



神戸大学発バイオベンチャーのイノベーション戦略

山本, 一彦
桑山, 斉
高畑, 豪太郎
三宅, 秀昭

(Citation)

国民経済雑誌, 226(1):11-34

(Issue Date)

2022-07-10

(Resource Type)

departmental bulletin paper

(Version)

Version of Record

(JaLCOI)

<https://doi.org/10.24546/E0042687>

(URL)

<https://hdl.handle.net/20.500.14094/E0042687>



国民経済雑誌

神戸大学発バイオベンチャーの
イノベーション戦略

山 本 一 彦
桑 山 齊
高 畑 豪 太 郎
三 宅 秀 昭

国民経済雑誌 第226巻 第1号 抜刷

2022年7月

神戸大学経済経営学会

神戸大学発バイオベンチャーの イノベーション戦略

山 本 一 彦^a
桑 山 齊^b
高 畑 豪 太 郎^c
三 宅 秀 昭^d

本稿では、国立大学法人神戸大学大学院（以下「神戸大学」という。）科学技術イノベーション研究科から生まれた第1号のバイオベンチャーである株式会社バイオパレット（以下「バイオパレット」という。）を事例として取り上げ、バイオパレットの創業から現在に至るまでの成長過程を、技術戦略、知財戦略、事業戦略及び財務戦略の4つの視点から一連の戦略サイクルとして分析することにより、ディープサイエンス系ベンチャー企業のイノベーション戦略のポイントについて考察を行う（文中敬称略）。

キーワード 技術戦略，知財戦略，事業戦略，財務戦略，戦略サイクル

1 はじめに

1.1 科学技術イノベーション研究科と株式会社科学技術アントレプレナーシップ

2016年4月よりスタートした科学技術イノベーション研究科は、理系の大学院生に、科学技術上のブレークスルー（発見・発明）を生み出す能力に止まらず、ブレークスルーを経済的・社会的な価値の創造、つまりイノベーションにつなげる能力も獲得させることを目標とする独立研究科（大学院）である。

科学技術イノベーション研究科は、神戸大学発ベンチャーの投資育成に特化したシード・アクセラレーター、株式会社科学技術アントレプレナーシップ（以下「STE社」という。）

a 神戸大学大学院科学技術イノベーション研究科，神戸大学大学院経営学研究科，

k_yamamoto@people.kobe-u.ac.jp

b 弁護士法人御堂筋法律事務所，hkuwayama@midosujilaw.gr.jp

c 弁護士法人御堂筋法律事務所，gtakahata@midosujilaw.gr.jp

d 神戸大学大学院科学技術イノベーション研究科，h_miyake@ste-kobe.co.jp

と連携している。STE 社は、2016年2月に設立され、創業期の資金提供だけでなく、教員や学生からの事業化の相談対応を行う。そして、チームビルディングや、事業創造のための技術戦略、知財戦略、事業戦略及び財務戦略の検討を行い、事業計画書の作成を全面的に支援するなど、同研究科で生まれた研究成果を社会実装するための包括的かつ実践的なサポートを行っている。

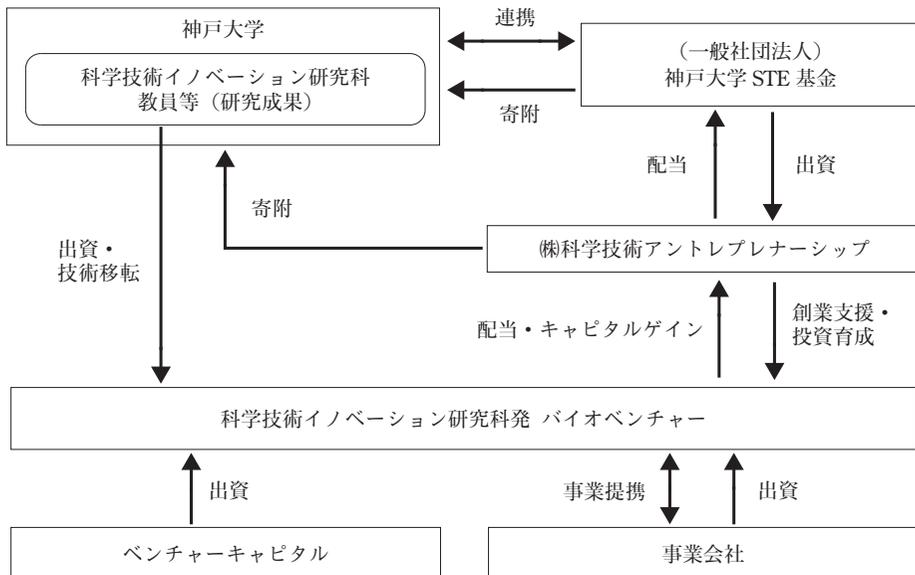
米国サンディエゴでは、カリフォルニア大学サンディエゴ校から生まれたバイオベンチャー、Hybritech 社の大成功が契機となって、短期間にバイオテック・クラスターが形成された。同社の創業メンバーや社員が上場・事業売却で得た資金で設立したスピノフ・ベンチャーの数は、50社以上にのぼるといわれる。このように、米国でのイノベーション・クラスター誕生の背景には、大学発の急成長ベンチャーの存在がある。

