

再生医療に関わる海外団体における
知的財産戦略・知的財産マネジメントの
現状調査

平成31年3月



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

目 次

- I. 調査の背景・目的
 - 調査の背景・目的
 - 調査項目
 - 調査対象、方法
 - 調査期間

- II. 各団体についての調査結果
 - 調査結果の概略・サマリー
 - 各団体の調査結果
 - ✓ ARM (Alliance for Regenerative Medicine)
 - ✓ CIRM (California Institute for Regenerative Medicine)
 - ✓ CCRM (Center for Commercialization of Regenerative Medicine)
 - ✓ CGT-C (Cell and Gene Therapy Catapult)

- III. 国内の関係者の声（知財に関する取り組みとして業界団体に求める内容）
 - 総論
 - 各団体へのヒアリング内容
 1. FIRM（一般社団法人 再生医療イノベーションフォーラム）
 2. 株式会社 iPS ポータル

- IV. 国外の関係者の声（知財に関する取り組みとして業界団体に求める内容）

I. 調査の背景・目的

- 調査の背景・目的

再生医療に関する技術は、幹細胞の採取から保存、分化誘導、患者への移植、品質管理など、多くの技術要素からなるため、アカデミア等のシーズを実用化に結びつけるためには、通常の低分子医薬等とはまったく異なる知財戦略が必要となる。一方、海外においては、再生医療に関する官民双方による各種業界団体が形成されており、実用化に向け組織横断的な知財ポートフォリオの管理が進められている国もある。

そこで、再生医療に関する海外の各団体において、知的財産に関してどのような取り組みやマネジメントが行われているのかを調査することにより、AMEDを含め再生医療産業に関わる我が国の組織が取るべき知財戦略支援の方向を検討するうえでの基礎資料とすることを本調査の目的とする。

- 調査内容：下記1. ～3. の項目につき、調査を行った。

1. 基本情報

- (1) 各団体の設立趣旨、活動・施策の概要
- (2) 各団体における組織構成
- (3) 参画している企業、アカデミア
- (4) 産学のシーズ・ニーズのマッチングの仕組み
- (5) 各団体によるファンディング・研究資金提供の状況
- (6) ファンディング・資金提供により得られた知的財産の扱い
- (7) 各団体間やその他機関との連携状況

2. 知財に関するポリシー、取り組み

- (1) 各団体における知財専門組織の構成状況
- (2) 各団体における知財専門組織のマנדート、議論のトピック
- (3) 各団体の、再生医療の知財の特殊性についての認識
- (4) 各団体における知財に関するポリシー
 - ① 知財の取り扱い
 - ② ライセンスの取り扱い
 - a. パテントプールに関するポリシー
 - b. クロスライセンスに関するポリシー
 - c. FRAND条件に関するポリシー
- (5) 各団体における標準化戦略
- (6) 各団体から、ISOほか各種標準化団体への参画状況
- (7) 各団体による、橋渡し研究における知財サポート活動の有無、内容

3. その他個別トピック、取り組みの事例など
 - (1) 具体的な知財に関する運営管理
 - (2) 最終製品の原価でパテントフィーが占める割合
 - (3) 各団体における再生医療のバイオシミラーに関する扱い、ポリシー
 - (4) その他、各団体における知的財産に関する議論のトピック、方向性等

- **調査対象、方法**

調査対象は下記の4団体である。

- ・ ARM : Alliance for Regenerative Medicine (米国)
- ・ CIRM : California Institute for Regenerative Medicine (米国)
- ・ CCRM : Center for Commercialization of Regenerative Medicine (カナダ)
- ・ CGT Catapult : Cell and Gene Therapy Catapult (英国)

各団体につきデスクトップ調査及びその内容を踏まえたアンケート、ヒアリングを実施し、知財に関する取り組みを中心に情報収集を行った。なおアンケート、ヒアリングで収集した情報については必ずしも各団体の公式見解でなく、対応者の個人的な考えを含む場合もある。

各団体のヒアリング対応者は下記の通りである。

- ・ ARM : Advisor
- ・ CIRM : Associate General Counsel (後述の” Intellectual Property and Revenue Requirements for CIRM Awards” 作成メンバーの一人)
- ・ CCRM : Chief Executive Officer
- ・ CGT Catapult : Director (Business Development)

加えて上記の海外団体の活動内容を踏まえ、国内の再生医療業界としてどのような取り組みが必要になるかという観点で、国内のプレイヤーにもヒアリングを行った。ヒアリング対象は下記の通りである。

- ・ FIRM (一般社団法人 再生医療イノベーションフォーラム)
- ・ 株式会社 iPS ポータル株式会社

- **調査期間** : 平成 30 年 11 月 1 日～平成 31 年 3 月 22 日

II. 各団体についての調査結果

- 調査結果の概略・サマリー

今回の調査対象は、産学含む多様なプレイヤーが加盟する再生医療産業界の国際コミュニティ（ARM）、再生医療の研究開発シーズへの資金提供を主な活動とする公的団体（CIRM）、国内外の産官学での広範なネットワークを構築しながら中立的な立場から研究開発シーズの実用化を促進する非営利組織（CCRM）、自ら研究・製造設備を有し技術的・事業的観点から産学のプレイヤーに対し多様なサービスを提供する公的団体（CGT-Catapult、以下「CGT-C」）というそれぞれに性質の異なる団体である。知的財産に関する活動内容もそれぞれの団体の特性により異なっており、各団体の設立趣旨や活動内容の全体を踏まえどのような位置づけで知財関連の取り組みを行っているかを理解する必要がある。

調査内容の詳細は次章に記載するが、各団体の概要および活動内容は次頁の表の通りである。いずれの団体も再生医療等の実用化・産業化の促進を企図しているが、活動内容にはそれぞれ特徴が見られる。ARM（米ワシントン D.C.）は産学を含む多様なプレイヤーのコミュニティ形成促進およびロビー活動、CIRM（米カリフォルニア）は研究開発シーズへの資金援助がそれぞれ活動の中心となっている。CCRM（加トロント）と CGT-C（英ロンドン）は自前のラボ・製造設備や技術・ビジネスそれぞれの専門人材を活用して産学のプレイヤー向けに多様なサービスを提供しているが、特に CCRM は国内外に産官学の広範なネットワークを構築しており、中立的な立場から各研究開発シーズの実用化を促進するというスタンスに特色がある。

知財に関する活動もこうした各団体の特徴に従い異なっており、ARM では知財にフォーカスした活動はそもそも行っておらず、CIRM は資金提供をした知財の取り扱いに対して一定の条件を設けている。また CCRM は提携関係を築いているアカデミアから有望な知財を積極的に拾い上げ、ネットワークを活用して実用化を促進している（CCRM 自ら開発を進める、提携関係にある企業が開発するようコーディネートするなど）。CGT-C は個別の研究開発シーズへのサポートサービス提供の一環として、先行技術調査やライセンス契約交渉サポートなどを提供している。

このように知財に関する取り組み状況は団体に異なっているが、再生医療においては一つの製品が成立するために細胞培養や品質検査などの工程も含めた多数の知財・特許が必要となる点、またそうした知財を単独のプレイヤーでカバーすることは難しいという点において、製品開発において物質特許が圧倒的な重要度を占める従来の低分子医薬品とは大きく異なるという認識は基本的に共通していた。CIRM は、そうした状況であっても個別のプレイヤーが自由競争のなかで合理的判断を下していけば、結果としてある一社の特許の独占により産業全体としての製品開発が妨げられる可能性は低いとの考えを示した。一方で CCRM や CGT-C からは、汎用性の高い技術・特許については一部のプレイヤーが独占し他者の研究開発を妨げることの無いよう、中立的な組織による知財の集約管理やパテントプールの形成によりオープンなかたちで活用されるべきとの意見が聞かれた。

