていない。また、化合物 A とアセチルコリンエステラーゼ阻害活性を有する化合物との間に構造類似性が存在すること、及び、化合物 A が抗菌剤として作用する際のメカニズムとアルツハイマー病の治療との関係については、いずれの先行技術文献においても明らかにされておらず、示唆もない。

###### 〔拒絶理由の概要〕

なし。

###### 〔説明〕

化合物 A の医薬用途(アルツハイマー病の治療)が、従来知られていた医薬用途(抗菌)と相違することが明らかであるので、請求項 1 に係る医薬発明は新規性を有する。

そして、化合物 A とアセチルコリンエステラーゼ阻害活性を有する化合物との間の構造類似性や、化合物 A が抗菌剤として作用する際のメカニズムとアルツハイマー病の治療との関係など、化合物 A をアルツハイマー病の治療に適用する動機づけとなる先行技術文献が存在しないので、請求項 1 に係る医薬発明は、進歩性を有する。

〔事例 2〕 細胞等の生体由来材料が公知であって、医薬用途が新規であるもの

**発明の名称**

心筋梗塞治療用移植材料

**特許請求の範囲**

**【請求項 1】**

A 細胞からなる細胞シートを含有する心筋梗塞治療用移植材料。

**発明の詳細な説明の概要**

本発明では、A 細胞からなる細胞シートを心筋梗塞部位に移植することにより、心機能が回復することを見出した。

実施例において、心筋梗塞モデルラットに対し、当該細胞シートを心筋梗塞部位に移植することにより、心機能が回復し、心筋梗塞の症状が軽減されることを示す薬理試験結果が記載されている。

**〔先行技術調査の結果〕**

A 細胞を用いて細胞シートを作製し、移植材料として用いることは公知である。しかしながら、当該細胞シートを心筋梗塞部位に移植すること、及び、移植により心筋梗塞の症状が軽減されることは、いずれの先行技術文献にも記載されておらず、その示唆もない。

また、出願時の技術水準からは、A 細胞を移植することによって、心機能が回復することや、心筋梗塞の症状が軽減されることは予測できない。

**〔拒絶理由の概要〕**

なし。

**〔説明〕**

A 細胞からなる細胞シートの医薬用途(心筋梗塞治療)が、従来知られていた医薬用途と相違するので、請求項 1 に係る医薬発明は、新規性を有する。

そして、A 細胞と心機能の回復との関係など、A 細胞からなる細胞シートを心筋梗塞の治療に適用する動機づけとなる先行技術文献が公知でないことから、請求項 1 に係る医薬発明は、進歩性を有する。

**〔備考〕**

なお、請求項に係る発明が「心筋梗塞治療用の A 細胞。」といった用途限定が付された細胞である場合には、このような用途限定は、一般に、細胞の有用性を示しているに過ぎないため、用途限定のない細胞そのものであると解される。したがって、この場合、「心筋梗塞治療用の A 細胞」と、用途限定のない公知の「A 細胞」とは、別異のものであるとすることはできない([審査基準「第 III 部第 2 章第 4 節 特定の表現を有する請求項等についての取扱い」の 3.参照](#))。

### 3.1.2 特定の用法又は用量で特定の疾病に適用するという医薬用途に特徴を有する医薬

〔事例 3〕 特定の用法又は用量で特定の疾病に適用することで顕著な効果が奏されるもの

#### 発明の名称

喘息治療薬

#### 特許請求の範囲

##### 【請求項 1】

30～40 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A が、ヒトに対して 3 ヶ月あたり 1 回経口投与されるように用いられることを特徴とする、化合物 A を含有する喘息治療薬。

#### 発明の詳細な説明の概要

喘息患者に対して、1 日につき 1 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A を毎日経口投与することで、喘息の症状が軽減されることは知られていたが、症状が軽減されるのは化合物 A の投与期間中のみであり、投与を中断すると症状が再発するため、毎日継続して化合物 A を投与する必要があった。また、1 日につき 1 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A を毎日経口投与する場合、副作用 B が高頻度で発現することが指摘されていた。

本発明では、喘息患者に対して、30～40 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A を 3 ヶ月あたり 1 回経口投与することにより、喘息の症状が長期にわたって軽減され、さらに、従来よりも副作用 B の発現率が低減することを見出した。

実施例において、化合物 A を、喘息患者群(体重 30kg から 90kg)に対して、30 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重、35 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重、40 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重でそれぞれ 1 回経口投与するたびに、各投与群において喘息症状が少なくとも 3 ヶ月にわたり軽減されたことが、また、体重により有効性に明らかな差がなかったことが、さらにまた、この試験での副作用 B の発現は各投与群においてほとんど認められず、従来使用されている 1 日につき 1 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重で化合物 A を毎日経口投与する場合の副作用 B の発現頻度と比べて有意に低かったことが薬理試験結果として記載されている。

