

研究のアウトプットの両輪としての論文と特許

前編

論文化と特許化で分岐する研究の道筋

石埜正穂

新しい研究成果を社会に発信するにあたって、論文と特許はもっとも重要な2つのアウトプットといえる。特許は開発・実用化を視野にいれたものだが、最近では、基礎研究の世界でも特許出願に関する期待が高まっている。ところが、特許に要求されるデータは論文のそれとは違って、基礎研究の現場に誤解や多少の混乱を生じている部分もある。ここでは、今月号と来月号(12月号)の2号にわたり前編・後編に分けて、両者で必要とされるデータの共通点・相違点について整理・考察し、研究成果を有効に活用するための資料としたい。この前編では、論文化と特許化で分岐する研究の道筋について述べる。

なお、特許成立の基本的な概要に関しては、**Column 1**や、以前、筆者が本誌に掲載したシリーズ“生命科学者のための特許講座”(石埜正穂 編, 蛋白質 核酸 酵素, 2004年1月号から7月号まで連載)を参照願いたい。

iPS細胞の画期的な成果がかかえる悩み

京都大学の山中伸弥教授らによるiPS細胞(induced pluripotent stem cell, 誘導多能性幹細胞)の成果が世間を賑わせている。山中博士らは、たった4つの遺伝子セットの一時的な発現によって体細胞が初期化するという、画期的な事実を発見した¹⁾。これは、ES細胞(胚性幹細胞)やクローン胚のかかえる課題を乗り越えんとする要請に応えようと研究を重ね得られた成果であり、自然科学上の大発見であるとともに、倫理的なハードルや組織適合性という欠点をかかえるES細胞技術に対して代替手段の開発への突破口を開いた*1。ところが、このiPS細胞の最初の成果の場合、大発見が必ずしも大発明につながっていないという可能性が懸念されている。

じつは、このことは、論文と特許とのあいだに明確な一線が存在することを如実に示している。この成果の場合、いちばんのインパクトが何かといえば、“たった数個の蛋白質の発現によって体細胞が初期化される”ことを世界ではじめて証明したことにより、論文は大きな反響をよんだ。しかし、発明的にこれを見ると、きわめて頼りない状況にあるといわざるをえない。つまり、特許の観点からみて、この成果から抽出できる発明は、マウスの体細胞に4つの具体的な遺伝子(*c-Myc*, *Oct3/4*, *Sox2*, *Klf4*)を導入することによるiPS細胞の誘導技術に関するものにすぎず、たった数個の蛋白質の発現で体細胞の初期化が起こる、という大発見自体は、後述のように、発明の具体的内容を構成しないのである*2。

したがって、たとえば、当初と異なる遺伝子セットの活性化によって体細胞を初期化誘導できれば、当初の発明とは独立したまったく別の発明が生まれてしまう。実際、ヒトES細胞の樹立に世界ではじめて成功した米国 Wisconsin 大学の Thomson 博士らのグループによって、山中博士らの最初の発表から1年以内に、4つの遺伝子のうち2つを別の遺伝子に入れ替えた遺伝子セットによるヒト体細胞の初期化誘導が実現されている²⁾、山中博士ら自身もほどなく、*c-Myc*を除いた3つの遺伝子でもヒト体細胞の初期化誘導が可能であることを示している³⁾。そののちも、最初のデータから抽出できる発明ではとうていカバーできない新知見が、雨後の筍のように続々と登場しつつある。Ding 博士らは、*Oct3/4*, *Klf4*の2つの遺伝子と低分子化合物の組合せでマウスiPS細胞の樹立に成功した⁴⁾。Ding 博士は、最終的には低分子化合物のみでiPS細胞を誘導したいと述べている。一方、Schöler 博士らは、すでに*Sox2*や*c-Myc*を内因性に発現しているマウス神経幹細胞に*Oct3/4*, *Klf4*の2つの遺伝子だけを導入することによりiPS細胞の誘導に成功している⁵⁾。当然といえば当然だが、少なくとも最初の山中博士の特許出願ではカバーできない技術であることも確かである。このほか、Melton 博士らは、DNA メチルト