	所在地	設立	活動趣旨	知財に関する活動状況、概要	研究開発の 技術的支援	研究開発の 資金援助	産学連携 サポート	製造プロセス 開発	ロビー活動
ARM	アメリカ (ワシントンD.C.)	2009年	企業、アカデミアのほかVCや財団、患者団体等も参加する再生医療業界の国際コミュニティである。業界内のコミュニティ形成促進、ロビー活動が主な活動。	知財担当部門は存在せず、知財にフォーカスした取り組みも行っていない。ARMの科学技術コミッティーによる構想から、標準化団体であるSCBが設立された。			○		○
CIRM	アメリカ (カリフォルニア州)	2004年	「アンメット・メディカル・ニーズをもつ患者への幹細胞治療を加速させること」をミッションとしてカリフォルニア州庫の拠出で設立された。研究開発シーズへの資金援助が活動の中心。	CIRM自体として知財を保有してはいないが、資金提供したシーズの知財の取り扱いに関するポリシー、制限(公費を投入した分、実用化に向け最大限努力することなど)を定めている。		○	○		
CCRM	カナダ (トロント)	2011年	国際的な協力により、健康・経済上の持続的な利益を生み出すことをミッションとする非営利組織。GMP施設や専門人材に加え、国内外のネットワークを活用して開発促進に向けた多角的な取り組みを行っている。	知財と市場両面での競争環境分析や特許戦略立案に関するサービスを提供。また提携アカデミアの研究開発シーズ、知財から有望なものを抽出し、自前の設備や企業とのネットワークを活用して実用化を促進している。	○		○	○	○
CGT-C	イギリス (ロンドン)	2012年	英国の産業振興策の一環として、細胞・遺伝子治療の世界レベルの拠点を作ることを目的に設立された。研究所、製造設備も有し、研究者、企業それぞれに向け、技術的・事業的観点双方からサービスを提供している。	企業の知財部門出身者や弁理士などによる知財専門チームを構成。産学のプレイヤーに向け、研究シーズの知財化、特許出願、ライセンス等に関する助言、サポートを行っている。	○		○	○	

【対象団体】 ARM (Alliance for Regenerative Medicine)

公式 web サイト：<https://alliancerm.org/>

1. 基本情報

(1) 設立趣旨

2009 年に設立された、マルチステークホルダーによる国際団体である¹。再生医療および先端医療における投資、研究開発、円滑な産業化の促進に向けた活動に取り組む。200 社以上の企業のほかアカデミア、患者団体等、計 300 超のメンバーにより構成され、会費により運営されているものと推定される²。

(2) 活動・施策の概要

薬事規制や償還制度の整備、研究開発投資の促進等に向けて各種活動を行っている。

主な活動内容は①承認審査プロセスの予見性向上に向けたロビー活動②保険収載に関する政策提言③ステークホルダーに対する働きかけ・コミュニケーションの促進、情報発信④研究開発資金獲得のサポートである³。

① 承認審査プロセスの予見性向上に向けたロビー活動⁴

承認審査プロセスの予見性や規制の国際調和が企業・患者双方の利益につながるとの考えから取り組んでいる活動。製造や CMC に関するものを含め、細胞・遺伝子治療についての既存の規制やガイダンスのレビューを行う。また必要に応じ開発企業と規制当局のコミュニケーションを促し、革新的製品を実現するために最適な在り方について協議する。関連規制への意見書提出なども行い、再生医療や先端医療の適した規制を維持するために立法及びその他の政策立案者と連携する。

② 保険償還に関する政策提言⁵

公的および民間保険会社を含むステークホルダーに対し再生医療製品の長期的価値を理解させること、CMS (Centers for Medicare and Medicaid Services) ⁶およびその他の保険者と協力し Value-Based の革新的支払いモデルの開発・適用を促進すること、再生医療製品へのアクセスおよび償還を適切なかたちで確保することを活動内容とする。

¹ <https://alliancerm.org/press-release/the-alliance-for-regenerative-medicine-releases-q2-2018-data-report-highlighting-sector-trends-and-metrics/>

² <http://alliancerm.wpengine.com/wp-content/uploads/2018/05/ARM-Dues-Schedule.pdf>

³ <https://alliancerm.org/mission-and-role/>

⁴ <http://alliancerm.wpengine.com/regulatory/>

⁵ <http://alliancerm.wpengine.com/market-access-and-value/>

⁶ <https://www.cms.gov/>

- ③ ステークホルダーに対する働きかけ・コミュニケーションの促進、情報発信
再生医療業界における投資や研究開発、商業化を促すため、再生医療に関するレポートの発出や講演などの情報発信活動を行っている⁷。
- ④ 研究開発資金獲得のサポート
投資を促すため、投資コミュニティに対し再生医療製品開発への資金提供についての啓蒙活動を行っている（セミナー等のイベント開催が主と思われる）。

(3) 組織構成

Chairman / CEO を筆頭とする 4 名の Officers、30 名程度で構成される Board of Directors、10 名程度で構成される Executive Committee により運営される。

また下記のコミッティー（委員会）およびタスクフォースが ARM 参画企業や団体により構成されており、ARM の活動を促進している。

- ① 科学分野
 - 細胞療法コミッティー
 - 遺伝子治療、遺伝子改変コミッティー
 - 組織工学コミッティー
 - 科学技術コミッティー
 - ゲノム編集タスクフォース
- ② 政策分野
 - 欧州マーケットアクセス&バリューコミッティー
 - 欧州規制関連コミッティー
 - ガバメントリレーション、政策コミッティー
 - 米国マーケットアクセス&バリューコミッティー
 - 米国規制関連コミッティー
- ③ 戦略分野
 - 資金獲得 (Capital formation) コミッティ
 - コミュニケーション&教育コミッティー
 - 患者エンゲージメントコミッティー
 - 欧州先端医療コミッティー

(4) 参画している企業、アカデミア等

ARM の 2018 Annual Data Report⁸によれば、計 304 の組織が参画している。そのうち 73%を企業（大小の製薬会社、試薬会社等）が占め、15%は非営利団体、9%がアカデミア、3%が金融機関等

⁷ <http://alliancerm.wpengine.com/publications-presentations/>

⁸ http://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/03/ARM_AR2018_Web_FINAL.pdf

という構成になっている。

ARM's Total Member Organizations = 304



(2018 Annual Data Report より抜粋)

(5) 産学のシーズ・ニーズのマッチングの仕組み

企業や研究者、投資家を対象としたイベントを企画運営しており、6つの例年開催のイベントがある。業界動向についての講演、企業による技術や製品についてのプレゼンテーション、産学（ベンチャーキャピタルや投資家も含む）の業界関係者のネットワーキング機会の提供等の内容になっている。米国だけでなく欧州で開催されるものもある⁹。

(6) 各団体によるファンディング・研究資金提供の状況

ファンディング機能は確認されなかった。

(7) ファンディング・資金提供により得られた知的財産の扱い

ファンディング機能は確認されなかった。

(8) 他団体との連携状況

前述の通り、CMS と始めとする保険者や規制当局と連携して活動している。また CIRM、CCRM、CGT-Catapult のいずれも ARM に加盟をしている。

2. 知財に関する取り組み状況

(1) 知財専門組織の構成状況

知財専門組織は構成されていない。

⁹ <https://alliancerm.org/events/>

(2) 知財専門組織のマネート、議論のトピック

知財専門組織は構成されていない。知財にフォーカスした取り組みも行われていない。

(3) 再生医療の知財の特殊性についての認識

知財にフォーカスした取り組みは行われておらず、ARM として公式の認識は持っていないと考えられる。スピンアウトした組織が発出した標準化ポリシーに関する後述の項目が示唆となる。

(4)～(6)も同様。

(4) 知財に関するポリシー

(3)と同様。

(5) 標準化戦略

科学技術コミッティーが標準化戦略のための団体 Standards Coordinating Body (SCB)¹⁰を構想し、SCB は 2017 年に独立している¹¹。SCB は NIST (National Institute of Standards and Technology、アメリカ国立標準技術研究所)¹²と MOU を締結し再生医療業界における標準化を進めるためのパートナーシップを結成しており、また 2018 年 2 月に FDA の CBER (Center for Biologics Evaluation and Research)¹³向けに標準化に関するレポートを発行している¹⁴。そのなかで「標準化は、特定の企業の知財によってイノベーションが阻害されてはならない」という旨のコメントを記載しており、また遺伝子治療ベクターに関して「知的財産の保護が製品の製造方法の比較を困難にしており、データのシェアによって、疾患治療用のベクター開発が促進される」とのコメントも記載されている。

(6) ISO ほか各種標準化団体への参画状況¹⁵

上記の SCB は NIST との MOU 締結に加え、以下の再生医療等の関連団体と提携している。

- ・ AABB¹⁶ (輸血医療および細胞治療における品質管理システムの標準化を進める団体)

