

特集 《スタートアップ支援》

# バイオ分野のスタートアップのための新しい特許戦略



平成 30 年度バイオ・ライフサイエンス委員会委員長 森田 裕\*

## 要 約

バイオ・ライフサイエンス分野におけるスタートアップは、世界を変えるであろう革新技術の創成に向けて、創業当初は、研究開発費を先行投資する。本稿では、経営を安定化させる戦略としてのビジネスモデルの構築という考え方を紹介する。また、特許は、事業を保護するために取得するものであり、研究成果を保護するためにあるものではないという意識を醸成する。このため、米国でなされた特許戦略の実例を紹介する。本稿では、これらを通じて、バイオ・ライフサイエンス分野のスタートアップが検討すべき特許戦略および経営戦略を提言する。

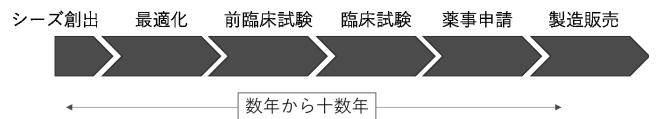
## 目次

1. 経営安定化のための資金獲得戦略の重要性
2. 多段階のビジネスモデルによる資金獲得戦略
3. スタートアップが知っておくべき特許戦略
4. 保護すべき権利が明らかになることによる特許戦略の大転換の事例
5. スタートアップによるライセンスイン戦略
6. ビジネス戦略と特許戦略
7. 分割出願を最大限活用する戦略
8. 企業価値と特許
9. まとめ

### 1. 経営安定化のための資金獲得戦略の重要性

バイオ・ライフサイエンス分野におけるスタートアップには、創薬開発など長期の研究開発を要する技術にチャレンジしているものが多いと思われる。創薬開発においては、図1に示されるように、人に対する有効性と安全性を確保するために、人を対象とした「臨床試験」を実施することが必要であり、臨床試験を開始する前には動物を対象とした「前臨床試験」を実施することが必要であり、前臨床試験を開始する前には、厳格な基準（例えば GMP 基準）を満たす治験薬を決定することが必要である、といったように、規制に基づく多くの関門が待ち構えており、長期の準備期間（開発期間）が必要になる。また、非常に高額の研究開発費用を捻出してこれに対応することが求められるのである。

図 1：創薬の開発ステージ



もちろん、スタートアップの出口をどこに設定するかによって、研究開発費をどこまで負担すべきかが変わるが、一方で、早期に導出しようとしても、他企業へのライセンスアウトに苦戦したり、ライセンスアウトできたとしてもライセンス料率が低くなるといったことが生じるため、自社でリスクを負って開発フェーズを進め、如何に技術の価値を高めることができるかがとても重要な課題となる。

創薬において研究開発は、少なくとも数年から十数年を必要とするが、導出または製造販売までは利益はもたらされない。従って、スタートアップには、この数年から十数年の長期にわたる研究開発費を捻出できる強力な資金獲得戦略が必要である。上記では、スタートアップの一つの目標の例として創薬開発を挙げたが、創薬開発でなくても、同じことである。バイオ・ライフサイエンス分野の多くの場合で、実用化のために数年から十数年にわたる研究開発費を捻出することが経営の最重要課題であることに変わりがないためである。

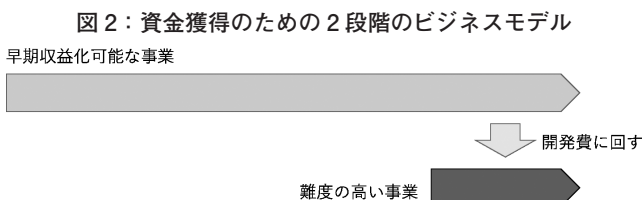
まず、第一にスタートアップへのリスクマネーの供

\* 大野総合法律事務所

給は、ベンチャーキャピタル（VC）によって主になされている。特許は、バイオ・ライフサイエンス系スタートアップの価値の中核となるため、ベンチャーキャピタルの投資実行時には、必ず知財デューデリジェンスが行われ、技術を保護する特許の権利化状況等が確認されている。したがって、スタートアップにおいては、特許はベンチャーキャピタルからの資金調達に直結する重要性を有している。ベンチャーキャピタルによる知財デューデリジェンスは、言うまでもなく知財専門家によってなされているから、これらのデューデリジェンスに耐えるだけの特許戦略と出願または特許を有しておくことが重要である。このように、特許出願は、事業保護という長期的観点に加えて、ベンチャーキャピタルからの資金調達という短期的・中期的課題であることをまず認識しておく必要がある。

