



国立研究開発法人日本医療研究開発機構  
Japan Agency for Medical Research and Development

# 第6回ゲノム医療実現推進に関する アドバイザーボード

平成30年3月29日  
日本医療研究開発機構

# AMED知的財産部による支援について

## 【支援の範囲について】

- AMED採択課題については、研究成果の早期実用化という観点から、課題ごとに具体的な知財戦略を支援
- AMED採択課題以外についても、産学連携における一般的な知財戦略や研究開発内容に踏み込まない知財相談は、研究機関における知財リテラシー向上の観点から支援中であり、今後も引き続き支援

### <支援の例>

- ・知財セミナー、講演、e-learningの提供
- ・知財戦略に関する調査研究結果の提供
- ・コンサルタント・リエゾンによる一般的な知財戦略についての相談対応

- さらに、実用化に向けたプラットフォームとしてシーズ・ニーズマッチングの場を提供
  - ・AMEDふらっと(4月稼働予定)



# AMED知的財産部による支援について

## 【課題横断的な知財戦略の調査・分析について】

○課題横断的な知財戦略が必要な分野については、研究開発動向や特許出願等の状況を俯瞰し、オープン領域・クローズ領域の設定などを含め調査・分析、情報発信を行っており、今後も実施する予定

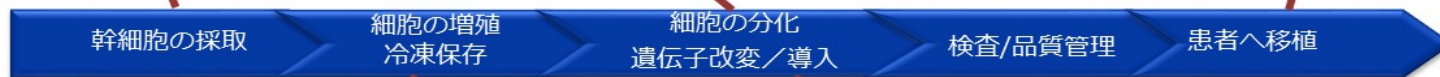
例)再生医療における知的財産戦略に関する調査

1)上流から下流まで多面的な特許ポートフォリオ構築、2)関連する特許を集約し活用しあう枠組みの構築、3)アライアンスの構築の必要性等について提言し、アカデミア・企業に情報発信

順位	機関名	件数
1	University of California	35
2	Celgene Corporation	22
3	Janssen Biotech Inc	20
4	Kyoto University	19
5	The General Hospital Corp.	19

順位	機関名	件数
1	Kyoto University	120
2	University of California	69
3	Wisconsin Alumni Research	66
4	Janssen Biotech Inc	53
5	Seoul National University	50

順位	機関名	件数
1	Viacyte Inc	7
2	Warsaw Orthopedic Inc	6
3	Spinalcyte Llc	4
4	Asahi Kasei Corporation	3
4	Boston Scientific Scimed Inc等	3



順位	機関名	件数
1	Seoul National University	58
2	Kyoto University	43
3	Olympus Corporation	37
4	University Of California	35
5	Wisconsin Alumni Research	33
5	Zhejiang University	33

順位	機関名	件数
1	University of Pennsylvania	65
2	University of California	57
3	Kyoto University	53
4	The General Hospital Corp.	48
5	The University of Texas System	43

# 統合プロジェクトの中での「遺伝子治療研究」の取扱い

## 【平成31年度以降の対応案】

「遺伝子治療」は、治療の多様なモダリティの一つであり、これに特化したプロジェクト新設の要否については、医学研究全体の中での検討が必要ではないか。

1. モダリティとして新技術を開発する観点からは、革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業の後継事業の中で対応することが考えられる。
2. 遺伝子治療技術による疾患治療研究を強化する観点からは、採択課題を増やすことが考えられる。
3. いずれの場合も予算手当が必要

## 【当面の対応案】

- 必要に応じ遺伝子治療研究開発に関する横断型のPS(プログラムスーパーバイザー)、PO(プログラムオフィサー)を新たに配置することも検討する。
- 関連課題を連携させるべく、担当部課が定期的に会議体を開いて情報共有し、新たな企画につなげる。

