



大学発創薬ベンチャー スタートアップ・ガイド

(第1版)

国立研究開発法人日本医療研究開発機構
創薬エコシステム推進事業部

目次

はじめに	- 1 -
ガイドブックの対象者	- 2 -
ガイドブックの使い方	- 2 -
本ガイドブックによく使われている用語	- 4 -
大学発創薬ベンチャー設立 CHECK リスト	- 6 -
STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する	1
CHECK① 大学発ベンチャーの意義を知る	2
CHECK② 大学発ベンチャーの仕組みと関わり方を知る	7
CHECK③ 「創薬」分野のベンチャー企業の特殊性を理解する	16
STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる	23
CHECK① 創薬の専門家に相談する	24
CHECK② 「ニーズ」と「強み」のある医薬品のコンセプトをつくる	26
CHECK③ エビデンスとなるデータを取得する	31
STEP 3 投資家の支援を受ける	34
CHECK① 投資家の機能・役割を理解する	35
CHECK② VC と対話する	37
CHECK③ VC から出資・支援の提案を受け、協議する	38
CHECK④ 投資関連契約を締結する	42
CHECK⑤ ベンチャー企業（株式会社）を設立する	44
STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える	51
CHECK① 医薬品にとってなぜ特許が重要か理解する	52
CHECK② 複数の特許による医薬品保護のイメージを理解する	53
CHECK③ 特許出願は常に早い方が良いとも限らない	61
CHECK④ 特許ポートフォリオの構築を意識した出願を考える	65
CHECK⑤ 出願する国・地域を選ぶ	91
CHECK⑥ 投資家目線で見た知財戦略も意識しておく	92
STEP 5 大学との技術移転契約を締結する	93
CHECK① ベンチャーを巡る知財の権利関係の全体像を理解する	94
CHECK② 大学と技術移転のための契約を締結する	98
STEP 6 大学の兼業・利益相反手続を済ませる	111
CHECK① 兼業許可を得る	112
CHECK② 利益相反マネジメントに関する手続を完了する	113
参考資料編	117

はじめに

本書は、研究者の方が、ベンチャーキャピタル等の支援者とともに、大学におけるご自身の研究成果を活用し、医薬品等の開発を行い、あるいは医薬品等の開発に資する革新的な技術の開発を行う会社（「創薬ベンチャー」）を設立するためのガイドブックです。

現在、新しい医薬品を作り出す、いわゆる「創薬」の業界では、「創薬ベンチャー」が、特に医薬品開発の初期～中期のステージを担う存在として、重要な役割を担っています。

古くは、医薬品開発を行う事業者はもっぱら製薬企業であり、大学や研究者は、製薬企業との共同研究やライセンスという形で、その研究成果を製薬企業に提供することで、医薬品開発に貢献してきました。しかし、近時では、製薬企業は、自社での研究開発による創薬のみならず、パイプラインの源泉を外部（創薬ベンチャーなど）にも求めるようになってきました。このような背景のもと、現在、創薬の分野では、製薬企業出身の開発担当者や大学等の研究機関の研究者などが立ち上げた「創薬ベンチャー」が、医薬品の開発を推進するプレーヤーとして重要なポジションを担うようになってきました。

創薬ベンチャーといつても様々なケースがありますが、中でも、大学における研究成果を用いた創薬ベンチャー（「大学発創薬ベンチャー」）は、創薬分野において欠かすことができない存在です。もっとも、どれだけ優れた医薬品の種となり得る研究成果が存在しても、その研究を行った研究者の方にベンチャー企業設立の意向・関心がなければ、創薬ベンチャーは発足されません。また、「研究者によるベンチャー企業設立」というと、研究者が企業経営に専念しなければならないというイメージがあるかもしれません、ベンチャーキャピタル等の経営人材がその事業経営を担い、研究者の方は、大学での研究活動を続けながら、サイエンス・技術の部分で創薬ベンチャーをサポートする、という在り方も十分にあり得るものであり、このようなベンチャー企業設立に対する不理解も、大学発創薬ベンチャー設立のハードルになっているように見受けられます。

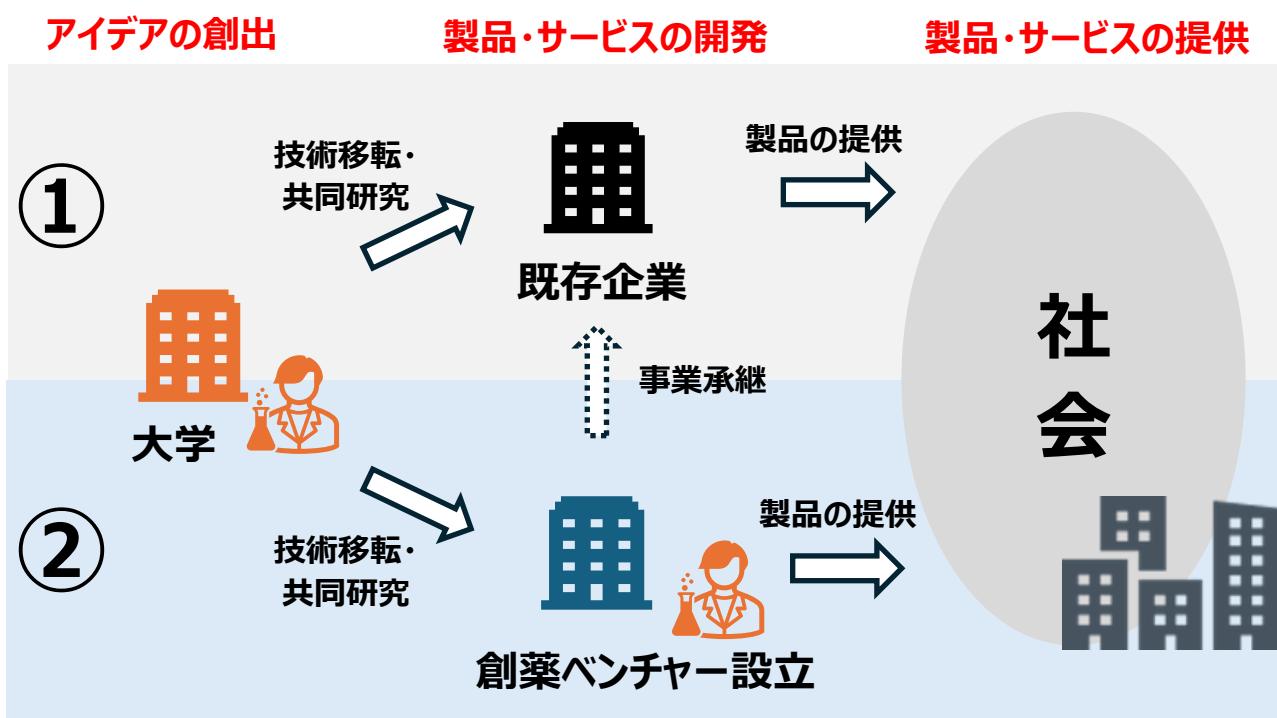
こうした背景の下で、当機構では、研究者の方を対象として、創薬ベンチャーを設立する意義やノウハウをご理解いただくために、「大学の研究者が、ベンチャーキャピタルとともに、自身の研究成果を用いた医薬品開発を行うための創薬ベンチャーを設立する」ケースをモデルケースとしたベンチャー企業の設立ガイドブックを策定しました。

本ガイドブックを活用して、数多くの研究者の皆様の素晴らしい研究成果が医薬品開発に繋がっていくことを期待しています。

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
創薬エコシステム推進事業部

ガイドブックの対象者

このガイドブックの対象者は、「創薬分野において、自身の研究成果を社会に実装したい」という想いを持つ大学の研究者の方々です。大学の研究成果が社会に実装されるルートは、大きく分けると、①大学が、既存企業に対する技術移転や共同研究を行い、既存企業が製品・サービスを開発して社会に提供していくルートと、②大学の研究者がベンチャー企業を設立して、ベンチャー企業が製品・サービスを開発して、自ら社会に提供する（あるいは、既存企業に事業を承継する）という2つのルートが挙げられます。このガイドブックは、大学の研究者の方々が、創薬の分野において、自身の研究成果を社会に還元するために②創薬ベンチャーを設立するという選択をされたケースを対象とする、創薬ベンチャー設立ガイドです。



ガイドブックの使い方

このガイドブックでは、「大学の研究者が、ベンチャーキャピタルからの投資・ハンズオン支援を受けて、自身の研究成果を用いた医薬品開発を行うための創薬ベンチャーを設立する」というモデルケースを対象として、研究者が創薬ベンチャーを適切に設立するにあたって行うべき事項を、6つのSTEPに分けて、CHECKリスト形式でマニュアル化したガイドブックです。

ベンチャー企業設立の方法は様々であり、必ずしもこの進め方が絶対というわけではないことにはご留意いただきつつ、次ページのフローチャートに従い、各STEPに記載のCHECK項目を実践することで、創薬ベンチャー設立を進めましょう。

なお、本ガイドブックにおける「大学」は、原則として、国立大学法人、公立大学、私立大学等の学校法人を指していますが、国立試験研究機関、公設試験研究機関、独立行政法人等の公的研究機関も含みます。ただし、本ガイドブック中の記載は、全ての公的研究機関における知的財産権の取扱等を網羅したものではないため、各研究機関の実際の取扱を踏まえ、適宜、記載を読み替えて下さい。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

まずは、創薬ベンチャー設立の仕組み、メリット・デメリット、ベンチャー企業経営への関わり方や、社会的意義を理解し、ご自身の研究者としてのライフスタイルに併せた、創薬ベンチャーの設立の在り方をイメージ、デザインしましょう。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

次に、創薬ベンチャーの「製品」となる医薬品のコンセプト（自身の研究成果を用いて、どのような医薬品ができるか）を、公的機関や外部支援者の補助金や支援を受け、あるいは、製薬企業や投資家とコミュニケーションを取りながら、作り上げていきましょう。また、そのコンセプトについて、ベンチャーキャピタルからの投資判断を得るためのエビデンスとなるデータを取得しましょう。

STEP 3 投資家の支援を受ける

創薬に強いベンチャーキャピタルにアクセスして、自身の研究成果と医薬品のコンセプトやエビデンスとなるデータを示して、出資及びハンズオン支援（経営人材の提供等）の提案を獲得しましょう。

具体的に話が進んだ場合、事業計画や、出資額、自身のライフスタイルに照らした創薬ベンチャー設立の在り方・開発事業経営への関わり方を検討した上で、納得のいく条件で投資関連契約を締結しましょう。

STEP 6 大学の兼業・利益相反手続 を済ませる

VCとの協議交渉の結果、創薬ベンチャー設立が現実的となってきたら、並行して、大学において求められる創薬ベンチャー設立についての兼業許可や利益相反手続を実施しましょう。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

創薬ベンチャーの創薬事業の基礎となる技術を大学が保有している場合、創薬ベンチャーを立ち上げた後に、創薬ベンチャーは、大学からの技術導入を受ける必要があります。

創薬ベンチャー設立が現実的となってきたら、大学と創薬ベンチャーの間で Win-Win のライセンス契約を結ぶためのポイントも理解し、大学と協議して、創薬ベンチャー設立後に適切な条件で技術移転契約（ライセンス契約など）を締結しましょう。

創薬ベンチャー設立

大学発創薬ベンチャー 設立 CHECK リスト 活用フロー（イメージ）

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

医薬品の開発を進めるには、資金が必要ですが、費用を回収できる見通しがなければ「事業」として成り立たず、必要な資金を集められません。医薬品特許は、原則 20 年（最大 5 年延長可能）競合の参入を防ぐことができ、利益回収の鍵となります。そのため、「長期的に競合を排除できる特許網が構築できそうだ」と投資家に評価されることが、資金調達時の評価や、契約交渉力に直結します。

製品コンセプトを考えるときは、開発で得られる成果をいつ・どのように特許出願すれば、効果的な特許網が作れるかも意識しましょう。先に出した出願内容によって次の成果の権利化に必要な新規性・進歩性が損なわれてしまう場合もあるので、専門家（弁理士）と相談して先を見据えた出願戦略を定めることが大切です。

本ガイドブックによく使われている用語

「ベンチャー企業」（単に「ベンチャー」ともいいます。）：

従前に存在しない革新的な技術開発や製品開発を行う小規模の企業をいいます。※

「大学発ベンチャー」：

ベンチャー企業のうち、大学における研究成果を実用化する革新的な技術開発を行う会社をいいます。

「創薬ベンチャー」：

ベンチャー企業のうち、医薬品等の開発に資する革新的な技術開発を行う会社をいいます。

「大学発創薬ベンチャー」：

大学における研究成果を用いた創薬ベンチャーをいいます。

「CRO」：

Contract Research Organization（開発業務受託機関）の略語、医薬品等の開発関連業務の支援、代行をする企業をいいます。

「CMO」：

Contract Manufacturing Organization（製造業務受託機関）の略語、医薬品等の製造業務の受託、代行をする企業をいいます。

「CDMO」：

Contract Development and Manufacturing Organization（製剤開発・製造業務受託機関）の略語、製剤の製造業務の受託、代行に加えて、製剤の製造方法の開発業務の受託も行う企業をいいます。

「ベンチャーキャピタル（VC）」：

ベンチャー企業など、将来成長が見込める未上場の企業に出資し、その企業の株式を取得し、将来的にその企業が株式を公開（上場）やM&Aを受けた際に、株式を売却し、株式の値上がり益の獲得を目的とする投資会社や投資ファンドのことをいいます。本ガイド中では「VC」ともいいます。

「ハンズオン支援」：

VCなどが出資先のベンチャー企業の経営に直接参画することによって、ベンチャー企業の経営支援や開発・技術・薬事の観点からの支援をする手法をいいます。具体的には、ベンチャー企業に経営やその事業分野の専門知識を有する役員や人員を派遣したり、経営に関するアドバイスやネットワークを紹介したりすることが支援の内容として挙げられます。

「Exit」：

ベンチャー企業の設立者やベンチャー企業に出資したベンチャーキャピタルが、そのベンチャー企業の株式の売却により利益（キャピタルゲイン）を得る方法をいいます。「出口戦略」とも呼ばれます。ベンチャー企業のExitの方法としては、IPO（新規株式公開）やM&A（企業買収）などが挙げられます。

「モダリティ」：

医薬品に用いられている基盤技術の方法や手段の分類を表します。具体例としては、低分子医薬、核酸医薬、抗体医薬、細胞医薬、タンパク医薬などが挙げられます。

* 「ベンチャー企業」、「ベンチャー」の用語の定義は、様々なものが存在しますが、本ガイドにおいては、当機構が実施する創薬ベンチャーエコシステム強化事業の公募要領に定義する「創薬ベンチャー」の定義によっています。

「創薬シーズ」（単に「シーズ」ともいいます。）：

広い意味では、新規の医薬品や再生医療等製品の創出につながるような物質（低分子化合物、タンパク質、核酸、細胞など）、薬物標的、新規技術、新規のアイデアなどをいいます。医薬品候補となる物質（低分子化合物やバイオ医薬品候補品）を示す用語として使用される場合もあります。

「バイオシミラー」：

抗体医薬品などのタンパク質を有効成分とする医薬品（バイオ医薬品）を先発品とし、その先発バイオ医薬品と同等/同質の品質、安全性及び有効性を有する医薬品として、先発バイオ医薬品の製造販売業者とは異なる製造販売業者により開発され、製造販売されるバイオ医薬品をいいます。「バイオ後続品」とも呼ばれます。

「後発品」：

先発医薬品（新薬）の特許期間が満了した後に販売される、先発医薬品と同じ有効成分、同じ効能・効果を有する医薬品をいいます。「後発医薬品」や「ジェネリック医薬品」とも呼ばれます。

大学発創薬ベンチャー設立 CHECK リスト

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

- CHECK① 大学発ベンチャーの意義を知る 2 頁
- CHECK② 大学発ベンチャーの仕組みと関わり方を知る 7 頁
- CHECK③ 「創薬」分野のベンチャー企業の特殊性を理解する 16 頁

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

- CHECK① 創薬の専門家に相談する 24 頁
- CHECK② 「ニーズ」と「強み」のある医薬品のコンセプトをつくる 26 頁
- CHECK③ エビデンスとなるデータを取得する 31 頁

STEP 3 投資家の支援を受ける

- CHECK① 投資家の機能・役割を理解する 35 頁
- CHECK② VC と対話する 37 頁
- CHECK③ VC から出資・支援の提案を受け、協議する 38 頁
- CHECK④ 投資関連契約を締結する 42 頁
- CHECK⑤ ベンチャー企業（株式会社）を設立する 44 頁

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

- CHECK① 医薬品にとってなぜ特許が重要か理解する 52 頁
- CHECK② 複数の特許による医薬品保護のイメージを理解する 53 頁
- CHECK③ 特許出願は常に早い方が良いとも限らない 61 頁
- CHECK④ 特許ポートフォリオの構築を意識した出願を考える 65 頁
- CHECK⑤ 出願する国・地域を選ぶ 91 頁
- CHECK⑥ 投資家目線で見た知財戦略も意識しておく 92 頁

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

- CHECK① ベンチャーを巡る知財の権利関係の全体像を理解する 94 頁
- CHECK② 大学と技術移転のための契約を締結する 98 頁

STEP 6 大学の兼業・利益相反手続を済ませる

- CHECK① 兼業許可を得る 112 頁
- CHECK② 利益相反マネジメントに関する手続を完了する 113 頁

1

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

研究者が、大学での研究成果を実用化するベンチャー企業（大学発ベンチャー）を立ち上げるための第一歩は、自身で企業を設立することの意義、メリットやデメリット、ご自身の研究者としての生き方にどのような影響があるのかを、正しく理解することから始まります。

STEP 1 は、まず、研究者の方に、研究者として大学発ベンチャーに関わることの意義やメリットを知ってもらい（CHECK①）、次に、ベンチャー企業（株式会社）の仕組みや研究者としての関与の在り方が様々であることをご理解いただいた上で（CHECK②）、最後に、「創薬」分野のベンチャー企業（創薬ベンチャー）の特徴を把握していただき（CHECK③）、研究者の方が、ご自身の研究者としてのライフスタイルに合わせたベンチャー起業設立の在り方をイメージ、デザインできるようになることを目標とします。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

CHECK① 大学発ベンチャーの意義を知る



CHECK!

研究者の方にとって、自身の研究成果が社会実装されて社会生活をより豊かなものとしていくことが望ましいことであるとしても、そのために自身が「ベンチャー企業」の設立や運営に関与するとなると、「研究者である自分とは関係がないこと」、「そもそもイメージがわからない」といったお考えの方も多いのではないかでしょうか。

しかし、研究者が、大学において自身が行ってきた研究成果を活用する大学発ベンチャーの設立・運営に関与することは、「自身の研究成果が社会に実装される」という意義のほかにも、「研究費用の獲得につながる」、「大きな利益を得られる」といった意義・メリットが存在し、これらのメリットは、「研究者」としての研究活動の幅を大きく広げる可能性をもっています。

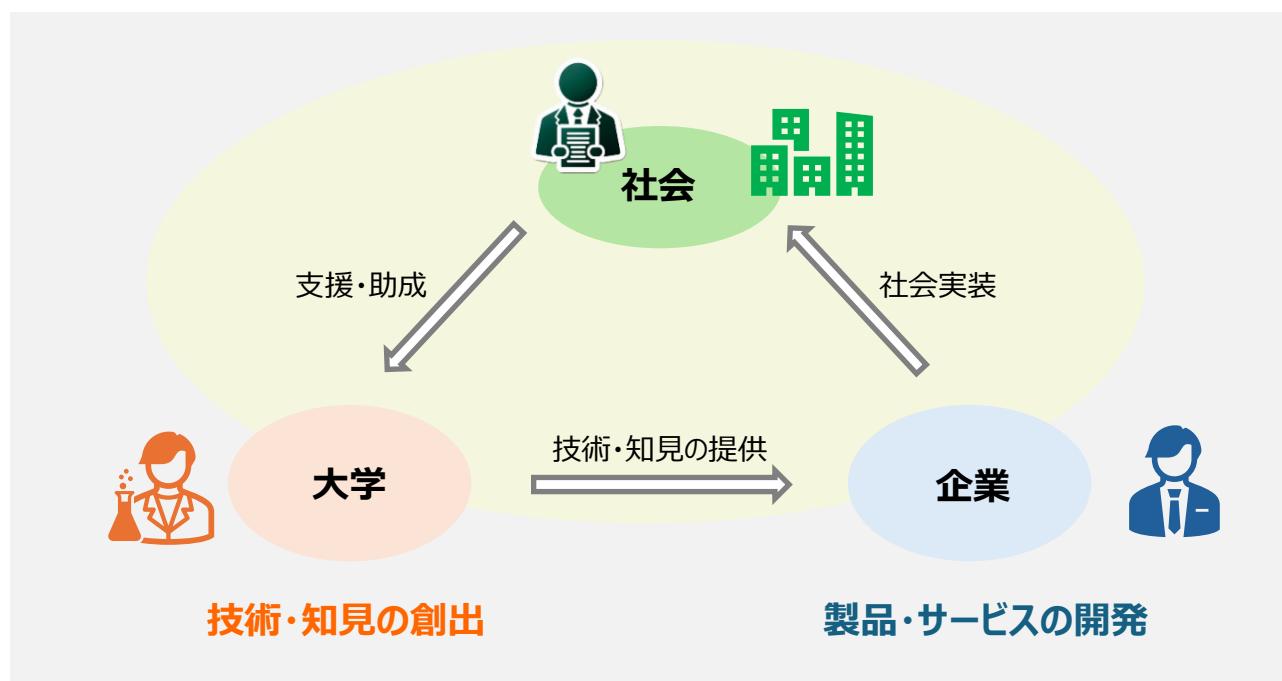
そこで、まずは、研究者にとっての大学発ベンチャーの意義・メリットを理解することから始めましょう。

(1) 「研究成果の社会実装」手段としての大学発ベンチャー

① 産学連携による研究成果の実用化

研究者は、これまでになかつた新たな発見、アイデアを生み出し、理論を育むことで、人類の科学の側面における「知」を向上させます。そして、産業界は、このアイデアや発見を製品やサービスの形に変えて、社会に実装します。どれだけ素晴らしい研究成果も、誰かが製品やサービスにして社会に提供しない限りは、社会生活に届くことはありません。

大学（学）が生み出した新たなアイデア・発見を、事業者（産）が製品・サービスに変えて社会に実装し、そこで生み出された利益が大学に還元され、新たなアイデア・発見に繋がっていく。このような連携関係が「産学連携」であり、この産学連携が噛み合って生み出す好循環が、社会にイノベーションをもたらし、社会をより良い方向に変革していきます。

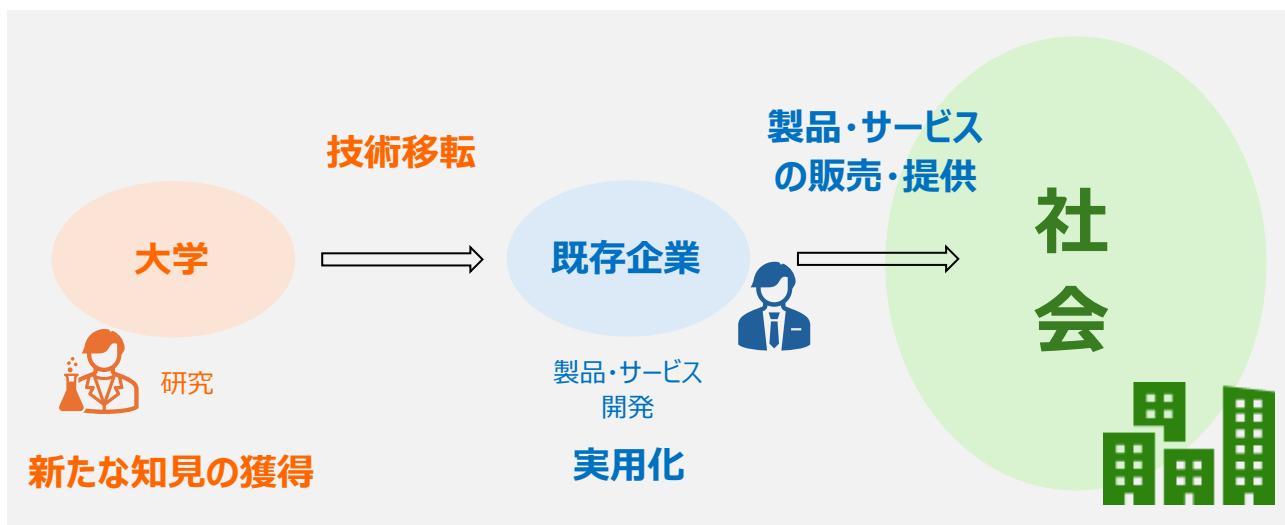


STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

② 既存企業主導の研究成果の実用化

大学において研究者が行った研究の成果を、製品・サービスの形にして社会に実装するためには、企業にその研究の成果が提供されなければなりません。この知見・技術の提供を技術移転といいます。

基本的に、大学に所属する研究者が生み出した技術や知見に関する権利は、通常、職務発明として大学に帰属します。ある研究者の研究成果を活用した製品やサービスを開発したい企業は、権利者である大学から、技術移転を受けなければなりません。つまり、既存企業が、自社のニーズに即した研究成果を発見し、その研究成果に関する権利をもつ大学から技術移転を受け、これを用いて製品やサービスを開発し、その製品・サービスを社会に販売、提供する、このような一連のプロセスを経て、大学の研究成果が社会実装されることになります。



但し、このプロセスは、既存の企業が、自社のニーズに合致する研究成果を発見し、その研究成果の権利を持つ大学等にその技術の提供を求めることがなければ、始まりません。大学における研究成果、特に基礎研究からの成果には、その発見・発明がどのような製品・サービスに繋がるかというイメージ・アイデアに至ることが難しいものも多くあります。このようなプロセスの下では、どれだけ素晴らしい製品やサービスを生み出すポテンシャルを持つ研究成果であっても、企業の目に止まらない限り、社会には実装されません。

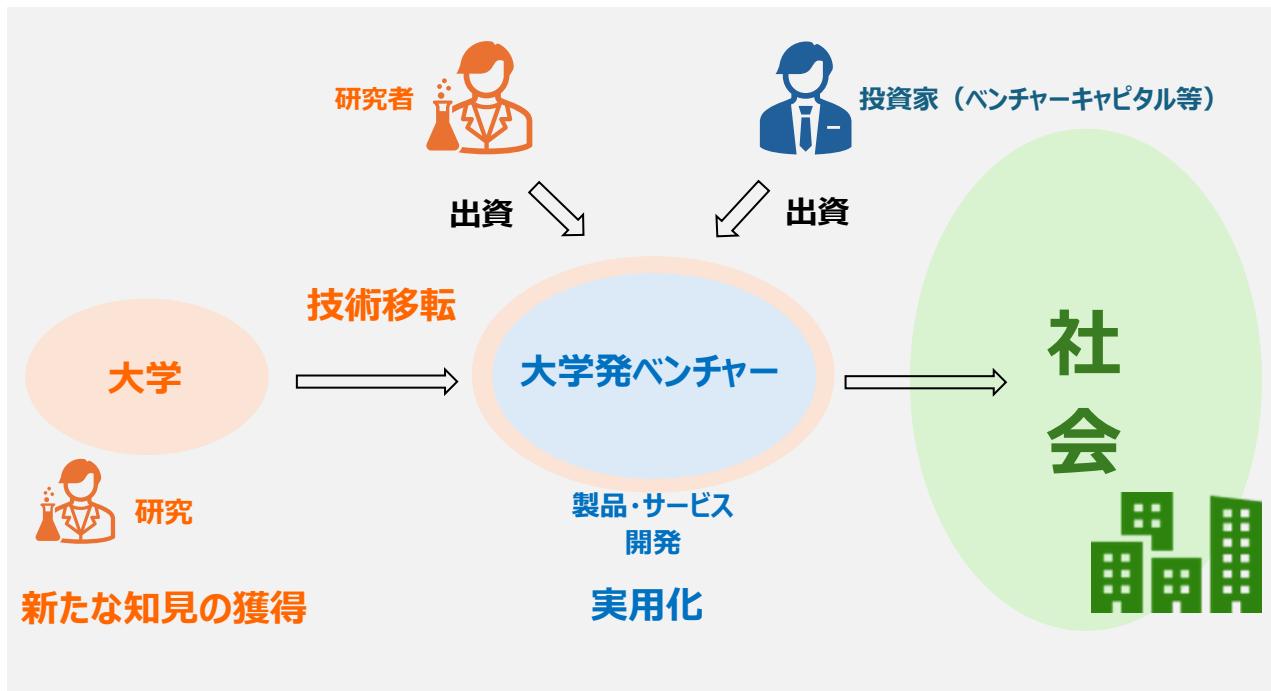


③ 大学発ベンチャーによる研究成果の実用化

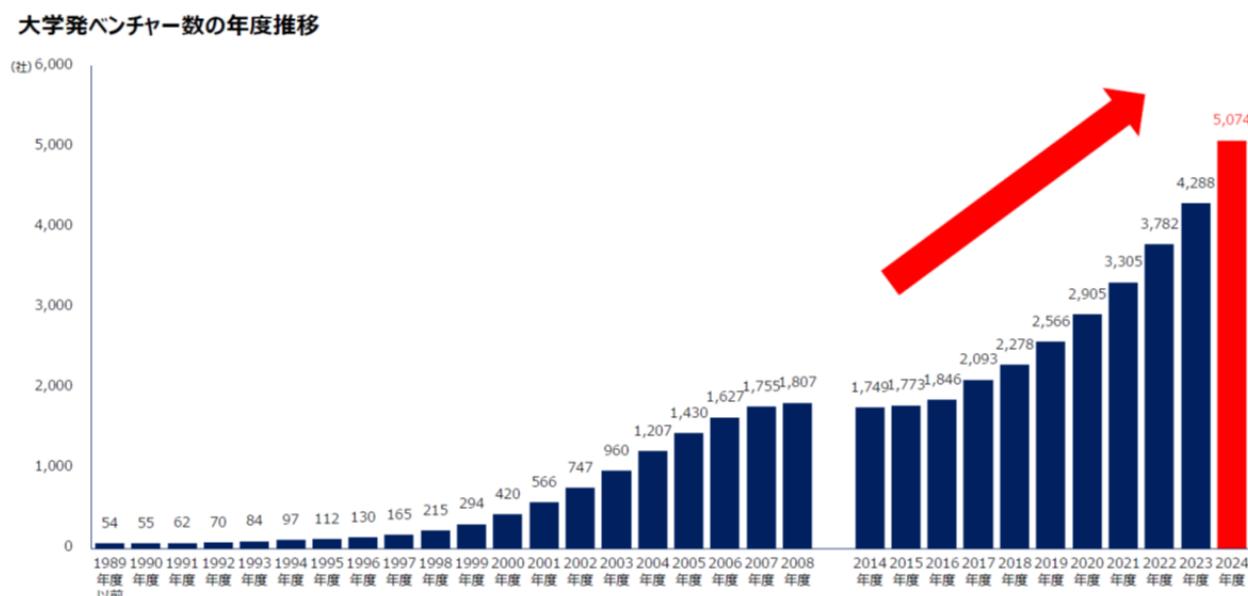
そこで、既存の企業の提案を待つという受け身な立場ではなく、より積極的・能動的に、研究者自身が社会実装を進める手法が、研究者自身が会社（ベンチャー企業）を立ち上げる方法です。

STEP 1 「大学発ベンチャー」を理解する

研究者が、自ら出資し、かつ、投資家等の出資や経営支援を受けて会社（ベンチャー企業）を設立し、そのベンチャー企業において、大学における自らの研究成果を用いた新たな製品・サービスを開発して販売、提供して、社会に実装する、これが、いわゆる「大学発ベンチャー」の一つのかたちです。このような「大学発ベンチャー」の下で、研究者は、自ら主体的に自身の研究成果を事業化（実用化）することができ、事業主体としてのリスクを負う分、事業収益という大きなリターンを得ることができます。



大学発ベンチャーは、大学による革新的な研究成果をもって社会にイノベーションをもたらす担い手として大きく期待されています。年々増加傾向にあり、2024年10月末時点で5,074社の大学発ベンチャーが設立されています（経済産業省の調査）。



※経済産業省令和6年度産業技術調査事業「大学発ベンチャーの実態等に関する調査」より引用

大学発ベンチャーには、既存企業のニーズを前提とせずに、研究者の方が、より積極的・主体的に自身の研究成果の社会実装を推進する手段としての意義があり、大きな期待を寄せられています。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

(2) 大学発ベンチャーによる「研究費用の調達」という側面

また、研究者にとって、ベンチャー企業の設立には、実用化を目的とした研究費の獲得手段という側面もあります。

大学において研究者が行う研究は、主として、大学からの研究費と、公的機関（AMED、JST、NEDO等）からの大学や公的研究機関向けの補助金により行われます。しかし、これらの研究費や補助金は当然ながら有限であり、これらに基づく研究費用が尽きれば、研究を継続することはできません。

もっとも、視点を変えて、「実用化」に繋がる研究であれば、獲得できる研究費用があります。

すなわち、後述のとおり、大学発ベンチャー企業は、研究成果を活用した製品開発の過程で必要となる研究費用を、ベンチャーキャピタル等の投資家からの「出資」という方法で調達します。もちろん、この投資家からの調達資金は、あくまでベンチャー企業の事業活動のため＝医薬品開発のための研究・開発費用として投資家がリスクを負ってベンチャー企業に投資したものであるため、研究者が、投資家（株主）の意向に反して医薬品の研究・開発目的以外の研究目的に用いることができるものではありません。しかしながら、研究成果の実用化を目指した医薬品の研究・開発目的の研究であっても、その結果として新たな技術や知見の発見に繋がる可能性があり、翻って当初の研究成果を生み出した研究自体を促進・発展させる側面を有しています。

また、公的機関による補助金の中には、ベンチャー企業向けの補助金も多数存在します。そのため、大学での研究という形では補助金が得られないケースでも、その研究を実用化するためのベンチャー企業を設立すれば、ベンチャー企業として補助金を獲得することが可能なケースも存在します。

このように、研究者が、自身の研究について「実用化」に目を向けること、そのためのベンチャー企業を設立することには、投資家（ベンチャーキャピタル等）や公的機関からの出資、補助金という形態での研究費用の獲得と、これによる研究活動の継続に繋がる側面が存在しています。これらも研究者によるベンチャー企業設立の意義、メリットということができます。



STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

(3)「利益の獲得」手段としての大学発ベンチャー

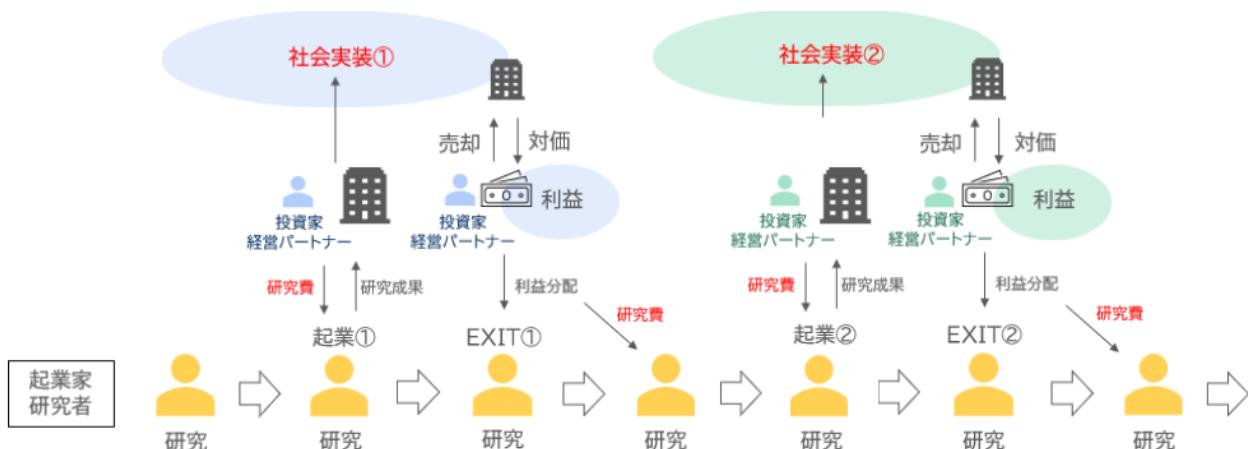
さらに、詳しくは次の「CHECK② 大学発ベンチャーの仕組みと関わり方を知ろう」で述べますが、大学発ベンチャーの成功は、その大学発ベンチャーに出資していた研究者自身（個人）にも大きな利益を生み出します。研究者が生み出した研究成果が社会に付加価値（利益）を与え、その付加価値（利益）の一部が研究者個人に還元されることは当然であり、研究者は、その利益を元に、新たな研究活動を続けることも可能になります。

(4) CHECK①まとめ（大学発ベンチャーの意義）

研究者が、大学で研究活動を継続しながら、信頼できる投資家（VCなど）や経営パートナーとともにベンチャー企業を設立し、自身が生み出した新たな技術や知見（研究成果）を製品・サービスに変え、社会に実装すること。そして、Exitとして、ベンチャー企業の株式を売却して利益を得て、その利益を研究費として、また新たな技術・知見を獲得し、これをまた社会に実装するためのベンチャー企業を立ち上げ、次の社会実装につなげていくこと。

このような研究者による新たな研究成果の獲得とその社会実装の連鎖を促進、発展させることに大学発ベンチャーの意義があるといえます。

当然ながら、研究には資金が必要ですが、大学の研究費用は限られています。一方、「実用化」を前提とした公的助成金（競争的資金）が増加していますが、その獲得も容易ではありません。こうした状況において、積極的、継続的にベンチャー企業を立ち上げ、「実用化」目的での投資家の出資や公的補助金の獲得、事業売却による利益といった方法で研究費を獲得しながら、次の研究の発展と社会実装を促進していく研究者の在り方こそが、この時代に求められる研究者像といえるかもしれません。



STEP 1 「大学発ベンチャー」を理解する

CHECK② 大学発ベンチャーの仕組みと関わり方を知る



CHECK!

研究者にとっての大学発ベンチャーの意義・メリットを理解し、興味・関心をもつたら、次は、株式会社の設立と運営の仕組みの基本を理解し、自身がどのような関わり方をするべきであるかを検討し、デザインできるようになります。

「研究者によるベンチャー企業設立」と聞くと、「大学での研究活動をやめて企業経営に専念する」イメージを持ち、敬遠されてしまう研究者の方も多くいるかもしれません。しかし、研究者による大学発ベンチャーへの関わり方は様々であり、研究者の方が、会社設立時の資金出資とサイエンスの知見の提供のみを行い、具体的なベンチャー企業の経営にまでは携わらずに大学での研究活動を継続する、という関わり方をする事例も多く存在します。

この CHECK②で、「研究者によるベンチャー企業の設立」とは具体的に何を意味するのか、最も代表的な法人形態である株式会社を事例としてみていきましょう。

(1) ベンチャー／研究者個人と大学の立場の違いを理解する

① 大学法人と株式会社

「大学発ベンチャー」というと、あたかも大学の機関であるかのような印象を持つ方もいますが、大学とベンチャー企業はそれぞれ独立した別の法人です。そのため、研究者の方が、大学発ベンチャーを設立する／設立に関与するということは、原則として、大学外の個人的な活動として行う事業を意味することをまず理解しましょう。

例えば、A 大学に所属する研究者（雇用）の X 先生は、大変なグルメであり、その食に対する知識を買われて学外の友人から共同で飲食事業の起業話を持ち掛けられた事例を想定します。X 先生と友人との協議の結果、それぞれ 500 万円を出資して飲食事業を営む B 株式会社というベンチャー企業を設立し、かつ、X 先生はその会社の社外取締役として月額 10 万円の役員報酬で不定期に外食に関するアドバイスを提供するといった形態で B 株式会社の事業に関与することになりました。これを法律的に整理すると次のようになります。B 株式会社と A 大学法人との間には特定の関係はありません。この場合、X 先生は、A 大学の研究者の仕事とは別に、A 大学の外部で B 株式会社の事業にも関与しているという状況になります。A 大学の X 先生の関与があるとしても、B 株式会社の事業が A 大学の事業になるわけではありません（なお、A 大学側から見れば B 株式会社への X 先生の関与は「兼業」の開始ですので、STEP6 のとおり、X 先生は A 大学の兼業許可が必要になります。）。



STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

創薬ベンチャーの設立も、基本はこれと同じです。例えば、X 先生の大学における研究成果を見て、医薬品事業化の見込みがあると判断したベンチャーキャピタルが、創薬ベンチャーの設立を X 先生に持ち掛けたとします。そして、X 先生とベンチャーキャピタルの協議の結果、X 先生が 500 万円を出資してその研究成果を活用した医薬品開発事業を営む C 株式会社というベンチャー企業を設立し、X 先生はその会社の社外取締役として月額 10 万円の役員報酬で不定期にサイエンスに関するアドバイスを C 株式会社に提供することになりました。これを法律的に整理すると次のとおりになります。法律的に整理した X 先生と C 株式会社と A 大学との関係は、上記の飲食ベンチャーの事例と同じ構造です。



このように、研究者が大学での研究成果を活用したベンチャー企業を立ち上げるということは、大学での研究活動とは異なる、別の個人的な活動である、ということをまずはしっかりと認識しましょう。

② 大学における研究成果は誰のもの？

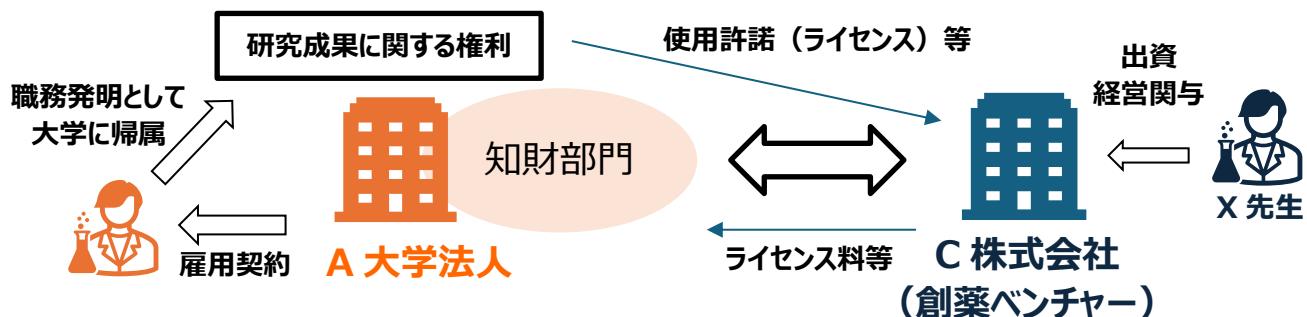
とはいって、「大学の研究成果を活用する」以上は、大学と無関係というわけではありません。

上記の事例では、創薬ベンチャーである C 株式会社は、X 先生の A 大学における研究成果を利用することになります。では、A 大学において X 先生が職員として研究を続けてきた研究成果は、誰のものなのでしょうか？ X 先生のものであるとすれば、X 先生が独断で C 株式会社にその研究成果を譲渡したり、ライセンスする（使わせる）こともできますが、A 大学のものであるとすれば C 株式会社は X 先生ではなく A 大学からその研究成果の譲渡を受けたり、またはライセンスを受ける必要が生じてきます。

この点について、研究者である X 先生の研究成果だと考える研究者の方も多いと思います。もちろん、サイエンスの分野において、その論文に記載された発見が研究者の成果であることには疑いの余地はないでしょう。しかし、法律上の権利という意味では、大学の研究成果に関する権利は大学のものであることが通常です。つまり、一般的には、大学や企業では「職務発明規程」のような職員の職務上の発明に関する知的財産権は、（相応の対価を支払った上で）大学に帰属する旨を定めており、これにより、研究者が大学の職務として行ってきた研究成果について特許権が発生する場合、その特許権は大学に帰属することになります。したがって、上記の事例では、A 大学における X 先生の研究成果について特許権が発生する場合、その特許権を持つのは X 先生ではなく A 大学になります。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

そのため、C 株式会社は、たとえ X 先生が投資して立ち上げたベンチャー企業であっても、A 大学が保有する X 先生の研究成果を使用するためには、外部の企業として A 大学と契約交渉し、A 大学とライセンス契約などを結んで、一定のライセンス料を支払って大学からその研究成果の使用許諾等を受ける必要があります。



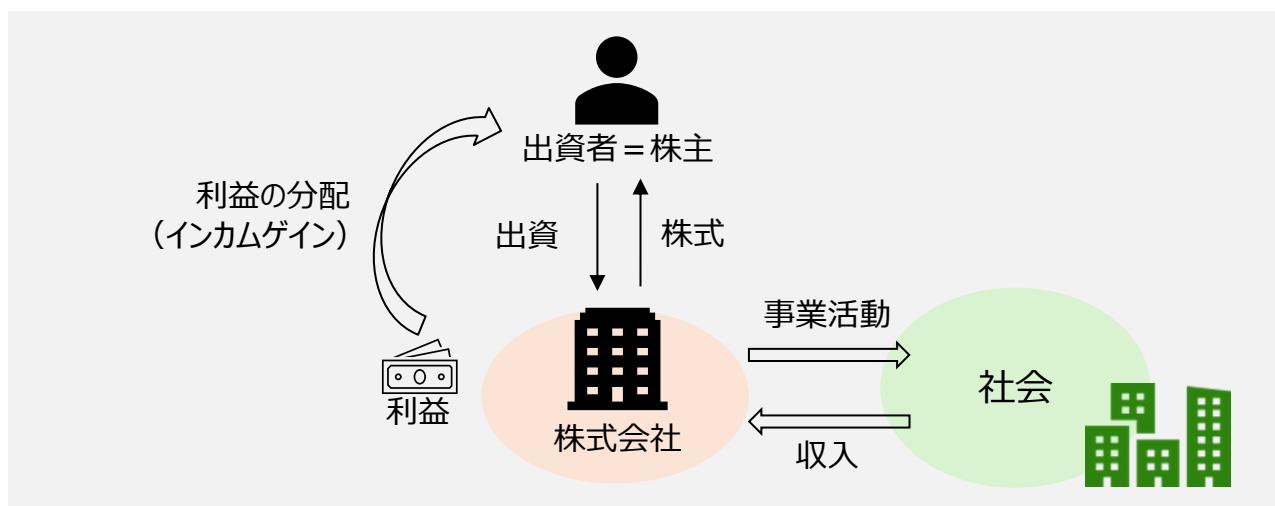
大学では、产学連携部門によるベンチャー企業設立支援なども行っていますので、研究者の立場からは混乱されるかもしれません、「研究者が立ち上げたベンチャー企業が大学の研究成果を使用する」という場面では、上記の図のとおり、研究成果に関する権利を持つ大学と、その権利を使用する創薬ベンチャーとは、それぞれ独立した事業者としてライセンス等の交渉を行う対等な取引関係に立ちます。

つまり、研究者の研究成果であるからといって当然にその研究成果を、研究者の立ち上げたベンチャー企業が無償で使用できるというわけではなく、大学の知財部門等との交渉を経て、費用を支払って研究成果の使用について、大学からライセンスを受ける必要がある、ということは正しく理解しておきましょう。この点は、STEP4 で詳述していますので、ご参照ください。

(2) 株式会社の「出資」と「経営」を理解する

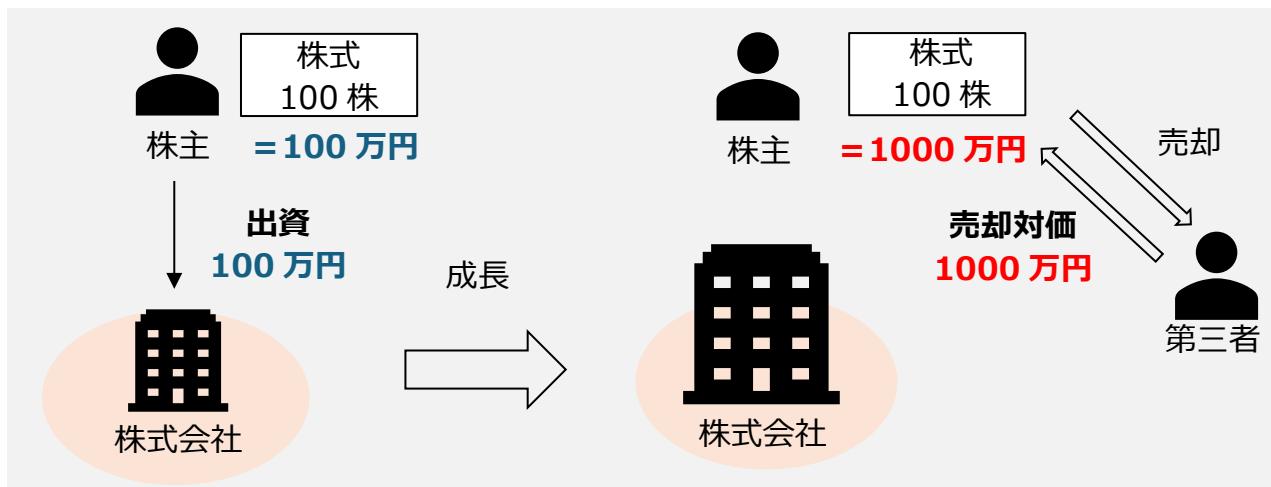
① 株式会社に対する「出資」

次は、「株式会社」について理解ていきましょう。ベンチャー企業の多くは「株式会社」という企業形態で設立されます。株式会社とは、一定の事業を行うための資金を「出資」という形で集めて、その資金を用いて事業を運営し、得られた利益を出資者に分配するための法人です。株式会社に対して出資を行った者は、会社から「株式」の発行を受けて「株主」となります。株主は、会社の所有者（オーナー）であり、その会社が事業活動により得た利益の分配（剰余金の配当、インカムゲイン）を得ることができます。



STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

株主が持つ株式の価値は、その会社の価値ですので、会社が成長してその価値があがれば株式価値も向上します。例えば、設立当初に 100 万円を出資して 100 株を取得した場合、その時点の株式の価値は 1 株あたり 1 万円です。その後、その会社が成長して企業価値が向上し、株価が 10 倍（1 株あたり 10 万円）になった場合、その株主が持つ 100 株の価値は 1000 万円となります。株主は、その株式を 1000 万円で第三者に売却すれば、100 万円の出資に対して 1000 万円の売却対価を取得していますので、900 万円の利益（売却益）を得たことになります。このような株式の売却による利益を「キャピタルゲイン」といいます。

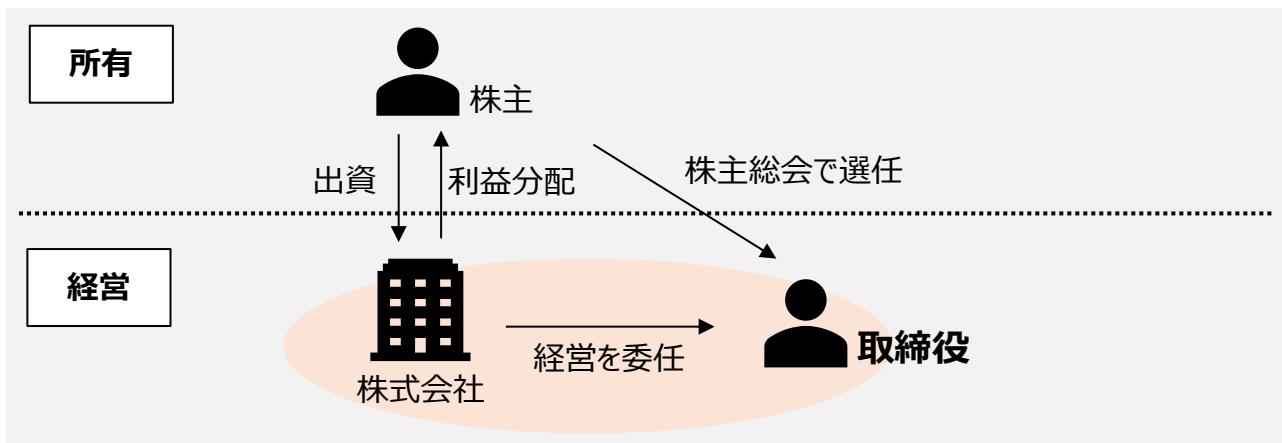


逆に、会社事業が失敗しその価値が下落すれば、株式価値も下落し、時には価値が 0 円となってしまうこともあります。しかしながら、株式会社に対する出資は有限責任であり、株主は、株式会社がいかに負債を負うことになったとしても、出資した金額以上の責任を負いません。

② 株式会社の「経営」

では、株主が会社の経営に直接関与するかというと、そうではありません。株式会社においては「所有」と「経営」が分離しており、株式会社の株主（所有者）であること = 株式会社の経営者（取締役）であることを意味しないのです。

株主は、自身が出資して立ち上げた株式会社につき、その経営を担う取締役を選任し、事業経営を委任します。この取締役がいわゆる経営者であり、株式会社から役員報酬を得て、株主の利益のために経営責任を負って、会社の経営業務を執行します。

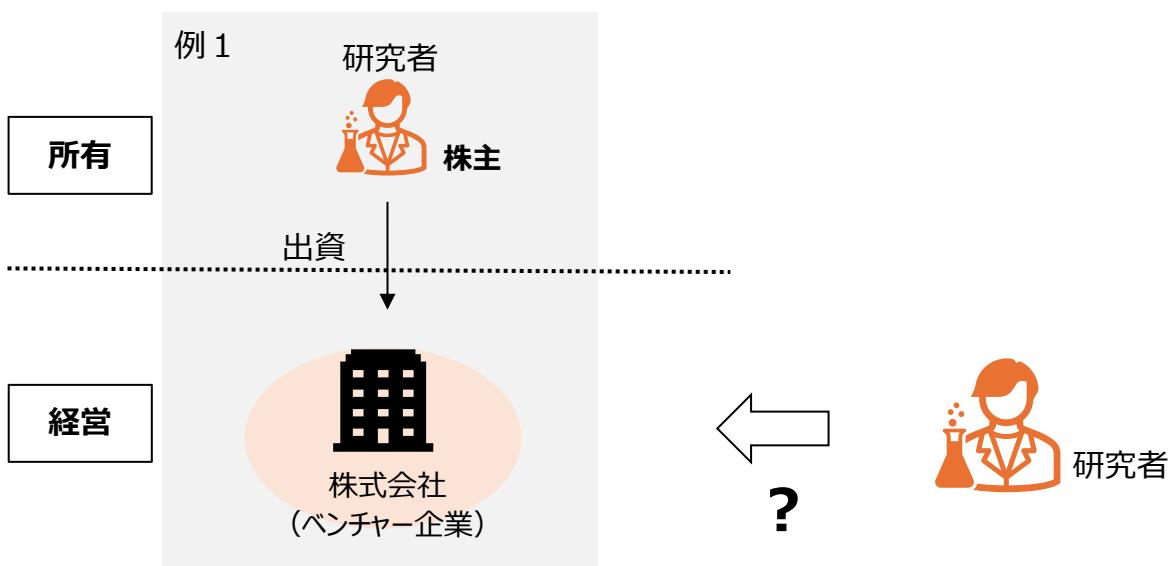


STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

(3) 研究者によるベンチャー企業の設立と関わり方

このように、株式会社であるベンチャー企業の「所有」と「経営」は、①資金を出資してその利益を得るオーナーである「株主」と、②株主から経営を任されて株主の利益のために会社の事業を経営する「取締役（経営者）」により構成されています。

ここでは、「研究者によるベンチャー企業の設立」を、「研究者が一定金額を出資して株式会社（ベンチャー企業）を設立すること」と定義した上で、研究者が、自ら出資して立ち上げた株式会社（ベンチャー企業）の「経営」にどのように関わるかを見ていきましょう。



なお、研究者の研究を活用した創薬ベンチャーであるからといって、研究者自身が出資することが必須というわけではありません。本ガイドブックでは、説明の便宜上、研究者による出資がなされることを前提にはしていますが、研究者が「出資しない」という選択肢ももちろんありますので、出資の有無については、個々の事案の具体的な事実関係に沿って検討してください。

① 「創薬」事業経営のプロフェッショナルが経営者となるべき

「研究者が創薬ベンチャーの経営者になる必要があるのか？」という質問を受けることがあります、そのようなことはありません。

一概には言えませんが、創薬分野に関しては、適切な経営人材にベンチャー企業の経営は任せて、研究者は経営には関与せずに、大学での研究を続けながら、必要に応じて創薬ベンチャーにサイエンスの技術や知見、アドバイスを提供するという立場で事業に関与する体制の方が望ましいことが多いでしょう。

まず念頭に置く必要があるのは、創薬ベンチャーの経営者は「創薬」事業経営のプロフェッショナルである必要がある、ということです。

ベンチャー企業の経営者には、当然ながら経営戦略、資金調達等の経営スキルが必要であり、また、一般的には、フルタイムで経営に専念することも求められます。さらに、特に創薬分野では、①市場性も踏まえた医薬品のコンセプトの確立、②Exitまでの事業計画の立案、③VC等からの資金調達、④公的機関からの補助金獲得、⑤CROへの試験委託ノウハウ、⑥CMO/CDMOへの医薬品製造方法開発・製造委託、⑦知財戦略の検討及び実行、⑧薬事戦略の検討及び実行、⑨製薬企業への

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

Exit (M&A 等) の交渉など、その経営には多岐にわたる専門的知識・ノウハウが要求され、VC や CRO、CMO／CDMO、製薬企業等の業界プレーヤーや、業界に詳しい弁理士、弁護士等の外部専門家、行政機関等との人脈も必要になってきます。こうしたスキル・人脈を有する経営人材が存在しなければ、創薬ベンチャーが成功することは極めて困難です。

研究者に限らず、こうした知見やノウハウがない人材に、自身の研究成果を活用した創薬事業を任せることは設立した創薬ベンチャーの成功に対して、大きな障害になると考えられます。

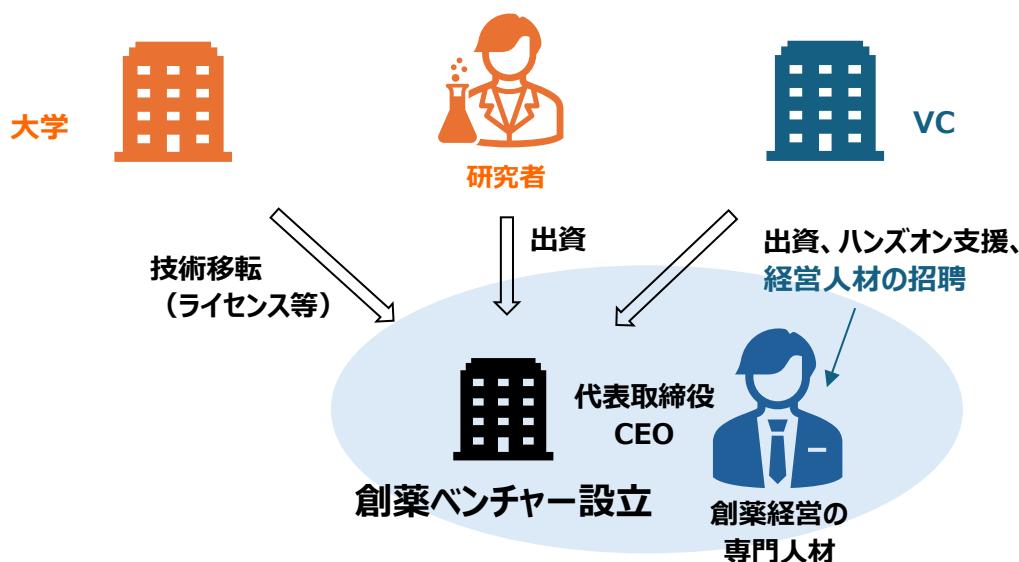


② 創薬分野の経営人材はどこから確保する？

このように、創薬ベンチャーを設立するにあたって、創薬分野に詳しく、かつ、企業経営のプロである経営人材を経営者に据えることが極めて重要となってきますが、このような人材の確保は容易なことではありません。上記のとおり、創薬分野でのノウハウや人脈などが求められ、さらに、創薬ベンチャー経営に注力できるような人材は限られてきます。

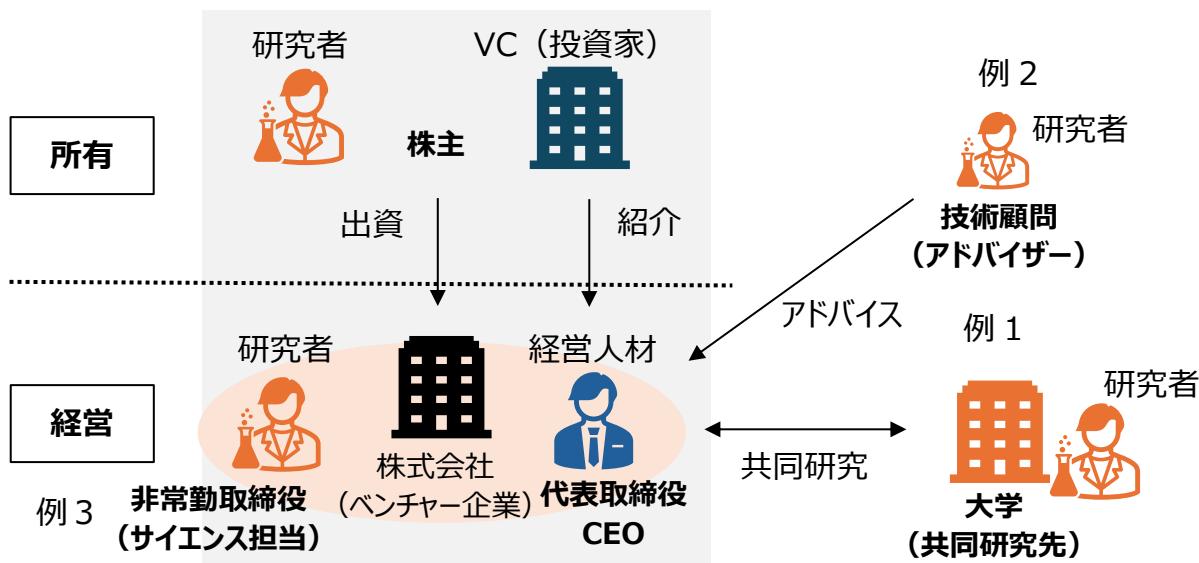
現在の日本において、このような経営人材を確保のための現実的な一つの方法としては、創薬分野に強いベンチャーキャピタル（VC）から投資、支援を受けるにあたり、経営人材の紹介も併せて受ける方法です。ベンチャーキャピタルも、当然ではありますが、投資対象となるベンチャーの事業を成功させることを望んでおり、そのためには、有望な創薬シーズを医薬品としての成功に導ける人材を確保しなければならない立場にあります。そのため、特にベンチャー設立段階から支援するベンチャーキャピタルから投資判断が得られた場合、併せて、適切な経営人材の紹介も受けられることがあります。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する



③ 研究者は創薬ベンチャーにどのように関わるべき？

では、経営人材が確保できたとして、研究者はどのように創薬ベンチャー経営に関与すべきでしょうか。研究者の研究成果に基づく創薬シーズですので、研究者は「サイエンスでの知見をベンチャーに提供する」という関わり方が求められます。その関与の態様については、①研究者が個人として外部アドバイザー・技術顧問として創薬ベンチャーと契約して関与する方法（例 1）、②創薬ベンチャーと大学とで共同研究契約を締結し、大学所属の研究者として関与する方法（例 2）、③非常勤の役員（取締役）として不定期にサイエンスの知見を提供して関与する方法（例 3）などが考えられます。但し、③の役員となる方法は、研究者が経営者の一員として株主らに対する経営責任を負うことになることについては、留意が必要です。



それぞれのライフスタイルに合わせることが必要ですが、研究者の本分である大学での研究活動に主軸を置き、ベンチャー経営は経営人材に任せながら、間接的、不定期にサイエンス・技術分野で創薬ベンチャーをサポートするという関わり方が、創薬ベンチャーと研究者の関係性のあるべき姿の一つといえるでしょう。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

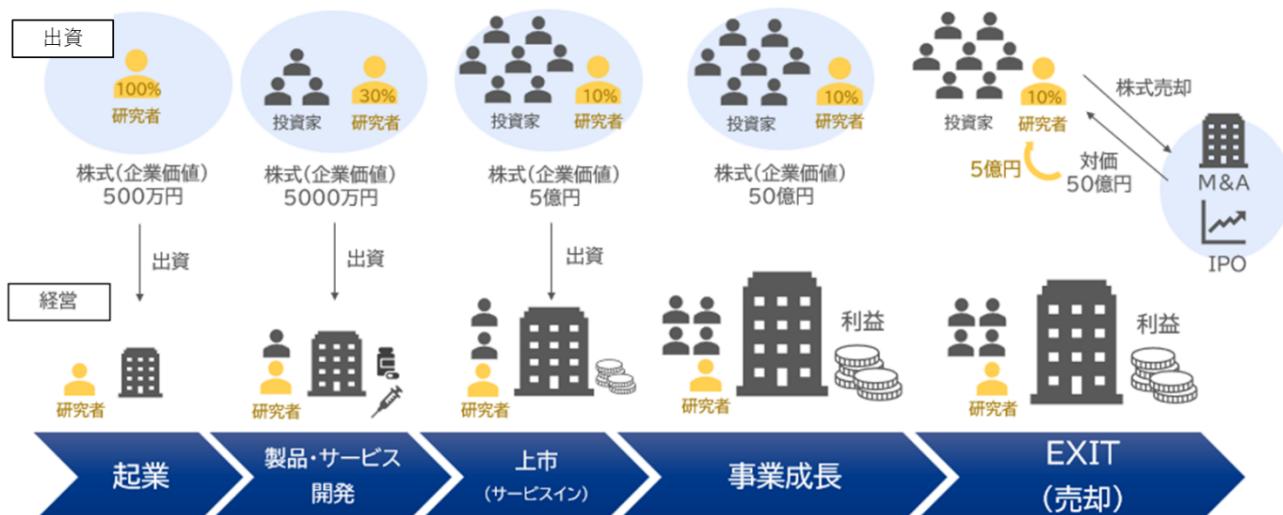
(4) ベンチャー企業の成長と売却 (Exit)

では、研究者がベンチャー企業を設立した後、そのベンチャー企業はどのような成長をたどるのでしょうか。あくまで簡易な一例ですが、次の事例のように、ベンチャー企業を設立した起業家にとっての一つのゴールとして、一定程度成長したベンチャー企業を売却（出資者として保有する株式の売却）し、株式の売却益（キャピタルゲイン）を獲得することが挙げられます。

【ある大学発ベンチャーの設立と売却】

ある研究者が、500万円を出資してベンチャー企業（株式会社）を設立し、自身が代表取締役として経営を担うことにしました。そして、投資家（ベンチャーキャピタルなど）から資金を調達しながら、自身の研究成果を活用した製品やサービスを開発し、その製品・サービスの販売を開始しました。この時点で、ベンチャー企業の企業価値は5億円（10%株主となっていた研究者の持分は5000万円）まで上がっていました。

その後も順調に事業は成長を続け、企業価値が50億円まで向上しました。このタイミングで他の大手企業から、ベンチャー企業を買い取りたいという提案がありました。いわゆる企業買収（M&A）の提案です。研究者は、他の投資家と相談して、このタイミングでベンチャー企業を売却することにし、他の投資家とともにベンチャー企業の株式を50億円で売却しました。研究者には、そのうち10%である5億円が支払われました。



これは創薬事業の事例ではありませんが、研究者は、投資家（出資者）として500万円出資して株式を取得し、自ら経営者として事業を成長させて（=株価を向上させて）、最終的にその株式を売却して5億円の株式の売却益（キャピタルゲイン）を得ています。

こうした出資者によるベンチャー企業の株式売却は「Exit」と呼ばれます。その方法の一つが上記のような他の企業への株式売却（M&A）であり、もう一つの代表的な方法がベンチャー企業をIPO（株式公開）し、株式市場で株式を売却する方法です。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

株式の売却自体は義務ではなく、そのまま株を持ち続けて事業を成長させてももちろん構いません。他方で、優れたアイデアを生み出せる起業家は、あるアイデアを事業化してある程度成長させたところで売却し、そこで得た資金を元にまた新たなアイデアを事業化していく、というサイクルをたどることも決して少なくはありません。

(5) CHECK②まとめ（大学発ベンチャーの仕組みと関わり方）

このように、研究者がベンチャー企業を設立することは、決して研究者ではなくなることを意味するものではありません。むしろ、研究活動の傍らで、その研究成果の社会実装のためにベンチャー企業を設立し、企業経営は専門家に任せて実用化を進めてもらう、という在り方は、大学の研究を社会実装するための役割分担として望ましい在り方ともいえます。

ベンチャー企業の経営、事業にどのように関わるかは、研究者自身のライフスタイルに合わせてデザインしていくことが重要です。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

CHECK③ 「創薬」分野のベンチャー企業の特殊性を理解する



CHECK!

ここまででは大学の研究者によるベンチャー起業一般について見てきましたが、次は、「創薬」分野のベンチャー企業について見ていきます。創薬事業に不可欠な医薬品の研究開発には多額の費用と長い年月が必要であり、かつ、作用機序等に関する科学的な知識や法規制等に関する法的な知識が必要であるため各種の専門家の支援や協力が不可欠です。CHECK③は、こうした創薬事業の特殊性から、創薬ベンチャーに期待されている役割や、創薬事業を担う人材に求められる能力、ノウハウ等の知識など、創薬分野のベンチャー企業の事業の特殊性を理解し、より具体的に、研究者が、自身の研究成果をもとに医薬品を開発する大学発創薬ベンチャー起業の在り方をイメージすることが目標です。

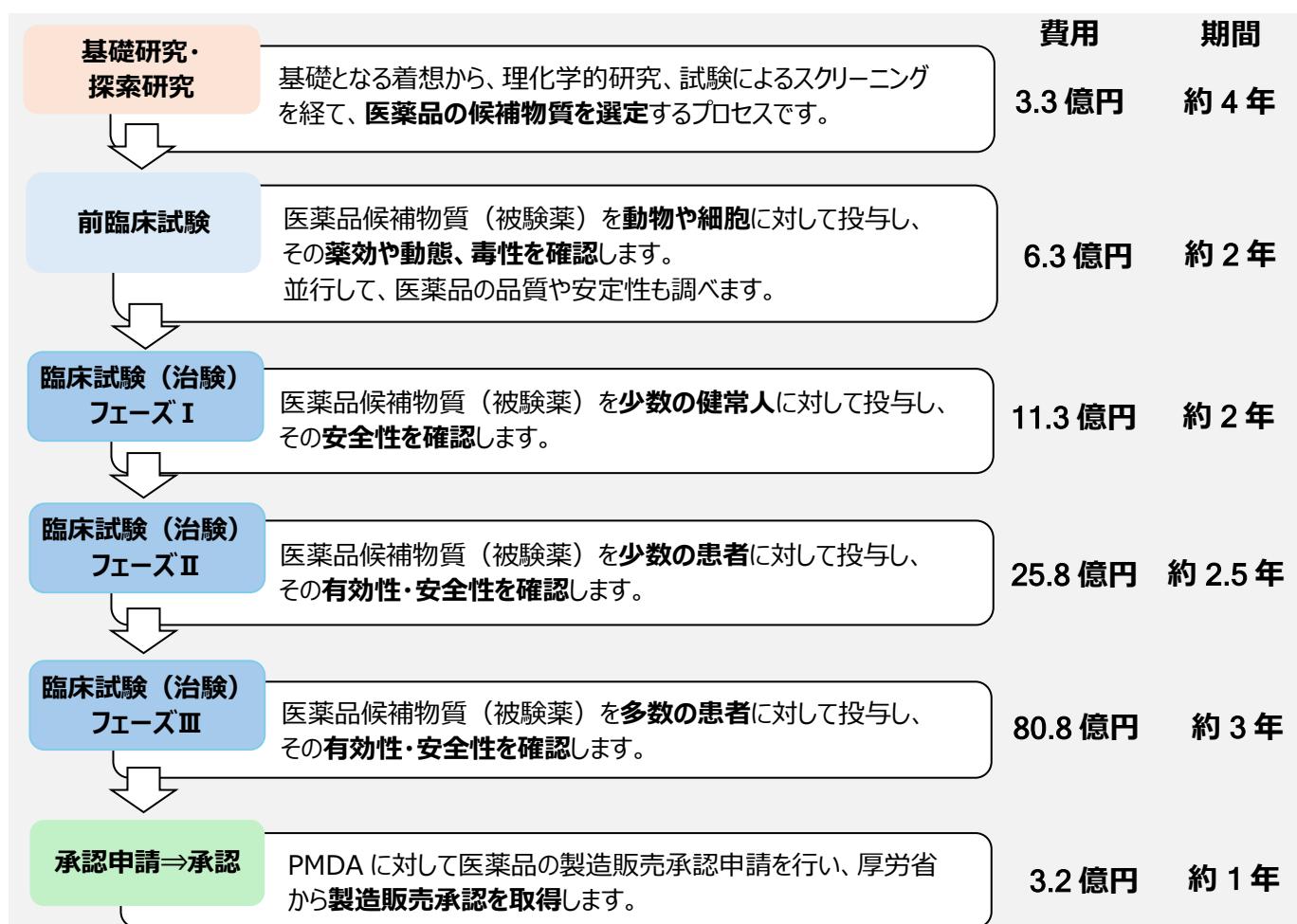
(1) 特殊性：「創薬」には多額の開発費用と長い年月が必要であること

医薬品は、薬機法^{*1}に基づく製造販売承認（薬事承認）を得なければ製造や販売ができません。この薬事承認の取得のために、医薬品の開発には次に示すようなプロセスが求められます。

なお、参考として、医薬産業政策研究所のアンケート調査^{*2}において示された上市することができた医薬品のグローバル開発での、各フェーズに要する研究開発費用と期間（回答結果の中央値）を併記していますが、ケースバイケースであることにはご留意ください。一般的には、研究開発期間は9年～17年程度、開発費用は数百億以上といわれることも多く、製品の開発・販売開始までに長期間かつ多額のコストがかかることが、創薬事業の大きな特徴です。

*1 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和三十五年法律第百四十五号）

*2 「医薬品の研究開発の実態～アンケート調査に基づく研究開発期間、成功確率、研究開発費用～」



※ なお、特許出願のタイミングや出願費用を認識しておくことも重要です。この点は STEP 4 をご参照ください。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

(2) 特殊性：「創薬ベンチャー」は、医薬品開発の初期～中期段階を担うことが期待されていること

ただし、必ずしも創薬ベンチャーがこれらのすべての医薬品開発フェーズを担わなければならないというわけではありません。

ア 製薬企業による創薬モデル

従来より、新薬の開発は製薬企業が担ってきました。大学の研究成果を活用した新薬の開発は、次の図のとおり、製薬企業が、自社医薬品の開発の種となる大学の研究成果を見つけ出し、大学からその研究成果の提供（共同研究、共同出願やライセンス）を受けて、医薬品開発を推進する、これが、従前からの製薬企業主導の新薬開発のスキームです。



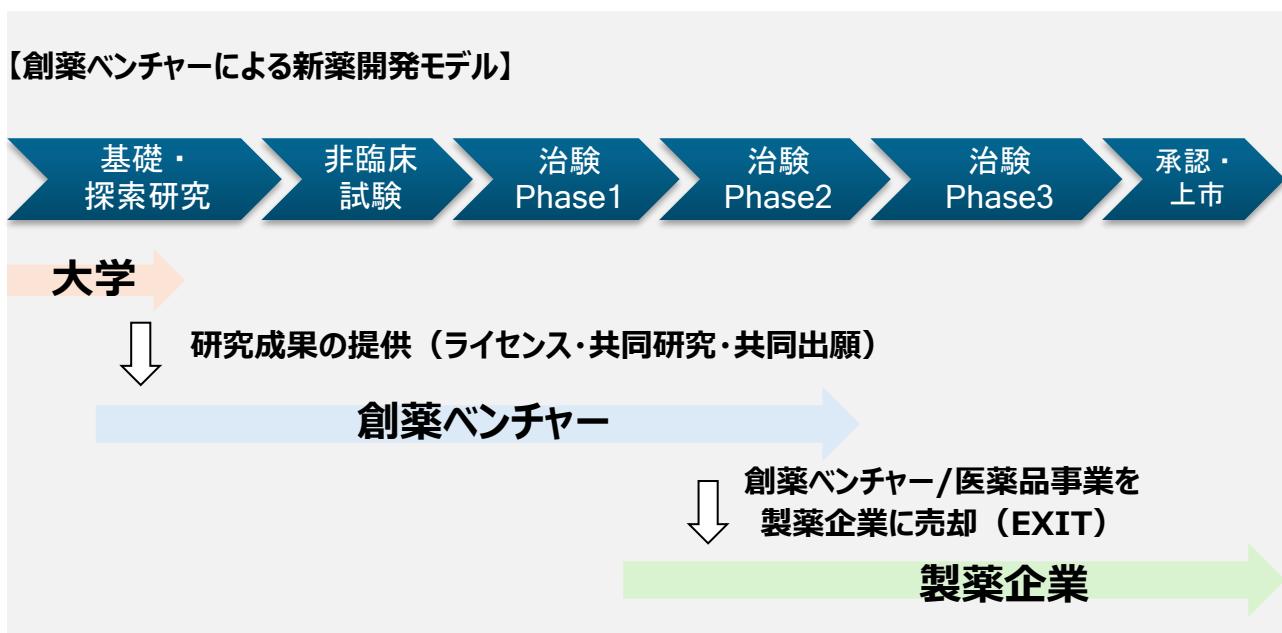
しかし、製薬企業にはそれぞれの事業戦略があり、あらゆる領域の医薬品開発を行えるわけではなく、すべての大学の研究成果に目を通せるわけでもありません。そのため、この手法では、医薬品の種となる有望な研究成果が大学に眠っていても、それが製薬企業のニーズを満たしていない場合や、製薬企業の目に留まなければ、その研究成果は大学に眠ったままとなり、実用化（医薬品開発）が進むことはありません。

イ 創薬ベンチャーによる新薬開発モデル

そこで、近時では、大学の研究機関等の研究者や、製薬企業出身者などの個人が、大学の研究機関等での研究成果を活用した医薬品開発のアイデアを企画し、その医薬品開発を実現するために設立された「創薬ベンチャー」が、特に新薬開発の初期・中期までの段階を担う重要なプレーヤーと位置づけられるようになってきました。

これは、研究者等の個人が、自ら企画した医薬品のアイデアを基に、ベンチャーキャピタルの出資や経営支援を受けて「創薬ベンチャー」を立ち上げて、医薬品開発の初期～中期段階（概ね治験 Phase1～2あたりまで）を進めた上で、製薬企業に当該ベンチャー企業（又は医薬品事業を）をM&Aにより売却して承継する、といった医薬品の開発モデルです。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する



なお、創薬ベンチャー（又は医薬品事業）を製薬企業に売却しなければならないというルールがあるわけではなく、創薬ベンチャーが自身で資金調達を続けて治験 Phase2～3、薬事承認取得、上市までを行うことも可能です。しかし、①創薬ベンチャーは通常ベンチャーキャピタルからの事業資金の投資を受けますが、一般的にベンチャーキャピタルのファンド存続期間が 10 年であり、それまでに Exit が求められること、及び、②治験 Phase 2 から開発費用が特に高額となるほか、Phase 3 からは大規模スケールでの開発体制や上市を見据えた製造体制を要し、小規模なベンチャー企業の体制では適さないこと等の事情から、創薬ベンチャーが、初期～中期段階（概ね治験 Phase1～2 あたりまで）の医薬品開発を進めて、大手・中堅の製薬企業にベンチャー企業の株式を売却（Exit）して承継する（以降の開発は製薬企業が進める。）、という開発モデルが、主に創薬ベンチャーに期待されています。

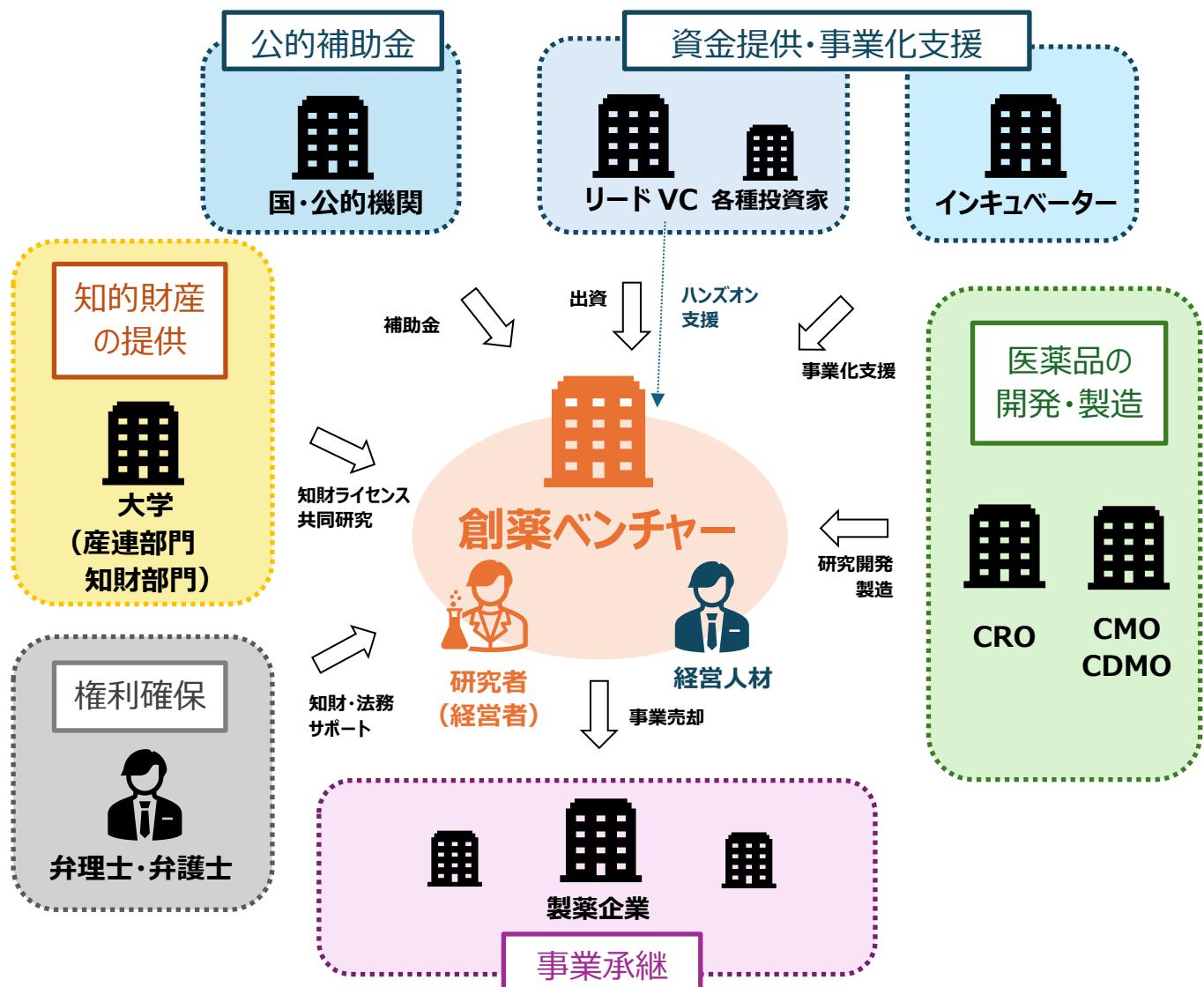
以上を前提に、創薬ベンチャーを設立する際には、「初期～中期段階（概ね治験 Phase1～2 あたりまで）」でその創薬ベンチャーの株式を売却（Exit）することをイメージしておくと良いでしょう。

(3) 特殊性：各種プレーヤーの存在（エコシステム）が不可欠であること

医薬品の開発は研究者一人で成し遂げられるものではありません。どれだけ優れたアイデアも、それを医薬品にするためには、企業経営・医薬品開発事業を進めてくれる経営の専門家、開発資金を出資してくれる投資家や公的機関、創薬シーズの知的財産権のライセンス元となる大学、各種試験の依頼先となる CRO、治験薬・医薬品の製造の依頼先となる CDMO、会社設立や知的財産権をはじめとする権利関係の確保をサポートする弁護士・弁理士、事業売却先となる製薬企業など、様々な専門家の協力・関与が不可欠です。

創薬ベンチャーの設立から Exit までの各ステージのプレーヤーたちが織りなす創薬シーンの環境は、生態系の相互依存関係になぞらえて「（創薬）エコシステム」と呼ばれています。まずはこの創薬エコシステムを認識、理解すること、その上で、各プレーヤーと適切な関係を構築し、相互に Win-Win な条件において事業化を推進することが、創薬ベンチャー企業の成功のための必要条件といえます。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する



① 資金提供、事業化支援を担うプレーヤー

ア ベンチャーキャピタル (VC) その他の投資家

ベンチャーキャピタル (VC) とは、将来成長が見込める未上場のベンチャー企業に投資する組織（投資会社や投資ファンド）をいいます。主に出資により資金を提供し、出資先のベンチャー企業が株式公開 (IPO) や M&A を受けた際に、その株式を売却して利益を上げるビジネスモデルです。VC が目指すところは出資先のベンチャー企業の成長ですので、経営の専門ノウハウを生かして、出資先のベンチャー企業に対する経営支援（ハンズオン支援）を行うことも少なくありません。

VC にも、いわゆる独立系 VC のほか、企業系 VC (Corporate Venture Capital/CVC)、大学系 VC、金融系 VC など、多様なバックグラウンドをもった VC が存在し、投資領域や投資ステージに関する方針も多種多様です。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

後述(4)や STEP3 でも説明するとおり、医薬品開発にかかる高度の専門的ノウハウや各種プレーヤーとのコネクションが求められる創薬ベンチャーが創薬事業の知見、ノウハウなしに創薬事業を進めることは基本的に難しく、できるだけ早い段階から、創薬に強いVCからのハンズオン支援を得られることは極めて重要です。

AMED では、こうした創薬分野における投資実績・ハンズオン支援機能を有する VC を認定し、創薬ベンチャーに紹介する制度を設けています（認定 VC 制度）。詳しくは STEP3 をご参照ください。

イ 国・公的機関

国（厚生労働省、経済産業省、文部科学省など）や AMED（国立研究開発法人日本医療研究開発機構）、JST（国立研究開発法人科学技術振興機構）、NEDO（国立研究開発法人新エネルギー・産業技術総合開発機構）、各自治体等の公的機関は、公的支援として大学やベンチャーを対象に、医薬品の研究開発事業に対する補助金、助成金を支給しています。

特にアーリーフェーズでの医薬品開発費用の調達では、こうした公的補助金の活用が極めて重要な役割を果たします。後記「参考資料編」の参考資料 1 として、医薬品・再生医療等製品の研究開発費用が対象となり得る公的支援の種類をまとめていますので、ご参照いただき、積極的に活用しましょう。

ウ その他のインキュベーター等

医薬品の研究開発事業の支援を提供してくれるプレーヤーは、投資家や公的機関に限られません。いわゆるインキュベーターと呼ばれる、事業化を支援する組織がその代表例です。創薬分野でも、医薬品研究開発に必要な機器・設備をもったインキュベーター、インキュベーション施設が複数存在します。

② 医薬品の開発業務を担うプレーヤー

ア CRO（開発業務受託機関）

CRO（Contract Research Organization／開発業務受託機関）とは、医薬品等の開発関連業務の支援、代行をする企業です。上記(2)のように、医薬品の開発業務では各種の試験を実施しなければなりません。中でも、厳しい基準の元で実施しなければならない前臨床試験、臨床試験（治験）の実施は、高度の専門性が要求されます。CRO は、創薬企業からこれらの医薬品開発に関わる業務を受託して、試験デザイン、試験の実施、実施医療機関のモニタリングなどを行います。

イ CMO（製造業務受託機関）・CDMO（製剤開発・製造業務受託機関）

CMO（Contract Manufacturing Organization／製造業務受託機関）とは、医薬品等の製造業務の受託、代行をする企業です。また、CDMO（Contract Development and Manufacturing Organization／製剤開発・製造業務受託機関）とは、製剤の製造業務の受託、代行に加えて、製剤の製造方法の開発業務の受託も行う企業です。

製剤の製造技術や製造設備を持たないベンチャー企業が非臨床・臨床試験段階での医薬品の製造を行うためには、CMO／CDMO への医薬品製造方法の開発業務や製造業務の委託が不可欠です。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

③ 知的財産を提供するプレーヤー

ア 大学

前述のとおり、大学における研究成果にかかる権利＝知的財産権は、通常、研究者の個人ではなく、いわゆる職務発明等として、研究者が所属している大学に帰属します。大学では、知財部門が、所属する各研究者の研究成果に係る研究成果の知的財産権の出願戦略を検討し、権利化した上で、これを外部の企業等にライセンスする形で提供していきます。

そのため、研究者が大学で行ってきた研究成果を活用した医薬品開発業務を行う創薬ベンチャーを設立した場合でも、その研究成果にかかる知的財産権を保有しているのは大学ですので、大学に対して対価を支払い研究成果の使用の許諾を受ける（知的財産権のライセンスを受ける）形で、研究成果を使用して医薬品開発を進めることになります。

また、創薬ベンチャー設立後も、大学との間で共同研究契約を締結して共同研究を行うことが必要なケースも少なくはありません。このように、大学は、創薬ベンチャーに対して研究成果となる技術や知見を提供する研究機関としての役割を果たすことになります。

④ 創薬ベンチャーの知財等の権利確保をサポートするプレーヤー

ア 弁理士・弁護士

また、創薬ベンチャーの資産とは、医薬品の研究開発過程で得られるその医薬品に関する情報・ノウハウであり、その情報・ノウハウに関する知的財産権（主に特許権）です。特に開発対象の医薬品に関する知的財産権は創薬ベンチャーそのものの価値と言っても過言ではない重要な権利です。

また、創薬ベンチャーを取り巻く権利関係、契約関係は非常に複雑です。創薬ベンチャーの Exit までの成長過程を始めとする業界知見のほか、Exit の手法を見据えた知財その他の権利確保、大学からのライセンス、資金調達、Exit（M&A、IPO）の際の契約ノウハウなどの各種専門知識を有している弁理士、弁護士による法務、知財サポートも、創薬ベンチャーを成功に導くための重要なファクターとなります。

⑤ 医薬品開発事業の売却・導出先となるプレーヤー

ア 製薬企業

前述のとおり、本ガイドブックが対象とする創薬ベンチャーによる新薬開発モデルにおいて、製薬企業は、医薬品開発の中間段階（概ね治験 Phase1～2 あたりまで）において創薬ベンチャーの創薬事業又は株式を売却（Exit）する事業承継先（買主）として登場します。

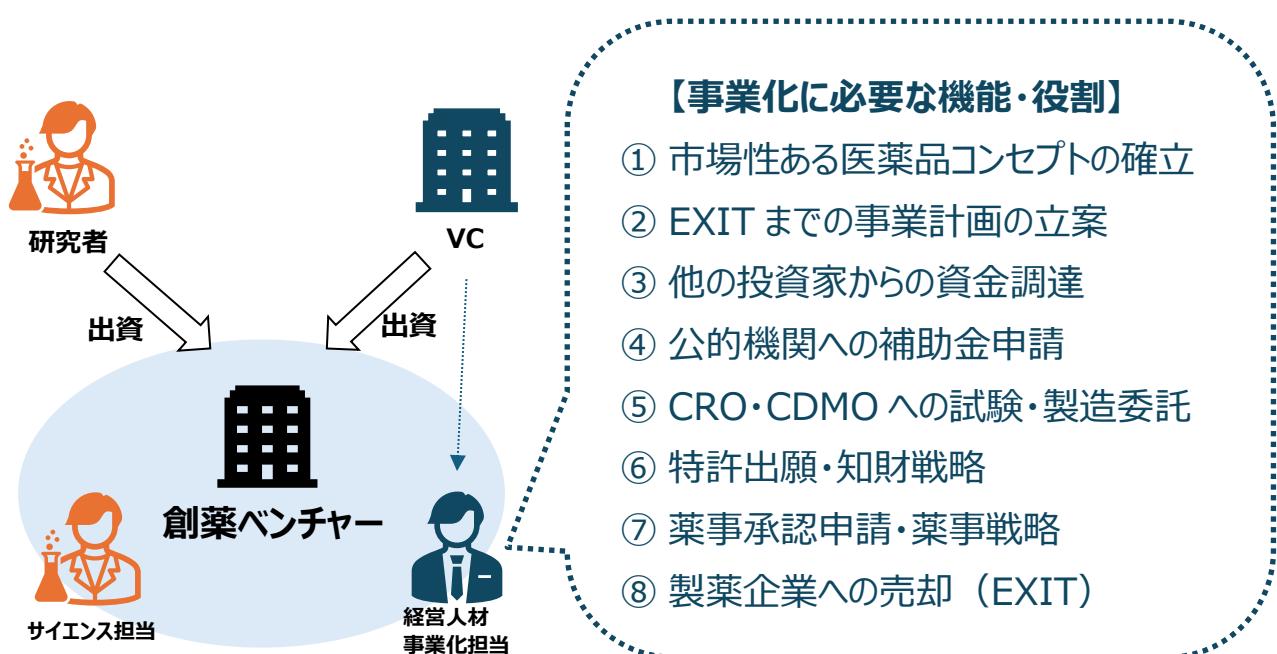
製薬企業にはそれぞれの事業戦略があり、そのターゲットとする医薬品の種類も各社様々です。創薬ベンチャーとしては、医薬品の開発初期段階から、どの製薬企業を Exit 先とするかを見据えた開発戦略を立てることも重要になってきます。製薬企業側でも、大学、公的研究機関や創薬ベンチャー向けに、それぞれどのような医薬品のパイプラインを求めているかを開示していることもありますので、適宜こうした製薬企業側のニーズも把握しておきましょう。

STEP 1 「大学発創薬ベンチャー」を理解する

(4) 特殊性：創薬の専門人材によるハンズオン支援が不可欠であること

このように、創薬ベンチャーの医薬品開発事業とは、開発資金を調達して、知財を確保しながら、ステージごとに必要になる試験や医薬品の製造を行い、開発ステージを進めていく事業であり、そのために必要な経営者の能力は、資金調達、医薬品の開発プロセス（試験、製造）、知財の確保・処理に関する知見、ノウハウ、各種プレーヤーとの人脈やネットワークを持って、医薬品開発事業を適切にマネジメント・推進できる能力です。

創薬ベンチャー業界において、主にこの機能・役割を担うのが VC（ベンチャーキャピタル）であり、創薬ノウハウのある VC からの出資とハンズオン支援 = 上記の能力を有する経営人材の提供が確保できていることは、大学の研究者がベンチャーを立ち上げるにあたっての必須条件といつても過言ではない、非常に重要な条件といえます。



そのため、大学の研究者が自身の研究成果を元に「医薬品」を開発する創薬ベンチャーを設立しようとする場合、まずは、「創薬ノウハウのある VC からの出資とハンズオン支援を得ること」が重要なステップとなってきます。そして、こうした VC からの投資判断を得るために必要となってくるのが、次の STEP2 で解説するように、その研究成果により開発される「医薬品のコンセプト」が魅力的であり、かつ、研究成果として「医薬品のコンセプト」を支持する一定のエビデンスが揃っていることです。

2

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

STEP 1 では、「研究者による大学発創薬ベンチャー設立」についての具体的なイメージをもっていただきました。そこで述べたように、創薬ベンチャーには多額の開発費用と創薬の専門人材の確保が不可欠であり、研究者がこれらの双方を得る方法として、「創薬に強いベンチャーキャピタルから、開発資金の出資と開発事業に対するハンズオン支援（専門人材の提供等）を得る」という方法があります。

当然のことではありますが、こうしたベンチャーキャピタルからの出資とハンズオン支援を受けるためには、投資対象として魅力的であること、すなわち、研究成果（創薬シーズ）を用いた「医薬品のコンセプト」が、投資に値する市場性を持った魅力的なものであり、かつ、そのコンセプトに関して商用化を前提とした相応の科学的なエビデンスが揃っていることが必要です。

STEP 2 では、創薬ベンチャーの設立に向けた第一歩として、この医薬品のコンセプト作りの進め方を解説します。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

CHECK① 創薬の専門家に相談する



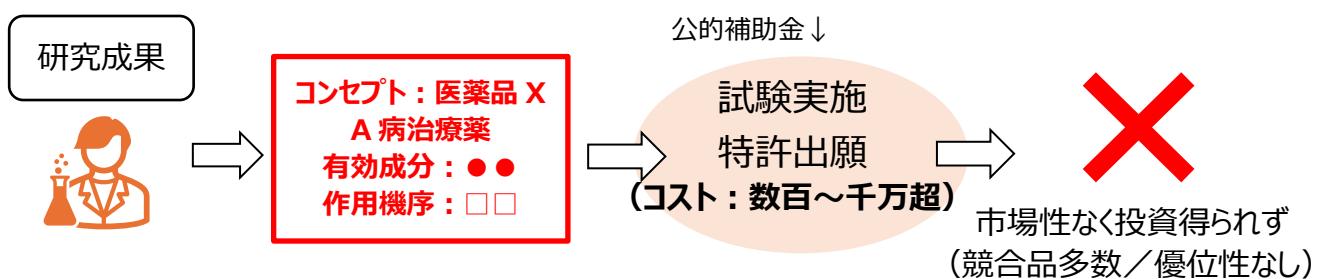
CHECK!