Masaho Ishino

札幌医科大学医学部 衛生学講座/附属産学・地域連携センター

E-mail : ishino@sapmed.ac.jp

ランスフェラーゼ阻害剤やヒストンデアセチラーゼ阻害剤で処理することで、iPS細胞の樹立効率の大幅な改善(c-Myc遺伝子なしでも)に成功している⁶⁾。

すなわち、山中博士により初期化誘導に活用された遺伝子は本来は内在性のものなので、遺伝子導入以外の方法でも活性化できそうなことは誰にでも容易に想像できる。たとえば、エピジェネティックな作用を及ぼす因子も含めて、これらの遺伝子を活性化するまったく別の因子が存在してもおかしくないし、それがなんらかの小分子であれば簡便で遺伝子導入も要せず都合がよい。そして、そのような技

術の具体的内容まで予測することは、当初のデータからはとうてい無理である。つまり、大雑把ないい方をすれば、山中博士の研究成果自体は大きく揺ぎないものであるとしても、当初の成果による特許でカバーできる範囲は、今後の技術開発の方向によってはほとんど影響力のないものになる可能性さえあるのである。

大発見の特許性

ところで、ワトソンの『二重らせん』(ジェームズD.ワトソン著、江上不二夫・中村桂子訳、講談社文庫、1986)に記さ

COLUMN1 特許の出願から権利化までの概要

特許の申請は、まず、“願書”、“特許請求の範囲”、“明細書”、“図面”などからなる一式の書類を特許庁に提出(“出願”)するところからはじまる(図)。願書には、“発明者”(論文でいう著者)や“出願人”(権利を実際にもつことになる機関などであり、通常は、職務発明規定にしたがい研究者の所属する機関になる)の名称や住所などが記載される。特許請求の範囲には、どこからどこまでを発明として権利主張するか記載され、明細書には、発明の詳細が説明される。論文の査読と同様に、出願は特許庁の審査官によって特許性(特許の要件をみたしているかどうか)について判断され、これをみたしていないと思われる場合は出願人に対してその理由が通知される(“拒絶理由通知”)。拒絶理由通知の内容に応じて、出願人は出願内容の補正をしたり意見書を提出したりする。

特許性の判断基準は客観的かつ明確に規定されており、そのうちとくに重要なものとして、“新規性”、“進歩性”、“実施可能要件”があげられる。新規性は、出願の時点までに公に知られていない技術であることを求める要件である。たとえば、新しい構造をもつ化合物であれば当然に新規性をみとめる。一方、すでに知られている化合物に関する発明であっても、その化合物の新しい使い方を見いだしたのであれば新規な“方法”の特許として認められる。しかし、わが国では、医療の現場に対する配慮などから“医療方法”そのものには特許が認められないので、薬物の新しい用途に関する発明などについては、化合物をその使用方法によって特定した化合物の“用途発明”というかたちで特許にされる(たとえば、“化合物Aを用いて疾患Bを治療する方法”の発明の特許は、“化合物Aを含む疾患Bの治療剤”というかたちで認められる)。進歩性は、すでに存在する技術から容易に思いつく程度の技術ではないことを求める要件である。実施可能要件は、その発明が絵空事でないことを具体的に示すことを求める要件である。医薬であれば、その製造方法にくわえ、どう投与すればどういう効果を示すかについて、ある程度まで具体的な記載(薬理データまたはそれに準ずるもの)が求められる。本稿における“実証データ”は、おもにこの特許要件をみたすために必要とされる。

なお、特許性は出願時点の内容をもって判断され補正によるデータの追加はできないが、当初の内容をサポートするデータなどを追加した“国内優先権出願”を最初の出願から1年以内に行なうことが可能である。特許性などの基準をすべてみたすと審査官が認めた場合は特許査定が下され(論文でいう受理)、特許料の納付をもって特許が登録される。

