

平成28年度  
特許出願技術動向調査報告書（概要）  
ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術

平成29年3月

特 許 庁

問い合わせ先  
特許庁総務部企画調査課 知財動向班  
電話：03-3581-1101（内線：2155）

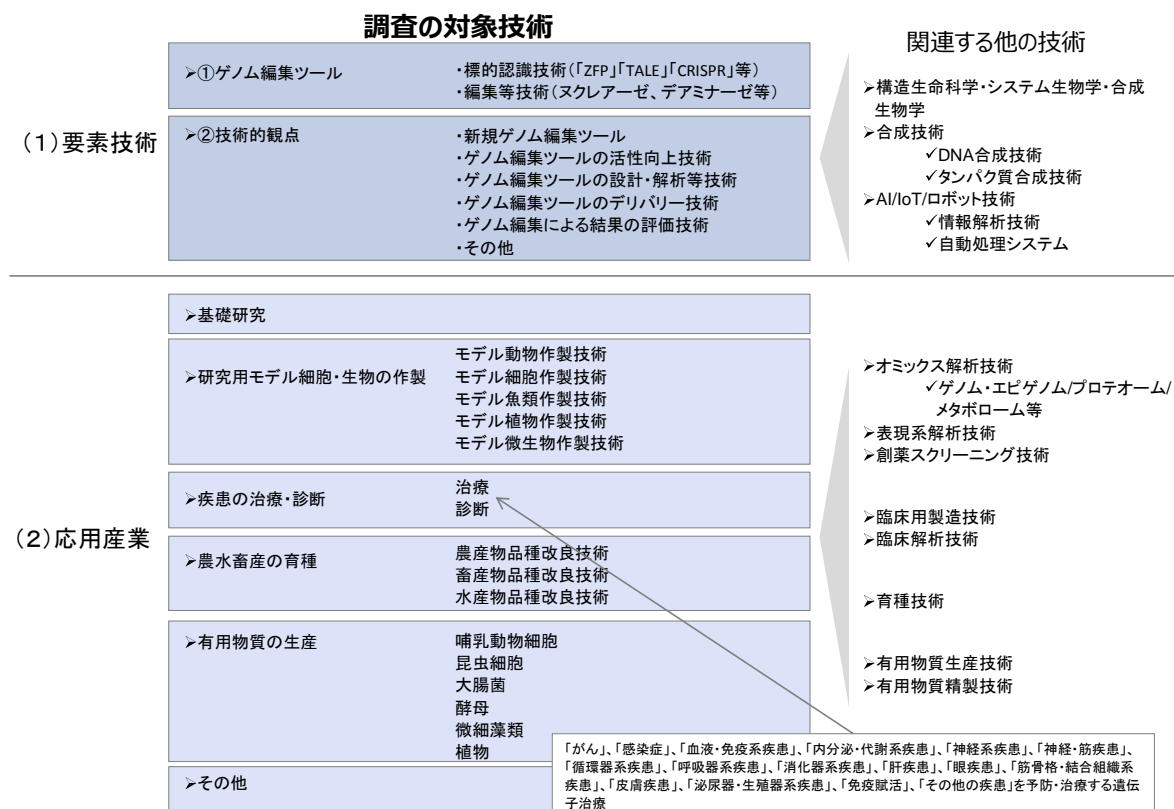
## 第1章 ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術の概要

ゲノム編集技術とは、ゲノム編集ツールを用いて生物のゲノムの標的配列を特異的に切断、挿入をおこなう技術であり、疾患の治療・診断や有用品種の育種など、多方面の産業に変革をもたらさうる基盤技術として近年注目を浴びている。ゲノム編集ツールの開発は、今まさに急速な発展を遂げており、1996年にZFN (Zinc Finger Nuclease) が開発され、その後2010年に標的認識性が高いTALEN (Transcription Activator-Like Effector Nuclease)<sup>1</sup>が、2013年にZFN、TALENよりも作製が容易なCRISPR (Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeat) /Cas9の開発がなされている。

ゲノム編集技術の応用分野の1つとして、遺伝子治療が挙げられる。遺伝子治療は、遺伝子を直接体内に投与し、または、遺伝子を導入した細胞を体内に投与し、疾患原因となる変異遺伝子を正常遺伝子に修復すること、または、正常遺伝子を補うことで疾患を治療する技術である。近年のゲノム編集技術の急速な発展により、変異遺伝子の簡便、効率的な修復が可能となったことに伴い、遺伝子治療の適用対象の拡大が期待されているところである。

ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術（以下ゲノム編集関連技術と称する）の技術俯瞰図を、図1に示す。本調査では、ゲノム編集ツールの開発技術を「要素技術」、ゲノム編集ツールが影響をもたらす各種産業を「応用産業」に区分し、調査の対象技術とした。

図1 ゲノム編集関連技術の技術俯瞰図



<sup>1</sup> TALEN は Collectis の登録商標である。以降は特に言及しない。

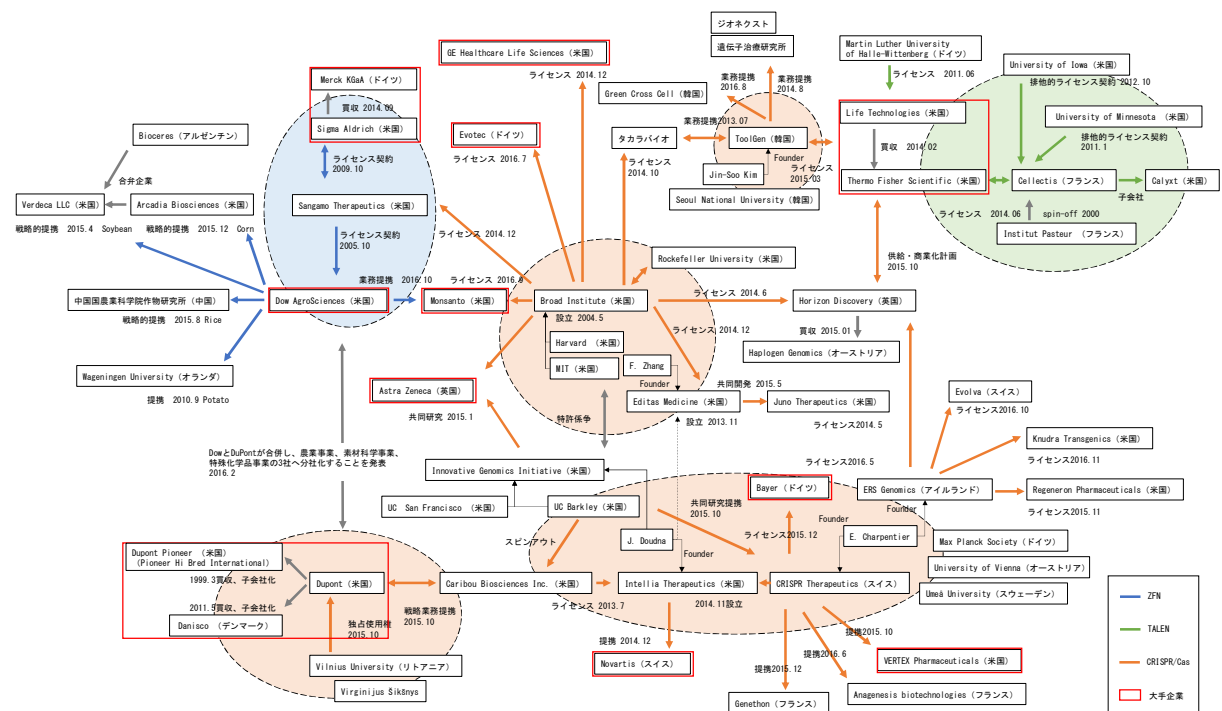
## 第2章 ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術の市場環境

ゲノム編集関連技術に対する研究開発活動は1990年代より実施されてきたが、1996年に報告されたZFN、2010年に報告されたTALEN、そして2013年に報告されたCRISPR/Casシステムにより、研究開発活動は活発化し、ようやく産業化への道筋が見えるようになってきている。

ゲノム編集関連技術の市場には、研究用試薬としてのゲノム編集ツールの他に、研究用モデル細胞・生物、疾患の治療・診断、農水畜産の育種、有用物質の生産などの応用産業での市場がある。現時点では、研究用試薬は非営利機関からの提供が主であり、かつ応用産業での普及は限定的であるため、市場はまだ形成されてはいない状況にある。

一方で、大学・研究機関、ゲノム編集ツール開発企業と応用産業分野で活躍する企業とのライセンス、コラボレーションライセンスやアライアンスは活発な状況にある（図2）。

図2 ゲノム編集関連技術に関する企業相関図



ゲノム編集関連技術は、各種のバイオテクノロジー研究の基盤となる技術である。経済協力開発機構（Organisation for Economic Co-operation and Development：OECD）によると、2030年の世界のバイオ関連市場は国内総生産（GDP）の2.7%に相当する約200兆円と予測されており、潜在的な市場は非常に大きなものと推測される<sup>1</sup>。バイオ医薬品産業の急速な発展やライフサイエンス研究分野におけるR&Dの活性化、政府によるゲノム関連研究への資金援助の増加、合成生物学への活用の増加、遺伝子組換え作物の生産量増加等に牽引され、大幅に成長すると期待されている。

<sup>1</sup> [www.meti.go.jp/committee/sankoushin/seizou/pdf/003\\_00\\_05\\_04.pdf](http://www.meti.go.jp/committee/sankoushin/seizou/pdf/003_00_05_04.pdf)（経済産業省）

### 第3章 ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術の政策動向

国内においてゲノム編集技術に関する科学技術政策は、内閣府/農林水産省、日本医療研究開発機構（AMED）、経済産業省/新エネルギー・産業技術総合開発機構（NEDO）等の管轄のもと、各種区分で横断的にプロジェクトが実施されている（表1）。また、米国、欧州、中国等においても、ゲノム編集関連技術には精力的に予算がつけられ、研究開発が行われている。

表1 ゲノム編集関連技術の主なプロジェクトの例

区分	管轄	政策・国家プロジェクト	実施年・予算
ゲノム編集ツール技術・周辺技術		新規 CRISPR/Cas システムセットの開発とその医療応用	2014 年度
		AMED 横断型革新的ゲノム編集・遺伝子治療加速化プロジェクト ①革新的なゲノム編集技術の開発・応用 新たなゲノム編集ツール作製	2016 年度 1.5 億円
遺伝子治療	日本医療研究開発機構	AMED 横断型革新的ゲノム編集・遺伝子治療加速化プロジェクト ②新たな遺伝子治療法等の開発加速・充実 ③遺伝子治療開発の基盤整備	2016 年度 7.3 億円
		AMED「医薬品等規制調和・評価研究事業」ゲノム編集を利用した遺伝子治療用製品の安全性評価に関する研究	2016 年度～2018 年度年間 0.3 億円
研究開発用モデル細胞・生物	内閣府科学技術・学術審議会研究計画・評価分科会 ライフサイエンス委員会 幹細胞・再生医学戦略作業部会	AMED 横断型革新的ゲノム編集・遺伝子治療加速化プロジェクト ①革新的なゲノム編集技術の開発・応用 新技術を用いた疾患モデルマウスや多系統ノックアウトマウスの作製	2016 年度 1.8 億円
		iPS 細胞研究ロードマップ（4）疾患研究・創薬のための疾患特異的 iPS 細胞の作製・評価・バンク構築	—
有用物質の生産	経済産業省	「革新的バイオマテリアル実現のための高機能化ゲノムデザイン技術開発」	2012 年度～2016 年度 総予算額 18.2 億円
	新エネルギー・産業技術総合開発機構	「植物等の生物を用いた高機能品産技術開発」	2016 年度～2020 年度 総予算額 86 億円 （予定）
農水畜産の育種	内閣府/農林水産省	「次世代農林水産業創造技術」（アグリイノベーション創出） 画期的な商品の提供を実現する新たな育種・植物保護技術 新たな育種体系の確立 i) 新たな育種技術（NBT）の改良・開発 ii) オミクス解析技術等の育種への応用 iii) ゲノム編集技術等を用いた画期的な農水産物の開発	2014 年度～2018 年度 2014 年度 8.5 億円 2015 年度 8.075 億円
—	文部科学省	「研究大学強化促進事業」 広島大学研究拠点（自立ステージ） ゲノム編集研究拠点	2013 年度

規制については、各国共に現在、ゲノム編集関連技術に特化した規制やガイドラインはまだ制定されていない状況にあるが、遺伝子治療や育種等、ゲノム編集関連技術の出口となる各応用産業の観点からの規制の対象となる可能性がある。また、ゲノム編集関連技術によって外来遺伝子が残存するものはバイオセーフティ上の「遺伝子組換え生物」として、カルタヘナ議定書等に基づく規制の適応対象となりうる。一方で外来遺伝子が残存しない自然突然変異と同等の遺伝子改変を行うことも原理的に可能であり、その場合、「遺伝子組換え生物」と同様の規制対象とするのか、また、どのように手法（プロセス）や製品（プロダクト）で管理すべきなのか世界的な見解の統一はなされていない状況にある。

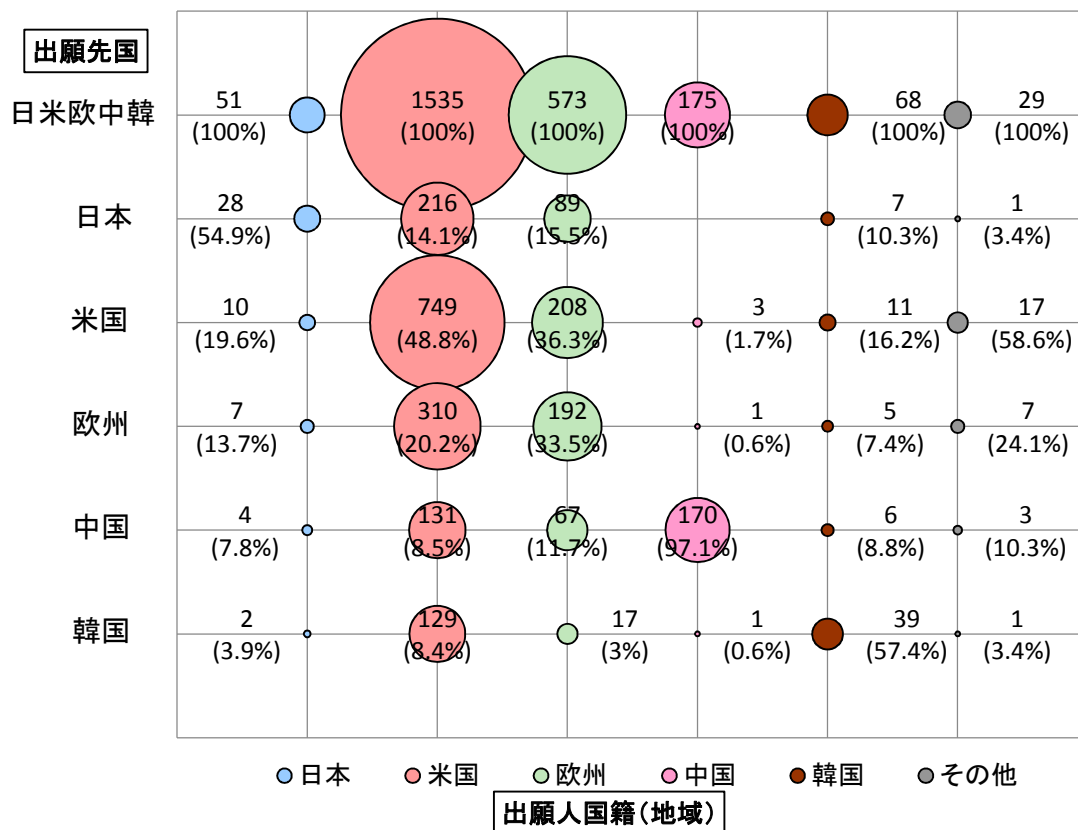
## 第4章 ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術の特許動向

「ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術」に関する出願を抽出するために、国際特許分類、ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術に関するキーワード等を組み合わせて検索を行い、特許公報により「ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術」に関する出願かどうかを判断し、技術分類を付与した。

### 第1節 全体動向

出願先国別一出願人国籍別の出願件数及び比率を図3に示す。

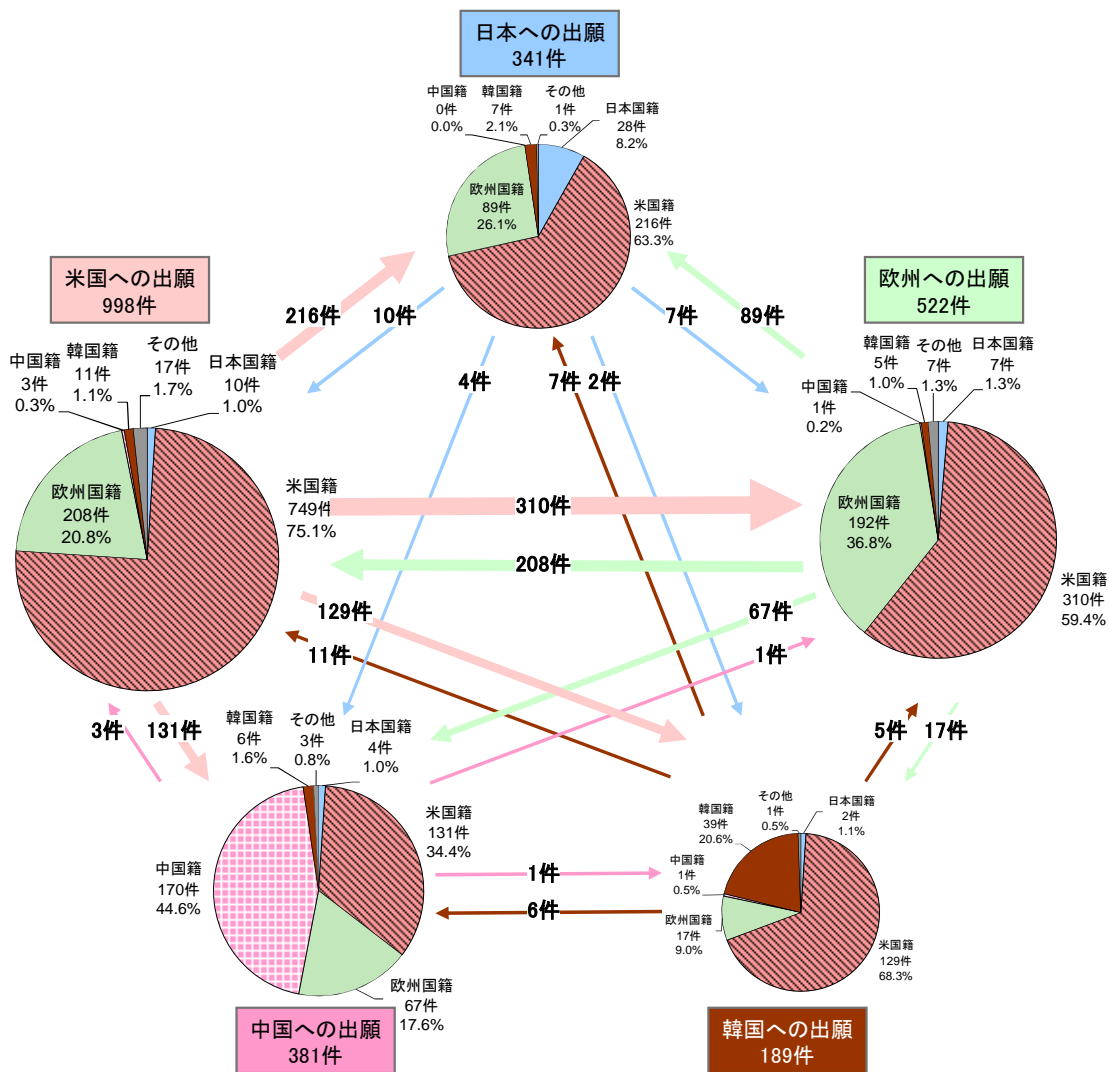
図3 出願先国別一出願人国籍別出願件数及び比率  
(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年): 1993~2014年)