(1) 創薬の専門家に相談すべき必要性

研究者の方がまず最初に行うべきことは、この STEP 2 を読んでいただき、医薬品のコンセプト作りに必要となる事項を把握した上で、粗々でも構わないので自らの目指す医薬品のコンセプトイメージを持ったうえで、適切な支援者に相談してみることです。

医薬品のコンセプト作りとは、「どのような医薬品の開発を進めるのか」の出発点になります。しかし、医薬品のコンセプトを作るにあたって、サイエンス（科学的・医学的根拠）の観点はもちろん重要ですが、その医薬品に市場性はあるのか（医療現場で患者に利用されるニーズはあるのか等）の視点も同様に重要な考慮要素です。

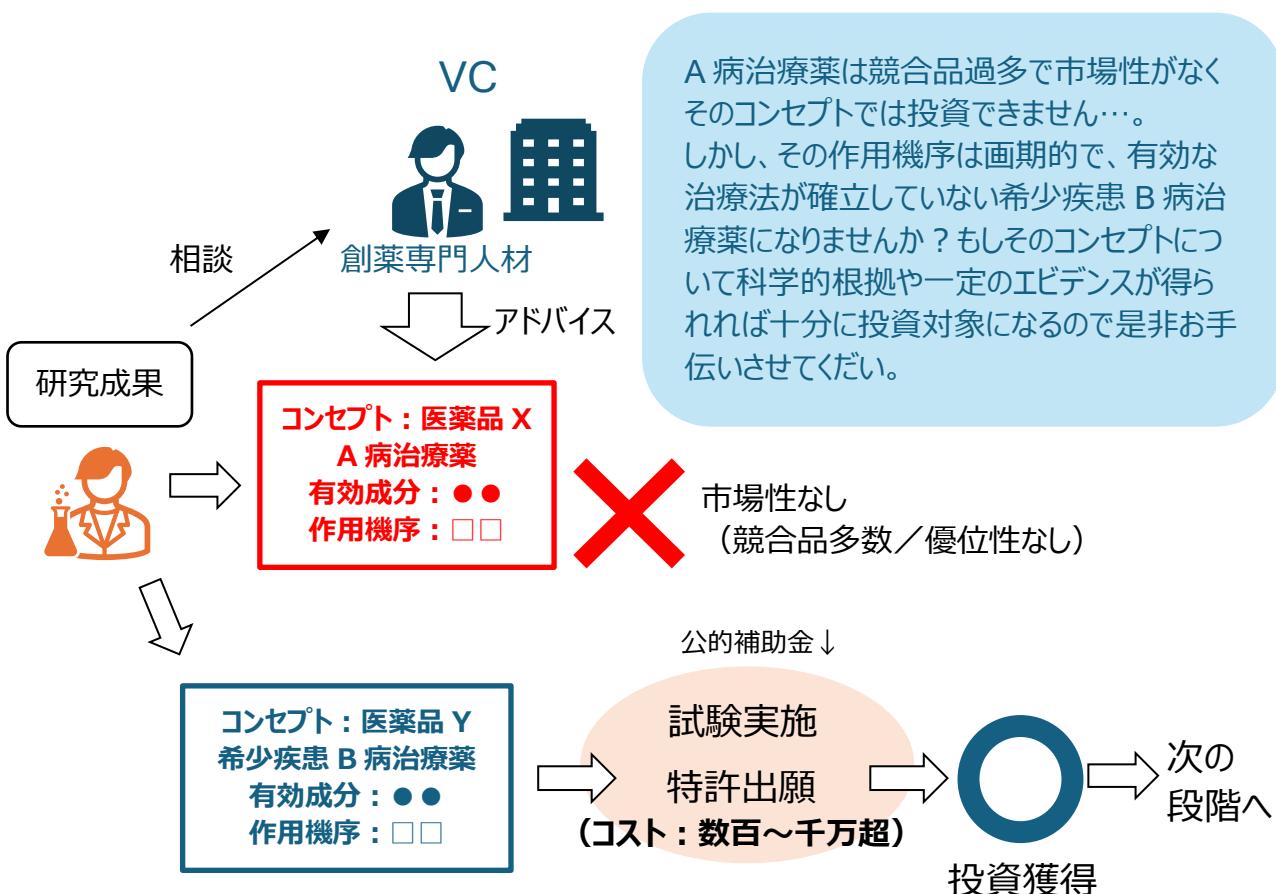
分かりやすい例を挙げるならば、ある研究者が、自身の研究成果を用いて、医学的・科学的に画期的な作用機序の「A 病の治療に用いる医薬品 X」というコンセプトを検討した上で、公的補助金を得て数百万円の費用をかけて試験を実施し、そのコンセプトに関する科学的エビデンスを取得し、かつ、その科学的エビデンスに基づき、数百万の費用をかけてグローバルでの特許出願を行ったとします。しかし、既に A 病の治療薬（競合する医薬品）は複数存在しており、作用機序、有効性、副作用その他の観点からしても敢えて新しい医薬品 X を既存の治療薬に替えて医療現場に導入する理由（既存薬との優位性）が認められないと、研究者がそのコンセプトに基づいて VC や製薬企業に投資や共同研究の提案を行いましたが、「市場性がなく投資判断はできない」と言われてしまいました。



これは少々極端なケースではあります BUT 最初の医薬品としてのコンセプトづくりに市場性（ビジネス）の観点が欠けていると、医学的・科学的には面白い、興味深いコンセプトであっても、ビジネス的には成り立たないために十分な資金を得ることができず開発は頓挫してしまい、結局社会実装には繋がらない、というケースが生じてしまうことがあります。しかも、その後コンセプトを変更しようとしても、特許出願内容が医薬品 X のコンセプト（A 病治療薬）をベースとするものになっているため変更後のコンセプトを保護する特許が取得できない、コンセプトを変更しても、同じ研究成果について既に得てしまった公的補助金を再び得ることはできないなど、コンセプトを変えて一からやり直すことにも極めてハードルが高い状況に陥ってしまうことも想定されます。

しかし、この問題は、その出発点となる医薬品としてのコンセプトの検証段階で、市場性の観点からのレビューを得ていれば回避できるものです。例えば、ベンチャー企業の設立段階からサポートしてくれる VC に相談すれば、同じ研究成果から、市場性の観点から見込みがない A 病治療薬というコンセプトではなく、市場性のある希少疾患 B 病治療薬というコンセプトに軌道修正され、投資判断、実用化が進むことに繋がるかもしれません。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる



このように、医薬品のコンセプト作りとは、製品開発事業の出発点であり、サイエンスの観点だけではなく、市場性の観点からの検討を加えることが非常に重要です。コンセプトの設計が甘かったが故に、あとになって取返しがつかない状態に陥ってしまうことを避けるためにも、できるだけ早期の段階で（特許出願やコンセプトのエビデンス獲得のための試験実施の前の段階で）、VC 等の創薬の専門家に相談するようしましょう。

(2) コンセプト作りの相談先

もし、その研究成果について、「製薬企業へのライセンス」という実用化手法（本ガイドブック冒頭「ガイドブックの対象者」の①参照）を検討している場合には、相談先は、将来的なライセンス先候補となる製薬企業です。

他方、本ガイドブックがターゲットとする創薬ベンチャーの設立による実用化手法を検討している場合には、相談先候補は、ベンチャー企業の設立段階から支援してくれる VC 等の投資家（後記「参考資料編」の参考資料 2 参照）です。VC 等の投資家に相談する場合には、その VC が投資できるか否かという観点からアドバイスをしてくれるため、この STEP1 のコンセプトづくりから、STEP2 の投資家からの投資・支援獲得までをシームレスにつなげることができるという利点があります。

VC や同じ VC であってもその担当者によって創薬シーズに対する評価は様々ですので、複数の VC に相談して、自身の研究成果である創薬シーズの価値や評価を多角的に知ることもとても重要です。様々な VC が存在しますが、特にベンチャー企業の設立段階から投資・支援を行う VC は、常に大学、公的研究機関等からの有望な創薬シーズを探していますので、積極的に相談してみましょう。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

CHECK② 「ニーズ」と「強み」のある医薬品のコンセプトをつくる

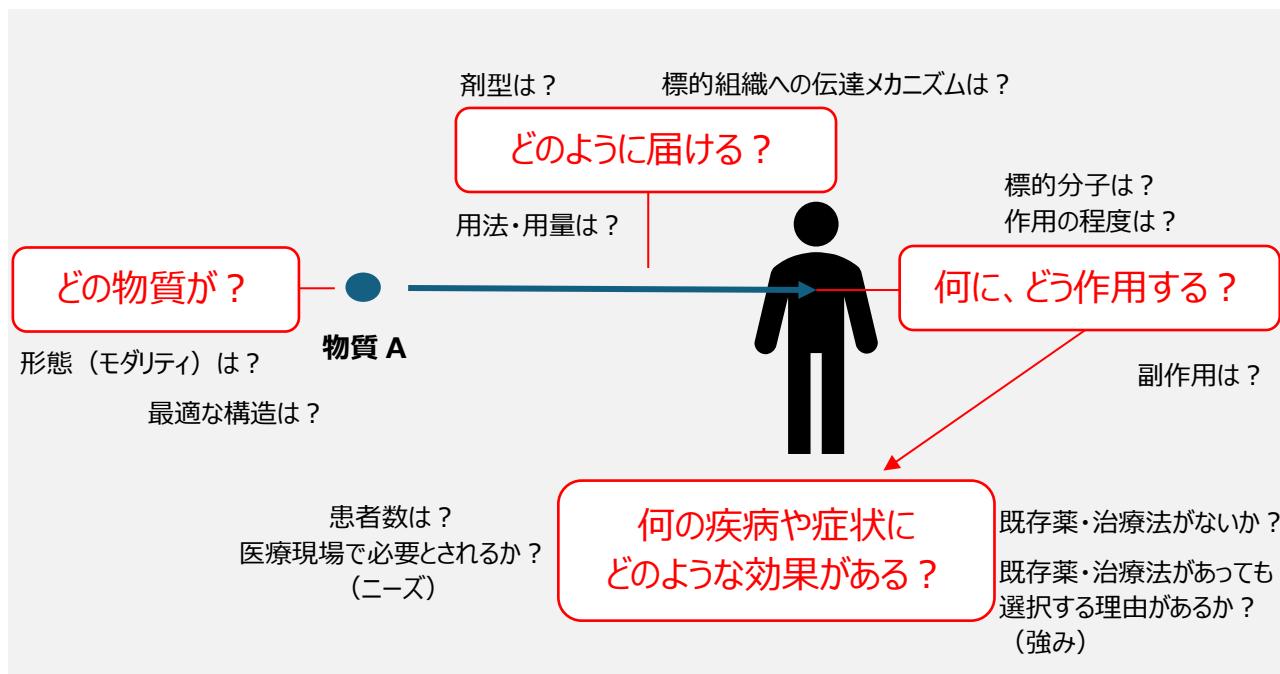
CHECK!

(3) 医薬品のコンセプトと TPP (ターゲット・プロダクト・プロファイル) (Target Product Profile)

ア 医薬品のコンセプト

ある研究成果から、特定の物質（医薬品の候補となる物質）が疾患や症状の治療や予防に効果のある「医薬品」となる可能性が見えてきたら、具体的にそれがどのような医薬品＝製品になるか考えてみましょう。なお、当初から医薬品や疾病治療を念頭に始めた研究である場合も、「より具体的に」製品としての医薬品をイメージしてみましょう。

医薬品とは、特定の物質（有効成分）が、特定の機序（特定の標的分子に作用する機序）により特定の人体の組織に影響を与えることで、疾病や症状の治療や改善効果を生じさせる製品です。そのため、例えば「ある物質がある疾患や症状の原因組織に作用するようだ」という発見があったとしても、それだけでは医薬品のかたちは見えてきません。簡潔にいえば、どの物質を、どのように標的組織（標的分子が存在する組織）に届け、それがどのように作用することで、いかなる疾患や症状に対して、どのような効果があるか、を具体的に特定していくことが、医薬品のコンセプトを作り上げていく作業です。



イ ターゲット・プロダクト・プロファイル (Target Product Profile (TPP))

そして、この医薬品コンセプトを練り上げていく作業が、ターゲット・プロダクト・プロファイル（以下「TPP」）の策定につながっていきます。TPP とは、新薬開発において目指すべき製品（医薬品）の特徴をまとめた戦略文書であり、開発チーム内での業務や、外部（投資家等）への説明の際に、開発対象である医薬品のコンセプト・特徴（目標となる製品性能）や、各開発段階における目標、計画などを明確に言語化した TPP を用いることで、内外での認識を明確化・統一化するためのツールとして機能します。TPP は、最終的には、医薬品が承認されて販売される際に添付されて医師や患者の手元に届く、医薬品説明資料である「添付文書」になっています。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

上記アのとおり、研究者が創薬ベンチャーを設立するとしても、研究者のみでこの TPP を仕上げる必要はありませんし、そもそもベンチャー設立段階で TPP は到底完成するものではなく、その後の開発過程を経て、試験結果を踏まえて内容を適宜改訂しながら、上市までのプロセスで長期間かけて完成していくものです。この項目では、医薬品開発プロセスのイメージを掴むために、医薬品開発において欠かせない TPP とはいかなるものかを説明します。

TPP については、日本製薬工業協会（以下「製薬協」といいます。）が、次のとおり、「企業が目指す医薬品候補物質の科学的・実務的要件～Target Product Profile (TPP) の記載について～」と題して、大学、公的研究機関やベンチャー企業向けに、製薬企業側が求める TPP のモデルフォーマットやその詳しい解説を公開しています。

日本製薬工業協会



「企業が目指す医薬品候補物質の科学的・実務的要件～Target Product Profile (TPP) の記載について～」

<https://www.jpma.or.jp/information/research/TPP/index.html>

詳しくは当該 WEB サイトの資料を是非ご確認いただければと思います。

TPPについて

TPP作成の意義

製薬協

研究成果の臨床応用を目指す上で、TPPは極めて重要な概念で、製品開発しようとする医薬品の「理想的な製品像」を明文化したものである

開発の方向性の明確化	意思決定の基準	リソースの効率的配分
TPPは製品開発しようとする医薬品の目標とする特性(適応症、用法用量、有効性、安全性など)を明確に定義している。これにより研究開発チームが共通の目標に向かって進むことができる	研究開発過程での重要な意思決定(Go/No-Go判断)の基準となる。各開発段階で得られたデータをTPPと照らし合わせることで、開発継続の是非を客観的に判断できる	限られた時間とリソースを最も重要な研究開発活動に集中させることができる
市場ニーズへの適合	リスク管理	規制当局とのコミュニケーション
患者や医療従事者のニーズを反映した製品開発を促進し、上市後の商業的成功の可能性を高める	研究開発初期から予想されるリスクを特定し、対策を講じることができる(リスクを記載することは価値を下げるのではなく、予めリスクを示し管理することがプロジェクトの成功確率を高める)	規制当局との早期段階からの対話の基盤となり、承認に向けた要件を明確にできる

© 2025 Japan Pharmaceutical Manufacturers Association (JPMA). All rights reserved.

5

日本製薬工業協会研究開発委員会

「企業が目指す医薬品候補物質の科学的・実務的要件～Target Product Profile (TPP) の記載について～」より引用

TPP の作成とは、長い開発期間の中で研究を重ね、試行錯誤を繰り返してこれらのプロファイルを定めていく作業であり、開発に着手する段階や、創薬ベンチャー設立段階からこれらが全て埋まるものではありません。上記の製薬協の資料では、製薬企業が各研究ステージに定めている事項を次のとおりまとめています。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

TPPモデルフォーマットについて



TPPにおいて、各研究ステージで定めている事項

◎：すべて記載できていて、可能であればシグナル※も確定
○：到達目標は記載できていて、シグナルは未確定で可
△：予備的に記載

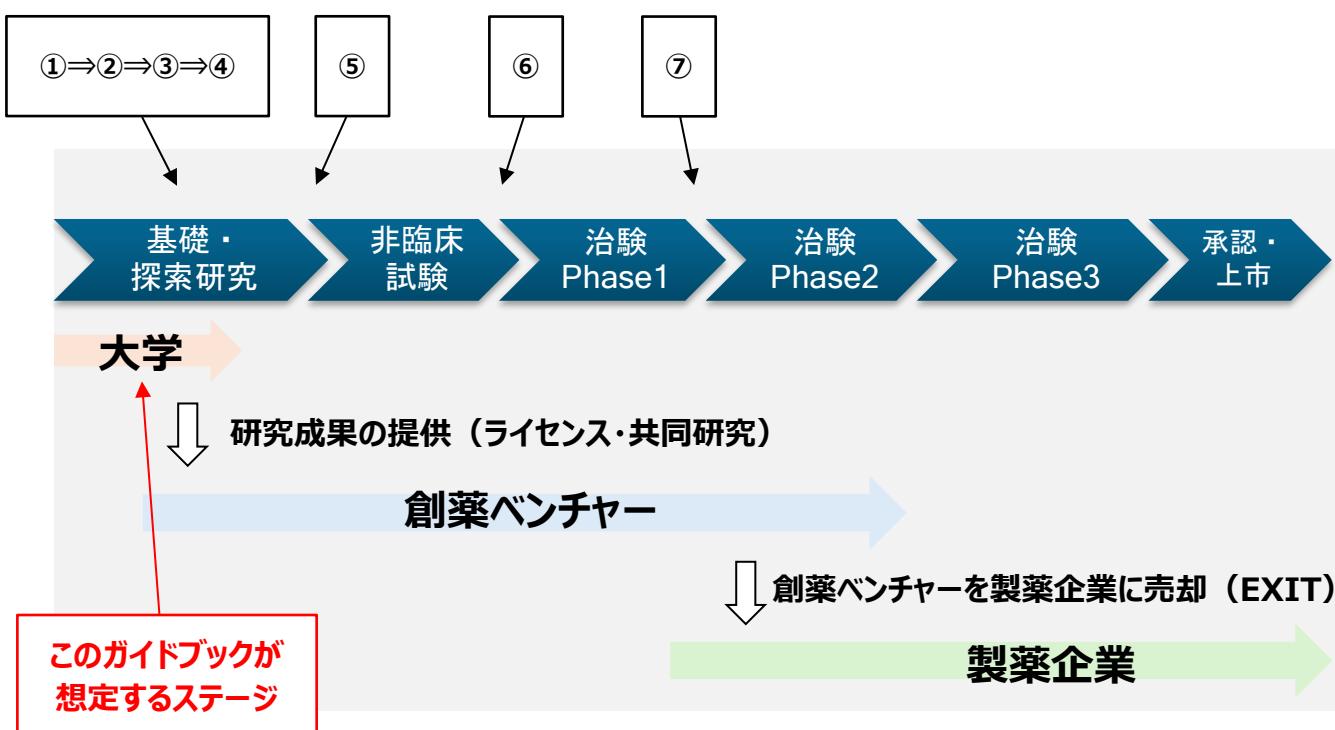
1. 適応症とそれに対する標準治療、臨床上の位置づけ
2. 投与方法・投与量・剤型
3. 対象となる(潜在的)患者数(と層別化)
4. 科学的根拠・作用機序
5. 特許情報/他者特許情報
6. アライアンス・協働、ライセンス関係
7. 非臨床薬理試験から想定される有効性
8. 非臨床試験における薬物動態(ADME)と臨床試験における薬物動態の予測
9. 非臨床安全性試験から想定される副作用
10. 臨床試験計画・臨床試験結果
11. 製造・供給関係
12. 競合品情報、市場分析

	①標的分子同定	②ヒット物質の選定	③リード物質の創製	④開発候補物質選抜	⑤前臨床試験の実施	⑥臨床試験開始	⑦Phase I 試験終了
1. 適応症とそれに対する標準治療、臨床上の位置づけ	○	○	◎	◎	○	○	○
2. 投与方法・投与量・剤型	△	△	○	○	○	○	○
3. 対象となる(潜在的)患者数(と層別化)	△	○	○	○	○	○	○
4. 科学的根拠・作用機序	○	○	◎	◎	○	○	○
5. 特許情報/他者特許情報	△	○	○	○	○	○	○
6. アライアンス・協働、ライセンス関係	○	○	○	○	○	○	○
7. 非臨床薬理試験から想定される有効性	○	○	○	○	○	○	○
8. 非臨床試験における薬物動態(ADME)と臨床試験における薬物動態の予測				△	○	○	○
9. 非臨床安全性試験から想定される副作用				△	○	○	○
10. 臨床試験計画・臨床試験結果				△	△	○	○
11. 製造・供給関係					△	○	○
12. 競合品情報、市場分析	○	○	○	○	○	○	○

※シグナルは到達目標に対する達成度を示すもので、次頁にて説明

© 2025 Japan Pharmaceutical Manufacturers Association (JPMA). All rights reserved.

TPP モデルフォーマットに記載の研究ステージ①～⑦と STEP1 で述べた創薬ベンチャーによる医薬品開発事業モデルのステージと照らし合わせてみましょう。



本ガイドブックで想定する「ベンチャーキャピタルからの投資を受けて創薬ベンチャーを設立する」ステージは、TPP 作成のスタート段階です。しかし、創薬ベンチャーが VC からの投資やハンズオン支援を得るためにには、その医薬品のコンセプトが VC による投資・支援に値するだけの魅力的な製品であることが必要であり、その魅力は、この TPP に記載するような医薬品の特徴から判断されます。また、後述の知財戦略の検討においても、この TPP に記載される医薬品のコンセプト（どのような物質が、どのモダリティで、どのような作用機序により、どのような疾病や症状に、どのような効果があるか、等）をベースに検討されることになります。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

そのため、創薬ベンチャーの設立を検討するにあたって、その開発対象製品である医薬品コンセプトの設計においては、上記の TPP モデルフォーマットの具体的記載項目をベースに検討することが重要です（以下は、製薬協 TPP モデルフォーマットのサマリーです。）。

TPP Executive Summary

TPP Executive Summaryには以下の項目を記載している



1. タイトル（対象疾患と治療コンセプト）
 - 「〇〇〇（疾患名）に対する△△△（作用機序/モダリティ）治療薬」など、目的と特徴が一目でわかる形式で記載
2. 対象疾患とアンメットニーズ
 - 標的疾患の現状と標準治療の限界点（アンメットニーズ）を簡潔に記載
 - 対象患者数と層別化戦略（バイオマーカー等による患者選択）
 - 医療経済的インパクト（治療コスト、入院期間短縮等）があれば記載
3. 本薬剤のユニークポイントと開発意義（差別化ポイント、競合優位性を明確に）
 - 既存治療と比較した差別化ポイント（有効性、安全性、利便性など）を根拠も含め、わかりやすく記載
 - 期待される臨床的ベネフィット（エンドポイント）の概要
 - ユニークな作用機序やモダリティによるアドバンテージ
4. 物質情報と開発モダリティ、研究ステージ
 - 物質名
 - モダリティの詳細（低分子、抗体、核酸医薬、等）
 - 剤形・投与経路・投与スケジュールの概要
 - 現在の研究ステージ（①～⑦のどの段階か）
5. 作用機序（MoA）
 - 標的分子とその疾患における役割
 - 薬効発現メカニズムの説明（図表を含めるとより効果的）
 - 標的分子の組織分布と特異性
 - 関連するシグナル経路と二次的作用
 - 作用機序に関する未解明点や検証中の仮説
6. 非臨床/臨床データの要約
 - in vitro/in vivo試験での主要な有効性データ
 - 薬物動態と安全性の概要
 - 実施済み/進行中の臨床試験の結果（該当する場合）
 - バイオマーカーデータと臨床アウトカムとの相關
7. 今後の計画
 - マイルストーンと達成目標のタイムライン
 - 次のステージに進むための主要課題と対応策
8. 予想されるベネフィットとリスク
 - 期待される治療効果と安全性プロファイル
 - 想定される副作用と対策
 - 開発上のリスク（技術的課題、規制対応等）と軽減戦略
 - 市場導入におけるリスク（競合状況、市場受容性等）
9. 知財状況（出願計画を含む）と競合分析
 - 出願/登録済み特許の概要と保護範囲
 - 特許期間と市場独占期間の見通し
 - 関連特許の状況（自機関/他者）
 - 競合製品/開発品の状況と差別化戦略
10. 協働・資金調達、ライセンス関係
 - 共同研究先（アカデミア/企業）と役割分担
 - 外部資金の獲得状況（政府助成金、VCなど）
 - 今後必要となる資源（資金、設備、人材等）
 - アライアンス戦略（必要性、候補先業種等）

必須記載事項

© 2025 Japan Pharmaceutical Manufacturers Association (JPMA). All rights reserved.

7

（4）医薬品の「ニーズ」と「強み」を考える

製品の魅力とは、市場において価値のある製品であることを意味し、市場において価値のある製品とは、その製品が利用される「ニーズ」があり、かつ、その製品が選ばれる「強み」があることです。

これは、その製品が医薬品の場合でも同様であり、その医薬品が医療現場において患者に求められているか（「ニーズ」があるか）と、その医薬品が選択される理由があるか（「強み（=他の医薬品と差別化できるか）」）を踏まえて、より魅力的で価値がある「医薬品のコンセプト」を設計しましょう。

ア 医薬品としてのニーズ

その候補物質には、医薬品として、どのようなニーズがありそうでしょうか。

医薬品ですから、まず、効能・効果としてのターゲット疾患とそれに対応する患者の集団があり、想定される使用法があります。例えば患者数が多くなると多くの売上利益が見込めるかもしれません、患者数が多いがゆえに、十分な治療効果を示す既存薬が複数存在するのであれば、新たにその疾患のための医薬品を開発する需要は低いかもしれません。逆に、患者数が少なくても、いわゆるアンメットメディカルニーズ（いまだに治療法が見つかっていない疾患に対する医療ニーズ）に応える新規の希少疾患医薬品であれば、そのような医療ニーズを満たす医薬品として社会的な意義が認められる（結果として相応の価格で取引される）場合もあります。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

イ 創薬シーズの強み

その創薬シーズは First in Class といえるようなものでしょうか。あるいは、たとえ既存薬があったとしても、それと差別化できる強みがあれば、医薬品として市場性のある（競争力のある）新製品になる可能性もあります。創薬シーズである候補物質には医薬品としてどのような強みがありそうでしょうか。既存薬と比べて Best in Class といえるような顕著な薬効を示すことだけでなく、例えば、副作用の少なさ、ドラッグデリバリー・投与設計、服薬容易性の観点からのアドバンテージ、製造面・製剤面での技術面・費用面でのメリットなど、既存製品や潜在的競合製品との差別化ポイント・アドバンテージを、多角的に考えてみてください。

ウ 医薬品（製品）としてのビジョン

このように、創薬シーズとなりそうな物質について、まずは医薬品としてのコンセプトを考えてみます。特に低分子医薬以外の新しいモダリティでは、製品化に関して規制面でクリアすべき点がないかも、早期の段階で考えてみることが必要でしょう。

有効性・安全性を含め、更なる検証は必要ですが、比較的初期の段階から、上述のターゲット・プロダクト・プロファイル（TPP）につながる大まかなビジョンを描いてみることで、実用化への可能性と次への道筋、グラント申請時や VC 等の投資家、導出先となる製薬会社等への有効なアピールポイントも見えてきます。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

CHECK③ エビデンスとなるデータを取得する



CHECK!

研究成果から、「ニーズ」や「強み」を持つ医薬品のコンセプトができたら、次は、そのコンセプトに沿った科学的なエビデンスを集めます。

(1) 何のためにデータを取得するのかを念頭におく

大学での研究では、常に種々の実験でのデータが取得されていることでしょう。

データは、使用目的、つまりそのデータで何を検証し何を示そうとするかに応じて、その取得方法や期待されるデータ再現性の内容、程度なども異なってきます。

[さまざまな目的や視点から取得される試験研究データ（例）]

- どの仮説が正しいか感触を得るために初期実験で得るデータ
- 研究室内で再現性を確認のうえ、論文投稿へ向けて準備するデータ
- 特許出願の際、出願明細書において、特許発明の実施例としての薬効や従来技術に属する比較例を記載するために用意するデータ
- （同じ効果に関する検証であっても）*in vitro*での検証データと*in vivo*での検証データ
- ラボレベルで得られた成果が、スケールアップないし実用環境でも得られるかを検証するためのデータ
- 医薬品の製造販売承認申請に添付する目的で取得される非臨床・臨床のデータ

研究成果が創薬シーズとしてたどる道筋の中でも、開発段階に応じて何の目的のために（医薬品のコンセプト確認のため、医薬品の製品化推進のため等）どのようなデータを示すことが必要かを意識することが重要です。

例えば、創薬シーズの実用化のために、VC や製薬企業からの投資・支援を受けようとする場面で、大学の研究者としては十分にデータは揃っているはずなのに、VC・製薬企業からはデータ不足と言われ投資・支援判断に至らない、というケースが往々にしてあります。これも、大学の研究者と、VC や製薬企業等との間で、データを見る際の前提となるデータ取得の目的、その目的の下で、データに期待している内容、程度に違いがあることに起因するものでしょう。

(2) 「創薬シーズ」としてのデータ取得

それでは、研究成果を、創薬シーズの実用化へ向けたルートに乗せるためには、どのようなデータを取得すべきでしょうか。言い換えると、論文・学術発表に足りるデータが揃った後は、次のステップとして、どういった目的の下で、何を意識して、どのようなデータを取得すべきでしょうか。

実験の「再現性」が確認されて投稿論文の掲載や学会発表をすることができた、といった段階での「再現性」と、そのように発表された成果の中から、VC や製薬企業などが医薬品の実用化に向けた有用な投資対象としての創薬シーズを探すときに期待する「再現性」とでは、同じ用語でもそこに期待する意味が異なっていることは、意識して区別する必要があります。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

大学の研究等で一般的に使用される「再現性」は、論文の採択等の過程において議論されるものであり、例えば、同一の研究室内で同じ実験条件を整えて同じ結果が複数回得られることや、他の研究者が発表していた内容と同様の結果が自身の研究室でも得られるか検証してみるといった研究室レベルや大学の研究成果としてのデータ品質検証の意味で使われることが多いでしょう。

一方で、VC や製薬企業などは、実用化に向けて、費用や人員資本を投下する価値があるか、という視点で創薬シーズの評価をするためのツールとしてデータを見ます。そのような視点で、VC や製薬企業などが、データを見るときの「再現性」は、大学の研究室から企業の研究所、製造工場といった、商用環境へ移しても同様の結果が再現できるか、また実験を商用化へ向けてスケールアップできるか、といった、将来の実用化へ向けた技術移転の可能性までを考慮したデータの信頼性を含めた「再現性」であり、求められる再現性の内容、程度も違った基準で捉えられていることが多いのです。

投資評価の際に VC がアカデミアのデータに対して求める観点を調査した結果をまとめた資料が、AMED のウェブサイトで公開されています。実用化の観点から求められるデータの信頼性の考え方を知る一助としていただき、VC 等の投資家と対話するにあたってのいわゆる「目線合わせ」のためのツールとしてご活用ください。



日本医療研究開発機構（AMED）
「実用化に向けた信頼性データ：投資を受けるため目指す観点」
<https://wwwAMED.go.jp/program/list/19/02/005.070228.html>

論文・学会発表レベルの成果が得られたら、次は、VC 等が求める、より実用化レベルに近い意味での再現性を示すデータを取得することになります。上記の AMED 資料がまとめる調査結果では、研究段階（基礎・応用）にある創薬シーズに対して VC が投資判断に至る際には、その創薬シーズのデータとして、薬剤としての作用機序（MoA: Mechanism of Action）を解明する初期の薬理試験等のデータがあることや、設定した医薬品としてのコンセプトが適切であること（PoC: Proof of Concept））を示す *in vitro* 及び *in vivo* の研究データが揃っていることが重要視されています。

もちろん、それぞれの創薬シーズのモダリティや MoA の革新性の程度等によっても、取得が求められる具体的な試験データの内容、程度は変わってきますが、実用化を意識する場合は、初期的ステップとしてこういった視点での試験データが求められていることを認識する必要があります。

実用化への初期ステップとなるこのような再現性データの取得は、ベンチャー企業が自ら行うことも選択肢の一つですが、すべてを自社で手を動かして、あるいはすべてを自社の費用負担で実施する必要はありません。実用化を志向する研究に補助金等を与える支援事業もありますし、場合によってはこういった再現性データの取得の段階から VC 等が出資する事例もあります。

いずれにせよ、創薬シーズの実用化を意識したタイミングで、次のステップとして、実用化のためにどのような試験データが必要か、どのような試験設計を行う必要があるか、試験のために準備すべき事項は何か、を考えると、スムーズなデータの取得が可能となることが期待されます。そのため普段から、試験データの取得の目的、目的に沿った試験設計を意識することが有用です。

STEP 2 医薬品のコンセプトをつくる

(3) データ取得のための試験費用と公的補助金

一方、開発フェーズが、研究（基礎・応用）段階から少し進んで、非臨床研究（安全性、薬物動態、薬効薬理等）、さらに臨床試験へと進むと、大学での対応が難しく、外部委託を検討することが多いでしょう。その時は、CRO（開発業務受託機関）や CDMO（医薬品製造開発受託機関）といった企業に外部委託して行うことになるのが通常です。

特に、ベンチャー企業の設立前の段階（大学での研究段階）は、VC 等からの多額の投資も得られないため（VC 等からの投資を得るためにコンセプト作りとデータ取得の段階であるため）、外部機関への委託費用については、大学での研究を対象とする公的補助金の活用が極めて重要になってきます。後記「参考資料編」の参考資料 1 として、大学の研究者による創薬シーズに関する試験を行うための費用を対象とする公的補助金や公的助成金の種類を挙げていますので、積極的に活用して試験費用を獲得しましょう。

3

STEP 3 投資家の支援を受ける

医薬品のコンセプトができて、エビデンスも揃ったら、次は、創薬ベンチャーの設立に向けて、創薬分野に強いベンチャーキャピタルからの出資とハンズオン支援を確保しましょう。

STEP 3 では、大学発創薬ベンチャーの設立・事業推進において必須ともいえる「ベンチャーキャピタルからの資金の出資と、ハンズオン支援（経営人材の提供等）」を受けるための STEP を記載しています。本 STEP を進めて、創薬分野に強みのあるベンチャーキャピタルからの支援を獲得し、適切なベンチャー起業の体制、計画の下で、ベンチャー企業を設立しましょう。

STEP 3 投資家の支援を受ける

CHECK① 投資家の機能・役割を理解する



CHECK!

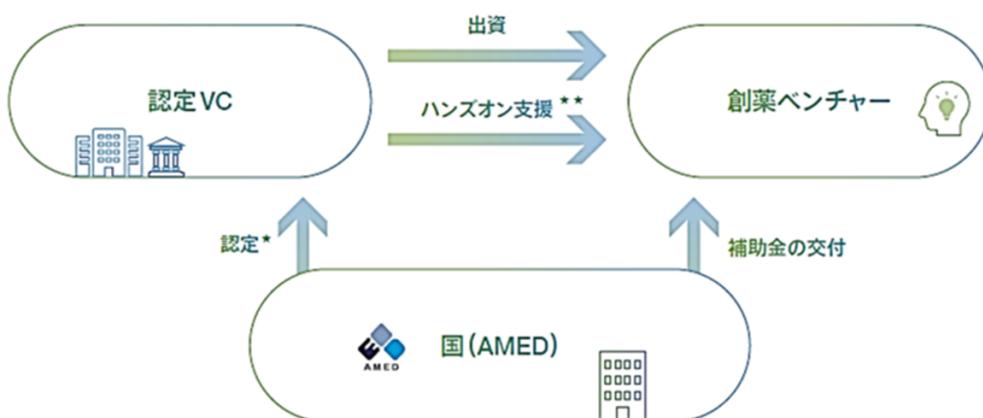
(1) 投資家の機能・役割と必要性

STEP 1 で解説したとおり、創薬ベンチャーによる医薬品開発事業とは、開発資金を調達して、知財を確保しながら、ステージごとに必要になる試験の実施や医薬品の製造を行い、開発ステージを進めていく事業であり、そのために必要な経営者の能力は、資金調達、医薬品の開発プロセス（試験、製造）、知財の確保・処理に関する知見、ノウハウ、人脈・ネットワークを持って、医薬品開発事業を適切にマネジメント・推進できる能力です。

繰り返しになりますが、創薬ベンチャー業界においては、主にこの機能・役割を担うのが VC（ベンチャーキャピタル）であり、創薬ノウハウのある VC からの出資とハンズオン支援（経営人材の提供等）が確保できていることは、大学の研究者が創薬ベンチャーを立ち上げるために必須の条件といって良いでしょう。

(2) 認定ベンチャーキャピタル

そして、創薬に強く、専門人材によるハンズオン支援を提供してくれる投資家を創薬ベンチャーに紹介する制度として挙げられるのが、以下に説明する「認定ベンチャーキャピタル」（以下「認定 VC」）制度です。現在、経済産業省及び AMED は、「創薬ベンチャーエコシステム強化事業」という助成金事業を実施しています。この助成金事業は、①AMED が創薬分野への出資・支援実績を有するベンチャーキャピタルを「認定 VC」として認定し、②この認定 VC の投資・ハンズオン支援対象となるベンチャーに対して、AMED から投資額の 2 倍の額の補助金を提供する、というものです。



* 認定 創薬分野への出資や支援の実績などを持つVCを認定

** ハンズオン支援 創薬ベンチャーの成長段階に応じた、経営、開発・技術、薬事の観点での支援など

<https://wwwAMED.go.jp/program/list/19/02/005.html>

つまり、この認定 VC から投資・支援の提案を受けられるということは、「国から創薬分野に強いと認定されたベンチャーキャピタルから、事業化のための各種ハンズオン支援を受けられること」及び「当該認定 VC の投資額の 2 倍の資金が、国から返済不要な資金として得られること」を意味しており、有力な人的支援、経済的支援を期待できる状況にあるといえます。そのため、ベンチャー設立を検討している大学の研究者として出資・ハンズオン支援を求めるべき最有力候補として挙げられるのが、この認定 VC です。

STEP 3 投資家の支援を受ける

本ガイドブック発行時点の認定 VC は「参考資料編」の参考資料 2 に記載しました。
最新版の認定 VC は下記のリンク先をご参照ください。



日本医療研究開発機構（AMED）

「認定ベンチャーキャピタル（認定 VC）コンタクト先一覧」

https://wwwAMED.go.jp/program/list/19/02/005_Capital.html

但し、認定 VC によっても、ベンチャー企業の設立段階から投資・支援を行う方針の VC もあれば、もう少し開発段階が進んだベンチャー企業に対して投資・支援を行う方針の VC も存在するため、創薬ベンチャー設立を検討している研究者の方々が相談すべき対象は、前者のベンチャー企業の設立段階から積極的に投資・支援を行う方針の認定 VC であることには留意が必要です。また、認定 VC には、独立系、ファイナンス系、大学系など、それぞれの認定 VC 設立の背景によっても様々な特長がありますので、大学の産学連携部門（TLO）等と相談して、事業の方向や支援内容に合った適切な認定 VC に積極的に相談してみましょう。

STEP 3 投資家の支援を受ける

CHECK② VCと対話する



CHECK!

(1) 投資家・支援者にアクセスする

ベンチャーキャピタルからの出資等を得るために、当然ですが、まずはベンチャーキャピタルとのコネクションを得ることが必要です。もちろん、研究者の投稿論文を見た投資家・支援者から声がかかることがあります、そうでない場合には、積極的に投資家・支援者にアクセスする必要があります。

各大学には、大学の研究成果の実用化促進のために産学連携部門が置かれていますので、まずはこの産学連携部門に相談してみましょう。

その上で、創薬ベンチャーを対象とする各種イベントでの個別相談会の場で相談してみる、直接 VC のホームページ等の連絡先に連絡してみるなど、特にアクセスの方法に制限はありません。STEP2 の CHECK①でも述べた創薬ベンチャー設立の段階から支援を行っている VC などは、大学や公的研究機関からの有望な創薬シーズを探していますので、積極的にアクセスしてみましょう。

(2) 投資家・支援者と対話する

投資家・支援者にアクセスできたら、自らの創薬シーズの医薬品化のコンセプトを説明し、出資・支援の約束を取り付けましょう。

ここで注意する必要があるのが、STEP2 で述べたように、論文・学会発表において求められる研究データと、VC 等が実用化（医薬品開発）において求める研究データは、その視点が異なるということです。VC 等と対話する際、「データが足りていない」、「再現性が確保されていない」といったようにエビデンス不足の問題を指摘されることも往々にしてありますが、それは決してその研究内容や創薬シーズ自体に魅力がないことを意味する言葉ではありません。

上述のとおり、AMED では、研究者の方が VC 等と対話するにあたっての「目線合わせ」のツールとして、次のとおり投資家が投資判断を行う際に求めるデータ等の内容を調査した結果をまとめていますので、是非ご活用ください。



日本医療研究開発機構（AMED）

「実用化に向けた信頼性データ：投資を受けるため目指す観点」

<https://wwwAMED.go.jp/program/list/19/02/005.070228.html>

STEP 3 投資家の支援を受ける

CHECK③ VC から出資・支援の提案を受け、協議する



CHECK!

ベンチャーキャピタルとの対話の結果、投資・支援の提案を受けられた場合、次はその具体的な内容を確認し、次のポイントも踏まえて、提案を受けるかどうかを判断しましょう。

(1) 判断ポイント①：人員体制と事業計画

当然のことではありますが、企業の設立においては、誰が、どのような事業を行う計画であるかが重要です。事業計画とは、簡潔にいえば、どのような医薬品を、どのような開発スケジュールで、どこから資金を調達して開発を進め、どの段階でその創薬ベンチャーを Exit するのか、という計画であり、その計画に乗って創薬ベンチャーを設立するか否かの検証とは、この計画に実現性はあるのかどうかの判断に他なりません。

しかし、創薬分野においてこれらの計画を適切に立てることができる人材はそう多くは存在せず、まして、サイエンスの専門家である研究者が適切にこれを評価することは通常できません。

そこで重要なのが、創薬ベンチャーの経営をハンズオン支援してくれる VC の創薬事業に関わる人材の能力（経験）や実績と、VC から提案されている創薬ベンチャーの具体的な人員体制です。次の判断ポイント②でも述べるとおり、創薬ベンチャー経営に求められる能力は多岐にわたりますが、こうした能力を有する人材が備っている VC であること、必要な能力をカバーできる人員体制の提案であることは、その VC の提案する事業計画の信頼性を示す指標となります。

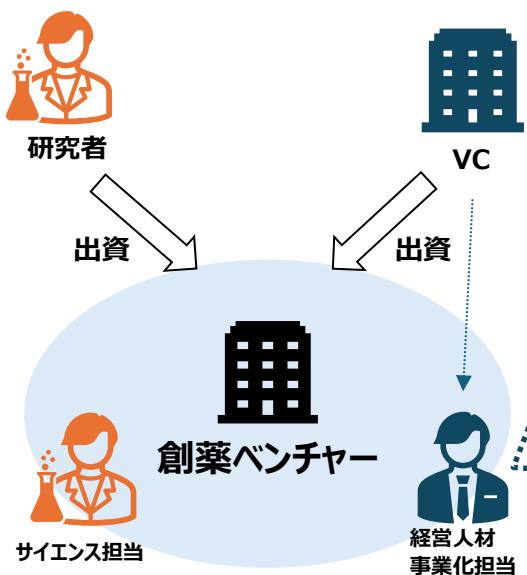
そして、その能力があるか否かを研究者が判断する要素としては、経験と実績のある VC であるか、VC から提案されている創薬ベンチャーの人員体制は創薬の経験・実績のある人材により構成されているかなどの、外形的な事情になってきます。もちろん、経験と実績がなければいけないというものではありませんが、その創薬ベンチャーの事業計画の実現性を判断するにあたっては、当該 VC や人材に信頼できる経験・実績があるか否かを見ることが最も分かりやすく、かつ、間違いが生じにくい判断手法と言えます。

(2) 判断ポイント②：VC のハンズオン支援の内容

判断ポイント①とも重複しますが、創薬ベンチャー設立段階では、ベンチャーキャピタルから得られる出資額も重要ですが、ベンチャーキャピタルから創薬ベンチャーの医薬品開発事業を進めるための専門経営人材の提供（ハンズオン支援）を受けられるかどうかが非常に重要となってきます。

STEP1 でも述べたとおり、医薬品開発には独自のノウハウ、各専門家とのネットワークなどの専門的な能力が求められ、こうした事業化のための各種活動を主導的に行うパートナーの存在が必要不可欠といつても過言ではありません。VC 等から投資の提案を受けた場合、創薬ベンチャーの創薬事業に対してどのようなハンズオン支援が得られるのかを重視しましょう。

STEP 3 投資家の支援を受ける



【事業化に必要な機能・役割】

- ① 市場性ある医薬品コンセプトの確立
- ② EXITまでの事業計画の立案
- ③ 他の投資家からの資金調達
- ④ 公的機関への補助金申請
- ⑤ CRO・CDMOへの試験・製造委託
- ⑥ 特許出願・知財戦略
- ⑦ 薬事申請・薬事戦略
- ⑧ 製薬企業への売却（EXIT）

(3) 判断ポイント③：研究者による出資額とリターン（計画）

また、STEP 1で説明した通り、研究者による創薬ベンチャーの設立では、研究者自身も、一定の金額を出資することが想定されます。

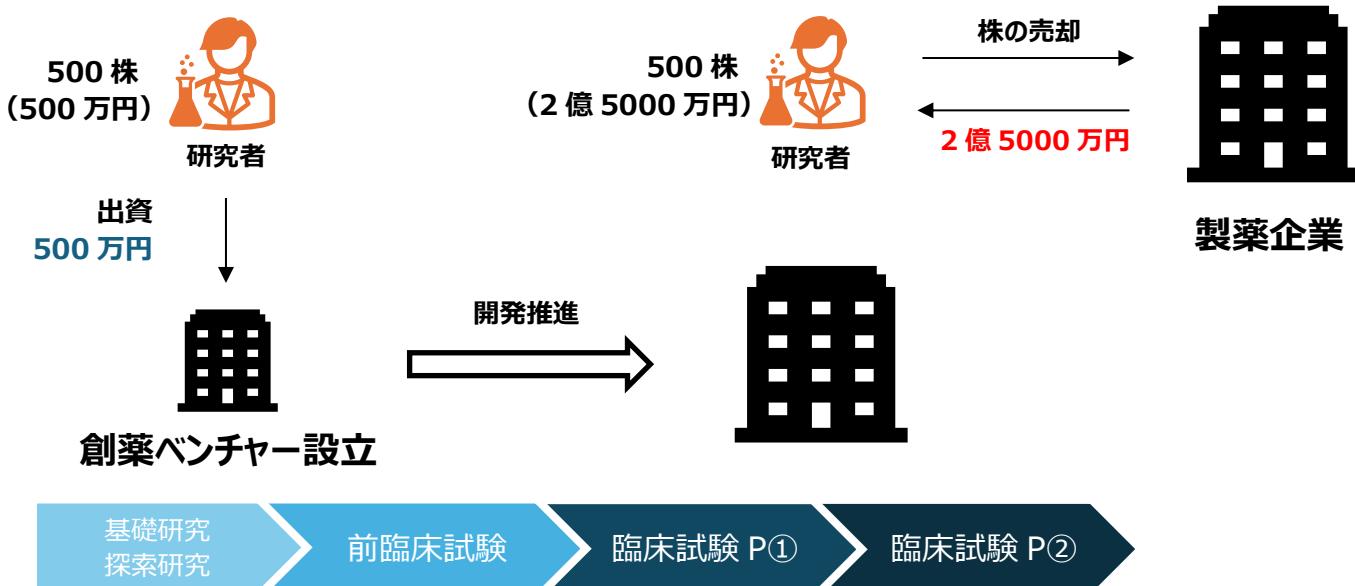
そのため、創薬ベンチャーの設立段階では、**研究者が、この創薬ベンチャーの事業に対していくらの出資を行い、この出資に対して、いつ、どの程度のリターンが期待されるのか**、も重要なポイントです。

出資額	自分はいくら出資するのか。
リターンの額（計画）	事業計画上、いつ、いくらのリターンを得る計画であるか。

株式会社への出資とは、一定額の資金を会社に提供して、会社の持分（株）を得ること（株主となること）を意味します。そして、株主がこの出資に対して得られるリターンは、①会社の事業が生み出した利益の分配（剰余金配当）と、②株価が上昇した後にその株を売却して得られる利益（株式売却益；キャピタルゲイン）が主に挙げられます。多くの場合、開発段階（収益が発生する前段階）で売却されるベンチャーにおける出資へのリターンは、②のキャピタルゲインです。

STEP 3 投資家の支援を受ける

(例) ある研究者が、投資家とともに創薬ベンチャーを設立し、自身は 500 万円を出資して 500 株（1 株あたり 1 万円）を取得しました。その後、当該創薬ベンチャーの医薬品開発は順調に進み、7 年後には臨床試験のフェーズ 2 まで辿り着いた段階で、ある大手製薬企業から声がかかり売却することになりました。その時点で、創薬ベンチャーの価値は 50 倍に高まっており（1 株あたり 50 万円）、研究者は自身の 500 株を売却して 2 億 5000 万円の対価を得ました。



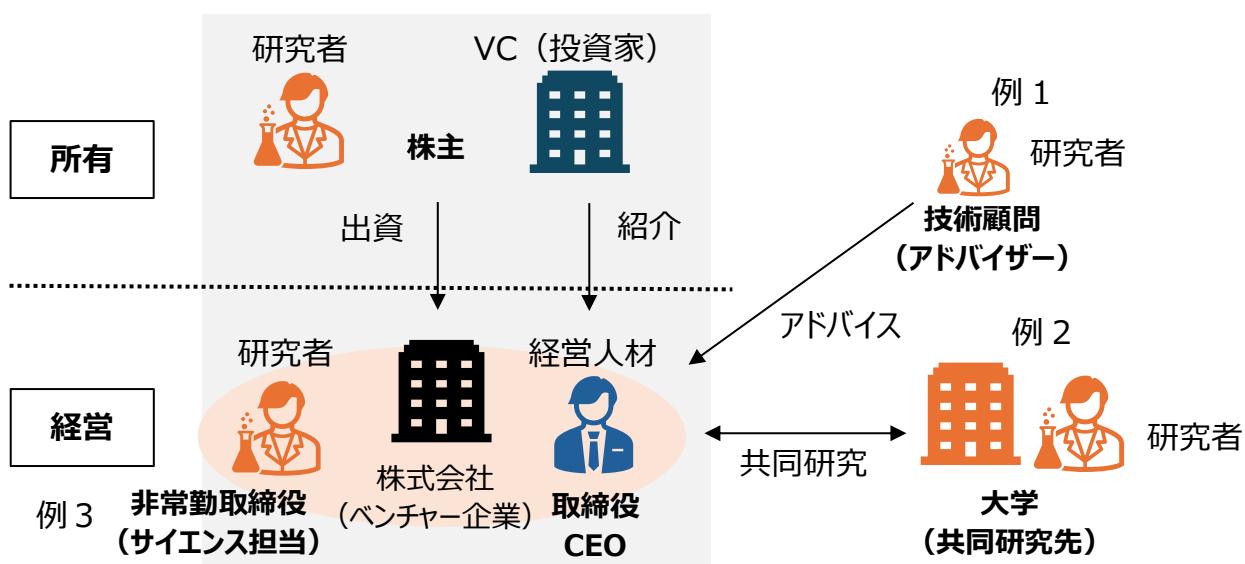
上記はあくまで一例ですが、ベンチャーキャピタルが投資、支援を行うという判断を行っている以上は、後述のとおり、Exit（創薬ベンチャーの株式売却）までの一定の事業計画があり、想定のエクイティストライ（Exit までの間に外部投資家からの資金調達（投資）を、いつ、どのステージにおいて、どの程度の金額で行い、これによる各投資家の出資割合はどのように変動していくか等の資本政策）も存在していることが多いと思いますので、ア：自身がいくらを出資する必要があるのか、イ：その後、いつ、概ねどの程度の金額で売却してリターンを得られる計画であるのかを確認しましょう。

(4) 判断ポイント④：研究者のベンチャー事業への関与の程度

業務負担	・自身の役割は何か ・週何日／何時間の業務が求められているか ・業務に対する報酬の有無・額
ポジションと責任	・役員（経営者）、外部顧問など、どのようなポジションでどのような業務に対する責任を負うか

なお、STEP 1 で説明した通り、創薬ベンチャーの経営は専門人材に委ねることが望ましく、この場合の研究者のベンチャー経営への関与の在り方としては、①研究者が個人として外部アドバイザー・技術顧問としてベンチャーと契約する方法（例 1）、②ベンチャーと大学とで共同研究契約を締結し、大学所属の研究者として関わる方法（例 2）、③非常勤の役員（取締役）として不定期にサイエンスの知見を提供する方法（例 3）などが考えられます。但し、③の役員となる方法は、研究者が経営者の一員として株主らに対する経営責任を負うことになることについては、留意が必要です。

STEP 3 投資家の支援を受ける



STEP 3 投資家の支援を受ける

CHECK④ 投資関連契約を締結する



CHECK!