#### 〔先行技術調査の結果〕

1 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A を毎日経口投与することで、喘息の症状が軽減されること、及び、その場合に副作用 B が高頻度で発現することは公知である。しかしながら、30～40 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A を 3 ヶ月あたり 1 回経口投与するこ

とは、いずれの先行技術文献にも記載されておらず、その示唆もない。

また、出願時の技術水準からは、30～40 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A を 1 回経口投与することにより、喘息の症状が少なくとも 3 ヶ月にわたって軽減されること、及び、先行技術と比較して副作用 B の発現率が低減することは、いずれも予測できない。

**〔拒絶理由の概要〕**

なし。

**〔説明〕**

喘息治療における化合物 A の用法又は用量として、本発明の用法又は用量は、従来知られていた用法又は用量と相違するので、請求項 1 に係る医薬発明は、新規性を有する。

そして、喘息患者に対して、30～40 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A を 1 回投与することにより、喘息の症状が少なくとも 3 ヶ月にわたって軽減され、さらに、1 日につき 1 $\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A が毎日経口投与される場合よりも副作用 B の発現率が有意に低減することは、技術水準から予測される範囲を超えた顕著な効果であるので、請求項 1 に係る医薬発明は、進歩性を有する。

〔事例 4〕 特定の用法又は用量で特定の疾病に適用することで顕著な効果が奏されるもの

#### 発明の名称

卵巣癌治療薬

#### 特許請求の範囲

##### 【請求項 1】

1 回あたり 100～120 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A が、ヒトの脳内の特定部位 Z に投与されるように用いられることを特徴とする、化合物 A を有効成分として含有する卵巣癌治療薬。

#### 発明の詳細な説明の概要

化合物 A は、ヒトへの静脈投与により卵巣癌に対して増殖抑制効果を示すことが知られていたが、副作用として肝毒性を示すことも知られていた。

本発明では、化合物 A をヒトの脳内の特定部位 Z に投与することで、脳下垂体から分泌されるホルモン Y の血中濃度が変化し、結果として、従来の静脈投与による治療に比して、有意に卵巣癌が縮小することを見出した。

実施例において、化合物 A をヒトの脳内の特定部位 Z に投与することにより、脳下垂体から分泌されるホルモン Y の血中濃度が変化すること、及び、その結果、従来の静脈投与による治療に比して、卵巣癌がより縮小することを示す薬理試験結果が記載されている。また、脳内の特定部位 Z へ投与する場合、化合物 A は肝臓には移行せず、肝毒性を示さない薬理試験結果も記載されている。

#### 〔先行技術調査の結果〕

化合物 A がヒトへの静脈投与により卵巣癌に対して増殖抑制効果を示すこと、及び、肝毒性という副作用を示すことは公知である。しかしながら、静脈投与された化合物 A が血液脳関門を通り脳内に移行すること、及び、化合物 A をヒトの脳内の特定部位 Z へ投与することにより、静脈投与の場合と比較して卵巣癌がより縮小することは、いずれの先行技術文献にも記載されておらず、その示唆もない。

また、出願時の技術水準からは、化合物 A をヒトの脳内の特定部位 Z へ投与することにより肝毒性という副作用なしに卵巣癌が縮小することは予測できない。

#### 〔拒絶理由の概要〕

なし。

**[説明]**

卵巣癌治療における化合物 A の用法又は用量として、本発明の用法又は用量(脳内の特定部位 Z への投与)は、従来知られていた用法又は用量(静脈投与)と相違するので、請求項 1 に係る医薬発明は、新規性を有する。

そして、化合物 A が脳内の特定部位 Z へ投与されることにより、肝毒性という副作用がなく、また、静脈投与による治療に比して卵巣癌がより縮小することは、技術水準から予測される範囲を超えた顕著な効果であるので、請求項 1 に係る医薬発明は、進歩性を有する。

〔事例 5〕 特定の用法又は用量で特定の疾病に適用するもの

発明の名称

鎮咳薬

特許請求の範囲

【請求項 1】

1 回あたり 400～450 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A が、ヒトに対して 1 日 1 回経口投与されるように用いられることを特徴とする、化合物 A を含有する鎮咳薬。

発明の詳細な説明の概要

1 回あたり 160 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A をヒトに対して 1 日 3 回経口投与することで、鎮咳効果が奏されることは知られていたが、本発明では、1 回あたり 400～450 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A をヒトに対して 1 日 1 回経口投与することにより、従来よりも鎮咳効果が向上することを見出した。