¹⁰ <https://www.standardscoordinatingbody.org/overview-mission/>

¹¹ <https://alliancerm.org/press-release/standards-coordinating-body-for-regenerative-medicines-and-the-national-institute-of-standards-and-technology-enter-into-a-memorandum-of-understanding-to-advance-development-and-establishment-of-indu/>

¹² <https://www.nist.gov/>

¹³ <https://www.standardscoordinatingbody.org/overview-mission/>

¹⁴ https://static1.squarespace.com/static/58a331b0db29d63c7fb64528/t/5a9ee032e2c483767c878be9/1520361532848/Landscape+Report_3-2-2018.pdf (特に p14、P69 を参照)

¹⁵ <https://www.standardscoordinatingbody.org/partners-contributors>

¹⁶ <http://www.aabb.org/Pages/default.aspx>

- Foundation for the Accreditation of Cellular Therapy (FACT) ¹⁷ (細胞治療およびその研究方法の標準化を進める団体)
- International Society for Cellular Therapy (ISCT) ¹⁸ (産学および規制当局と連携し細胞治療の実用化を促進する団体)
- International Society for Stem Cell Research (ISSCR) ¹⁹ (幹細胞研究およびその実用化を促進する国際団体)

(7) 橋渡し研究における知財サポート活動の有無、内容

1. (5)に記載の通り、業界関係者のネットワーキング促進に向けたイベントを実施しているが、知財に特化したサポート活動は行っていない。

3. 個別トピック

(1) 具体的な知財に関する運営管理

知財に関する取り組みは行っていない。

(2) 再生医療のバイオシミラーに関する扱い、ポリシー

(1) と同様。

(3) 最終製品の原価に占めるパテントフィーの割合

(1) と同様。

(4) その他、各団体における知的財産に関する議論のトピック、方向性等

前述の通り、科学技術コミッティーの構想を基にする標準化団体 SCB が独立している。

¹⁷ <http://www.factwebsite.org/>

¹⁸ <https://www.celltherapysociety.org/>

¹⁹ <http://www.isscr.org/>

【対象団体】 CIRM (California Institute for Regenerative Medicine)

公式 web サイト : <https://www.cirm.ca.gov/>

1. 基本情報

(1) 設立趣旨

2004 年のカリフォルニア州民投票で承認された州法 (Proposition 71) に基づき、カリフォルニア州庫から 30 億ドルを拠出して設立された (30 億ドルのうち 1.8 億ドルは運営管理費、27.5 億ドルは研究助成の原資としての予算)。” Accelerating stem cell treatments to patients with unmet medical needs. (アンメットメディカルニーズを持つ患者への幹細胞治療を加速させること) ” をミッションとする²⁰。

運営資金は主にカリフォルニア州庫から拠出されており、連邦予算からは独立したかたちで幹細胞研究開発への資金提供を行っている。活動にあたっては、「幹細胞治療の開発加速につながるか」「成功可能性を向上させるか」「アンメットメディカルニーズの解消につながるか」「効果的かどうか」といった点を考慮している。

(2) 活動・施策の概要

① 活動概要²¹

インフラ、教育、探索、トランスレーショナルリサーチ、臨床試験の 5 分野への支援、資金提供が主な活動。

- ✓ インフラ：幹細胞治療の臨床試験を積極的に行っている Alpha Stem Cell Clinics Network への資金提供などを行う。
- ✓ 教育：SPARK や Bridges programs といったインターンシッププログラムのサポートによる次世代研究者の育成、カンファレンス開催による知見共有の促進など。
- ✓ 探索：早期段階の研究への支援・資金提供。
- ✓ トランスレーショナルリサーチ：臨床試験実施に向けた業務サポートを行い、優れた研究を前進させる。
- ✓ 臨床試験：世界レベルの治療法ポートフォリオを構築し、Clinical Advisory Panels などにより各プロジェクトを支援することで成功確率を向上させる。

なお、これまではアカデミアへの出資が活動の大半を占めていたが、今後は産業界や規制当局への働きかけも強めていく方針を” Beyond CIRM2.0” (2016 年以降の活動方針を掲げた文書) p. 10 で表明している。

²⁰ <https://www.cirm.ca.gov/about-cirm/our-mission>

²¹ https://www.cirm.ca.gov/sites/default/files/files/about_cirm/CIRM%202017%20AR-Single%20Pages%20F%20WEB%201.31.18.pdf

② 今後の活動方針など

2016～2020年の活動方針として” Beyond CIRM 2.0”を策定。” Exponentially advance CIRM’s mission by leading a coordinated campaign that holistically attacks the obstacles meaningfully affecting the speed, probability and sustainability of stem cell treatments to help patients in need. (CIRMのミッションを指数関数的に前進させるために、組織的な取り組みをリードすることで、患者を助ける幹細胞治療のスピード、実現可能性及び持続可能性を阻害する重要な要因を総合的に打ち破る)”を Vision として掲げている。

2017年のAnnual Reportにおいても2020年に向けた目標が提示されており、50の新しいシーズの開発開始、進行中シーズの開発前進、幹細胞治療の新しい規制枠組みの制定、シーズ発見から臨床試験開始までの期間短縮、臨床試験数の増大、企業との提携の促進といったゴールが掲げられている。また8件のプロジェクトにおいて企業との提携を果たし、産業界との連携を促進したことが2017年の主要な成果として記載されている。

2018年には新しい取り組みとして Industry Alliance Program (IAP)を開始し、製薬、バイオテック、VC等の企業とのパートナーシップ形成、開発加速に取り組んでいる(内容は(5)で後述)²²。

(3) 組織構成²³

① Governing Board

Boardは患者、研究者、バイオ系企業それぞれを代表する約30のメンバーで構成される。産学および患者それぞれの視点を以て組織運営をしているものと見られる²⁴。2019年3月時点のChairmanであるJonathan Thomas氏(2011年6月就任)は金融機関出身である²⁵。

② Board Subcommittees

Application Review、Communications、Evaluation、Finance、Governance、Intellectual Property and Industry Engagement、Legislative、Scienceなどの各分野において、専門的見地からBoardへの助言、サポートを行う。

(4) 参画している企業、アカデミア

Governing Board Membersはカリフォルニア大を中心としたアカデミア関係者、製薬やバイオ関連企業関係者、各種疾患の患者代表などで構成されている。

²² <https://www.cirm.ca.gov/about-cirm/newsroom/press-releases/04052018/cirm-launches-industry-alliance-program-facilitate>

²³ <https://www.cirm.ca.gov/node/10211>

²⁴ <https://www.cirm.ca.gov/board-and-meetings>

²⁵ <https://www.cirm.ca.gov/board-and-meetings/list-icoc-members>

(5) 産学のシーズ・ニーズのマッチングの仕組み

既述の通り、企業への働きかけを強めていく方針や企業との提携実現について Beyond CIRM2.0、Annual Reportなどで記載されており、産学のマッチングを促す仕組みとして Industry Alliance Program(IAP)を2018年より開始。臨床段階の有望な研究開発プロジェクトについて関心を持つ製薬企業や投資家を募り、マッチングを促進している。基本的にCIRMとして個別の案件に介入することはしておらず、マッチング後は事業化に向けて当事者同士で協議・検討を進めるというかたちを取っている模様²⁶。

(6) ファンディング・研究資金提供の状況

Beyond CIRM 2.0によると、2016～2020年の5年間で8.9億ドルの資金提供をする計画が提示されている。年度および5分野毎の内訳は下表の通り。

Program	2016	2017	2018	2019	2020	Total
Education	10	10	10	10	10	50
Discovery	15	50	50	35	20	170
Translation	30	45	45	40	20	180
Clinical	90	100	100	100	50	440
Infrastructure	15	15	20	0	0	50
Totals	\$160	\$220	\$225	\$185	\$100	\$890

Financial Figures are in Millions

(Beyond CIRM 2.0より抜粋)

(7) ファンディング・資金提供により得られた知的財産の扱い

CIRMは資金援助をした研究開発シーズの知財の取り扱いについて規定を設けており、数年に一度改定している。2019年3月現在の最新版は、2018年9月5日付で発行された非営利団体および営利団体向けの” Intellectual Property and Revenue Sharing Requirements for Non-Profit and For-Profit Grantees ”²⁷である。2. (4) ①にも記載の通り知財はAwardeeに帰属するとしながら、Awardeeは実用化・商用化に向け然るべき努力(場合により他者への導出、ライセンス許諾も含める)をすること、商用化した際にはCIRMからの出資額に応じて収益(Net Commercial Revenues)の一部(原則、CIRMからの資金援助1 million USDにつき0.1%。例えば15 million USDの援助を受けていた場合は収益の1.5%)をカリフォルニア州に支払うこと等が