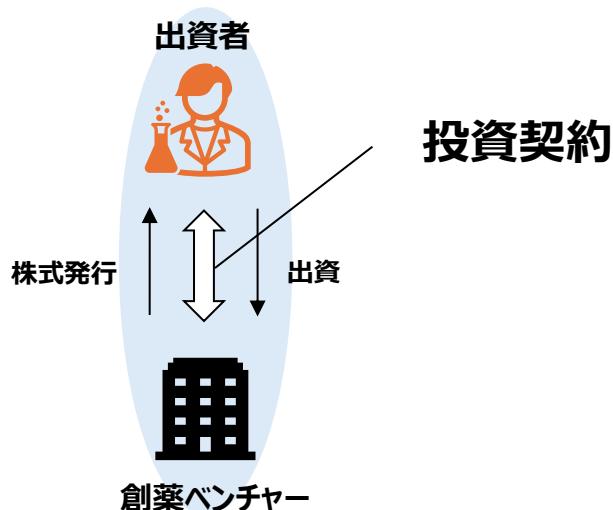
VCとの間で協議がまとまつたら、具体的なベンチャー企業設立に向けて、投資関連契約が締結されます。投資関連契約は、大きく①出資者とベンチャー企業（被出資者）との間で締結する投資契約書と、②出資者と出資者との間で締結する株主間契約書があります。

本ガイドブックがモデルケースとする「設立前からVC等から創薬シーズの磨き上げ」(STEP2参照)などについて支援を受け、研究者、経営人材、VCとが共同出資して創薬ベンチャーを設立する」というケースでは、各契約書の案をVC側から提示されることが多いでしょう。

以下では、研究者が細かな契約条件を理解する必要はありませんが、以下のとおり、それぞれの契約の意義、役割や、定められる事項の概要は理解した上で、ベンチャー投資の実務と創薬業界に詳しい弁護士にも相談して、適切な条件で契約を締結しましょう。

(1) 投資契約とは

投資契約とは、出資者が企業に出資する際に、**投資者と企業との間で取り交わす出資の条件を定めた契約**です。出資に対して発行される株式の内容（1株あたり発行価格や、発行株式数など）や、出資実行にあたって企業が出資者に対して保証する事項（表明保証）、出資実行の条件（前提条件）などの出資者が出資の前提として求める諸条件などが取り決められます。



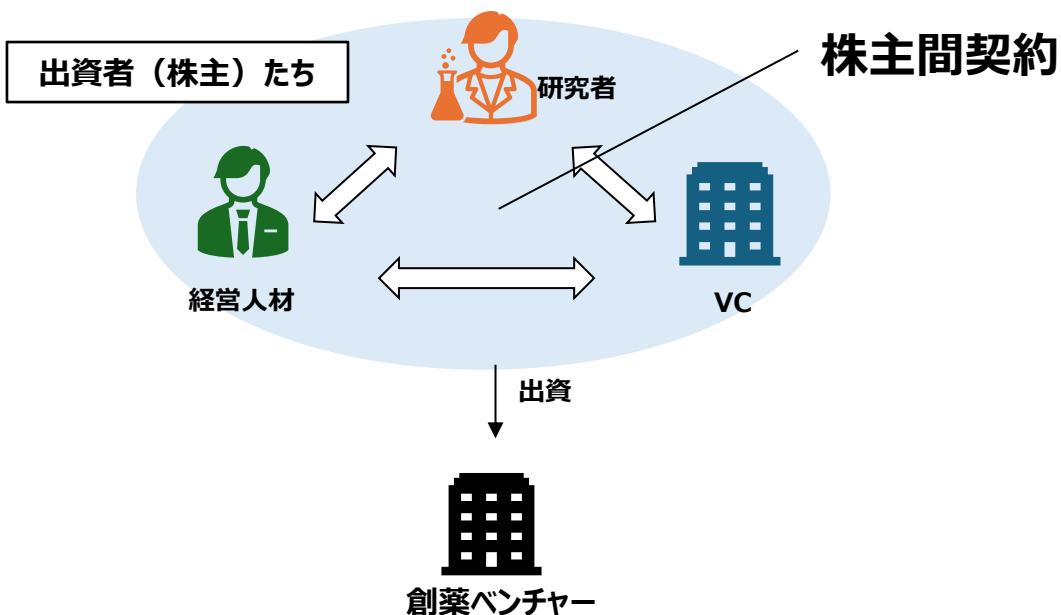
研究者が創薬ベンチャーに出資する際にも、出資者である研究者と、被出資者であるベンチャー企業との間で投資契約書が締結されることがあります。出資者となる研究者が持つべき大まかな視点は次のとおりです。但し、②については、まだ設立時点の創薬ベンチャーに求めるべき条件や保証はさほど存在しないことが多いかもしれません。

- ①自身の出資額と発行される株式の内容は CHECK③で協議した内容どおりになっているか
- ②自身が出資する条件として、その創薬ベンチャーに求める条件、保証させるべき事項はないか

STEP 3 投資家の支援を受ける

(2) 株主間契約とは

他方、創薬ベンチャーに対する出資においては、株主間契約の方が重要です。株主間契約とは、**複数の出資者が企業に出資している場合（複数の株主がいる場合）**に、出資者と出資者との間で取り交わす出資対象企業の経営や株式の取扱いに関する契約です。



株式会社の重要な経営事項は株主総会で決定され、かつ、その決定権は、持株比率 = 株主総会における議決権の比率により決まります。つまり、創薬ベンチャーの意思決定権は、高い持株比率（基本的には過半数以上）を保有する株主が持つことになります。

しかし、それでは、少数の割合しか持たない出資者は、安心してベンチャーに投資をすることができません。例えば上記の図で研究者の持株比率が 20%であれば、他の株主たち（80%）が自分の意に反するベンチャー経営に関する意思決定を行ったとしても、それを止める手立てがないことになってしまいます。これでは、ベンチャーに対する投資はできませんし、ベンチャーの立場からしても、今後必要となる投資家からの投資を得ることも難しくなってしまいます。

そのため、株主たちは、それぞれ、ベンチャー企業の経営を安定的に行うために、株主たちの間で株式会社の経営や株式の取扱いに関する決めごとを、法的に拘束力のある契約という形で取り交わしておく必要があります。これが、株主間契約です。

株主間契約では、①ベンチャー企業の経営体制（ガバナンス）に関する事項（役員構成をどうするか、役員の指名権をどの株主が持つか）、②上記の事例のような経営上の意思決定を行うに際してのルール、③利益分配に関する取り決め、④ベンチャー企業の事業に関する各株主の役割、⑤Exit（M&A や IPO によるベンチャー企業の株式売却時）の際の株式の取扱いに関するルール、⑥将来の資金調達時に新たな株主が参加する際のルール、⑦その他の株式の譲渡や買取に関するルールなど、各種の取決めが行われます。

ベンチャー投資の世界における株主間契約は複雑かつ専門性の高い内容であることが多い、また、業界の相場の理解も求められる契約です。研究者にとっても、ベンチャーへの出資を行うにあたりとても重要な契約ですので、創薬業界に理解があり、かつ、ベンチャー投資の実務に詳しい弁護士にも相談して、適切な条件で契約が締結できるようにしましょう。

STEP 3 投資家の支援を受ける



CHECK!

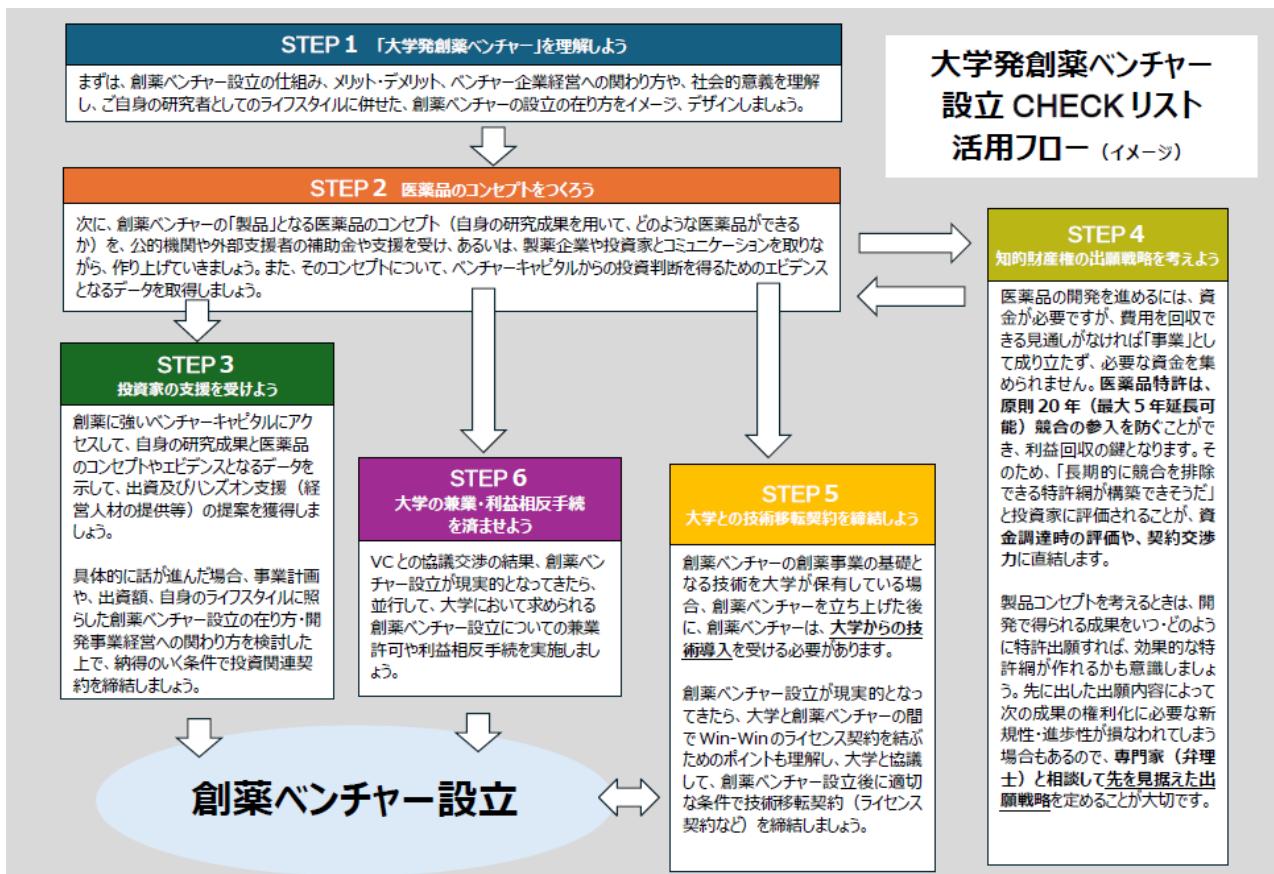
CHECK⑤ ベンチャー企業（株式会社）を設立する

医薬品のコンセプトが固まり（STEP2）、VCからのハンズオン支援や経営人材を確保しつつ、ベンチャーの経営体制や事業計画、研究者自身の出資の条件が決まれば（STEP3）、ベンチャー企業（株式会社）の設立自体は行える状態にあるといえるでしょう（会社設立の手続それ自体は難しいものではなく、CHECK③、④で会社の出資・経営に関する体制について協議、合意がされていれば、設立手続自体は経営人材やVCに任せることで良いでしょう。）。

もっとも、大学発創薬ベンチャーの事業の根幹・出発点は、大学における研究成果です。そして、この研究成果に関する権利（知的財産権など）は大学が保有しています。そのため、STEP5で詳しく述べるとおり、創薬ベンチャーは、設立後、大学との間で、大学から研究成果の利用の許諾を受ける契約（ライセンス契約等）を締結する必要がありますが、設立した後になって、大学からライセンスが受けられなかった、という事態は当然ながら避けなければなりません。また、STEP6で述べる通り、研究者が所属する大学で兼業禁止のルールが定められている場合、いざ創薬ベンチャーを設立したら大学から兼業禁止に抵触すると言われてしまうこともあるかもしれません。

このように、創薬ベンチャー設立にあたっては、所属する大学との協議・合意も整っていることも必要です。

そのため、STEP2（医薬品コンセプトの確立）の段階から、並行して、大学との間で知財戦略（STEP4）や、創薬ベンチャー設立後のライセンス条件（STEP5）を協議、交渉しつつ、大学における兼業／利益相反手続（必要に応じて）も済ませておき（STEP6）、ベンチャー設立後に、問題なく、大学から創薬ベンチャーに対して適切な条件で研究成果の利用許諾（ライセンス）がなされることを確保しておくことも重要です。冒頭で示しているフロー（イメージ）のとおり、本ガイドブックで示す各STEPは、必ずしも数字どおりに段階を負って進めるというものではなく、個別の事情に応じて柔軟に、それぞれ並行して進めていくべき事項です。



STEP 3 投資家の支援を受ける

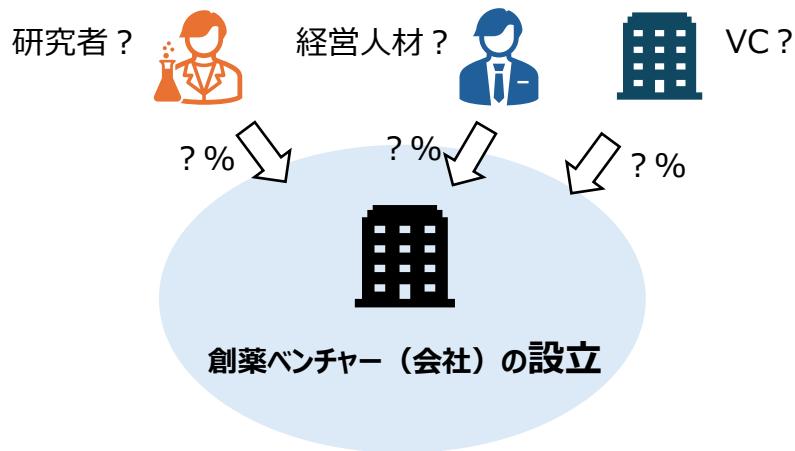
本ガイドブックは、研究者が、自身の研究成果を活用する創薬ベンチャーの設立に GO サインを出して良いだけの諸条件（「開発製品は成功を期待できるものか⇒STEP2」、「創薬のプロから経営支援が得られるか⇒STEP3」、「適切な知財確保の計画は立っているか⇒STEP4」、「大学から研究成果を適切な条件で利用させてもらえるか⇒STEP5」、「研究者の大学における研究活動・業務に支障はないか⇒STEP 6」）を、各 STEP を通じて整えていくことをガイドするためのものです。このことを理解し、VC 等の支援者の協力を得ながら適切な準備を進めた上で、創薬ベンチャーを設立しましょう。

・コラムーもっと詳しく！

■「ベンチャーを設立するとき」の出資割合はどう考える？

研究者が VC や経営人材から創薬ベンチャー設立の提案を受け、話が進み、いざ会社を立ち上げることになったとき、「設立時の出資割合」をどうするか、という問題が生じます。

会社設立時の出資割合はどうしよう？



1. 専門家に相談しよう

ここで、研究者が「先生の設立時出資割合は 40% ですか？」と提案を受けた場合、研究者がその提案を妥当かどうか判断することができるでしょうか。当然ながら、研究者は、ベンチャー投資、中でも特殊な創薬ベンチャー投資の専門家ではなく、必要な知識や経験が不足しているため、自分で判断することは難しいでしょう。また、必要な知識を備えずに、研究者自身で理解して（理解したつもりになって）判断することは、かえって危険です。

ここで重要なことは、特に創薬分野のベンチャー投資に詳しい専門家（十分に経験のある大学の TLO、コンサルタント、弁護士など）に相談して、アドバイスを受けることです。研究者がサイエンスの専門家であるように、医薬品開発、知的財産、ベンチャー投資など、創薬ベンチャーにかかる分野にはそれぞれの専門家が存在し、これらのプレーヤーが必要な場面で正しく機能することが重要です。いざベンチャー企業を設立する段階になった暁には、設立時出資割合の妥当性も含め、信頼できる専門家にアドバイスを求めるようにしましょう。

2. 最低限知っておいてほしいこと・考え方

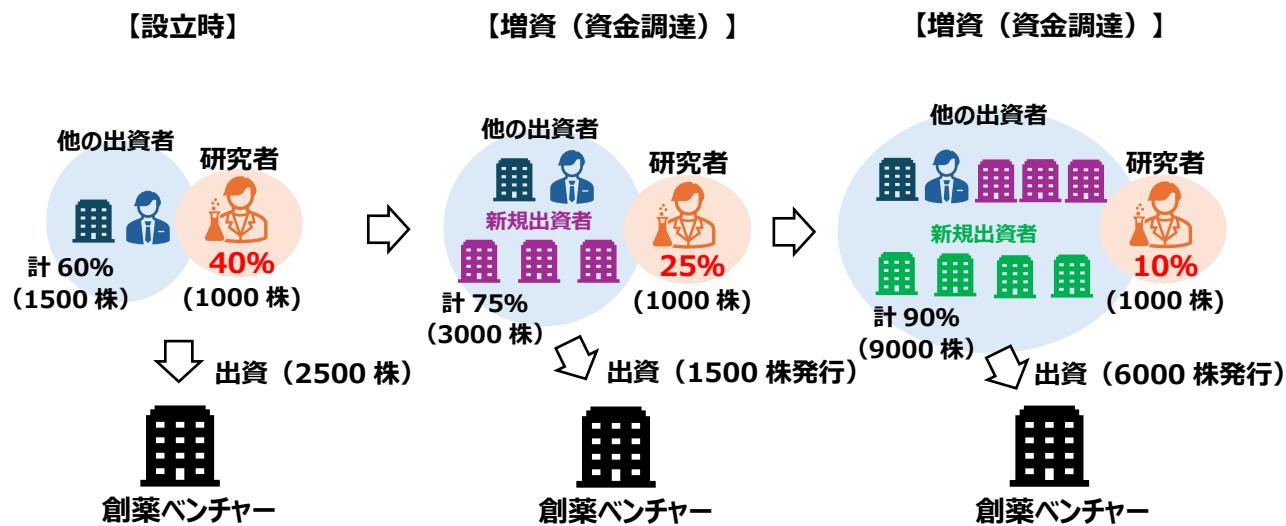
しかし一方で、何の知識も備えずに、何が論点で、何がリスクなのかを全く理解しないままベンチャー設立を進めることも、同様に危険です。ベンチャー設立において「出資する」ことはどういう意味をもつのかなど、研究者がベンチャー設立に関わる前に、最低限備えておくべき基本的事項や考え方というのもあります。以下では、研究者が最終判断を行うための知識ではなく、専門家と適切に対話し、説明を理解するために最低限備えておくべき基本的な事項や考え方をご説明します。

STEP 3 投資家の支援を受ける

(1) ポイントは、出資時の出資割合ではなく、売却（EXIT）時の株価

詳しくは STEP1 で述べましたが、ベンチャー企業は設立後も、VC 等の投資家から投資を受けて事業資金を確保しながら成長を遂げていくものです。そのため、ベンチャー設立時の出資割合だけをみてその投資の当否を判断することはできません。

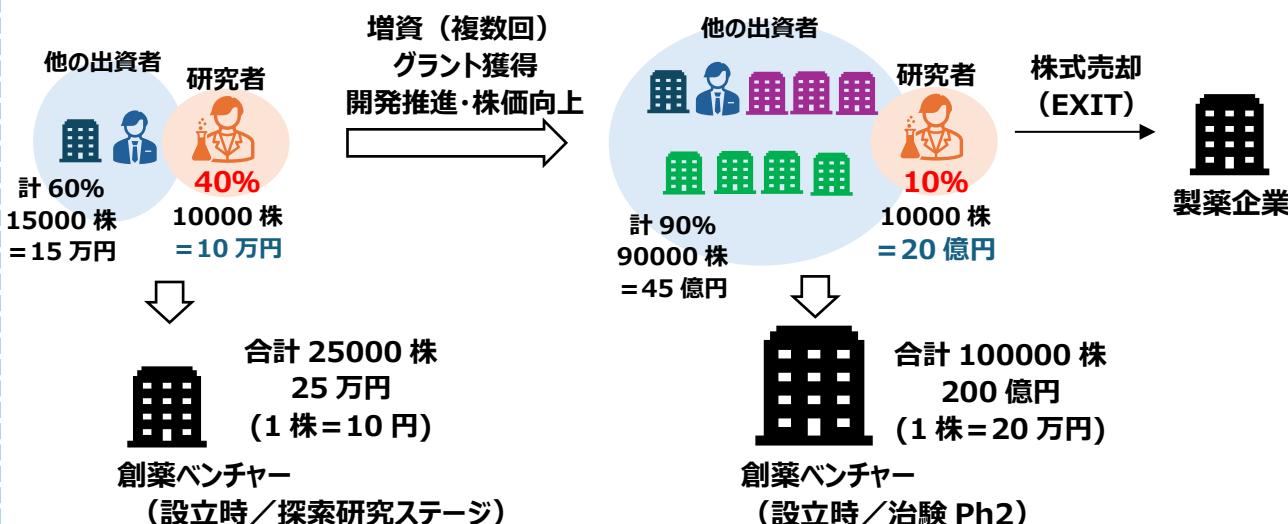
例えば、設立時の研究者の出資割合が 40% であったとしても、その後、次の図のように事業成長に応じて、新たな投資が行われた場合、新たな出資者（株主）は増え、その分、研究者の持分の割合は減少することになります。



このように、追加の出資（増資）がなされるたびに、新たな出資者（株主）が増加し、その分、既存投資家の全体に占める出資割合は相対的に減少していきます。この既存投資家の出資割合が減少する現象を、「希釈化（ダイリューション）」といいます。設立時の出資割合は、将来の希釈化（ダイリューション）を前提とした出発点にすぎません。重要なことは、その後、企業価値が成長し、Exit（M&A等による株式売却時）の際に、どのような株主構成・株価・経済的リターンが想定されているのかです。

例えば、以下のような計画で、研究者がベンチャー設立時の出資の提案を受けたとします。

計画①：開発ステージごとに複数回の増資やグラントを獲得して数十億の資金調達を行って医薬品開発を推進し、7～8年後を目途に、治験 Ph2 でのヒトにおける有効性の確認を得て、その段階で、創薬ベンチャーを想定株価 1 株あたり 20 万円として総額 200 億円で売却（M&A による Exit）する



この計画①は、研究者は、「設立時」に 10 万円を出資して 10000 株／出資割合 40% を取得し、その後、順調に開発・資金調達（増資）が進み、「Exit（株式売却）時」にはその 10000 株が、出資割合としては 10%まで希釈化されていますが、その価値は 2 万倍の 20 億円まで増加している（研究者は 20 億円の株式売却代金を得られる）、という内容です。

STEP 3 投資家の支援を受ける

では、これに対し、別の人から、「ベンチャーの設立時に、先生には 10 万円を出資して 10000 株／出資割合 60%を保有してもらいます。1 年半後には医薬品の発売までこぎつけて売却（Exit）する計画で、その際、先生の持つ 10000 株は、出資割合 40%まで希釈化されていますが、株価は 100 億円となっている見込みです。」（計画②）という提案を受けたとします。この計画①と計画②をどのように比較検討するべきでしょうか。

まず、設立時の出資割合は、将来の希釈化を前提とした出発点にすぎないため、**設立時の出資割合を比較し、計画①の「40%」よりも計画②の「60%」の方が高いから、計画②の方がよい、ということにはならないことは、お分かりいただけます。**また、将来の経済的なリターンについては、計画①の「10 万円の出資に対し、7~8 年後に 20 億円が返ってくる」という条件に対し、計画②は「10 万円の出資に対し、2 年後に 100 億円が返ってくる」という条件であり、計画②の方が経済的には有利です。しかし、STEP1 をお読みいただければお分かりだと思いますが、計画②は、ベンチャー設立の「1 年半後に医薬品の発売」という計画自体がおよそ現実的ではありません。また、計画②は、研究者の出資割合の希釈化率が低い（60%→40%）ことから増資（株式発行による資金調達）をあまり行わない想定のようですが、医薬品の開発にかかる費用は莫大であることを踏まえれば、この計画は適切な医薬品の開発費用を想定していないと思われます。このように計画②は、そもそも事業計画自体に多大な疑義が認められます。したがって、計画②は、経済的には有利な条件の出資のように見えますが、実現性にあまりに乏しく、応じるべきではないといえるでしょう。

上記では、説明の便宜のために簡略化した事例を挙げていますが、実際の事案はより複雑であり、事案ごとに具体的な状況は異なります。ここまで読んでいただければ、「研究者の設立時の出資割合を 40%とするのは妥当なのか？」という問い合わせに対する回答が、「設立時の出資割合の数字だけでは判断できない」であることや、創薬分野の事業計画を精査できる専門家に相談する必要性があることがご理解いただけたと思います。

（2）「設立時の出資割合」に意味はない？

では、設立時の出資割合に意味はないかというと、そういうわけではありません。上記の計画①をもう一度見てみましょう。このケースで、設立時の出資割合「設立時 40%（10000 株／10 万円）」が、もしその半分の「設立時 20%（5000 株／5 万円）」だったとしたら、Exit 時の研究者の持分は、「Exit 時 10%（10000 株／20 億円）」から、「Exit 時 5%（5000 株／10 億円）」まで減少することになります。

ベンチャー投資の世界では、ベンチャー企業設立時、シードラウンド、ミドルラウンド、レイターラウンドといったように、事業の成長ステージに応じて必要な資金調達が発生し、その都度、投資家等からの出資を募ることになり、早期の投資であればあるほどハイリスク・ハイリターンとなる構造になっています。例えば、ベンチャー設立時の株価設定は任意に行えるので、1 株 10 円と決めれば設立時の出資者は 1000 株を 1 万円で取得できますが、ベンチャーの事業が成長しない可能性というリスクを負うことになります。その後の事業の成長により 1 株あたりの価値が 1000 円（100 倍）まで上昇した場合、そのタイミングで後追いいで出資する者は、順調に事業成長をしていることを確認した上で出資できることから、事業成長に関するリスクは低いと言える反面、同じ 1000 株を得るために 100 万円を出資する必要があります。つまり、**ベンチャー企業設立時のまだ株価がついていない段階での出資は、高いリスクを負って行われるものである分、低い出資額で（成功すれば）高いリターンを受けられる出資である一方、これと比べて、事業が順調に成長した後に行われる出資は、先行の出資者と比べてローリスク・ローリターンな出資といえます。**

このように、**設立時の出資には、（高いリスクを負った）一種の先行者利益の獲得という側面があるため、その出資割合は、設立時出資者間の公平性はもちろん、将来の投資家との間の利益分配の合理性・公平性といった観点からも、なぜこの人／企業がこれだけ高い出資割合を保有しているのか？という疑問が生じないような、公平性・納得感のある割合であることが望ましいものといえます。**

（3）出資比率＝支配権比率という側面と、少数株主の権利保護の必要性

また、株式会社では、基本的には、出資比率＝株主総会における議決権比率、すなわち、その会社の支配権の比率を意味します。そのため、研究者の「出資割合 20%」という数字が妥当であったとしても、研究者の出資割合を前提として、他の多数株主（80%）が会社の支配権を保有しているという状況に対し、いかにして研究者の少数株主としての権利保護を図るか、という観点も重要です。株式会社への投資には会社法を始めとする様々な法規制が関係することから、後述する（CHECK④）株主間契約での適切な取り決めなどにより、各投資家がフェアな条件で協調的・安定的に創薬事業に集中できる経営環境を法的な観点から構築することも、事業成功に欠かせない土台づくりといえるでしょう。

STEP 3 投資家の支援を受ける

ここまで説明で、設立時の出資割合を適切に判断するためには、単にその数字だけを見るのではなく、事業計画・資金調達計画に基づく新規株主による出資と希釈化（ダイリューション）、事業成長による株価上昇とExit時点の株価（＝成功時のリターン額）、その事業計画自体の妥当性等の各種の考慮要素を踏まえた検討や、法的な権利保護の観点からの検討も必要であり、それらの検討に必要な知識や経験等が不足している場合には、創薬分野のベンチャー投資に詳しい専門家に相談してアドバイスを受ける必要があることを、十分にご理解いただけたのではないかと思います。

3. 創薬ベンチャー設立時の出資割合の考え方

上述のとおり、「設立時の出資割合」には一種の先行者利益としての性質もあるため、その具体的な数字（割合）には、設立時出資者間の公平性の観点や、将来の投資家に対して、「なぜこの人／企業がこれだけのシェアを持っているのか？」といった疑問に応えるという観点からの公平性や納得感もまた重要です。VC等の投資家が創薬ベンチャーへの投資を検討するにあたって、既存の株主の出資割合が合理的な内容と評価し得るではない場合、創薬ベンチャーとして正しい経営判断、資本政策を行う能力がないのではないかといった経営体制それ自体に対する疑問を抱かせてしまうこともあります。

そのため、どう考えるのが公平なのか？という視点を持つために、以下では、この設立時出資割合の考え方を少し検討しましょう。

創薬ベンチャーの設立時における出資割合を考える際には、**各当事者（出資者）が、そのベンチャーに対して、どのような価値を提供し、どのようなリスクや責任を負担するのか**という視点から整理することが重要です。そして、創薬ベンチャーを設立するにあたり、関係者が、創薬ベンチャーに提供すべき貢献・価値としては、次のようなものが挙げられます。

① 創薬経営・開発業務の側面からの貢献

本文でも述べてきたように、創薬ベンチャー経営に必要となる能力は次のとおりです。これらの機能を創薬ベンチャーに提供することが、経営人材の役割・貢献であり、また、VCのハンズオン支援に期待される役割・貢献もあります。

- 【プランニング能力】
知見（成果）という「種」を、現実的に実現可能であり、かつ、商品として魅力的な「医薬品」に仕上げるための「プラン」を適切に策定できる能力
- 【実行力（開発推進／資金調達）】
上記のプランを、適切に事業計画やTPPに落とし込み、適用されるレギュラトリ（薬事規制）を前提に必要な試験をデザインしながら開発を推進しつつ、適切なタイミングかつ合理的な条件でVC等の投資家からの投資や行政からのグントを獲得し、事業資金を調達できる能力、人脈・ネットワーク
- 【権利確保能力】
知的財産権を始めとする創薬ベンチャーの権利（資産）を、Exitも見据えて適切に獲得、保有、ライセンス、管理するほか、投資家やCRO・SMO・研究期間との契約を合理的な条件で締結交渉、管理できる能力、人脈・ネットワーク
- 【経営管理能力】
その他の会計、税務、人事等の経営管理能力

② 知見の創出という側面からの貢献

研究者の貢献は、創薬ベンチャーの根幹となる**知見（研究成果）を生み出したことそれ自体**にあります。研究者の「0から1を生み出す」発見がなければ、創薬ベンチャーの事業はそもそも始まりませんので、この知見の創出によるベンチャーへの貢献も当然に考慮されなければなりません。また、ベンチャーの開発推進のために必要となる科学的知見を提供することも、研究者の貢献といえるでしょう。

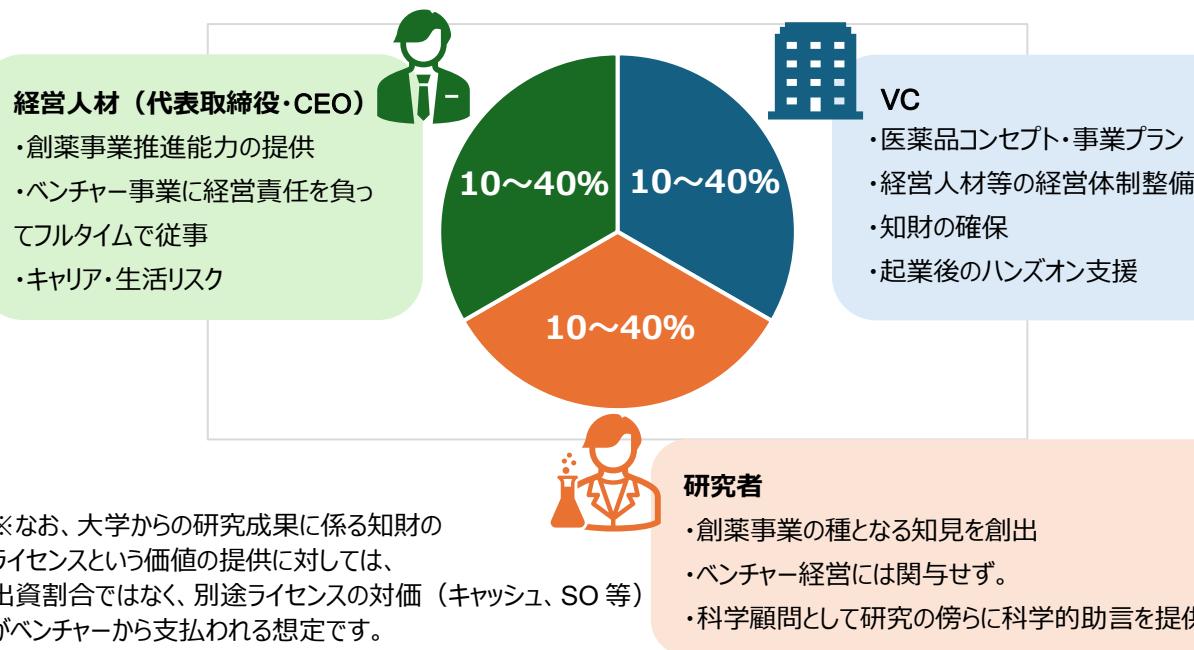
- 【知見の創出】
研究努力により、創薬事業の根幹・出発点となる新たな発見により、創薬ベンチャーによる創薬事業を「生み出した」ことに対する貢献
- 【開発推進のために必要な科学的知見の提供】
創薬ベンチャーの医薬品開発に必要となる科学的知見を提供することによる貢献

STEP 3 投資家の支援を受ける

これらに限らず、創薬ベンチャーの設立段階において、経営者、研究者、VC がどのようなリスクやコストを負うのか、どのような貢献、付加価値をそのベンチャー事業に与えているといえるのかは、事例により様々であって、硬直的、杓子定規に考えられるものではありません。

例えば、VC が、研究者の研究成果を活用した医薬品のコンセプト・事業プランを練り上げ、研究者と協議し、大学との間で知財のライセンス交渉を行い、また、創薬経験・能力のある経営人材を外部から招聘するなどして、創薬ベンチャーを設立した事例を想定します。この事例では、経営人材は、キャリア・生活リスクを負って創薬事業にフルタイムで従事することを約束し、代表取締役・CEO に就任することを想定し、研究者は、経営には関与しませんが、研究者としての研究を続ける傍らで、創薬ベンチャーの科学顧問として必要に応じてサイエンスのアドバイスを提供することを想定します。

【ベンチャーに対する価値・貢献の提供＝出資割合の考え方（イメージ）】



上の図は、このケースで、それぞれ設立された「創薬ベンチャー」という企業体に対して、各当事者がその時点でいかなる価値・貢献を提供しているかという観点から示した出資割合の考え方です。ただし、実際に提供されている価値・貢献の内容次第でケースバイケースで判断されるべきものであって、これは、VC が創出したプランの内容、経営人材の持つ能力、研究者が創出した「種」となる研究の内容など、その他のさまざまな事情により大きく変動します。上の図は、「ベンチャーに提供する価値・貢献＝出資割合」とするという考え方をご理解いただくためのイメージに過ぎないことに十分ご留意ください。

例えば、VC は設立には関与せず、十分な実績・能力・経験のある創薬経営のプロ人材が、創薬シーズを発見し、適切な医薬品のコンセプト・事業プランを練り上げ、大学を説得してライセンスを獲得して自ら代表取締役・CEO として創薬ベンチャーを立ち上げるといったような、その創薬ベンチャーの現在価値の大部分を経営人材が担っているようなケースであれば、VC の設立時出資はなく、経営人材の出資割合はより高くなる、と考えることには合理性があります。また、研究成果（アイデア・発見）がそのまま魅力的かつ実現性の高い医薬品のコンセプトに直結しているような、研究成果それ自体の事業への付加価値が極めて高いようなケースでは、それを創出した研究者の出資割合が高くなることもあるでしょう。他方、（体制として適切であるかはさておき）経営人材の創薬事業経験・能力に対する VC の支援、フォローが大きい場合には、経営人材の出資割合が低くなることもあるでしょう。

また、実際には、「研究チームのメンバーが複数いる場合の出資割合をどう考えるべきか」、「創薬経験豊富な事業担当の経営人材と、会計・法務等の経営管理に長けた管理担当の経営人材による共同経営の場合の割合はどう考えるのか」など、設立時の出資割合は個別具体的な事実関係に応じて定めるべきであることから、検討すべき事項は多岐にわたります。

このように、各関係当事者が創薬ベンチャーに提供する貢献や付加価値は、まさにケースバイケースであり、したがって、創薬ベンチャー設立時の出資割合もケースバイケースです。

STEP 3 投資家の支援を受ける

そして、最も大切なことは、出資割合という数字それ自体ではなく、**設立する創薬ベンチャーが、商品として魅力的かつ現実的な医薬品の事業プランとこれを実行するための権利を確保し、かつ、そのプランを適切に遂行するための十分な経験のある創薬事業の専門人材その他の経営体制を整えることです。**

設立時点での出資割合とは、各関係者がその企業の価値に貢献した結果を反映するものにすぎません。貢献・付加価値＝出資割合という考え方では、出資割合の数字を前提として、貢献度合いを調整するという方向性で考えるものではなく、例えば、出資割合を高くするために経営経験のない研究者が、創薬ベンチャーの代表取締役・CEO に就任する、といったようなことは本末転倒です。創薬ベンチャーに必要なものとは何か、それはどこにあるのか、誰が提供できるのかを適切に把握して、必要なものを揃えた上で創薬ベンチャーを設立することがまず先に立ち、ベンチャー設立時点の各関係者の出資割合は、その結果から自然と導かれるものであるべきです。

研究者の方は、創薬ベンチャー設立に際して、こうした基本的な考え方を踏まえた上で、創薬ベンチャー投資に詳しい専門家とも相談しながら、これから設立される創薬ベンチャーに対する出資の有無や、その額、割合を判断するようにしてください。

4

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

創薬から開発段階を含む医薬品事業においては、知的財産権、特に特許権の確保が重要です。開発から医薬品の上市とその後に至るまで、競合の参入を防ぐことができる独占権を与えてくれる法的な権利が特許権だからです。競合品を排除できる適切な権利範囲を持つ特許権を、将来より長い期間にわたり確保できることができれば、そのことは、創薬ベンチャーの資金調達時の価値評価や契約交渉力に直結します。

この観点から、時系列は少し前後するお話になりますが、製品開発コンセプトを考える（STEP 2 参照）ことと並行して、この STEP で説明する基礎知識や注意点をふまえて、何を、いつ、出願したらいいのか考えましょう。また、長期間にわたって医薬品（製品）を保護できるような特許出願の戦略について考えてみましょう。

特許出願戦略は先を見据えて定める必要があり、また、専門的な内容であることから、タイムリーに専門家（弁理士、弁護士）と相談して定めましょう。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

CHECK① 医薬品にとってなぜ特許が重要なか理解する



CHECK!

創薬ベンチャーにとって、どんな知的財産が重要で、なぜ知的財産権（特に特許）が必要なのかを、まずしっかり理解しましょう。

創薬では、開発した発明に対する「**特許権**」を持つことが極めて重要です。特許権があることで、その発明を一定期間（原則 20 年、医薬品関連は最大 5 年延長あり）独占的に利用できるため、他社による模倣や競合品の開発・販売を防ぎつつ、ライセンス収入の獲得や差別化につなげることができます。逆に、他人に先に特許を取られてしまうと、その技術を使えなくなり、自社の事業展開が大きく制限されるリスクがあります。

創薬ではまた、**未公開の技術ノウハウや試験研究データ**なども大切な知的財産です。これらも大学との技術移転交渉や資金調達の場面で重要な役割を果たします。

医薬品ビジネスにおける「特許」

- = **競合品排他性** 確保を可能にする権利
- = 上市後の**経済的利益**回収の鍵
- = **資金調達**時の評価や契約**交渉力**にも直結

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

CHECK② 複数の特許による医薬品保護のイメージを理解する

CHECK!