日米韓国籍出願人は、約50%が本国への出願となっている。それに対し欧州国籍出願人は、米国に対する出願比率が約36%、欧州に対する出願比率が約34%とほぼ同様な数値となっている。中国籍出願人は、日米欧韓国籍出願人とは異なり本国への出願が約97%となっている。

日米欧中韓への出願の出願先国別一出願人国籍別の出願件数収支を図4に示す。円の大きさ、線の太さは件数に比例して表示してある。

図4 出願先国別一出願人国籍別出願件数収支  
(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年): 1993~2014年)



米国籍出願人は、自国出願以外にも日本、欧州、韓国への出願において最大のシェアを占めている。中国籍出願人は、日米欧韓国籍出願人に比べると、外国出願件数が少ない。

「ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術」の出願人国籍別の出願状況を日米欧中韓への出願の公報単位での合計数で解析を行った（表2）。出願年（優先権主張年）：1993～2014年で、出願件数合計は、2,431件である。

表2 出願人国籍別出願件数

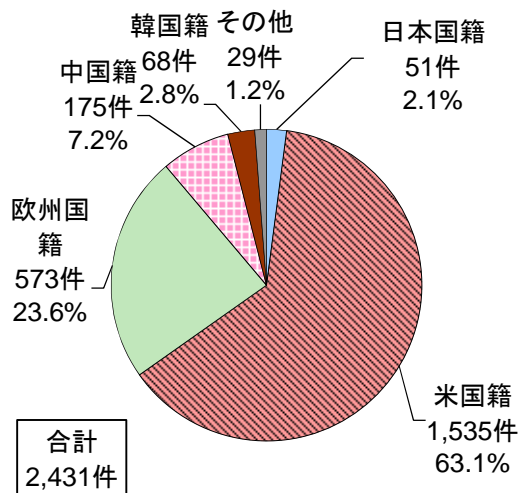
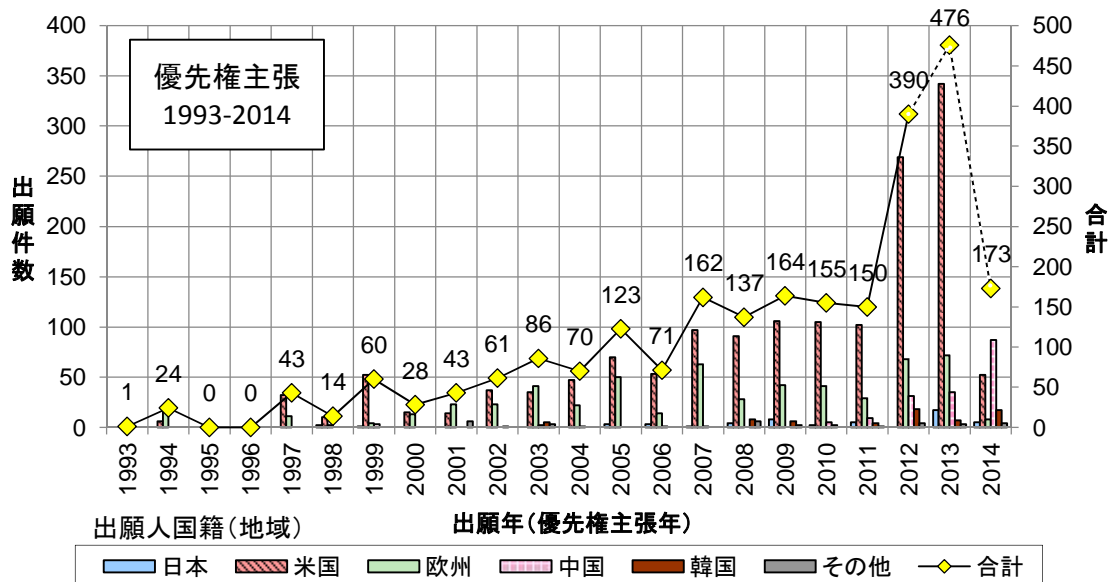
（日米欧中韓への出願、出願年（優先権主張年）：1993～2014年）

出願人国籍	国・地域	出願件数
米国	米国	1,535
フランス	欧州	278
中国	中国	175
ドイツ	欧州	110
韓国	韓国	68
英国	欧州	59
日本	日本	51
オランダ	欧州	50
ベルギー	欧州	27
スイス	欧州	17
デンマーク	欧州	12
イスラエル	その他	12
オーストラリア	その他	8
スペイン	欧州	8
リトアニア	欧州	7
イタリア	欧州	3
シンガポール	その他	3
南アフリカ共和国	その他	3
カナダ	その他	2
ハンガリー	欧州	2
ブラジル	その他	1
合計		2,431

米国籍出願人が1,535件で約63%を占めている。次いでフランス、中国、ドイツ、韓国、英国、日本国籍出願人が続いている。

出願人国籍別の出願件数推移及び出願件数比率を図5に示す。

図5 出願人国籍別出願件数推移及び出願件数比率  
 (日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年)：1993～2014年)



注：2013年以降はデータベース収録の遅れ、PCT出願の各国移行のずれ等で、全データを反映していない可能性がある。

出願件数合計の国籍別出願件数シェアでは、米国籍出願人が約63%、欧州国籍出願人が約24%、次いで中国籍出願人(約7%)、韓国籍出願人(約3%)、日本国籍出願人(約2%)の順である。そのために、出願件数推移も米国籍出願件数と連動した推移となっている。

次に、「ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術」の出願人国籍別の出願状況を日米欧中韓へのファミリー出願の合計数で解析を行った(表3)。出願年(優先権主張年):1993~2014年で、ファミリー件数合計は、910件である。

表3 出願人国籍別ファミリー件数

(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年):1993~2014年)

出願人国籍	国・地域	出願件数
米国	米国	496
中国	中国	171
フランス	欧州	76
ドイツ	欧州	38
韓国	韓国	33
日本	日本	30
英国	欧州	16
オランダ	欧州	9
ベルギー	欧州	8
スイス	欧州	6
イスラエル	その他	5
デンマーク	欧州	4
スペイン	欧州	4
オーストラリア	その他	3
イタリア	欧州	3
シンガポール	その他	2
リトアニア	欧州	2
ブラジル	その他	1
南アフリカ共和国	その他	1
ハンガリー	欧州	1
カナダ	その他	1
合計		910

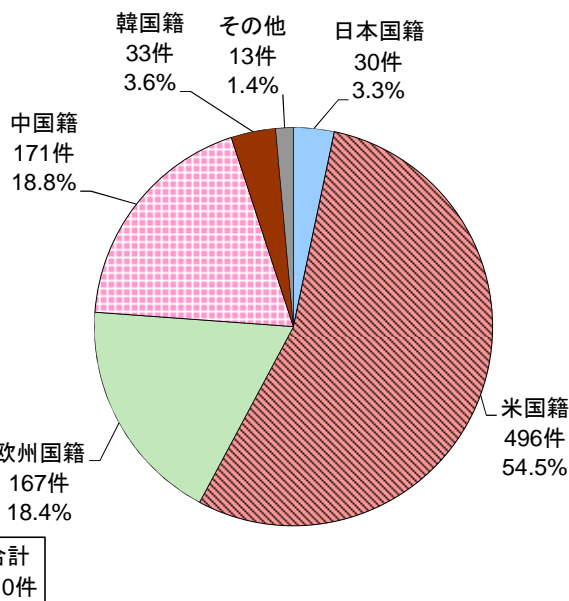
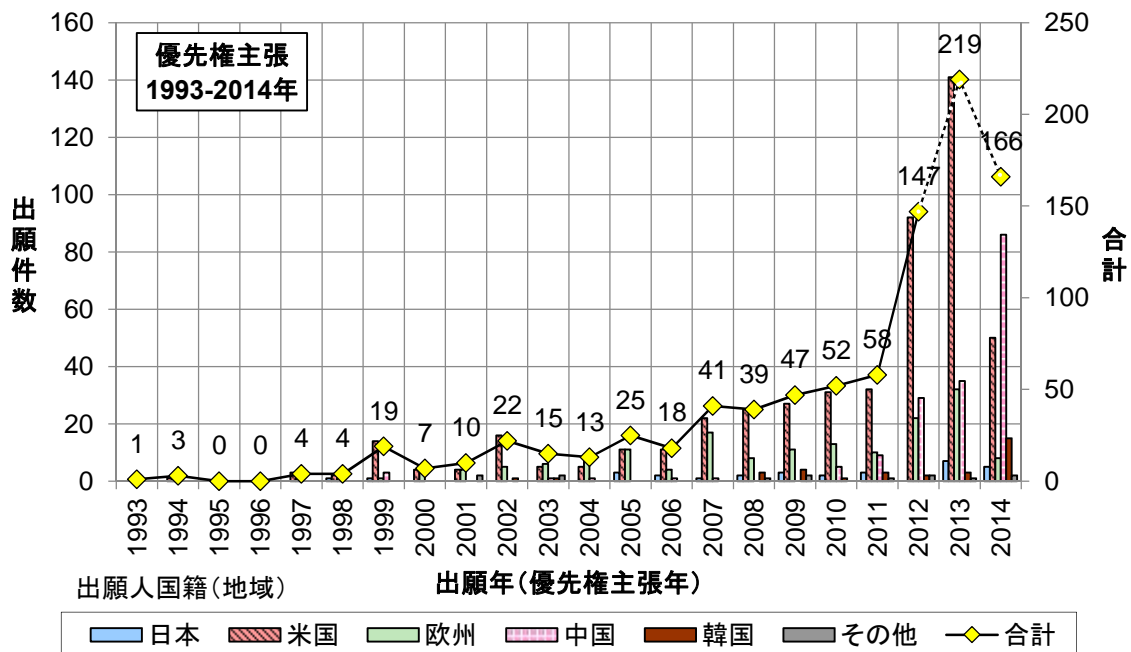
米国籍出願人が496件で約55%を占めている。次いで中国、フランス、ドイツ、韓国、日本、英国籍出願人が続いている。

国籍別ファミリー件数と前述の国籍別出願件数(表2)とを対比すると1位は、米国籍出願人でともに同じ順位構成となっているが、2位が異なる。出願件数で2位は、フランス国籍出願人であるが、ファミリー件数では中国籍出願人となっている。

これは、中国においては外国出願よりも自国への出願が多いことを示している。

出願人国籍別のファミリー件数推移及びファミリー件数比率を図6に示す。

図6 出願人国籍別ファミリー件数推移及びファミリー件数比率  
 (日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年)：1993～2014年)



注：2013年以降はデータベース収録の遅れ、PCT出願の各国移行のずれ等で、全データを反映していない可能性がある。

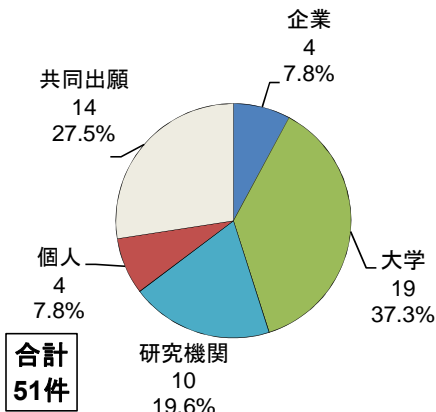
出願人国籍別のファミリー件数シェアでは、米国籍出願人が約55%、中国籍出願人が約19%、ついで欧州国籍出願人(約18%)、韓国籍出願人(約4%)日本国籍出願人(約3%)、の順である。

日米欧中韓への出願における出願人国籍別一出願人属性別出願件数及び比率を図7に示す。

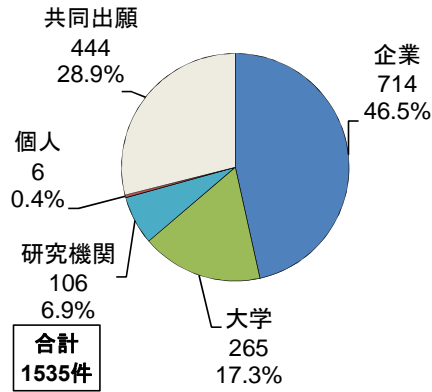
図7 出願人国籍別一出願人属性別出願件数及び比率

(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年): 1993~2014年)

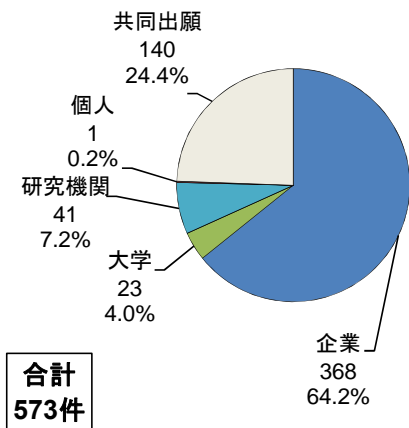
a. 日本国籍出願人



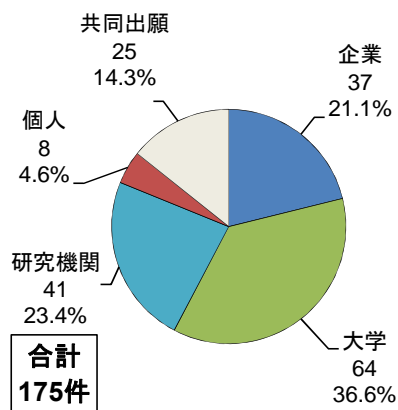
b. 米国籍出願人



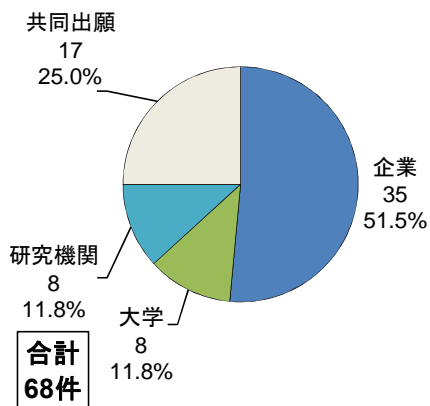
c. 欧州国籍出願人



d. 中国籍出願人



e. 韓国籍出願人



日米欧中韓への出願における出願人国籍別－出願人属性別出願件数の内訳を表4に示す。

出願人の属性は「企業」、「大学」、「研究機関」（大学以外の研究機関）、「個人」、これらの「共同出願」とし、共同出願の内訳も示した。内訳で「企」は企業、「大」は大学、「研」は研究機関、「個」は個人を表す。

表4 出願人国籍別－出願人属性別出願件数の内訳

共同出願詳細	日本国籍 出願人	米国籍 出願人	欧州国籍 出願人	中国籍 出願人	韓国籍 出願人
企－企	0	144	50	10	2
企－大	0	60	11	2	0
企－研	0	27	28	0	6
企－個	0	0	0	0	0
大－大	10	54	5	8	5
大－研	2	93	16	1	3
大－個	0	0	0	0	0
研－研	1	30	4	1	1
研－個	0	0	0	0	0
個－個	1	30	26	3	0
企－研－個	0	0	0	0	0
大－研－個	0	0	0	0	0
企－大－研	0	6	0	0	0
企－大－個	0	0	0	0	0
企－大－研－個	0	0	0	0	0
合計	14	444	140	25	17
共同出願比率	27.5%	28.9%	24.5%	14.3%	25.0%

出願人属性を比較すると、米国籍、欧州国籍、韓国籍出願人では、企業単独での出願がそれぞれ約47%、約64%、約52%となっており、企業が出願の中心となっている。それに対して、日本国籍及び中国籍出願人では、大学単独によるものがともに約37%で、企業よりも大学が出願の中心を占めている。

特に、日本国籍出願人の企業からの出願は、約8%しかなく日米欧中韓国籍出願人の中で最も少ない出願比率となっている。共同出願の内訳では、米国籍、欧州国籍、中国籍出願人においては、「企業－企業」が最も多くなっている。それに対し、日本国籍出願人では「大学－大学」が最も多くなっており、他の国籍出願人と異なる傾向を示している。

注： a.～e. について、2013年以降はデータベース収録の遅れ、PCT出願の各国移行のずれ等で、全データを反映していない可能性がある。

## 第2節 技術区分別動向調査

日米欧中韓への技術区分別出願・ファミリー件数推移を図8に示す。

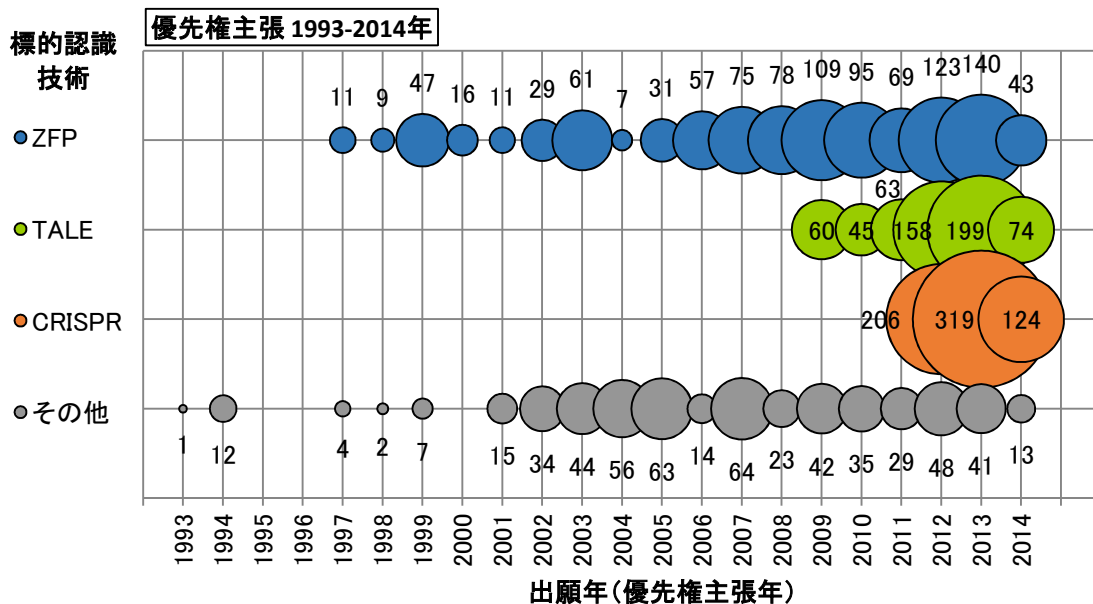
図8 技術区分別出願件数推移

(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年)：1993～2014年)