## 2. 多段階のビジネスモデルによる資金獲得戦略

多くのスタートアップにおいてベンチャーキャピタルからの投資は重要な資金源である。しかしながら、日本において成功しているスタートアップの経営戦略を眺めてみると、経営戦略的な工夫によって資金源を確保している。例えば、以下に説明する多段階のビジネスモデルである。長期的な夢のある事業を支える資金源として、収益事業を別に設ける戦略がスタートアップでは重要であると考えられる。具体的には、図2に示されるように、早期収益化可能な事業により資金を確保し、これを難度の高い事業に回すというモデルである。これは、例えば、ペプチドリーム社、ユーグレナ社等を含む様々なスタートアップにおいて意識的に組み上げられたものであると考えられる。



### 事例

以下では事例を紹介する。

ペプチドリーム社は、東京大学発のスタートアップである。天文学的な種類の特殊ペプチドを作製する技術およびこれをスクリーニングする技術を開発し、こ

れを用いた創薬開発支援プラットフォームを世界中の製薬会社に提供すると共に、自社においても創薬開発を進めているスタートアップである。創薬開発には高額の費用および長期にわたる研究開発費が必要であるところ、創薬開発支援プラットフォームを提供することにより、創業後早い段階で巨額の資金を得ることに成功し、その資金を用いて自社開発を推進する様子が見て取れる。事実、ペプチドリーム社のIR情報では、平成18年7月に設立されてからの最初の10年は、国内外の製薬企業とのアライアンス契約を拡大する基盤作りのステージであるとされ、病気で苦しむ世界中の人々に実際に薬を届けることが次の10年間における使命であるとの趣旨が表明されている<sup>(1)</sup>。まさに、多段階のビジネスモデルの成功例と言える。

ユーグレナ社は、東京大学発のスタートアップである。ミドリムシ（ユーグレナ）の屋外大量培養に世界で初めて成功し、これにより、ミドリムシの商業化を可能とした。現在では、ヘルスケア事業とエネルギー・環境事業の2つの事業を柱とした事業展開を行っている。この2つの事業には重要な意味があると考えられる。それは、ヘルスケア事業では、重量単価が高く、かつ開発容易な食品を中心に据えることによって、これを収益事業とすること、および、ここで得られた収益を、長期の研究開発が必要なエネルギー・環境事業に投資することの2段階のビジネスモデルの構築である。事実、2018年10月時点のユーグレナ社のIR情報では、『当社では、ミドリムシを価格の高い「用途」から順に事業化する「バイオマスの5F」を事業展開の戦略として掲げてきました。』と述べられており、重量単価の高い食品から開発を開始し、今後は、ミドリムシ企業からバイオテクノロジー企業への進化を目指すとして述べられている<sup>(2)</sup>。ユーグレナ社も多段階のビジネスモデルの成功例と言える。

スタートアップにおいては、価値の高い技術の開発フェーズを如何に先に進めるかが成功のポイントになると思われる。自社のバリュエーションを高めて行く上でも、自社の存続を永続化するためにも、早期収益化可能なビジネスにより早期に資金を獲得するモデルを確立すれば、得られた自己資金を活用して高度な夢のある開発計画を先に進めることができる。言い換えれば、多段階のビジネスモデルによる資金獲得戦略を講じることによって、開発を途中で手放さなければならないリスクが減じられ、また、開発をより先の段階

に進めることにより、自社技術の価値および自社の価値を高めること、製品の市販を通じた社会還元の可能性を高めることができると考えられる。従って、この多段階のビジネスモデルは、長期の研究開発を必要とするバイオ・ライフサイエンス系のスタートアップが一度は検討すべきビジネスモデルになり得る。

当然、各段階のビジネスに対して、それぞれ特化した知財戦略が必要となっており、それぞれに適したオープン・クローズ戦略や特許戦略が必要となる。これについては、本稿の限られた紙面で論じることはできないので割愛する。

### 3. スタートアップが知っておくべき特許戦略

現在においても、研究成果が生じる度に、その研究成果を保護するという発想で権利化業務を行う実務がほとんどであるが、これではスタートアップの事業を保護することは保証されないと考えられる。特許は、研究成果を保護するものではなく、事業を保護するものであるからであり、事業を守るために、事業計画から逆算して出願を行う戦略の必要があるためである(図3参照)。研究成果が生じたからといって、これに対して受動的に権利化を行っているだけでは、特許保護は目的の無い散漫なものになり、事業保護はおぼつかなくなる。