医薬品（製品）は、複数の特許で保護されることによってこそ、販売後もより長い期間、競合品の市場参入を防ぐことができ、販売利益の確保、研究開発投資の回収につなげることができます。

特許には「出願から何年」という権利存続期間の年限がある一方、医薬品になり得る創薬シーズ発見から製品化までには長い年月を要するため、最初の1件の特許出願だけでは、十分に長い期間にわたって製品を保護することはできません。開発の過程で得られる多様な技術的知見、例えば有効成分である物質そのものの発明、疾患治療での新たな使い方、効果的な用法・用量などを、順次特許出願し、一つの医薬品を守る特許がより長く続くようにすることで、競合品、後発品の参入をより長い間防ぐことができます。このように、医薬品（製品）の保護のために体系的・戦略的に出願された複数の特許の群が、いわゆる“特許ポートフォリオ”です。

【重要ポイント】

複数の特許出願で医薬品を多重的に保護する“特許ポートフォリオ”構築の重要性

- 出願から原則20年（延長最大5年）の特許権利期間中、権利範囲に入る競合品・後発品の市場参入を阻止できる
- 医薬品開発過程で様々な“発明”が得られる
⇒様々な種類の特許（物質特許、用途特許、用法用量特許、など）の取得が可能
- ひとつの医薬品（製品）について様々な技術的観点から権利化した複数の特許（“特許ポートフォリオ”）を持つことで、より長期間にわたり競合品・後発品の市場参入に対する障壁を構築できる

【特許ポートフォリオによる医薬品保護のイメージ】

例えば…

物質特許①の期間が終了して

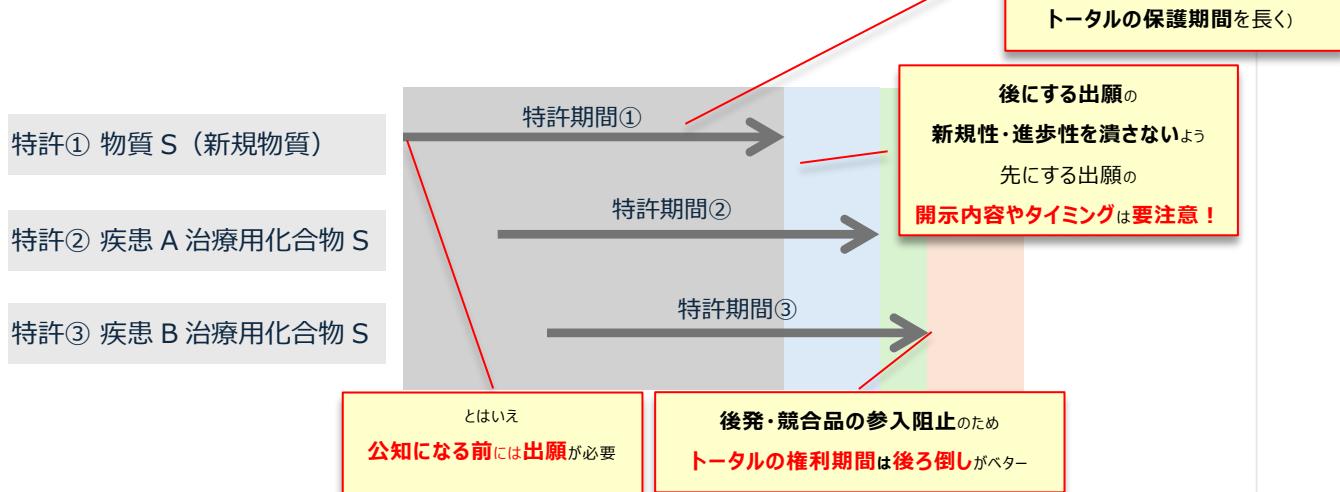
他社が有効成分Sの製造自体はできるようになるとしても

まだ権利期間が残存する用途特許②や③があれば

他社は未だ、疾患A（特許②）やB（特許③）の治療を効能効果とする後発品を販売できません。

ひとつの出願だけでは不十分！

（開発成果は複数特許で保護し
トータルの保護期間を長く）



STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

以下、詳しくみてみましょう。

ひとつの創薬シーズ（医薬品の種となる物質、技術やアイデア）から生まれる医薬品には、いろいろなタイプの発明が関係し、それぞれに対して複数の特許を取るのが一般的です。

医薬品の特許には、例えば、以下に挙げるような種類があります：

- 有効成分である物質そのもの（物質特許）
- 有効成分の製造方法（製法特許）
- 有効成分を特定の疾病治療に使う用途（●●病治療薬など）（用途特許）
- 特定の用法・用量（医薬品の使用方法や使用量など）（用法・用量特許）
- 他の有効成分との併用や配合（併用特許）
- 医薬品としての製剤や有効成分の DDS（ドラッグデリバリーシステム）の工夫（口腔内崩壊錠や徐放製剤など）（製剤特許）
- … など

一般的には、有効成分を特定し、特定の疾患を治療の対象（適応症）とすることで製造販売が承認される医薬品という製品の性質上、物質特許（医薬品の有効成分自体を保護する特許）、用途特許、及び用法・用量特許（医薬品としての用途や使用方法を保護する特許）は、技術的に回避することが困難なクレームとなるため、それ以外の特許（製法特許や製剤特許など）に比べて、製品を保護する効果（特許により後発品参入を防ぐ効果）が高いとされています。

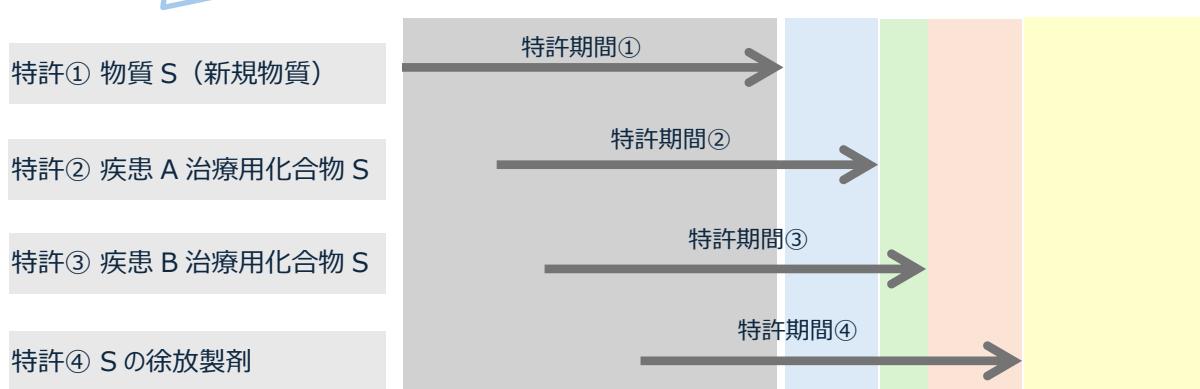
医薬品の開発が進むにつれて、新しいデータが取得され、そのデータに基づき新しい発明が生まれます。新しく生じた発明を、どのタイミングで、どの内容で特許出願するかを考え、製品の発売後も製品が少しでも長く特許により保護されるように、継続して複数の特許を出願し権利化することが重要です。

もちろん、これらすべての種類の特許を、研究初期の段階から、大学、あるいは創薬ベンチャーにおいて出願しなければならないわけではありません。例えば製法に関する発明であれば、製薬会社が製造を検討し始めた後の段階で得られることが多いでしょうし、製剤の工夫などは販売後の改良から生まれる場合もあります。したがって、本ガイドブックの読者がこれらすべてを出願する必要があるという趣旨ではありませんが、ここでは「特許ポートフォリオ」による製品保護の重要性を理解していただくために、医薬品が複数の種類の特許で守られることについて、説明します。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

例えば：

- ・ 新規の物質 S の合成とその生理的な作用の発見に成功し、物質 S に関する特許①が出願
- ・ 続いて、物質 S を疾患 A の治療用医薬品として使えることが見出され特許②の出願
- ・ その後、物質 S が疾患 B にも効果を有することが見出され創薬研究や医薬品開発段階を経て疾患 B 治療用途にかかる特許③が出願
- ・ しばらくして、製薬会社での DDS の改善研究を経て物質 S 製剤の徐放剤化に成功し徐放製剤に関する特許④が出願された場合があるとします。



この場合、特許①が有効な期間は、物質 S を含有したいかなる医薬品も、第三者は一切、販売できません。（灰色部分の期間）

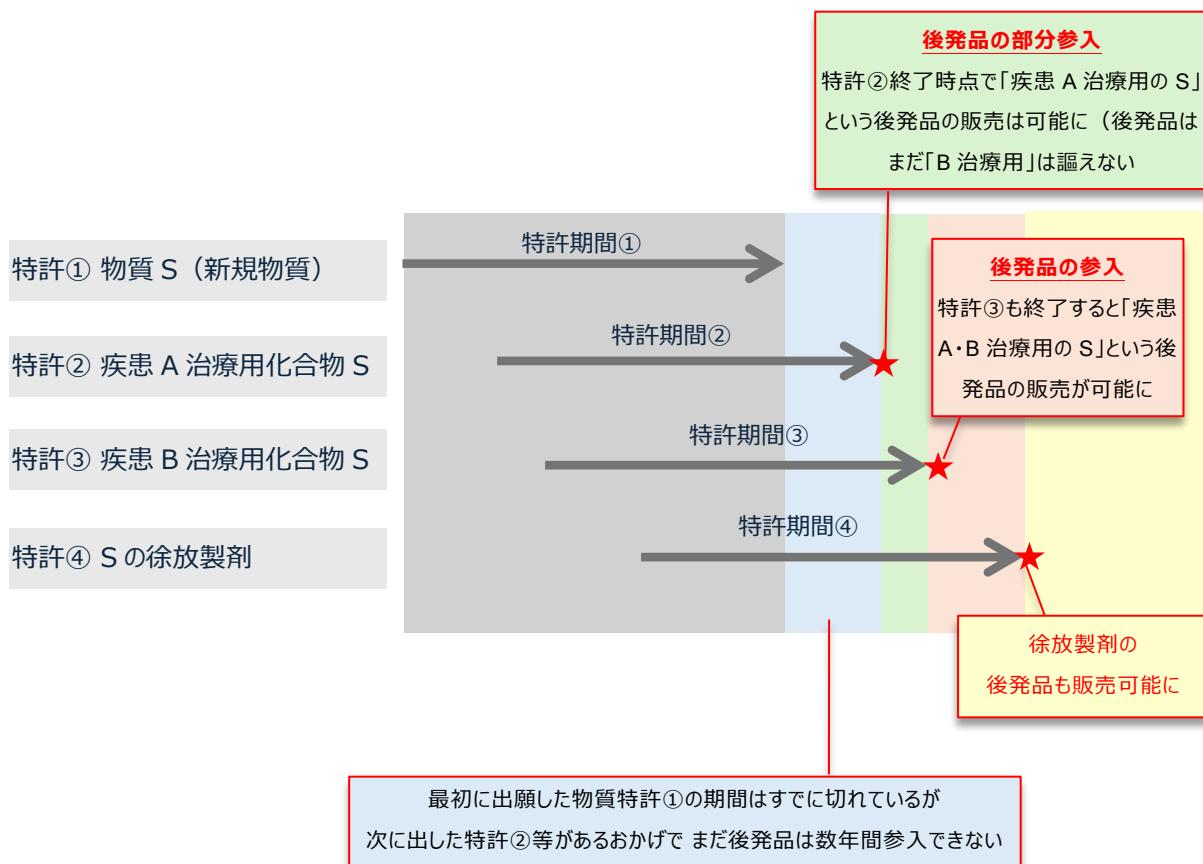
特許①の特許期間満了後も物質 S を用いた疾患 A 用治療薬の特許②、疾患 B 用治療薬の特許③があるため、疾患 A や B の治療を効能効果とする物質 S 含有医薬品（後発品）が市場に出てくることは難しいでしょう。（青色部分の期間）

特許②の特許期間が切れた後は、疾患 A 治療用の物質 S 含有後発品の市場参入には特許障壁がなくなりますが、特許③が残っているので B 治療用の効能効果を謳った物質 S 含有医薬品の後発品はまだ販売できません。（緑色部分の期間）

その後、特許③の特許期間が終了すると、疾患 A 及び疾患 B の治療用の物質 S 含有医薬品の後発品の販売が可能になります。ただし、まだ特許④が残っている間は、後発品メーカーは、徐放製剤形態の物質 S 含有医薬品の後発品は販売することはできません。（ピンク色部分の期間）

さらに時間が経ち、特許④の特許期間も終了するようやく、物質 S 含有医薬品の徐放製剤の後発品の上市についての特許的な制約が何もなくなります。（黄色部分）

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える



一方、ここでもし：

- 本当は特許②や特許③も取得したかったのに、最初の特許①を出願するときに、うっかり明細書の中に、疾患 A や B に関する事項を中途半端に記載して公開してしまった
- そのため、のちに臨床試験データ取得後に特許②・③を出願してみたものの、新規性・進歩性が否定されてしまい、特許②、③が取得できなかった

という場合だったらどうでしょう？

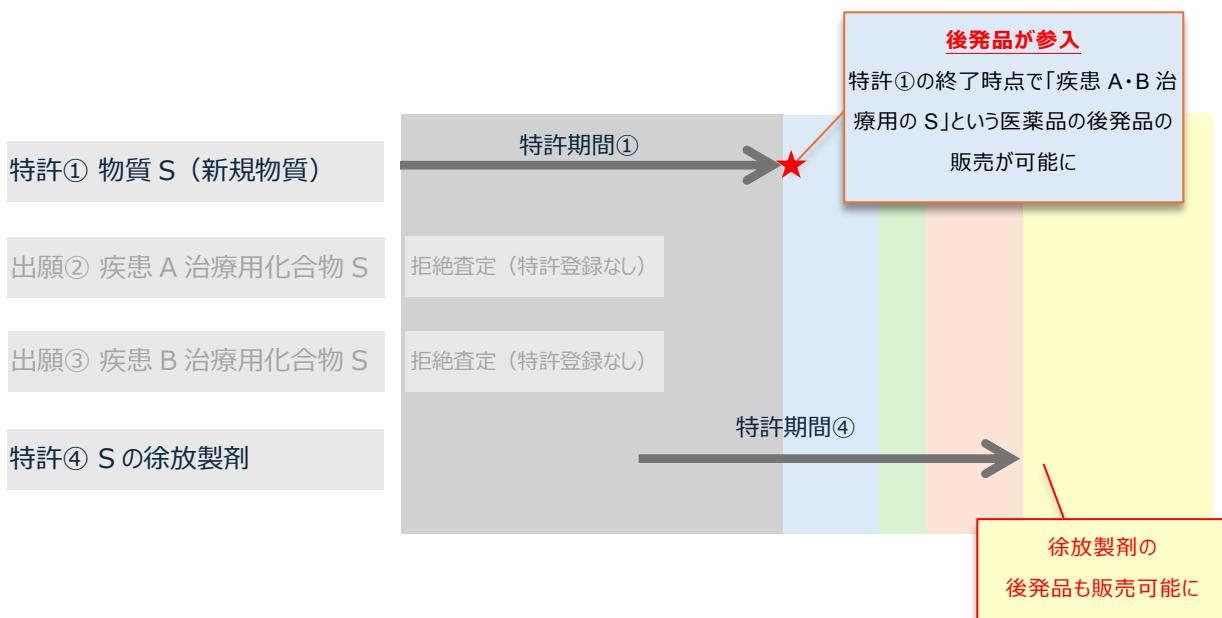
この場合、疾患 A 及び疾患 B の治療用の S 含有医薬品の後発品は、特許①が終了した時点で市場参入可能となります。

この場合も、もし特許④が登録されていれば、徐放製剤の形の後発品は、特許④の終了まで販売できません。

とはいっても、特許②、③が登録できていた場合と比べると、数年単位で早いタイミングで後発品（疾患 A・B 治療用の後発品）の参入を許すことになっていることがわかります。そのことで失われる先発薬の売上・利益は巨額です。

このように、同じ「物質 S を含有する医薬品」についてであっても、医薬品のライフサイクルを通じてその売上を最大化できるような出願戦略に基づく複数の特許を**体系的な特許群（ポートフォリオ）**として有していることにより、「物質 S を含有する医薬品の後発品」に対する、多重の、より長い期間にわたる、市場参入障壁を築くことができます。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える



!コラムーもっと詳しく!

■後発品の市場参入障壁 = 特許期間 + 再審査期間

上記では、特許権があることによって後発品の市場参入を防げるという話をしました。

実際には、先発医薬品の特許ポートフォリオによって形成される参入障壁に加えて、薬事上の規制等により後発品の承認申請時に先発医薬品の承認データを利用できないことから後発品の参入が妨げられることになる期間（日本では「再審査期間」といいます。）もありますので、先発医薬品の独占期間を構成する要素は特許期間だけではありません。

しかし、たとえ再審査期間が終了しても、特許権がまだ残っていれば、その特許の権利範囲内の後発品は参入できませんから、いずれにせよ、特許が医薬品の市場独占・排他性の中核を担う重要な要素であることに相違はありません。

次の CHECK③で説明するとおり、出願は早いほど良いわけではありません。とはいっても、物質特許（特許①）は、その物自体が公知になる前には出願しておく必要がありますので、遅かれ早かれ初期的な段階で物質特許（特許①）を出願せざるを得ません。一方で、医薬品の開発においてはその後も、非臨床試験や臨床試験の実施など、長い時間を費やすなければならないことから、医薬品が販売に至り、更には再審査期間が切れる頃までには、最初の頃に出願した物質特許の特許は既に満了している、ということは珍しくありません。

その場合であっても、もし、二の矢、三の矢で出願された複数の特許が残っていれば、それらの特許によって後発品の市場参入を数年単位で遅らせることができ、利益確保につなげることができます。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

!コラムーもっと詳しく!

■特許出願から登録までの手続フロー

特許出願をすると、どんなステップを経て、どれくらいのタイミングで登録に至るのでしょうか？
以下が、基本的な流れになります。（注：★印をつけた部分が出願人側で行うステップです。）

1. 日本での特許出願について（★）

- (1) 方式審査 … 特許庁が出願の形式面をチェックします
- (2) 出願公開 … 出願から原則 1 年 6 ヶ月後に出願内容が公開されます
- (3) 出願審査請求（★） … 出願人が実体審査の開始を請求します（出願日から 3 年以内）
- (4) 実体審査 … 特許庁が出願の内容面を審査します。通常、特許庁との間で次のようなやりとりが何度か行われます。
 - ・ 拒絶理由通知 … 特許庁が、このままでは特許を登録できないと考える理由（拒絶理由）を出願人に通知します（例えば、先行技術と比較して新規性が欠如する、進歩性が欠如する、など。）。
 - ・ ★意見書／手続補正書の提出 … 出願人が、拒絶理由がないことを説明し、あるいは拒絶理由を回避する方向で請求項の記載を補正する、などの対応を行います。
- (5) 特許登録可否の決定
 - (ア) 特許査定 … 特許登録を認めると判断場合、特許庁は特許査定をします。その後、出願人が特許の登録料を納付（★）すると、設定登録が行われ、晴れて特許権が取得できます！
 - (イ) 拒絶査定 … 拒絶理由が解消せず特許登録は認められないと判断された場合、特許庁は拒絶査定をします。出願人は、査定不服審判請求をしてこの判断を争う（★）こともできます。
- (6) 特許の設定登録～権利期間の終了 … 特許期間の終期は原則として出願日から 20 年です。ただし、例えば特許の維持年金を納入（★）しないと権利期間は早期に終了してしまいます。医薬品に関する特許は医薬品の承認に基づき延長登録申請（★）をすると最大 5 年延長される場合があります（所定の延長要件を満たす場合）。

※1 特許庁ステータスレポート 2025 第 2 部 2023 年の施策成果 第 1 章審査・審判

（<https://www.jpo.go.jp/resources/report/statusreport/2025/document/index/0201.pdf>）

2. 国外での特許出願について（★）

以上は日本国特許の出願手続きについての説明ですが、どの国の特許出願も大まかな流れは共通です。
また、複数の国で特許を取りたい場合、一つの出願手続によって多数の国での特許申請ができる特許協力条約（PCT）に基づく国際出願（以下「PCT 出願」といいます。）という手続きを使って出願する場合がしばしばあります（※2）。

※2 PCT 出願以外の国際出願の方法としては、(i) 発明の保護を希望する国に対して、直接、個別に特許出願を行う方法、又は、(ii) パリ条約加盟国に特許出願した後に、他のパリ条約加盟国に対して、最初の特許出願の出願日（優先日）から 12 ヶ月以内にパリ条約による優先権の主張を伴う特許出願を行う方法（「パリルート」と呼ばれます。）、があります。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

PCT 出願を利用する場合、おおまかには次のような流れで審査・登録が行われます。この手続きの大きなメリットは、出願時にはある一国の言語で出願を行えばよく、最終的にどの国で出願・権利化をするかの選択と各国の言語の訳文の準備を 30 カ月後まで引きのばせることにあります。

- (1) 「PCT 出願」 … PCT 出願を、PCT 締結国のどこか一つの国（例えば日本）の特許庁に、その国の言語で提出します。
- (2) 「国際調査」 … WIPO（世界知的所有権機関）から、先行技術の有無の調査と、その発明が進歩性・新規性等の特許要件を備えていそうかの見解を記した、国際調査報告・国際調査見解書を提供されます。
- (3) 「国際公開」 … 出願から原則 18 ヶ月後に出願内容は公開されます。
- (4) 「国内移行」
 - ① 出願人は、出願から 30 カ月以内に、権利化を希望する国・地域を決めてこれらの国・地域への「国内移行」を行います。移行対象国に応じた出願書類の翻訳文の提出が必要です。
 - ② 移行対象国・地域は、国際調査(上記(2))の内容も参考に、権利化の見込み、事業の予定、出願・登録に要する費用とのバランスなどを考えながら決定します。
 - ③ 国内移行した後は、それぞれの国で、通常の国内出願と同様に審査、登録が進みます。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

？コラムーもっと詳しく！

■特許の出願から登録・維持にかかる費用

特許をとるには、何について、どの段階で、どれくらいの費用がかかるでしょう？

日本国出願の場合

(1) 庁費用（出願・登録・維持）※1

- ・出願印紙代：出願 1 件につき 14,000 円
- ・電子化手数料（書面で出願した場合）：1,200 円 + 書面枚数 × 700 円
- ・審査請求料：138,000 円 + (請求項の数 × 4,000 円)
- ・特許料：

第 1 年から第 3 年まで	毎年 4,300 円 + (請求項の数 × 300 円)
第 4 年から第 6 年まで	毎年 10,300 円 + (請求項の数 × 800 円)
第 7 年から第 9 年まで	毎年 24,800 円 + (請求項の数 × 1,900 円)
第 10 年から第 25 年まで ^注	毎年 59,400 円 + (請求項の数 × 4,600 円)

[注：第 21 年から第 25 年については、延長登録の出願があった場合のみ]

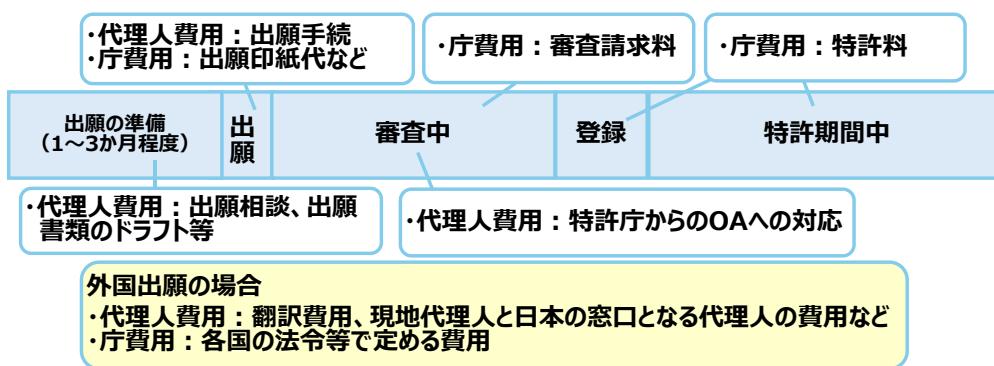
(2) 代理人費用

弁理士報酬：平均 25～35 万円（標準的な特許出願（明細書 15 頁、請求項 5、図面 5 枚、要約書 1 枚）の場合）※2

外国への出願も行う場合

外国への出願も行う場合も、①庁費用（PCT 出願を行う場合は国際出願手数料※3、また権利化を希望する各国での出願手数料、登録・維持費用等）と、②代理人費用（現地代理人費用と、日本国内で窓口を行ってもらう代理人の費用）がかかり、それに加えて、③書類を出願各国の言語に翻訳する費用（代理人に翻訳しもらう場合は代理人費用に翻訳代が含まれる場合もある）もかかります。

庁費用の計算の仕方は出願対象国によって異なりますが、請求項や書面の枚数が多い方が増える仕組みは概ね同様です。代理人費用も国や事務所によって異なり、日本よりも費用相場が高い国もしばしばあります。複数の外国にも特許を出願、権利維持するとなると、（対象国の数にもよりますが）数百～千万円単位の金額になり得ます。



※1 特許庁 Web サイト「産業財産権関係料金一覧」

(<https://www.jpo.go.jp/system/process/tesuryo/hyou.html#tokyoryou>)

なお、庁費用のうち、審査請求料、特許料（第 1 年分から第 10 年分）、PCT 出願に係る手数料については、一定の要件を満たしたベンチャー企業に対する減免措置が設けられています。

特許庁 Web サイト「特許料等の減免制度」(<https://www.jpo.go.jp/system/process/tesuryo/genmen/genmensochi.html>)

※2 日本弁理士会 Web サイト「よくあるご質問 Q6. 出願に必要な費用はどのくらいでしょうか？」

<https://www.ipaa.or.jp/faq/q6/>

※3 特許庁 Web サイト「国際出願関係手数料表」(<https://www.jpo.go.jp/system/patent/pct/tesuryo/kokuryo.html>)

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

CHECK③ 特許出願は常に早い方が良いとも限らない



CHECK!

特許は、論文や学会発表などで成果を発表する前に出しておくことが基本です。発表等をしてしまうと、その内容が「すでに知られているもの」とされて新規性が認められなくなったり、「すでに知られた内容から容易に思いつく（想到する）ことができたもの」として進歩性が認められないなどして、特許を取れなくなる可能性があるからです。これは大学などでもよく知られているルールでしょう。

ただし、創薬ベンチャーの場合、「発表前に出願しておけば良い」という考え方だけでは十分とはいえない。もう一步進めて、「特許出願することになる特許、すなわち製品を多面的に守る特許ポートフォリオへの影響」にも目を向けていただきたいのです。

開発過程を通じて出てくる色々な発明について、複数の特許を出願して「ポートフォリオ」を構築することが大切だと述べました。

このとき、特許法上のルールとの関係で、先に出す出願の内容やタイミングについて、後に出す出願の権利化の可能性をつぶさないように気を付けるべき事項が出てきます。

特許法上のルールに、次の3点があります：

- ① 公知（＝新規性×）になる前に出願しないと特許がとれない
- ② 公知の内容から容易に想到できるもの（＝進歩性×）は特許がとれない
- ③ 出願の内容（クレーム（＝権利範囲）だけでなく、明細書の記載内容を含む）は公開＝公知化されてしまう

つまり、先の出願の中でデータ不十分なまま中途半端に「あり得る用途等」について言及し、公開されてしまうと後日の出願で用途等について特許権をとろうとしたときに新規性・進歩性が否定され、将来、特許ポートフォリオを戦略的に構築できなくなってしまうリスクが生じてしまします。

そのため、出願するときは「とりあえず出願しておく」ではなく、将来のことも考えた上で、どの情報を出願に使うかを考えておくことが大切です。

また、新薬の開発は、製品を上市できるまでに10年以上かかることも珍しくなく、開発期間が長くかかった場合には、当初出願した医薬品の有効成分についての物質特許の特許期間（原則20年、延長されても最長25年）が、製品の販売の開始後すぐに（数か月～数年で）、満了して特許権が消滅し、製品を保護する特許が何も残っていないという事態も生じ得ます。そのような場合には、後発品の参入を防げず、新薬を独占的に販売して利益を回収するための期間が短くなり、得られる利益が減ってしまうことになります。このように当初出願した物質特許が販売開始後の製品を十分に保護することができない場合には、製薬企業への製品の導出の際にも対価を安く評価されることや、ロイヤルティ期間が短いことで創薬ベンチャーの得るロイヤルティ収入の総額が低くなるといったリスクが想定されます。

製品を保護する特許群の、最終の権利期間が終了するのが遅いほど、競合参入障壁をより長く確保できることになりますから、この観点でも、焦って出願することが常に得策であるとは限りません。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【重要ポイント】

特許出願のタイミングは早いほど良いとは限らない！

特許出願の基礎知識

- ①公知（＝新規性×）になる前に出願しないと特許がとれない
- ②公知の内容から容易に想到できるもの（＝進歩性×）は特許がとれない
- ③出願の内容（クレーム（＝権利範囲）だけでなく、明細書の記載内容を含む）は公開＝公知化されてしまう

要するに…？

先の出願の中でデータ不十分なまま中途半端に「あり得る用途等」について言及し公開してしまうと後日の出願で用途等について特許権をとろうとしたときに新規性・進歩性が否定され特許ポートフォリオ構築ができなくなるリスクもある

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

・コラムーもっと詳しく：

■ 特許の基礎知識：権利範囲と公開範囲

特許出願や登録の要件、先に出願された発明との関係での特許性判断などには複雑なルールがあり、医薬品の発明については、専門の弁理士・弁護士に相談しながら個別に戦略を立てるのが基本です。

とはいっても、最低限の知識として「特許の権利範囲」と「出願によって公開される範囲」の違いを理解しておくと、いつ・どのような内容を出願するか戦略的に判断するための土台になります。

■ 特許の「権利範囲」はクレームにより決まる

特許出願では、「明細書」と「特許請求の範囲（クレーム）」などを提出します。このうち、他者の実施を排除しうる「特許権の効力」が及ぶのは、クレームに記載された発明のみです。

つまり、明細書に書かれてもクレームに書かれていなければ、その部分には権利が及びません。

クレームの書き方ひとつで、将来の競合品に対して適切に差止や損害賠償を請求できるか、立証が容易かどうかなどが左右されます。そのため、クレームは発明の技術的特徴をどう表現するか慎重に検討する必要があります。

■ 特許出願の内容は原則 1 年半後に公開される

もうひとつ重要な点は、出願の内容が、出願から原則として 1 年半後に公開される、ということです。公開の対象はクレームだけでなく、明細書や図面など、出願書類全体です。

この公開情報は、その後に出される他人や自分自身の出願にとって、新規性や進歩性を否定する根拠となる可能性があります。たとえば、先の出願の明細書に書いておいた対象物質の用途や構造が、後で自分で出した出願の審査で「すでに公知」とみなされるリスクがあるのです。これはいわゆる「自己衝突」の典型例です。

権利の範囲 = 請求項（クレーム）に記載された発明 = 特許発明のみ

情報が公開される範囲 = 請求項に記載された発明の内容
+ 明細書の記載 (i.e. 実施例や比較例、データ、図表など、そこに記載されている内容すべて)

■ 「どのタイミングで、どこまで公開するか」は重要な戦略

したがって、出願のタイミングや、明細書にどこまでの情報を含めておくかは、ターゲット・プロダクト・プロファイル（TPP）に沿った製品イメージと、創薬研究や医薬品の開発計画、それに沿った将来の出願計画を見据えて、戦略的に設計する必要があります。

一方で、出願クレームを特許として成立させるために必要な実施例・データなどは、明細書にしっかりと含める必要もあるため、情報の取捨選択には専門的な判断が求められます。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

◆コラム－もっと詳しく！

■特許の基礎知識（+a）：特許が認められるための要件

出願した発明（請求項（クレーム）に記載の発明）が、所定の要件（特許要件）を欠くと、特許が付与されません。特許要件の主なもの（全てではありません）として次のようなものがあります。

- ・ 「**新規性**」：発明（請求項（クレーム）に記載された発明）と同じものが出願時以前から存在していた（公知文献に書かれていた、公然と実施されていた事実がある、等。）場合は、発明が「新規性」を欠くものとして特許されません。
- ・ 「**進歩性**」：出願時以前から存在していた先行技術（公知文献に書かれていた技術、公然と実施されていた技術、等。）と、同一ではないものの、そこから容易に想到することができたであろうといえる場合は、発明が「進歩性」を欠くものとして特許されません。

：「出願は対外発表の前に！」と言われるのは、対外発表によって発明が公知技術になり**新規性**を喪失してしまう、あるいは対外発表により公知になった内容に基づいて出願した発明に想到することが容易だったはずといわれてしまう（**進歩性**の否定）事態を防ぐためです。

- ・ 「**記載要件**」：請求項（クレーム）や特許明細書の記載の仕方に関する特許要件です。諸々の記載要件がありますが、ここでは「サポート要件」と「実施可能要件」を説明します。
 - 「**サポート要件**」は、特許発明（請求項（クレーム）に記載する発明）は、明細書に記載する発明の詳細な説明に記載した範囲を超えてはいけない、というルール（要件）です。
 - 「**実施可能要件**」は、明細書の発明の詳細な説明は、請求項に記載の発明について、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ければならない、というルール（要件）です。

：例えば、明細書に記載する**薬理データ**が特許発明としてクレームに記載された内容を十分にサポートしていない、と判断される場合、サポート要件違反として特許性が認められないことがあります。また他の例として、クレームでアミノ酸配列が特定されていない中和抗体の発明について、そのような抗体は明細書の記載で本当に裏付けされているのか（サポート要件）、明細書の記載を見た当業者がそのような抗体を実施することができるのか（実施可能要件）が、審査過程や、後日紛争で特許の有効性が争われたときに、論点になる場合があります。こういった場合、発明の**実施例のデータ**や、抗体の**作用機序**や**スクリーニング方法**などの具体的な記載が充実していると、これらの要件の充足性判断にプラスに働くでしょう。

：このように、特許出願の際に、**明細書に盛り込める内容としてどの程度のデータが集まっているか**ということは、どのようなクレーム（＝権利範囲）で特許がとれるか、ということとも関連してきます。

また、出願審査の過程で特許庁審査官から特許要件を欠く旨の指摘を受けた場合、指摘事由（拒絶理由）を回避して特許を受けるためにクレームの内容を修正（補正）することができますが、そもそも出願時の明細書の中に書いておかなかった内容はクレームに盛り込むことができません。この観点からも、**出願時に明細書に盛り込む内容・データ**をある程度充実させておくことは重要です。

- ・ 「**産業上利用可能性**」：例えば、発明が、手術、治療、診断方法（いわゆる医療行為そのもの）である場合は「**産業上利用可能性**」の要件を欠くものとして特許になりません。

：医薬品の用法・用量に関する発明や、人から採取した試料を同一人に戻す方法などに関する発明などは特に、医療行為そのものと判断されないような表現でクレームを記載する必要があります。（クレームの書き方次第で特許になりますので弁理士に相談しましょう。）

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

CHECK④ 特許ポートフォリオの構築を意識した出願を考える



CHECK!

CHECK ③で説明したように、医薬品のライフサイクル（新医薬品（先発医薬品）の上市から製造・販売の終了までの販売推移）について、特許出願等の戦略を考えてその期間中の売上・利益の最大化をはかるようマネジメントすることを、**ライフサイクルマネジメント**といいます。

特許戦略面では、より長い期間にわたって、後発品の参入を防げるような特許期間が続くようにするためには開発の進行に応じてどのような技術内容の特許を先々、出願してゆけば良いのか、後々の出願がきちんと登録されるようにするためにには、現時点で何をすれば良いか（あるいは、何をしないよう気を付けておくと良いか）をイメージしておくことが重要です。

(1) 将来の添付文書を意識し、そこから逆算して特許出願を考えてみる

ターゲット・プロダクト・プロファイル (TPP) は、開発対象の医薬品が目指す製品としての特徴（プロファイル）を示すものであり、医薬品の研究開発の羅針盤となるものです。STEP 2 では、大学発の創薬シーズを医薬品として開発する際、比較的初期の段階から、TPP につながる大まかなビジョンを持つことが大切だというお話をしました。そのようなビジョンとして、医薬品の添付文書をイメージするとわかりやすいでしょう。

将来、添付文書において記載されることになる、物質（有効成分）や、効能・効果、用法・用量、剤型、投与経路などのプロファイルは、まさに、その医薬品の開発内容に直結するものだからです。

医薬品には様々なモダリティがあり、具体的にどのように特許クレームや明細書を書くと、特許性が認められやすく、登録されやすいか、といった、細かい意味での戦略や考慮要素はモダリティごとに異なりますが、医薬品としての特許ポートフォリオを構築するうえでの大きな考え方と戦略は、共通です。

つまり、医薬品の開発を進めるなかで、創薬シーズとなる物質の医薬品としてのプロファイルに関する技術的知見が蓄積されていきます。通常はまず物質としての創薬シーズが見い出されてその物質そのものに関する特許（例：低分子化合物 S、抗原 X に結合する抗体 Y、等）が始めに出願され、その後、その物質の用途の開発、つまり対象疾患や用法・用量についての開発が進み、それらの用途に関するデータや知見を得られる都度、複数の用途特許の出願を行い、場合によってはさらに追加効能に関する用途の開発も進めて二の矢、三の矢の用途特許を出願するといった具合に、医薬品開発と特許出願とを並行して進めます。

- 対象物質そのもののモダリティや性質 ⇒ 物質特許
- 効能・効果（ターゲット疾患） ⇒ 用途特許（対象疾患の治療用途に関する）
- 用法・用量 ⇒ 用途特許（用法・用量に関する）
- 剤型 ⇒ 物質特許（当該剤型の剤）や 製法特許（当該剤型の製法）など
- 併用薬とのコンビネーション ⇒ 用途特許（併用に関する）
- コンパニオン診断型治療 ⇒ 用途特許
- 対象患者群の限定 ⇒ 用途特許

このように、開発過程で得られる各種の技術的知見を、順次、複数の特許出願に発展させ、積み重なった特許ポートフォリオを構築することで、より長く続く特許網（特許による独占期間）を作ることが、特許出願戦略策定のゴールになります。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

特許網が全体として少しでも長続きするよう、「後に出願することになる新しい用途等の特許」がきちんと特許として登録される道を閉ざさないようにするために、上記でも説明したとおり、「先に出す特許の出願の中に、後に出すことになるであろう（用途等の）特許の特許性（新規性・進歩性）を潰してしまうような内容を記載して公開してしまわないように気を付ける」ことが重要です。

なるべく将来まで**長続きする特許群（特許ポートフォリオ）**をつくる



「**将来**出願することになる新しい用途等の特許」が
登録される道を閉ざさない



【今、重要なことは】

特許の出願の中に
**後に出す（用途等の）特許の
新規性・進歩性を潰しかねない内容を記載しない
よう考えてから出願する**

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

・コラムーもっと詳しく！

■複数の特許出願と出願タイミングの豆知識

医薬品の特許ポートフォリオを作るには、時間を前後した複数の特許出願を出していくことになります。このとき、出願の順番やタイミングによっては、特許法上のルールのために、先に出した出願が後に出了出願に影響を与え、後に出了出願が特許を得られなくなってしまうことがあります。当初想定していた特許ポートフォリオが組めなくなるリスクがあります。

ここでは、そういう先後の出願に関する特許法上のルールのうち、特に重要で、かつ、基本的なルールをいくつか簡単に紹介します。これらのルールの細かい内容をすべて覚える必要はありません。ただ、**先の出願と後の出願に関する様々なルールがあるために、特許出願を行う際に、出願の内容に何を書くこと・書かないことに対するかの考慮や、出願のタイミングを図ることが、非常に大切である**、ということだけは覚えておいてください。

詳細は個別の状況によって異なるため、実際には専門家（弁理士等）と相談しながら出願戦略を練りましょう。

心に留めておきたい出願タイミングに関する特許法上のルール

- 先に出した特許出願（出願1）が公開されてその内容が「公知」になると、後に出了特許出願（出願2）は、出願内容によっては「新規性がない」とされて権利取得できないことがあります。
- また、先に出した出願1の公開前に、次の出願2を出したとしましょう。公開前なのでまだ出願1の出願明細書に書いた内容は公知になっていませんが、それでも、出願2で権利化しようとするクレーム（特許発明）の内容が出願1の明細書に書いてあった内容を含むと、権利取得できない場合があります（拡大先願（特許法29条の2））。（専門的な話になりますが、日本ではこのような場合、出願1と出願2の発明者・出願人が同一なら救済措置があり得ますが、そういう救済措置がない国もありますから、いずれにせよ注意が必要です。）

⇒ 早くに出願1を出しすぎてしまい、しかもその中で余分な内容を開示しすぎてしまうと、その後の自身の出願・特許化への道を閉ざすことになります。

- 先に出した出願1から1年以内に、より詳しいデータを載せた出願2を行うことで、発明の新規性や進歩性の判断に関して「あたかも最初の出願時点で既に出願していたかのように扱ってもらえる」制度もあります（国内優先権制度（特許法41条））。

⇒ 1年以内という期限があるため、将来的な追加データの見通しを持っておくことがカギになります。

！重要ポイント！

「論文発表の前に早く出願してしまわねば」等と思ったときも
一度立ち止まって考えましょう

目先の発明だけでなく
今後得られる可能性のある研究成果（追加データや改良形など）
も視野に入れた出願戦略が重要です

焦って出願をすると
後に続く発明が特許にならなかったり
狭い範囲の権利しか取れなくなったりすることがあります

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

(2) 事例でみる出願戦略の考え方

ここで、これまでに世に出た医薬品を例にとって、添付文書を意識した特許ポートフォリオと出願戦略のストーリーをいくつかご紹介します。

低分子医薬と抗体医薬から、次の3つの医薬品をとりあげ、それぞれの製品に関して、どのような内容の特許が、どのタイミングで出願されていたか、それによりいかに売上・利益の拡大がはかれているか（すなわちライフサイクルマネジメント）をみてみます。そして、各製品に関する出願戦略の成功のポイントをさぐるとともに、もし異なる出願戦略をとっていたらどうなっていたかも考察します。

また、各製品の添付文書を表示し、どの記載項目がどのようなタイプの特許出願に結び付くかイメージしていただくとともに、物質特許や用途特許の請求項（特許クレーム）の実例もご紹介します。

（単純化のために、日本の特許にフォーカスして解説しています。）

加えて、4件目の事例紹介として、比較的新しい分野である細胞治療関係の特許についても、実例を交えながら、細胞の「物質特許」の取得や、モダリティに応じた出願戦略の考え方を検討します。

- **事例1 シアリス®錠（タダラフィル）（低分子化合物）：**

物質特許と用途特許を順次出願することで、独占的な販売期間の延長に成功した事例

- **事例2 ヘムライブラ®（エミシズマブ）（抗体）：**

研究開発の初期段階から製品の上市後に至るまで段階的に構築された良好な特許ポートフォリオの事例

- **事例3 エンタイビオ®（ベドリズマブ）（抗体）：**

再審査期間の満了後に権利範囲を回避することが難しい内容で成立した用途特許によりBS品の参入時期を遅らせることが見込まれる事例

- **事例4 細胞治療関係の特許取得事例：**

細胞治療に関する特許の取得例の紹介

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

事例 1

シリス®錠（タadalafil）

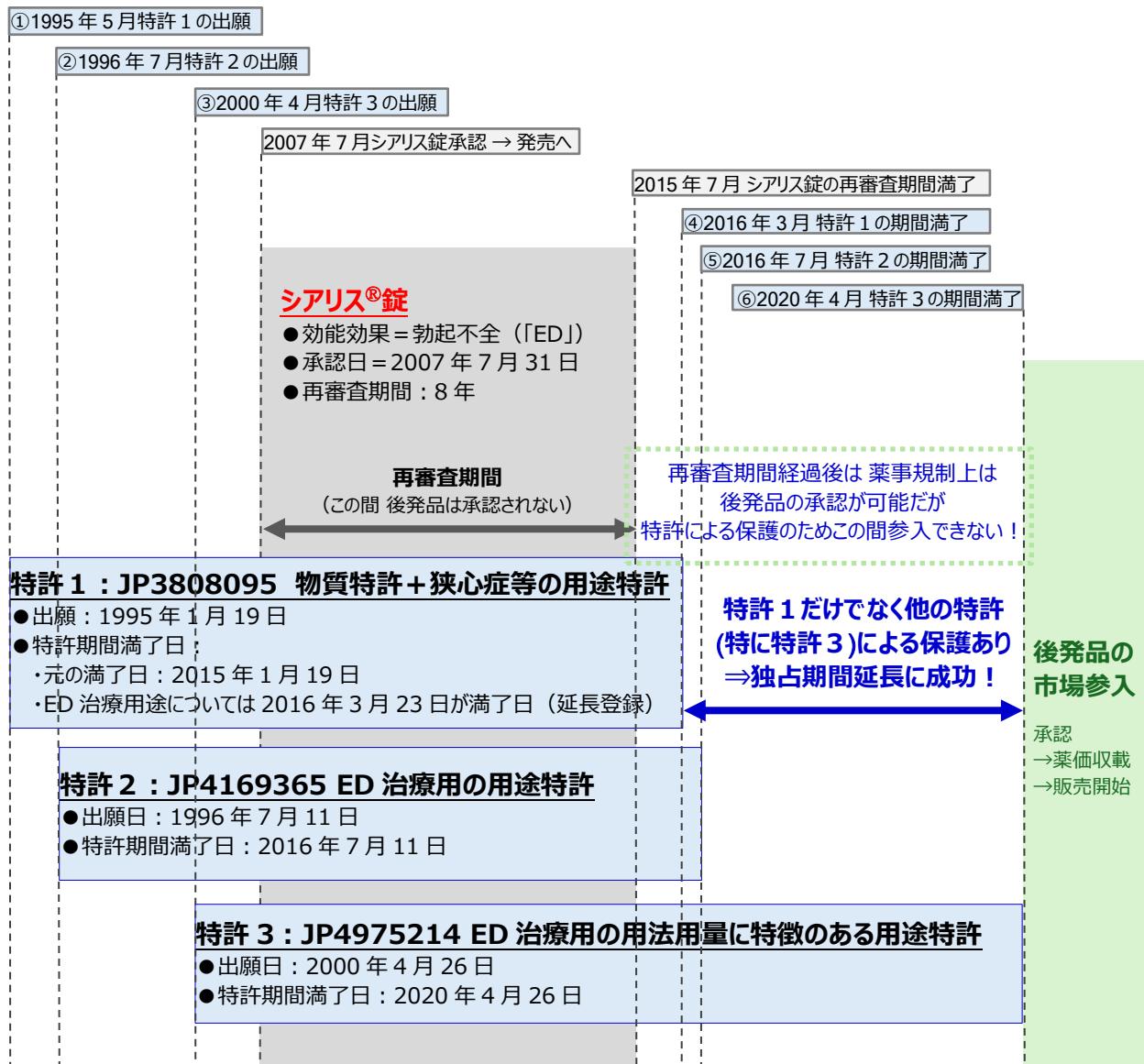
モダリティ：低分子化合物

シリス®錠は、ホスホジエステラーゼ 5（PDE 5）阻害作用を有する化合物タadalafilを有効成分とする勃起不全（ED）の治療薬です。当初は降圧薬として開発が始まりましたが、その後、EDへの効果が見いだされ製品化されたものです。タadalafilの開発はアイコス社で開始され、特許 1、特許 2 は同社が出願し、その後アイコス社とイーライ・リリー社はジョイントベンチャーのリリー・アイコス社を通じてタadalafilを共同開発（特許 3 はリリー・アイコス社が出願）しました。シリス®錠の承認申請は日本イーライリリー社が行い 2007 年に承認を取得^{*}し、その後、アイコス社は同年イーライ・リリー社に 21 億ドルで買収されました。

物質特許と用途特許を順次出願することにより、他社の参入時期を遅らせ、独占的な販売期間の延長に成功した事例として、シリス®錠の事例をご紹介します。

* その後承認は現・製造販売者の日本新薬株式会社に承継。

【シリス錠®のライフサイクルマネジメント】



STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

●関連特許に関する時系列

- ① 1995年5月：有効成分物質タダラフィルが見いだされ、その**物質特許（特許1）**を出願
- ② 1996年7月：タダラフィルの**ED治療用**としての用途に関する**用途特許（特許2）**を出願
- ③ 2000年4月：タダラフィルの**ED治療用の用法用量**に関する**用途特許（特許3）**を出願
- ④ 2016年3月：特許1が満了
- ⑤ 2016年7月：特許2が満了
- ⑥ 2020年4月：特許3が満了 ←★後発品（効能効果や用法用量の設定は先発品と同じであるのが基本）の**ED治療薬**の市場参入が可能に

●出願戦略成功のポイント

このケースでは、有効成分そのものを保護する物質特許に加え、効能効果および用法・用量に関する用途特許を段階的に取得することで、後発品の参入を長期にわたって効果的に抑制しています。

まず、開発初期段階で有効成分タダラフィルをカバーする物質特許（特許1）が出願されました。その後、開発の進展に合わせて、タダラフィルの具体的な適応用途および使用方法に関する複数の用途特許が順次出願されています。具体的には、勃起不全（ED）治療という用途をクレームした特許（特許2）と、添付文書上の「用法・用量」に対応する特許（特許3）です。

特許1は、タダラフィルという化合物を用いた製剤全般を排除することができますが、特許1だけでは2016年3月までしか独占期間が続きません（上記④）。

一方、特許2と特許3の権利範囲は、タダラフィル製剤のうち、対象疾患への治療用途や投与設計のみを権利範囲とする用途特許ですが、後発品の効能効果や用法用量の設定は先発品と同一とならざるをえないことから、特許2や特許3の回避は事実上不可能です。結果、後発品は、2020年4月に特許3の満了によって特許ポートフォリオ全体の特許が満了するまで市場参入が不可能となります。この最終満了日（上記⑥）は、物質特許（特許1）の満了（上記④）から4年1か月後にあたります。この約4年間の追加的な独占期間により、先発品は推定で約70億ドル規模の売上を維持できたとされます。

物質特許だけに依存せず、用途・用法特許を組み合わせたことで、より長期間の市場独占性を実現しているところが成功のポイントです。

？コラムーもっと詳しく！

■用法用量特許取得の難易度

この事例紹介では用法用量特許を交えた特許ポートフォリオの実例をご紹介していますが、用法用量を特徴とする用途特許を取得することが必ずしも簡単というわけではありません。

特許をとるためにには、新規性（従来にない新規のことであること）に加え、進歩性（従来ある技術から容易に想到できること）も認められる必要があります。特定の疾患に対して特定の用法用量で使用されている低分子医薬では、新たな用法用量の設定範囲において進歩性を基礎づけるような予期せぬ効果や顕著な効果が認められるケースは必ずしも多くありません。とともに、上で紹介したタダラフィルの事例の特許3では、有害な副作用の発生を最小限に抑えつつ所望の薬効を発揮できる点について予期せぬ効果が認められ、用法用量特許（特許3）の取得に至りました。

また、近年整備が進んできた臨床試験・治験に関する情報（対象疾患、使用薬剤、投与量等の情報）の開示・登録制度も、特許の新規性・進歩性に影響を与える要素です。こうした制度を通じて公知となった情報を踏まえると、用法用量特許は従来に比べて取得しにくくなる傾向にあるともいえるでしょう。

どのような種類の用途特許を狙うべきかという出願戦略は、こうした制度的・実務的なトレンドの影響を受けることもありますので、専門家（弁理士等）の助言を得ながら検討することが重要です。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【▲もしも異なる出願戦略を選択していたら…?】

特許 1 を出願する時点では、タダラフィルの ED 治療薬用の用法・用量設定についてはまだデータが揃っておらずよくわかつていなかったが、ある程度あたりはついていたので、出願明細書の中でタダラフィルは ED 治療薬用にも使えることを記載する文脈で、用法・用量についても記載してしまった。その結果、特許 2 や特許 3 の出願は新規性・進歩性が否定されて拒絶査定を受け、特許 2、特許 3 を権利化できなかった。

⇒ その結果…

- ✖ ! 後発品の参入可能な時期が早くなつたため（上記④の時点で参入可能）、約 4 年分の **独占的販売により得られたはずの売上（約 70 億円）が大きく目減り**してしまつこととなつた。
- ✖ ! イーライ リリー社によるアイコス社の買収オファーの段階で実施されるタダラフィルの価値評価において、特許保護によるタダラフィルの独占販売期間が短期で切れることを理由として、その**価値が低いと評価され**、結果として、アイコス社は巨額の金額による買収の機会を逃してしまつた。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【添付文書と特許出願内容の対比イメージ】

添付文書をイメージし
そこから逆算してどんな特許ポートフォリオ（物質特許、用途特許等）
ができそうか出願戦略をイメージします

* * 2024年11月改訂（第4版）
* 2024年5月改訂（第3版）
貯法：室温保存
有効期間：3年

勃起不全治療剤
处方箋医薬品⁽¹⁾
タダラフィル錠

シアリス錠5mg
シアリス錠10mg
シアリス錠20mg
Cialis® Tablets

日本標準商品分類番号			
8729			
承認番号	シアリス錠5mg	シアリス錠10mg	シアリス錠20mg
販売開始	21900AMX01084000	21900AMX01085000	21900AMX01086000

Zr
注) 注意 - 医師等の処方箋により使用すること

1. 警告
1.1 本剤と硝酸剤又は一酸化窒素（NO）供与剤（ニトログリセリン、亜硝酸アミル、硝酸イソソルビド、ニコランジル等）との併用により降圧作用が増強し、過度に血圧を下降させることがあるので、本剤投与の前に、硝酸剤又は一酸化窒素（NO）供与剤が投与されていないことを十分確認し、本剤投与中及び投与後においても硝酸剤又は一酸化窒素（NO）供与剤が投与されないよう十分注意すること。[2.2、10.1参照]
1.2 死亡例を含む心筋梗塞等の重篤な心血管系等の有害事象が報告されているので、本剤投与の前に、心血管系障害の有無等を十分確認すること。[2.4-2.8、8.1、11.2参照]

2. 禁忌（次の患者には投与しないこと）
2.1 本剤の成分に対する過敏症の既往歴のある患者
2.2 硝酸剤又は一酸化窒素（NO）供与剤（ニトログリセリン、亜硝酸アミル、硝酸イソソルビド、ニコランジル等）を投与中の患者 [1.1、10.1参照]
2.3 可溶性グアニル酸シクラーゼ（GC）刺激剤（リオシグマト）を投与中の患者 [10.1参照]
2.4 心血管系障害を有するなど性行為が不適当と考えられる患者 [1.2、8.1参照]
2.5 不安定狭心症のある患者又は性交中に狭心症を発現したことのある患者 [1.2、8.1参照]
2.6 コントロール不良の不整脈、低血圧（血圧<90/50 mmHg）又はコントロール不良の高血圧（安静時血圧>170/100 mmHg）のある患者 [1.2、8.1参照]
2.7 心筋梗塞の既往歴が最近3ヶ月以内にある患者 [1.2、8.1参照]
2.8 脳梗塞・脳出血の既往歴が最近6ヶ月以内にある患者 [1.2、8.1参照]
2.9 重度の肝障害のある患者 [9.3.1参照]
2.10 網膜色素変性症患者〔網膜色素変性症の患者にはホスホジエステラーゼ（PDE）の遺伝的障害を持つ症例が少數認められる。〕