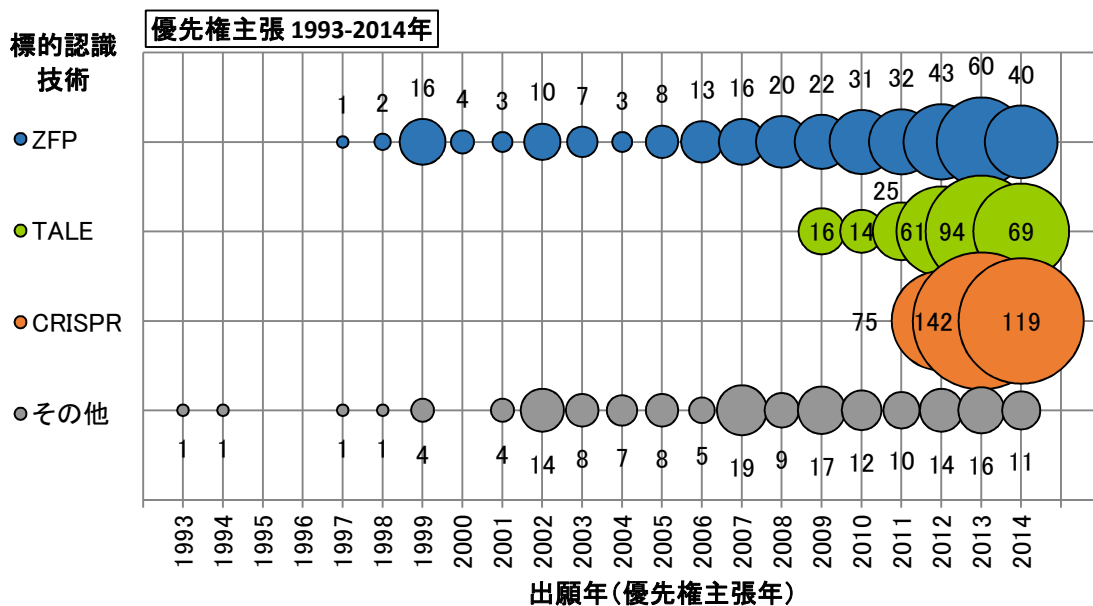
### 1) 要素技術

#### a. ゲノム編集技術ツール(標的認識技術)

##### a-1) 出願件数

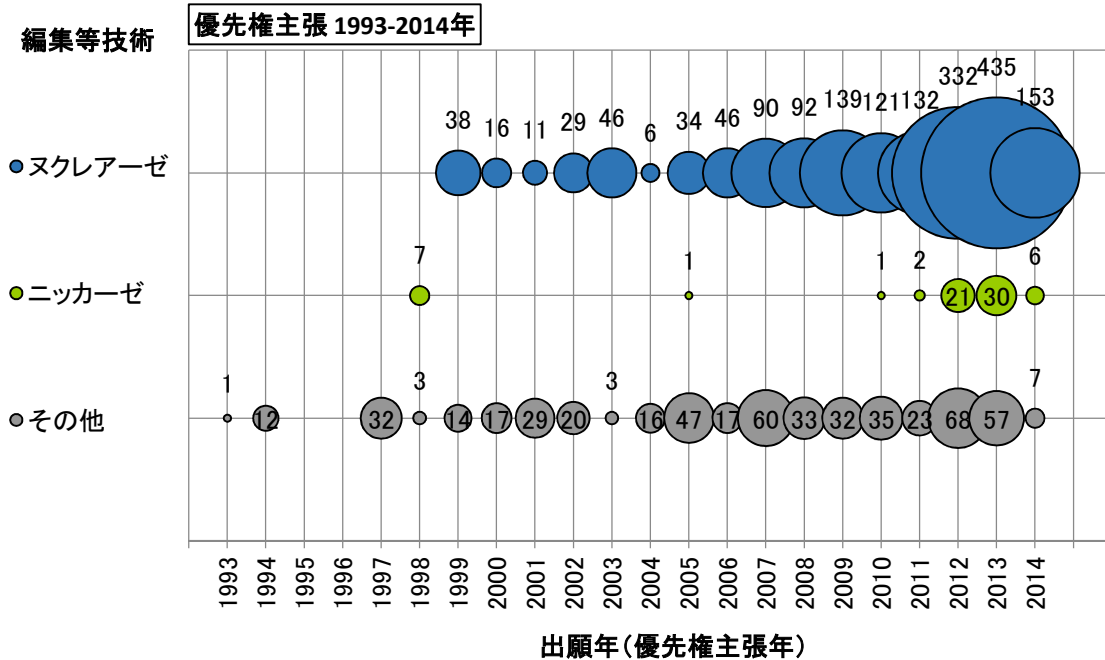


##### a-2) ファミリー件数

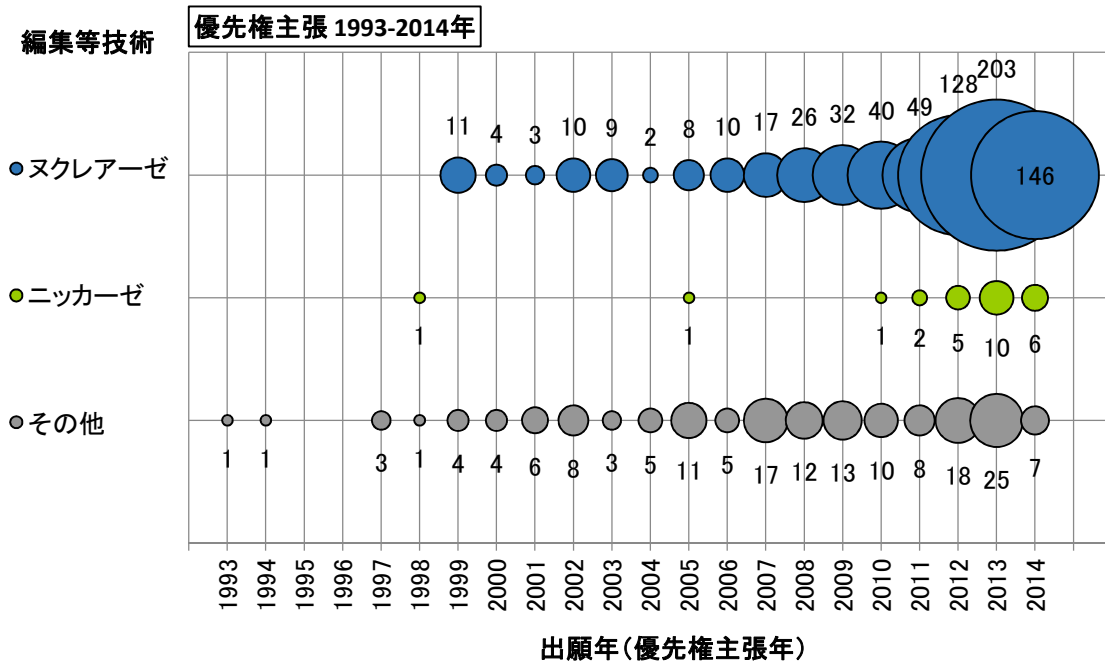


b. ゲノム編集技術ツール（編集等技術）

b-1) 出願件数



b-2) ファミリー件数



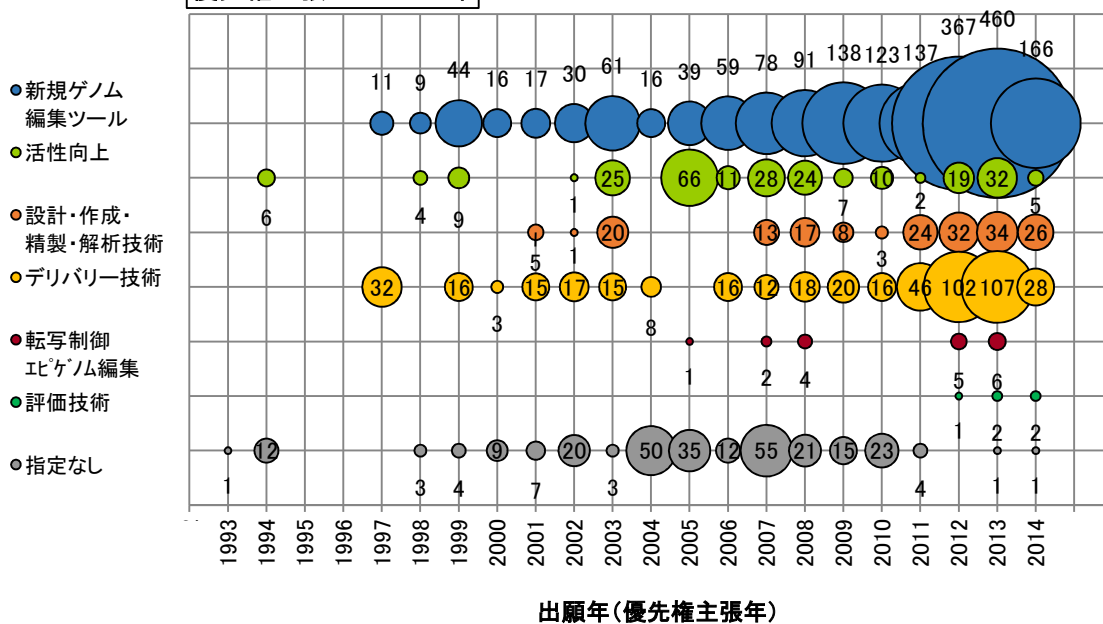
技術区分別出願件数推移では、ゲノム編集技術ツールの標的認識技術において、「ZFP」が 1997 年から現在まで一定数出願されており、2009 年から「TALE」、次いで「CRISPR」が出願件数を伸ばしている。編集等技術では、「ヌクレアーゼ」が最も多くなっている。

c. 技術的観点

c-1) 出願件数

技術的観点

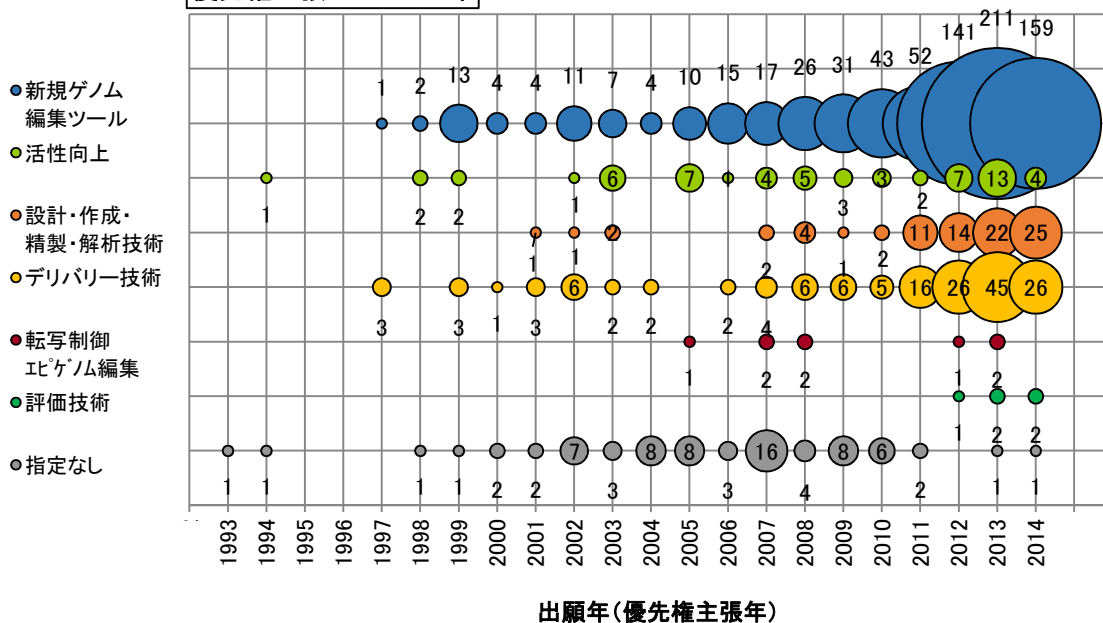
優先権主張 1993-2014年



c-2) ファミリー件数

技術的観点

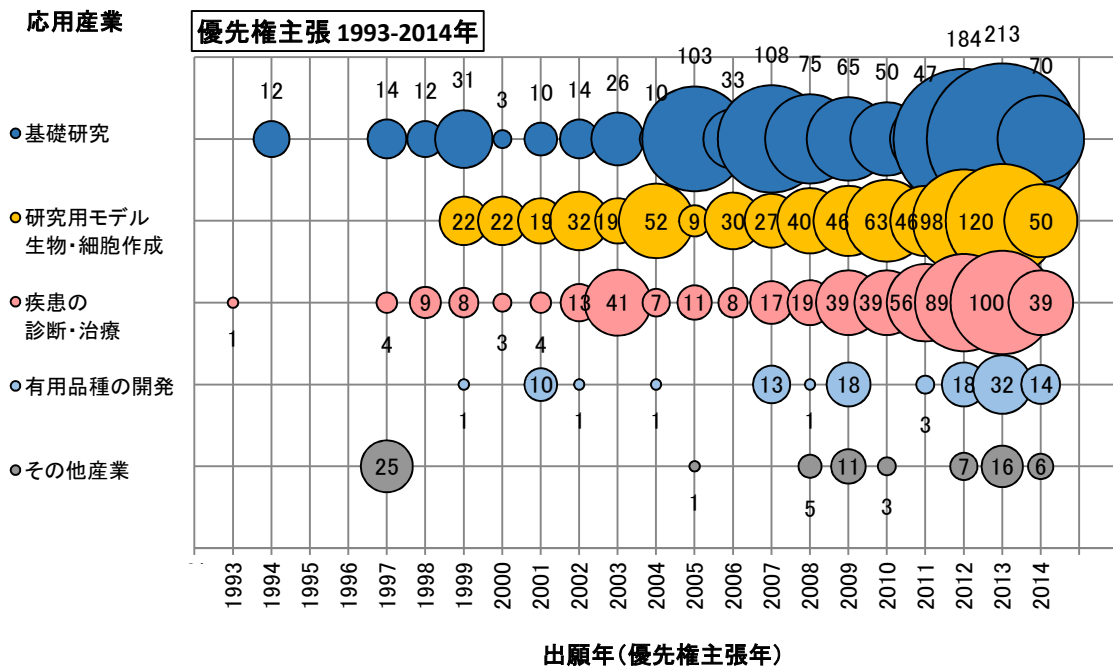
優先権主張 1993-2014年



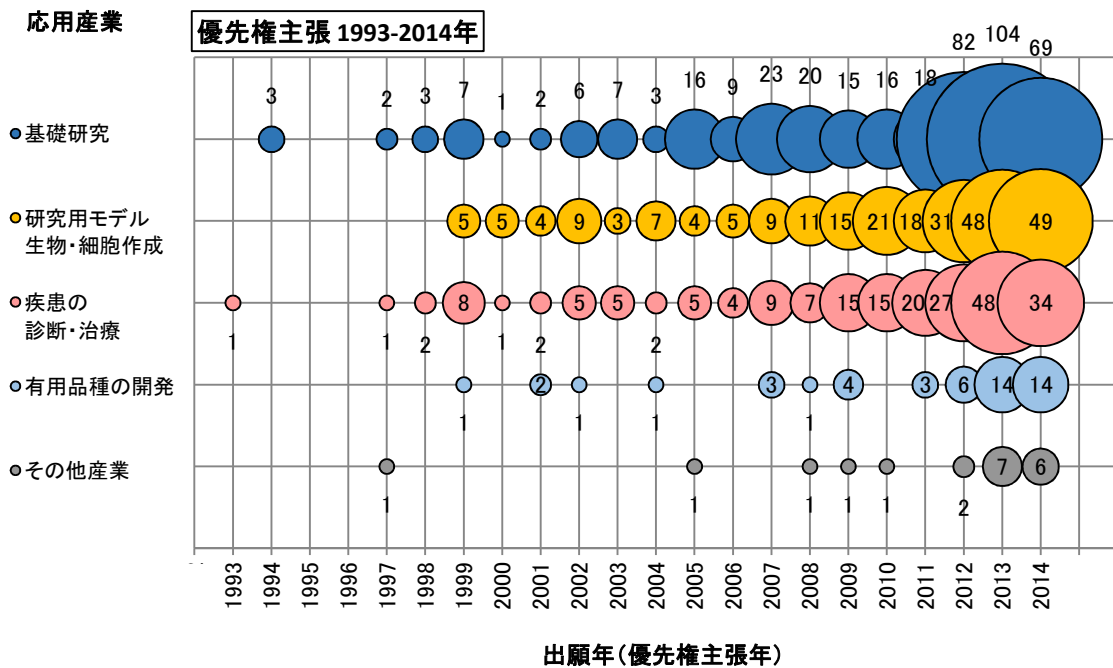
技術的観点の出願件数推移では、「新規ゲノム編集ツール」が「TALE」、「CRISPR」の出願件数推移と同期して大きく増加している。

2) 応用産業

2-1) 出願件数



2-2) ファミリー件数



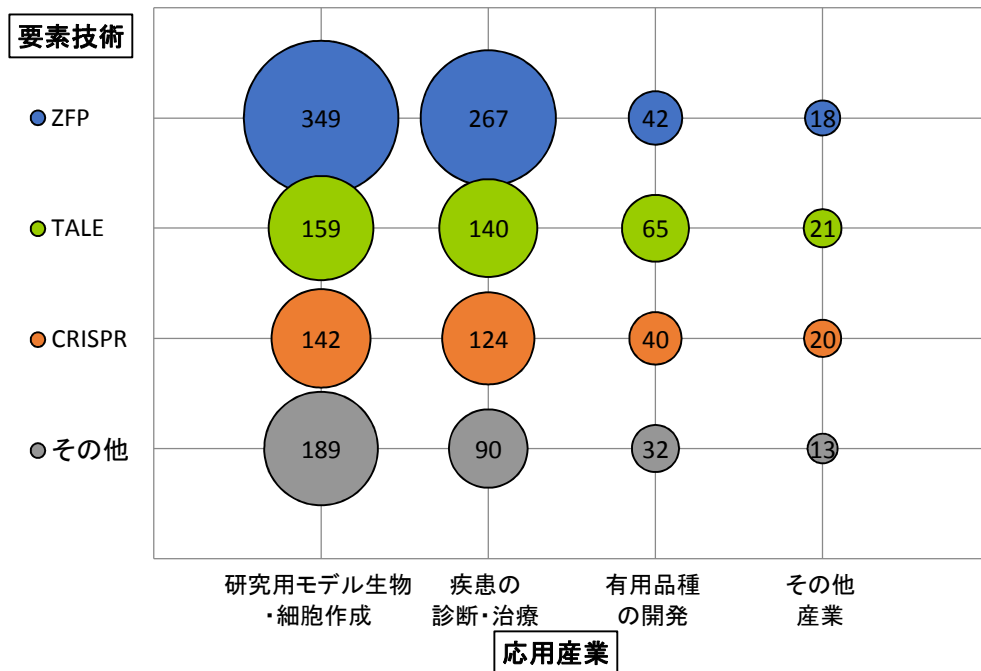
応用産業の出願件数推移では、「基礎研究」が最も多く、次いで「研究用モデル生物・細胞作成」、「疾患の診断・治療」、「有用品種の開発」となっている。

注：1)、2) について、2013年以降はデータベース収録の遅れ、PCT出願の各国移行のずれ等で、全データを反映していない可能性がある。

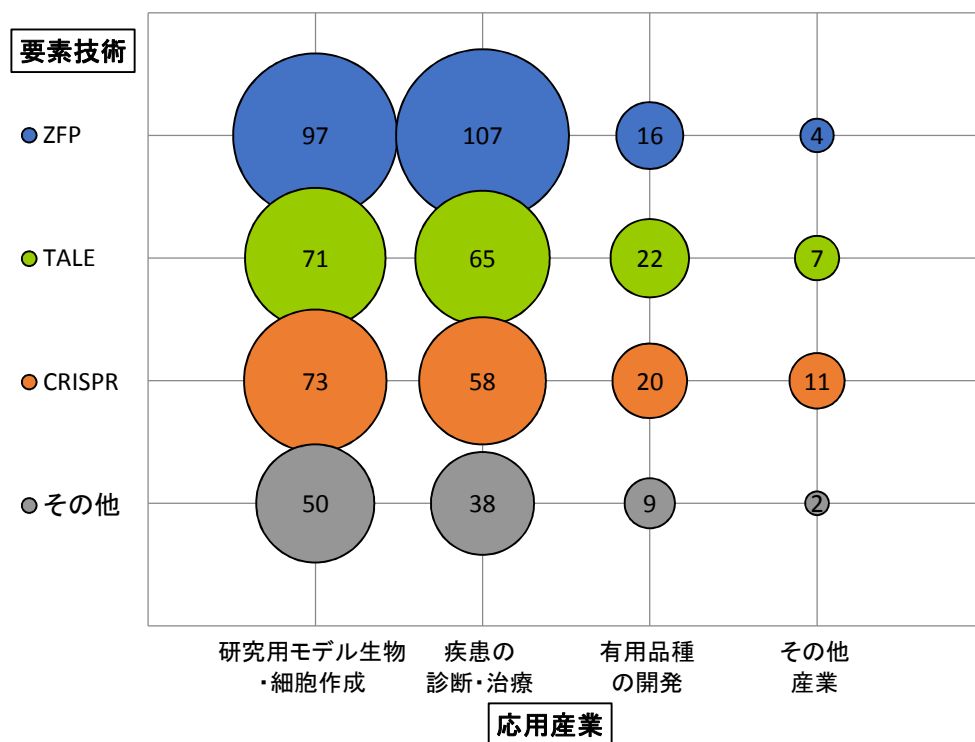
日米欧中韓への技術区分（要素技術（標的認識技術）—応用産業）別出願・ファミリー件数についてのクロス集計を図9に示す。