実施例において、1 回あたり 400 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A を 1 日 1 回患者に経口投与することにより、1 回あたり 160 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A を 1 日 3 回経口投与するよりも、鎮咳効果が向上することを示す薬理試験結果が記載されている。また、1 日あたりの投与回数が減少するため、服薬コンプライアンスが向上することも記載されている。

〔先行技術調査の結果〕

1 回あたり 160 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A を 1 日 3 回経口投与することで、鎮咳効果が得られることは公知である。また、本願の発明の詳細な説明に記載されている鎮咳効果や服薬コンプライアンスの向上の程度は、出願時の技術水準から予測可能な範囲内である。

〔拒絶理由の概要〕

化合物 A を有効成分とする鎮咳薬を経口投与することは公知である。一般に、薬効増大、服薬コンプライアンスの向上といった当業者によく知られた課題を解決するために、医薬の用法又は用量を好適化することは、当業者の通常の創作能力の発揮であり、化合物 A の好適な用法又は用量を実験的に決定することは、当業者が容易に想到し得たものである。

そして、用法又は用量の好適化によって薬効や服薬コンプライアンスが向上し得ることは、当業者が通常予測することであり、本発明において、その向上の程度が出願時の技術水準から予測される範囲を超えた顕著なものであるとは

いけない。

**[拒絶理由に対する対処]**

通常、上記拒絶理由を解消することはできない。

**[備考]**

どの程度の効果が「技術水準から予測される範囲を超えた顕著なもの」であるかは、本願明細書の開示内容、先行技術調査の結果、出願時の技術常識等を考慮して個別に判断される。

### 3.1.3 特定の属性を有する物の組合せに特徴を有する医薬

#### 〔事例 6〕 有効成分の組合せにより顕著な効果が奏されるもの

##### 発明の名称

糖尿病治療用組成物

##### 特許請求の範囲

###### 【請求項 1】

化合物 A と化合物 B とを重量比 5:1～4:1 の割合で含有する糖尿病治療用組成物。

##### 発明の詳細な説明の概要

本発明では、化合物 A と化合物 B を特定の割合で組み合わせて用いることにより、従来、化合物 A を単独で用いた場合に生じていた、体重増加等の副作用を低減することを見出した。

実施例において、化合物 A と化合物 B とを特定の割合で組み合わせて用いた場合に、副作用が低減されることを示す薬理試験結果が記載されている。

###### 【先行技術調査の結果】

化合物 A と化合物 B を、それぞれ糖尿病治療薬として用いることは公知であるが、化合物 A と化合物 B を組み合わせて用いた糖尿病治療用医薬組成物はいずれの先行技術文献にも記載されていない。また、出願時の技術水準からは、化合物 A と化合物 B を特定の割合で組み合わせて用いることにより体重増加等の副作用が低減されることは予測できない。

###### 【拒絶理由の概要】

なし。

###### 【説明】

薬理試験結果等によって、化合物 A と化合物 B を特定の割合で組み合わせて用いることにより、出願時の技術水準から予測される範囲を超えた副作用を低減する効果が示されているので、請求項 1 に係る発明は、進歩性を有する。

〔事例 7〕 公知の主作用が同じである成分同士の組合せ

発明の名称

液状整腸剤

特許請求の範囲

【請求項 1】

食物繊維 1～30g と YY 菌  $1 \times 10^6 \sim 1 \times 10^8$  個を含有することを特徴とする液状整腸剤。

発明の詳細な説明の概要

本発明では、共に整腸作用を有する食物繊維と YY 菌を組み合わせ、整腸作用を増強させた整腸剤を作製した。また、明細書には、この組合せを有する整腸剤を用いた場合の薬理試験結果が示されている。しかし、食物繊維、又は、YY 菌を単独で用いた場合の薬理試験結果については示されていない。

〔先行技術調査の結果〕

食物繊維を 1～30g 服用した場合や YY 菌を  $1 \times 10^6 \sim 1 \times 10^8$  個服用した場合に整腸作用があることは公知である。また、整腸作用を有する細菌の体内活性を維持し、整腸作用を増強させるために、当該細菌と食物繊維を共存させることは公知である。

〔拒絶理由の概要〕

食物繊維を 1～30g 服用した場合や YY 菌を  $1 \times 10^6 \sim 1 \times 10^8$  個服用した場合に整腸作用があることは公知である。また、整腸作用を有する細菌の体内活性を維持し、整腸作用を増強させるために、当該細菌と食物繊維を共存させることが公知であるから、整腸作用を有する YY 菌  $1 \times 10^6 \sim 1 \times 10^8$  個を、同じく整腸作用を有する食物繊維 1～30g と組み合わせ、1つの整腸剤とすることは当業者が容易に想到し得たものである。また、その際に服用しやすさなどから液状製剤とすることも当業者が適宜なし得たものである。そして、その効果も格別なものとすることはできない。