²⁶ <https://www.cirm.ca.gov/our-progress/industry-alliance-program>

²⁷

https://www.cirm.ca.gov/sites/default/files/files/funding_page/IP%20Policy%20Effective%20September%205%2C%202018.pdf

規定されている。この Requirements はカリフォルニア州法と同等の法的効力を持つとされている。

Requirement の主な内容は下記の通り。

I. 定義

詳細略。

II. 発明及びライセンスの報告義務

B. Awardee は CIRM-funded invention の開示を受けた場合は CIRM に知らせること

C. Awardee は、CIRM-Funded シーズの権利に関するライセンス契約等を締結した場合は CIRM に知らせること

D. CIRM 援助シーズに関する特許出願・取得状況、MTA 等の契約、収益等の発生有無、商用化準備状況を定期的に CIRM に知らせること

F. CIRM は Awardee がこのポリシーを遵守しているか監査する権利をもつ

G. 許諾なしでの Regulatory Use を Awardee が発見した場合、CIRM に知らせること

III. Publication に関する義務

A., B. CIRM 援助シーズに関して発表・公表する場合、Pub Med に登録するなど公共のアクセスを確保すること。

E. 発表の旨を CIRM に報告すること

F. 発表に関する生物材料について MTA 締結を要求できるよう、窓口の URL を原稿に記載すること

G. CIRM による援助を受けたことを明記すること

IV. Publication に関する生物材料についての義務

A.、B. Awardee は、カリフォルニアでの正当な研究活動のためには、発表内容に関する生物材料を原則無償で且つ平等に提供すること

V. 特許

A. 本ポリシーは CIRM 援助シーズの ownership interest を CIRM に認めるものではない

B. Awardee は CIRM 援助シーズや関連する特許の権利につき、自由に保持や移転をすることができる

VI. CIRM-Funded の発明・技術のライセンスとアサインメント

A. Awardee は開発と商用化に向けて合理的な努力を払うこと

B. Awardee 自身での開発を中止する場合は、第三者による開発等に向けて合理的な努力を払うこと

E. 非営利の Awardee は、包括的か否かに関わらず、CIRM 援助シーズのライセンス契約において実施権を保持すること。

VII. Awardees による開発製品へのアクセス要求

- A. 商業化を担う団体は Drug to Californians（公的/民間の保険でカバーされておらず且つ低収入で医薬品を購入することが難しい州民が対象）へのアクセスを確保するためのプランを提出すること。

VIII. Revenue Sharing

- A. 営利団体は、CIRM からの援助金額に応じて収益の一部をカリフォルニア州庫に納めること。

IX. プレスリリース

Awardee は、Award についてのプレスリリースをする際は前日までに CIRM に通知すること。

X. March-In Rights

- A., B. Awardee もしくは協業者やライセンサーが商業化に向けた合理的努力を払っていない場合などには、他の候補者とのライセンス契約締結を要請する権利を CIRM は有する。
- F. 上記権利の発動について CIRM から通知があった場合、Awardee は ICOC に訴え、権利発動の可否を問うことができる。

XI. 第三者への適用

Awardee が買収や合併された場合等は、当ポリシーの規定や義務が引き継がれるものとする。

XII. 受給済のものについて

元々（本ポリシー制定以前から）CIRM から援助を受けている Awardee は、既存の CIRM 援助シーズに対しても本ポリシーを適用することができる。

(8) 他団体との連携状況

CIRM は幹細胞治療に合わせた規制の適正化が必要と考えており、FDA をはじめとする関係組織と連携してより効果的な開発パスウェイの構築などに取り組もうとしている（Beyond CIRM 2.0 p. 20）。また ARM にも加盟しており、再生医療製品のための規制ガイドラインに関するミーティングに参加するなど、規制整備に向けた活動に取り組んでいるようである。

加えて IABS（International Alliance for Biological Standardization）²⁸と共同で Cell Therapy Conference を 2018 年に開催しており、製造プロセスや品質検査の技術についてのコンセンサス形成促進にも他団体と連携しながら取り組んでいる模様。²⁹

²⁸ <https://www.iabs.org/>

²⁹ <http://4th-cell-therapy-conference.iabs.org/>

2. 知財に関する取り組み状況

(1) 知財専門組織の構成状況

Board Subcommittees の一つとして Intellectual Property and Industry Engagement が設置されている。³⁰

(2) 知財専門組織のマネート、議論のトピック

知財ポリシー・規定を作成し、CIRM のミッション遂行とカリフォルニア州民の利益保護に向け産業界との連携を進める。取り組み内容として下記の5点が挙げられている。

- ① 医学的研究やその結果生じる治療法の開発が非合理的に阻まれることなく、基礎研究、治療法開発や臨床試験から生じた特許、ロイヤリティ及びライセンスによる恩恵をカリフォルニア州が享受できるよう、知的財産についての基準（1. (7)で記載した Requirement など）を制定すること
- ② CIRM と他の国・地域、組織及びその他の戦略的パートナーとの協働に際しての知財面での影響を検討すること、並びに CIRM が出資したシーズに関する知財の保護のため被出資者をサポートすること
- ③ 知財に関する州および連邦の立法、行政ならびに司法的決定を評価すること、及び Legislative Subcommittee に対し規制の観点から助言をすること
- ④ CIRM が出資した研究開発プログラムに企業の参画（CIRM' s Grants Working Group のサイエンスメンバーとしての参加を含む）を促すべく、ポリシーを制定・修正すること
- ⑤ 企業との提携に関わるローンプログラム及びその他のファイナンスに関する事項を検討、修正すること

(3) 再生医療の知財の特殊性についての認識

再生医療においては、医薬品と異なり一つの製品が成立するために多数の知財（例えば細胞の初期化、培養プロセス、品質検査・管理などそれぞれの工程についての特許）が必要になる点が特徴的と考えられる。そうした特殊性を背景に、重要な特許をあるプレイヤーが占有してしまうことで再生医療業界全体の開発に支障を来すといった恐れは無いのか、前述の Intellectual Property and Revenue Requirements for CIRM Awards 策定に関わった CIRM の知財担当者（Associate General Counsel）にインタビューを行った。同氏の見解は以下の通り。

一つの細胞でもたくさんの知財とその所有者が存在し、それらすべてを考慮しなければ開発の妨げになる可能性がある。大手製薬企業などであれば、自分たちで調査して権利関係についてケアすることができるだろうが、スタートアップなど小さい企業ではそれらの知財を全て調べるのは難しいと考えられる。

³⁰

<https://www.cirm.ca.gov/board-and-meetings/intellectual-property-and-industry-engagement-subcommittee>

一方、再生医療産業はコンピュータソフトウェア産業の初期と同様、誰が何のためにどの特許を持っているのか分かっておらず、パテントを買い占めて商業化を妨げてしまうようなプレイヤーは現時点で認識していない。あるプレイヤーが知財を占有したとしても、ライセンス料が高すぎれば誰も使おうとせず結局ライセンス所有者も利益を得られないだろうから、そうした方法は取らないのではないかと考えている。

また、例えば電子部品などの業界では、大手ハイテク企業が新興企業の参入をブロックしようとして知財を買い占めるといったこともあるのかも知れないが、ライフサイエンス業界ではそういった行為は患者に治療薬を届けることを妨げることになるので、政府による介入を招く可能性も考えられる。

(4) 知財に関するポリシー

① 知財の取り扱い

CIRM が資金提供した研究シーズの知財に関する規定は既述の通りだが、CIRM 自体が知財を保有することは基本的にない。

先述の知財担当者に伺ったところでは、CIRM を含む複数の団体が出資している研究プロジェクトの場合、CIRM だけが部分的に知財権を主張することは現実的に不可能であるし、また仮に CIRM の資金提供を受けたものだけを切り出して CIRM が知財を持つと、Awardee の知財マネジメント全体に影響が出てしまうことが考えられる。加えて、アメリカでは知財は資金提供機関でなく Awardee が保有するのが一般的であるため、CIRM が知財の保有を主張するのは難しいと考えられる。