図3: ビジネスの計画の具体化と、これを保護する特許戦略の構築

**ビジネスの  
計画の具体化**

➔

**ビジネスを  
保護する特許戦略**

ところで、アカデミアでは、自滅特許というものが散見される。これは、広い特許を取得しようと出願をすると、部分的に点のような狭い先願が公開されてしまっていて、広い特許の成立が困難になる事例である。出願には、広い特許を出願してから狭い特許を出願するというような順序が必要であり、これを知財専門家はアドバイスしなければならない。

また、アカデミアでの特許化の最大の障壁は論文発表である。論文発表を早めたいがために広い特許を準備し得ないという事態である。これは自滅特許の最大の要因になっていると思われるが、ビジネスを守るために必要な特許をどう形作るかの考察が欠落することによって、技術の実用化が阻まれる結果となることを認識しなければならない。

しかしながらその一方で、研究者にとって、無味乾

燥とした追加データの取得を行うことは人的・金銭的リソースの限界や学術的興味の観点から難しい面がある。そのため、知財専門家が追加データを示唆したところで、研究者はうんざりしてしまい、特許出願への意欲を減退させる結果となりうる。この問題に対しては、知財専門家が、論文にも特許にも有益な「象徴的なデータ」(一石二鳥のデータ)の取得の提案を行うことで、研究者からの一定の理解を得ながら、できるだけ広い特許の成立を試みるのが有益である。そのためには、特許実務に精通するだけでなく、研究開発や論文に必要なデータの考察を積み上げることが重要であり、特許戦略と研究戦略の境界領域への挑戦が必要になる。他方で、研究者には、早期の段階から知財戦略を相談することの後押しをしておくべきである。論文を書くからという理由で、それに間に合わせるように出願するということでは、十分な戦略を講じることは困難であるためである。むしろ、相談すれば、研究上のよいアイデアが得られるかも知れないと思わせることが、相談の早期化と、相談に次ぐ特許戦略の精緻化の正のスパイラルを構築する原動力になる。

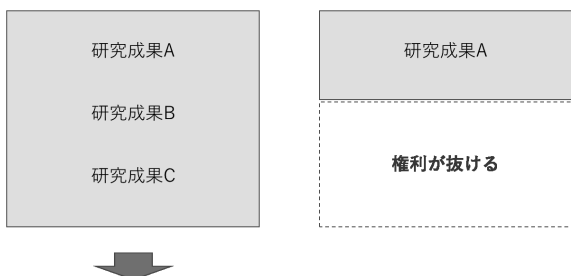
ところで、特許戦略を構築する上で、研究の保護を考えるのではなく、ビジネスの保護を考えなければならない理由は以下の通りである。

例えば、不動産を賃貸・売買するときに、不動産自体がよいということだけを理由として賃貸・売買をする者はいないであろう。自らの固有の目的に資するものであるかどうかという観点と費用対効果の観点から不動産の賃貸・売買を決定するはずである。土地の立地はどうか、土地の形状はどうか、日当たりはどうか、土地の価格はどうかを検討するのであるが、この検討において不動産が自身の目的に合っているかの観点が失われてよいはずがないのである。建物を建てる時も同様である。建物を設計するための四苦八苦の多くは、目的に合った建物をテーラーメイドで設計する観点から生じるものであろう。ここで検討が不十分である場合、後から不具合や不都合が生じるものである。

特許の場合にも、基本的には同じことである。独占権を確保したいがために出願をするということになるのであるが、如何なる部分に対して独占権を付与することが重要なかを検討しなければならない。事業としての実施に対して独占権を有効に発揮させるものになるよう、事業計画を十分に固め、その上でこの事業計画上のビジネスを保護できるようなテーラーメイド

の特許戦略を構築することが必要である。単に特許を研究成果が生まれる度に出願するといったことで、後から不具合や不都合が生じるのは、ある意味必然である。

図4：ビジネスの視点からの特許戦略と必要な研究成果の概念図  
 ビジネスを守る                      研究成果を守る



研究成果をまとめてビジネスを守れる広い権利へ

研究成果を守るという発想で出願をすると、ビジネスを守る上で必要な権利が得られないか、十分ではなくなる(図4参照)。従って、出願前に、ビジネスを描き、これを保護するにはどうすべきかを考察するステップが不可欠になる。図4は、戦略を1つの出願で実行すべきという趣旨で述べたものではない。ビジネスを守るために、どのような特許が必要でどのように研究成果を積み上げていくべきかを「逆算」する必要があることを述べたものである。複数の特許による特許ポートフォリオによってビジネスを守るということでもよいが、その場合、どのような特許ポートフォリオを組むかの検討が先にあって然るべきなのであって、研究成果が出る度に出願するということでは、事業の競争優位性を必ずしも確保できないということになり、特許出願の本来的な意義が発揮できない事態を招くリスクがあると思われる。