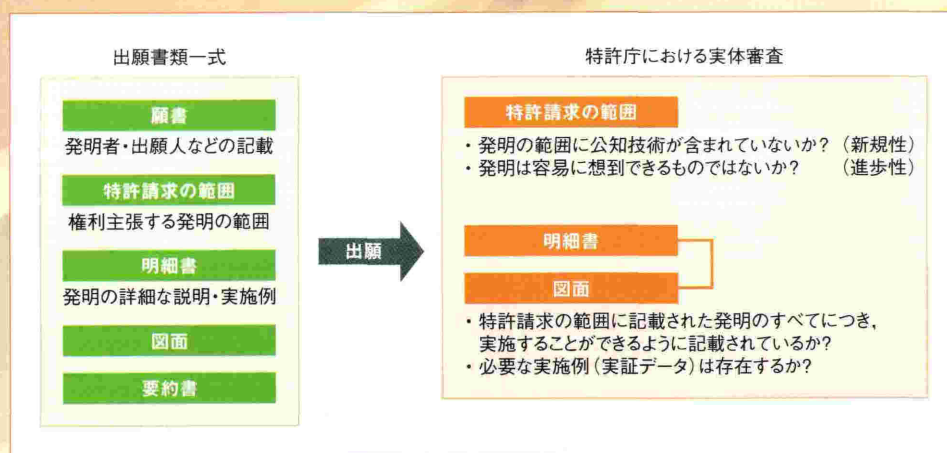


図 特許の出願書類と審査

れたエピソードにも如実に示されているように、どのような大発見でも、通常、その影にはそれを可能にするだけの世の中における情報の蓄積がある。つまり、大発見の裏には誰かが突破口を開くのは時間の問題、というような状況が存在していることが、おそらく大部分であろう。だから、熾烈な競争を勝ち抜いて誰よりもさきにそのような突破口を開くことができた人の努力と業績は認められるべきとしても、公知の情報から突破口までの距離は意外に小さいことが多い。つまり“世紀の大発見”がじつは、“最後の一押し”や“仮説の証明”にすぎなかったというようなことも往々にして存在する。世の中のすべての技術が先人の努力のうえに地道に築きあげられ生まれてきたことを考えれば、これは当然のことともいえる。しかしながら、特許の進歩性の判断において、この“最後の一押し”などに対する評価は厳しい。つまり、どのような発明であっても、公知情報の存在によってその特許性が脅かされる心配にさらされている。

山中博士らのiPS細胞の最初の成果のケースでは、卵子やES細胞のなかに初期化因子が含まれることがすでに想定されていた。また、山中博士やほかの研究者らによって、ES細胞で特異的に発現のみられる24程度の遺伝子をiPS細胞誘導のための有力な遺伝子候補としてあげることができるような環境も整っていた。山中博士らは、まずマウスの系を用い、自らが開発したiPS細胞誘導因子のスクリーニング方法を利用して、体細胞に24個の遺伝子すべてを導入することでiPS細胞の誘導ができることを確認しておいてから、それをひとつひとつ除いていくことによって、最終的に4つの遺伝子の組合せにたどりついた。もちろん、当初は24個の、ましてや、それよりも少ない特定の遺伝子の導入によって初期化誘導が達成できるような保証はどこにもなかったわけだから、この発明の特許性(進歩性)を否定する考えは“後知恵”にすぎないと思える。“後知恵”で特許性が否定されるべきではない。しかし、そのような主張は、現実問題として意外と苦戦を強いられることも多い*3。

以上、述べてきたように、論文的な成果についての判断基準と、特許的な成果についての判断基準とは、かなり

勝手が違っている。画期的な論文的成果でも控えめな特許しか取得できない場合があるし、逆に、そこそこの論文しか書けないデータでも大きな影響力をもつ特許が得られる場合もある。そもそも、論文と特許ではみすえているさきがまったく異なっている。したがって、厳密さが求められるポイントがそれぞれ異なってくるのは当然だし、共通したデータですませられる部分にも限界がある。そこで、この観点をもう少ししていねいに掘り下げ、要求されるデータを中心に、両者の違いをうきぼりにしたい。