3. 組成・性状
3.1 組成

販売名	シアリス錠5mg	シアリス錠10mg	シアリス錠20mg
有効成分	タダラフィルタダラフィルタダラフィル 5mg 10mg 20mg	1錠中 1錠中 1錠中	
乳糖水和物、結晶セルロース、クロスカルメロースナトリウム、ヒドロキシプロピルセルロース、ラウリル硫酸ナトリウム、ステアリン酸マグネシウム、ヒプロメロース、醣化チタン、黄色三二酸化鉄、トリアセチン、タルク			

特許 1 有効成分物質に関する特許

特許 2 ED 治療用途に関する特許

特許 3 用法用量に関する特許

通常、成人には1日1回タダラフィルとして10mgを性行為の約1時間前に経口投与する。10mgの投与で十分な効果が得られず、忍容性が良好と判断された器質性又は混合型勃起不全患者に対しては、20mgに增量することができる。軽度又は中等度の肝障害のある患者では10mgを超えないこと。なお、いずれの場合も1日の投与は1回とし、投与間隔は24時間以上とすること。
中等度又は重度の腎障害のある患者では、5mgから開始し、投与間隔は24時間以上とすること。なお、中等度の腎障害のある患者では最高用量は10mgを超えないこととし、10mgを投与する場合には投与間隔を48時間以上とすること。重度の腎障害のある患者では5mgを超えないこと。

チトクロームP450 3A4 (CYP3A4) を強く阻害する薬剤を投与中の患者では、本剤の血漿中濃度が上昇することが認められているので、低用量（5mg）から開始し、投与間隔を十分にあける（10mgを投与する場合は投与間隔を48時間以上）など注意して投与すること。なお、投与量は10mgを超えないこと。[10.2参照]

7. 用法及び用量に関する注意
8. 重要な基本的注意
8.1 性行為は心臓へのリスクを伴うため勃起不全の治療を開始する前に心血管系の状態に注意をはらうこと。[1.2、2.4-2.8参照]

(引用元：https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuDetail/ResultDataSetPDF/530263_2590016F5026_1_04)

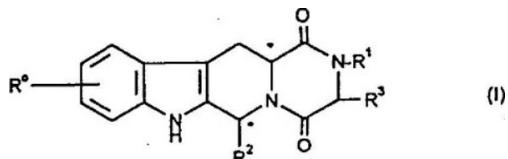
STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【各特許のクレーム例】

●特許 1 (特許第 3808095 号)

【請求項 1】

下記式 (I) の化合物またはその塩もしくは溶媒和物。

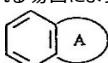


(上記式中 :

R⁰は水素、ハロゲンまたはC₁₋₆アルキルを表し、

R¹は水素、C₁₋₆アルキル、C₂₋₆アルケニル、C₂₋₆アルキニル、ハロC₁₋₆アルキル、C₃₋₈シクロアルキル、C₃₋₈シクロアルキルC₁₋₃アルキル、アリールC₁₋₃アルキルまたはヘテロアリールC₁₋₃アルキルを表し、

R²はベンゼン、チオフェン、フランおよびピリジンから選択される場合により置換された単環式芳香族環、またはベンゼン環炭素原子の1つによって分子の残りに結合される場合により置換された二環式環



(縮合環 A は飽和されているかまたは一部もしくは全部不飽和である 5 または 6 員環であって、炭素原子並びに場合により酸素、イオウおよび窒素から選択される 1 または 2 つのヘテロ原子からなる) を表し、および R³は水素または C₁₋₃アルキルを表すか、あるいは R¹および R³は一緒になって 3 または 4 員アルキルまたはアルケニル鎖を表す)

化合物の発明を
クレームした
請求項の例

【請求項 11】

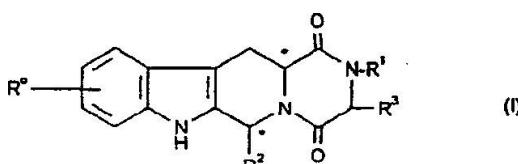
請求項 1 ~ 10 のいずれか一項に記載の化合物をその薬学上許容される希釈物またはキャリアと一緒に含んでなる医薬組成物であって、安定、不安定および変種狭心症 (angina)、高血圧、肺高血圧、慢性閉塞性肺疾患、うつ血性心不全、腎不全、アテローム性動脈硬化症、血管開通性減少症、末梢血管疾患、血管障害、炎症疾患、発作、気管支炎、慢性喘息、アレルギー喘息、アレルギー性鼻炎、緑内障または腸運動の障害で特徴付けられる疾患の治療に用いられる、医薬組成物。

化合物の医薬用途は
狭心症等のみ言及。
なお、明細書中でも
ED や PDE5 について
特に言及なし。

●特許 2 (特許第 4169365 号)

【請求項 9】

ヒトを包含する雄性動物における勃起機能不全の治療的又は予防的処置のための医薬組成物であって、化学式 (I) :



(式中、

R⁰は、水素原子、ハロゲン又はC₁₋₆アルキルを表し、

R¹は、水素原子、C₁₋₆アルキル、C₂₋₆アルケニル、C₂₋₆アルキニル、ハロC₁₋₆アルキル、C₃₋₈シクロアルキル、C₃₋₈シクロアルキルC₁₋₃アルキル、アリールC₁₋₃アルキル又はヘテロアリールC₁₋₃アルキルを表し、

R²は、3,4-メチレンジオキシフェニルを表し、そして

R³は、水素原子又はC₁₋₃アルキルを表し、あるいは、R¹及びR³は共に、3 又は 4 員性のアルキル又はアルケニル鎖を表す) で示される化合物若しくはその塩又は溶媒和物を、医薬上容認できる希釈剤又は担体と共に含む医薬組成物。

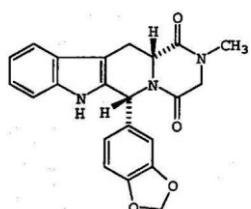
シリス[®]錠の効能効果 (ED) に対応する用途 (疾病治療) の発明をクレームしている。
なお、実施例では経口投与用製剤の作製や PDE 阻害効果に関するインビトロ測定データを記載しているが、明細書中にはかに最適・具体的な用法用量を示唆するような内容は記載されていない。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

●特許3（特許第4975214号）

【請求項1】

1日あたり20mgの総用量を上限として、以下の構造式：
【化1】



を有する化合物を単位製剤あたり1乃至20mg含み、ヒトにおける勃起不全の処置に使用される内服用単位製剤。

ED治療薬として用いる際の具体的な用法用量に関する発明をクレームしている

実際のシアリス[®]錠では？

3. 組成・性状

3.1 組成

販売名	シアリス錠5mg	シアリス錠10mg	シアリス錠20mg
有効成分 タダラフィル	1錠中 5mg	1錠中 10mg	1錠中 20mg

6. 用法及び用量

通常、成人には1日1回タダラフィルとして10mgを性行為の約1時間前に経口投与する。10mgの投与で十分な効果が得られず、忍容性が良好と判断された器質性又は混合型勃起不全患者に対しては、20mgに增量することができる。軽度又は中等度の肝障害のある患者では10mgを超えないこと。なお、いずれの場合も1日の投与は1回とし、投与間隔は24時間以上とすること。

中等度又は重度の腎障害のある患者では、5mgから開始し、投与間隔は24時間以上とすること。なお、中等度の腎障害のある患者では最高用量は10mgを超えないこととし、10mgを投与する場合には投与間隔を48時間以上とすること。重度の腎障害のある患者では5mgを超えないこと。

- ・ 単位製剤あたり5mg/10mg/20mg含有
- ・ 内服用製剤
- ・ 1日1回10mgが基本（腎障害がある場合5mgから）で、20mgに（まで）増量することができる。

とされており、特許3のクレームする範囲内となっている。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

事例 2

ヘムライブラ®（エミシズマブ）

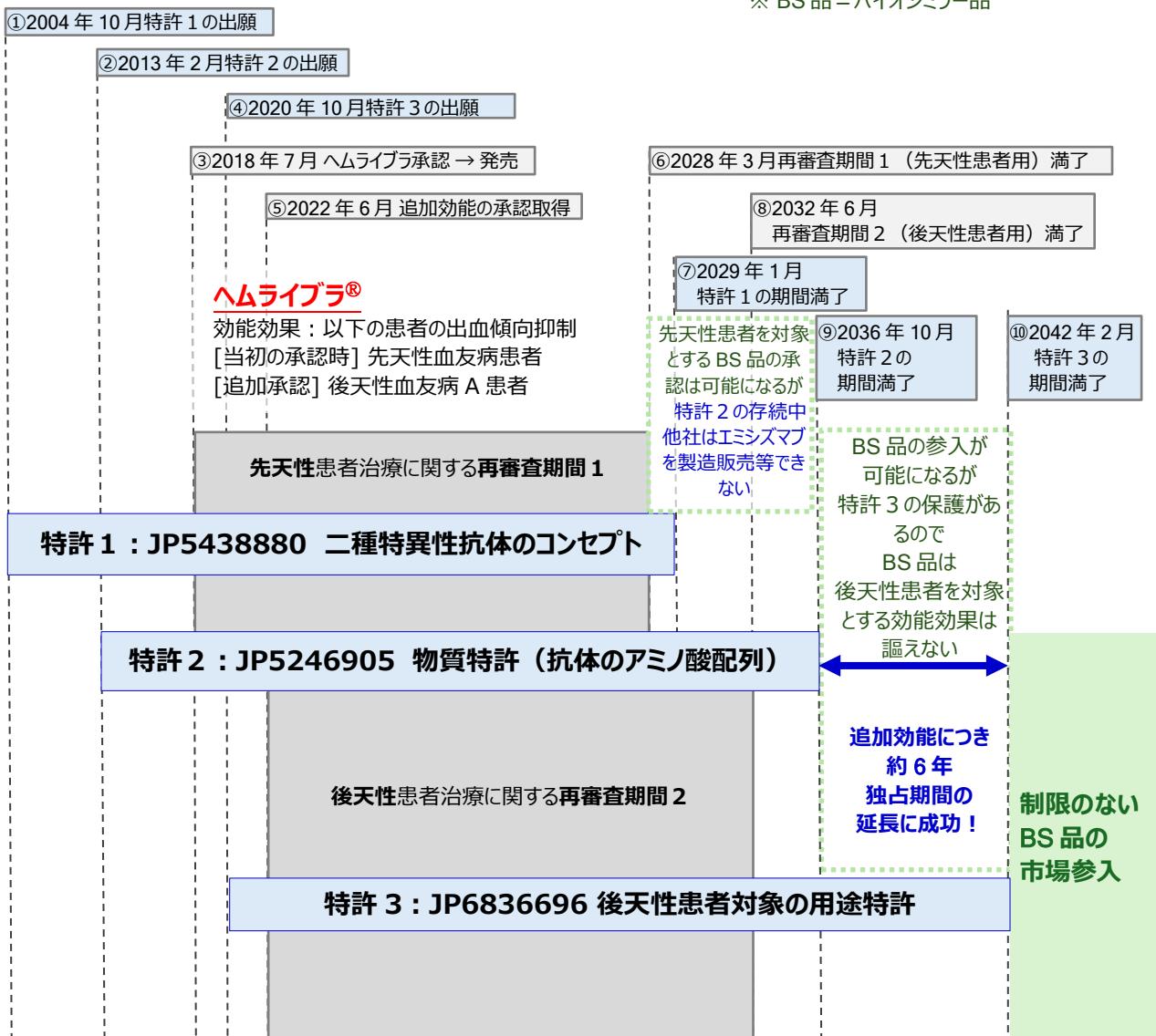
モダリティ：抗体

ヘムライブラ®は、エミシズマブを有効成分とする血液凝固第VIII因子機能代替製剤で、効能効果は、先天性血友病A（先天性血液凝固第VIII因子欠乏）患者、及び後天性血友病A患者における出血傾向の抑制です。エミシズマブはヒト化二重特異性モノクローナル抗体で、抗血液凝固因子であるFIXaとFXの双方に同時に結合することで、FVIIIの補因子機能を代替します。

このケースは、開発初期に出願した二重特異性抗体の基本概念の特許1に始まり、その後のエミシズマブの具体的な配列を特定した特許2の出願や、製品発売後の追加効能に関する用途特許3の出願まで、研究開発の初期段階から製品の上市後に至るまで段階的に構築された特許ポートフォリオによりバイオシミラー製品（以下「BS品」といいます。）の参入時期を遅らせた好例といえます。

【ヘムライブラ®のライフサイクルマネジメント】

※ BS品=バイオシミラー品



STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

●主な関連特許と薬事関係のイベントの時系列

年月日	イベント	解説
① 2004年10月8日	エミズマブの二種特異性抗体の 基本コンセプトに関する特許 (特許1) を出願 [特許1 = 特許第5438880号]	特許1は、二つの因子(IXとX)に同時結合することでVIII因子と同様の機能を発揮する二種特異性抗体であるという、基本的なコンセプトを規定する特許。 このような特許を早期の段階で取っておくことで、他社、特にライバルとなる先発企業による類似コンセプトの抗体開発を牽制することが期待できる。
② 2013年2月1日	エミズマブのアミノ酸配列を規定した 物質特許(特許2)を出願 [特許2 = 特許第5246905号]	特許2は、エミズマブの構造をアミノ酸配列により具体的に規定した特許。 この特許によって後発のバイオシミラー(BS)品に対する独占性を確保。
③ 2018年3月23日	最初の承認取得 (先天性血友病患者が対象) [再審査期間1(10年)]	
④ 2020年10月8日	後天性血友病A患者の治療に関する 用途特許(特許3)を出願 [特許2 = 特許第6836696号]	先天性患者を対象とした治療に後行して、後天性患者の治療についての臨床試験が進められ、追加効能・追加用法用量の承認取得(⑥)がされた。これに先立ち追加効能(後天性患者の治療)に関する用途特許(特許3)が出願された(④)。
⑤ 2022年6月20日	追加効能・追加用法用量の承認取得 (後天性血友病A患者を対象とする) [再審査期間2(10年)]	
⑥ 2028年3月22日	再審査期間1が満了予定 (先天性患者対象の効能効果について)	再審査期間1の満了により、薬事規制上は先天性患者を対象とする効能効果についてはBS品の承認が可能になったが、特許1～3による保護があるのでBS品は市場参入できない。
⑦ 2029年1月10日	特許1の特許期間満了予定 (元の特許期間2024年10月8日まで →4年3月2日の延長による)	特許1は終了しても、特許2や特許3の保護があるので、まだBS品は参入できない。
⑧ 2032年6月19日	再審査期間2が満了予定 (後天性患者対象の追加効能について)	再審査期間2満了に伴い、薬事規制上は後天性患者を対象とする効能効果も含めたBS品の承認が可能となる。もっとも特許2、3による保護があるのでBS品はまだ市場参入できない。
⑨ 2036年10月20日	特許2の特許期間満了予定 (元の特許期間2033年2月1日まで →4年11月3日の延長による)	物質特許が満了したのでBS品の参入が可能となる。もっとも、まだ特許3による保護があるため、BS品は後天性患者を対象とする効能効果を謳えない。
⑩ 2042年2月18日	特許3の特許期間満了予定 (元の特許期間2040年10月8日まで →1年4月10日の延長による)	この時点でBS品は後天性患者に対する効能効果も謳えるようになり、完全なBS品の参入が可能に。エミズマブの物質特許は2036年10月に満了するところ(上記⑨)、特許3による保護によって、追加効能に関しては約6年の独占期間の延長に成功したことになる。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

●出願戦略成功のポイント

本件の出願戦略の特徴は、研究開発の進展に合わせて複数の特許を段階的に取得し、長期的かつ多層的な独占的保護を実現している点にあります。

まず、開発の初期段階では、二重特異性抗体という基本概念に関する特許（特許 1）が出願されました（上記①）。こうした早期の段階でのコンセプト特許の出願は、競合となる先発企業による同様の技術コンセプトに基づく研究開発を牽制する効果を有します。基本コンセプトという広い範囲での権利を確保することにより、開発初期から優位なポジションを確立することができます。

続いて、アミノ酸配列を特定する形でエミシズマブの構造を具体的に規定した物質特許（特許 2）が出願されました（上記②）。この特許により、同一または類似のアミノ酸配列を有する BS 品の市場参入を防ぐことができます。特許 2 は、特許 1 の出願から約 8 年後に出願されており、その結果、ヘムライブラ[®]の後天性患者対象の追加効能に対する再審査期間 2（再審査期間の間は、後発メーカーは、先行医薬品の申請データを引用した比較による後発品、BS 品の承認申請ができない）が満了して薬事規制上は後天性患者も対象とする BS 品の承認（先天性患者を対象とする）が可能になったとしても（上記⑧）、引き続き、特許権による独占期間が維持されることになります。

このように、抽象度の高いコンセプト特許と、具体的構造をカバーする物質特許を時間差で出願することで、競合開発の牽制と市場独占の双方を長期的に確保することができます。

こういった戦略を成立させるためには、先の出願（特許 1）の開示内容によって後の出願（特許 2）の新規性・進歩性が阻害されないよう、開示範囲の調整にも注意を払っておく必要があります。

さらに注目されるのが、特許 3 の存在です。ヘムライブラ[®]の開発では、当初は先天性の血友病患者を対象として承認が得られましたが、その後、後天性患者への適応拡大が進み、追加承認を取得しています。これに対応して、後天性患者の治療用途に関する特許 3 が出願されました（上記④）。この用途特許により、特許 2 の存続期間が 2032 年 6 月に満了（上記⑧）した後も約 6 年間、後天性患者を対象とする効能効果を謳った BS 品の上市を防ぐことが可能となります。

このように、**研究開発初期には基本コンセプト特許による競合開発の牽制、その後は物質特許による競合排除、さらに用途特許による追加適応部分への保護、という三層構造の出願により、開発初期から製品ライフサイクル後期に至るまで、一貫した特許ポートフォリオ戦略が展開されている**点が、本件の出願戦略成功のポイントといえます。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【▲もしも異なる出願戦略を選択していたら…?】

● もしもコンセプト特許（特許1）を出願していなかつたら…?

開発初期に、IX因子とX因子に同時結合してVIII因子機能を代替する二種特異性抗体、という基本コンセプトを押さえる出願をしていなかつた場合、後から研究を開始した競合企業が同様の作用機序に基づく抗体を開発し、改良型の二重特異性抗体を早期に権利化していたかもしれません。その場合、エミシズマブの開発側が逆に、他社特許による制約の存在下で開発を進めざるを得なくなり、抗体も他社特許を回避した次善の設計を探る必要に迫られるなど、自社製品を自由に製造できないリスクを抱えることになっていた可能性があります。

×！ 基本コンセプトを早期におさえず他社に先を越される

● もしも物質特許（特許2）の出願タイミングが早かつたら…?

アミノ酸配列を特定する物質特許（特許2）の出願を上記の出願時期よりも早い時期に行っていた場合、特許2の特許期間もより早い時期に満了となります。

本件では、再審査期間1の終了後は先天性患者を対象とするバイオシミラー品の承認は薬事規制上は可能になるものの（上記⑥）、特許2があるために他社がエミシズマブを製造販売等できず、約8年間、特許権による独占期間がなお維持されますが（上記⑧の時点まで）、この期間がより短くなり、バイオシミラー品（対象患者が先天性患者に限られるとしても）の参入をより早期に許すことになっていたでしょう。

▲！ 出願タイミングが早いと、その分、特許による保護期間は短縮する

● 先の特許出願の明細書に記載した内容のせいで、特許3が登録できなかつたら…?

例えば特許1の出願明細書で、後に出願する予定だった具体的な配列や構造を詳細に開示しすぎていた場合、特許2で新規性・進歩性が否定されるリスクがありました。結果として、エミシズマブの構造自体について有効な特許を取得できず、実質的に模倣を防げない状態となつた可能性があります。

あるいは、特許2の出願明細書で、後に追加適応が開発される予定の後天性血友病患者群に対する治療方法について詳細を開示しすぎていた場合、特許3（後天性血友病患者に対する治療用途とその用法用量）で新規性・進歩性が否定されていた可能性もあります。

もし、追加承認に対応する用途特許である特許3を取得できなかつた場合、特許2の満了後（上記⑨の時点）すぐに、先発品と全く同じ効能効果を謳った完全なBS品が市場参入できる状態になります。この用途特許が存在することで約6年の間、少なくとも追加効能部分についての独占期間が追加で確保できているわけです。もしこの追加的な独占期間を逃していれば、BS品への置き換えがより早く進み、ヘムライブラ[®]の収益も減少していたことでしょう。

×！ 先行出願での開示内容で後発出願の特許性を潰す

×！ 追加用途特許を軽視し、ライフサイクル末期の保護が不十分になる

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【添付文書と特許出願内容の対比イメージ】

特許 3 (用途特許)

後天性患者を対象とする治療用途・用法用量に関する特許 後天性の患者群を対象とする後行の臨床データに基づき追加承認を取得。この用途につき特許 3 を出願することで、追加承認を受けた効能効果・用法用量部分について独占期間を“延命”した。

特許 1

(二重特異性抗体の基本コンセプトに関する特許)

* 2025年11月改訂(第5回)
2024年11月改訂
有効期間：18箇月
24箇月(30mg, 60mg, 90mg, 105mg, 150mg)

抗血液凝固第IXa/X因子ヒト化二重特異性モノクローナル抗体

血液凝固第IX因子機能代替製剤

エミシズマブ(遺伝子組換え)注

ヘムライフ[®] ブ皮下注 12mg

ヘムライフ[®] ブ皮下注 30mg

ヘムライフ[®] ブ皮下注 60mg

ヘムライフ[®] ブ皮下注 90mg

ヘムライフ[®] ブ皮下注 105mg

ヘムライフ[®] ブ皮下注 150mg

HEMLIBRA[®] for Subcutaneous Injection

日本標準商品分譲番号
876349

特許 2 (物質特許)

抗体のアミノ酸配列に関する特許

注)注意～医師等の方針により使用すること

1. 警告

1.1 インヒビター保有先天性血友病A患者を対象とした本剤の臨床試験で、活性型プロトロンビン複合体（乾燥人血清凝固因子抗体活性複合体）製剤との併用において重要な血栓形成及び血栓性微小血管症の発現が複数例に認められている。本剤投与中及び投与中止後6ヶ月間は、治療上やむを得ない場合は除き、活性型血清凝固因子及び血液凝固第IX因子を含む、活性型プロトロンビン複合体（乾燥人血清凝固因子抗体活性複合体）製剤及び乾燥濃縮人血清凝固第IX因子活性化第IX因子複合体の投与を避けること。血栓塞栓症及び血栓性微小血管症のリスクを増大させる可能性がある。[8.1, 10.2, 11.1.1, 11.1.2参照]

1.2 本剤は血友病治療に十分な知識・経験を持つ医師のもと、緊急時に十分対応できる医療機関で投与開始すること。[8.1, 10.2, 11.1.1, 11.1.2参照]

1.3 本剤の投与開始に先立ち、患者又はその家族に危険性（出血時のバイパス止血製剤の投与における危険性を含む）を十分説明し、同意を得た上で本剤を投与すること。

2. 禁忌（次の患者には投与しないこと）

本剤の成分に対し過敏症の既往歴のある患者

3. 組成・性状

3.1 純成

販売名	ヘムライフ [®] ブ皮下注12mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注30mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注60mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注90mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注105mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注150mg
有効成分	1/4(アル [0.4ml] 中 エミシズマブ (遺伝子組換え) ⁱⁱⁱ 12mg	1/4(アル [1.0ml] 中 エミシズマブ (遺伝子組換え) ⁱⁱⁱ 30mg	1/4(アル [0.6ml] 中 エミシズマブ (遺伝子組換え) ⁱⁱⁱ 60mg	1/4(アル [0.7ml] 中 エミシズマブ (遺伝子組換え) ⁱⁱⁱ 90mg	1/4(アル [1.0ml] 中 エミシズマブ (遺伝子組換え) ⁱⁱⁱ 105mg	1/4(アル [1.0ml] 中 エミシズマブ (遺伝子組換え) ⁱⁱⁱ 150mg
添加剤	L-アラギニン：26.1mg/mL L-セチジン：3.1mg/mL オリオキシエチレン (160) ポリオキシプロピレン (30) グリコール ⁱⁱⁱ ：0.5mg/mL L-アスパラギン酸：過量					

注1) 本剤は、チモニーズ・ハムスター卵巣細胞を用いて製造される。

注2) 抗酸化剤としてジブチルヒドロキシトルエンを含む。

3.2 製剤の性状

販売名	ヘムライフ [®] ブ皮下注12mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注30mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注60mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注90mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注105mg	ヘムライフ [®] ブ皮下注150mg
割形	注射剤 (バイアル)					
性状	無色～微黄色の液					
pH	5.5~6.5					
浸透圧比 (生理食塩液に対する比)	約1.0			約1.2		

(1)

用途特許を取り得る部分

4. 効能又は効果
○先天性血友病A（先天性血液凝固第IX因子欠乏）患者における出血傾向の抑制
○後天性血友病A患者における出血傾向の抑制

5. 効能又は効果に関連する注意
(先天性血友病A（先天性血液凝固第IX因子欠乏）患者における出血傾向の抑制)
本剤は、血液凝固第IX因子に対するインヒビターの有無によらず、有効性が確認されている。[17.1.1-17.1.4参照]

6. 用法及び用量
(先天性血友病A（先天性血液凝固第IX因子欠乏）患者における出血傾向の抑制)

通常、エミシズマブ（遺伝子組換え）として1回3mg/kg（体重）を1週間の間隔で4回皮下投与し、その1週間後（初回投与から4週間後）の毎日投与から以下のいずれかの用法・用量で皮下投与する。

・1回1.5mg/kg（体重）を1週間の間隔

・1回3mg/kg（体重）を2週間の間隔

・1回6mg/kg（体重）を4週間の間隔

（後天性血友病A患者における出血傾向の抑制）

通常、エミシズマブ（遺伝子組換え）として1日1日に6mg/kg（体重）、2日目に3mg/kg（体重）を皮下投与し、8日目から1回1.5mg/kg（体重）を1週間の間隔で皮下投与する。

7. 用法及び用量に関する注意
(效能共通)

7.1 本剤は、出血傾向の抑制を目的とした定期的な投与のみを使用し、本剤の止血作用を目的とした投与は行わないこと。

（後天性血友病A患者における出血傾向の抑制）

7.2 審査結果に関する検査結果及び患者の状態を考慮して、適切な時期に投与を終了すること。[8.5, 17.1.5参照]

8. 重要な基本的注意
(效能共通)

8.1 インヒビター保有先天性血友病A患者を対象とした臨床試験において、本剤投与中の出血時に活性型プロトロンビン複合体（乾燥人血清凝固因子抗体活性複合体）製剤を併用した36例において、出血率は2例（5.6%）、血栓性微小血管管が3例（8.3%）に認められている。また、乾燥濃縮人血清凝固第IX因子活性化第IX因子製剤を投与するとより出血傾向及び血栓性微小血管症があらわれるおそれがあるため、以下の事項に注意すること。当該事項については、その重要性及び必要性を患者又はその家族にも説明し、理解及び同意を得た上で投与を開始すること。[1.1, 1.2, 10.2, 11.1.1, 11.1.2参照]

8.1.2 本剤投与中にはバイパス止血製剤を投与する場合は、活性型プロトロンビン複合体（乾燥人血清凝固因子抗体活性複合体）製剤及び乾燥濃縮人血清凝固第IX因子活性化第IX因子製剤の投与は避け、活性型血清凝固第IX因子（エピコグ、アルファ（活性型）（遺伝子組換え））製剤を投与すること。さらに、以下の事項にも注意すること。

(1) 活性型血清凝固第IX因子（エピコグ、アルファ（活性型）（遺伝子組換え））製剤については、在宅自己注射を行う場合があるため、投与の必要性の判断方法、用量等を、あらかじめ患者に指導すること。また、在宅自己注射を1回実施しても止血できない場合は、医療機関へ連絡するよう指導を行うこと。

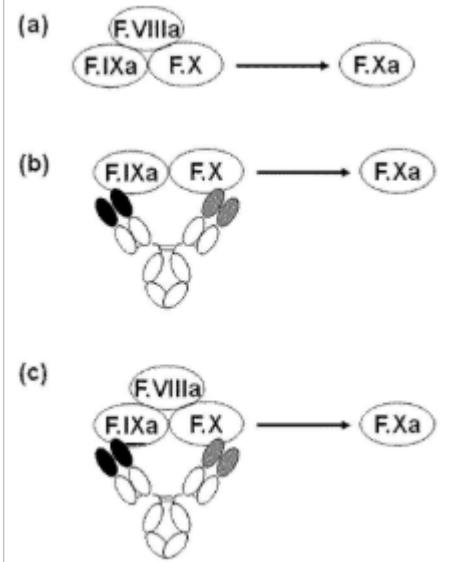
(2) やむ
に
外
れ
る
こ
と。
8.1.3 本
API
与した
意する
8.3 在
8.3.1 本
慣習に
徳性と
きること。
8.3.2 意
認めら
こと。
8.3.3 在
は、直
觀察す
(先天性
傾向の
8.4 本剤
実施し
リスク
ること。
9. 特定
9.4 生物
妊娠す
くとも
説明す
9.5 旺盛
吐瀉又
危険性
毒性試
が知ら
9.6 親親
治療上
中止を
明である
9.7 小児
低出生
指標と
9.8 高齢
患者の
が低下

(2)

(引用元：https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuDetail/ResultDataSetPDF/450045_6343451A1025_1_09)

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【各特許のクレーム例】

請求項の記載（例）	解説
<p>特許 1（特許第 5438880 号）</p> <p>【請求項 1】</p> <p>酵素、および該酵素の基質の両方を認識し、酵素反応を増強する補因子の機能を代替する二種特異性抗体であって、該酵素が活性化血液凝固第 IX 因子で、該基質が血液凝固第 X 因子で、該補因子が活性化血液凝固第 VIII 因子である抗体。</p>	<p>“IX 因子と X 因子とに同時に結合することで、VIII 因子と同様の機能を発揮する二種特異性抗体”であるという、エミシズマブの基本的なコンセプトを規定</p>
<p>特許 2（特許第 5246905 号）</p> <p>【請求項 1】</p> <p>第一の抗体 H 鎖が下記 (a11) のアミノ酸配列からなる H 鎖 CDR を含む抗原結合部位を含み、 第二の抗体 H 鎖が下記 (b7) 、(b8) 及び (b10) から選ばれるいずれかのアミノ酸配列からなる H 鎖 CDR を含む抗原結合部位を含み、 抗体 L 鎖が下記(c3)及び(c5)～(c7)から選ばれるいずれかのアミノ酸配列からなる L 鎖 CDR を含む抗原結合部位を含む、 血液凝固第 IX 因子および／または活性化血液凝固第 IX 因子、および、血液凝固第 X 因子を認識する二重特異性抗体であって、 抗体 L 鎖は第一の抗体 H 鎖及び第二の抗体 H 鎖と対になる二重特異性抗体： (a11) 配列番号：105、106、107 (Q499 の H 鎖 CDR) に記載の H 鎖 CDR1、2、3 のアミノ酸配列を有する抗原結合部位、 (b7) 配列番号：126、127、128 (J327 の H 鎖 CDR) に記載の H 鎖 CDR1、2、3 のアミノ酸配列を有する抗原結合部位、 (b8) 配列番号：129、130、131 (J339 の H 鎖 CDR) に記載の H 鎖 CDR1、2、3 のアミノ酸配列を有する抗原結合部位、 (b10) 配列番号：135、136、137 (J346 の H 鎖 CDR) に記載の H 鎖 CDR1、2、3 のアミノ酸配列を有する抗原結合部位、 (c3) 配列番号：144、145、146 (L248 の L 鎖 CDR) に記載の L 鎖 CDR1、2、3 のアミノ酸配列を有する抗原結合部位、 (c5) 配列番号：150、151、152 (L334 の L 鎖 CDR) に記載の L 鎖 CDR1、2、3 のアミノ酸配列を有する抗原結合部位、 (c6) 配列番号：153、154、155 (L377 の L 鎖 CDR) に記載の L 鎖 CDR1、2、3 のアミノ酸配列を有する抗原結合部位、 (c7) 配列番号：156、157、158 (L404 の L 鎖 CDR) に記載の L 鎖 CDR1、2、3 のアミノ酸配列を有する抗原結合部位。</p>	<p>エミシズマブの物質特許。 エミシズマブ（二重特異性抗体）の構造をアミノ酸配列により具体的に規定している。</p> <p>※補足説明：VIIIa 因子は IXa 因子と複合体を形成して X 因子を活性化する（下記 a）。特許 2 の二重特異性抗体は、IXa 因子および X 因子に結合して X 因子を活性化し（下記 b）、また VIIIa 因子と競合せずに X 因子を活性化する（下記 c）。</p>  <p>(特許 2 明細書【図 1】より抜粋)</p>
<p>特許 3（特許第 6836696 号）</p> <p>【請求項 1】</p> <p>後天性血友病 A を治療するおよび／または後天性血友病 A の発症率を低下させるために使用するための、エミシズマブを含む医薬組成物であって、エミシズマブが、6mg/kg の抗体の用量で初日に投与され、3mg/kg～6mg/kg の抗体の用量で 2 日目に投与され、かつ 1.5mg/kg～3mg/kg の抗体の用量で 8 日目から 1 週間毎に投与され、該 8 日目からの 1 週間毎の投与が 1 回以上反復される、前記医薬組成物。</p>	<p>エミシズマブの、後天性血友病 A 患者を対象とする治療用途と用法用量とをクレームした用途特許。</p>

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

事例3	エンタイビオ®（ベドリズマブ）	モダリティ：抗体
-----	-----------------	----------

エンタイビオ®は、ヒト化抗ヒト $\alpha_4\beta_7$ インテグリンモノクローナル抗体であるベドリズマブ（遺伝子組換え）を有効成分とする製剤で、潰瘍性大腸炎と活動期クロhn病（いずれも中等症から重症患者の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る））の治療薬です。

このケースでは、物質特許の特許期間は、エンタイビオ®の再審査期間（この間は先行医薬品の申請データを引用した比較による承認申請ができない）の満了前に終了しています。再審査期間の満了後も数年間残存する特許がいくつかありますが、そのうち用法用量等を規定した用途特許は、BS 品メーカーがその権利範囲を回避することが難しい内容で成立しており、BS 品の市場参入を効果的に遅らせられることが見込まれる事例です。

【エンタイビオ®のライフサイクルマネジメント】

●主な関連特許と薬事関係のイベントの時系列

年月日	イベント	解説
① 1997年8月6日	ベドリズマブのアミノ酸配列を規定した物質特許（特許1）を出願 [特許1 = 特許第4171071号]	特許1は、ベドリズマブの構造をアミノ酸配列により具体的に規定した特許。
② 2012年5月2日	賦形剤とアミノ酸との所定の配合により抗 $\alpha_4\beta_7$ 抗体の安定化が実現されたベドリズマブ製剤を規定した製剤特許（特許2）を出願 [特許2 = 特許第6190360号]	エンタイビオ®の処方を規定した内容。BS品は、同じ処方はできないが、賦形剤やアミノ酸の配合を変えることで、特許2の存続期間中でもこれを回避できる可能性がある。
	(特許3、特許4及び特許5の「原出願日」)	※ 特許3～5はいずれも、特許2から派生した「分割出願」として出願された。「分割出願」は、もととなった出願（「原出願」）の明細書等に記載されていた発明の内容を、後日、いくつかに分けて別の出願（「分割出願」）として出しなおすことができる仕組みで、新規性・進歩性の有無を原出願日を基準に判断してもらえるメリットがある一方、特許期間（20年間+延長（もしあれば））の起算日は原出願の日にさかのぼる。
③ 2017年5月2日	ベドリズマブの、潰瘍性大腸炎治療用の、静脈内投与用の組成物につき用法用量や対象患者群を規定した用途限定特許（特許3）を出願 [特許3 = 特許第6534415号]	
④ 2017年8月6日	特許1の存続期間満了	
⑤ 2018年7月2日	エンタイビオ®点滴静注用300mgについて新規の承認取得（潰瘍性大腸炎について）	
⑥ 2018年7月10日	ベドリズマブのクロhn病治療用（導入期）の静脈内投与用の組成物につき用法用量や対象患者群を規定した用途限定特許（特許4）を出願 [特許4 = 特許第6473845号]	
⑦ 2019年4月10日	ベドリズマブのクロhn病治療用（寛解維持期）の組成物につき用法用量や対象患者群を規定した用途限定特許（特許5）を出願 [特許5 = 特許第6878489号]	

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

⑧	2019年5月22日	エンタビオ®点滴静注用300mgの追加効能（クローン病）について承認取得 (クローン病について)	
⑨	2021年4月28日	抗ヒトα ₄ β ₇ インテグリン抗体の、潰瘍性大腸炎治療用の組成物につき、用量や対象患者群を規定した用途限定特許（特許6） を出願※ [特許6 = 第7258941号]	
⑩	2028年7月1日	エンタビオ®点滴静注用300mgの再審査期間の満了予定	エンタビオ®点滴静注用300mgのBS品の承認が薬事規制上は可能になる。 ただし、潰瘍性大腸炎の効能効果に関しては 特許2、特許3、特許6による保護 があり、クローン病の効能効果に関しては 特許2、特許4及び特許5による保護 がある。 上述のとおり 特許2 は回避できる可能性があるが、 特許3～6 は、事実上回避が難しい内容となっている。
⑪	2032年5月2日	特許3（潰瘍性大腸炎に関する）、 特許5（クローン病に関する）、及び 特許6（潰瘍性大腸炎に関する） の存続期間満了	エンタビオ®点滴静注用300mgのBS品の参入は、最も早くてもこの時以降になることが見込まれる。 とはいっても、特許4があるのでBS品はまだクローン病に関する効能効果は謳うことができない。 また、いまだ 特許2 是有効なので、BS品は、市場参入するためには 特許2 を回避した処方を開発しておく必要がある。
⑫	2032年8月22日	特許4（クローン病に関する）の 存続期間（延長後）が満了	特許2 を回避した処方を開発できれば、エンタビオ®点滴静注用300mgと同一の効能効果を謳ったBS品の市場参入が可能になる。
⑬	2033年3月23日	潰瘍性大腸炎の効能効果について 特許2の存続期間（延長後）が満了	
⑭	2034年2月13日	クローン病の効能効果についても 特許2の（延長後）期間満了	エンタビオ®のBS品の市場参入が完全に自由になる。

●出願戦略成功のポイント

この事例では、まず抗体そのものの構造をカバーする物質特許（特許1）が再審査期間満了よりも早期に満了しました。これ自体はよくあるパターンです。

一方、この事例では、再審査期間が満了した後まで存続する特許として、いくつかの後続特許がありました。

その中で最初に成立し、かつ特許期間（延長後）が最も長く続くのは、製剤の配合を規定した製剤特許（特許2）です。特許2は対象疾患の限定もないため、潰瘍性大腸炎やクローン病といった効能効果に関係なく、BS品を排除し得ることが可能であるため、有用な、良い特許といえます。

しかし、特許2は、賦形剤とアミノ酸の特定の配合により抗体の安定化を図った製剤、という技術内容であるため、BS品メーカーが賦形剤などの組成を変更して回避する余地がある点が弱点です。

そこで先発メーカーは、さらに用法用量や対象患者群を規定した用途限定特許である特許3～6を追加で出願しました。これらの用途限定特許は、添付文書の実際の記載に対応する用法用量等、

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

BS 品の販売に際して避け難い内容を規定しており、にとって事実上、回避が困難な特許群となっています。

ここで本件の場合、特許 3 ~ 6 はいずれも特許 2 から派生した分割出願になっています。これは、特許 2 の出願明細書の中に、後に特許 3 ~ 6 としてクレームされた発明内容がすでに記載されていたことを意味します。

もし先発メーカーが特許 3 ~ 6 の分割出願をしていなければ、特許 3 ~ 6 にクレームされた発明の内容は、出願明細書中に記載はあるものの権利化はされていない、という状態のままなので、それらの発明の実施に対する権利行使はできず、それゆえ BS 品を排除できなかつた可能性がありました。

しかし実際には、分割出願で用法用量等の用途限定にかかる部分を特許クレーム（＝権利範囲）に記載して出願した結果、これらの特許群を取得し、再審査期間経過後も一定期間、BS 品の排除効果を維持できる特許ポートフォリオを構築できています。

このように、本件では、**回避されやすい製剤特許だけでなく、回避しづらい内容をクレームした用法用量や患者群等の用途限定特許を分割出願で確保し、それらが再審査期間経過後も存続するよう特許ポートフォリオを設計した**点が、この事例の成功戦略といえます。

また本件では、特許ポートフォリオ構築にあたり、「分割出願」という**特許法上の手続きの仕組みも活用**されています。上述のとおり特許 2 の出願明細書の中には、分割出願により成立した特許 3 ~ 6 でクレームされている発明の内容がすでに記載されていたものであるところ、もし特許 3 ~ 6 が独立の新規出願として後から出されていたならば、出願から 1 年 6 か月後に公開された特許 2 の内容によって新規性を欠き権利化できなかつたでしょう。しかし、分割出願では新規性・進歩性の判断基準日が原出願の日に遡るため、特許 2 の公開後であっても権利化のチャンスを確保できました。

もっとも、分割出願は、いつでも、何についてでも自由に出願できるわけではなく、分割出願ができるタイミングや、分割出願で権利化できる内容には、法律上の制約があります。また、用法用量や患者群等の設計や製剤開発などの見込みがある程度具体的に存在している企業フェーズでないと、「この内容は後から分割出願で拾おう」という戦略自体が成立しないでしょう。

特に大学や創薬ベンチャーでの初期の研究開発段階では、将来どのような用法用量、疾患のどの患者群、どのような製剤について、開発が進むかといった見通しがまだ立っていないのが通常ですから、

- ・ **発明をサポートする十分なデータがないので請求項に記載しても特許がとれない**
 - ・ **（十分なデータはなくても）“それらしい示唆”を出願明細書に書いて公開されてしまうと、将来の出願の新規性・進歩性の阻害要因になりうる**
- というジレンマに陥りがちです。

重要ポイント：開発初期段階での、将来用途の「書きすぎ問題」は本当に危険！

したがって、**初期段階ではとりわけ、将来的に形成されるべき特許ポートフォリオの姿を念頭に置きつつ、「今ここで何を書かるべきか」を判断しなければなりません。**

結局のところ、こうした制度的オプション（分割出願や優先権主張など）を視野に入れながら、後続特許の新規性・進歩性を潰さないように出願内容とタイミングを設計するには、**専門家との早めの連携**が不可欠です。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【▲もしも異なる出願戦略を選択していたら…？】

もし先発メーカーが、「特許 2 は特許期間も十分長いのでこれで十分」と思って、それ以上の出願戦略を考えないでいたら…？

→ 分割出願が可能な期限を過ぎてしまい、分割出願の仕組みによる特許 3～6 は出願できなくなっていた

→ その後、特許 1 や特許 2 とは異なる内容の用途特許を出願しようと思っても、特許 2 の出願の中で特許 3～6 でクレームされた内容の発明（対象疾患、用法用量や対象患者群）はすでに記載され、出願公開されてしまっていたので、さらなる用途特許の権利化はできなかった

→ BS 品メーカーが製剤組成を変えて特許 2 を回避したバイオシミラー品を開発

→ 再審査期間満了とともに BS 品が参入し、早期にエンタバイオ[®]の BS 品への切り替えが進んでしまった

→ バエンタバイオ[®]の売上・収益に大きな影響が生じた

×！ 回避されやすい内容の特許しか持つて（残って）いない

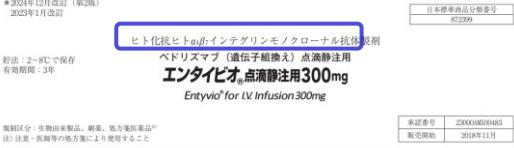
×！ タイムリーに専門家に相談せず分割出願など手続的な戦略を活用できなかった

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

【添付文書の記載内容と各特許出願内容（クレーム例）との対比】

(添付文書の記載は次の引用元より抜粋 :)

https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/IyakuDetail/ResultDataSetPDF/400256_2399405F1020_1_05

エンタイビオ®点滴静注用 300mg の 添付文書の記載	対応する特許の内容 (特許 1 ~ 5 のクレーム例)	説明						
	<p>特許 1 (特許第 4171071 号)</p> <p>【請求項 1】</p> <p>非ヒト起源の軽鎖可変領域の 3 つの相補性決定領域 (CDR1、CDR2 および CDR3) の少なくとも 1 つおよびヒト起源の軽鎖可変領域に由来する枠組み領域ならびに非ヒト起源の重鎖可変領域の 3 つの相補性決定領域 (CDR1、CDR2 および CDR3) の少なくとも 1 つおよびヒト起源の重鎖可変領域に由来する枠組み領域を含有する抗原結合領域を含有しており、該相補性決定領域が以下 :</p> <p>軽鎖 : CDR1 配列番号 : 12 のアミノ酸 44 – 59 CDR2 配列番号 : 12 のアミノ酸 75 – 81 CDR3 配列番号 : 12 のアミノ酸 114 – 122 重鎖 : CDR1 配列番号 : 15 のアミノ酸 50 – 54 CDR2 配列番号 : 15 のアミノ酸 69 – 85 CDR3 配列番号 : 15 のアミノ酸 118 – 129 に示されるアミノ酸配列を有し、軽鎖が配列番号 : 21 の可変領域を含有し、重鎖が配列番号 : 19 の可変領域を含有してなる、$\alpha 4 \beta 7$ インテグリンを選択的に結合するヒト化免疫グロブリンまたは抗原結合断片。</p>	特許 1 : 抗体をアミノ酸配列で規定した物質特許。						
<p>3. 組成・性状</p> <p>3.1 組成</p> <table border="1" data-bbox="165 1096 689 1304"> <tr> <td>販売名</td> <td>エンタイビオ点滴静注用300mg</td> </tr> <tr> <td>有効成分</td> <td>1バイアル中 ベドリズマブ (遺伝子組換え)^{注1)} 331.2mg^{注2)}</td> </tr> <tr> <td>添加剤</td> <td>L-ヒスチジン 25.36mg L-ヒスチジン塩酸塩水和物 23.63mg L-アルギニン塩酸塩 145.34mg 精製白糖 552mg ポリソルベート80 3.31mg</td> </tr> </table> <p>注1) 本剤は遺伝子組換え技術によりチャイニーズハムスター卵巣細胞を用いて製造される。製造工程でトリプシン (ブタ肺臓由来)、カゼイン水解物 (ウシ乳由来) を使用している。 注2) 注射液吸引時の損失を考慮し、1バイアルから300mgを注射するに足る量を確保するために過量充填されており、日局注射用水、日局生理食塩液又は日局L-乳酸ナトリウムリンゲル液4.8mLで溶解した薬液全量のうち、5mLに含まれる量は300mgとなる。</p>	販売名	エンタイビオ点滴静注用300mg	有効成分	1バイアル中 ベドリズマブ (遺伝子組換え) ^{注1)} 331.2mg ^{注2)}	添加剤	L-ヒスチジン 25.36mg L-ヒスチジン塩酸塩水和物 23.63mg L-アルギニン塩酸塩 145.34mg 精製白糖 552mg ポリソルベート80 3.31mg	<p>特許 2 (特許第 6190360 号)</p> <p>【請求項 1】</p> <p>安定な医薬製剤であって、前記製剤は、スクロース、ヒスチジン、ポリソルベート 80、抗 $\alpha 4 \beta 7$ 抗体及びアルギニンの混合物を含み、前記製剤は凍結乾燥されており、スクロース対抗 $\alpha 4 \beta 7$ 抗体のモル比 (モル : モル) が少なくとも約 650 : 1 であり、アルギニン対抗体のモル比は 250 : 1 を超えており、前記抗体が、配列番号 8 に示す相補性決定領域 1 (CDR1)、配列番号 9 に示す CDR2 及び配列番号 10 に示す CDR3 を含む重鎖可変領域を含み、かつ配列番号 11 に示す CDR1、配列番号 12 に示す CDR2 及び配列番号 13 に示す CDR3 を含む軽鎖可変領域を含む、安定な医薬製剤。</p> <p>【請求項 19】</p> <p>前記抗体がベドリズマブである、請求項 1 ~ 18 いずれかに記載の医薬製剤。</p>	特許 2 : 「スクロース + ヒスチジン + ポリソルベート 80 + 抗体 + アルギニン」を組み合わせた配合により医薬製剤の安定化をはかった製剤特許。
販売名	エンタイビオ点滴静注用300mg							
有効成分	1バイアル中 ベドリズマブ (遺伝子組換え) ^{注1)} 331.2mg ^{注2)}							
添加剤	L-ヒスチジン 25.36mg L-ヒスチジン塩酸塩水和物 23.63mg L-アルギニン塩酸塩 145.34mg 精製白糖 552mg ポリソルベート80 3.31mg							