図9 技術区分（要素技術（標的認識技術）—応用産業）別出願件数  
（日米欧中韓への出願、出願年（優先権主張年）：1993～2014年）

1) 出願件数



2) ファミリー件数



日米欧中韓への技術区分別一出願人国籍別出願・ファミリー件数及び比率を図10に示す。

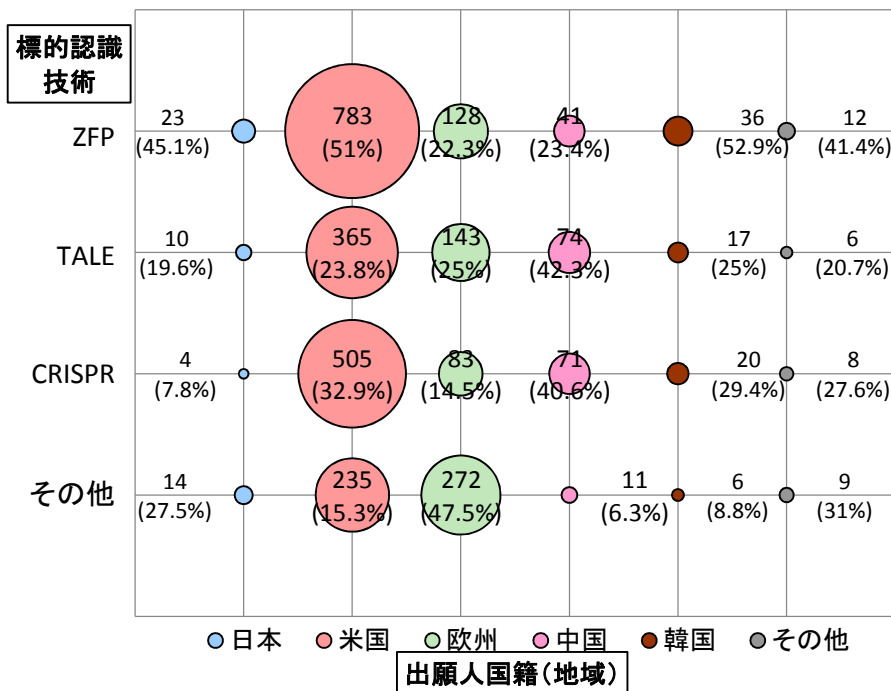
図 10 技術区分別一出願人国籍別出願件数及び比率

(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年)：1993～2014年)

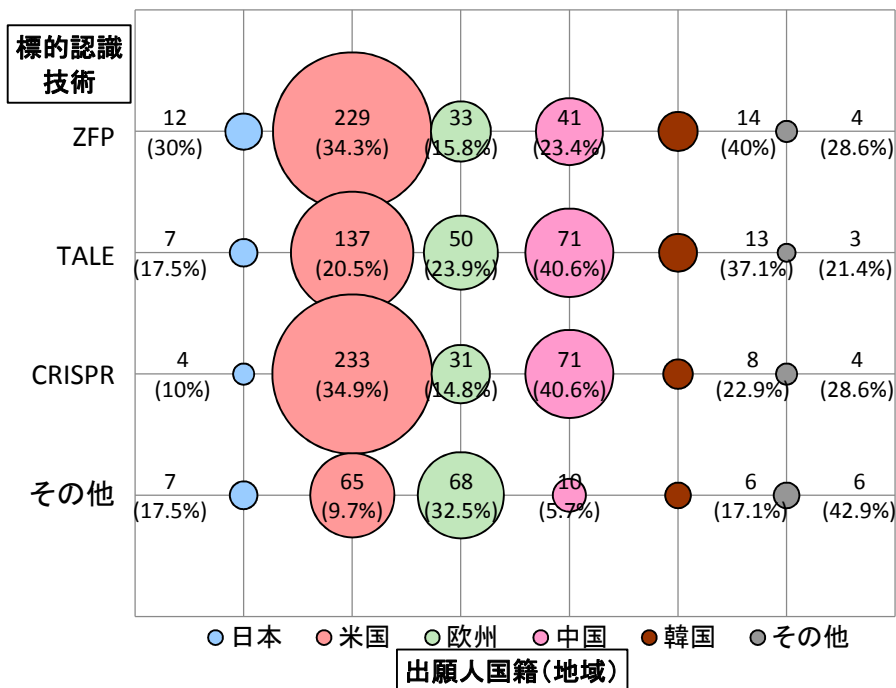
1) 要素技術

a. ゲノム編集技術ツール(標的認識技術)

a-1) 出願件数

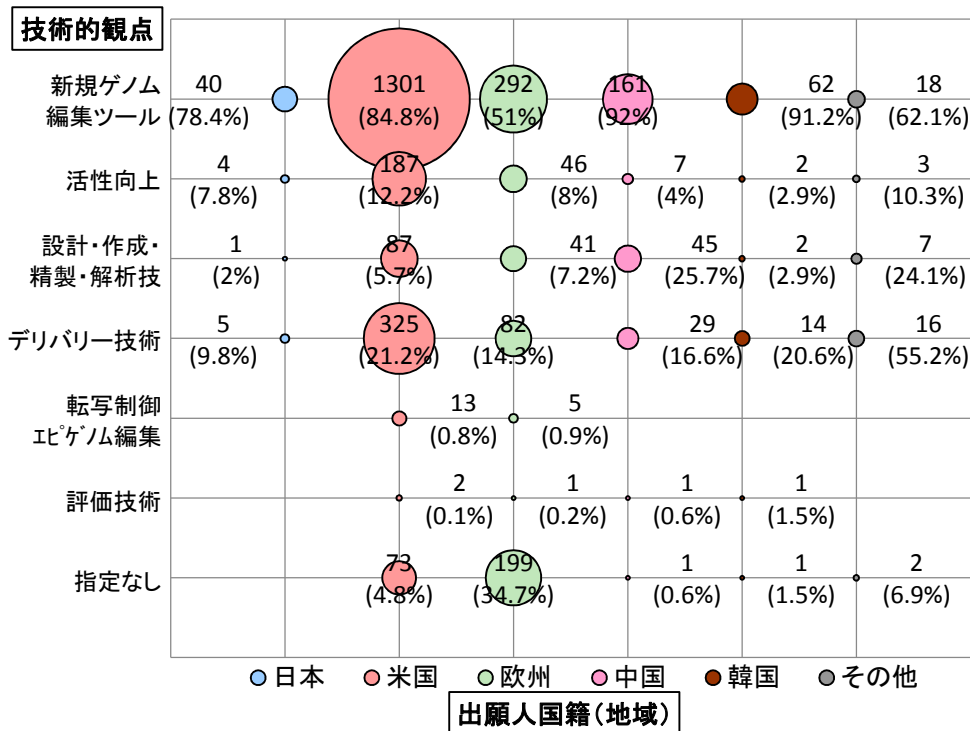


a-2) ファミリー件数

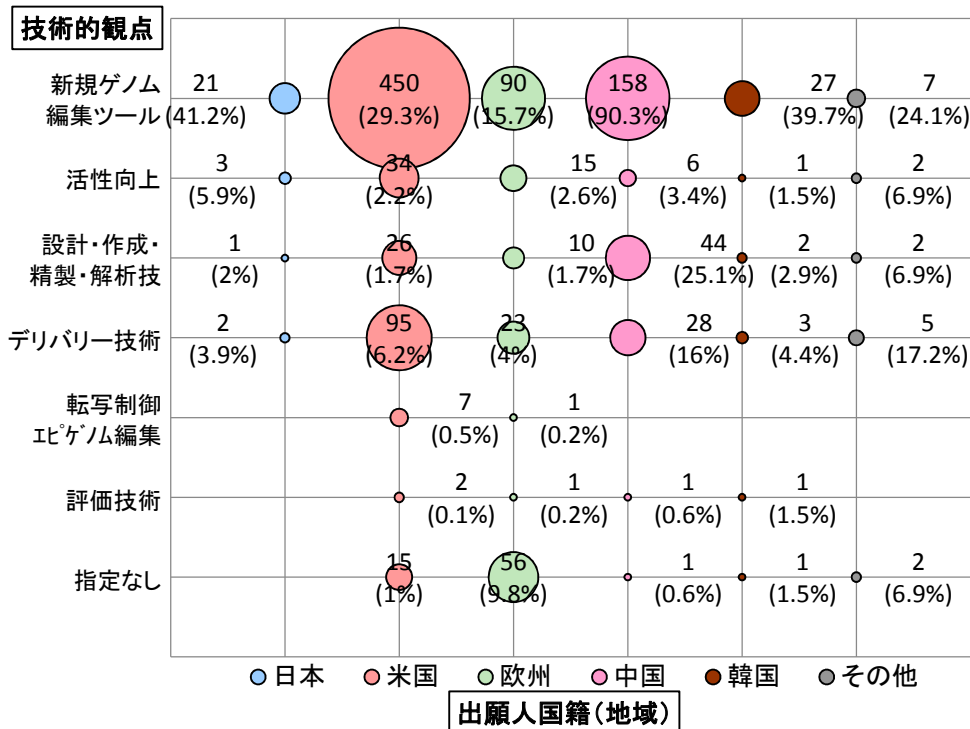


b. 技術的観点

b-1) 出願件数

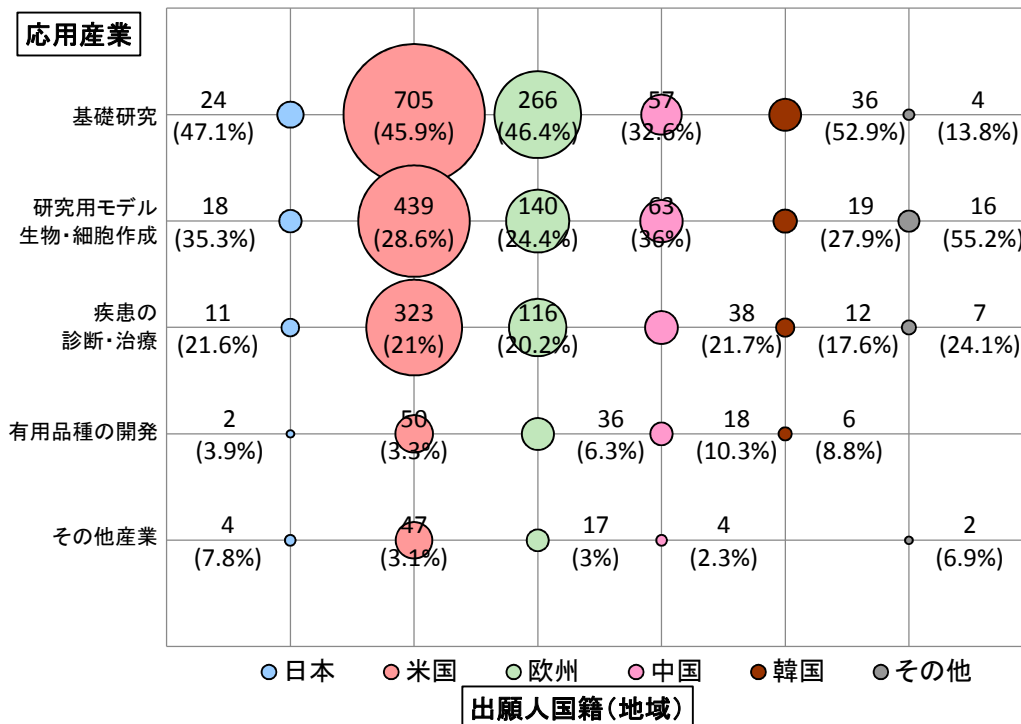


b-2) ファミリー件数

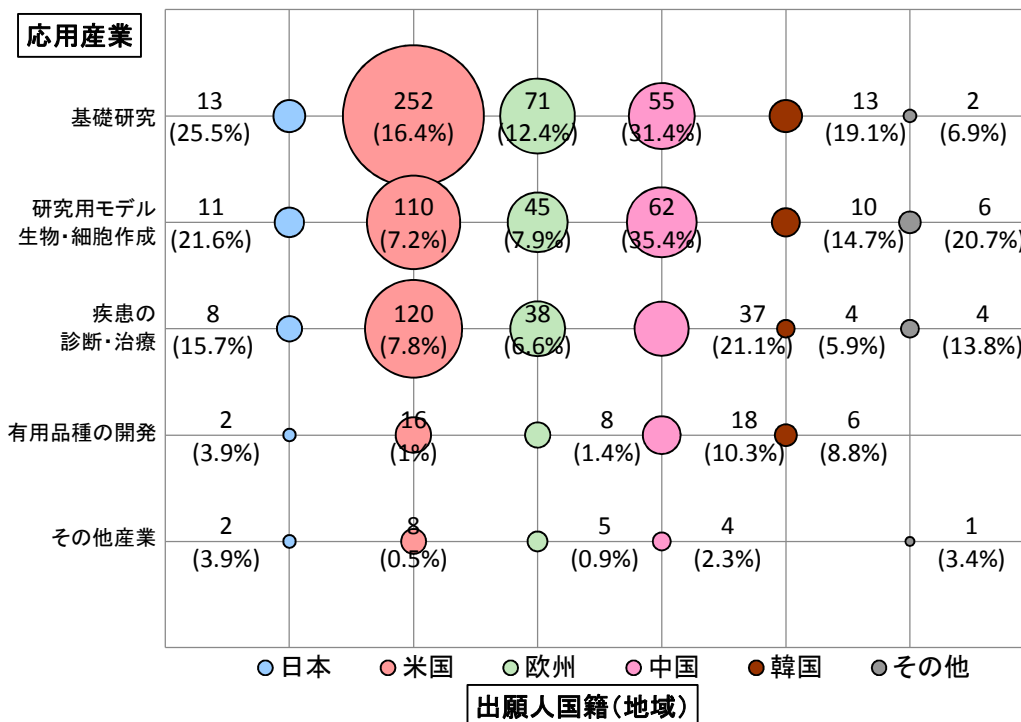


2) 応用産業

2-1) 出願件数



2-2) ファミリー件数



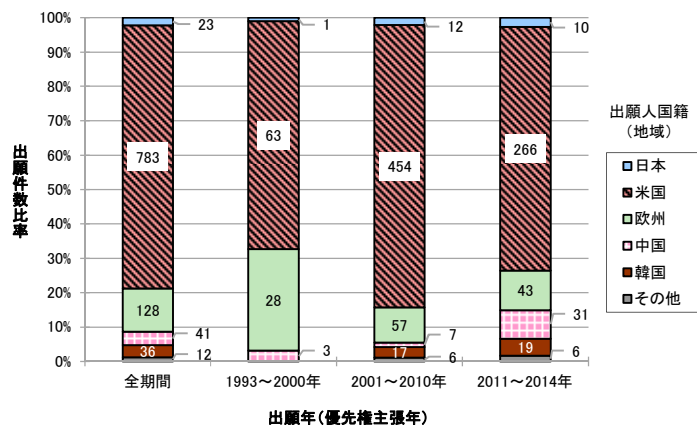
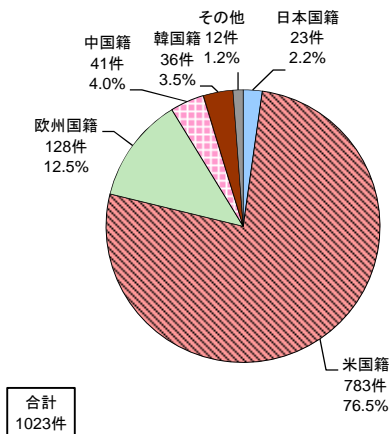
「要素技術」、「応用産業」に関する出願人国籍別出願・ファミリー一件数比率と出願・ファミリー一件数推移  
ファミリー一件数推移をそれぞれ図11に示す。

図 11 出願人国籍別出願・ファミリー一件数比率と出願・ファミリー一件数推移  
(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年)：1993～2014年)

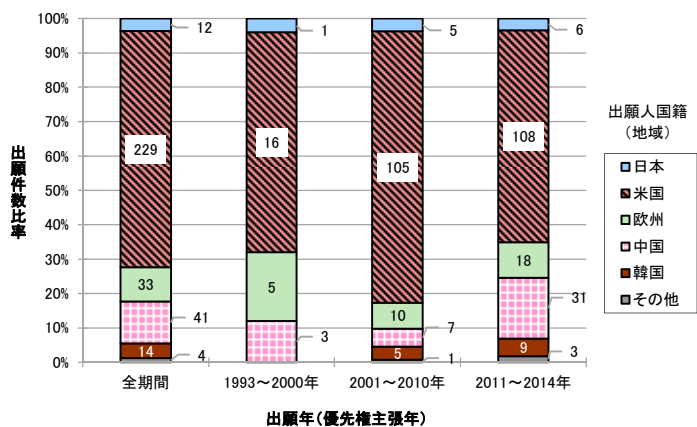
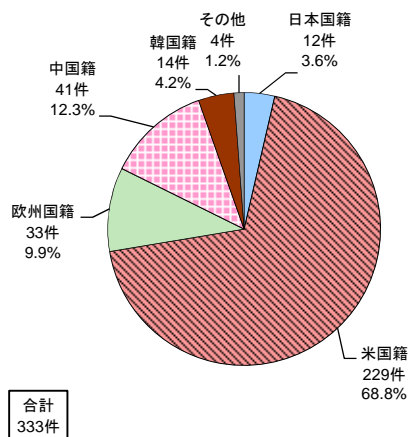
1) 要素技術

a. ゲノム編集技術ツール(標的認識技術)「ZFP」

a-1) 出願件数



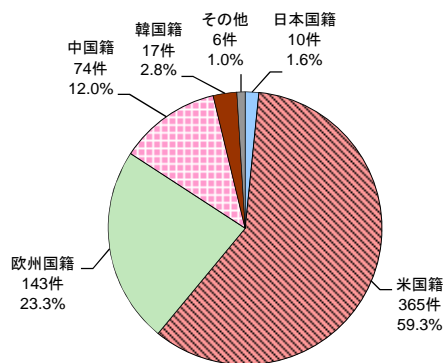
a-2) ファミリー一件数



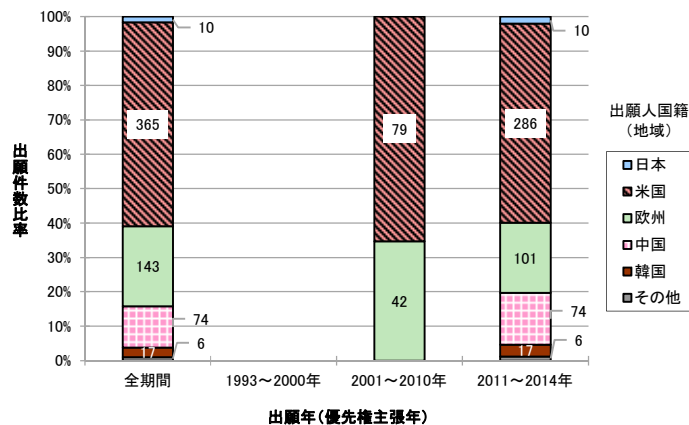
ゲノム編集技術ツールの標的認識技術において「ZFP」の国籍別件数比率では、米国籍出願人の出願件数が最も多く、次いで欧州、中国、韓国、日本国籍出願人となっている。  
ファミリー一件数では、米国籍出願人が同じく最多で、次いで中国籍出願人となっている。