〔拒絶理由に対する対処〕

本事例では、発明の詳細な説明において、本発明の食物繊維と YY 菌とを組み合わせ、整腸剤についての薬理試験結果が示され、整腸作用が増強されることも記載もされている。したがって、意見書等において、引用例に記載の食物

繊維、YY 菌をそれぞれ単独で服用した場合の実験結果を示した上で、食物繊維と YY 菌を組合せた整腸剤について、引用発明と比較した有利な効果の存在を主張・立証することができる。ただし、その効果が、出願時の技術水準から予測される範囲を超えない場合には、拒絶理由は維持される。

〔事例 8〕 副作用を有することが公知の主成分と、その副作用を減弱させることが公知の副成分との組合せ

#### 発明の名称

パクリタキセル応答性腫瘍用治療剤

#### 特許請求の範囲

##### 【請求項 1】

パクリタキセルと、パクリタキセル投与により生じる嘔吐を抑えるために効果的な量の化合物 X とを組み合わせるパクリタキセル応答性腫瘍用治療剤。

#### 発明の詳細な説明の概要

本発明では、パクリタキセルと化合物 X とを併用することにより、パクリタキセル投与時に生じる副作用である嘔吐を抑えながら、パクリタキセル応答性の腫瘍を治療できることを見出した。

実施例において、パクリタキセルと化合物 X とを併用することにより、副作用が低減されることを示す薬理試験結果が記載されている。

##### 〔先行技術調査の結果〕

パクリタキセルは優れた抗腫瘍剤であるが、投与時に副作用として嘔吐が生じるため、嘔吐を減弱させる副成分を併用することが公知である。一方、化合物 X は一般に嘔吐を減弱させることがよく知られている。また、本願の発明の詳細な説明に記載されている嘔吐を減弱させる効果は、出願時の技術水準から予測可能な範囲内である。

##### 〔拒絶理由の概要〕

パクリタキセルと、パクリタキセル投与による副作用である嘔吐を減弱させる副成分とを併用することが知られており、また、一般に嘔吐を減弱させる成分として化合物 X はよく知られているから、パクリタキセル投与による副作用である嘔吐を減弱させるために、化合物 X を組み合わせて使用することは、当業者が容易に想到し得たものである。また、そうすることにより、予想外に格別な効果も奏されていない。

##### 〔拒絶理由に対する対処〕

通常、上記拒絶理由を解消することはできない。

**〔事例 9〕 公知の主成分の効能に係る問題を解消することができる公知の副成分との組合せ**

**発明の名称**

配合消炎鎮痛剤

**特許請求の範囲**

**【請求項 1】**

ジクロフェナク又はその塩類とアセトアミノフェンの合計量 100 質量部に対して、化合物 X と化合物 Y が、それぞれ 1～100 質量部及び 0.2～20 質量部配合されてなる、配合消炎鎮痛剤。

**発明の詳細な説明の概要**

本発明では、ジクロフェナク又はその塩類とアセトアミノフェンを組み合わせてなる配合消炎鎮痛剤において、化合物 X と化合物 Y を配合することにより、鎮痛作用試験における疼痛閾値を上昇させ、かつ作用持続時間を延長することができるが示された。

実施例において、ジクロフェナク又はその塩類とアセトアミノフェンに対して、化合物 X と化合物 Y を特定の割合で配合することで、上記効果が得られることを示す薬理試験結果が記載されている。

**〔先行技術調査の結果〕**

ジクロフェナク又はその塩類とアセトアミノフェンの組合せからなる配合消炎鎮痛剤は公知であり、また、一般に、これらの非ステロイド系消炎鎮痛薬においては、一定量以上増量しても、鎮痛効果は増加せず、副作用のみ増加する、いわゆる天井効果があることも知られている。

一般に、非ステロイド系消炎鎮痛薬に化合物 X と化合物 Y を加えることにより、鎮痛作用試験において疼痛閾値を本願発明と同程度に上昇させることができ、作用持続時間についても本願発明と同程度に延長することができることは公知である。

**〔拒絶理由の概要〕**

ジクロフェナク又はその塩類とアセトアミノフェンの組合せからなる非ステロイド系消炎鎮痛薬が公知であり、非ステロイド系消炎鎮痛薬に化合物 X と化合物 Y を加えることにより、鎮痛作用試験において疼痛閾値を上昇させることができ、作用持続時間を延長することができることが知られている。これらよ