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

エンタイビオ®点滴静注用 300mg の添付文書の記載	対応する特許の内容 (特許 1 ~ 5 のクレーム例)	解説						
<p>3. 組成・性状</p> <p>3.1 組成</p> <table border="1" data-bbox="171 361 695 563"> <tr> <td>販売名</td> <td>エンタイビオ点滴静注用300mg</td> </tr> <tr> <td>有効成分</td> <td>1バイアル中 ベドリズマブ（遺伝子組換え）^{注1)} 331.2mg^{注2)}</td> </tr> <tr> <td>添加剤</td> <td>L-ヒスチジン 25.33mg L-ヒスチジン塩酸塩水和物 23.63mg L-アルギニン塩酸塩 145.34mg 精製白糖 552mg ポリソルベート 80 3.31mg</td> </tr> </table> <p>注1) 本剤は遺伝子組換え技術によりチャイニーズハムスター卵巣細胞を用いて製造される。製造工程でトリプシン（ブタ肺臓由来）、カゼイン水解物（ウシ乳由来）を使用している。</p> <p>注2) 注射液吸引時の損失を考慮し、1バイアルから300mgを注射するに足る量を確保するために過量充填されており、日局注射用水、日局生理食塩液又は日局L-乳酸ナトリウムリンケル液4.8mLで溶解した薬液全量のうち、5mLに含まれる量は300mgとなる。</p> <p>...</p> <p>4. 効能又は効果</p> <ul style="list-style-type: none"> ○中等症から重症の潰瘍性大腸炎の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） ○中等症から重症の活動期クロhn病の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） <p>5. 効能又は効果に関連する注意</p> <p>（潰瘍性大腸炎）</p> <p>5.1 過去の治療において、他の薬物療法（ステロイド、アザチオプリン等）等の適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状が残り、本剤の投与が適切と判断した場合に投与すること。[1.2、17.1.1、17.1.2参照]</p> <p>（クロhn病）</p> <p>5.2 過去の治療において、栄養療法、他の薬物療法（ステロイド、アザチオプリン等）等の適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状が残り、本剤の投与が適切と判断した場合に投与すること。[1.3、17.1.3、17.1.4参照]</p> <p>6. 用法及び用量</p> <p>通常、成人にはベドリズマブ（遺伝子組換え）として1回300mgを点滴静注する。初回投与後、2週、6週に投与し、以降8週間隔で点滴静注する。</p> <p>7. 用法及び用量に関連する注意</p> <p>7.1 本剤と他の免疫抑制作用を有する生物製剤の併用について臨床試験は実施していないため、本剤との併用を避けること。</p> <p>7.2 本剤を3回投与しても治療反応が得られない場合、治療法を再考すること。[17.1.1、17.1.3参照]</p> <p>...</p>	販売名	エンタイビオ点滴静注用300mg	有効成分	1バイアル中 ベドリズマブ（遺伝子組換え） ^{注1)} 331.2mg ^{注2)}	添加剤	L-ヒスチジン 25.33mg L-ヒスチジン塩酸塩水和物 23.63mg L-アルギニン塩酸塩 145.34mg 精製白糖 552mg ポリソルベート 80 3.31mg	<p>特許 3 (特許第 6534415 号)</p> <p>【請求項 1】</p> <p>ヒト患者における潰瘍性大腸炎の臨床的な寛解を維持するための組成物であって、該組成物は、ヒト $\alpha 4 \beta 7$ インテグリンに対して結合特異性を有する抗体の 300 mg の用量を含み、該組成物は、ヒト患者に対して 4 週ごと又は 8 週ごとに静脈内投与され、該抗体は、ベドリズマブであり、ヒト患者は、TNFα 拮抗剤に対して適切な応答を欠いていた、応答を喪失していた、又はそれに対して認容性ではなかった、組成物。</p>	<p>特許 3 : 潰瘍性大腸炎を対象疾患とする 静脈投与用の用法 用量や 対象患者群を規定した 用途限定特許。</p>
販売名	エンタイビオ点滴静注用300mg							
有効成分	1バイアル中 ベドリズマブ（遺伝子組換え） ^{注1)} 331.2mg ^{注2)}							
添加剤	L-ヒスチジン 25.33mg L-ヒスチジン塩酸塩水和物 23.63mg L-アルギニン塩酸塩 145.34mg 精製白糖 552mg ポリソルベート 80 3.31mg							
<p>...</p> <p>4. 効能又は効果</p> <ul style="list-style-type: none"> ○中等症から重症の潰瘍性大腸炎の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） ○中等症から重症の活動期クロhn病の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） <p>5. 効能又は効果に関連する注意</p> <p>（潰瘍性大腸炎）</p> <p>5.1 過去の治療において、他の薬物療法（ステロイド、アザチオプリン等）等の適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状が残り、本剤の投与が適切と判断した場合に投与すること。[1.2、17.1.1、17.1.2参照]</p> <p>（クロhn病）</p> <p>5.2 過去の治療において、栄養療法、他の薬物療法（ステロイド、アザチオプリン等）等の適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状が残り、本剤の投与が適切と判断した場合に投与すること。[1.3、17.1.3、17.1.4参照]</p> <p>6. 用法及び用量</p> <p>通常、成人にはベドリズマブ（遺伝子組換え）として1回300mgを点滴静注する。初回投与後、2週、6週に投与し、以降8週間隔で点滴静注する。</p> <p>7. 用法及び用量に関連する注意</p> <p>7.1 本剤と他の免疫抑制作用を有する生物製剤の併用について臨床試験は実施していないため、本剤との併用を避けること。</p> <p>7.2 本剤を3回投与しても治療反応が得られない場合、治療法を再考すること。[17.1.1、17.1.3参照]</p> <p>...</p>	<p>特許 6 (特許第 7258941 号)</p> <p>【請求項 1】</p> <p>ヒト患者における潰瘍性大腸炎を治療するための組成物であって、該組成物は、ヒト $\alpha 4 \beta 7$ インテグリンに対して結合特異性を有する抗体を含み、該抗体は、Ig G 1 アイソタイプであり、配列番号 2 のアミノ酸 2 0 ~ 1 4 0 を含む重鎖可変領域を含み、かつ配列番号 4 のアミノ酸 2 0 ~ 1 3 1 を含む軽鎖可変領域を含むものであり、前記組成物は、前記抗体の 3 0 0 mg の用量を含み、前記ヒト患者は、免疫調節剤又はコルチコステロイドの少なくとも 1 つによる治療に対して適切な応答を欠いていた、応答を喪失していた、又はそれに対して認容性ではなかった、組成物。</p>	<p>特許 6 : 潰瘍性大腸炎を対象疾患とする 用法 用量や 対象患者群を規定した 用途限定特許。</p>						
<p>...</p> <p>4. 効能又は効果</p> <ul style="list-style-type: none"> ○中等症から重症の潰瘍性大腸炎の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） ○中等症から重症の活動期クロhn病の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） <p>5. 効能又は効果に関連する注意</p> <p>（潰瘍性大腸炎）</p> <p>5.1 過去の治療において、他の薬物療法（ステロイド、アザチオプリン等）等の適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状が残り、本剤の投与が適切と判断した場合に投与すること。[1.2、17.1.1、17.1.2参照]</p> <p>（クロhn病）</p> <p>5.2 過去の治療において、栄養療法、他の薬物療法（ステロイド、アザチオプリン等）等の適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状が残り、本剤の投与が適切と判断した場合に投与すること。[1.3、17.1.3、17.1.4参照]</p> <p>6. 用法及び用量</p> <p>通常、成人にはベドリズマブ（遺伝子組換え）として1回300mgを点滴静注する。初回投与後、2週、6週に投与し、以降8週間隔で点滴静注する。</p> <p>7. 用法及び用量に関連する注意</p> <p>7.1 本剤と他の免疫抑制作用を有する生物製剤の併用について臨床試験は実施していないため、本剤との併用を避けること。</p> <p>7.2 本剤を3回投与しても治療反応が得られない場合、治療法を再考すること。[17.1.1、17.1.3参照]</p> <p>...</p>	<p>特許 4 (特許第 6473845 号)</p> <p>【請求項 1】</p> <p>ヒト患者におけるクロhn病の臨床的な応答及び臨床的な寛解を達成するための組成物であって、該組成物は、ベドリズマブを含み、該ヒト患者は、TNFα 拮抗剤に対して適切な応答を欠いていた、応答を喪失していた、又はそれに対して認容性ではなかったものであり、該組成物は、300 mg のベドリズマブの第 1 の用量、該第 1 の用量の 2 週間後の 300 mg のベドリズマブの第 2 の用量、該第 1 の用量の 6 週間後の 300 mg のベドリズマブの第 3 の用量及び第 3 の用量の後の 8 週ごとの 300 mg のベドリズマブの用量により、ヒト患者に対して静脈内投与されることを特徴とする、組成物。</p>	<p>特許 4 : クロhn病を対象疾患とする 静脈投与用の用法 用量や 対象患者群を規定した 用途限定特許。</p>						
<p>...</p> <p>4. 効能又は効果</p> <ul style="list-style-type: none"> ○中等症から重症の潰瘍性大腸炎の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） ○中等症から重症の活動期クロhn病の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） <p>5. 効能又は効果に関連する注意</p> <p>（潰瘍性大腸炎）</p> <p>5.1 過去の治療において、他の薬物療法（ステロイド、アザチオプリン等）等の適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状が残り、本剤の投与が適切と判断した場合に投与すること。[1.2、17.1.1、17.1.2参照]</p> <p>（クロhn病）</p> <p>5.2 過去の治療において、栄養療法、他の薬物療法（ステロイド、アザチオプリン等）等の適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状が残り、本剤の投与が適切と判断した場合に投与すること。[1.3、17.1.3、17.1.4参照]</p> <p>6. 用法及び用量</p> <p>通常、成人にはベドリズマブ（遺伝子組換え）として1回300mgを点滴静注する。初回投与後、2週、6週に投与し、以降8週間隔で点滴静注する。</p> <p>7. 用法及び用量に関連する注意</p> <p>7.1 本剤と他の免疫抑制作用を有する生物製剤の併用について臨床試験は実施していないため、本剤との併用を避けること。</p> <p>7.2 本剤を3回投与しても治療反応が得られない場合、治療法を再考すること。[17.1.1、17.1.3参照]</p> <p>...</p>	<p>特許 5 (特許第 6878489 号)</p> <p>【請求項 1】</p> <p>ヒト患者におけるクロhn病の臨床的な応答及び臨床的な寛解を維持するための組成物であって、該組成物は、ヒト $\alpha 4 \beta 7$ インテグリンに対して結合特異性を有する抗体の 300 mg の用量を含み、該組成物は、ヒト患者に対して 4 週ごと又は 8 週ごとに投与され、該抗体は、ベドリズマブであり、ヒト患者は、免疫調節剤又はコルチコステロイドの少なくとも 1 つによる治療に対して適切な応答を欠いていた、応答を喪失していた、又はそれに対して認容性ではなかった、組成物。</p>	<p>特許 5 : クロhn病を対象疾患とする 用法 用量や 対象患者群を規定した 用途限定特許。</p>						

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

事例 4

細胞治療関係の特許取得事例

モダリティ：細胞治療

細胞治療に関する医薬品については、比較的新しいモダリティゆえに、現時点ではまだ製品化に至っているケースが少なく、特許ポートフォリオの構築が現在進行中のケースも多いと思われます。事例紹介の4件目として、細胞治療に関する特許の取得例をいくつか紹介しつつ、このモダリティに関する出願戦略を検討します。

● 「細胞」の特許化も可能

「人由来の細胞」は、そのままでは単なる自然物であるため特許法の定める「発明」の定義（「自然法則を利用した技術的思想の創作のうち高度のもの」）に該当しません。また、日本では、人間を手術、治療又は診断する方法は「医療行為」として「産業上利用できる発明」ではないため、特許権が取得できません。例えば、「人間から採取したもの（血液など）を処理する方法、又はこれらを分析するなどして各種データを収集する方法」のうち、「採取したものを採取者自身に治療のために戻すことを前提に、採取したものを処理する方法（例：血液透析方法）」は医療行為に該当するとされているので、自家治療を前提とした細胞治療に関する処置方法には特許権が付与されないでしょう^{*1}。

このように、細胞に関する特許を取ることにはハードルもありますが、だからといって、細胞治療のモダリティについて特許化をあきらめる必要はありません。**細胞治療に用いる細胞であっても、人為的な技術的介入が加えられ、自然物とはいえない「物の発明」に該当する形で、「物質特許」を取得することは可能です。**以下に、登録された特許のクレーム例をいくつかご紹介します。

①特許第 6400832 号

【発明の名称】胎盤を構成する細胞への分化能を有する哺乳動物の未分化前駆細胞及びその製造方法

【請求項 1】 胎盤を構成する細胞への分化能を有する哺乳動物の**未分化前駆細胞**であって、ZNF750 及び ELF5 が共に陽性であり、かつ CDX2 が陰性である、細胞。

②特許第 6883904 号

【発明の名称】線維芽細胞の製造方法及び G – C S F 陽性線維芽細胞集団

【請求項 1】 単離された CD106 陽性及び G-CSF 陽性である心臓由来線維芽細胞を含む**細胞集団**と、薬学的に許容可能な成分と、を含む、**医薬組成物**であって、前記細胞集団は、線維芽細胞に対する CD106 陽性の線維芽細胞の割合（細胞数）が 10%以上あり、及び前記細胞集団は、線維芽細胞に対する G-CSF 陽性の線維芽細胞の割合（細胞数）が 10%以上ある、医薬組成物。

...

【請求項 4】 心機能を改善することに用いるための、請求項 1～3 のいずれか 1 項に記載の**医薬組成物**。

③特許第 7373246 号

【発明の名称】心臓内幹細胞を含む細胞集団

【請求項 1】 ヒト小児由来の**心臓内幹細胞を含む細胞集団**であって、前記細胞集団における全細胞中に占める CD105 を発現している細胞の割合が 70%以上であり、前記細胞集団が、 α MHC 遺伝子を発現せず、前記細胞集団における全細胞中に占める SIRPA、CD45、c-kit 及び CD29 を発現している細胞の割合がそれぞれ 60%以上、5%以下、30%以下及び 80%以上ある、前記細胞集団。

*1 他方、人間から採取したものを処理又は分析・データ収集する方法であっても、次のようなものは医療行為には該当しないとされています。

- (i) 採取者と同一人に治療のために戻すことを前提にしていない方法（他家）
- (ii) 採取者と同一人に治療のために戻すことを前提にしてはいるが、以下のいずれかの方法であるもの
 - ・人間から採取したものを原材料として、医薬品（例：血液製剤、ワクチン、遺伝子組換製剤、細胞医薬）を製造するための方法
 - ・人間から採取したものを原材料として、医療材料（例：人工骨、培養皮膚シート等の、身体の各部分のための人工的代用品又は代替物）を製造するための方法
 - ・人間から採取したものを原材料として、医薬品又は医療材料の中間段階の生産物を製造するための方法（例：細胞の分化誘導方法、細胞の分離又は純化方法）
 - ・人間から採取したものを原材料として製造された、医薬品若しくは医療材料又はこれらの中間段階の生産物を分析するための方法

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

細胞治療のような先端医療分野における特許の扱い（何を対象に特許性を認めるか）は、国によっても運用が異なり得るところです。海外での出願も考えた場合、請求項の書き方等も異なる場合がありますので、国外も含めた出願・権利化も視野に入れて弁理士に出願戦略を相談することが重要です。

● 細胞治療に関する特許戦略を考えてみる

一般論として、物の発明についての特許（いわゆる物質特許や、用途を特定した物の特許（用途特許）も含む）と、物の製造方法をクレームした製法特許を比較すると、「物」について特許権を取得している方が有用であり、好ましい場合が多いといえます。なぜなら、第三者による特許権侵害に対して権利行使をする際、第三者の内部で非公開に実施されている**製造工程を立証するよりも、市場で入手可能な最終製品の構造や性質がクレームを充足することを立証する方が一般的には容易**だからです。特に日本の訴訟制度では、米国のディスカバリー制度のような証拠開示に関する制度は限定的に利用可能であるため、製法特許の侵害の立証は、事実上困難です。そのため、日本では物質特許の方が侵害抑止力を強く發揮します。

とはいっても、製法特許の取得に意味がないわけではありません。侵害の立証が実際には難しいとしても、一定のコンプライアンス意識を持つ企業であれば、他社の特許製法を安易に模倣しようとはしないからです。

細胞治療の領域では、ほかの分野と比べて**製造方法が実質的に製品の本質を規定する側面がある**と言っても過言ではありません。対象となる細胞群を得るために分化や増殖に関する培養条件、得られた細胞の精製条件などは、細胞の品質や安全性に直結するクリティカルな要素です。さらに、最終製品となる細胞群に含まれるそれぞれの細胞の性質が必ずしも均質でない場合もあり、「物」の特許だけでは十分に細胞治療製品をカバーできないこともあります。こういった観点から、細胞治療に関しては、**製造プロセスに関する技術の特許化も必須の戦略要素の一つ**となります。

細胞治療について特許を出願する際は、**製造プロセスに関する特徴も含めて、細胞という物自体の特徴、その他、色々な切り口からその技術的な特徴を捉えてみる視点が重要**です。

例：クレーム可能な技術的特徴

- 培地組成（増殖因子、サイトカイン条件など）
- バイオリアクターや培養容器の特定
- 細胞表現型（マーカー）を“結果として”規定する製法
- 安全性確保プロセス（無血清・無動物由来など）
- 規模拡大（スケールアップ）に関する条件

例えば製造プロセス関連の技術的特徴であっても、特許クレームとしてまとめる際には、**単に製造方法としてクレームするパターンだけでなく、細胞自体の構造的特徴として捉え直す、あるいは細胞の製造に用いられる培養用試薬や素材といった「物」の発明として落とし込むなどの工夫**もできないか、考えてみるとよいでしょう。

また細胞治療は、**多様な特許の回避可能性（逃げ道）が考えやすいモダリティ**でもあるため、**多層での防御的な特許戦略が重要**です。

- 細胞の表現型に基づくクレーム
- 製造方法の各ステップのクレーム
- 用途（治療適応・投与方法）クレーム
- デバイスやキットのクレーム

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

- スクリーニング方法（細胞選抜）のクレーム
- 品質管理・リリース試験に関する発明のクレーム

以下に、誘導多能性幹細胞（iPS 細胞）に関する登録特許の例から、細胞の製造方法、製造方法における各工程、製造方法で使用される添加物、製造した細胞の表現型、製造した細胞の利用方法、製造した細胞を含む剤といった観点から、構成された特許のクレームをいくつかご紹介します。

①特許第 4183742 号

【発明の名称】誘導多能性幹細胞の製造方法

【請求項 1】 体細胞から誘導多能性幹細胞を製造する方法であって、下記の 4 種の遺伝子：Oct3/4、Klf4、c-Myc、及び Sox2 を体細胞に導入する工程を含む方法。

②特許第 4411362 号

【発明の名称】誘導多能性幹細胞の製造方法

【請求項 1】 Oct3/4、Klf4 及び Sox2 の 3 種の遺伝子が導入された体細胞を塩基性線維芽細胞増殖因子の存在下で培養する工程を含む、誘導多能性幹細胞の製造方法。

③特許第 5098028 号

【発明の名称】核初期化因子

【請求項 1】 下記の（1）、（2）、（3）および（4）の遺伝子：

- (1) Oct3/4 遺伝子、
- (2) Klf2 遺伝子および Klf4 遺伝子から選択される遺伝子、
- (3) c-Myc 遺伝子、N-Myc 遺伝子、L-Myc 遺伝子および c-Myc 遺伝子の変異体である T58A 遺伝子から選択される遺伝子、および
- (4) Sox1 遺伝子、Sox2 遺伝子、Sox3 遺伝子、Sox15 遺伝子および Sox17 遺伝子から選択される遺伝子、
を体細胞に導入する工程を含む、誘導多能性幹細胞の製造方法であって、初期化される体細胞において前記遺伝子のいずれかが発現している場合には、該遺伝子は導入する遺伝子から除かれてもよい、前記製造方法（ただし、Oct3/4 遺伝子、Klf4 遺伝子、c-Myc 遺伝子および Sox2 遺伝子を体細胞に導入する場合を除く）。

④特許第 5248371 号

【発明の名称】誘導多能性幹細胞を製造するための核初期化因子の使用

【請求項 3】 Oct3/4、Klf4 および Sox2 の 3 種の遺伝子、またはそれらの遺伝子産物を成分として含む、体細胞から誘導多能性幹細胞へ、塩基性線維芽細胞増殖因子の存在下で培養して誘導するための、誘導剤。

【請求項 4】 Oct3/4、Klf4、c-Myc および Sox2 の 4 種の遺伝子、またはそれらの遺伝子産物を成分として含む、体細胞から誘導多能性幹細胞への誘導剤。

⑤特許第 5603282 号

【発明の名称】誘導多能性幹細胞

【請求項 1】

以下の（1）～（3）の工程を含んで成る方法により製造される誘導多能性幹細胞：

- (1) ES 細胞で特異的な発現または高発現を示す遺伝子、Wnt シグナルまたは LIF シグナルにより活性化される因子をコードする遺伝子、ES 細胞の分化多能性維持に必須の遺伝子、およびそれらのファミリー遺伝子から、体細胞へ導入することにより内在性の Oct3/4 遺伝子及び Nanog 遺伝子を発現させる遺伝子の組み合せを選択する工程、
- (2) 工程（1）で選択された遺伝子の組み合せを体細胞に導入する工程、および
- (3) 工程（2）で得られた細胞を培養する工程。

...

【請求項 6】

請求項 1～5 のいずれか 1 項に記載の誘導多能性幹細胞を分化誘導する工程を含む、体細胞の製造方法。

...

【請求項 8】

請求項 1～5 のいずれか 1 項に記載の誘導多能性幹細胞、または該誘導多能性幹細胞を分化誘導して製造された体細胞と被験物質を接触させる工程を含む被験物質の有効性または毒性の評価方法。

【請求項 9】

請求項 1～5 のいずれか 1 項に記載の誘導多能性幹細胞を分化誘導して製造された体細胞を有効成分として含有する、幹細胞移植療法のための剤。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

以上に加えて、細胞治療は、GCTP/GMP、あるいは新しい医療方法に関する新しい法規制など、**製品化される際に適用のある法規制**の下で満たすべき要件が技術内容と強く結びつくことが多い分野です。例えば承認申請で開示する内容と、自社出願の関係性についても、検討が必要でしょう。両者は、理屈上は、必ずしも一致している必要はないのですが、内容とタイミングによっては、特許要件（実施可能要件・サポート要件）の不充足が疑われたり、特許の権利範囲の解釈に影響を与えてしまうケースもあり得るかもしれません。

さらに、細胞治療では、開発初期段階の細胞データの変動がより大きくなる傾向があり、**再現性**も確認されにくい傾向があるため、焦って早期に出願してしまうことによるデメリット（例えば出願明細書に記載できるデータが不十分なことにより実施可能要件やサポート要件といった特許要件が満たされていない出願になる可能性が生ずるというデメリットや、不十分なデータに基づく中途半端な記載により、将来、関連発明を出願する際の新規性・進歩性を欠如させてしまうデメリット）にも、**より一層注意が必要**です。考え得る対策としては、最低限の phenotype / functional data を確保してから出願することや、まずは製造プロセスの特徴という側面からアプローチしたクレームを検討する、といった方法論があるかもしれません。

一方で、細胞治療の領域では、製造プロセスで使用する増殖因子の種類や濃度、基質、スケールアップ方法など、「少し変えれば特許を回避できる」要素が多くなりがちで、**回避しづらい特許を作ることが難しい場合が多い**のも特徴です。このような特徴を考えると、**具体的な技術内容を特許出願として公表せずにノウハウとして秘匿しておくことが、競合に対する技術的な優位性を確保する手段として有用な場合もあり得る**でしょう。（なお、ライセンス契約ではノウハウも技術導出の対象とすることが可能です。）

以上述べたようなモダリティの特徴をふまえると、細胞治療については特に、**技術的特徴をさまざまな観点からとらえたクレームを組み合わせて特許ポートフォリオを構築することが、確実で実務的な戦略となる**でしょう。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

CHECK⑤ 出願する国・地域を選ぶ



CHECK!

特許は国・地域ごとに権利が与えられるため、予め特許を取得する国・地域を決めた上で出願する必要があり、出願をする国・地域は今後の事業展開を踏まえて選定します。

医薬品は、日本だけでなく海外でも販売されることが多いため、それに対応して特許出願も、日本以外の国・地域でも行なうことが一般的です。

どの国・地域に出願するかを決める際には、以下のような点を考慮します：

- ・ 市場性、医療制度、法規制などの点から、将来、製品を販売する可能性のある国か
- ・ 競合他社・競合品の参入（製造や販売）を牽制したい国か
- ・ 特許出願や特許維持にかかる費用とのバランスがとれるか

複数の国・地域での特許の出願・維持には多額の費用（各種手続の手数料、それらの手続を依頼する各国の代理人（弁理士）の報酬など）がかかるため、あらかじめ広めの国・地域に出願しておいて、後から優先順位に応じて、それらの一部を取り下げるような戦略を取ることもあります。

また、国・地域によって、特許を認める基準（例えば進歩性の判断）や出願の進め方が少しずつ異なることもあるので、海外にも出願する場合には、それぞれの国の制度や手続きに詳しい専門家（弁理士など）と相談しながら、どんな特許請求の範囲（クレーム）にするか、どんなデータや説明を出願書類に書いておくべきかを検討し、準備していきます。

STEP 4 知的財産権の出願戦略を考える

CHECK⑥ 投資家目線で見た知財戦略も意識しておく



CHECK!

ベンチャー企業が投資家から評価されるためには、「保有する技術が優れている」ことだけでなく、「その技術を他の会社に使わせない権利（＝特許）が確保できるか」、「将来、他の会社がその技術を真似してきたときに強制的に（法的に）差止められるか」といった点が重視されます。

自社技術に関する特許を保有していることで、技術を独占的に使える法的な根拠を示すことができ、その技術を利用した事業の将来性に対する信頼が高まるため、売上や現金資産に乏しい初期のベンチャー企業にとっては、特許の存在そのものが企業の価値の大部分を占めることもあります。

ただし、投資家は単に、投資の判断をする時点で、ベンチャー企業が自社技術に関する特許を保有しているかどうか、だけを見るわけではありません。

たとえ、出資の判断の時点では、ベンチャー企業が自社技術の特許を未出願であったとしても、しっかりと出願戦略を持っており、今後、競合品の参入を長い期間排除できる特許ポートフォリオを構築できる見込みがあれば、投資家からはポジティブに判断されます。

また、投資家は、出願戦略だけでなく、出願予定の特許の中身（質）も見てきます。例えば：

- その特許は、第三者から「特許の要件を満たしていないから無効だ」と主張された場合でも、きちんと反論が可能であり、簡単には取り消されないか
- 特許のクレームの内容がしっかりしていて、回避が困難であり、競合製品の参入の余地はないか
- 実際に訴訟になったとき、特許を使ってきちんと競合製品による権利侵害を主張・立証できるかといった点もチェックされます。

また、ベンチャー企業が最終的に自社で医薬品を販売するのではなく、製造、販売の能力を有する製薬企業に技術をライセンスしたり、ベンチャー企業そのものを売却したりすることをゴールにしている場合、ライセンス先や売却先の相手企業にとっても、良い特許ポートフォリオがあるかどうかは非常に重要ですから、戦略的に構築された特許ポートフォリオがあれば、ベンチャー企業による将来の医薬品の導出価値や企業価値そのものは高まることになり、結果として、相手企業との交渉力も飛躍的に高まります。

将来的に製薬企業との提携や医薬品などの売却を有利に進めるためにも、戦略的に特許を取ることを考えましょう。

5

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

大学の研究者が得た学術研究の技術的な成果は、通常、所属する大学に権利帰属しているため、創薬ベンチャーを立ち上げる際には、技術移転契約やライセンス契約による大学からの技術導入が必要です。

創薬分野に特有の事情や、大学とベンチャー企業の立場の違いを理解して、双方 Win-Win の技術移転契約やライセンス契約を結べるよう交渉しましょう。

STEP 5 では、創薬ベンチャーが大学と契約交渉する際のチェックポイントをお示します。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

CHECK① ベンチャーを巡る知財の権利関係の全体像を理解する

CHECK !

(1) 現在ある知的財産とその権利

大学での研究成果に基づき、大学発創薬ベンチャーを立ち上げる段階では、研究者が大学で研究した成果である創薬シーズ（知的財産）に関する権利（知的財産権）は、大学の職務発明規程等のルールに従って、大学側が保有していることが一般的です。

大学が持つ創薬シーズに関する権利をライセンス（権利の使用許諾）や権利そのものの譲渡を通じてベンチャー企業が使えるようにすることを「技術移転」といいます。なお、技術移転には、創薬シーズに関する技術情報、研究データ等の情報の譲渡や利用権の設定も含まれます。

技術移転を行ってベンチャーで創薬シーズに関する創薬研究や医薬品の開発事業を行えるようにするには、まず、研究成果である創薬シーズに関して、どのような知的財産、研究データ等の情報や知的財産権が存在するのか、創薬シーズの知的財産権について、誰が権利者となっているのかを把握し、設立を予定する創薬ベンチャーの事業の実施に必要な範囲で、権利者からどのように権利を取得または許諾を受ける必要があるかを明確に把握します。

(2) 今後生まれる知的財産とその権利

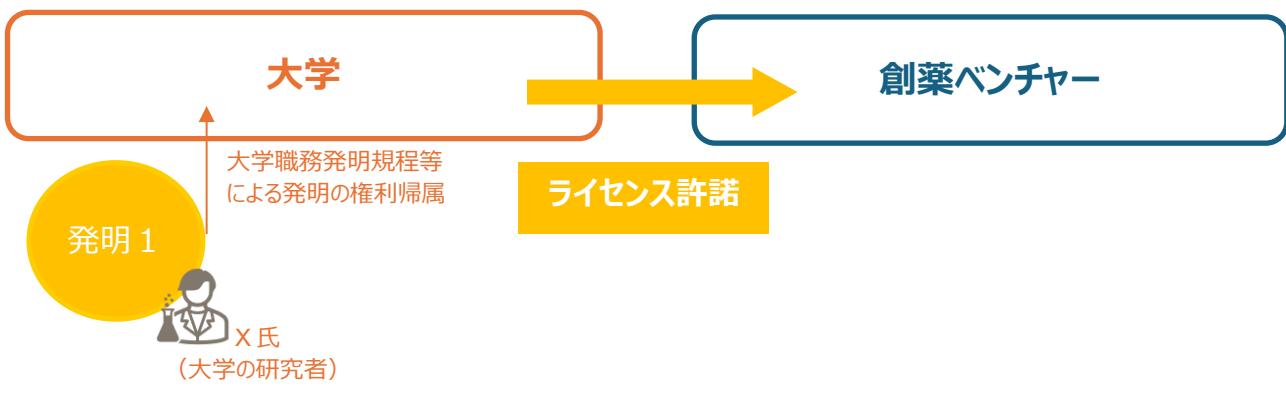
創薬ベンチャーの設立後は、事業の実施に伴い、新たな研究成果に基づく知的財産権が創薬ベンチャー側で生まれてくるはずです。

一方、技術移転後も大学での基礎研究や、大学と創薬ベンチャーとの共同研究の中から、創薬ベンチャーの事業に関係する新たな技術、発明などの知的財産や試験データ等の情報が大学側の研究活動から生まれてくる可能性があります。

これらの新しい知的財産についても、「誰に帰属することになるのか」、「誰がどういう条件で使えるのか」を整理し、創薬ベンチャーによる実用化に必要な知的財産に関する権利や研究データ等の情報の利用権は、適切な共同研究契約の締結により、創薬ベンチャー側で確保しておくことが重要です。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

【創薬ベンチャー設立時】



- 大学の研究者 X 氏が発明 1 を発明。発明 1 にかかる特許を受ける権利は研究者 X に発生したが、大学の職務発明規程に基づき大学が承継し、**大学が特許権を持っている**。
- 発明 1 の創薬シーズとしての有望性から、実用化へ向けた開発を行うこととし、創薬ベンチャーを設立。
- 発明 1 の特許権は、権利の譲渡ではなく、ライセンスとして、大学（特許権者）から創薬ベンチャーへ、独占的に実施許諾するライセンス契約が締結された。

・コラムーもっと詳しく：

■発明の権利帰属に関する原則的な考え方

● ベンチャー企業側

従業員などが業務の一環として行った職務発明は、原則として発明者に権利が発生しますが、多くの場合、職務発明規程や契約により、権利は会社（ベンチャー企業）に移転されることが一般的です。

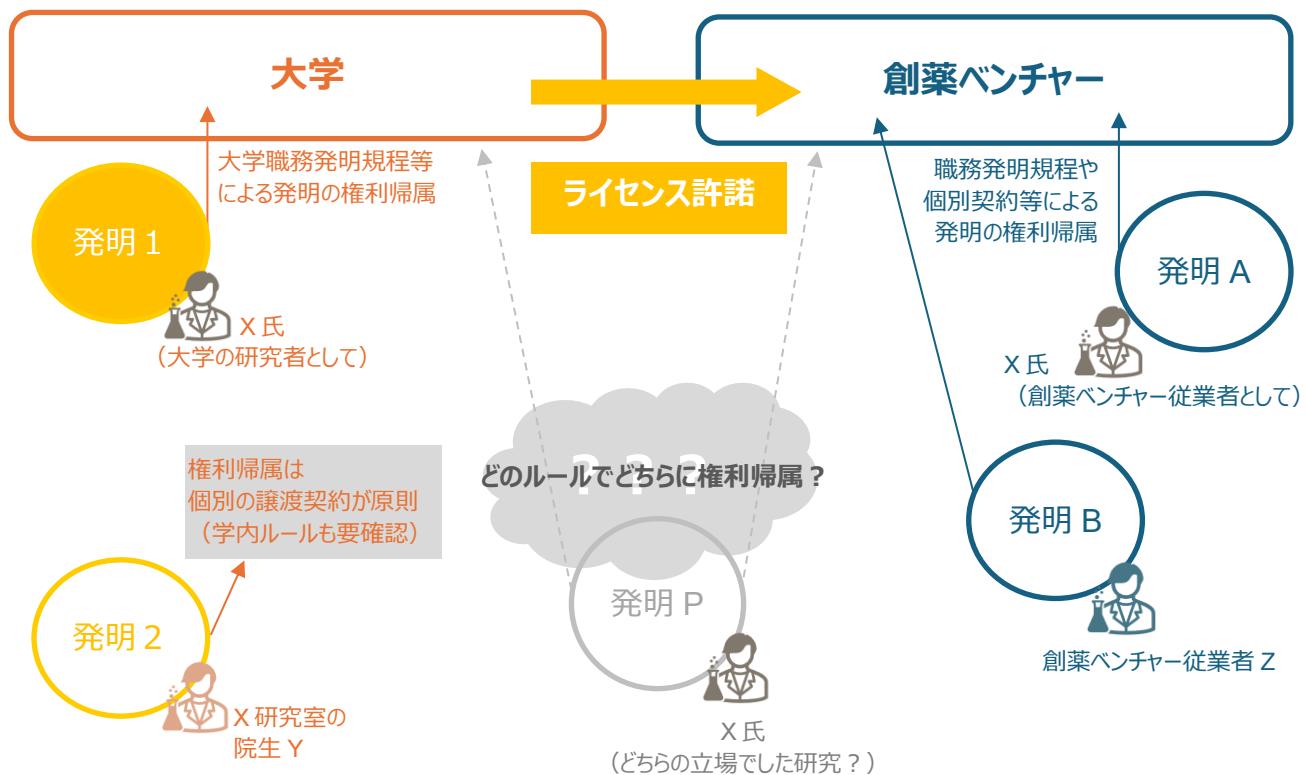
● 大学側

教員の職務発明も原則は発明者本人に権利が生じますが、大学の職務発明規程や契約に基づき、大学に権利が承継されることが一般的です。ただし、大学の規程の内容によっては個別に委員会等で判断するケースもあり、場合によっては、大学を通さずベンチャー企業に直接譲渡してもらえる可能性もあります。

また、学生は大学と雇用関係がないため、職務発明の規程が適用されず、学生が行った発明の権利は原則として本人に帰属します。大学がその権利を取得するには、個別に譲渡契約を結ぶ必要があります。大学によっては、学生発明に関する学内規程がある場合もあるので、必要に応じて確認しましょう。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

【創薬ベンチャー設立後】



- 創薬ベンチャー設立時点で大学と創薬ベンチャーがライセンス契約を締結しており、大学が特許権を有する発明 1について創薬ベンチャーに対して実施許諾（独占）されている。
- X 氏は大学の研究者と創薬ベンチャーの従業者を兼任している。
- 創薬ベンチャー設立後、創薬ベンチャーでは候補物質 S に関して医薬品の創製へ向けた研究開発が重ねられ、物質 S の疾患治療応用に有用な発明 A（創薬ベンチャー従業者の立場で X 氏が発明）や、発明 1 の改良である発明 B（創薬ベンチャー従業者の Z が発明）が得られた。
- 一方、大学でも、X 氏が率いる研究室では引き続き、物質 S に関する基礎研究が続けられている。X 研究室の院生 Y が物質 S を博士論文用の研究テーマとしており、その研究の中で院生 Y は、物質 S に関する発明 2を得た。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

：コラムーもっと詳しく！

■ 同一人物が大学と創薬ベンチャーの双方に所属している場合の注意点

● 成果の帰属をめぐる混乱のリスク

大学での研究成果を基に創薬ベンチャーを設立した場合、たとえば研究者 X のように、同一人物が **大学の教員としての立場** と **創薬ベンチャーの従業者としての立場** を兼ねて研究開発を行うケースがよくあります。

理屈上、大学で行った職務発明は大学に、創薬ベンチャーで行った発明は創薬ベンチャーに権利が帰属します。ただし、たとえば以下のような状況では、どちらの立場でなされた発明か判断が難しくなり、権利の帰属が不明確になる恐れがあります：

- 創薬ベンチャーの実験を大学の設備で行う
- 大学の研究成果を創薬ベンチャーで活用する
- 大学・創薬ベンチャー双方の研究テーマやリソースが混在する

こうした混乱を避けるには：

- **大学と創薬ベンチャー間での契約により、兼任者の業務範囲・設備使用・権利帰属の原則を事前に定めること**
- **実務面でも、業務内容や成果の管理方法を明確に区別し、混同が生じないよう運用すること**

さらに、大学と創薬ベンチャーで共同研究や委託研究を行う場合には、**その成果の権利帰属や実施権の取扱いについて契約で、予め明確に定めておく必要があります。**

● 情報管理の重要性

大学と創薬ベンチャー、両方の地位を兼任する者がいる場合や、学生研究員を創薬ベンチャーの研究に関与させる場合は、特に、創薬ベンチャーの**秘密情報の漏洩や不適切な使用のリスク**があります。

- 創薬ベンチャーにとって重要な技術情報や事業計画が、大学内に無防備に広がる恐れがある
- 大学による意図しない学術発表や第三者提供が行われる可能性も

このため、以下のような対応が求められます：

- 大学・創薬ベンチャー間の秘密保持契約の締結
- 学生や兼任研究員との秘密保持覚書の取り交わし
- 大学・創薬ベンチャー双方の情報管理規程の確認・整備

● 利益相反規程や兼業規程との関係

大学教員が創薬ベンチャーの役員・従業員との兼任をすることは、大学の**利益相反管理や兼業規程**にも関係します。

大学教員の創薬ベンチャーとの関わり方によっては、大学の審査や報告が必要になる場合がありますので、事前に大学側の規程を確認し、適切に手続きを進めることが大切です（詳細は CHECK⑤参照）。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

CHECK② 大学と技術移転のための契約を締結する



CHECK!

CHECK②の構成とポイント

CHECK②では主に**創薬ベンチャー側の視点**から以下のチェックポイントを解説します。

まず大学に所属する研究者が得た学術研究成果は、通常、所属する大学に権利帰属していますから、研究成果を基にした創薬ベンチャーの設立に際しては、大学からそれらの成果に関する権利の譲渡又はライセンス許諾等の「技術移転（大学が権利を持っている知財を使えるようにすること）」を受けることが必要です。

大学と技術移転に必要な契約を締結する際には、まず、そもそも何についての、どのような権利を、誰が持っているのか、

☞ (1) 移転対象技術と権利関係を把握する

ようにしましょう。

また、大学と交渉をして Win-Win な条件の契約を締結するには、

☞ (2) 大学と創薬ベンチャーの立場の違いを理解する

という視点をもつことも重要です。

そのうえで、

☞ (3) 技術移転の法的たてつけを選択し、必要な契約条件を確保する

というステップに入ります。

大学からの技術移転をする方法には、権利自体を譲り受ける、権利を使うことの許諾を受ける（ライセンス許諾を受ける）、などがあり得ますが、一般的にはライセンス許諾を受けることが多いので、ライセンス契約における許諾の対価の決め方、

☞ (4) ライセンス料はどうやって決める？

についてもお話しします。

またライセンス契約の中では、許諾対象特許の出願・維持の費用負担についても、重要な経済的因素になりますので、

☞ (5) 特許の出願・維持費用負担の考え方

についても説明します。

最後にまとめとして、創薬ベンチャーとしてどんなポイントに気を付けながら、大学とのライセンス契約をレビューしたら良いのか、

☞ (6) ライセンス契約レビュー時のチェックリスト

でお示ししますので、このリストに沿ってチェックしながら、大学とのライセンス契約締結に臨みましょう！

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

(1) 移転対象技術と権利関係を把握する

① 「誰から」「何を」移転してもらうかを把握する

創薬ベンチャーの設立にあたり、必要となる研究成果（創薬シーズ）を誰から、どのような方法で技術移転してもらうべきかを検討する際には、まず以下の2点を明確にすることが重要です。

A) 何を移転するかを把握

まず、今後の開発・実用化に際して創薬ベンチャーで利用できるようにしておく必要のある、技術・情報・試料等の内容や範囲を具体的に把握します。

■ 技術の存在形態の例：

- 特許取得済みの発明
- 出願中の発明
- 出願準備中の発明（ドラフトあり）
- 未出願の発明・技術的アイデア（実験結果やレポートなどの形で内容は把握できるが、将来特許権が取得されたときにどのような権利範囲になるか具体的には把握できない）

また、発明だけでなく、創薬シーズである候補物質に関する研究データや試料なども移転対象になり得るため、医薬品としての開発に不可欠なものがあれば、併せて検討します。

B) 誰の権利かを把握

対象技術が特許等として登録・出願されている場合は、**特許権者や出願人の情報**から把握可能です。未出願や出願準備中の技術の場合は、大学の**職務発明規程や個別契約の有無**を確認し、権利の帰属を明確にします。データや試料で重要なものについても同様に、その所有権あるいは利用権を誰が持っているか確認します。

■ 大学での一般的なケース：

- 大学が全ての職務発明の権利を一律に取得する場合
- 大学が選択的に権利を承継する場合（承継前は発明者個人の権利）
- 個別契約で別途取り決めがある場合

技術移転のための**契約を誰と結ぶべきか**は、こうした**権利の所在**によって変わるために、必ず確認が必要です。

② 共有関係や関連契約による制約の有無も確認する

さらに、特許が複数者で**共有されている場合**や、契約でその利用に制限がある場合は、追加の確認・調整が必要です。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

■ 共有の場合 :

- 創薬ベンチャーへの実施許諾に**全共有権者の同意**が必要であるのが原則
- 他者に既にライセンス許諾されている可能性がある（対象疾患・地域での棲み分けが可能か検討しても良い）

■ 契約による制約 :

- 単独保有でも、**共同研究契約等で許諾に事前同意が必要な場合もある**

このような可能性も踏まえて、対象技術ごとに、

- **権利の共有状況**
- **関連契約の内容**

を確認し、移転可能性に制限がないかを事前に把握しておきましょう。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

(2) 大学と創薬ベンチャーの立場の違いを理解する

大学からの技術移転に際しては、**ライセンス契約など知的財産関連の交渉が不可欠となります。**このとき、大学と創薬ベンチャーでは立場や目的、制約が異なるため、相互の考え方の違いを理解したうえで交渉を進めることが非常に重要です。

特に医薬品開発を目的とする創薬ベンチャーにとっては、創薬シーズの導入から実用化、製品の上市に至るまでに長い時間と大きなリスクが伴います。契約交渉の際には、以下のような視点を念頭に置いておくと良いでしょう。

① 創薬ベンチャーの立場と考慮点

a. 競合排除・市場独占性の確保が事業の要

創薬ベンチャーにとって、導入する技術が将来の製品の中核である以上、その特許に関して**独占的な実施権や、第三者への差止請求権のコントロールを有することは極めて重要です。**競合を排除した実施を確保できる知財の権利とコントロールがあってこそ、事業の将来性が描けます。

b. 開発の過程で発生する技術移転ニーズ

創薬段階から医薬品開発の過程では、委託先や、製薬企業などの提携先に、技術やデータを開示・共有する場面も出てきます。開発の過程で**ライセンスアウトや譲渡の柔軟性**が求められることも想定し、契約上の制限や許諾範囲を事前に検討しておく必要があります。

c. 資金面の制約がある中での交渉

特に設立初期の創薬ベンチャーはキャッシュに限りがあります。そのため、**一括前払いのライセンス料や過大な出願維持費用負担**は事業継続の妨げになりかねません。ライセンス料の支払いのタイミングや分割での支払い、段階的なライセンス支払時期であるマイルストーンの設計、又はライセンス許諾の対価として新株予約権の利用、出願維持費用の分担など、現実的な資金繰りに即した条件の検討が必要です。

d. 投資家の目線と Exit(出口戦略)

創薬ベンチャーはVCなど外部投資を受けながら成長するため、**投資家から「将来性をつぶさない、魅力ある知財条件であるか」も重要な評価軸**になります。また、IPOやM&A、海外企業による買収など、将来的なExitを見据えたときに、導入技術の契約条件が障壁とならないよう留意が必要です。

② 大学側が持つ前提や制約

一方、大学側にも、以下のようないい事情があります。交渉ではこうした背景への理解が、信頼関係構築や合意形成の近道になります。

e. 大学は研究・教育機関である

大学発の創薬シーズが社会の役に立つことは喜ばしいが、大学における研究・教育活動の妨げにならないことが大前提

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

f. 大学の資金面での制約

少なくとも、研究資金や出願費用の回収は必要であり、創薬上必要な特許ポートフォリオのすべてについて出願・維持費用（特に海外）の負担を求められるとすると大学にとって過大な費用負担となる

g. 遵守すべきルール等の存在

大学の学内ルール・ポリシー（利益相反ポリシー、兼業規程、職務発明規程、ライセンス・ポリシー、秘密管理指針、輸出管理規定、等）については遵守が求められる

③ 創薬分野ならではの留意点

h. 製品化までの長期スパンと高い不確実性

医薬品開発は、大学発の創薬シーズの段階から製品として上市されるまで 10 年以上を要することも珍しくありません。その間には治験や規制対応など、超えるべき壁が数多く存在します。

i. 契約への反映が難しい場面も多い

創薬段階から医薬品としての開発完了までの間に超えるべきハードルや不確定要素のために将来予測が難しく、契約規定への落とし込み等も難しい場合が多くあります。最初の契約時点で詳細を詰めすぎると後々足かせになることもある一方、何も決めておかなければ将来紛争になる可能性もあります。柔軟性を持った条項設計や、将来の見直しの手続なども検討が必要です。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

(3) 技術移転の法的たてつけを選択し、必要な契約条件を確保する

上述のとおり、創薬ベンチャーを設立するとき、まず確認すべきなのは「そのコア技術（研究成果）に関する知的財産の権利は誰が持っているか？」でした。

そして多くの場合、大学に所属する研究者の研究成果は、所属する大学に権利が帰属しているため、ベンチャーがその技術を使うには、大学と契約を結んで「技術移転」を受ける必要があります。

① 技術移転の法的たてつけ

まず重要なポイントが、「どのような法的なかたち（契約形態）で技術を移転してもらうか？」という点です。技術移転の形には大きく分けて以下の4パターンがあります：

1) 特許権の譲渡

特許そのものを創薬ベンチャーが大学から買い取って、完全に自社のものにする。

2) 専用実施権の付与によるライセンス許諾

対象特許権について、「専用実施権」の設定登録を受ける形のライセンス許諾です。設定された範囲で、ライセンサー自身（大学）は実施ができず、ライセンシー（創薬ベンチャー）の承諾なくライセンシー（創薬ベンチャー）以外の者に実施許諾ができるため、ライセンシー（創薬ベンチャー）が実施を独占できます。また特許侵害者に対する差止等の権利行使もライセンシー（創薬ベンチャー）が自由に行えるのが原則です。

ただし専用実施権は日本の特許に関する制度なので、海外の特許についても許諾を受ける場合は、同等の独占ライセンスになるよう実施許諾条件を合意します。

3) 独占的通常実施権の付与によるライセンス許諾

ライセンサー（大学）はライセンシー（創薬ベンチャー）以外の者にライセンスを与えないことを約束する、ライセンシー（創薬ベンチャー）に対する独占的な実施許諾です。特許庁での登録は不要です。ライセンサー自身（大学）による実施は必ずしも排除されません（契約上の合意で制限することはできます）。

4) 非独占的な通常実施権の付与によるライセンス許諾

ライセンシー（創薬ベンチャー）は許諾対象特許の実施ができますが、独占的ではないため、ライセンサー（大学）はライセンシー（創薬ベンチャー）以外の者に対しても実施許諾が可能です。