b. ゲノム編集技術ツール（標的認識技術）「TALE」

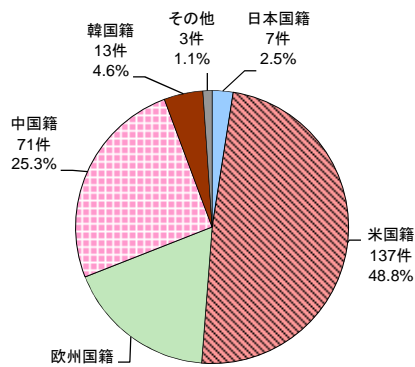
b-1) 出願件数



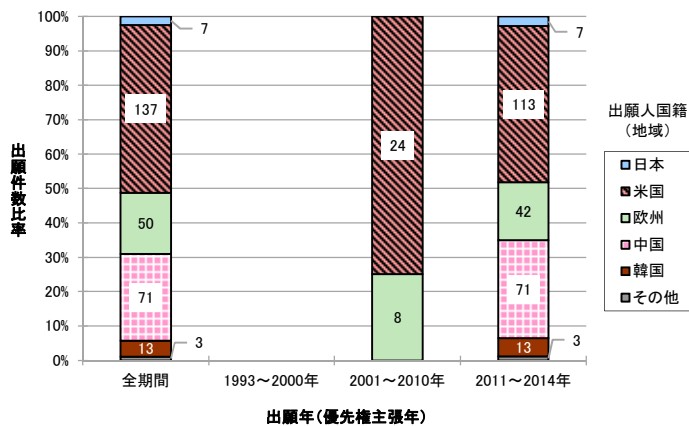
合計  
615件



b-2) ファミリー件数



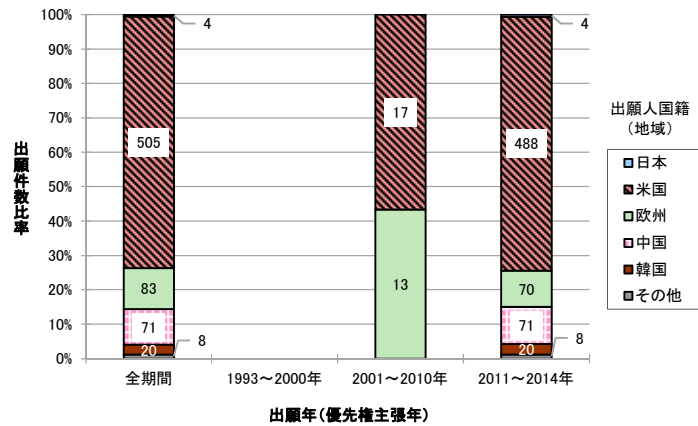
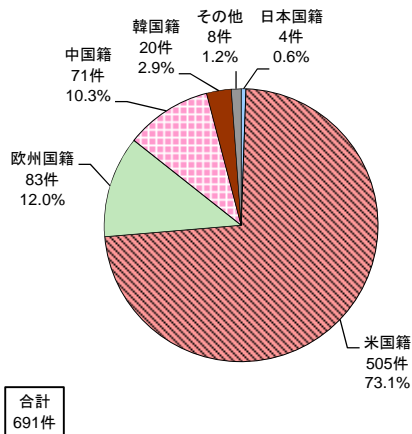
合計  
281件



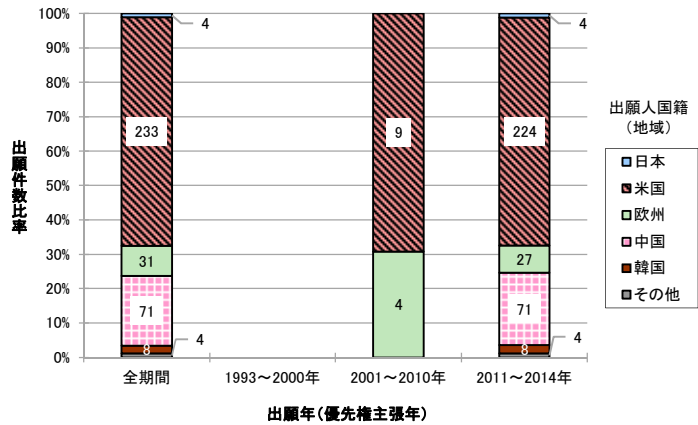
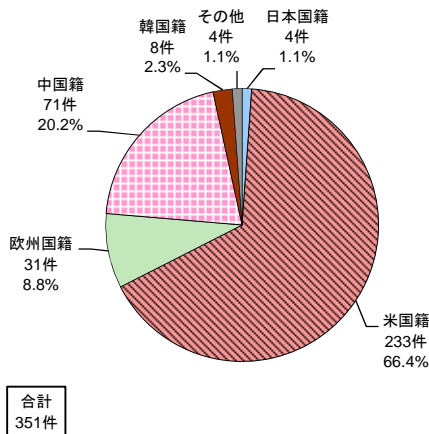
ゲノム編集技術ツールの標的認識技術において「TALE」の出願年期間別比率では、2010年までは米国、欧州国籍出願人が出願、ファミリー件数とも二分していたが、2012年以降は中国籍出願人の出願、ファミリー件数が急激に増加している。

c. ゲノム編集技術ツール（標的認識技術）「CRISPR」

c-1) 出願件数



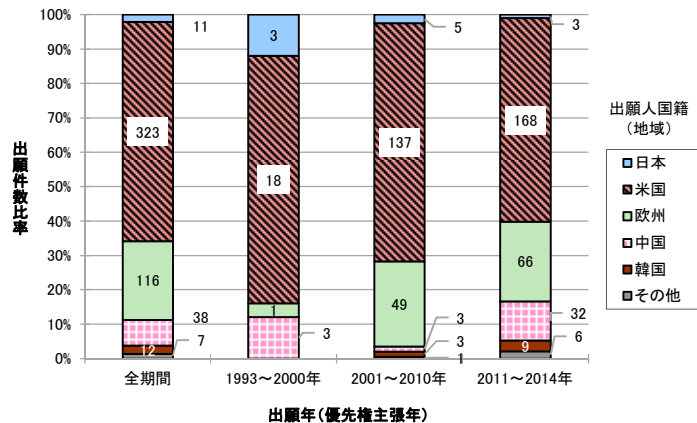
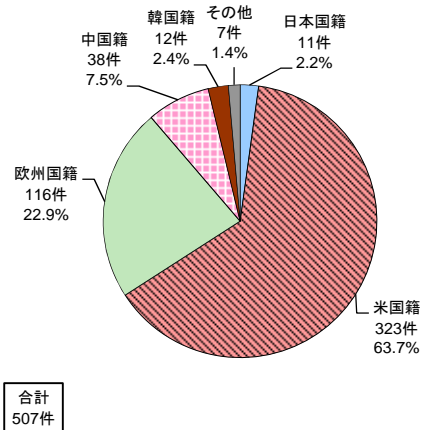
c-2) ファミリー件数



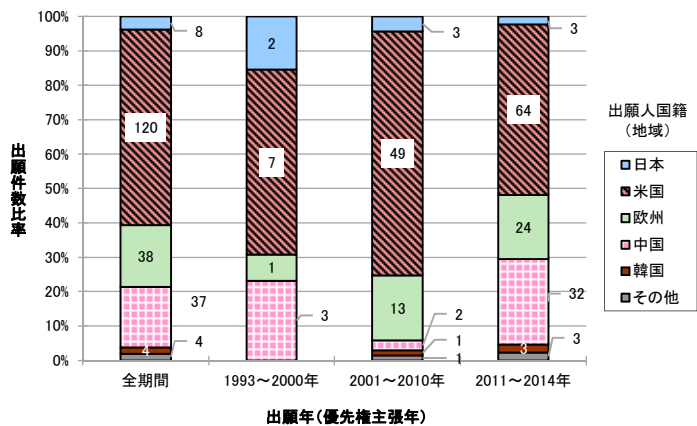
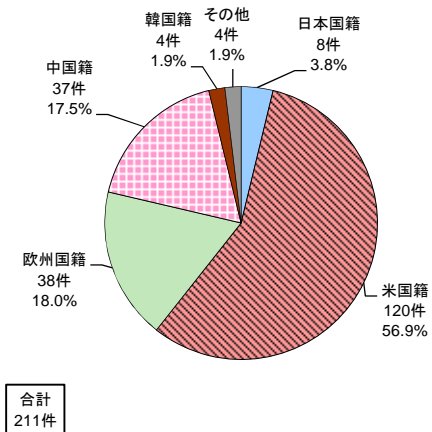
ゲノム編集技術ツールの標的認識技術において「CRISPR」の出願年別では、2010年までは「TALE」と同様に米国、欧州国籍出願人が出願、ファミリー件数とも二分していたが、2013年以降は中国籍出願人の出願、ファミリー件数が急激に増加している。

2) 応用産業（診断・治療）

2-1) 出願件数



2-2) ファミリー件数



注：1) ~ 2) について、2013 年以降はデータベース収録の遅れ、PCT 出願の各国移行のずれ等で、全データを反映していない可能性がある。

応用産業の「疾患の診断・治療」の出願年別では、どの期間でも米国籍出願人が半数以上を占めているが、2001~2010 年は欧州国籍出願人が、2011 年以降は中国籍出願人が件数を増やしている。

### 第3節 出願人別動向調査

日米欧中韓への出願の出願人別出願・ファミリー件数ランキングを出願件数は、11件以上・40位まで、ファミリー件数は、4件以上・40位まで表5に示す。

表5 出願人別出願・ファミリー件数上位ランキング

(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年):1993~2014年)

#### 1) 出願件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	486
2	Collectis (フランス)	233
3	Harvard College (米国)	162
4	Dow AgroSciences (米国)	143
5	Massachusetts Institute of Technology (米国)	114
6	Broad Institute (米国)	102
7	Sigma Aldrich (米国)	75
8	University of California (米国)	59
9	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	40
9	Monsanto Technology (米国)	40
11	Duke University (米国)	39
11	Precision Biosciences (米国)	39
13	Recombinetics (米国)	38
14	Dupont (米国)	37
15	Keygene (オランダ)	36
16	ToolGen (韓国)	35
16	University of Georgia (米国)	35
18	Pioneer Hi Bred International (米国)	30
18	Scripps Research Institute (米国)	30
20	General Hospital (米国)	28
21	University of Minnesota (米国)	27
22	Caribou Biosciences (米国)	26
22	University of Vienna (オーストリア)	26

順位	出願人名称	出願件数
24	Institut Pasteur (フランス)	25
24	AviGenics (米国)	25
24	Alexion Pharmaceuticals (米国)	25
24	Synageva BioPharma (米国)	25
28	University of Iowa (米国)	24
29	Regeneron Pharmaceuticals (米国)	23
30	Children's Hospital Philadelphia (米国)	22
31	Syngenta Participations AG (スイス)	19
31	Medical Research Council (イギリス)	19
33	Children's Medical Center (米国)	18
34	University of Rockefeller (米国)	16
35	Bayer Cropscience NV (ベルギー)	15
36	Arcturus Therapeutics (米国)	13
36	Bonas U (ドイツ)	13
38	institut National de la Recherche agnomique (フランス)	12
38	Pierre and Marie Curie University (フランス)	12
40	Helmholtz Zentrum München Deutsches Forschungszentrum für Gesundheit und Umwelt (ドイツ)	11
40	California Institute of Technology (米国)	11
40	広島大学	11
40	Factor Bioscience (米国)	11
40	New England Biolabs (イギリス)	11

## 2) ファミリー件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	113
2	Cellectis (フランス)	60
3	Harvard College (米国)	58
4	Massachusetts Institute of Technology (米国)	52
5	Broad Institute (米国)	51
6	Dow AgroSciences (米国)	30
7	University of California (米国)	16
8	University of Iowa (米国)	15
9	Regeneron Pharmaceuticals (米国)	14
10	Sigma Aldrich (米国)	13
10	University of Minnesota (米国)	13
12	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	11
13	Recombinetics (米国)	10
13	ToolGen (韓国)	10
13	Scripps Research Institute (米国)	10
16	Dupont (米国)	9
16	General Hospital (米国)	9
16	Agilent Technologies (米国)	9
19	Pioneer Hi Bred International (米国)	8
20	Keygene (オランダ)	7
20	中国農業大学 (中国)	7
22	Children's Medical Center (米国)	6
22	University of Rockefeller (米国)	6
22	Helmholtz Zentrum München Deutsches Forschungszentrum für Gesundheit und Umwelt (ドイツ)	6
22	中国科学院広州生物医薬与健康研究 院 (中国)	6
22	Rice Research Institute Anhui Academy of Agricultural Sciences (中国)	6

順位	出願人名称	出願件数
27	Monsanto Technology (米国)	5
27	University of Georgia (米国)	5
27	Institut Pasteur (フランス)	5
27	Children's Hospital Philadelphia (米 国)	5
27	Syngenta Participations AG (スイス)	5
27	Bayer Cropscience NV (ベルギー)	5
27	California Institute of Technology (米国)	5
27	広島大学	5
27	SNU R&DB Foundation (韓国)	5
27	University of Massachusetts (米国)	5
27	北京大学 (中国)	5
27	西南大学 (中国)	5
27	浙江大学 (中国)	5
40	Duke University (米国)	4
40	Caribou Biosciences (米国)	4
40	University of Texas System (米国)	4
40	農業生物資源研究所	4
40	Institute for Basic Science (韓国)	4
40	Whitehead Institute for Biomedical Research (米国)	4
40	復旦大学 (中国)	4
40	清華大学 (中国)	4
40	西北農林科技大学 (中国)	4

出願人別出願件数は、Sangamo Therapeutics (米国) が 400 件を超えており、群を抜いている。Cellectis (フランス)、Harvard College (米国)、Dow AgroSciences (米国) が Sangamo Therapeutics (米国) に続き 100 件を超えている。全体的に企業と研究機関の割合は同程度だが、企業の方が若干多くなっている。

ファミリー件数は、出願件数が最多の Sangamo Therapeutics (米国) が唯一 100 件を超えている。

日米欧中韓への技術区分別一出願人別出願・ファミリー件数上位ランキングを表 6 に示す。

表 6 技術区分別一出願人別出願・ファミリー件数上位ランキング  
(日米欧中韓への出願、出願年(優先権主張年): 1993~2014年)

1) 要素技術

a. ゲノム編集技術ツール(標的認識技術)「ZFP」

a-1) 出願件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	434
2	Dow AgroSciences (米国)	125
3	Sigma Aldrich (米国)	68
4	Collectis (フランス)	30
5	Scripps Research Institute (米国)	25
6	ToolGen (韓国)	21
6	Pioneer Hi Bred International (米国)	21
8	University of California (米国)	19
8	Medical Research Council (イギリス)	19
10	Harvard College (米国)	17

a-2) ファミリー件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	99
2	Dow AgroSciences (米国)	26
3	Sigma Aldrich (米国)	12
4	Scripps Research Institute (米国)	9
5	University of California (米国)	8
5	ToolGen (韓国)	8
7	Regeneron Pharmaceuticals (米国)	6
7	Pioneer Hi Bred International (米国)	6
9	Collectis (フランス)	5
9	Harvard College (米国)	5
9	Massachusetts Institute of Technology (米国)	5

ゲノム編集技術ツールの標的認識技術「ZFP」では、Sangamo Therapeutics (米国) が他を圧倒しており、業務提携やライセンス提携により Dow AgroSciences (米国) や Sigma Aldrich (米国) が上位にランクインしている。

## b. ゲノム編集技術ツール（標的認識技術）「TALE」

## b-1) 出願件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	105
2	Collectis (フランス)	64
3	Recombinetics (米国)	34
4	Dow AgroSciences (米国)	29
5	Harvard College (米国)	27
6	University of Iowa (米国)	19
6	University of Minnesota (米国)	19
8	Sigma Aldrich (米国)	15
9	Massachusetts Institute of Technology (米国)	14
10	University of California (米国)	13
10	Caribou Biosciences (米国)	13
10	Bonas U (ドイツ)	13

## b-2) ファミリー件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	34
2	Collectis (フランス)	22
3	University of Iowa (米国)	11
4	Dow AgroSciences (米国)	10
4	University of Minnesota (米国)	10
6	Harvard College (米国)	9
7	Massachusetts Institute of Technology (米国)	8
7	Recombinetics (米国)	8
9	Regeneron Pharmaceuticals (米国)	7
10	Broad Institute (米国)	6
10	University of California (米国)	6

「TALE」では、「ZFP」と同様に出願、ファミリー件数ともに Sangamo Therapeutics (米国) が最多であるが、Collectis (フランス) が後に続いており、「ZFP」ほど差は見られなくなっている。

## c. ゲノム編集技術ツール（標的認識技術）「CRISPR」

## c-1) 出願件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Harvard College (米国)	143
2	Broad Institute (米国)	98
3	Massachusetts Institute of Technology (米国)	96
4	Sangamo Therapeutics (米国)	43
5	Dow AgroSciences (米国)	41
6	Dupont (米国)	26
6	Caribou Biosciences (米国)	26
8	University of California (米国)	24
9	General Hospital (米国)	22
10	Recombinetics (米国)	19

## c-2) ファミリー件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Harvard College (米国)	48
1	Broad Institute (米国)	48
3	Massachusetts Institute of Technology (米国)	46
4	Sangamo Therapeutics (米国)	19
5	Dow AgroSciences (米国)	13
5	Regeneron Pharmaceuticals (米国)	13
7	Agilent Technologies (米国)	9
8	University of California (米国)	7
9	Dupont (米国)	6
9	General Hospital (米国)	6
9	University of Rockefeller (米国)	6
9	Rice Research Institute Anhui Academy of Agricultural Sciences (中国)	6

「CRISPR」では、Harvard College (米国) と Broad Institute (米国)、Massachusetts Institute of Technology (米国) が出願、ファミリー件数ともに上位を占めている。

「ZFP」、「TALE」で首位の Sangamo Therapeutics (米国) が次に続いている。

## 2) 応用産業

## a. 研究用モデル生物・細胞作成

## a-1) 出願件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	129
2	Dow AgroSciences (米国)	126
3	Monsanto Technology (米国)	38
4	Collectis (フランス)	31
4	Sigma Aldrich (米国)	31
6	Pioneer Hi Bred International (米国)	30
7	Dupont (米国)	22
8	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	21
9	Scripps Research Institute (米国)	19
10	Syngenta Participations AG (スイス)	18

## a-2) ファミリー件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	26
2	Dow AgroSciences (米国)	22
3	Sigma Aldrich (米国)	8
3	Pioneer Hi Bred International (米国)	8
5	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	7
6	Collectis (フランス)	6
6	Dupont (米国)	6
8	Regeneron Pharmaceuticals (米国)	5
8	中国農業大学 (中国)	5
10	Harvard College (米国)	4
10	University of Minnesota (米国)	4
10	Scripps Research Institute (米国)	4
10	Helmholtz Zentrum München Deutsches Forschungszentrum für Gesundheit und Umwelt (ドイツ)	4
10	Syngenta Participations AG (スイス)	4
10	Bayer Cropsience NV (ベルギー)	4
10	農業生物資源研究所	4

応用産業における「研究用モデル生物・細胞作成」関連の出願件数では、Sangamo Therapeutics (米国) と Dow AgroSciences (米国) がともに 100 件を越えており、群を抜いている。

また、上位に Sangamo Therapeutics (米国) と Dow AgroSciences (米国) および Collectis (フランス) がランクインしていることから、多くが「ZFP」や「TALE」関連の出願であると考えられる。

## b. 疾患の診断・治療

## b-1) 出願件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	110
2	Cellectis (フランス)	66
3	Harvard College (米国)	41
4	Massachusetts Institute of Technology (米国)	34
5	Broad Institute (米国)	26
6	Children's Hospital Philadelphia (米国)	17
7	University of California (米国)	13
8	Caribou Biosciences (米国)	12
9	Wageningen University (オランダ)	11
10	California Institute of Technology (米国)	10
10	Factor Bioscience (米国)	10