り、ジクロフェナク又はその塩類とアセトアミノフェンの組合せからなる非ステロイド系消炎鎮痛薬の疼痛閾値を上昇させ、作用持続時間を延長するために、化合物 X と化合物 Y を組み合わせることは当業者が容易に想到し得たものであり、かつ、配合成分の配合割合の範囲は当業者が実験的に最適化することができたものであると認められる。そして、その効果も格別なものとすることはできない。

**[拒絶理由に対する対処]**

通常、上記拒絶理由を解消することはできない。

〔事例 10〕 主疾病から生じる種々の症状に、それぞれ治療効果を有することが公知の成分の組合せ

#### 発明の名称

エイズ治療剤

#### 特許請求の範囲

##### 【請求項 1】

抗 HIV 薬アジドチミジン(AZT)と、化合物 Z との組合せからなることを特徴とするエイズ治療剤。

#### 発明の詳細な説明の概要

本発明では、HIV 感染後に発症するエイズを治療するために、抗 HIV 薬 AZT とエイズの一態様として生じる肺炎の治療に有効な化合物 Z を組み合わせることで、HIV の増殖を抑え、肺炎を治療する効果があることが示された。

##### 〔先行技術調査の結果〕

アジドチミジン(AZT)がエイズ治療薬として使用できることは公知である。また、エイズの一態様として肺炎が生じることも公知である。また、本願の発明の詳細な説明に記載されている HIV 増殖抑制効果や肺炎治療効果は、出願時の技術水準から予測可能な範囲内である。

##### 〔拒絶理由の概要〕

アジドチミジン(AZT)がエイズ治療薬として有用であることが知られており、エイズの一態様として肺炎を生じやすいことも知られている。また、化合物 Z を用いて、肺炎を治療することもよく行われている。

したがって、エイズ患者を治療する際に、エイズの原因となる HIV の増殖を抑制しつつ、エイズの一態様として生じる肺炎をも治療することを目的として、抗 HIV 薬 AZT と化合物 Z を組み合わせる使用しようとすることは、当業者が通常発揮し得る創作能力に過ぎない。また、両者を併用することにより、予想外に格別の効果は奏されていない。

##### 〔拒絶理由に対する対処〕

通常、上記拒絶理由を解消することはできない。

## 3.2 記載要件に関する事例

### 〔事例 11〕

#### 発明の名称

喘息治療薬

#### 特許請求の範囲

##### 【請求項 1】

10～100 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A が、ヒトに対して 3 ヶ月あたり 1 回経口投与されるように用いられることを特徴とする、化合物 A を有効成分として含有する喘息治療薬。

#### 発明の詳細な説明の概要

喘息は慢性の気道の炎症性疾患であり、長期間にわたり定期的な治療薬の投与が必要である。化合物 A は喘息治療薬として公知であり、通常、10 $\mu$ g/kg 体重程度の用量で 1 日 1 回経口投与されているものである。長期間にわたり毎日服用する喘息治療薬は、服用し忘れることにより喘息発作の危険性が高まるため、喘息症状を抑制しつつ投与回数を減少させることが望まれていた。また、化合物 A は慢性的な服用によって副作用が生じる場合もあることが知られており、これを低減することが望まれていたところ、10～100 $\mu$ g/kg 体重の化合物 A を、ヒトに対して 3 ヶ月あたり 1 回経口投与されるように用いることでも、喘息治療薬として有用であることが見出された。

実施例において、化合物 A を、喘息患者群(体重 30kg から 90kg)に対して、100 $\mu$ g/kg 体重でそれぞれ 1 回経口投与するたびに、各投与群において喘息症状が少なくとも 3 ヶ月にわたり軽減されたこと、および、投与期間中に副作用は報告されなかったことが薬理試験結果として記載されている。

#### 〔拒絶理由の概要〕

・ [第 36 条第 4 項第 1 号](#)(実施可能要件) / [第 36 条第 6 項第 1 号](#)(サポート要件)：請求項 1

請求項 1 に係る発明は、化合物 A を有効成分として含有する喘息治療薬に関する発明であって、化合物 A が 10～100 $\mu$ g/kg 体重という用量、および、ヒトに対して 3 ヶ月あたり 1 回経口投与という用法で使用されるものである。一方、喘息治療薬は、通常、定期的に投与され、投与期間中、継続的に喘息発作を抑制できるように使用されるものである。この点、化合物 A は、出願当時、