どのような研究成果をどのようにまとめるかの判断は、特許の実務上の判断になるから、知財戦略を構築する際には、事業計画はもちろんのこと、現状のデータ、今後の研究計画を含め、あらゆる情報を把握した上で、事業を守るためにはどのようなデータセットを構築するとその事業をカバーする権利化が可能となるのかを検討することが不可欠であろう。

#### 4. 保護すべき権利が明らかになることによる特許戦略の大転換の事例

ここでは、事業戦略と知財戦略を連動させることの重要性を示すため、事業計画の変更、業界の技術動向に合わせてテーラーメイドに出願戦略が転換された事

例を紹介する。保護すべき権利が明確になると特許戦略が劇的に変わることが以下の事例から明らかになると思う。

##### 事例

本稿では、細胞医薬を開発する各社が知っておかなければならない重要な米国特許を紹介する。米国ホワイトヘッド研究所(Whitehead Institute for Biomedical Research)が特許権者となったOct4という因子についての特許(米国特許 8,071,369号)である。この特許では、簡単に言えば、Oct4蛋白質を強制発現させた初代体細胞を含む組成物<sup>(3)</sup>が権利化されている。

現在では、iPS細胞の製造過程においては、初代体細胞に対してOct4蛋白質を含む複数の蛋白質を強制発現させることが通常であり、かつ最も重要なプロセスであり、これにより、初代体細胞を多能性幹細胞に巻き戻し(「初期化」という)させることができることが知られている。多くのiPS細胞の製造において、Oct4蛋白質の強制発現を必要としており、従って、上記米国特許 8,071,369号は、iPS細胞の製造技術の中心部分の権利化に成功しているように見える。この特許を分析したところ、この特許取得経緯はとても興味深いものであった。

米国特許 8,071,369号では、Oct4蛋白質を強制発現させた初代体細胞が、核移植による初期化に対して感受性が高まっている(初期化しやすくなっている)ことが見出され、これにより、出願戦略の当初においては、本発明は、初期化因子のスクリーニングに用いる細胞として権利化が試みられたようである(米国特許 7,682,828号)。この特許の優先日および出願日当時は、iPS細胞樹立の前であり、また、実施例を見ても、Oct4単独で体細胞を初期化できるほどの強力な効果を発揮するものであると認められるものでもなく、単なるスクリーニングの1手段としての位置付けに過ぎないものであったと考えられる。

しかし、出願人は、より包括的な権利を取得するために、米国特許 7,682,828号の登録時に継続出願という仕組みを活用して<sup>(4)</sup>、新しく審査に係属させた(この継続出願が後に米国特許 8,071,369号として成立する)。ところで、この継続出願がなされたのは2010年であるから、この頃にはiPS細胞は樹立されていた<sup>(5),(6)</sup>。また、2010年の段階ではすでに、世界中でiPS細胞の製造技術の様々なバリエーションが報告さ

れ、iPS細胞の樹立においてOct4が重要な役割を果たしていることもまた、知られていたのである。2010年の段階でのiPS細胞の製造技術とその特許については、石埜ら（パテント2010, 63(14), p59-71）において詳細に分析されている。

米国特許7,682,828号の発明者であったルドルフ・イエーニッシュ博士およびコンラッド・ホッケドリナー博士は、現在ではiPS細胞研究の第一人者である。彼らは、いずれのiPS細胞製造技術のバリエーションにおいても体細胞に対してOct4蛋白質の強制発現が不可欠であることに気付いたと思われる。彼らは、その後、自らが過去にしたこの発明に基づいて、Oct4蛋白質を強制発現させた初代体細胞を含む組成物の権利化を試み、米国特許8,071,369号で権利化に成功した。

図5：米国特許8,071,369号の出願経緯とiPS細胞の樹立

米国特許8,071,369号の出願経緯	
2003年	体細胞初期化因子のスクリーニング方法として出願
2006-2007年	iPS細胞の樹立の世界初の報告、初期化因子として山中因子の報告、トムソン因子の報告
2007-2010年	その他初期化因子の報告（⇒Oct4の重要性把握）
2010年	米国特許8,071,369号の出願（Oct4発現初代体細胞の権利化）