② 創薬ベンチャーとしてライセンス契約で押さえておきたいこと

実務的には、大学から「特許権そのものの譲渡」を受けることはあまり多くありません。多くの場合、②の「専用実施権」または③の「独占的通常実施権」によって、独占的に技術を使えるようにしてもらう形になります。その場合、創薬ベンチャーとしてはまず、次の2点が確保できることが大原則です：

- 事業に使う技術を、自分たちだけが独占的に使えるか？
- 万一、他社が技術を勝手に使っていた場合、それを止める手段にコントロールを及ぼせるか？

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

「専用実施権」であれば、法的にこれらの権利が明確に認められます（特許法上、他社に使わせず、侵害者に対して自分で差し止めも請求できる）。ただし、専用実施権は日本独自の制度であるため、海外展開の場合には、契約の規定で、上記の2点を確保した「独占的通常実施権」を設定することでも十分にカバーできることがあります。

加えて、途中で実施権が終了してしまっては、創薬研究や医薬品開発が続けられなくなってしまいますから、

- **ライセンス契約の継続性が確保されているか？**
ということも重要です。

ポイントは、「何の形であれ、契約書で創薬ベンチャーがしっかりと独占的に使えること、そして特許侵害があったときにその排除ができるコントロールがあることが、契約上確保されているかどうか」です。

③ 大学との交渉で配慮すべきこと

研究・教育機関である大学の立場からすれば、研究・教育活動の自由や他の研究者との連携も大事です。そこで、以下のような配慮を組み合わせることで、大学との合意に近づけます：

- 大学には「教育・学術研究の目的で使う権利」を契約で留保する
- 特許侵害への対応（警告・訴訟など）については、大学との連携方法や費用負担に関する考慮要素を総合的に加味して条件交渉をする
- 許諾対象特許の維持費（出願費用や維持年金など）の分担方法についても、全体的な条件の中で双方 Win-Winとなるよう話し合う

④ 契約交渉を成功させるには？

技術移転の形に唯一の正解はありません。重要なのは：

- 創薬ベンチャーとしての「使いたい範囲」や「必要な独占性」を明確にし、
- 大学側の「譲れない研究活動の自由」や「知財管理ポリシー」を理解し、
- 両者の立場を踏まえて、お互いに納得できる契約条件を合意することです。

大学とのライセンス契約に必要な規定が盛り込まれているかどうかについては、後述の

（6）ライセンス契約レビュー時のチェックリスト

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

(4) ライセンス料はどうやって決める？

大学から研究成果のライセンスを受けるとき、その対価（ライセンス料）をどう支払うのが良いでしょうか。ライセンス料の決め方には主に2つの方法があります。

- ・ お金で支払う方法（いわゆる「金銭支払型」）
- ・ 株（新株予約権＝ストックオプション）で支払う方法（「新株予約権型」）

最近では、この2つを組み合わせるケースも増えてきています。

創薬ベンチャーとしては、「限られた資金をどうやって有効に使うか？」が非常に大事です。ここでは、どんな選択肢があり、それぞれにどんなメリット・デメリットがあるか、大学との交渉でどう考えるべきか、を見ていきます。

？コラム－もっと詳しく！

■新株予約権とは？

新株予約権とは、発行時点で定められた金額（行使価格）を支払うことで、その時点の株式を取得できる権利をいいます。

例えば、大学が、設立間もない創薬ベンチャーに知的財産権をライセンスするにあたり、その対価として「行使価格1万円（1株）」の新株予約権100個の発行を受けたとします。その後、当該ベンチャーが成長し、株価が50万円（1株）になりました。このタイミングで大学が新株予約権行使すれば、100万円（行使価格10000円（1株）×100個）を支払うことで、5000万円分の株式（行使時の株価50万円（1株）×100個）を取得することができ、これを売却することで、4900万円（行使時の株価－行使価格）の株式売却益（キャピタルゲイン）を得ることができます。

語弊を恐れずに言えば、資金力のないベンチャー企業がなんらかの支払い義務を現金ではなく新株予約権により支払う方法は、ベンチャー企業からすればいわゆる「出世払い」のような意味を持ち、現金に替えて新株予約権を受ける側としては、即時的な現金収入がなく、かつ、そのベンチャー企業が事業に失敗すれば利益が得られないというデメリットを負う一方で、そのベンチャー企業が大きく成長すればその分だけ多額の利益を得られるという投機的なメリットのある方法といえます。

① 金銭で支払う場合のポイントと注意点

金銭支払型では、次のような項目がよく使われます：

- ・ **一時金（Upfront）**：契約時に一括で支払うお金
- ・ **マイルストーン**：医薬品の開発や製品化の進捗に応じて段階的に支払うお金（例：PoC完了、治験開始、承認取得、上市）
- ・ **ランニングロイヤルティ（RR）**：製品として上市された後の売上等の〇%を継続して支払う仕組み

このような支払パターンは、大学にとっては、出願費用などの実費回収ができたり、早い段階で現金収入が得られるというメリットがあります。

一方で、創薬分野の場合、医薬品の開発、製品化には時間がかかること、また開発が最終的に予測通りの形で成功するかが保証されておらず、開発の成功や製品の売上を初期段階で見通すことが困難です。そのため、妥当な実施対価を初期段階で設定することは容易ではありません。

そのため、以下のような課題が出てきます：

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

- 初期に設定した金額が、後から見て**高すぎた・安すぎた**と感じる
- 創薬ベンチャーにとって、大学へのライセンス料の**負担金額が重すぎて資金繰りに影響が出る**
- 大学にとって、**後から見てリターン（ライセンス料収入）が小さすぎる又は製品の売上金額に比して少なすぎる**という不満が出る

このようなリスクを減らすために、例えば：

- 一時金を**分割で払う**
- マイルストーンのタイミングを**後ろ倒しにする**
- ライセンス料の一部を**後日協議で決める**

といった方法もありますが、ライセンス料について「あとで協議」のまま放置すると、**大学との契約内容が不安定**との評価になり、**Exit**に影響するので注意が必要です。

② 新株予約権の活用の検討と留意点

ライセンス許諾の対価を、新株予約権（ストックオプション）を大学に割り当てる形で支払うのが新株予約権型です。ベンチャー企業の将来の成長を大学にも共有してもらう形です。近年はこの方式での支払いを検討する事例も増えています。

新株予約権付与による対価払いは、ベンチャー企業側の目線では：

- 資金的余裕が限られるベンチャー企業設立初期の現金支出を抑えられる
というメリットがあります。

大学側の視点では：

- 現金で受け取るよりも多くのリターンを得られる可能性
- 許諾対象特許の実施状況に左右されずに、ベンチャー企業の成長に応じた対価を受け取ることができる

といったメリットがあります。

「成功報酬型」に近い性質をもち、創薬分野のように、事業の成功確率が低くても、事業成功時のインパクト（得られる収益）が大きい分野において、ある意味合理的な選択肢ともいえます。

また、創薬ベンチャーの成功と大学の経済的利益が方向性として合致しており、両者が「同じ船に乗る」感覚で協力関係を築きやすくなるという副次的効果もあります。

もちろん、常に技術移転対価の100%を新株予約権割当て設定する必要はなく、金銭支払型との併用も可能です。

例えば、特許の取得に要した費用は最低限回収したいという大学の要望をふまえて、出願等の費用相当額は契約締結時に現金で支払うこととし、残りの対価は新株予約権の付与の方法で支払う、といった併用をすることもできます。

新株予約権の活用にあたっては、いくつかの**留意点**も存在します。

- まず、大学として株式関連の管理・評価・売却方針など、運用体制をあらかじめ整備しておく必要があります。
- また、実際に株式の価値が顕在化するまでに時間がかかるため、短期的なリターンは期待できません。
- また、ベンチャー企業が失敗して新株予約権が無価値に終わるリスクもありますので、そのような場合にも一定の対価を確保するスキームの併用は検討の余地があるかもしれません。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

また、ベンチャー企業の資本政策との整合も重要であり、既存株主との調整や将来の資金調達に与える影響も見極めながら、対価としてのバランスを検討することが求められます。

新株予約権方式の対価を設定する場合、**新株予約権の付与個数や行使条件**についても、大学と合意する必要があります。何が最適か、具体的には事案によって異なりますが、新株予約権の付与には理論的には**2つのモデル（有償型と無償型）**があり、それぞれにおいて、これらの条件に関する考え方が少し異なります。この考え方については、後記「参考資料編」の「参考資料4：大学による知財ライセンスの対価としての新株予約権」もご覧ください。

◆コラムーもっと詳しく！

■ライセンスの対価設定に相場感はあるのか？

ライセンス契約における対価の設定方法としては、新株予約権を付与するケース、金銭による支払い、あるいはその併用など、いくつかのパターンがあります。では、創薬ベンチャーが、大学からライセンスを受ける場合、その具体的な内容（新株予約権であれば割当パーセンテージ、金銭であれば一時金・マイルストーン・ランニングロイヤルティ（RR）の料率など）に「相場」と呼べるものはあるのでしょうか。

結論から言えば、一律に「この金額が平均」「通常はこのレンジ」といった一般化は難しいのが実情です。なぜなら、対価の妥当性はケースごとに多様な要素を考慮して決まるからです。主な要素を挙げると、例えば以下のようなものがあります。

・ 対象特許の製品への貢献度

医薬品を市場に出すには、臨床試験、製造スケールアップ、営業活動など、特許以外にも膨大な努力とコストが必要です。ライセンス対象の特許が製品にとって中核的な技術なのか、あるいは多くの技術の一部に過ぎないのかによって、交渉での位置づけは大きく変わります。

・ 支払金額内での配分

例えば「一時金を厚めに設定した分、マイルストーンは控えめに」「一時金とマイルストーンを多めにした分、RRは低めに」など、バランスをとる形で調整される場合があります。

・ 算定ベースの違い

RRを売上ベースで算定するのか、利益ベースで算定するのか。また、利益ベースにする場合、売上げから控除する項目をどう設定するかによっても、適正な料率は変わってきます。

・ 費用分担との関係

出願費用をライセンサーが全額負担する代わりに、ライセンス対価自体を抑える、といった調整も行われます。

これらの要素は、言い換えれば「増額・減額の交渉材料」として機能するものです。

このように、創薬ベンチャー向けライセンスにおいて、具体的に「いくら」、「何パーセント」が相場であると断言することはできません。ただ、実務の場では、相手から提示された条件が高すぎる、低すぎる、といった経験上の“肌感覚”は存在しうるでしょうから、創薬分野で多くの事例を経験しているVCなどのアドバイザーに相談してみるのも有効でしょう。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

(5) 特許の出願・維持費用負担の考え方

大学から創薬ベンチャーに対して特許をライセンスする際、許諾対象特許の出願費用や維持年金の費用を誰が負担するかは、実務上よく議論となる交渉ポイントの一つです。

大学側の立場：

- 出願・維持費用を回収したいという意向が強い。
- ライセンスを受けている以上、その間の年金は創薬ベンチャー側が払うべきだというスタンスになりがち。
- 海外出願や維持にまで予算を割く経済的な余裕は基本的ない。

創薬ベンチャー側の立場：

- 出願人・権利者である大学が、その費用も負担すべきだと考えるケースもある。
- 医薬品は最初からグローバル展開を見据える必要があり、海外での特許取得も不可欠。
- とはいえ、設立初期は資金に余裕がなく、出願費用や年金をすぐに全額負担するのは現実的ではない。
- 将来的に資金調達後に全額負担することや、特許を買い取るなどの選択肢も視野に入る。

選択肢のパターンと工夫のポイント：

許諾対象特許の出願・維持にかかる費用負担の方法については、大学・創薬ベンチャー双方が納得できるよう、例えば以下のようなバリエーションも視野に入れて、双方に利のある着地点を模索してみましょう。

- **大学が権利を持ち、費用は創薬ベンチャーが負担**
→ ライセンス期間中の実費は創薬ベンチャーが支払う。
- **特許を大学から創薬ベンチャーに権利を譲渡し、創薬ベンチャーが権利者として費用を全額負担**
→ 創薬ベンチャーにとって権利の利用・処分の自由度は上がるが、そもそも権利譲渡に大学側の同意が必要で、費用負担に加えて譲渡対価も支払わなければならない。
- **段階的な費用負担**
→ 初期は大学の費用負担とし、創薬ベンチャーの資金調達後は創薬ベンチャーの費用負担とする形。
- **補助金・助成金の活用**
→ 公的支援を活用し、創薬ベンチャーが申請主体となって費用を賄うケースも。

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

(6) ライセンス契約レビュー時のチェックリスト

以上で説明したことを踏まえ、大学から創薬ベンチャーへの独占的なライセンス許諾（専用実施権又は独占的通常実施許諾）を選択した場合を前提として、創薬ベンチャーが契約をレビューする時の主要なチェックポイントをまとめました。

創薬ベンチャーのためのライセンス契約チェックリスト

① 許諾対象の知的財産の確認

- 許諾対象特許（範囲）、供与対象ノウハウ・データ、技術指導の要否・内容、等は、適切に設定され、かつ、特定できていますか？
- 許諾対象特許の権利関係（共有者の有無等）は確認しましたか？

② 独占ライセンスの許諾範囲の確認は、想定するビジネスを適切にカバーしていますか？

- 許諾分野・実施目的（例えば疾患分野等の限定がある場合など）は適切ですか？
- 許諾実施態様（使用、製造、輸入、譲渡・販売、など）は適切ですか？

③ 実施の独占性はどの範囲で確保できていますか？

- 専用実施権又は独占的通常実施許諾の形になっていますか？
- 特許権者（大学）の実施権は、残っていない、又は、大学の学術研究・教育目的など最小限の実施範囲のみが留保される形になっていますか？

④ 許諾地域

- 自社事業の実施予定国や、競合参入を排したい地域をカバーしていますか？

⑤ 再実施許諾権

- 再実施許諾権は必要な範囲・条件で設定されていますか？（再実施許諾権は、製造委託や医薬品開発委託、製薬企業への創薬シーズや開発した医薬品の導出等を行う場面等で必要になります）

⑥ 経済的な条件

- 実施対価について（参照：上記(4)）
 - 対価の設定は意向に沿っていますか？
 - 算定方法は明確に規定されていますか？
- 出願・維持費用の負担の設定は意向に沿っていますか？（参照：上記(5)）

⑦ 第三者による許諾対象特許の特許権侵害が生じた場合、侵害排除について創薬ベンチャーにコントロールする権利がありますか？

- 専用実施権ですか？
 - （YES の場合） — 許諾特許のうち、日本国特許については専用実施権者にコントロールする権利があるのが法律上の原則ですが、海外特許についても差止請求権等に関し日本の専用実施権者と同様の授権をする旨の規定がありますか？

STEP 5 大学との技術移転契約を締結する

- (NO の場合) — ライセンサー（大学）の侵害排除義務は設定されていますか？あるいは、大学が侵害排除に消極的である場合に創薬ベンチャーが大学にアクションを求める権利、創薬ベンチャー主導で排除手段を講じる権利、等は設定されていますか？
- ⑧ ライセンスのもと創薬ベンチャーが行う改良発明や、創薬ベンチャーで開発される技術、生じるデータ等の権利は、原則として創薬ベンチャーに帰属し、創薬ベンチャーで創薬研究や医薬品開発に使える形になっていますか？
- ⑨ 大学側で、契約締結後にも、関連する技術にかかる発明が生じることが想定される場合、そのライセンスの取り扱いはどうなりますか？
- (例えばファミリー特許のような形で) 包括的に本件契約の許諾対象に含まれていますか、又は、
 - 別途ライセンス交渉・契約を要するとされていますか？
- ⑩ 許諾期間・契約終了事由の設定は適切ですか？
- ライセンスの期間設定が十分ですか？
 - 創薬ベンチャーの事業展開上不都合な事由で契約が終了してしまう形になってしまいか？
- ⑪ Exit や組織再編時に問題を生じませんか？
- 将来、創薬ベンチャーが、インバージョン（親会社を海外に移転すること。開発・事業の世界展開のために行われることがあります。）等の組織変更や Exit (IPO や M&A 等) を行った際に、権利承継や契約存続に問題がありませんか？(例えば導出先が契約上の権利を承継できるようになっていますか？Exit が契約終了事由になってしまいか？等)。

6

STEP 6 大学の兼業・利益相反手続を済ませる

大学発創薬ベンチャーを設立する場合、大学の規程との関係、特に、兼業規定や利益相反マネジメントに関する手続を確認し、済ませておくことが不可欠です。

STEP 6 大学の兼業・利益相反手続を済ませる

CHECK① 兼業許可を得る



CHECK!

研究者が所属する大学での研究成果を実用化するベンチャー企業を設立する場合、研究者自身や、研究をサポートしてくれる研究員などが、「大学の研究者・教員等の地位」と「ベンチャ一起業の役員・従業員や、外部アドバイザーの地位」を兼任する場面が生じます。

この場合、大学側からすると、その所属の研究者が、大学の業務とは異なる業務を行うことになりますので、研究者は、ベンチャー企業の設立に関与するにあたり、大学の兼業規程を確認し、大学から必要な許可等を受けておくことが必要です。

大学の兼業規程には、兼業の可否に関するルールのほかに、兼業先（ベンチャー企業）の業務の従事時間に関する取り決め、兼業先と大学との間での、購入物品や研究成果の帰属等の振り分けに関する取り決めや手続きが定められている場合もあるので、ルールを確認しましょう。またそういう規定がない場合も、大学との間で、振り分けルールに関するコンセンサスを得ておく方が、後のトラブルを避ける観点から良いでしょう。

STEP 6 大学の兼業・利益相反手続を済ませる

CHECK② 利益相反マネジメントに関する手続を完了する



CHECK!

大学の研究者としての地位と、ベンチャー企業の役員等の地位との兼業には、「利益相反」の問題も生じ得るため、大学の利益相反に関するマネジメントポリシーを確認し、規定された手続（利益相反申告書の提出や、大学の審査を受けること、所定の報告を行うこと等）に則ってプロセスを進めることも必要です。

(1) 利益相反マネジメントに関する手続を実施する

そもそも利益相反とは何でしょうか。

「利益相反」の定義については一般に、次ページに示すように整理されており、狭義には「教職員又は大学が産学官連携活動に伴って得る利益（実施料収入、兼業報酬、未公開株式等）と、教育・研究という大学における責任が衝突・相反している状況」ことを言い、また広義には「責務相反」すなわち「教職員が主に兼業活動により企業等に職務遂行責任を負っていて、大学における職務遂行の責任と企業等に対する職務遂行責任が両立しない状態」のことも併せて意味します※。

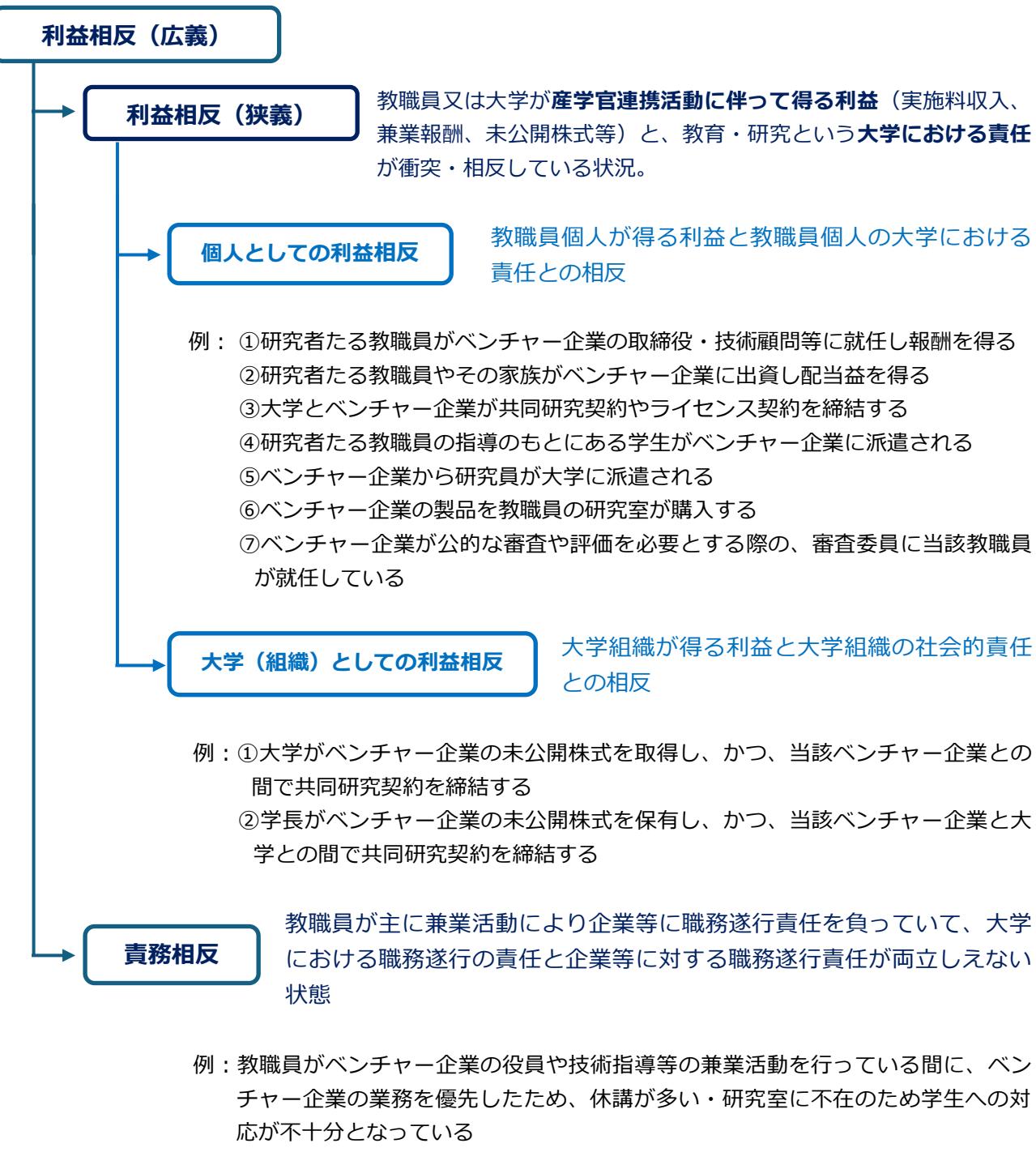
このような利益相反の状況（何等かの利益や責務の対立構造）が生じている場合、大学から、①報酬や株式保有の制限・解消、②利害関係情報の一般公開、③独立した審査委員による研究のモニタリング、④研究計画の見直しなどの措置が求められる可能性があります。もっとも、利益相反関係にあるということ自体が、直ちに法令違反になるとか、学内規程上許されないこととなるわけではなく、常のその利害関係を解消しなければならないわけではありません。

大学側として、情報開示やモニタリングを通じて透明性を高めることで、利益相反の状況をマネジメントすることが想定されており、また、ベンチャー企業にとっても、共同研究等の公正性に疑義が生じ、研究成果を利用した事業展開に支障が生じる可能性があります。そのため、所属する大学が定めている利益相反マネジメントに関するルールを事前に確認し、当該ルールに従った手続を行いましょう。

※ 利益相反ワーキング・グループ報告書：文部科学省

(https://www.mext.go.jp/b_menu/shingi/gijyutu/gijyutu8/toushin/021102.htm#_Toc23855257)

STEP 6 大学の兼業・利益相反手続を済ませる



STEP 6 大学の兼業・利益相反手続を済ませる

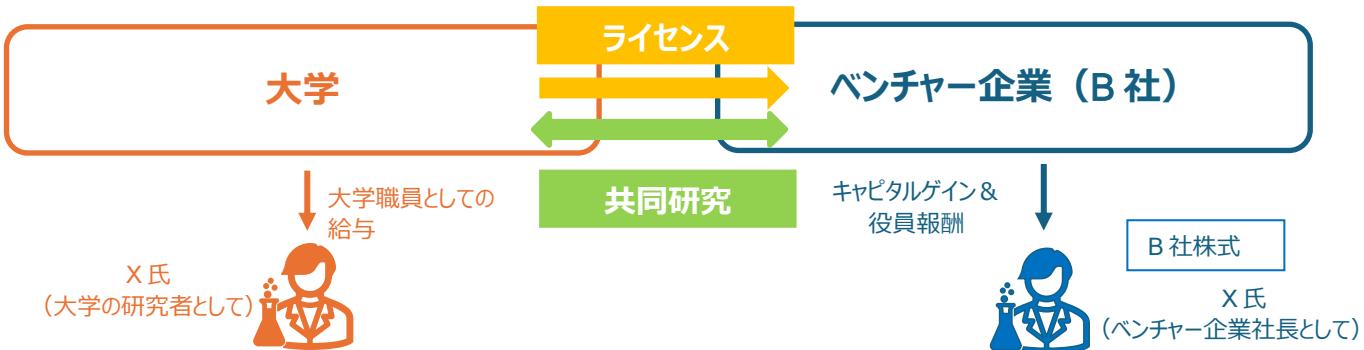
(2) 利益相反が生じやすい場面

以下のような場面では特に利益相反が生じやすいので、事前に所属する大学が定めているルールを確認の上、どのような対応が必要になるのか確認しておきましょう。

<事例 1 >

研究者 X は自己の研究成果の事業化を図るために、ベンチャー企業 B 社を設立。研究者 X は発行済み株式総数の 3 割を保有し、かつ研究開発担当の取締役に就任した。研究者 X の所属大学が保有する研究者 X の研究成果に基づく特許について B 社と大学は実施契約を締結しており、大学は B 社の売り上げに応じ実施料収入を得ることになっている。

- 1) B 社は研究者 X の技術を製品化するにあたり、関連技術の開発が必要となつたため、開発担当役員である研究者 X の提案により、研究者 X の大学研究室と数度にわたり共同研究を実施。これらの共同研究の成果もあり、B 社製品開発に成功、売上を順調に伸ばし、これにより研究者 X は個人的に取締役としての成功報酬を得た。
- 2) その後 B 社はこれを主力製品として株式公開に成功、研究者 X は保有していた株式を売却し、多額の株式売却益（キャピタルゲイン）を取得した。



この場合なぜ利益相反？

- 研究者 X は、B 社との共同研究によって個人的な金銭的利益（未公開株式、及び役員報酬）を得る関係にあるが、共同研究は大学職員としての立場で行うものであり、研究テーマの選定や成果の扱い等は大学の使命・責務に沿つたものでなければならない。
- 研究者 X の個人的な利益と大学の利益の相反 & 研究者 X の大学職員としての責任と、B 社取締役としての責任の相反
- 利益相反マネジメントに関する手続を実施する。

STEP 6 大学の兼業・利益相反手続を済ませる

<事例2>

研究者 A は自己の研究成果を活用して、ベンチャー企業 B 社を設立、経営を担当する適當な人材が見つからなかったため、大学の許可を得て自ら代表取締役に就任した。研究者 A は通常は大学での勤務時間外に B 社の業務に従事していたが、開発した製品に欠陥があることが判明し取引先のメーカーとトラブルになったため、その対応に追われ、たびたび大学での講義を休講にしたり、会議を欠席したりした。



この場合なぜ利益相反？

- 研究者 A は、大学との労働契約等により大学での講義や会議に出席する義務を負っている一方で、B 社の取締役 A として、B 社との委任契約（商法第 254 条第 3 項）に基づき、善管注意義務（民法第 644 条）及び忠実義務（商法第 254 条の 3）等を B 社に対し負っており、トラブルの際には B 社のために忠実に職務を遂行する義務を負っている。

※これらの義務は特定の事務処理を目的とする義務であって一定時間の勤務により果たされる性質のものではない（労働契約による時間を定めた労働義務（週 40 時間勤務等）と異なる）。従って、大学の勤務時間内であっても、善管注意義務や忠実義務が求められる可能性もある。

- 研究者 A の大学職員としての責任と、B 社取締役 A としての責任の相反
- 兼業に関する取り決めや手続の実施・利益相反マネジメントに関する手続を実施する。

参考資料編

- 参考資料 1：創薬ベンチャー、バイオベンチャーが活用可能な公的支援全般
- 参考資料 2：医薬品コンセプト検討の相談先（認定 VC）
- 参考資料 3：弁護士・弁理士
- 参考資料 4：大学による知財ライセンスの対価としての新株予約権

参考資料編

参考資料 1：創薬ベンチャー、バイオベンチャーが活用可能な公的支援全般

STEP 1 で述べた通り、国（厚生労働省、経済産業省、文部科学省など）や AMED（国立研究開発法人日本医療研究開発機構）、JST（国立研究開発法人科学技術振興機構）、NEDO（国立研究開発法人新エネルギー・産業技術総合開発機構）、各自治体等の公的機関は、大学やベンチャーを対象に、公的支援として医薬品の研究開発事業に対する補助金、助成金を支給しています。

特にアーリーフェーズでの医薬品開発費用の調達では、こうした公的補助金の活用が極めて重要な役割を果たします。以下に、医薬品・再生医療等製品の研究開発費用が対象となり得る公的支援の種類をまとめていますので、ご参照いただき、積極的に活用しましょう。なお、以下の一覧に記載の内容は 2026 年 1 月時点のものであり、今後変更される場合があります。詳細は各公募要領を参照してください。

1. 創薬ベンチャー、バイオベンチャーが活用可能な公的支援

	団体名 事業名 事業紹介 URL	上限金額	年数
AMED	革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）（スタートアップタイプ） https://wwwAMED.go.jp/program/list/18/03/002.html	6 億円	最長 5 年
	創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業（プレオーファン） https://wwwAMED.go.jp/program/list/11/02/001_03-01.html	5,000 万円/年 1 億円/年	最長 3 年
	再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業（再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業） https://wwwAMED.go.jp/program/list/13/01/010.html	事業費補助（最大 9,230 万円/年の 2/3）	最長 3 年
	橋渡し研究プログラム（大学発医療系スタートアップ支援プログラム） https://wwwAMED.go.jp/program/list/16/01/014.html	1.5 億円/年	最長 2 年
	創薬ベンチャーエコシステム強化事業 https://wwwAMED.go.jp/program/list/19/02/005.html	事業費補助（最大 100 億円の 2/3）	※令和 13 年度まで
JST	出資型新事業創出支援プログラム（SUCCESS） https://wwwJST.go.jp/entre/index.html	5 億円	—
NEDO	ディープテック・スタートアップ支援事業（DTSU） https://wwwNEDO.go.jp/activities/ZZJP_100250.html	25 億円/量産化実証支援	最長 4 年
厚生労働省	創薬エコシステム発展支援事業 https://wwwMHLW.go.jp/stf/newpage_61159.html		

参考資料編

2. 基礎・応用研究（信頼性データ取得）に活用可能な公的支援

団体名 事業名 事業紹介 URL	上限金額	年数	
AMED	創薬総合支援事業（創薬ブースター） https://wwwAMED.go.jp/program/list/11/02/001_01-01.html	3,000 万円／年	最長 3 年
	革新的がん医療実用化研究事業 https://wwwAMED.go.jp/program/list/15/01/010.html	7,700 万円／年	最長 3 年
	難治性疾患実用化研究事業 https://wwwAMED.go.jp/program/list/11/02/003.html	2,000～8,000 万円／年	最長 3 年
	再生医療等実用化研究事業 https://wwwAMED.go.jp/program/list/13/01/002.html	3,000～9,000 万円／年	最長 3 年
	新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業 https://wwwAMED.go.jp/program/list/11/02/002.html	2,000 万円／年	最長 3 年
	橋渡し研究プログラム（橋渡し研究支援プログラム） シーズ F https://wwwAMED.go.jp/program/list/16/01/012.html	7,000 万円／年	最長 5 年
	橋渡し研究プログラム（大学発医療系スタートアップ支援プログラム） シーズ S0 https://wwwAMED.go.jp/program/list/16/01/014.html	1,000 万円／年	最長 2 年
	革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）（スタートアップタイプ） https://wwwAMED.go.jp/program/list/18/03/002.html	6 億円	最長 5 年
JST	研究成果展開事業 大学発新産業創出プログラム（START） https://wwwJST.go.jp/start/index.html	750 万円	1 年
厚生労働省	創薬エコシステム発展支援事業 https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_61159.html		

参考資料編

3. ベンチャークリエーション時に活用可能な公的支援

団体名 事業名 事業紹介 URL	上限金額	年数
AMED 橋渡し研究プログラム（大学発医療系スタートアップ支援プログラム）シーズ S1 https://wwwAMED.go.jp/program/list/16/01/014.html	3,000 万 円／年	最長 3 年
JST 出資型新事業創出支援プログラム（SUCCESS） https://wwwJST.go.jp/entre/index.html	5 億円	—
	3 億円 (5 億円)	最長 3 年
厚生労 働省 創薬エコシステム発展支援事業 https://wwwMHLW.go.jp/stf/newpage_61159.html		

参考資料2：医薬品コンセプト検討の相談先（認定VC）

STEP 2で述べた通り、創薬の出発点である「医薬品のコンセプト」検討の段階から、創薬の専門家に相談することが重要です。以下は、こうした医薬品コンセプトの検討も含めて、ベンチャーキャピタル段階から大学や公的研究機関の創薬研究の実用化支援を行う認定ベンチャーキャピタルをリスト化しました。STEP 2で医薬品のコンセプト作りに必要となる事項を把握した上で、粗々でも構わないので医薬品のコンセプトイメージを持ったうえで、積極的に相談してみましょう。

ベンチャーキャピタルには、アーリーフェーズ、レイターフェーズなど得意とするフェーズや、独立系、ファイナンス系、大学系などベンチャーキャピタル設立の背景によっても様々な特長がありますので、AMED や大学の产学連携部門（TLO）等と相談して、事業の方向や支援内容に合った適切なベンチャーキャピタルに積極的に相談してみましょう。

ベンチャーキャリエーションに係る相談先 VC 一覧（50 音順）

機関名 機関 URL	担当者名	連絡先
4BIO Partners LLP https://www.4biocapital.com/	Kieran MUDRYY Philippe FAUCHET	kieran.mudryy@4biocapital.com philippe.fauchet@4biocapital.com
ANRI 株式会社 https://anri.vc/ja	江上 由美	salmiakki@anri.vc
AN Venture Partners https://an.vc/jp/	秦 大	info@an.vc
Astellas Venture Management LLC https://www.astellasventure.com/	平田 忠義	tadayoshi.hirata@astellas.com
Beyond Next Ventures 株式会社 https://beyondnextventures.com/jp/	澤邊 岳彦 矢藤 慶悟	https://beyondnextventures.com/jp/contact/startups/
Blackstone Life Sciences https://www.blackstone.com/our-businesses/life-sciences/	藤田 宗義 生田 龍	ryu.ikuta@blackstone.com
Catalys Pacific, LLC https://catalyspacific.com/ja	高橋 健	info@catalyspacific.com
Curie Bio Operations, LLC https://curie.bio	Molly Cole	molly@curie.bio
D3LLC (D3 合同会社) https://www.d3growth.com/jp/	窓口担当	info@d3growth.com
DBJ キャピタル株式会社 https://www.dbj-cap.jp/	三ツ口 尚志	https://www.dbj-cap.jp/contact/
DCI パートナーズ株式会社 https://www.daiwa-inv.co.jp/dcip/	横田 淳一	dci_bio@daiwa.co.jp

参考資料編

機関名 機関 URL	担当者名	連絡先
Eight Roads Ventures Japan https://eightroads.com/ja/teams/japan	香本 慎一郎 鈴木 ゆりあ	shinichiro.komoto@eightroads.com yuria.suzuki@eightroads.com
Eisai Innovation, Inc. https://www.eisaiinnovation.com/	安達 竜太郎	Info@eisaiinnovation.com
EQT Life Sciences https://eqtgroup.com/private-capital/eqt-life-sciences	Laurenz Govaerts	laurenz.govaerts@eqtpartners.com
Newton Biocapital Partners https://newtonbiocapital.com/ja/	鈴木 貞史	sadashi.suzuki@newtonbiocapital.com 090-6532-0373 (鈴木)
RDiscovery 株式会社/Remiges Ventures, Inc. https://rdiscovery.com	松本 京子	info@remigesventures.com
Saisei Ventures LLC https://www.saiseiventures.com/ja/	齊藤 光	ideas@saiseiventures.com
Taiho Ventures, LLC https://taihoventures.com/	石井 孝明	info@taihoventures.com
大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社 https://www.ouvc.co.jp/	浅野 成宏	shigehiro.asano@ouvc.co.jp
京都大学イノベーションキャピタル株式会社 https://www.kyoto-unicap.co.jp/	上野 博之	ueno.hiroyuki@kyoto-unicap.co.jp https://www.kyoto-unicap.co.jp/contact/
株式会社慶應イノベーション・イニシアティブ https://www.keio-innovation.co.jp/	本郷 有克	hongo@keio-innovation.co.jp
ジャフコ グループ株式会社 https://www.jafco.co.jp/	小林 泰良 石元 悠樹 上野 傑	https://www.jafco.co.jp/contact/business/
大鵬イノベーションズ合同会社 https://www.taihoinnovations.com/	窓口担当 (宮腰 均)	https://www.taihoinnovation.com/contact/
株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ https://www.ut-ec.co.jp/	宇佐美 篤 塩原 梓	ls-kanri@ut-ec.co.jp
東京大学協創プラットフォーム開発株式会社 https://www.utokyo-ipc.co.jp/	大堀 誠 備後 充博	info2@utokyo-ipc.co.jp
株式会社ファストラックイニシアティブ https://www.fti-jp.com/	桐谷 啓太	kkiriya@fti-jp.com
三菱 UFJ キャピタル株式会社 https://www.mucap.co.jp/	長谷川 宏之	ninteivc@mucap.co.jp
みやこキャピタル株式会社 https://miyakocapital.com/	大谷 敬亨	info@miyakocapital.com

参考資料編

参考資料3：弁護士・弁理士

STEP4、STEP5で述べた通り、創薬事業においては、最初期の大学での研究段階からの知財戦略や大学からのライセンス条件を適切に管理することが極めて肝要であり、医薬品開発プロセスや創薬ベンチャーのサイクルなどの業界知識に精通した専門の弁護士・弁理士のサポートを得ることも大切です。

以下は、本ガイドブック策定にあたってご協力いただいた有識者の弁護士・弁理士のほか、令和4～令和6年度の医療分野の成果導出に向けた研修セミナー（※）で講師を担当された弁護士・弁理士の方の一覧です（ただし、本資料の記載をもって、AMEDが特定の弁護士・弁理士を推奨するものではありません）これらの弁護士・弁理士に限らず、大学のTLOとも相談しながら、適切な専門家に相談してみましょう。

※イベント情報 | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構
(https://wwwAMED.go.jp/chitekizaisan/seminar_event.html)

1. 本ガイドブック作成 有識者会議有識者等の弁護士・弁理士

所属	氏名	連絡先
メディップコンサルティング合同会社	大門 良仁（弁理士／有識者）	ydaimon17@gmail.com
TMI 総合法律事務所	上崎 貴史（弁護士／執筆者）	Pharma-Startups-Support@tmi.gr.jp
	上野 さやか（弁護士／執筆者・有識者）	
	山田 拓（弁理士／有識者）	

2. 令和4～令和6年度 医療分野の成果導出に向けた研修セミナー講師（弁護士・弁理士）

所属	氏名	連絡先
阿部・井窪・片山法律事務所	日野 真美（弁理士・米国弁護士・外国法事務弁護士）	03-5860-3640 mami.hino@aiklaw.co.jp
阿部・井窪・片山法律事務所	服部 誠（弁護士・米国弁護士）	03-5860-3640 makoto.hattori@aiklaw.co.jp
弁護士法人イノベンティア	藤田 知美（弁護士・弁理士・米国弁護士）	06-6346-7580
弁護士法人イノベンティア	町野 静（弁護士・米国弁護士）	03-6261-6581
弁護士法人内田・鮫島法律事務所	篠田 淳郎（弁護士・弁理士）	03-5561-8550
内山務知財戦略事務所	内山 務（弁理士）	03-6821-3758 contact@uchiyama-ip.com
弁護士法人大江橋法律事務所	田中 宏岳（弁護士・米国弁護士）	06-6208-1447 hirotake.tanaka@ohebas-hi.com

参考資料編

所属	氏名	連絡先
高島国際特許事務所	駒谷 剛志（弁理士）	06-6227-1156 tskomatani@takashima-pat.jp
フィネガン・ヘンダーソン・ファラボー・ギャレット & ダナー法律事務所	吉田 直樹（米国弁理士・米国弁護士・外国法事務弁護士）	03-3431-6943 naoki.yoshida@finnegan.com
フィネガン・ヘンダーソン・ファラボー・ギャレット & ダナー法律事務所	小林 千明（米国弁護士・外国法事務弁護士）	03-3431-6943 chiaki.kobayashi@finnegian.com
森田・大谷特許事務所	森田 裕（弁理士）	y.morita@morita-otani.com
森・濱田松本法律事務所外国法共同事業	斎藤 浩貴（弁護士・米国弁護士）	03-6266-8503 hiroki.saito@morihamada.com
弁理士法人レクシード・テック	南野 研人（弁理士）	080-8038-7359 k-minamino@lexceed.or.jp
G T 東京法律事務所(Greenberg Traurig Tokyo)	大橋 宏一郎（弁護士）	03-4510-2200 ohashik@gtlaw.com
K & L G a t e s 外国法共同事業法律事務所	桃井 恭祐（弁護士）	03-6205-3615 Kyosuke.momoi@klgates.com

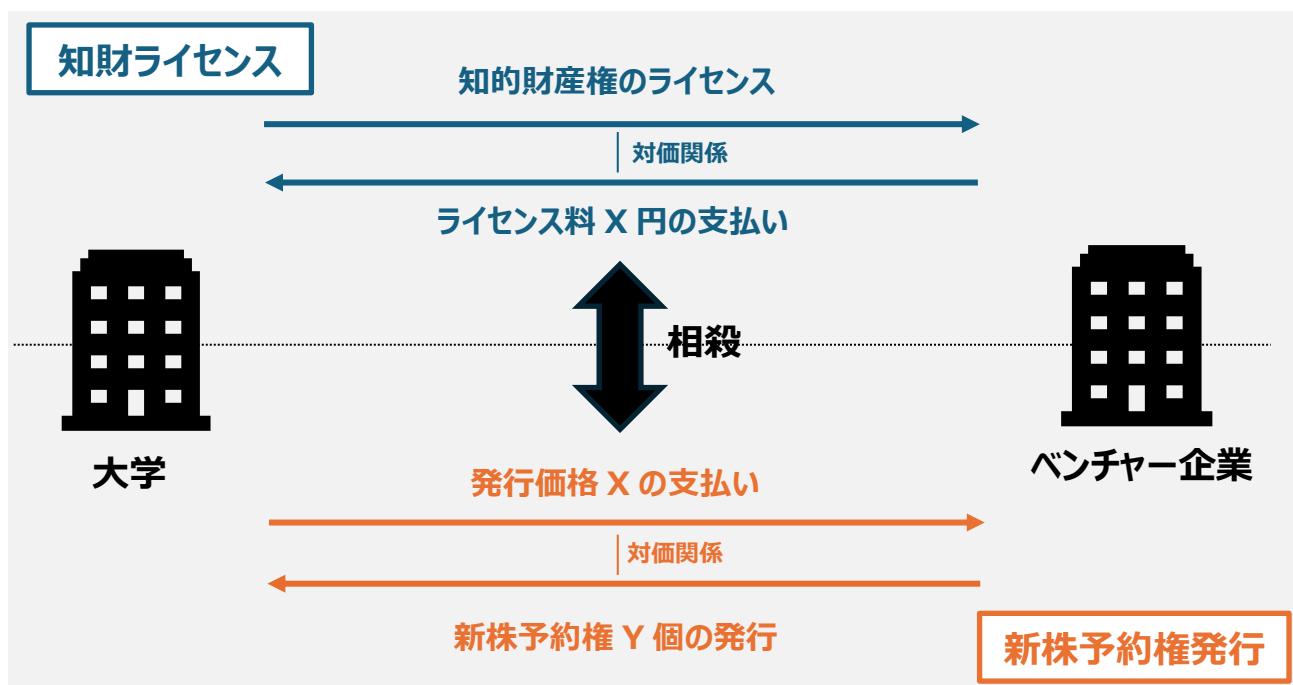
参考資料4：大学による知財ライセンスの対価としての新株予約権

新株予約権でライセンス料の全部又は一部を支払う場合、新株予約権の付与個数や行使条件についても合意する必要があります。具体的にどのような条件で新株予約権を発行すべきかについては事案により異なりますが、特に、「何個の新株予約権を発行するのか？」は、ライセンスの対価設定の問題であり、その知財の価値やその時点のベンチャー企業の価値を踏まえた利益考慮が必要になります。

議論の出発点として、この考え方は、発行する新株予約権が①有償の新株予約権（発行時に一定の金額の支払いを要する新株予約権）か、②無償の新株予約権（無償で発行される新株予約権）かにより少し変わってきます。

ア 有償新株予約権モデル

有償の新株予約権とは、新株予約権の発行を受ける者が、取得時に一定額（発行価格）を会社に支払うこととする新株予約権です。この場合、理論的には、①ベンチャー企業は、知的財産権のライセンス料として X 円の支払義務を、その一方で、②大学は、新株予約権 Y 個の発行を受けるに際して発行価格 X 円の支払義務をそれぞれ負い、③これらを相殺することで、現金の支払いを要することなく、知的財産権のライセンス対価として新株予約権 Y 個を大学が取得する、という状態が実現できます。



この方法は、①知的財産権のライセンス料の設定のために、その時点の知的財産権の価値評価を行い、さらに、②その結果算定された X 円というライセンス料に対して、何個の新株予約権が発行できるか（その時点のベンチャー企業の新株予約権の発行価格は1個あたりいくらが適正であるか）の価値評価を行った上で、両者が同額（ X 円）となる数の新株予約権の数（ Y 個）を発行する、という算定プロセスを経ることとなるものであり、価値評価を行う分、その金額算定において公平・適正な手法といえます。しかし、まだ利益を生み出し得ていない知的財産権の価値評価やベンチャー企業の価値評価は非常に複雑であり、専門機関に依頼するにもそれなりの費用がかかるという大きなネックがあります。

イ 無償新株予約権モデル

こうした事情によるものか、日本において、大学のベンチャー企業に対する知財ライセンスの対価としてのストックオプションは、無償の新株予約権が選択されることが多いようです。これは、「大学がベンチャー企業に知的財産権をライセンスし、その対価として新株予約権 Y 個の発行を受ける」という非常にシンプルな考え方です。実務上はこの考え方が多いようです。

参考資料編



この方法のメリットは、知的財産権の価値評価や新株予約権の価値評価を厳密に行う必要がない点にあります。この場合、大学とベンチャー企業（の投資家）は、「大学の技術提供に対して新株予約権をいくつ（=Exit 時点でのベンチャー企業の株式をいくつ）を割り当てるか」を、研究者や VC の投資額や保有株式数・割合との比較や、Exit 時点の目標株価から大学がいくら相当の株式を取得できる計画であるかといった事項から、双方が納得できる新株予約権数を交渉・決定することになります。

(例)

新株予約権の数 (得られる株式数)	??個 (??株)	株式数	500 株	株式数	4500 株
----------------------	--------------	-----	-------	-----	--------

Exit 時の株価 (-行使価格)	??円	Exit 時の株価	5 億円	Exit 時の株価	45 億円
----------------------	-----	-----------	------	-----------	-------



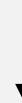
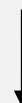
知財ライセンス



500 万円出資
サイエンス・労務提供



8500 万円出資
ハンズオン支援



ベンチャー

なお、新株予約権型の対価設定については、経済産業省の『大学による大学発ベンチャーの株式・新株予約権取得等に関する手引き』の「2. 新株予約権（ストックオプション）に関する各検討フェーズにおける留意点」の記載も参考になります。



経済産業省

「大学による大学発ベンチャーの株式・新株予約権取得等に関する手引き」

https://www.meti.go.jp/policy/innovation_corp/start-ups/tebiki_report_rev.pdf

「大学発創薬ベンチャー スタートアップ・ガイド」（第1版）

2026年2月16日 発行

■作成・編集

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）
創薬エコシステム推進事業部 創薬エコシステム推進事業課
「大学発創薬ベンチャー スタートアップ・ガイド」作成担当

【執筆者・編集者】

内田 隆 上崎 貴史（弁護士） 上野 さやか（弁護士） 平田 優佳（弁護士） 中野 亮介（弁護士）
金子 守 野々村 健 林 行和 諸岡 浩平 川田 純也 喜多 真志 山口 真帆

■「大学発創薬ベンチャー スタートアップガイド」有識者会議 有識者（敬称略）

島崎 誠（Ehrlich Partners 合同会社 代表社員）
大門 良仁（メディップコンサルティング合同会社 代表社員 弁理士）
島田 淳司（AN Venture Partners シニア・プリンシパル 広島大学客員教授 長崎大学客員教授 弁理士）
深津 幸紀（株式会社ファストトラックイニシアティブ スタートアップエキスパート 薬剤師 弁護士）
山田 拓（TMI 総合法律事務所 弁理士）
植木 靖之（大阪大学 共創機構 イノベーション戦略部門 知的財産室 副室長 シニア・リサーチ・マネージャー（知的財産担当））
高岡 裕美（特許庁審査第三部 環境化学 上席審査長（前・大阪大学大学院医学系研究科メディカル・ヘルスケア知財戦略室長））
上野 さやか（TMI 総合法律事務所 弁護士 薬剤師）