経口喘息治療薬として  $10\mu\text{g}/\text{kg}$  体重程度で 1 日 1 回服用する用量・用法が確立されていたものの、1 日 1 回投与とされていた治療薬の投与回数を減少させ、3 ヶ月 1 回投与とするような場合、用量を増加させることが一般的であるから、1 日 1 回投与とされていた治療薬について、投与間隔を 3 ヶ月とした場合にも 1 日 1 回投与と同程度の用量で薬効が持続すると予測することは困難であるというのが技術常識である。そして、発明の詳細な説明では、 $100\mu\text{g}/\text{kg}$  体重の化合物 A を経口投与した場合に、3 ヶ月の間、喘息治療効果が奏されたことが開示されているにとどまる。

そうすると、化合物 A をより少ない量(例えば、「 $100\mu\text{g}/\text{kg}$  体重」のわずか  $1/10$  の「 $10\mu\text{g}/\text{kg}$  体重」)で投与した場合であっても、3 ヶ月にわたって喘息の治療に有効、つまり、継続的に喘息発作を抑制できることに対しては疑義を抱かざるを得ないから、請求項 1 に係る発明は、 $10\sim 100\mu\text{g}/\text{kg}$  体重という化合物 A の用量の全範囲にわたり、ヒトに対して 3 ヶ月あたり 1 回経口投与という用法で用いられる喘息治療薬として使用することができるとは直ちにはいえない。

したがって、発明の詳細な説明は、請求項 1 に係る発明を当業者が実施できる程度に明確かつ十分に記載されていない。

また、請求項 1 に係る発明は、化合物 A を上記の用量・用法で投与することを特徴とする喘息治療薬を提供することを課題とするものである。しかしながら、 $100\mu\text{g}/\text{kg}$  体重よりも少ない量の化合物 A を投与した場合であっても、3 ヶ月にわたって喘息の治療に有効、つまり、継続的に喘息発作を抑制できることに対して疑義を抱かざるを得ないことは上述のとおりである。

そうすると、発明の詳細な説明において、化合物 A を、ヒトに対して 3 ヶ月あたり 1 回経口投与した場合に、 $10\sim 100\mu\text{g}/\text{kg}$  体重という用量の全範囲にわたり、 $100\mu\text{g}/\text{kg}$  体重という用量を用いた際に確認された効果が奏されることまでは裏付けられているとはいえない。

したがって、請求項 1 に係る発明の範囲にまで、発明の詳細な説明に開示された内容を拡張ないし一般化できるとはいえないから、請求項 1 に係る発明は、発明の詳細な説明に記載した範囲を超えるものである。

#### 【出願人の対応】

本技術分野において化合物 A の投与量が 10 倍程度異なる場合であっても、治療効果が全く期待できないものではないという技術常識を示しつつ、実験成績証明書を提出することにより、例えば、化合物 A を  $10\mu\text{g}/\text{kg}$  体重で 1 回経口投与した場合に、喘息症状が 3 ヶ月にわたり軽減されたことが示されれば、

拒絶理由は解消する。

(補足説明)

本事例では、1 日 1 回投与とされていた喘息治療薬について、投与間隔を 3 ヶ月とした場合にも同程度の用量で薬効が持続すると予測することは困難であるという技術常識に基づき、100 $\mu$ g/kg 体重よりも少ない用量で、3 ヶ月あたり 1 回経口投与した場合の有効性に疑義が生じている。一方、医薬の有効成分については、投与量が 10 倍程度異なる場合であっても、治療効果が全く期待できないものではないというのもまた技術常識であり、これに基づけば、10～100 $\mu$ g/kg 体重の用量における治療薬としての有効性も認めるところである。

これらの技術常識のうちいずれが妥当するかわからない状態であったところ、出願人が、後者の技術常識を示しつつ、実験成績証明書を提出することにより、その技術常識の妥当性が裏付けられるため、拒絶理由は解消する。

なお、本事例は、投与量の下限及び上限値が 10 倍程度異なり、かつ、当該上限値に対応する実施例が当初明細書に記載されている場合に、投与量が 10 倍程度異なる場合についての技術常識を示しつつ、当該下限値に対応した実験成績証明書を提出された事例である点に留意が必要である。

〔事例 12〕

発明の名称

オリゴヌクレオチドを含む治療薬

特許請求の範囲

【請求項 1】

配列番号 1 で表される塩基配列からなるオリゴヌクレオチド X を有効成分とする、腫瘍、虚血、免疫機能不全、てんかん、高脂血症、高血圧、パーキンソン病、禿頭、脱毛、糖尿病、筋ジストロフィー、感染症、ニキビ、結石、又は、骨粗鬆症の治療薬。

発明の詳細な説明の概要

タンパク質リン酸化酵素であるキナーゼは、生体内シグナル伝達経路において中心的な働きを担う因子である。従来、キナーゼには、キナーゼ A、キナーゼ B 等の多くの種類があることが知られている。

