

特許審査基準の抜粋

平成21年4月3日

**「生体外で行われる細胞等への処理方法に特徴のある発明」関係**

第II部 第1章 産業上利用することができる発明 2.1(1)

人間から採取したもの(例:血液、尿、皮膚、髪の毛、細胞、組織)を処理する方法、又はこれを分析するなどして各種データを収集する方法は、「人間を手術、治療又は診断する方法」に該当しない。ただし、採取したものを採取した者と同一人に治療のために戻すことを前提にして、採取したものを処理する方法(例:血液透析方法)は、「人間を手術、治療又は診断する方法」に該当する。

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、遺伝子組換え製剤)又は医療材料(例えば人工骨、培養皮膚シートなどの、身体の各部分のための人工的代用品または代替物)を製造するための方法は、人間から採取したものを採取した者と同一人に治療のために戻すことを前提にして処理する方法であっても、「人間を手術、治療又は診断する方法」に該当しない。

事例9(人間を手術、治療又は診断する方法に該当しないもの)

【発明の名称】

遺伝子治療のための細胞の製造方法

【特許請求の範囲】

人体から取り出されたW細胞に、Xタンパク質をコードするDNAとYタンパク質をコードするDNAを含むZベクターで遺伝子を導入する、癌治療用細胞の製造方法。

【発明の詳細な説明】の抜粋

この製造方法により得られた癌治療用組換え細胞製剤により、癌組織特有の血管新生が抑制され、同時に免疫が刺激されることによって癌が縮小することが明らかとなった。

細胞は、血縁にあたる提供者に由来するものも用いるが、患者本人の細胞を使用することが適合性の観点から最も望ましい。

【説明】

人間から採取した細胞を原材料として遺伝子組換え細胞製剤などの、医薬品を製造するための方法は、発明の詳細な説明に記載されるように患者本人から採取したものを使用することを含んでいても、「人間を手術、治療又は診断する方法」には該当しない。

**「細胞や薬剤の用法・用量等に特徴のある発明(時間、手順、投与量(血中濃度の条件を含む)等に特徴のある発明)」関係**

第 VII 部 第 3 章 医薬発明 2.2.1.1 新規性の判断の手法

(3-3) 投与間隔・投与量等の治療の態様に関して

請求項に係る医薬発明が、投与間隔・投与量等の治療の態様により特定しようとする医薬発明であって、請求項に係る発明と公知の引用発明とが、投与間隔・投与量等の治療の態様の点で相違する場合においては、下記(a)又は(b)のように、一の化合物又は化合物群の属性に基づき特定の疾病に適用するという医薬用途が相違すると認められる場合は、請求項に係る医薬発明は新規性を有し得る。

(a) 上記のような治療の態様により特定しようとする請求項に係る医薬発明が、例えば特殊な遺伝子型を保有する患者に特に有効なことが明らかになり、請求項に係る医薬発明の対象患者群が、引用発明においては特に特定されていなかった対象患者群と異なることが明らかになったことにより、両者の対象患者群を当業者が明確に区別することが可能となった場合

(b) 上記のような治療の態様により特定しようとする請求項に係る医薬発明において、引用発明と異なる特に適した適用部位が発見された場合のように、請求項に係る医薬発明の適用範囲と引用発明の適用範囲とを、当業者が明確に区別することが可能となった場合

第 VII 部 第 3 章 医薬発明 2.3.1.1 医薬発明に関する進歩性の判断の具体的な運用例

(4) 投与間隔・投与量等の治療の態様により特定しようとする医薬

特定の対象患者群、又は特定の適用範囲に対して、薬効増大、副作用低減といった当業者によく知られた課題を解決するために、医薬の使用の態様(投与間隔・投与量等)を好適化させることは、当業者の通常の創作能力の発揮である。したがって、請求項に係る医薬発明において、引用発明との比較で新規性が認められるとしても、引用発明と比較した有利な効果が当業者の予測し得る範囲内である場合は、その進歩性は否定される。しかし、引用発明と比較した有利な効果が、技術水準から予測される範囲を超えた顕著なものであること等、他に進歩性の存在を推認できる場合は、その発明の進歩性は肯定される(事例 8)。

事例 8(特定の投与間隔・投与量の採用により特定の患者群に顕著な効果が奏されるもの)

【特許請求の範囲】

【請求項 1】初回に 5.0mg/kg ~ 10.0mg/kg の量で投与し、その後一回当たり 0.3mg/kg ~ 0.5mg/kg の量で隔日投与されることを特徴とする、 型の遺伝子型を有する患者を治療するための、化合物Aを含有するC型肝炎治療薬。

【発明の詳細な説明】の概要

化合物Aは、C型肝炎ウイルスの増殖作用を示すヒトの酵素Zの発現を血中濃度に依存して抑制することから、C型肝炎の治療に効果を示すことが知られていたが、化合物Aの血中濃度を急激に上昇させると呼吸困難等の症状を示すことも知られていたため、化合物AをC型肝炎患者に対しC型肝炎治療薬として使用する場合には、ヒトの酵素Zの発現を抑制でき、かつ、呼吸困難等の症状を発生させないよう、一回当たり0.3mg/kg～0.5mg/kgという低用量での週一回投与により血中濃度を上昇させ、この投与形態で一定のC型肝炎治療作用を示すことが確認されていた。

一方、出願人は、特殊な遺伝子型である 型の遺伝子型を有するC型肝炎患者では他の患者に比べて酵素Zの発現量が十倍以上高く、従来の投与間隔・投与量による場合はある程度のC型肝炎治療作用を示すものの、他の患者に投与した場合よりもその作用は弱いこと、及び、化合物Aを種々の用量で用いた場合でも呼吸困難等の症状がほとんど発生しないことをはじめ確認した。