研究者同士の  
交流・連携  
を促す



# 参考

# AMEDにおける遺伝子治療研究開発 (基盤整備・基礎研究を含む)の現状 (未定稿)

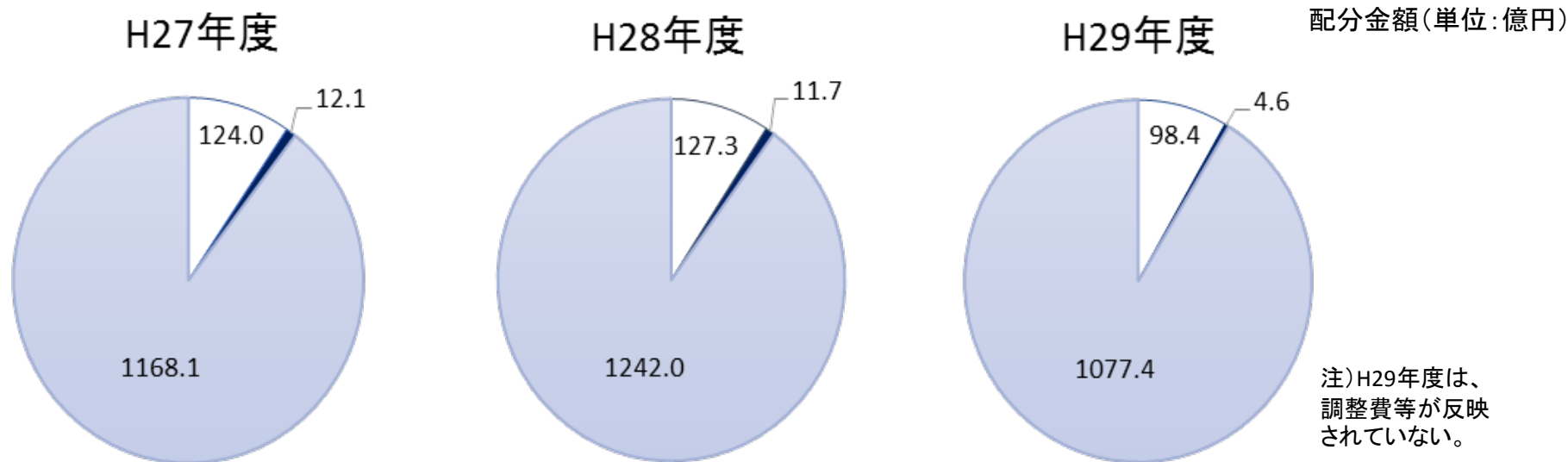
## 【方法】

- AMS(AMED研究開発課題管理システム)を用いて、次のキーワード(類義語を含む)を検索

遺伝子治療 or 遺伝子改変 or ゲノム編集 or ベクター or アデノ随伴ウイルス or AAV or センダイウイルス or SeV or アデノウイルス or レンチウイルス or レトロウイルス or ZFN or TALEN or CRISPR

- 上記の他、CAR-T、CAR遺伝子、TCR遺伝子、抗がんウイルス創薬等に関連する課題を追加し、ノイズを目検で除去

## 【結果】 AMED全課題に占める遺伝子治療関係(基盤整備・基礎研究を含む)の割合



□ 遺伝子治療関係(基盤整備・基礎研究を含み臨床試験・治験を除く)

■ 遺伝子治療関係(臨床試験・治験)

■ 上記以外

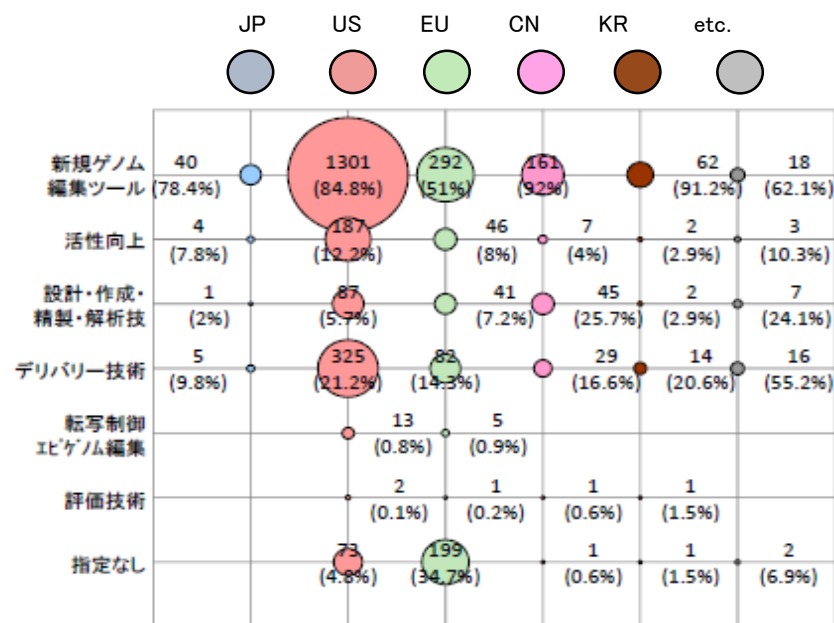
# 各国のゲノム編集・遺伝子治療の論文数と特許数

表1. 「ゲノム編集および遺伝子治療関連技術」の論文発表と特許出願状況

順位	国籍	論文発表件数	国籍	特許出願件数
1	米国	1,444	米国	1,535
2	中国	550	フランス	278
3	日本	302	中国	175
4	ドイツ	272	ドイツ	110
5	フランス	120	韓国	68
6	英国	120	英国	59
7	韓国	89	日本	51
8	カナダ	75	オランダ	50
9	オランダ	48	ペルギー	27
10	オーストラリア	48	スイス	17
11	デンマーク	40	デンマーク	12
12	スペイン	35	イスラエル	12
13	スイス	28	オーストラリア	8
14	インド	27	スペイン	8
15	シンガポール	27	リトアニア	7

論文発表件数で日本は世界3位であり、米国に大きく差があるものの基礎研究は充実している。しかし、特許出願件数で日本は世界7位にとどまっている。  
一方で、フランス、韓国では特許出願数が論文発表数に比して多い。

表2. 基盤技術領域別のゲノム編集・遺伝子治療特許数



遺伝子治療の臨床応用に必要な活性向上、デリバリー技術、ベクター設計や発現解析等の産業応用に関わる性能に関する特許は欧米で多い。

# 遺伝子治療の研究開発の推進における今後求められる対策 報告書とりまとめ方針に対するご提案

- 検討の経緯、スコープ、検討結果の活用について記載してはどうか。
- 遺伝子治療の研究開発の経緯と現状を記載してはどうか。
- 遺伝子治療の研究開発に関する政府としての考え方を明確に示してはどうか。

## 遺伝子治療の研究開発に関する基本的な考え方の整理

1. わが国としては、健康・医療戦略に基づき、稀少疾患・難病、がんなど、既存の技術では治療が困難な患者に治療を届けるための研究開発を進めていくことが必要
2. 国内で、臨床研究や治験が進まない状況を放置すれば、わが国の患者さんに不利益が生じる恐れ
3. 海外で研究開発が先行しているのは事実であるが、一方、国内アカデミアにも多くのシーズがあり、わが国独自の競争力のある技術を確保することも可能である。
4. 遺伝子治療においては、導入したベクターが生殖細胞に影響を及ぼさないことの科学的担保が必要となる等、特別な留意点があることに注意すべき
5. 遺伝子治療の基礎から臨床研究、実用化までの研究開発に対する支援を、政府として強化し、計画的に推進することが必要