これらの理由から、CIRM が知財を管理するかたちを取ると、関与されることを嫌厭してアカデミアが応募して来なくなるかもしれないという懸念のため、CIRM としては知財を保有しないようにしているという。

② ライセンスの取り扱い

a. パテントプールに関するポリシー

CIRM 自体で発明を有しているわけではなく、また資金提供したシーズのプール化を強制するような仕組みも有していない。

b. クロスライセンスに関するポリシー

CIRM 自体で発明を有しているわけではないため CIRM 自体としてクロスライセンスを締結することはない。また Awardee がクロスライセンスを結んだことがあるかどうかは CIRM では特に把握していない。

c. FRAND 条件に関するポリシー

CIRM 自体として発明を有しているわけではないため、ライセンスフィーについての交渉をすることは無い。Awardee それぞれが自身の発明のライセンスングについて交渉をしている。

(5) 標準化戦略

製造工程としては原料細胞採取、品質（安全性）検査の標準化を重点的に検討している。

但し先述の知財担当者によれば、現時点で技術標準はあまり確立されておらず、FDA も標準化された技術の内容を理解していないのが現状と捉えている。標準化に向けた勉強会を開き、治療薬開発のうえでのコンセンサスを作ろうという動きは取っているが、影響力が限られているので、細胞医療製品の承認数が増えてくるまで標準化を進めるのは難しいのではないかと考えている。例えばあるセルライン、或いは特定の技術を使いたいとき、色々なアプローチがありどれに優位性があるのか試行錯誤している状態であり、おそらく標準化を適応するには時期尚早と考えている。

(6) ISO ほか各種標準化団体への参画状況

特になし。

(7) 橋渡し研究における知財サポート活動の有無、内容

シーズの企業へのプロモーション活動のサポート等は特に行っていない。前述の IAP についても、研究と企業・ファンドのパートナーリング促進を目的としてはいるが、知財にフォーカスした活動ではない（ただし NDA、ライセンス契約の雛形は IAP として準備している）模様。

(8) その他

先述の知財担当者によれば、アメリカでは、アカデミア自体が法務部門や特許部門を持っており、また少なくともカリフォルニアには Wilson Sonsini や Fenwick & West など良く知られた弁護士事務所もある。そのため CIRM のような政府系機関がスタートアップなどに対し法的なアドバイスをするのは躊躇われる面もあるという。

3. 個別トピック

(1) 具体的な知財に関する運営管理

先述の知財担当者によれば、既述の通り CIRM としては知財を保有していないが、資金提供した研究から汎用性のある技術が生まれた場合には、CIRM への利益還元の考え方（その技術が活用されたどの製品からどれだけの還元を受けるのか）を明確にする必要があると考えているとのこと。

(2) 再生医療のバイオシミラーに関する扱い、ポリシー

CIRM では新しい治療法の開発促進をミッションとしており、バイオシミラーに関する議論はしていない模様。

(3) 最終製品の原価に占めるパテントフィーの割合

CIRM 自体として特許を保有しているわけではなく、ライセンスングの交渉も行わないため、ライセンスフィーの相場などは把握していない。

(4) その他、各団体における知的財産に関する議論のトピック、方向性等

先述の知財担当者によれば、再生医療の分野はまだ十分に成熟しておらず、製薬企業がリスクをとって早期から取り組む状況ではない。製薬企業は概ね Phase 2 以降のシーズでないと興味を示さないが、CIRM は逆に製薬企業等が興味を持たないトランスレーショナル段階のものに対して投資を行っている。

【対象団体】 CCRM

公式 web サイト : <https://www.ccrm.ca/>

1. 基本情報

(1) 設立趣旨

2011年設立、職員約100人の非営利の官民コンソーシアム。細胞・遺伝子治療、再生医療における国際的な協力により、健康及び経済上の持続的なベネフィットを生み出すことをミッションとする³¹。細胞・遺伝子治療および再生医療の商業化を加速させる基盤技術開発のサポートを行っており、2017年からはMaRS Discovery District（オンタリオ州トロント）に移転。提携組織も含め一カ所に集めた再生医療のハブ拠点として、コラボレーションとイノベーションに繋げる考え。製造施設としてCATCT（Centre for Advanced Therapeutic Cell Technologies）、CCVP（Centre for Cell and Vector Production）を有しており、これらの設備や、テクノロジーおよび事業開発の専門家といった人材も活用したサービス提供を行っている。

トロントではCCRMに加え医療機関なども含むプレイヤーが集積しており、サンフランシスコ、ボストンに次ぐ北米大陸で第三の規模のバイオ医療クラスターになっている³²。



(公式 web サイトより抜粋)

(2) 活動・施策の概要

公式 web サイト (<https://www.ccrm.ca/cdmo-overview>) によると、提供サービスとして大きく Business Services（Business Development team が事業企画、マーケティング、規制及び知財戦略などのサービスを企業及びアカデミアに提供）、Technical Services（40名以上の科学者から成る R & D team が、卓上試験から商用製造まで幅広いソリューションを提供）があり、さらに2019年からは自らの GMP 施設を活用した臨床試験向けの細胞・遺伝子治療の受託製造を開始している。

³¹ <https://www.ccrm.ca/regenerative-medicine-executive-summary>

³² <https://www.ccrm.ca/cdmo-overview>

(3) 組織構成

意思決定機関として Board of Directors、実動部隊として Administration and Operations、Business Development、Communications and Marketing、Human Resources、Product and Process Development の 5 チームがあるものと見られる。³³

Board of Directors は再生医療産業における起業経験者や国際レベルの研究者などにより構成されている。³⁴ 実動部隊は Business Development team が上記(2)の Business Services、Product and Process Development team が Technical Services をそれぞれ提供しているものと思われる。

(4) 参画している企業、アカデミア³⁵

- ① 企業・団体：22 社（ポートフォリオ・アソシエイト企業：5 団体、共同パートナー：17 団体）
- ② アカデミア：9 機関（創業メンバー機関：6 機関、アソシエイト機関：3 機関）

(5) 産学のシーズ・ニーズのマッチングの仕組み

提携関係にあるアカデミアから研究開発の情報を随時収集しており、スクリーニングにより有望なものを絞り込んだうえで実用化の支援をしている。支援のかたちはケースバイケースであるが、CCRM 自ら研究開発を進めることもあれば、提携関係にある企業等に実施権を与え開発を進めるかたちにする場合もある。CCRM が中心となり産学のネットワークを形成しており、そのネットワークの中で最適なプレイヤーが開発を進めるようにしている。

(6) 各団体によるファンディング・研究資金提供の状況

CCRM として個別のアカデミアや研究開発シーズ等に資金提供をしている訳ではないが、政府からの研究資金の獲得を支援する場合はある。また CCRM が資金を投じて開発会社などを立ち上げる場合もあるという。

具体的な事例としては、2012 年に Pfizer Canada と共に Pfizer-CCRM Innovation Fund を設立している。創薬スクリーニングや治療法のための再生医療技術開発を加速させる目的で、Pfizer Canada から総額 50 万 USD を拠出し、CCRM は採択されたプロジェクト内容に応じて資金を寄付する運用³⁶。

(7) 各種サポートを行った知的財産の扱い

それぞれのシーズについて、開発を最も効果的に進められると考えられるかたちで知財を扱うようにしている。(5)に記載の通り、CCRM 自らが知財を買い取り研究開発を進めることもあれば、

³³ <https://www.ccrm.ca/ccrm-regenerative-medicine-team>

³⁴ <https://www.ccrm.ca/regenerative-medicine-directors>

³⁵ <https://www.ccrm.ca/sites/default/files/CCRM%20ANNUAL%20REPORT%202017%20SML.pdf>

³⁶ <https://www.ccrm.ca/sites/default/files/newsletters/Pfizer-CCRM%20Innovation%20Fund%20release%20Final.pdf> (Access at 21 November 2018)

提携関係にある企業等に実施権を与え開発を進めるかたちにする場合もある。

(8) 他団体との連携状況

2013年にCell and Gene Catapultと、研究開発、臨床試験、標準化や規制の整備、教育訓練などを共同で行う協定を結んでいる。またARMに加盟しており、CCRMのPresident & CEOであるMichael May氏はARMのBoard of Directorsメンバーにもなっている。