論文には検証データが求められる

自然科学における論文の目的は、着実な研究の成果を科学の世界において共有し積み重ねていくことにある。積み重ねに値するよう、新知見には“確かさ”が求められ、“検証データ”によっていかに信頼性の担保を図れるかが主要なテーマとなる。論文の構成にそれがどう反映されているかをここであらためて検討する必要はないが、比較検討のため、さきほどの山中博士の論文をもう少し読み進んでみる。

先述のとおり、この論文では初期化マーカーを利用したスクリーニング系を活用して、過去の情報をもとに厳選した24個の遺伝子の導入によってマウス体細胞をES細胞様の細胞に誘導できることをまず示し、必要な遺伝子をさらに4つにまで絞り込んだ。非常にエキサイティングな内容だが、それだけでは単なる“可能性の提示”にすぎず、科学論文としての体をなさない。

そこで、山中博士らは、4つの遺伝子の導入で得られたマウスiPS細胞のクローンについて、ES細胞に特異的な遺伝子の発現やエピジェネティックな制御の状態、網羅的な遺伝子発現プロファイルなどについて、ES細胞やもとの線維芽細胞との比較を行ったり、ヌードマウスでのテラトーマの形成、*in vitro*での不定胚形成において組織像を調べ多能性発現の検証をしたりしている。さらに、マウスiPS細胞のクローンが胚盤胞へのマイクロインジェクションによって三胚葉に分化すること、各クローンが独立の遺伝子導入背景をもっていること(ES細胞の混入でないこと)、正常なカリオタイプをもつこと、胎生の一定時期まで高率でキ

*1 この成果をダイレクトに、“4つの遺伝子によってiPS細胞を誘導する方法”の“発明”にとらえることも可能かもしれない。しかし、正確には、“4つの遺伝子の一時的な発現によって体細胞が初期化される”という自然科学上の発見が、まず、その発明に先行している。卵子や胚を用いない多能性幹細胞技術の確立に対する世の中の“要請”が、ES細胞様の細胞を誘導する技術に活用可能な発生学上の新知見をもたらしたのである。

*2 もちろん、この成果をもとにした特許出願の“進歩性”の判断には貢献する可能性がある。

*3 実際、山中博士らが最初に4つの遺伝子でマウスiPS細胞を作製した技術に関するPCT出願(WO2007/069666)の国際調査報告では、国際調査機関である特許庁によってX評価(新規性または進歩性を否定しうる先行文献の存在を示すもの)が付されている。

メラ形成に寄与できること、なども示し、マウス体細胞から4つの遺伝子の導入で実際にES細胞と同等の機能をはたしうるiPS細胞が誘導できることをていねいに示してみせている。

このように、自然科学における論文の場合、新しい知見の確かさを検証するためには、同じ分野の研究者に納得させるだけの十分な客観的なデータを示せるかどうかの評価の決め手となる。むしろその意味では、すでに学界で示唆されている仮説を検証すること自体が目的の研究論文も多い。そのような研究の成果は、自然科学的な知識の蓄積を着実にする意味で重要である一方、少なくとも、直接的には発明に結びつきにくそうである。

特許が求めるのは実証データ

かたや特許は、発明者にプライベートな独占権をあたえるための手段として用いられる。いい換えれば、特許は新しい技術の独占排他的な使用に関する“権利書”である。したがって、たとえば、“幹細胞を神経細胞に分化誘導させる

方法”に関する特許について認められる権利範囲が“神経幹細胞を脊髄損傷治療に適用する治療の場面”に及ぶかどうかということは、その特許を保有している者にとっても、その特許に抵触する危険性のある分野での事業やその計画をしている者にとっても、重大でナーバスな関心事となる。そこで、特許権が及ぶ範囲については、公平かつ明確に、特許書類上に定めておくことが必要となる。そして、その当然の帰結として、特許の審査においては、出願人が一定範囲の権利を主張するにあたっての“合理的な根拠”が求められる。十分な技術開示の代償として保護をあたえる、というのが特許制度の趣旨であるからだ。もちろん、“合理的な根拠”は主張する権利範囲の全体をあまねく担保する必要がある。