本発明では 型の遺伝子型を有するC型肝炎患者の有する特徴に着目して、効果的なC型肝炎治療作用を示す化合物Aの投与量及び投与間隔を検討したところ、当該C型肝炎患者に対し初回に化合物Aを5.0mg/kg～10.0mg/kgという高用量で投与しても、他の患者のように呼吸困難等の症状を生じることはなく、また、その後0.3mg/kg～0.5mg/kgの量で隔日投与とすることで、化合物Aの血中濃度を治療効果を有する一定幅の高濃度で維持することが可能であり、このような投与間隔・投与量の下では 型の遺伝子型を有するC型肝炎患者においても酵素Zの発現を効果的に抑制できることから、従来の投与間隔・投与量で 型の遺伝子型を有するC型肝炎患者や他のC型肝炎患者に投与した場合と比較して、C型肝炎ウイルスの増殖が効果的に抑制され、顕著なC型肝炎治療作用を示すことが薬理試験結果とともに示されている。

#### 【先行技術調査の結果】

C型肝炎ウイルスの増殖作用を示すヒトの酵素Zの発現抑制作用を有する化合物Aを、C型肝炎治療薬として一回当たり0.3mg/kg～0.5mg/kgの量にて週一回投与という投与間隔・投与量で用いることは公知であるが、 型の遺伝子型を有するC型肝炎患者の存在はいずれの先行技術文献にも記載されておらず、その示唆もない。また、 型の遺伝子型を有するC型肝炎患者に対し化合物Aを高用量で用いても呼吸困難等の症状を示さないことやC型肝炎ウイルスの増殖が効果的に抑制され顕著なC型肝炎治療作用を示すことについては、出願時の技術水準からは予測できない。

#### 【拒絶理由の概要】

なし。

#### 【解説】

請求項1に係る発明は投与間隔・投与量という治療の態様で特定しようとする医薬発明であって、このような投与間隔・投与量をとることにより、特殊な遺伝子型を有するC型肝炎患者群に対し、従来のC型肝炎患者に対して行い得なかった高用量での薬剤投与が可能となったものである。

そして、このような投与間隔・投与量を用いた場合には、従来の投与間隔・投与量による場合と比較して、C型肝炎治療作用や呼吸困難等の副作用の点で、当該遺伝子型を有するC型

肝炎患者群に特に有効なことが明らかになったことによって、当該遺伝子型を有するC型肝炎患者群が、従来知られていたC型肝炎患者群と異なることが明らかになり、両者を当業者が明確に区別することが可能となったものであるから、請求項1に係る発明は新規性を有する。

なお、疾病状態にある特定の遺伝子型を有する患者群に関し、その患者群に特徴的な酵素活性等の性質を単に発見したことのみでは、当該患者群が従来知られていた患者群と異なることが明らかになったとすることはできず、所定の投与間隔・投与量を見出したことにより、化合物Aを含有するC型肝炎治療薬がこのような患者群に特に有効であることを具体的に示すことが必要である。

また、型の遺伝子型を有する患者に対してこのような投与間隔・投与量を用いた場合における、化合物Aの血中濃度の顕著な上昇や顕著なC型肝炎治療作用といった効果は、従来のC型肝炎治療薬が示す効果と比較して、同質の効果ではあるが際だって優れたものであって、この効果は出願時の技術水準から当業者が予測することができたものではないから、請求項1に係る発明は進歩性を有する。

### **「機械・器具の使用 방법에特徴のある発明」関係**

#### 第II部 第1章 産業上利用することができる発明 2.1(1)

医療機器の作動方法は、医療機器自体に備わる機能を方法として表現したものであり、「人間を手術、治療又は診断する方法」に該当しない。ここでいう医療機器の作動方法には、医療機器内部の制御方法に限らず、医療機器自体に備わる機能的・システム的な作動、例えば、操作信号に従った切開手段の移動や開閉作動あるいは放射線、電磁波、音波等の発信や受信が含まれる。医師の行為(例:医師が症状に応じて処置するために機器を操作する行為)や機器による人体に対する作用(例:機器による患者の特定部位の切開・切除)を含む方法は、ここでいう医療機器の作動方法には該当しない。

### **「最終的な診断を補助するための人体のデータ収集方法の発明」関係**

#### 第II部 第1章 産業上利用することができる発明 2.1(1)

##### 人間を診断する方法

人間を診断する方法には、病気の発見、健康状態の認識等の医療目的で、人間の身体の各器官の構造・機能を計測するなどして各種の資料を収集する方法、及び人間の病状等について判断する方法が含まれる。

以下のものは、人間を診断する方法に該当する。

( )病気の発見、健康状態の認識等の医療目的で、人間の内部若しくは外部の状態、又は、人間の各器官の形状若しくは大きさを計測する方法。

例1: X線により人間の内部器官の状態を測定する方法。

例2: 皮膚のただれ度を測定する方法。

( )人間の各器官の構造・機能の計測のための予備的処置方法。

例: 心電図をとるための電極の配置方法。

ただし、病気の発見、健康状態の認識等の医療目的以外の目的で人間の各器官の構造・機能を計測する方法自体は、ここでいう、人間を診断する方法に当たらない。

例 1: 美容(手術によるものを除く)のために人間の皮膚を測定する方法。

例 2: 服の仕立てのために人間の体格を計測する方法。

例 3: 指輪を作るために人間の指を計測する方法。

(注) 医療機器の作動方法に該当する方法は、ここでいう「人間を手術、治療又は診断する方法」には含まれない。