米国特許8,071,369号の発明者であったルドルフ・イエーニッシュ博士およびコンラッド・ホッケドリナー博士は、このようにして、iPS細胞の樹立において重要な、初代体細胞にOct4を発現させるという部分において権利を取得することに成功した。米国特許8,071,369号では、核移植や卵細胞の利用無しにはiPS細胞を樹立することはできなかった。しかしながら、彼らが取得したOct4蛋白質を発現する初代体細胞に関する権利は、このような細胞を用いる限り、iPS細胞の製造プロセスをカバーするようになる。

しかしながら、彼らの戦略はこれに留まることはなかった。その後、更なる継続出願に基づいて権利化された米国特許8,927,279号では、Oct4とSox2またはNanogとの組合せを外来的に導入した初代体細胞に関する発明が権利化され、米国特許9,169,490号では、権利化できた体細胞について、「初代」とする限定が外れた。いずれもiPS細胞の製造の中心な技術を依然として狙ったものであり、出願後に生じたiPS細胞の製造技術の保護が図られていることは明白である。

#### 新しい特許戦略

この特許戦略からは学ぶことが多い。上記の事例で

は、出願戦略が実行されたのは、出願前ではない。出願後の技術開発動向に合わせて既存の出願の戦略が見直され、技術動向に標的を定めた権利化戦略が構築された。iPS細胞の樹立が世界中を震撼させる中、その樹立の前に出願していた自らの出願に基づいて、iPS細胞の樹立工程の重要部分の権利化に成功したのである。

新しく発明が生じたときに、新しい出願をするというのは、シンプルでわかりやすく直接的な効果を生む手法である。しかしながら、バイオテクノロジーの技術分野においては、過去にした出願を叩き直して新しい発明をカバーする形で特許化を達成するということだが、原理的には可能なのであり、これも出願戦略に位置付けるべき技法と言うことになる。

また、バイオテクノロジーの技術分野では、様々な要素技術を利用して新しい医薬有効成分を製造する。過去の要素技術を様々に組み合わせて利用して新しい技術が構築されるのである。従って、これからの特許戦略の新しい中心には、「要素技術」の権利化ということが必ず含まれるようになるし、含めるようにすべきである。このようにすることで、将来の様々な技術の基盤となるような要素技術について権利を主張できるようになり、これが各社の特許戦略の幅をさらに広げることとなると考えられる。

さらには、発明が奏する効果の高さや低さは、特許権の広さには繋がらないことも分かっていただけだと思う。むしろ、発明の効果の高さと権利の広さとは反比例することが多い。多くのiPS細胞の製造技術は、Oct4に加えて他の複数の因子を用いて体細胞の初期化を達成する。これに対して、米国特許8,071,369号では体細胞の初期化は達成できないが、効果の低い発明をOct4のみの導入で達成し、体細胞に初期化しやすい状態を誘導する。米国特許8,071,369号では、iPS細胞の誘導のような効果の高い発明を達成していないが、「効果の低い発明」として発明が「完成」している。効果の低い発明を軽視することができないことは明らかである。むしろ、効果が低いにもかかわらず、権利範囲が格段に広い。このように、特許戦略においては、高い効果の発明よりも、低い効果の発明の方が脅威な場合がある。また、効果の高い発明は、より多くの条件を満たさなければ達されないため権利範囲が狭くなる傾向がある。そうすると、特許戦略としては、効果の高い発明が生じた場合、これを単純な発明に分

解して見たときに、どこまで単純かできるか、その結果残る「効果の低い発明」とは何かを見極めることが必要になり、これにより、効果を低くし、発明を広げるといったことが重要となる。そして、このために新しい研究や実験の補充が必要なのであれば、研究をしても発明を広げる途を模索すべきである。このようにすることで、「要素技術」の権利化ということの可能性が格段に広がるものと筆者は考えている。

ところで、発明は、実は多義的であり、研究成果そのものから発明を的確に把握することは、実は非常に難しい作業である。スクリーニング方法として発明を権利化するには、おそらく「初代体細胞」<sup>(7)</sup>というような余計な限定を付することなく、広く体細胞に向けて権利化することが求められた。しかしながら、iPS細胞が樹立されると、不死化したような安全性の不明な細胞株<sup>(8)</sup>の利用は回避されるべきであると考えたはずであり、不死化していない「初代体細胞」の権利化がより重要になったと思われる。このように、発明は、活用の場面を考えると、捉え方が変わる。権利化すべき対象も変わるのである。このように、活用の場面を見極めてから権利化を行うということが重要であることは、この事例から明らかになったと思う。