## b-2) ファミリー件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	36
2	Cellectis (フランス)	18
3	Harvard College (米国)	12
4	Massachusetts Institute of Technology (米国)	8
5	Broad Institute (米国)	6
6	University of California (米国)	5
7	Children's Medical Center (米国)	4
7	Children's Hospital Philadelphia (米国)	4
7	California Institute of Technology (米国)	4
10	University of Iowa (米国)	3
10	Scripps Research Institute (米国)	3
10	University of Texas System (米国)	3
10	復旦大学 (中国)	3
10	Bioroad Gene Development (中国)	3

応用産業における「疾患の診断・治療」関連では、Sangamo Therapeutics (米国) が出願、ファミリー件数ともに首位である。次に Cellectis (フランス) が続いている。

また、Harvard College (米国) と Massachusetts Institute of Technology (米国)、Broad Institute (米国) も上位にランクインしていることから、多くが「CRISPR」関連の出願であると考えられる。

## c. 有用品種の開発

## c-1) 出願件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Recombinetics (米国)	20
2	Sangamo Therapeutics (米国)	18
3	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	12
4	Collectis (フランス)	9
4	Dow AgroSciences (米国)	9
6	Rice Research Institute Anhui Academy of Agricultural Sciences (中国)	6
6	institut National de la Recherche agnomique (フランス)	6
8	Majzoub J A (米国)	5
8	Asai M	5
8	Aquaculture Technologies (米国)	5

## c-2) ファミリー件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Rice Research Institute Anhui Academy of Agricultural Sciences (中国)	6
2	Dow AgroSciences (米国)	5
2	Recombinetics (米国)	5
4	Sangamo Therapeutics (米国)	4
5	Collectis (フランス)	3
6	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	2
6	農業生物資源研究所	2
6	Shenzhen Xingwang Biological Seeds (中国)	2
6	中国科学院遺伝与発育生物学研究所 (中国)	2
6	南京農業大学 (中国)	2

応用産業における「有用品種の開発」関連では、他の応用分野に比べて出願、ファミリー件数ともに少ない。

また、Sangamo Therapeutics (米国) と Collectis (フランス) は変わらずランクインしており、幅広い応用分野に出願していることを示している。

ファミリー件数では、中国籍出願人が合計4出願人ランクインしている。

## d. その他産業

## d-1) 出願件数

順位	出願人名称	出願件数
1	University of Georgia (米国)	30
2	AviGenics (米国)	25
2	Alexion Pharmaceuticals (米国)	25
2	Synageva BioPharma (米国)	25
5	Sangamo Therapeutics (米国)	12
6	Dupont (米国)	8
7	Thermo Fisher Scientific (米国)	5
7	United States Department of Health and Human Services (米国)	5
7	Oxitec (イギリス)	5
10	Cellectis (フランス)	4

## d-2) ファミリー件数

順位	出願人名称	出願件数
1	Li Yun-yin (中国)	3
2	Sangamo Therapeutics (米国)	2
2	Cellectis (フランス)	2
2	Dupont (米国)	2
2	University of Georgia (米国)	2
6	Harvard College (米国)	1
6	Massachusetts Institute of Technology (米国)	1
6	Broad Institute (米国)	1
6	中国農業大学 (中国)	1
6	広島大学	1
6	Caribou Biosciences (米国)	1
6	AviGenics (米国)	1
6	Alexion Pharmaceuticals (米国)	1
6	Synageva BioPharma (米国)	1
6	Thermo Fisher Scientific (米国)	1
6	United States Department of Health and Human Services (米国)	1
6	Oxitec (イギリス)	1
6	Brune Ellen M (米国)	1
6	University of Western Australia (オーストラリア)	1
6	Imai Kazushi	1

第4節 各国（地域）への出願

1. 出願先国別一出願人別出願件数上位ランキング

日米欧中韓への出願先国別の出願人別出願件数上位ランキングを表7に示す。

表7 出願先国別一出願人別出願件数上位ランキング

(日米欧中韓への出願、出願年（優先権主張年）：1993～2014年)

日本への出願			米国への出願			欧州への出願		
順位	出願人名称	出願件数	順位	出願人名称	出願件数	順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	100	1	Sangamo Therapeutics (米国)	206	1	Sangamo Therapeutics (米国)	103
2	Collectis (フランス)	41	2	Collectis (フランス)	93	2	Collectis (フランス)	67
3	Dow AgroSciences (米国)	27	3	Harvard College (米国)	65	3	Harvard College (米国)	39
4	Harvard College (米国)	20	4	Massachusetts Institute of Technology (米国)	47	4	Massachusetts Institute of Technology (米国)	30
5	Massachusetts Institute of Technology (米国)	15	5	Broad Institute (米国)	42	5	Broad Institute (米国)	27
6	Broad Institute (米国)	12	6	Sigma Aldrich (米国)	36	5	Dow AgroSciences (米国)	27
7	Sigma Aldrich (米国)	11	7	Dow AgroSciences (米国)	34	7	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	16
8	Keygene (オランダ)	8	8	Monsanto Technology (米国)	33	8	Dupont (米国)	14
9	University of California (米国)	6	9	University of California (米国)	32	8	Duke University (米国)	14
9	Medical Research Council (イギリス)	6	10	University of Georgia (米国)	23	10	University of California (米国)	13
11	Recombinetics (米国)	5	11	Precision Biosciences (米国)	21	10	Precision Biosciences (米国)	13
11	ToolGen (韓国)	5	12	Duke University (米国)	19	12	Sigma Aldrich (米国)	10
11	Scripps Research Institute (米国)	5	13	Dupont (米国)	17	12	Pioneer Hi Bred International (米国)	10
11	University of Georgia (米国)	5	13	AviGenics (米国)	17	12	Keygene (オランダ)	10
11	Precision Biosciences (米国)	5	13	Alexion Pharmaceuticals (米国)	17	15	Recombinetics (米国)	8
16	General Hospital (米国)	4	13	Synageva BioPharma (米国)	17	15	Scripps Research Institute (米国)	8
16	Institut Pasteur (フランス)	4	17	University of Iowa (米国)	16	17	University of Minnesota (米国)	7
16	Children's Hospital Philadelphia (米国)	4	17	University of Vienna (オーストリア)	16	17	General Hospital (米国)	7
16	広島大学	4	19	Caribou Biosciences (米国)	15	17	University of Rockefeller (米国)	7
16	Duke University (米国)	4	20	Regeneron Pharmaceuticals (米国)	14	17	Institut Pasteur (フランス)	7
16	農業生物資源研究所	4	20	University of Minnesota (米国)	14			
16	Beth Israel Deaconess Medical Center (米国)	4	20	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	14			
16	City of Hope National Medical Center (米国)	4	20	Pioneer Hi Bred International (米国)	14			
16	AviGenics (米国)	4	20	Institut Pasteur (フランス)	14			
16	Alexion Pharmaceuticals (米国)	4						
16	Synageva BioPharma (米国)	4						

中国への出願			韓国への出願		
順位	出願人名称	出願件数	順位	出願人名称	出願件数
1	Sangamo Therapeutics (米国)	38	1	Sangamo Therapeutics (米国)	39
2	Dow AgroSciences (米国)	26	2	Dow AgroSciences (米国)	29
3	Cellectis (フランス)	25	3	Harvard College (米国)	22
4	Harvard College (米国)	16	4	Massachusetts Institute of Technology (米国)	15
5	Sigma Aldrich (米国)	9	4	ToolGen (韓国)	15
5	BASF Plant Science GmbH (ドイツ)	9	6	Broad Institute (米国)	14
7	Keygene (オランダ)	8	7	Sigma Aldrich (米国)	9
8	Massachusetts Institute of Technology (米国)	7	8	Cellectis (フランス)	7
8	Broad Institute (米国)	7	8	Recombinetics (米国)	7
8	中国農業大学 (中国)	7	10	SNU R&DB Foundation (韓国)	5
11	Recombinetics (米国)	6	10	Institute for Basic Science (韓国)	5
11	Dupont (米国)	6	12	University of California (米国)	3
11	Pioneer Hi Bred International (米国)	6	12	Regeneron Pharmaceuticals (米国)	3
11	中国科学院広州生物医薬与健康研究院 (中国)	6	12	General Hospital (米国)	3
11	Rice Research Institute Anhui Academy of Agricultural Sciences (中国)	6	12	Keygene (オランダ)	3
16	University of California (米国)	5	12	University of Rockefeller (米国)	3
16	ToolGen (韓国)	5	12	Children's Hospital Philadelphia (米国)	3
16	北京大学 (中国)	5	12	Korea Research Institute of Bioscience and Biotechnology (韓国)	3
16	西南大学 (中国)	5	19	Scripps Research Institute (米国)	2
16	浙江大学 (中国)	5	19	University of Georgia (米国)	2
			19	Caribou Biosciences (米国)	2
			19	Factor Bioscience (米国)	2
			19	University of Vienna (オーストリア)	2
			19	College of medicine, Pochon CHA University Industry-Academic Cooperation Foundation (韓国)	2
			19	Industry Foundation of Chonnam National University (韓国)	2
			19	Arcturus Therapeutics (米国)	2

出願先国別では、全体的に米国への出願件数が多くなっている。次いで欧州となっている。上位の出願人は、日米欧中韓国全てに出願している。

## 第5章 ゲノム編集及び遺伝子治療関連技術の研究開発動向

1993年～2016年(データベース検索実施日(2016年11月2日)時点)で、論文検索式でヒットした34,174件の論文のうち、抄録がない論文(2,077件)を除いた32,097件の抄録の読み込み調査を行った。

調査対象とした要素技術に関連のない文献を除去した結果、3,465件が最終的な論文調査解析の対象となった。

### 第1節 全体動向

研究者(筆頭著者)所属機関国籍別の論文発表件数推移及び論文発表件数比率を表8に示す。

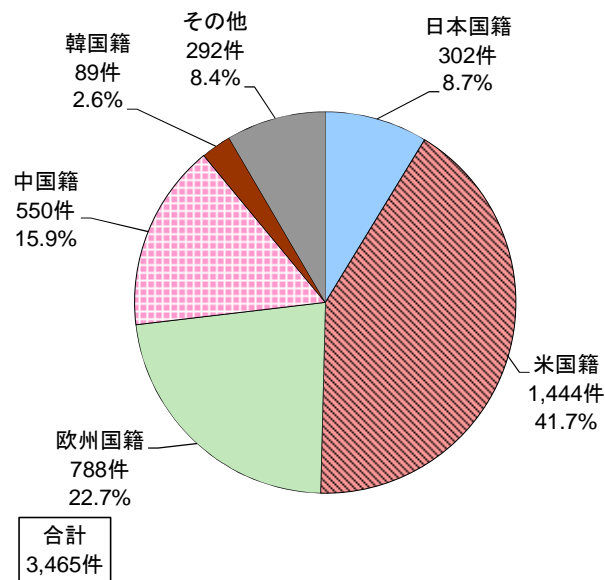
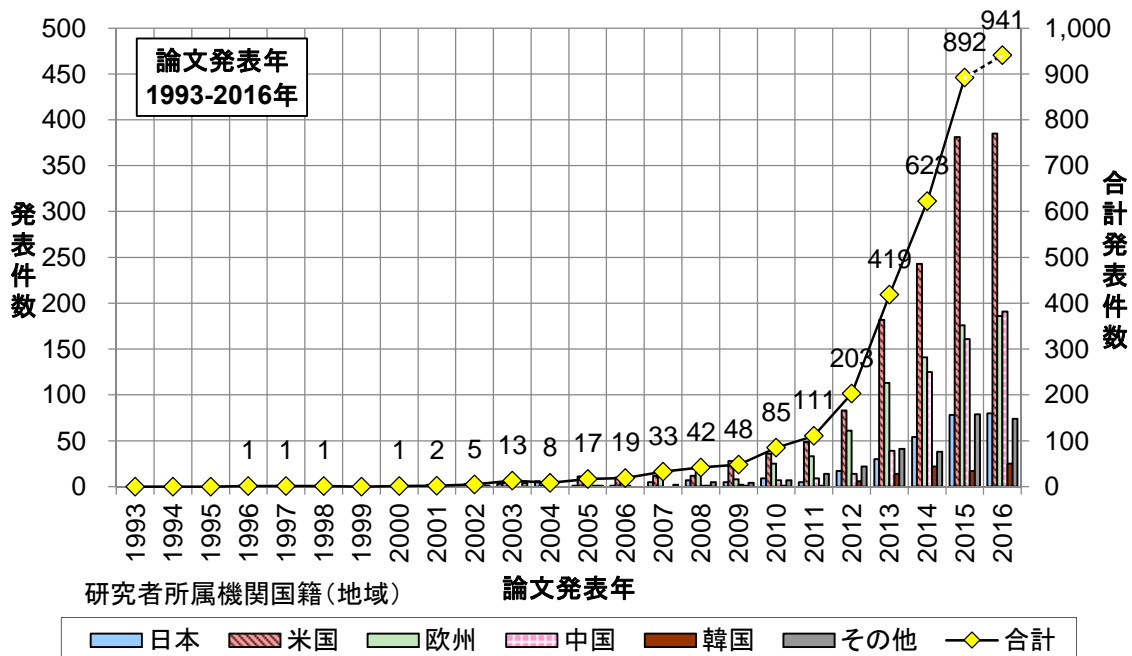
表8 研究者(筆頭著者)所属機関国籍別論文発表件数(発行年:1993～2016年)

出願人国籍	国・地域	出願件数	出願人国籍	国・地域	出願件数
米国	米国	1,444	リトアニア	欧州	10
中国	中国	550	ブラジル	その他	10
日本	日本	302	スウェーデン	欧州	9
ドイツ	欧州	272	フィンランド	欧州	8
フランス	欧州	120	ポルトガル	欧州	5
イギリス	欧州	120	ポーランド	欧州	4
韓国	韓国	89	ハンガリー	欧州	4
カナダ	その他	75	メキシコ	その他	4
オランダ	欧州	48	南アフリカ	その他	4
オーストラリア	その他	48	アイルランド	欧州	4
デンマーク	欧州	40	イラン	その他	3
スペイン	欧州	35	ウガンダ	その他	3
スイス	欧州	28	クロアチア	欧州	3
インド	その他	27	スロベニア	欧州	3
シンガポール	その他	27	セルビア	欧州	3
イスラエル	その他	25	アルゼンチン	その他	2
イタリア	欧州	18	パキスタン	その他	2
ベルギー	欧州	14	タイ	その他	2
台湾	その他	14	チリ	その他	2
ニュージーランド	その他	14	トルコ	欧州	2
オーストリア	欧州	13	フィリピン	その他	2
ノルウェー	欧州	13	ウルグアイ	その他	1
ロシア	その他	12	チュニジア	その他	1
サウジアラビア	その他	12	ナイジェリア	その他	1
チェコ	欧州	11	ブルガリア	欧州	1
			不明	その他	1
			合計		3,465

研究者(筆頭著者)所属機関国籍では、米国籍研究者が全体の約40%を占め、2番目に多い中国籍研究者の2倍以上の1,444件で他の国籍を圧倒している。日本国籍出願人は、米国、欧州、中国籍出願人に比べると特許の出願件数が非常に少ない結果を示したが、論文では中国籍研究者に続いて3番目に多い発表件数となっており、研究力の高さを示している。

次に、研究者（筆頭著者）所属機関国籍別の論文発表件数推移と論文発表件数比率を  
図12に示す。

図 12 研究者（筆頭著者）所属機関国籍別論文発表件数推移と論文発表件数比率  
（発行年：1993～2016年）

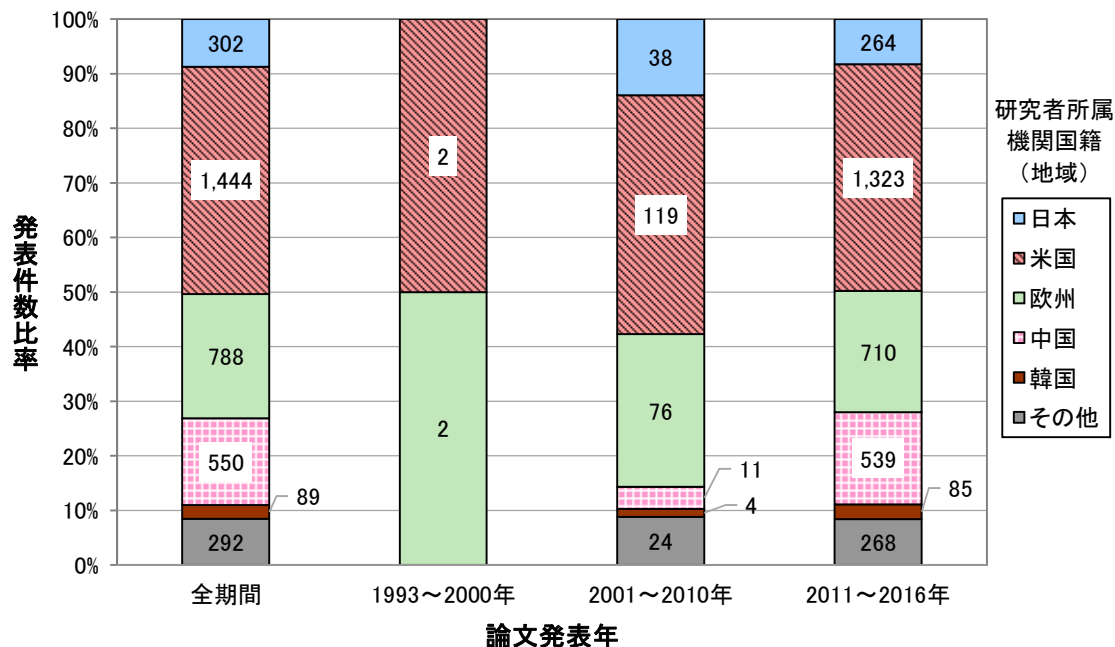


注：2016年の発表件数はデータベース検索実施日（2016年11月2日）の関係から、全データを反映していない可能性がある。

論文発表件数合計の国籍別シェアでは、米国籍研究者が約42%、欧州国籍研究者が約23%、次いで中国籍研究者（約16%）、日本国籍研究者（約9%）、韓国籍研究者（約3%）の順である。日本国籍研究者の論文発表件数シェアは、特許出願件数シェアよりも高い比率となっている。

研究者（筆頭著者）所属機関国籍別のシェアを図13に示す。

図 13 研究者（筆頭著者）所属機関国籍別論文発表件数シェア推移  
（発行年：1993～2016年、全期間一期間別）

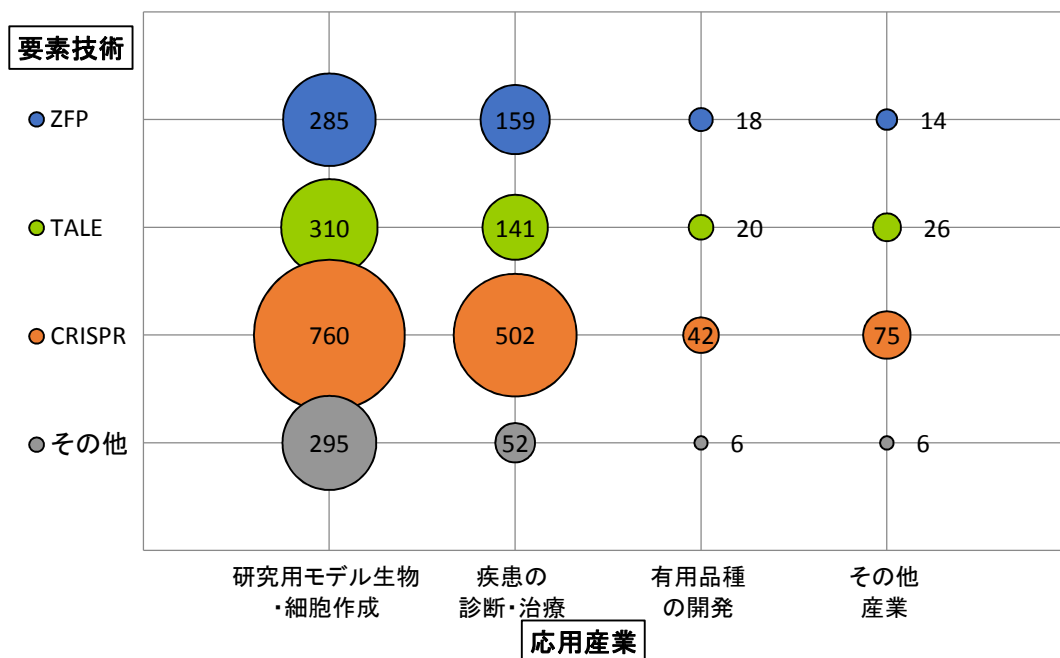


各期間の論文発表件数の推移を見ると、ZFN がゲノム編集技術の 1 つとして確立した 1996 年以降に、関連する論文が発表され始めている。その後、TALEN、CRISPR/Cas システムが発明された 2011 年以降に全体的な論文発表件数が大幅に増加している。日米欧中韓国籍全てで、2011 年以降は 2001～2010 年の期間に比べて大幅に増加している。