一方、より画期的な新発明なら当然、その射程範囲も大きいはずなので、出願人としてはできるかぎり広い権利を確保したい。たとえば、マウスで得られた薬効の成果は家畜などほかのさまざまな動物での活用が期待されるし、もちろん、ヒトの治療に用いることがもっとも期待されるだ

COLUMN 2 発明の上位概念化

特許出願にあたっては、発明の上位概念化を行なってより広い権利を取得すべく努力する。しかし、上位概念化に際しては、実証データを充足する必要性と、公知例にぶつかる危険性とが増加する(図)。

実施例 a1 の部分 (たとえば、酵素 p1 による x1 の処理法) で特許性がある場合でも、発明を上位概念 A (酵素 P ファミリーによる x1 の処理法) にまで広げるには、実施例 a2 (酵素 p2, 酵素 p3 による x1 の処理法) による実証データの追加が必要となる。ここで少しよくばって、公知事実 (P ファミリーが Q ファミリーと類似点をもつ) の存在を根拠に、発明を上位概念 AB (酵素 P ファミリーおよび酵素 Q ファミリーによる x1 の処理法) まで広げると、公知例 b (酵素 q1 を含む植物抽出物による x1 の処理法) や、公知例 c (酵素 Q ファミリーに近い酵素 r による x1 の処理法) から容易に想到できる技術まで包含することになってしまい、新規性や進歩性を問われることになる。一方、上位概念化は多面的に展開できる。たとえば、上位概念 A あるいは上位概念 AB ではなく、上位概念 AD の方向 (酵素 p1 による X の処理法) に発明を広げることでもできるが、公知例 d (酵素 p1 による x2 の処理法) を包含してしまうかもしれない。

一般に、発明の出発点である実施例 A は個別具体的な工夫を含んだユニークな内容であることが多く、そのままの内容で出願すれば進歩性などをクリアしやすい。しかし、上位概念化で発明の範囲を広げようとすると、実施例の確保が必要になる場合がでてくるばかりか、技術がより一般化されて、上記のように近隣のさまざまな公知技術まで飲み込んでしまうことになり、新規性や進歩性の確保が困難になる。

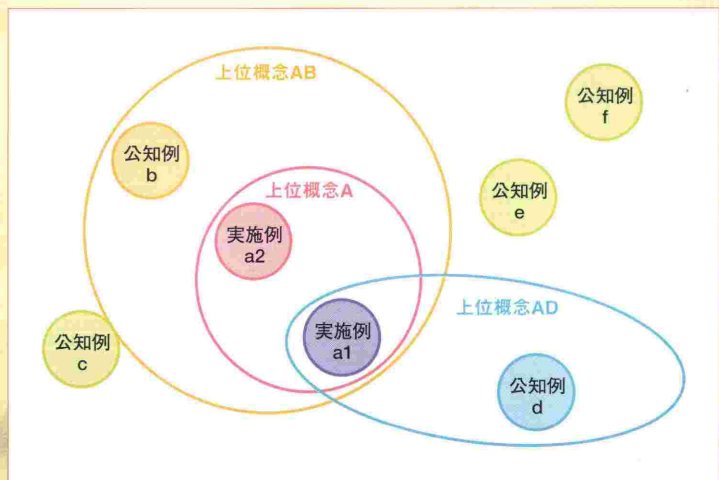


図 発明の上位概念化の模式図

ろう。胃癌で得られた治療効果は肺癌にも適用できるかもしれない。ある化合物で見いだされた成果は、当然、類似の化合物でも有効だろうから、一定の誘導体の権利も確保しておかなければ容易に特許の回避技術を開発されてしまう。このように、特許権を取得する以上、具体的に得られたデータからある程度まで予測できる範囲がカバーできなければ意味がない。したがって、特許出願においては、実際の研究から直接に抽出される発明をいかに“上位概念化”（一般化・拡大）して権利請求するかということが重要な課題となる。