このように発明は、上記事例は、出願後であっても戦略変更ができるという極端な事例であったが、活用の場面が見えてから権利化することも検討の余地がある。基本としては、「出願前」に予め事業計画や技術動向の予測を踏まえた戦略構築が重要であり、想定される事業を保護できるよう権利を成立させる努力が必要となる。しかし、「出願後」であっても「継続的」に事業計画や技術動向の予測を踏まえた戦略構築と修正をし続けることが重要ということである。

米国ホワイトヘッド研究所は、マサチューセッツ工科大学の外郭研究所であり、アカデミックな研究機関であると言えるが、米国では、そのようなアカデミックな研究機関が、このようなリッチな戦略的な特許の取得を実践しているということは驚くべき米国の実態であるといえよう。

また、特許戦略は、一度形作れば十分というものではない。なぜなら、特許戦略は事業戦略に対してテーラーメイド的に作り上げるものであるのに対して、事業戦略が変更を迫られることがあるためである。したがって、目的（事業保護）を達せるように常にこれと連動させて特許戦略を変更することが求められる。ス

タートアップが知財戦略を構築する場合には、事業計画や研究計画が構築できたときに知財専門家に相談することはもちろん必要であるが、事業計画や研究計画に変更が生じた場合や技術動向に大きな変化が生じた場合にも知財専門家に相談することが重要であると筆者は考えている。

## 5. スタートアップによるライセンスイン戦略

スタートアップは、中核となるいくつかのシーズに基づいて、これを社会還元するために研究開発を行うことが通常である。しかしながら、製品開発のための全ての技術を自社開発することなど到底無理なのであって、他者の特許のライセンスインを検討することも重要である。また、第三者の特許の中には、自社の開発の障害となることがあることをよく理解しておかなければならない。

例えば、米国スタートアップである Sarepta Therapeutics 社は、2016年12月にデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する治療薬として米国食品医薬局（FDA）から Exondys 51<sup>®</sup> の承認を得た<sup>(9)</sup>。Sarepta Therapeutics 社は、モルフォリノオリゴというオリゴヌクレオチドのバックボーンにモルフォリノ環を用いたことを特徴とする核酸を開発した会社である。Sarepta Therapeutics 社は、モルフォリノオリゴが、分解安定性に優れ、細胞内への浸透能が高く、かつ、細胞内で高次構造を形成した RNA に対してもハイブリダイズできるという特徴を生かせる医薬用途を求めている。Sarepta Therapeutics 社は、モルフォリノオリゴを医薬有効成分とする医薬のターゲットとして、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）のエキソンスキッピングによる治療に着目した。DMD では、ジストロフィンタンパク質が途中のエキソンでフレームシフトを起こしたり、ナンセンスコドンが生じていることで正常なジストロフィンを生成できなくなっているが、モルフォリノオリゴによって mRNA のスプライシングを制御し、問題のあるエキソンを飛ばす（スキップする）ことによって、ジストロフィン機能を回復させることができる。FDA が公開するオレンジブックの情報によれば、Exondys 51<sup>®</sup> の開発に当たっては、The University of Western Australia の特許出願が関係している。Sarepta Therapeutics 社は、エキソン 51 番のエキソンスキッピングによって DMD を治療する特許のライセンスを受けたという理

解でよいであろう。

このように、スタートアップは、自社の強みを生かした事業展開において、全ての技術を自社で開発する必要は無い。むしろ、必要な技術は、必要に応じてライセンスインにより導入すべきであり、これにより研究開発費を抑制し、かつ研究開発を迅速化させることが可能となる。

ところで、この Sarepta Therapeutics 社は、Exondys 51® の承認を得た後で、ライバルであった Biomarin 社とライセンス契約を成立させている<sup>(10)</sup>。しかし、この状況は、FDA の承認を得るまではライセンス契約が成立していなかったという見方もできる。そうすると、必ずしも、特許権の侵害リスクのない状況で開発が進められてきたわけではなく、リスクと向き合いながら開発が進められていたことが理解できるのである。このようなアグレッシブな開発姿勢に学ぶことが無いか十分に検討をしておく必要があろう。Sarepta Therapeutics 社の強みはモルフォリノオリゴであり、その開発パイプラインは、DMD のみに限定されず広いものであり得たと考えられる。そうすると Sarepta Therapeutics 社は、複数パイプラインのポートフォリオを開発する中で<sup>(11)</sup>、特許リスクを開発リスクの1つに位置付けて、より多くの開発を進める戦略であった可能性がある。