ほかに、オンタリオ州の資金で設立された非営利の幹細胞研究所であるOntario Institute for Regenerative Medicine (OIRM: オンタリオ再生医療研究所)との共同研究やパートナーシップを結ぶ。2017年に移転したMaRS Discovery DistrictのCATCT lab. 建設に当たってはGEヘルスケア及びFedDev Ontarioから4,000万CADの出資を得ている。ほかにもCCVPの設立に向けUHN (University Health Network) と提携しているなど、官民及び産学の多方面で関係者と協力関係を築いている³⁷。

こうした連携・協力関係を活かして、これまで述べたような開発促進の取り組みを進めている。

2. 知財に関する取り組み状況

(1) 知財専門組織の構成状況

知財のみを専門とした組織は確認できていないが、Business Services、Technical Servicesそれぞれで先行特許調査や知財戦略立案サポートといったサービスの提供を行っている。

(2) 知財専門組織のマネート、議論のトピック

上述の通り知財のみを専門とする組織は無いが、Business Servicesでは、知財と市場両面からの競争環境分析や特許戦略策定サポート、Technical Servicesではアカデミアが持つ知財のスクリーニングなどを行っている模様。1. (5) に記載の通り、有望な知財を抽出したうえで実用化に向けたサポートを提供している。

(3) 再生医療の知財の特殊性についての認識

再生医療においては一つの製品に複数の知財が必要になり、多くのプレイヤーに知財が分散することが産業化を阻害し得ると考えている。また各プレイヤーに分散した知財は、単独では役に立たなくても別の知財、技術と組み合わせることで有用性が生まれる場合もあり、CCRMとしては多くの知財を集約管理することで効果的な活用方法を見つけようとしている。

(4) 知財に関するポリシー

① 知財の取り扱い

公式webサイト上で”The Benefits of Our Network”として「IPへのアクセス」を挙げており、また1. (5) (7) で記載した通りCCRMが産学の間立ち研究開発シーズ(およびその知財)の

³⁷ <https://www.businesswire.com/news/home/20160114005590/ja/>

管理、実用化促進を進めている³⁸。2015年のインタビュー記事では、CEOであるMichael May氏が「CCRMは、築いてきた世界的なアカデミアとのネットワークを通して彼らの知財にアクセスすることができ、またCCRMが擁する設備と科学者を含むスタッフ達を以て、それらの知財について評価し製品開発を進めることができる。CCRMはこれら全てのケイパビリティを用いて、アカデミアが苦手とする業務を行うことで、アカデミアがもたらすものを補完することができる」という旨の発言をしている³⁹。

② ライセンスの取り扱い

a. パテントプールに関するポリシー

ヒアリングでは、汎用性の高い知財についてはオープンな使用条件にすることで産業界全体にベネフィットがあるという考えが聞かれた。そうした考えから、CCRMが集約した知財を基にパテントプールを形成し、業界全体でオープンな条件で活用するという取り組みも今後あり得ると思われる。

b. クロスライセンスに関するポリシー

クロスライセンスは個別プレイヤー間の問題だが、上述のような再生医療の知財の特性からクロスライセンスは一般的に行われているし今後も行われるだろうと考えている。

c. FRAND 条件に関するポリシー

ヒアリングでは、汎用性の高い知財についてはオープンな使用条件にすることで産業界全体にベネフィットがあるという考えが聞かれた。そうした考えから、CCRMが集約した知財を基にパテントプールを形成し、業界全体でオープンな条件で活用するという取り組みも今後あり得ると思われる。

(5) 標準化戦略

標準化は重要視しており、産学および患者も含めたステークホルダーの意見を集約したうえで方向性を定めて取り組みたいと考えている。そのうえで、例えばISOなどの既存の枠組みを活用して標準化を進めたいとのこと。

(6) ISO ほか各種標準化団体への参画状況

SCB（ARMの章参照）に参画している。

(7) 橋渡し研究における知財サポート活動の有無、内容

Business Servicesにおける知財戦略サポートや、上記(2)で述べたようなアカデミアの知財に

³⁸ <https://www.ccrm.ca/regenerative-medicine-industry-consortium>

³⁹ https://www.ccrm.ca/sites/default/files/How_to_grow_a_regenerative_medicine_industry_in_Canada_Michael_May_CCRM.pdf

対する評価などを行っている。

3. 個別トピック

(1) 具体的な知財に関する運営管理

汎用性の高い知財（例えば製造に関するもの）は非独占的なかたちで活用されることで産業全体としての開発促進につながると考えているが、個別企業の視点からは独占的な使用による利益確保を望むケースもあり得る。CCRM は中立的な立場からその両方の視点を踏まえつつ、個別の知財の扱い（ライセンス許諾の条件や許諾範囲など）を決めている。

各プレイヤーに分散した知財は、単独では役に立たなくても別の知財、技術と組み合わせることで用途が生まれる場合もあり、CCRM としては多くの知財を集約管理することで効果的な活用方法を見つけようとしている。

(2) 再生医療のバイオシミラーに関する扱い、ポリシー

特に議論していない。

(3) 最終製品の原価に占めるパテントフィーの割合

不明。

(4) その他、各団体における知的財産に関する議論のトピック、方向性等

今後、日本を含めアジアなど海外にも CCRM の拠点を創っていきたいと考えている。現在の活動を拡大し、よりワールドワイドでの知財の集約とネットワークを活用した実用化推進に取り組みたい考え。

【対象団体】 Cell and Gene Catapult

公式 web サイト : <https://ct.catapult.org.uk/>

1. 基本情報

(1) 設立趣旨

英国のイノベーション促進と経済発展を目指す Catapult programme に基づき、細胞・遺伝子治療の世界レベルの拠点を英国内に作ることを目的に 2012 年に設立された。Catapult programme ではエネルギー、デジタル、交通システムなど分野ごとに 10 のカタパルトセンター（産学連携拠点）を英国内に設立しており、Cell and Gene Therapy Catapult もその一つ。BIS（英 Department for Business, Innovation & Skills）直下の独立機関 Innovate UK の管轄下にある。

設立当初は Cell Therapy Catapult という名称であったが、2016 年に改名された⁴⁰。ロンドンの Guy's Hospital の 12 階にオフィスと研究所を構え、2018 年には Stevenage（ロンドン近郊）に GMP 準拠の大規模製造施設を建設した⁴¹。2018 年時点で 170 名を超える細胞・遺伝子治療の専門家を擁している。

(2) 活動・施策の概要

研究者、企業それぞれに向け、Industrialization（事業化）、Manufacturing（製造）、Regulatory（規制）、Health economics and market access（医療経済と市場アクセス）、Non-clinical safety（非臨床安全性）、Clinical operations（臨床）に関するサービスを提供している。それぞれのサービス内容は下記の通り。

- ① Industrialization（事業化）：製造コストの低減、製造プロセスの効率性やロバスト性の改善、臨床試験の加速化やサポート、プロセスと製品の品質管理サポート、GMP 製造へのスムーズな移行サポートなど。
- ② Manufacturing（製造）：CGT-C の設備を活用した大規模製造プロセス開発のサポート、確立された国内外供給網へのアクセス、多様なプロセスに対応できるフレキシブルな設備の提供、製造プロセス開発のサポート、企業のスペシャリストとの協業支援など。
- ③ Regulatory（規制）：細胞・遺伝子治療に関する最新の規制、ガイドラインの知見に基づきアドバイスを行う。Regulation team は GMP、QMS 及び各種認証に関する EU 認定人材や、MHRA、EMA、HTA、BIA、ARM、FDA や ISCT といった団体、規制当局とのリレーションを有している。
- ④ Health economics and market access（医療経済と市場アクセス）：収益性の最大化に向けた、価格・償還戦略、グローバルでの上市計画最適化、保険価格収載申請の書類作成、申請時のエビデンスデータ最適化等に関するサポート。
- ⑤ Non-clinical safety（非臨床安全性）：最速での臨床入りに向けたサポート（非臨床試験の分析レポート作成、GLP 安全性試験の受託及び監督、IMPD の非臨床セクションの準備など）。

⁴⁰ <https://www.businesswire.com/news/home/20160202005751/en/Cell-Therapy-Catapult-Cell-Gene-Therapy-Catapult>