科学技術イノベーション研究科は、STE 社との連携の下、後述するスキームを通じて同研究科発バイオベンチャーをできるだけ早期に大成功させ、わが国のバイオエコノミーを牽引しうるベンチャー・エコシステムを構築することを目指している。

1.2 科学技術イノベーション研究科発バイオベンチャーの創出

科学技術イノベーション研究科の主導の下、STE 社と、STE 社に出資する基金「一般社団法人神戸大学科学技術アントレプレナーシップ基金（STE 基金）」が設立され、神戸大学

図1 ベンチャー創出スキームの全体像



(出所) 筆者ら作成

発ベンチャーの創業支援と投資育成を行う体制が整えられた。将来的には、ベンチャー企業が創出した価値の一部を配当やキャピタルゲインの形でSTE社が回収し、その回収資金を大学への寄附やSTE基金への配当に充てることで、大学に直接・間接の2つのルートで還元し、大学における新たな研究開発や教育に活用することを意図している（図1）。

国の拠出資金を元手にベンチャーキャピタルを設立してベンチャー投資を行っている一部の国立大学がある。神戸大学は、国からの資金提供の対象ではない。そこで科学技術イノベーション研究科としては、STE社が、同研究科発のシーズに特化して、事業化の検討段階から関与するシード・アクセラレーター機能を担うことにした。

創業前から関与し、少額の資金提供で創業支援・投資育成を行い、外部投資家等から多額の資金を調達するところまで伴走するという独自のスキームである。事業の体裁が整ってからはベンチャーの企業価値が上がり、投資に相当な規模の資金が必要となるが、創業期であるから1社当たりの投資金額は少額である。

このスキームを通じて、2016年4月の科学技術イノベーション研究科設置以降の5年間で7社のバイオベンチャーを設立した（表1）。このうちの6社は教員の研究成果をシーズと

表1 科学技術イノベーション研究科発バイオベンチャーの概要

社名	資本金	概要（2022年2月現在）
㈱バイオパレット 設立：2017年2月	15.4億円 (資本準備金含)	ゲノム編集ベンチャー 2020年、国内最大手VCに対する第三者割当増資を行い、10億円の追加資金調達を実現。2020年、神戸ポートアイランド内にある「神戸クリエイティブラボ（CLIK）」に、商用ラボを立ち上げた。
㈱シンプロジェン 設立：2017年2月	17.8億円 (資本準備金含)	DNA合成ベンチャー 2019年に10億円の資金調達を実現。2020年、CLIKに商用ラボ/ファクトリーを立ち上げた。2021年末、約6.7億円の資金調達を実現。
ViSpot(株) 設立：2017年9月	4,000万円	ウイルス安全性評価機関 コロナ禍の影響はあるものの、バイオ創業市場の基調は底堅く、バイオ創業を行う全ての国内製薬企業から受注獲得。
アルジー・ネクサス(株) 設立：2019年1月	400万円	微細藻類関連バイオベンチャー 神戸大学と台湾・成功大学の研究成果を事業化。
㈱シンアート 設立：2019年3月	1,000万円	合成バイオ・合成化学関連ベンチャー 2020年、大手化学メーカーと戦略的提携に基づくマイルストーン収入により、2020年度（創業2期目）で黒字化を実現。
㈱バックス・バイオイノベーション 設立：2020年3月	7.6億円	統合型バイオファウンドリー 2021年2月に12億円の資金調達を実施。CLIKに商用ファクトリーを立ち上げた。現在、大型の資金調達を実施中。
㈱イムノロック 設立：2021年4月	1,970万円 (資本準備金含)	創薬ベンチャー 経口癌ワクチン等、複数の有望なパイプラインを持つ。シリーズAファイナンス計画中。