Biomarin 社による Exondys 51® をカバーすると思われる特許 (US7,534,879) が 2009 年 5 月 19 日に特許化されている。出願人および特許権者は、Academisch Ziekenhuis Leiden であることから、Biomarin 社は、この特許をライセンスインして技術開発をしていたことが窺われる。

図 6 : Sarepta Therapeutics 社がライセンスインしたと思われる特許 US7,534,879

1. An isolated oligonucleotide of between 20 to 50 nucleotides comprising a sequence consisting of SEQ ID: 27.

※ Exondys 51® は、SEQ ID NO: 27 の核酸配列を含む 30 塩基長のオリゴヌクレオチドである。

Biomarin 社は、ライセンスインをしていたからこそ、Sarepta Therapeutics 社から利益の一部を受けられるようになったということができ、開発で先を越されたとしても、ライバルの事業から収益を得る仕組みづくりに成功していたことは興味深い。スタートアップでも、ビジネス上重要な特許のライセン

スインを行うことで、自社開発を促進すると共に他者を牽制し、あるいは、他者の売上から利益を得る仕組みを作ることは一考の余地がある。スタートアップにおいて、他者からのライセンスインは重要な戦略になりそうである。

## 6. ビジネス戦略と特許戦略

バイオテクノロジー分野では、重要な特許が研究の比較的初期に生み出される可能性が高い。しかしながら、研究の初期段階では、研究成果があるだけであって、これにビジネス戦略が伴っていることは必ずしも多くない。一方で、特許は、研究を守るためにあるのではなく、ビジネスを守るためにあるのであるから、どのようなビジネスが展開されるかの見通し (戦略) がなければ有効な特許を作り上げることはできない (図 4 参照)。

特許の基本的な考え方は、市場に流通する製品やサービスを保護するということになるが、どのように研究成果が展開されるのか、および、どのように市場に製品やサービスが提供されるのかを想定しなければ、ビジネスを保護する権利が得られない可能性がある。

もちろん、これから出願を検討するという場合には、出願前に権利範囲の検討を行うとよいが、スタートアップによっては、自社の中核的技術について既に出願が完了している場合もある。そのような場合も、終わったこととして検討をあきらめるのではなく、事業戦略との関係で、特許戦略の再構築が必要か否かについて具体的な検討を行っておくべきであろう。上記ホワイトヘッド研究所の事例のように出願済みの特許に基づいて戦略を講じることが可能かという観点で特許を再検討すると、意外な最適解を得ることができる場合がある。もちろん、必要に応じて新規出願を検討することはよい。

## 7. 分割出願を最大限活用する戦略

バイオテクノロジー分野では、ビジネス戦略も考慮して特許戦略を構築することが重要であるが、何を権利化すればよいのかを早期に見極めることは容易ではない場合がある。産業構造が新しくなっているという業界全体の傾向が存在する上に、将来のビジネスの業態を予想することができない場合もあるし、ビジネスの業態の将来予想が外れる場合もあるためである。さ

らには、技術開発の動向の変化によって、既存出願の発明の新しい活用方法が見出される場合もある。

特に平均的には出願から4~5年程度で特許化がなされるのに対して、バイオテクノロジー分野の開発は長期に及ぶ。そうすると、何らかの事情で自社開発技術が特許の権利範囲から外れる事態が想定しうるし、他社は、特許の権利範囲から外れる開発を狙ってくるという事態も想定しうる。通常は、障害となる特許を見出した他者は、如何にしてその権利範囲外で事業が可能かを熱心に模索し、回避策を練りだしてくるものである。しかし、重要なことに、特許化後は権利範囲を変更したり拡大したりすることは許されていない。従って、権利化済の特許をもっては、回避策に対応することはできないと思われる。特許化後のこれらの事態に対応するためには、最初の特許化で戦略を終了させてはならず、少なくとも1つの出願を審査に係属させ続け、特許化後、将来の変化に対応させて権利内容を変更したり、場合によっては出願戦略を転換させるといったことが有効になる可能性がある。

早期権利化は、発明の独占に関して公的に認定されたことが明らかになる点で、スタートアップにとっては非常に魅力のある選択肢であると思われる。この点について、特許庁では、平成30年7月9日から特許審査に関するベンチャー企業支援策として、ベンチャー企業対応面接活用早期審査やベンチャー企業対応スーパー早期審査の運用を開始した。従って、重要な出願については、このような施策を積極的に利用して早期特許化を図ると共に、分割出願の準備を怠らないようにすることを検討するとよいと考えられる。