近年、腫瘍モデル動物において発現が亢進しているタンパク質 Y が発見され、そのアミノ酸配列を解析したところ、キナーゼ様ドメインを含有する新規タンパク質であることが見出された。したがって、タンパク質 Y をコードする核酸の一部に相補的な塩基配列からなるアンチセンスオリゴヌクレオチド X は、タンパク質 Y の発現を抑制することにより、キナーゼが関連し得る幅広い疾患への治療効果を奏功することが期待できる。そのような疾患には、腫瘍、虚血、免疫機能不全、てんかん、高脂血症、高血圧、パーキンソン病、禿頭、脱毛、糖尿病、筋ジストロフィー、感染症、ニキビ、結石、又は、骨粗鬆症等が含まれる。

実施例には、オリゴヌクレオチド X を調製し、腫瘍モデル動物に投与したところ、タンパク質 Y の発現が抑制できたこと、および、腫瘍が縮小したことが薬理試験結果として記載されている。

(なお、タンパク質 Y がキナーゼ活性を有するかどうかは確認されていない。)

〔拒絶理由の概要〕

・ [第 36 条第 4 項第 1 号](#)(実施可能要件) / [第 36 条第 6 項第 1 号](#)(サポート要件)：請求項 1

発明の詳細な説明には、オリゴヌクレオチド X が、キナーゼ様ドメインを有するタンパク質 Y の発現抑制を介してキナーゼが関連し得る幅広い疾患に対し治療効果を奏功し得ることが記載され、当該疾患として腫瘍、虚血、免疫機能

不全、てんかん、高脂血症、高血圧、パーキンソン病、禿頭、脱毛、糖尿病、筋ジストロフィー、感染症、ニキビ、結石、又は、骨粗鬆症が列挙されているものの、オリゴヌクレオチド X による治療効果が具体的に確認されているのは腫瘍のみである。

一方、出願当時、タンパク質の生理活性は、そのアミノ酸配列の部分的な共通性のみからでは予測が困難であって、単に、あるタンパク質がそのアミノ酸配列にキナーゼ様ドメインを含むというだけでは、当該タンパク質が特定のタンパク質のキナーゼとして機能することが明らかとまではいえないというのが技術常識である。加えて、キナーゼは、タンパク質リン酸化酵素として様々な生体内シグナル伝達経路を介して多様な生理作用に寄与することは知られていたものの、キナーゼ A、キナーゼ B 等の多くの種類が知られ、各キナーゼはそれぞれの生体内シグナル伝達経路において別個の活性を担っていることから、ある特定のキナーゼを阻害するアンチセンスオリゴヌクレオチドに、キナーゼが関係し得る一群の疾患に対して治療効果が期待できるというものではないことも技術常識である。この点、発明の詳細な説明には、タンパク質 Y が、実際にキナーゼ活性を有することは確認されておらず、腫瘍以外の疾患との関係も確認されていないため、出願時の技術常識を勘案しても、このようなタンパク質 Y の発現抑制作用を有するオリゴヌクレオチド X が、いかなる疾患の治療に有用であるのか把握できない。

そうすると、本願の発明の詳細な説明の記載をもって、オリゴヌクレオチド X が、腫瘍以外の治療作用を有するものであることが明らかとはいえない。

よって、発明の詳細な説明は、請求項 1 に係る発明を当業者が実施できる程度に明確かつ十分に記載されていない。

また、請求項 1 に係る発明は、オリゴヌクレオチド X を有効成分とする、腫瘍、虚血、免疫機能不全、てんかん、高脂血症、高血圧、パーキンソン病、禿頭、脱毛、糖尿病、筋ジストロフィー、感染症、ニキビ、結石、又は、骨粗鬆症の治療薬を提供することを課題とするものである。しかしながら、上述のとおり、オリゴヌクレオチド X が、腫瘍以外の治療作用を有するものであることが明らかとはいえない。

したがって、腫瘍治療薬以外をも包含する請求項 1 に係る発明の範囲まで、発明の詳細な説明に開示された内容を拡張ないし一般化できるとはいえないから、請求項 1 に係る発明は、発明の詳細な説明に記載したものではない。