研究成果から直接に導きだされる技術をさらに“上位概念化”して権利を主張するには、前述のように、その技術が上位概念化によって拡大した対象（たとえば、マウスの結果をヒトを含む哺乳類全体に敷衍した場合）についても夢物語でないことの“合理的な根拠”として“実証データ”などを示し、これを担保することが必要になる。しかし、“上位概念化”を進めるほど、そのような担保が困難になることは容易に想像できよう（Column 2）。しかも、ライフサイエンスの分野ではこの担保に対する要求がとりわけ厳しい（具体的には、後編で説明する）。最初の画期的なiPS細胞の成果からは意外に狭い範囲の特許しか確保できない理由は、当初の成果によるインパクトに匹敵するような発明の上位概念を担保することの現実的な困難さにあるともいえる。

特許と論文の趣旨の違いが求められるデータに決定的な違いをもたらす

このように、論文では“検証データ”，特許では“実証データ”が求められるが*4，論文と特許の趣旨の違いに照らし、ここでいう両方のデータの違いを明確にしておこうと思う。

論文の場合は、自然科学的な知識の蓄積を着実にするため、新しい発見などにもつづいた自然現象における仮説（たとえば、さきほどの例では、4つの遺伝子の発現によって実際に体細胞が初期化すること）を証明するため、しかるべき

検証データを提示する。しかし、その自然現象の応用（治療用途など）については、通常、可能性をディスカッションする程度で許され、それを実証するところまでは求められない。もちろん、例外はあり、たとえば、特定の治療技術の臨床的な効果を強調するような論文では、臨床適応に関する実証データが厳しく求められることになる。しかし、その場合の実証データは、あくまでも臨床的效果に対する検証の要請と解釈すべきものであろう（要は、論文の主題が何か、ということである）。

一方、特許においては、自然現象を応用した産業モデル（医療技術を含む）が実現可能であることの合理的な根拠を示すため、“実証データ”を提示する。特許でいうところの、実施可能要件の充足である*5。ところが、求められているのはあくまでも産業モデルの実現可能性であって、自然現象自体の検証ではない。このことは、基礎研究者にとってはある意味、意表をつかれる事実ともいえる。特許の有効性を争う裁判のなかでも、つぎのように判示されていて興味深い*6。“用途発明にあっては、既知の物質と未知の用途との結びつきのみが発明を構成するものであって、既知の物質について発見した新しい性質は単にこの結びつきを考えたすにいたったきっかけにすぎず、新しい性質そのものは発明を構成しない”（下線部、筆者）。“用途発明”に関してはのちに述べるが、ここで明確にされているのは、特許出願に求められるデータは、新発見についての検証データではなく、それとはまったく別の、その発見を産業（ここでは、医薬産業）に結びつける場面についての実証データということである。研究者の意識としては、信頼性を高めるために新発見自体についての検証データを追加したいところであるが、この場合、それは意味をなさない。このように、研究過程で生じた新たな発見を境として、論文と特許にむかう道筋が、その発見の検証と、その発見の技術的適用とにむかって、それぞれ大きく枝分かれする点にたくに留意する必要がある（図1）。

特許と論文では、存在目的が大きく異なっているにもか

*4 必ずしも用語の選択が適切ではないかもしれないが、論文と特許の両者の性格の違いを強調するため、本稿ではあえて、論文の場合に“検証データ”，特許の場合に“実証データ”として使い分けている。

*5 特許法36条第4項は、明細書における発明の詳細な記載について、“その発明の属する分野における通常の知識を有する者がその実施をすることができる程度に明確かつ十分に記載”しなければならない、としている。“実施をすることができる程度”というのは、“つくることができ”“使うことができる”ような記載であると説明されている（特許庁、特許・実用新案審査基準、第1部 第1章 明細書及び特許請求の範囲の記載要件）。なお、特許請求の範囲が明細書の記載できちんと担保されているかどうかという観点からは“サポート要件”（特許法36条第6項1号）の問題となるが、実証データが要求される観点からは、どちらもいっしょである。

*6 東京地裁 平成4年10月23日（平成2年（ワ）第12094号 特許権差止請求事件、フマル酸ケトチフェンをアレルギー性喘息の予防剤として用いる用途発明に関する争い）。