⁴¹ <https://ct.catapult.org.uk/our-impact/annual-reviews>

- ⑥ Clinical operations（臨床）：臨床試験デザインの最適化に向けたサポート（障害発生時のサポートと開発計画の最適化、未成熟市場のデータに基づいた予見、開発中治療法の課題の予見、パートナー探索のサポートなど）。

(3) 組織構成

2018年4月時点で、監督機関の Board of Directors（15名以内のライフサイエンス分野の専門家で構成され、CGT-Cの活動のインパクト最大化および目的達成に向けて年6回の会合を行う）及びその下の Remuneration Committee, Nomination Committee, Audit Committee が組織されている模様⁴²。

これらの組織とは別に、(2)に記載の各種サービスを提供する実動部隊が存在している。

(4) 参画している企業、アカデミア

- ① 企業：約40（製薬メーカー、試薬メーカーなど）
- ② アカデミア：12機関

Cell and Gene Catapult における連携、関連団体一覧⁴³



(5) 産学のシーズ・ニーズのマッチングの仕組み

産学連携のための取り組みとしては、イベント開催、シーズ・ニーズの情報データベース作成および個別プロジェクトへの支援を行っている。

インタビューを行った Business Development の Director によれば、イベントについては Advice Clinics や講演会が主な活動だという。

Advice Clinics では分野ごとに参加者を集め、アカデミアの参加者からプロジェクト内容を話してもらい、その内容についてアドバイスを提供する。前臨床研究の進め方や製造プロセス、GMP 準拠に関する助言などを提供している。

よりフォーマルなイベントとしては講演会も行っており、大学のレクチャーホールなどで、知

⁴² <https://ct.catapult.org.uk/our-impact/annual-reviews>

⁴³ <https://ct.catapult.org.uk/our-impact/annual-reviews>

財や規制、治験デザイン、前臨床のデザインといったテーマで講演し、パネルディスカッションも併せて行う（例として、2017年のMIP International Patent ForumでCGTカタパルト在籍の弁理士が講演を行っている⁴⁴。）また、業界に特化したかたちのイベント（製造ワークショップ、製品の商業化に関するセミナー、原材料の供給やサプライチェーンに関する講演など）も行っている。

またデータベースについては年に3種類のものを作成しており、各大学や研究機関へのアンケート調査に基づき、前臨床、臨床、製造についてのデータベースをそれぞれ作成している。⁴⁵例えば企業の間がこれを見ると、自分たちと似た分野に取り組んでいる研究をやっているアカデミアがどこにあるか分かり、提携や買収の計画立案に役立てることができる、といったかたちで産学共同での研究を促進することを狙いとしている。

(6) 各団体によるファンディング・研究資金提供の状況

Catapult programmeを推進するInnovate UKが研究開発費助成をしていると見られるが、CGT Catapult 自体としての研究資金提供はしていないと見られる⁴⁶。

(7) ファンディング・資金提供により得られた知的財産の扱い

同上。

(8) 他団体との連携状況

ARMに加盟しており、2019年2月現在、CGT-CのCEOがARMのBoardメンバーに入っている。またRegulatory AffairsのHeadはEuropean Regulatory Affairs Committeeのco-chairを兼任、またU.S. Regulatory Affairs Committeeのメンバーにもなっている。

MHRA、FDA、EMAなど欧米の規制当局とは正式な提携関係にはないが、ミーティング（規制等に関する意見交換を行っているものと思われる）の実施等はしている。

また、CIRM、CCRM、FIRM、神奈川県ほか各国の関連団体と情報交換やミーティングを実施している模様。

(9) その他

英国ではCGT-Cに加え、再生・遺伝子治療の実用化推進のためUK Regenerative Medicine Platform⁴⁷という組織を2013年に設立している。2013～2018年の間は5つのHub（研究センター）を組織し、幹細胞の製造・プロトコル開発、体内動態モニタリング技術開発、送達技術の開発、拒絶反応抑制技術の開発を行って来たが、2018～2023年にかけては多能性幹細胞や3D培養の足

⁴⁴ <https://ct.catapult.org.uk/event/mip-international-patent-forum>

⁴⁵ <https://ct.catapult.org.uk/resources>

⁴⁶ http://www.jst.go.jp/crds/pdf/2017/FR/CRDS-FY2017-FR-01/CRDS-FY2017-FR-01_06.pdf

⁴⁷ <https://www.ukrmp.org.uk/>

場材などに新たに注力する模様⁴⁸。

2. 知財に関する取り組み状況

(1) 知財専門組織の構成状況

Business Development and Transactions を中心に、弁理士も含む計 3 人から成る知財専門チームが組織されている。

(2) 知財専門組織のマネジメント、議論のトピック

主に CGT-C がサポートしたシーズの知財のマネジメントポリシー（研究成果の知財化に関するポリシー、特許化手続きに関するポリシー、特許のライセンス・収益化にかんするポリシーなど）の策定、知財の観点からの事業化支援、知財調査や教育活動などを行っている。インタビューを行った先述の Director によれば、カタパルトがサポートしている対象は若い、新興の企業が多い。そうした企業では多くの場合、従業員も少なく知財の管理についても慣れていないことが多い。そうした企業に対して、発明をどのように保護していくか、また大規模なパテントファミリーを持っている場合は、特に再生医療の世界においてどのようなことに気を付ける必要があるかといったアドバイスをしている。上述の Advice Clinic 等でのアドバイスになるが、例えば臨床試験や前臨床研究に関する助言に絡めて知財に関するアドバイスをすることがあるとのこと。

(3) 再生医療の知財の特殊性についての認識

先述の Director によれば、再生医療は従来の医薬品とは異なり、基本的に一つの製品が成立するために数多くの特許が必要になる。そのためライセンス料が嵩みがちであり、そうした事情から、パテントプールの形成などにより業界全体で知財を共有しあうような仕組みが産業の発展のために必要であると考えている。よって知財に関して、製薬企業の従来の感覚よりも、エレクトロニクス産業に近いようなマインドセットを持つべきだが、各プレイヤーのマインドの変化には時間がかかり、業界団体として教育・啓蒙活動をしていく必要があると考えているとのこと。

(4) 知財に関するポリシー

① 知財に関する取扱い

先述の Director によれば、研究所で生まれた知見の知財化や、特許出願の手続きに関するポリシー、出願後の特許の活用・ライセンスに関するポリシーと各段階に応じたポリシーを有しているが、殊にライセンスに関しては誰でもアクセスできる使いやすい特許にすること、とくに財務的なバリア（ロイヤリティ）をできるだけ低くすることを目指している。ロイヤリティが高すぎると、それが積み重なると業界全体としては負担しきれず、特許があるのに結局活用されないということになってしまう。特に再生医療では数多くの特

⁴⁸ <https://www.ukrmp.org.uk/about-us/background/>

許が必要になるので、ロイヤリティが高くなり過ぎないようにライセンス契約交渉をサポートするなど、なるべく早期に介入している。

② ライセンスに関する取扱い

a. パテントプールに関するポリシー

先述の Director によれば、CGT-C としてパテントプール形成を主導したことは現時点でないが、将来的にはあり得ると考えている。また、パテントプール形成を業界に働き掛け・呼び掛けているものの、産業界のプレーヤーは製薬企業的なマインドセットのままでありパテントプール形成によるベネフィットを不可欠のものと考えておらず、全ての知財を自分のものとして他社とシェアしようとしめない状況であるという。再生医療業界においてはそうしたマインドセットを変え、よりエレクトロニクス業界に近いようなかたちにならなければ産業として発展しないと考えているとのこと。

b. クロスライセンスに関するポリシー

CGT-C としてクロスライセンスの締結を主導したことは現時点でないが、将来的にはあり得ると考えている。

c. FRAND 条件に関するポリシー

前述の通り、アクセスのしやすい、使いやすい知財にすることを念頭に活動している。

(5) 標準化戦略

先述の Director によれば、製造プロセスや品質管理についての標準化が必要と考えている。何らかの基準が無いとあまりに多様な製品が出来てきてしまい、治験などの際にも、被験者自体の多様性に加えて投与する薬剤にも多様性がある場合は正しい結果を測定できない、有効性を判定できない恐れがあるため。低分子医薬品ほどタイトでなくても良いが、製造プロセスはしっかりと標準を定めて管理する必要があるとのこと。