中国籍研究者と韓国籍研究者は 2001～2010 年は、他国籍研究者に比べて論文発表件数が非常に少なかったが、2011 年以降では発表件数を大幅に増加させており、TALEN や CRISPR/Cas システムに対する関心の高さを示している。特に、中国籍研究者は 2001～2010 年に 11 件の発表件数だったが、2011 年以降は 539 件と爆発的な増加を示している。一方日本国籍研究者は、全体に占める発表論文件数割合が 2001～2010 年よりも 2011 年以降が少なくなっているが、件数としては 264 件を発表しており、高い研究水準を維持していると言える。

技術区分（要素技術（標的認識技術）—応用産業）別論文発表件数についてのクロス集計を図14に示す。

図 14 技術区分（要素技術（標的認識技術）—応用産業）別論文発表件数  
（発行年：1993～2016年）



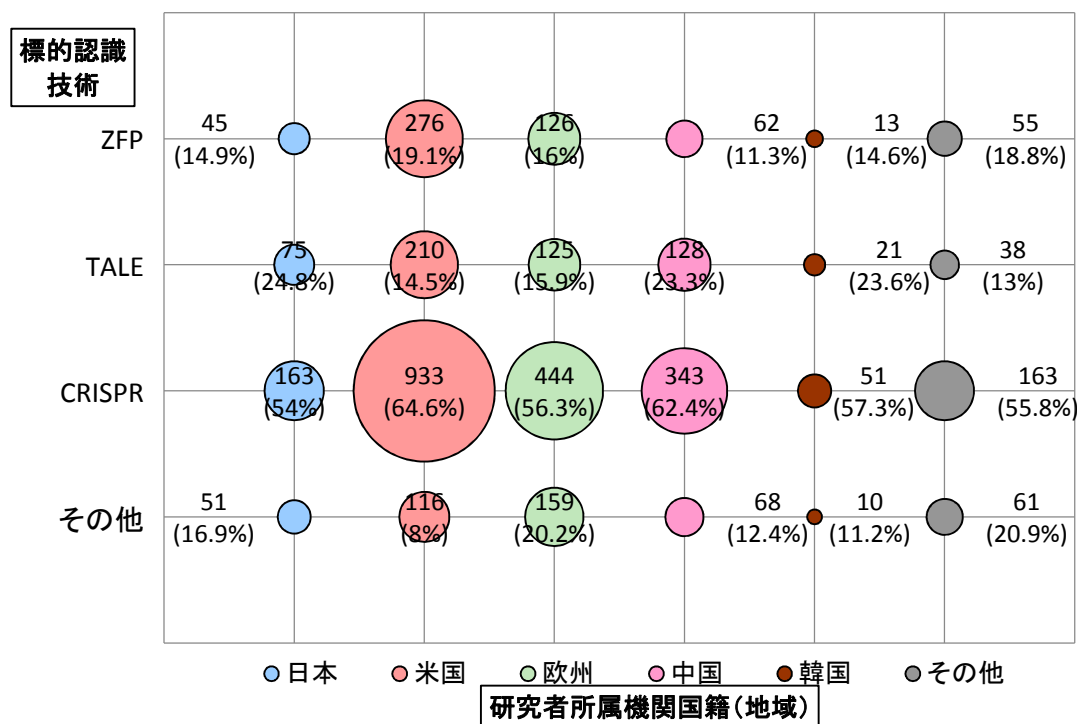
要素技術と応用産業の関係性の分析では、「ZFP」、「TALE」、「CRISPR」、「その他」の全ての技術において、「研究用モデル生物・細胞作成」に関する論文発表件数が最も多くなっている。次いで、「疾患の診断・治療」に関する論文となっている。「研究用モデル生物・細胞作成」に関する論文発表件数は、「疾患の診断・治療」に関する論文発表件数の約1.5倍～6倍の数になっている。絶対数は少ないが、「有用品種の開発」に関する論文も発表されている。

技術区分別の論文発表件数を研究者（筆頭著者）所属機関の国籍別で解析した結果を図15に示す。

図 15 技術区分別—研究者（筆頭著者）所属機関国籍別論文発表件数及び比率

（発行年：1993～2016年）

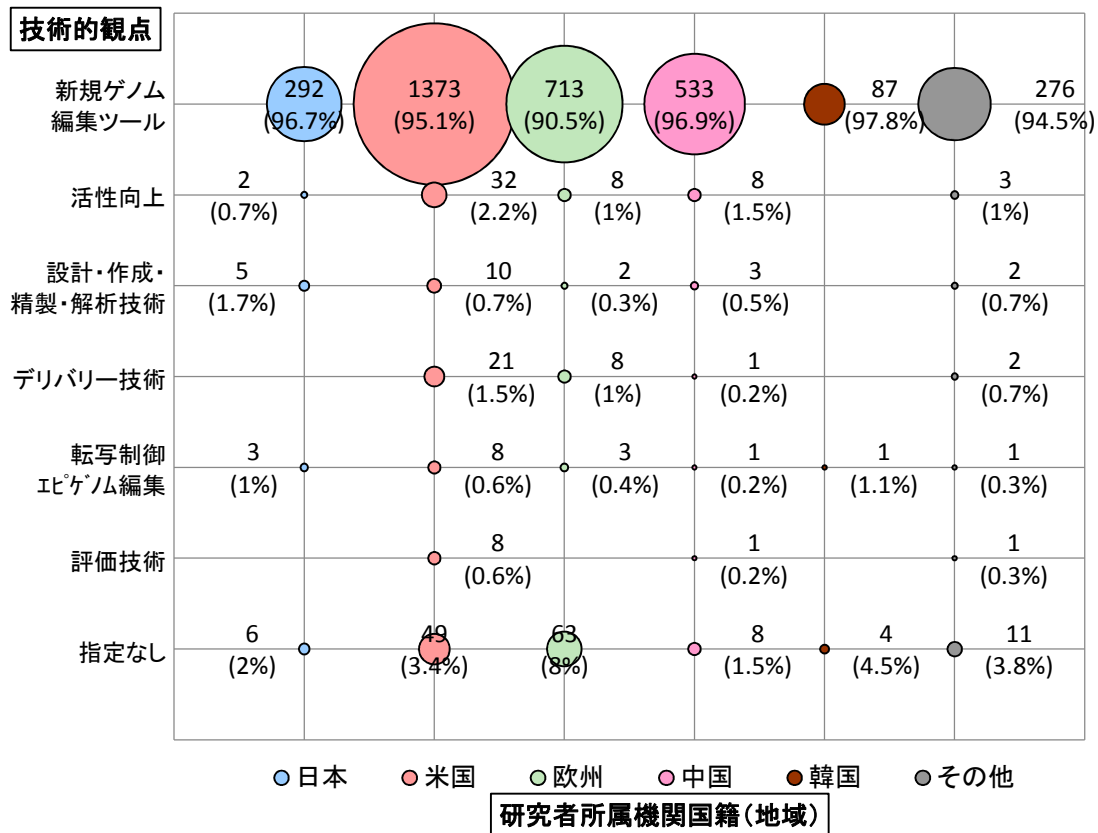
a. 技術区分（要素技術（標的認識技術））別—研究者（筆頭著者）所属機関国籍別論文発表件数及び比率



ゲノム編集技術ツールの標的認識技術と研究者（筆頭著者）所属機関国籍別の論文発表件数の分析では、どの標的認識技術でも米国籍研究者の論文発表件数が圧倒的に多くなっている。次いで、欧州国籍研究者、中国籍研究者、日本国籍研究者の順となっている。

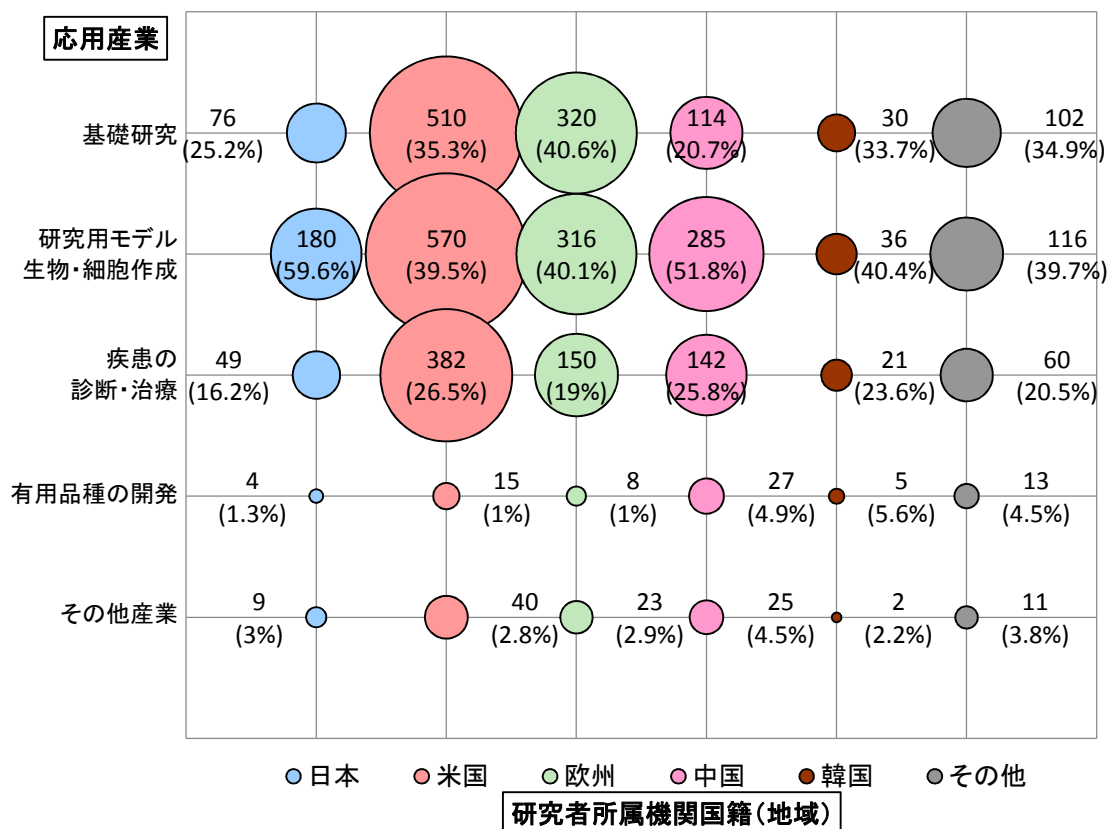
標的認識技術の中では、日米欧中韓のいずれの国籍研究者においても「CRISPR」に関する論文発表件数の比率が一番高くなっており、各国籍研究者それぞれにおいて、全体論文発表件数の半数以上を占めている。

b. 技術区分（要素技術（技術的観点））別一研究者（筆頭著者）所属機関国籍別論文発表件数及び比率



技術的観点別では、日米欧中韓のいずれの国籍研究者においても「新規ゲノム編集ツール」に関する論文が大多数を占めている。

c. 技術区分（応用産業）別一研究者（筆頭著者）所属機関国籍別論文発表件数及び比率



応用産業別では、欧州国籍以外の国籍研究者で「研究用モデル生物・細胞作成」に関する論文発表が最も高い比率を示している。特に、日本国籍研究者と中国籍研究者による論文では、50%を超えている。

次いで、中国籍研究者以外による論文では「基礎研究」に関する論文発表の比率が高くなっている。中国籍研究者による論文では、「疾患の診断・治療」に関する論文発表が「基礎研究」の論文発表を上回っている。これは、中国籍研究者がゲノム編集の技術を医療分野に応用する為の研究に、積極的に取り組んでいるためではないかと推測される。

## 第2節 研究者所属機関別動向調査

### 1. 研究者所属機関別論文発表件数上位ランキング

研究者（筆頭著者）所属機関別の論文発表件数上位ランキングを表9に示す。

表9 研究者（筆頭著者）所属機関別論文発表件数上位ランキング（発行年：1993～2016年）

順位	研究者所属機関(国籍)	発表件数	順位	研究者所属機関(国籍)	発表件数
1	University of California (米国)	153	28	University of Utah (米国)	20
2	中国科学院 (中国)	95	28	広島大学	20
3	Harvard College (米国)	77	28	University of Copenhagen (デンマーク)	20
4	University of Texas System (米国)	43	28	Broad Institute & Harvard College & Massachusetts Institute of Technology (米国)	20
5	Max-Planck-Gesellschaft zur Förderung der Wissenschaften (ドイツ)	42	32	University of Georgia (米国)	19
6	京都大学	39	32	University of Wisconsin System (米国)	19
7	Johns Hopkins University (米国)	35	34	University of Western Australia (オーストラリア)	18
8	University of Ulm (ドイツ)	33	34	Iowa State University of Science and Technology (米国)	18
9	Massachusetts General Hospital (米国)	31	34	Universität Bonn (ドイツ)	18
9	Leland Stanford Junior University (米国)	31	34	中国農業科学院 (中国)	18
9	University of Washington (米国)	31	34	University of Toronto (カナダ)	18
12	Massachusetts Institute of Technology (米国)	30	39	Sangamo Therapeutics (米国)	17
13	University of Massachusetts (米国)	28	39	Institut Pasteur (フランス)	17
14	清華大学 (中国)	27	39	Scripps Research Institute (米国)	17
15	University of Minnesota (米国)	26	42	Whitehead Institute for Biomedical Research (米国)	16
16	Duke University (米国)	25	42	武漢大学 (中国)	16
16	SNU R&DB Foundation (韓国)	25	44	中山大学 (中国)	15
16	北京大学 (中国)	25	44	University of North Carolina (米国)	15
19	東京大学	24	46	North Carolina State University (米国)	14
20	西北農林科技大学 (中国)	23	46	University of Pennsylvania (米国)	14
20	Cornell University (米国)	23	48	中国農業大学 (中国)	13
20	大阪大学	23	48	Baylor College of Medicine (米国)	13
23	University of Michigan (米国)	22	48	McGill University (カナダ)	13
23	University of Rockefeller (米国)	22	48	理化学研究所	13
25	Cellectis (フランス)	21	48	National University of Singapore (シンガポール)	13
25	University of Illinois (米国)	21			
25	西南大学 (中国)	21			

研究者（筆頭著者）所属機関別の論文発表件数では、首位の University of California（米国）から始まり、全体の半数以上を米国籍の大学・研究所が占めている。次に中国籍の9つの大学・研究機関が続いている。日本国籍の大学・研究所は京都、東京、大阪、広島大学、理化学研究所がランクインしている。

論文発表件数では、University of California（米国）が153件と群を抜いており、次いで中国科学院の95件となっている。Harvard College（米国）を含む上位3機関が70件以上の発表となり、それ以下の機関は50件以下の発表になっている。日本国籍の大学は、京都大学の39件を始め各大学とも20件以上の論文を発表しており、研究の質の高さを示していると言える。

## 第3節 研究者別動向調査

研究者別の論文発表件数上位ランキングを表10に示す。

表10 研究者別論文発表件数上位ランキング（発行年：1993～2016年）

順位	論文発表者(国籍)	発表件数	順位	論文発表者(国籍)	発表件数
1	Gregory, Philip D.(米国)	63	29	Zehrmann, Anja(ドイツ)	17
2	Zhang, Feng(米国)	56	29	Marraffini, Luciano A.(米国)	17
3	Joung, J. Keith(米国)	55	29	Paques, Frederic(フランス)	17
4	Yamamoto, Takashi	48	29	Barkan, Alice(米国)	17
5	Voytas, Daniel F.(米国)	47	29	Bao, Gang(米国)	17
6	Holmes, Michael C.(米国)	44	34	Wang, Jianbin(米国)	16
7	Sakuma, Tetsushi	43	34	Severinov, Konstantin(オランダ)	16
8	Kim, Jin-Soo(韓国)	38	34	Paschon, David E.(米国)	16
8	Doudna, Jennifer A.(米国)	38	34	Li, Wei(中国)	16
10	Urnov, Fyodor D.(米国)	32	34	Brennicke, Axel(ドイツ)	16
10	Cathomen, Toni(米国)	32	34	Barbas, Carlos F., III(米国)	16
10	Barrangou, Rodolphe(フランス)	32	40	Wolfe, Scot A.(米国)	15
13	Miller, Jeffrey C.(米国)	31	40	Zhu, Jian-Kang(サウジアラビア)	15
14	Small, Ian(オーストラリア)	30	40	Terns, Michael P.(米国)	15
14	Rebar, Edward J.(米国)	30	40	Terns, Rebecca M.(米国)	15
16	Church, George M.(米国)	29	40	Weissman, Jonathan S.(米国)	15
17	Takenaka, Mizuki(ドイツ)	25	40	Carroll, Dana(米国)	15
17	Maeder, Morgan L.(米国)	25	46	Tsai, Shengdar Q.(米国)	14
17	Sander, Jeffry D.(米国)	25	46	Sugita, Mamoru(オーストラリア)	14
17	Koonin, Eugene V.(米国)	25	46	van der Oost, John(オランダ)	14
21	Zhang, Lei(米国)	23	46	Randau, Lennart(ドイツ)	14
22	Duchateau, Philippe(フランス)	22	46	Shikanai, Toshiharu	14
23	Porteus, Matthew H.(米国)	21	46	Semenova, Ekaterina(オランダ)	14
23	Gersbach, Charles A.(米国)	21	46	Gaj, Thomas(米国)	14
25	Reyon, Deepak(米国)	20	46	Fineran, Peter C.(ニュージーランド)	14
25	Huang, Xingxu(中国)	20	46	Cradick, Thomas J.(米国)	14
27	Zhang, Yong(米国)	18	46	Cost, Gregory J.(米国)	14
27	Makarova, Kira S.(米国)	18	46	Gilbert, Luke A.(米国)	14

研究者別の論文発表件数ランキング全体では、米国籍研究者が過半数を超えているが、欧州、中国、日本、韓国籍研究者も数名がランクインしている。

上位5名に注目すると、Gregory Philip氏と Joung Keith氏はZFN関連、Zhang Feng氏はCRISPR/Casシステム関連、Voytas Daniel氏と山本卓氏はTALEN関連の論文発表が多くなっている。

## 第6章 総合分析と提言

本調査の結果を基に、日本の技術競争力、産業競争力について分析を加えるとともに、本調査を進めるに当たって設けられた委員会の助言、有識者へのヒアリングを踏まえたゲノム編集関連技術に関する提言を、以下の【提言1】【提言2】【提言3】にまとめた。

### 【分析】

#### ・市場環境

ゲノム編集関連技術の市場には、研究用試薬としての市場の他に、研究用モデル細胞・生物、疾患の治療・診断、農水畜産の育種、有用物質の生産などの応用産業での市場がある。現時点では、研究用試薬は非営利機関からの提供が主であり、かつ応用産業での普及は限定的であるため、市場はまだ形成されてはいない状況にある。

ゲノム編集を使用した有用品種の育種や、疾患の診断・治療については、まだ普及は限定的であるものの、大学・研究機関、ゲノム編集ツール開発企業と、応用産業分野で活躍する企業とのライセンス、コラボレーションやアライアンスは活発な状況にある。