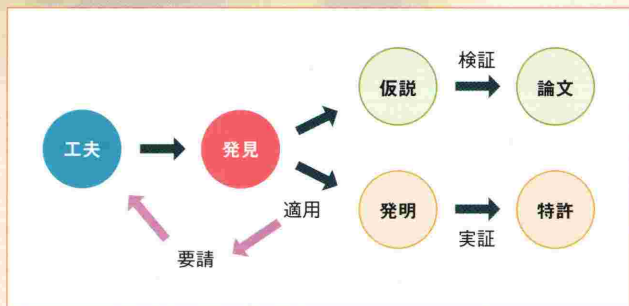


図1 論文化と特許化で分岐する研究の道筋

研究者の工夫が新たな発見につながっても、そのままの状態では“可能性”にすぎない。発見をもとに論文発表をするには、発見から導きだされる仮説が正しいことを検証するデータが求められる。一方、発見をもとに特許出願をするには、発見を産業に適用すること、すなわち、たとえば“疾患遺伝子の発見”を“疾患を診断治療する方法”に応用する発明の実現可能性を、実証データで示す必要がある。このように、工夫から発見までは論文と特許とで共通でも、そこからさき、どちらをアウトプットにするかで大きく枝分れることになる。

かわらず、iPS細胞のように、同じ研究成果をもとに論文投稿と特許出願の両方が可能になる場合がある。これは、いままでに知られていなかった自然現象などの発見によって、それを応用した新しい技術が具現化する場合があるため、たとえば、特定の遺伝子がある疾患に特異的に発現しているという現象を見いだせば、その遺伝子を足がかりにした新しい診断・治療が可能になる。このような新しい診断・治療の技術は基本的に“発明”に該当し、当然、特許の対象となる*7。とくに、医療に近接した分野では、治療や診断のキーとなる因子をみつけだすことを基本的な目標にすえた研究が進められているので、成果としての“発見”がただちに治療や診断に関する“発明”につながるようなケースも多い。新発見が新技術をもたらすという上記の説明だが、新技術（たとえば、疾患の治療法、ES細胞作出の代替手段など）の開発への“要請”に応えるかたちで新発見（たとえば、疾患の原因遺伝子、iPS細胞の誘導因子など）が得られることもある。このような“発見”は“発明”に直結するし、それを検証するデータが同時に実証的な意味をもつこともある（スクリーニングで得た遺伝子が特定の疾患と実際にリンクしている可能性を検証する実験は、その遺伝子を

その疾患の診断に活用する発明の実証実験と重なりうる）。疾患に関連した遺伝子など因子のスクリーニングによる成果はその端的な例だが、山中博士らによって報告されたiPS細胞の例もこれに準じるものといえる。しかし、ひとつのすぐれた成果で論文も特許も手中にできる可能性があるにしても、まったく同じデータの使用で両方のアウトプットについて同等な水準のものを期待することはできない。上述のように、特許と論文では求められるデータが異なるからである。

さきほどの山中博士の論文では、“数個の蛋白質の発現によって体細胞が初期化される”可能性を示すデータがでるや、その仮説の検証に邁進し、すぐれた論文として発表することができた。ところが、もし特許を取得することを第一に考えたのなら、仮説の検証はさておき、それがヒトにも応用できるか、ほかの遺伝子セットでも可能かどうか、などについて、実際にその成果を治療に適用する場面、他者の模倣を排除する上位概念を確保する場面、などを想定した実証データの蓄積を最優先したことであろう*8。

特許に検証データは不要か

特許性の判断において検証データがさほど重要視されないということは、突き詰めれば、産業的な適用の部分さえ実証されていれば、極端な話、その発明のきっかけとなった“発見”自体がまちがいであったとしても、事実上は問題にならないことを意味する。ある胃癌関連遺伝子産物Gの活性がA因子によって抑制されるという新発見を契機として、実際に胃癌モデルにおいてA因子による顕著な癌抑制効果を示した場合、A因子を胃癌治療薬として用いる特許権を取得できる。ところが、のちの研究によって、A因子には遺伝子産物Gに対する抑制作用が存在しないことが判明したとする（あるいは、A因子による癌抑制が、むしろ、癌抑制遺伝子産物Sの活性増強によって起こっていたことが判明したとする）。その場合であっても、取得した特許の明細書においてA因子を抗癌剤として使用できること自体が実証されているかぎり、原則として、特許やその効力が失われることはない。特許権が“A因子を抗癌剤に使用する