## 8. 企業価値と特許

バイオ・ライフサイエンス系のスタートアップの場合には、その企業の価値の中心を特許が占める場合がある。従って、特許戦略については、ルーチンワークで済ますこと無く、事業戦略とセットでテーラーメイド型の知財戦略として構築しておくことが望ましい。そのためには、権利化を安価に済ませる発想で進めるのではなく、ふんだんな費用を確保した上で、戦略性の高い特許戦略を構築しておくことが望まれる。高い戦略性を持って特許に資金を投入している米国スタートアップと、戦略性を欠き特許に資金を投じない日本のスタートアップとで、どちらが出口におけるバリュエーションを高く評価されるかは火を見るよりも明ら

かだからである。盤石な競争優位性を確立できるのであれば、多少の金額の問題では無くなるはずである。特許が上場企業の株価に大きな影響を与える事例は数多である。スタートアップで特許成立により、株価が10%以上も上がる事例は珍しくはない。また逆に、特許切れ問題によって株価が大幅に低下する事例も珍しくはない。さらに、訴訟リスクが生じることにより株価が大きく変動することも珍しくは無い。特許には、企業価値に大きな影響を与える直接的な力があるのである。

## 9. まとめ

本稿では、現状の知財実務では対応できていない問題点を数々指摘した。研究成果が生じるとこれを権利化するというルーチンの流れの中では、必ずしもスタートアップが描く事業の保護に資さないことを説明した。バイオ系スタートアップでは、このような現状を打破して、自社の事業戦略の優位性を高める特許戦略を構築することが求められている。

ここで論じた特許戦略構築論の実践には高度な特許実務力が必要とされるため、スタートアップでこの戦略構築を完結することは困難であると思われる。しかしながら、知財専門家の力を借りるならば、その実践は不可能な種類のものでは無いと筆者は考えている。スタートアップにおいて重要なのは、事業計画をまず明確化し、そのためにすべき項目を把握しておくことであり、その上で、必要に応じて知財専門家に相談を行うということであろう。スタートアップでは、ベンチャーキャピタルからの資金を活用して、事業を実施する。その際に、構築した事業戦略と知財戦略を実行するために必要な資金調達が可能となるよう、様々な費用を見込んでおくことが重要となる。特許にはとても巨額の資金が必要であるから特許周りの戦略を十分に構築しておき、資金調達時にはこの戦略を織り込んだ計画で調達しなければ戦略が実行できないのである。

弁理士の役割は、特許出願と権利化における対庁業務だけでは無く、ビジネスの実際の業態を考慮した権利化、事業保護に立脚した権利化、そのためになすべきことの提案等々、本質的に弁理士以外にはなし得ない高度な専門業務が待ち構えていると筆者は考えている。上記は、実はその極一例に過ぎない。本稿が、スタートアップ支援を得意とする知財専門家の増加に繋



がり、日本発世界初のイノベーションの実用化を目指すスタートアップ支援の一助になることを願って本稿を締めくくる。

(注)

(1) <https://www.peptidream.com/ir/esg/>

(2) <http://www.euglena.jp/business/>

(3) 米国特許 8,071,369 号のクレーム 1 では、“A composition comprising an isolated primary somatic cell that comprises an exogenously introduced nucleic acid encoding an Oct4 protein operably linked to at least one regulatory sequence.” が権利化されている。

(4) 継続出願とは、親出願（元の出願）の出願日の利益を主張した出願で、新規事項を含まないものをいう。

(5) Takahashi and Yamanaka, *Cell*, 126(4):663-676, 2006

(6) Takahashi et al., *Cell*, 131(5):861-872, 2007

(7) 初代体細胞は、明細書上、不死化していない細胞とされているようである。

(8) 不死化した細胞は、増殖が止まらないという意味で、がん細胞と性質が似ており、治療上の有効成分として体内に導入するためには、より徹底した安全性の試験が必要となるであろう。

(9) <https://www.fda.gov/newsevents/newsroom/pressannouncements/ucm521263.htm>

(10) <http://investorrelations.sarepta.com/static-files/7e22d38c-7b29-4b2c-98d2-cfa9375deac7>

(11) 2018 年 10 月現在で 23 の開発パイプラインを有している。  
<https://www.sarepta.com/our-pipeline>

(原稿受領 2018. 10. 29)