ゲノム編集関連技術は、各種バイオテクノロジー産業における、研究開発の基盤となる技術である。OECDによると、2030年の世界のバイオテクノロジー関連市場は国内総生産（GDP）の2.7%に相当する約200兆円と予測されており、潜在的な市場は非常に大きなものと推測される。創薬や農林畜産分野におけるバイオテクノロジー技術の導入、遺伝子治療、細胞治療分野の急速な発展、ライフサイエンス研究分野におけるR&Dの活性化、政府によるゲノム関連研究への資金援助の増加等に牽引される形で、ゲノム編集関連技術の市場は、大幅に成長すると期待される。

#### ・政策動向

国内においてゲノム編集技術に関する科学技術政策は、内閣府/農林水産省、日本医療研究開発機構（AMED）、経済産業省/新エネルギー・産業技術総合開発機構（NEDO）等の管轄のもと、各領域でプロジェクトが実施されている。

米国、欧州、中国、韓国等においても、ゲノム編集関連技術には精力的に予算がつけられ、研究開発が行われている。

規制については、各国共に現在、ゲノム編集関連技術に特化した規制やガイドラインはまだ制定されていない状況にあるが、遺伝子治療や育種等、ゲノム編集関連技術の出口となる各応用産業の観点からの規制の対象となる可能性がある。また、ゲノム編集関連技術によって外来遺伝子が残存するものはバイオセーフティ上の「遺伝子組換え生物」として、カルタヘナ議定書等に基づく規制の適応対象となりうる。一方で外来遺伝子が残存しない自然突然変異と同等の遺伝子改変を行うことも原理的に可能であり、その場合、「遺伝子組換え生物」と同様の規制対象とするのか、また、どのように手法（プロセス）や製品（プロダクト）で管理するべきなのか世界的な見解の統一はなされていない状況にある。

## ・ 特許出願動向

## (全体動向)

ゲノム編集関連技術に関するPCT（特許協力条約）に基づく国際出願件数では、米国籍出願人が約66%程度、欧州国籍出願人が約24%、日本国籍出願人と中国籍出願人が約3%、韓国籍出願人が約2%となっている。日米欧中韓への出願件数では、米国籍出願人が約63%、欧州国籍出願人が約24%、中国籍出願人が約7%、韓国籍出願人が約3%、日本国籍出願人が約2%となっている。ファミリー件数でも、米国籍出願人が約55%で中国籍出願人が約19%、欧州国籍出願人が約18%、韓国籍出願人が約4%と続いており、日本国籍出願人はわずか約3%に留まっている。以上より全体動向として、当該技術に関する日本国籍出願人の出願シェアは、米欧韓国籍出願人と比較し非常に少ないことが分かる。

## (技術区分別動向)

ゲノム編集ツールの標的認識技術別出願動向としては、累積としては1997年以降に継続的に出願がなされている「ZFP」が最も多いが、2012年以降の単年では、「CRISPR」が最も多くなっている。

応用産業別出願動向としては、現在既に普及が進んでいる「モデル細胞・生物の作成」と並んで、「疾患の診断・治療」を目的とした特許出願が盛んである。「疾患の診断・治療」における出願人国籍別出願件数では米国籍出願人が323件と最も多く、次いで欧州国籍出願人が116件、中国籍出願人が38件となっている。韓国籍出願人は12件、日本国籍出願人は11件、となっている。ファミリー件数では、米国籍出願人による出願が120件と最も多く、次いで欧州国籍出願人が38件、中国籍出願人が37件となっている。日本国籍出願人による出願は8件、韓国籍出願人は4件となっている。日本国籍出願人による「疾患の診断・治療」を目的とした出願は、米国籍、欧州国籍、中国籍出願人と比較し非常に少ないことが分かる。

## (出願人動向)

日米欧中韓への出願における出願人国籍別の出願人属性を比較すると、企業単独によるものが米国籍出願人(約47%)、欧州国籍出願人(約64%)、中国籍出願人(約21%)、韓国籍(約52%)を占めるのに対し、日本国籍出願人はわずか約8%に留まっている。日本は企業からの出願が少なく、その結果、全体の出願件数も少ないと推測される。

出願人上位ランキングを見ると、「ZFP」に関する出願はSangamo Therapeutics（米国）が牽引しており、「TALE」に関する出願ではSangamo Therapeutics（米国）とCollectis（フランス）が牽引している。一方「CRISPR」に関する出願は、Harvard College（米国）とBroad Institute（米国）が牽引している状況にある。

応用産業における「疾患の診断・治療」関連では、Sangamo Therapeuticsが出願、ファミリー件数ともに首位である。次にCollectisが続いている。

また、Harvard College（米国）とMassachusetts Institute of Technology（米国）、Broad Institute（米国）も上位にランクインしているが、3出願人については多くが「CRISPR」関連の出願であると考えられる。

#### (注目特許の変遷)

1996年以降のZFN、2010年以降のTALEN、そして2012年以降のCRISPR/Casシステムへと注目特許は変遷している。

#### (海外注目出願人)

Sangamo Therapeutics (米国)、Collectis (フランス)、Broad Institute (米国)、University of California (米国)、Dupont (米国)、ToolGen (韓国) の各者とも、活発なコラボレーション・アライアンスを展開している。

#### ・研究開発動向

##### (全体動向)

論文発表件数(発行年:1993年~2016年10月末)は、3,465件であった。米国籍研究者が1,444件で約42%のシェアを有し、次いで欧州国籍研究者が788件の約23%、中国国籍研究者が550件の約16%、日本国籍研究者が302件の約9%、韓国国籍研究者が89件の3%と続いている。日本国籍出願人による特許出願におけるシェアは約3%であり、研究成果の特許出願が進んでいないと推測される。

##### (技術区分別動向)

2013年までは論文発表件数と、特許出願件数/ファミリー件数は相関した増加傾向を示している。特に米国籍、中国籍出願人・研究者による特許出願件数と論文発表件数では、その相関が顕著に見られており、研究成果の特許出願が精力的に進められていると推測される。一方、日本国籍出願人・研究者による特許出願件数と論文発表件数では相関に乖離が見られ、全年に渡って特許出願件数/ファミリー件数の伸びは論文発表件数よりも低い推移を示している。論文発表件数の推移では「ZFP」と「TALE」については2014年をピークに下降する一方で、「CRISPR」については急増している。特許出願件数/ファミリー件数も同様の推移を辿ると推測される。

応用産業別出願動向としては、現在既に普及が進んでいるモデル細胞・生物の作成と並んで、疾患の診断・治療を目的とした論文発表が盛んである。

研究者所属機関別における疾患の診断・治療を目的とした論文発表件数は、米国籍研究者が382件と最も多く、次いで欧州国籍研究者が150件、中国籍研究者が142件となっている。日本国籍研究者による発表論文件数は49件、韓国国籍研究者は21件である。

##### (研究者所属機関別動向)

論文発表件数では、University of California (米国) が153件と群を抜いており、続いて中国科学院の95件となっている。Harvard College (米国) を含む上位3機関が70件以上の発表となり、それ以下の機関は50件以下の発表になっている。日本国籍機関は京都大学の39件を始め20件以上の論文を発表する大学が複数存在しており、研究の質の高さを示していると言える。

標的認識技術区分別では、「ZFP」ではSangamo Therapeutics (米国) とUniversity of California (米国)、京都大学が上位3位にランクインしており、「TALE」では、中

国、日本、米国の大学がそれぞれランクインしている。「CRISPR」では、研究の中心的役割を果たしているUniversity of California（米国）が1位、Harvard College（米国）が2位であるが、中国科学院が3位にランクインしており、中国の「CRISPR」研究への注力が窺える。

疾患の診断・治療に関する論文では、University of California（米国）、中国科学院、University of Texas System（米国）が上位にランクインしている。

（注目論文の変遷）

ゲノム編集関連技術に対する研究開発活動は1990年代より実施されてきたが、1996年に報告された「ZFN」、2010年に報告された「TALEN」、そして2012年に報告されたCRISPR/Casシステムへと注目論文は変遷している。

新規ゲノム編集ツールの開発も進められており、PPRタンパク質等の新規な機能的特性を有するゲノム編集ツールの報告も挙げられてきている。

## 提言 1

より高度なゲノム編集技術や関連技術の開発を促進すべきである

ZFN の基本特許は権利期間の満了が視野に入る一方、CRISPR/Cas システムについては現在基本特許の対象範囲や権利の帰属が国によって異なる状況にあり、日本では、出願が係属中でどの団体が基本特許を獲得するかは予想できない状況にある。ただ、基本特許が存在していても、強力な応用特許を取得することでクロスライセンスや提携を通じて事業化可能な技術範囲を確保できる可能性もありうる。

CRISPR/Cas システムをはじめとする既存のゲノム編集ツールには、実用化に有利となる膨大な研究成果の積み重ねが存在する。短期的視点として、この積み重ねを活用してデリバリー技術の開発、標的認識の向上技術、オフターゲットリスクの回避技術等の、応用産業での実用化を見据えたより高度なゲノム編集技術の開発と知的財産権の確保を進め、我が国としてのプレゼンスを高めていくべきである。

また、長期的視点として転写因子の制御やエピゲノム編集等の、ゲノム編集技術の延長線上にあるポストゲノム編集技術を見据えた研究開発に注力し、世界を牽引していくべきである。

ゲノム編集関連技術は1990年代後半から立ち上がり、2012年以降に加速的に研究開発が進められてきた比較的新しい分野の技術領域である。1996年にZFNが開発され、その後2010年にTALENが、2013年にはZFN、TALENよりも作製が容易で扱いやすいCRISPR/Casシステムの開発がなされてきた。

既存のゲノム編集ツールの権利化状況として、ZFNの研究利用はSigma Aldrich (2015年11月にMerck (ドイツ) により買収)、商業利用はSangamo Therapeutics (米国) が世界的な基本特許の権利を有している。また、TALENについては、治療分野に関してはCollectis (フランス) が、治療分野以外はThermo Fisher Scientific (米国) が世界的な基本特許の権利を有している。CRISPR/Casシステムについては、米国はUniversity of Californiaのグループ (原核生物) とBroad Institute (真核細胞) の両方に特許が与えられる予定だが、今後もCRISPR/Casシステムを巡る知的財産の争いが繰り返されるものと推察される。一方、英国を除く欧州でもBroad Institute (米国) の8件の特許が成立し、英国はUniversity of California (米国) らのグループが、韓国ではToolGen (韓国) の特許が登録されるという、国ごとにその基本特許の権利者が異なる状況が起きている。いずれの権利者も我が国に出願を移行しており、出願は係属中である。

これら既存のゲノム編集ツールには、それぞれに長所・短所となる機能的特性がある。例えばZFNは、設計・作製に多大な費用がかかることや、3塩基対ごとを認識するため標的配列の自由度が低いという問題を持つが、最初の報告から20年程度経過してきていることもあり、特許の権利化期間の満了も視野に入ってきている。TALENはZFNと比較し標的認識性や標的配列の自由度は高いが、cDNAのサイズが大きく、ウイルスベクターへ格納する、あるいはRNA分子として送達する難易度が高いことが問題として挙げられる。一方で、ZFN、TALENは共に1つのタンパク質から構成されており、疾患の治療の際の品質管理の面ではCRISPR/Casシステムより有利であるといえる。

CRISPR/Casシステムについては、TALENやZFNと比較し、ガイドRNAによる標的配列の設計

の自由度が非常に高く、簡便に、安価に扱うことができることから、現在各種産業の研究開発の現場での普及が爆発的に進んでいる。その反面、PAM配列が必要であること、細胞にRNAとタンパク質という2種類の性質の異なるコンポーネントを導入する必要があること、意図しない配列を認識してしまうオフターゲットの問題等が挙げられる。

また、異なる作用機序、新たな機能的特性を有するゲノム編集ツールの開発および権利化も進められており、基本技術の選択肢は拡大することが予想される。

我が国としては、これらゲノム編集ツールの、特許の権利化状況や存続期間、機能的特性を踏まえた上で、産業化を視野に入れたより高度な開発を進めることで、我が国としてのプレゼンスを高めていくことが重要である。具体的には、デリバリー技術の開発、標的認識の向上技術、オフターゲットリスクの回避技術等が挙げられる。

また、これまではヌクレアーゼ等の制限酵素を用いた配列特異的な切断技術の確立が進められてきたが、切断箇所に配列を挿入する技術、切断をせずに置換をする技術等については、技術開発の余地は十分にある。さらに転写因子の制御やエピゲノム編集等の、ゲノム編集技術の先にある、ポストゲノム編集技術を見据えた高度な開発に他国に先んじて注力をし、世界を牽引していくべきである。

## 提言 2

ゲノム編集の実用化に向けた応用産業における技術開発に注力すべきである

今回の調査で、ゲノム編集技術の応用産業における出願数は相対的にまだ少ないこと、応用産業の出願を行うと考えられる企業の出願割合が日本では特に少ないことが明らかになった。

ゲノム編集技術の応用分野は医療では疾患治療だけにとどまらず、疾患メカニズムの解明、分子標的薬を含む新規医薬品候補物質の探索・スクリーニング、エピゲノム制御研究等の創薬支援技術、また農林畜産などにおいても収量の向上や病害/害虫への耐性の向上等を実現する安全で高付加価値な種苗の開発など広範にわたり、その市場規模は極めて大きい。応用を目指す研究開発をより積極的に行い、国民の食や健康、国際社会への貢献に寄与するべきである。

加えて、企業が積極的にゲノム編集関連技術を取り入れた研究開発、特許出願を促進させるために、ゲノム編集関連技術を利用できる環境の整備と特にその技術に対する正しい理解を社会に伝える活動を進めていくことが重要である。

ゲノム編集関連技術は、医療や農水畜産における育種等、多方面の産業を変革しうる基盤技術として、注目を浴びている。

現在、ゲノム編集関連技術を活用した臨床試験あるいは臨床研究が米国の企業や中国の大学によってAIDSや肺がんに対する治療を目指して開始されている。また、Dupont（米国）やDow AgroSciences（米国）は、有用品種の育種にゲノム編集関連技術を活用しつつある。これら企業は、それぞれの応用産業の分野に継続的に注力しながらゲノム編集関連技術を取り入れてきた背景がある。

我が国において、ゲノム編集関連技術を用いた応用産業分野でプレゼンスを高めていくためには、ベースとなる幅広いノウハウ・経験が重要である。対象となる応用産業分野の市場規模や経済的な合理性等を考慮しつつ、研究開発と特許出願を戦略的に推進することにより、我が国として勝てる産業化を進めていくべきである。

ゲノム編集関連技術の治療への応用では、遺伝子治療の応用範囲を広げることへの貢献が期待されている。現段階では単一遺伝疾患や感染症に対する治療法の確立を中心に研究開発が進められており、将来的にはより複雑な疾患の治療が可能となることが期待されている。また、ゲノム編集関連技術は、疾患メカニズムの解明、分子標的薬を含む新規医薬品候補物質の探索・スクリーニング、エピゲノム制御研究等、創薬支援技術として有用である。これらの知見は製薬企業の革新的医薬品の開発を実施するための大きな推進剤となりうる。ゲノム編集関連技術の医療への応用を支援し、革新的な治療法の開発を通して国民の健康増進に寄与することが求められる。

抗体のヒト化技術などの歴史を見ても、技術そのものの研究開発もさることながら、その技術を用いてどのようなターゲット標的あるいは疾患を狙い最終的なプロダクトを作ることが大きなビジネスに繋がった。従ってゲノム編集も大きな可能性は広がっているものの、デリバリーなどの制約条件により初期のいわゆるLow hanging fruitsは限定的であると考えられ、そのようなターゲットにいかにも早くアプローチするかが産業上重要であると考え

られる。

ゲノム編集関連技術の農林畜産における育種への応用では、収量の向上、病害/害虫への耐性の向上等を通して、安全で高付加価値な食物生産に寄与することが期待されている。近年問題となっている温暖化による干ばつや人口の増加等の、国境を越えた社会的課題を解決する技術となりうるため、研究開発に注力し、国際社会への貢献に寄与すべきである。

加えて、企業が積極的にゲノム編集関連技術を取り入れた研究開発活動を進め、特許出願を積極的に促進させるために、ゲノム編集関連技術を利用できる環境の整備と、ゲノム編集関連技術に対する正しい理解を社会に伝える活動を進めることが重要である。

## 提言 3

## 新規革新的技術に対し、質の高い知的財産権が確保できる体制の構築を推進すべきである

ゲノム編集関連技術の知的財産権確保の勢いが加速している一方で、日本からの特許出願は出遅れている状況にある。ゲノム編集関連技術に代表される新規革新的技術に対し、我が国としても早期からキャッチアップし、投資サイクルを回し、質の高い知的財産権を確保していく必要がある。

そのために、大学・研究機関における特許出願時の資金的サポート・バイオ分野の知財に精通した専門人材による人的サポート等をより充実させると共に、質の高い特許権の確保やライセンスを通じた国内企業の事業の自由度の確保などの知的財産戦略の立案、研究グループごとの強みを明らかにする特許調査の共有などを通して、我が国として有益となる知的財産権の確保を後押しする必要がある。

また、大学・研究機関内の技術移転の機能強化やベンチャー企業支援等を通じ、基盤となる研究開発を行う大学・研究機関と、産業化を担う企業との連携を推進させ、大学・研究機関、企業の双方にとって有益となる知的財産権の確保を目指すべきである。

今回の調査により、特にCRISPR/Casシステムでは、最初に論文が発表された2012年に既に200件を超える出願がされるなど知的財産権確保の勢いが加速している状況が明らかとなった。一方、ゲノム編集関連技術分野において現状では、日本からの特許出願は他国と比較し少ない状況にあり、かつ企業からの出願が特に少ない状況にあることが分かった。その大きな要因としては、当該分野で知的財産権確保を行うための仕組みに欧米や中国、韓国と日本では大きな差があることにありと推測される。

ゲノム編集関連技術の研究開発で主力となっている海外の大学・研究機関は、ゲノム編集ツールに関する先進的な研究成果をきっかけとして、応用産業化を狙う企業へのライセンスやコラボレーション、あるいはスピンアウトベンチャーによる産業化を短期間かつ積極的に進めている。開発者はこのような仕組みを活用して資金を調達し、より先進的な研究開発を進めるとともに、産業化の視点を踏まえた強い権利範囲を持つ特許の取得や、他国へのPCT出願、特許の維持に資金を投入するという投資サイクルを上手く回すことができている。

一方、日本でも、同分野で特筆すべき研究成果が出てきており、産学連携コンソーシアムや学会における精力的な活動は見られるものの、大学・研究機関と企業の間で交わされているライセンスやコラボレーションは少ない状況にある。そのため、大学や研究機関からの特許出願は主に研究資金を割いて賄わなければならない、研究成果の特許化に対しての資金的/人材的サポートも薄い状況にある。また、研究目標と産業化の視点との乖離や、研究段階で用いる試薬・試料が産業化を意識しないものであるなどの問題点も挙げられる。

ゲノム編集関連技術のような新規革新的技術は、多方面の産業を変革する「ゲームチェンジングテクノロジー」となりうるため、我が国としても早期からキャッチアップし、投資サイクルを回していく必要がある。

そのためには、まず、大学・研究機関における特許出願時の資金的サポート/専門人材等

による人的サポートを充実させるべきである。また、我が国として有益となる知的財産権の確保を後押しするための、知的財産戦略の立案、研究開発プロジェクト間での先行特許調査の共有等にも産学が共同して取り組む必要がある。

加えて、基盤となる研究開発を行う大学・研究機関と、産業化を担う企業との連携を推進させ、技術移転を促すことが重要である。大学・研究機関内の技術移転の機能をより強固に支援すると共に、産業化へと繋ぐベンチャー企業の育成並びに本技術をベースとした新たな製品の事業化をより強固に支援するべきである。さらに、大学・研究機関と企業の双方が利益を享受できる仕組みとしての産学連携共同研究プロジェクトを促進させるべきである。