*7 “発見”と“発明”の違いについて言及しておく。世の中に知られていなかった新しいものや現象をみつけるのが“発見”であり、それがなにかに活用できるかどうかは、発見かどうかの判断には影響しない。一方、“発明”は、新しいものを考えだしたりつくりだしたりすることで、その背景には必ずなにかに活用する目的が存在する。既存の物質の新規用途の発見は新規技術の創出であり、発明に直結する。

*8 山中博士らもこの点、手をこまねいていたわけではなく、実際には、マウスの成果をもとにした最初の特許出願（WO2007/069666）において、4つの遺伝子、*c-Myc*, *Oct3/4*, *Sox2*, *Klf4*をそれぞれのファミリー遺伝子に置換した場合でも同様なiPS細胞の誘導が成立することを示し、発明の上位概念化をねらっている。しかし、ヒト体細胞でiPS細胞の誘導を行ったり、違う遺伝子セットを用いて初期化誘導させたりする実施例をだすまでのハードルはさすがに高く、最初の出願にしかるべきデータをくわえることはできなかった。

ること”に対してあたえられているかぎり、A因子の作用原理がどうであれ関係ないからである。逆に、医薬Aが遺伝子産物Gの活性を抑制する現象をどれほどたくみに検証できても、実際に癌を治す薬として使用できることに対する具体的な根拠がなければ特許を取得することはできない。

ちなみに、A因子の癌抑制作用が遺伝子産物Gの活性抑制ではなく、実際には癌抑制遺伝子産物Sの活性増強によるということをおとから証明しても、A因子を胃癌治療薬として用いることに関しては新たな特許権を取得することはできない(特許庁, 特許・実用新案審査基準, 第Ⅶ部 第3章 医薬発明2.2.1.1.(3-2)(d))。A因子の作用機序のいかんにかかわらず、A因子を胃癌治療薬として用いるという点については変わらないからである。このように、特許は本質的にはブラックボックスの中身には興味がなく、その箱がもたらす現実的な作用こそが関心の対象といえる。

しかし、このことは特許取得の戦略において、ブラックボックスの中身が重要でないことをただちに意味するものではない。メカニズムがわかれば、現象的あるいは利那的に目のまえて生じた事実を離れ、もっと広い範囲の見通しをたてることが可能になる。たとえば、胃癌に対して効果を示す薬剤を見いだしても、そのメカニズムを知らないま

までは同じ薬剤の処方か癌全体について有用かどうかはわからない。癌一般の治療剤として権利を主張したい場合には、胃癌以外の癌についても同様な効果があることを多数の癌に関するモデルを用いていちいち実証する必要がある。しかし、その薬剤が特定の標的に対する作用をつうじて胃癌縮小作用を示すことなどが判明していれば、同じ標的を発現するほかの癌の治療まで視野に入れることがただちに可能になる。したがって、基礎研究的なアプローチは特許獲得戦略にとってむしろ好ましい側面も備えている。

次号に掲載される後編では、特許で必要とされる実証データが具体的にどのようなものなのか、実証データを充足させるための考え方について検討する。

文 献

- 1) Takahashi, K., Yamanaka, S.: *Cell*, **126**, 663-676 (2006)
- 2) Yu, J. *et al.*: *Science*, **318**, 1917-1920 (2007)
- 3) Nakagawa, M. *et al.*: *Nature Biotechnol.*, **26**, 101-106 (2008)
- 4) Shi, Y. *et al.*: *Cell Stem Cell*, **2**, 525-528 (2008)
- 5) Kim, J. B. *et al.*: *Nature*, **454**, 646-650 (2008)
- 6) Huangfu, D. *et al.*: *Nature Biotechnol.*, **26**, 795-797 (2008)