#### [出願人の対応]

例えば、特許請求の範囲を、

**【請求項 1】**

配列番号 1 で表される塩基配列からなるオリゴヌクレオチド X を有効成分とする、腫瘍治療薬。

**【請求項 2】**

配列番号 1 で表される塩基配列からなるオリゴヌクレオチド X を有効成分とする、骨粗鬆症治療薬。

と補正しつつ、オリゴヌクレオチド X の骨粗鬆症治療効果(例えば、オリゴヌクレオチド X による骨密度増大効果)を示す実験成績証明書を提出することが考えられる。

この場合、請求項 1 に関する拒絶理由は解消する。

一方、請求項 2 に関しては、特許請求の範囲あるいは発明の詳細な説明に、骨粗鬆症に関する記載が表現上存在していることを根拠として上記のような補正をしたとしても、審査官が考慮したものとは異なる出願時の技術常識等を何ら示すことなく、オリゴヌクレオチド X の骨粗鬆症治療効果を示す実験成績証明書のみを提出した場合には、上述のような発明の詳細な説明の記載の程度および出願時の技術常識からして、拒絶理由は解消されない。

〔事例 13〕

発明の名称

腫瘍治療用医薬

特許請求の範囲

【請求項 1】

A, B, または, C から選択されるイソキノリン系アルカロイドのケラタン硫酸塩を有効成分として含有する腫瘍治療用医薬。

発明の詳細な説明の概要

A, B, および, C は, 化学構造中にイソキノリン骨格を共通して有するイソキノリン系アルカロイドに属する公知の化合物である。A は腫瘍治療用医薬として有用であることが知られていたが, ケラタン硫酸塩とすることにより腫瘍治療作用が増強されることを見出した。

実施例において, A および B のケラタン硫酸塩を調製し, A の塩酸塩と比較した場合の増強された腫瘍治療作用を, 担癌モデル動物を用いて確認したことが薬理試験結果として記載されている。

[技術水準(引用発明、周知技術等)]

出願当時に公知であった文献 X には, C の塩酸塩が担癌モデル動物を用いた試験において腫瘍治療作用を示さなかったことが記載されている。

(なお, B の塩酸塩が腫瘍治療作用を示すかどうかについては知られていない。)

[拒絶理由の概要]

・ [第 36 条第 4 項第 1 号](#)(実施可能要件)／[第 36 条第 6 項第 1 号](#)(サポート要件)：請求項 1

本願請求項 1 では, イソキノリン系アルカロイドである A, B, C のケラタン硫酸塩を有効成分とする腫瘍治療用医薬が包括的に記載されているものの, 実施例において腫瘍治療作用が確認されているのは A あるいは B のケラタン硫酸塩についてのみである。

一方, 出願当時に公知であった文献 X には, C の塩酸塩が担癌モデル動物を用いた試験において腫瘍治療作用を示さなかったことが記載されている。文献 X には C のケラタン硫酸塩については記載されていないものの, ある化合物の塩が有する生理活性は, 当該化合物の別の塩であっても同様であるというのが

技術常識であったと認められることからすれば、C のケラタン硫酸塩については、塩酸塩同様、腫瘍治療作用を奏功しないとの合理的推論が成り立つ。

そうすると、請求項 1 に係る発明のうち、C のケラタン硫酸塩を有効成分とする態様については、腫瘍治療用医薬として使用することができるとは直ちにはいえないことから、発明の詳細な説明は、請求項 1 に係る発明を当業者が実施できる程度に明確かつ十分に記載されていない。

また、C を選択肢として含む請求項 1 に係る発明の範囲にまで、発明の詳細な説明に開示された腫瘍治療作用を拡張ないし一般化することは直ちにはできないと認められるから、請求項 1 に係る発明は、発明の詳細な説明に記載した範囲を超えるものである。

#### [出願人の対応]

化学構造が類似している化合物の同一の塩であればそれらの生理活性は同様であるという技術常識を示した上で、当該技術常識に基づくと、C の塩酸塩が腫瘍治療作用を示さなくても、C のケラタン硫酸塩が腫瘍治療作用を必ずしも示さないというものではないという主張をしつつ、実験成績証明書を提出することにより、C のケラタン硫酸塩についても、同様の腫瘍治療作用を奏功することを示せば、拒絶理由は解消する。

#### (補足説明)

審査官は、文献 X、および、ある化合物の塩が有する生理活性は、当該化合物の別の塩であっても同様であるという技術常識に基づき、C のケラタン硫酸塩について腫瘍治療作用を奏功しないとの合理的推論を行っている。その一方、化学構造が類似している化合物の同一の塩であればそれらの生理活性は同様であるというのもまた技術常識であって、C のケラタン硫酸塩においては後者の技術常識のほうが妥当する可能性も考えられる。

これらの技術常識のうちいずれが妥当するかわからない状態であったところ、出願人が、後者の技術常識を示しつつ、C のケラタン硫酸塩の腫瘍治療作用を示す実験成績証明書を提出することにより、後者の技術常識の妥当性が裏付けられるため、拒絶理由は解消する。