(6) ISO ほか各種標準化団体への参画状況

2019年3月現在、CIPA、IPREG、British Standards Institute committee BTI-1（再生医療等製品の製造プロセスに関する標準化を議論している ISO-TC276、同じく有効性評価技術や一般的要求事項等に関する標準化を担当する ISO TC 150/SC 7 に基づく英国内の組織）、Standards Coordinating Body (SCB) など国内外の団体に参画。

(7) 橋渡し研究における知財サポート活動の有無、内容

既述の Advice Clinic という取り組みの中でアカデミアに対し、前臨床の進め方や製造プロセス、GMP 準拠に関する助言と併せて知財に関するアドバイスをすることがある。

3. 個別トピック

(1) 具体的な知財に関する運営管理

先述の Director によれば、CGT-C としても保有する知財はあるとのこと。一方で 2. (4) ②などから、CGT-C 主導でパテントプール形成を進められるほどの知財ポートフォリオは有していないものと見られ、活動の中心は飽くまで産学のそれぞれのプレイヤーに対する知財の観点からのサポートであるものと見られる。

(2) 再生医療のバイオシミラーに関する扱い、ポリシー

2014 年に Cell Therapy Catapult (当時) が” Innovator cell therapies present barriers to the entry of copy versions regardless of patent protection” という記事を発行しており、「複雑な ATMP (Advanced Therapy Medical Products、先端治療製品) との生物学的同等性を実現できるかは未確認であり、おそらく不可能ではないかと言う EU 規制当局の幹部もいる。制度上はおそらく可能であるが、品質、前臨床及び臨床における生物学的同等性を示すために広範な開発行為が必要になるだろう」といった旨が記されている。⁴⁹

技術上の課題も多く、再生医療や細胞治療のバイオシミラー製品に関するそれ以上の議論は未だ欧州でなされていない模様。

(3) 最終製品の原価に占めるパテントフィーの割合

先述の Director によれば、個々の事例によりライセンス料率は異なってくるが、ライセンス交渉の際には 2 桁 (10% など) のライセンス料率を求められることが多いなか、再生医療の分野では多くのライセンスが必要なのでそのような料率にはなっていないという。再生医療業界では 1 つのライセンス契約あたりで 0.25~5% 程度が相場と見ているとのこと。

(4) その他、各団体における知的財産に関する議論のトピック、方向性等

特になし。

⁴⁹ https://ct.catapult.org.uk/sites/default/files/publication/Defensibility-strategies-for-cell-therapies_March-2014.pdf

III. 国内の関係者の声

海外団体の活動内容を踏まえ、日本の再生医療業界としてどのような取り組みが今後必要になるかという点について、我が国唯一の再生医療業界団体である FIRM と、民間企業である株式会社 iPS ポータルに意見を伺った。

ー 総論

再生医療においては一つの製品が成立するために培養や品質検査なども含む多数の特許が必要になり、その点が従来の製薬企業の考え方、感覚と大きく違うところである。但し現時点で特許に関する企業間のトラブルは一部を除き見られず、業界団体主導での知財ポリシー策定やパテントプール形成の必要性は定かではない。

再生医療においても大学発ベンチャーが増加している傾向にあり、知財化やライセンスなどの戦略策定サポートも含め、実用化・事業化を見据えた包括的な支援の必要性が高まっていると考えられる。

ー 各団体のヒアリング内容

1. FIRM（一般社団法人 再生医療イノベーションフォーラム）

(1) 再生医療業界における知財に関する課題

再生医療業界には製薬企業も多数参入しているが、従来の低分子医薬品では物質特許が知財戦略上圧倒的に重要であったのに対し、再生医療製品においては一つの製品が成立するために培養や品質検査なども含む多数の特許が必要になる。その点が従来の製薬企業の考え方、感覚と大きく違うところである。

(2) 現時点および今後の知財に関する取り組み

最終製品の開発・製造に必要な全ての知財を単独の企業でカバーすることは難しく、パテントプール形成などによる開発促進は有効な選択肢になり得ると考えられる。但し知財に関連してトラブルになった具体的な事例が未だあまりなく、そうした取り組みの必要性を検討している段階であり、実際に取り組みを進めるには少し時間を要している。

現時点では、ベンチャー創設支援フォーラムでの教育講演実施や関係者による知財関連の勉強会を開催している。

2. 株式会社 iPS ポータル

(1) 再生医療業界における知財に関する課題

まず再生医療業界における知財に関する問題点として、iPS 細胞関連特許と大学 TL0 の問題が挙げられた。

まず一つ目は、iPS 細胞樹立に関する山中特許と富士フィルム傘下の Cellular Dynamics

International (CDI) のフィーダーフリーの特許の対立がある⁵⁰ ⁵¹。フィーダーフリーの培養技術を、CDIの特許を回避しながら確立しようとしているところである。

二つ目は大学の TLO の問題がある。ある研究者が国の費用で開発したものについては大学側が特許ホルダーになる。研究者が開発成果を事業化しようとした際に、大学側が特許ホルダーとして多額のライセンスフィーを要求し、その交渉が難航することがよくある。起業する側はアップフロントの費用を押さえて成功したら払うといったかたちにしたがるが、大学の TLO は当面の業績のために一時金にこだわる傾向にある。

再生医療等製品の開発にあたり、ある企業が持っている知財が他社の製品開発の障壁になっているという話は、先の CDI 以外にはあまり聞いたことが無い。おそらく今後も、業界全体で一体の動きというよりは、個社ごとの戦略に基づき必要に応じてクロスライセンスなどが締結されていくかたちになるのではないかと感じる。また山中特許に代表されるような重要な特許、汎用性の高い特許は企業よりもアカデミアから生まれる可能性が高く、企業間の争いよりも TLO の問題の方が大きいように感じる。

(2) 再生医療の業界団体等に今後期待する取り組み

今後の取り組みとしては、PMDA と AMED との連携強化が必要になると考えている。大学発ベンチャーが増えてきているが、知財化戦略やライセンシング戦略が欠如しているがために失敗する例も少なくなく、そうした点へのサポートは意味があるだろう。また知財以外にも財務的なプランなども含めて、事業化・実用化に向けた一貫通貫の支援が必要ではないかと感じる。

⁵⁰ <https://www.nikkei.com/article/DGXMZ024330100W7A201C1000000/>

⁵¹ <https://www.nikkei.com/article/DGXMZ032113710S8A620C1TJM000/>

IV. 国外の関係者の声

再生医療製品の実用化が進んでいる米国の状況を把握するべく、同国で再生医療関連事業を展開する企業に対し、現地において生じている課題、求められている支援策などにつき意見を伺った。

(1) 現地の再生医療業界における知財戦略に関する課題

再生医療等製品の製造についてはプロセスに関する知的財産・ノウハウが重要であるが、製造に用いられる試薬・培地についても個別製品ごとにカスタムされることが一般的である。このカスタム製品はユーザーごとに調製されるものであり、他社からの特許訴訟の対象にはなりにくいものと考えられる。一般的には、販売中の製品について他社から特許訴訟を起こされる等のケースは想定されるが、オーダーメイドで試薬・培地を開発・提供していることもあり、現時点でそういったトラブル等は生じていない。

アメリカでライフサイエンスのベンチャービジネス起業の中心であるボストンは、ハーバード大学、マサチューセッツ工科大学などアメリカのなかでも特にアカデミアが集中しているエリアである。それらの研究機関で知財が発生してベンチャー企業が立ち上がり、ある程度開発が進んだところで製薬企業等が買い上げて製品化を目指すというケースが多いようである。そのためアカデミアとの交渉は日常的に行われているが、試薬・培地のカスタム調製に関しては、知的財産の観点での交渉が難航するといった話は耳にしない。そもそもオーダーメイドであるため、他社の知的財産の侵害が起きにくい。現在、再生医療等製品の製造における試薬・培地のカスタム製造の依頼はバイオ医薬品の培地開発と比較してそこまで多くはないが、今後増加する可能性は考えられる。

(2) 再生医療の業界団体等に今後期待する取り組み

既述の通り現時点では、知財に関する課題やトラブルを抱えている訳ではないため、業界団体等に期待する取り組みは特には無い。培地の開発等はほぼオーダーメイドで行っており、そういった部分についてはそもそも標準化が難しいのではないかと。

以上



禁 無 断 転 載

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

平成30年度

再生医療に関わる海外団体における知的財産戦略・知的財産マネジメントの現状調査
報告書

請負先 株式会社エヌ・ティ・ティ・データ経営研究所