（出所）各社の公開情報等を基に筆者ら作成

しており、バイオパレットはそのうちの1社である。そして残りの1社は、同研究科博士課程後期課程に在籍していた学生（第1期生、2021年3月に博士号取得）が起こしたバイオベンチャーである。

本稿の筆者である山本は、科学技術イノベーション研究科及びSTE社によるシード・アクセラレーターという独自スキームの構想時から関わり、同研究科において教職を務めるとともにシード・アクセラレーターとして創業支援・投資育成のすべてに主導的に関与し、三宅は、STE社の代表取締役として、設立したバイオベンチャーの支援に携わってきた。桑山は、その所属する弁護士法人御堂筋法律事務所として、同研究科及びSTE社の構想時からその法的サポートを行い、同事務所に所属し、バイオパレットを含む設立した複数社の社外監査役を務める高畑とともに、創業支援・投資育成における法務を担ってきた。

以下では、筆者らの知見をもとに、設立各社のうち現時点で事例研究に最も適したバイオパレットについて紹介する。

2 神戸大学発バイオベンチャーの事例研究

～バイオパレットのイノベーション戦略～

2.1 遺伝子工学技術¹⁾の発展とゲノム編集技術²⁾の誕生【技術戦略】

2.1.1 遺伝子組換え技術³⁾の発展と産業化

遺伝の基本物質となるDNAの2重らせん構造³⁾がJames WatsonとFrancis Crickによって解明されたのは、1953年のことである。この発見によって、生命現象を分子レベルで解明する分子生物学が幕を開けた。1970年代後半には、DNAの塩基配列を決定するシーケンス技術が開発された。その後、シーケンス技術は継続的に発展していき、1990年に始まったヒトのゲノム⁴⁾を解読することを目指したヒューマンゲノムプロジェクトは、10年以上の歳月をかけて2003年に30億塩基対におよぶヒトのDNAの全塩基配列の解読を完了した。

そして、この間、DNAを意図的に操作する遺伝子工学技術も発展していった。1960年代から1970年代前半にかけて遺伝子組換えの基礎となる技術が確立され、複数の産業に応用されていった。例えば、医療の分野では遺伝子組換え技術を利用して製造されたインスリンやインターフェロンなどのタンパク質製剤、農業分野では遺伝子組換え作物が実用化され、大きな産業を形成するとともに、社会に多大な恩恵をもたらした。

これらのバイオテクノロジーの産業化の先駆者となった企業のひとつが、米国バイオベンチャーのGenentech社である。Genentech社は、カリフォルニア大学サンフランシスコ校の科学者Herbert BoyerとベンチャーキャピタリストのRobert Swansonによって、1976年に設立された。Boyerがスタンフォード大学のStanley Cohenと共同で開発した遺伝子組換え技術がGenentech社の基盤となっていた。Genentech社は、当時最先端の科学技術であっ

た当該技術をもとに、世界で初めての遺伝子組換え技術を利用した医薬品となるヒトインスリン製剤を開発し、1982年に米国において上市した。その後も、成長ホルモンやインターフェロン、さらには抗体に至るまで、科学技術を基盤として多くのバイオ医薬品を生み出し、遺伝子工学による医療産業を新たに創造していった。このように Genentech 社は、不確実性の高い科学技術の事業化に取り組むバイオベンチャーのパイオニアとなり、その後のバイオテクノロジー企業は Genentech 社をモデルとして発展していった。

そして、Cohen と Boyer が開発した遺伝子組換え技術は、Genentech 社のみならず、その他多くのバイオベンチャーや製薬企業の製品開発に寄与した。それを可能とした背景には、スタンフォード大学によるこの技術に関する戦略的な特許管理があった。この特許は技術開発者の名前にちなみ、Cohen-Boyer 特許と呼ばれていた。Cohen-Boyer 特許は、バイオテクノロジーの分野において、アカデミアで生まれた科学技術を実用化して社会に価値を提供するとともに、アカデミアに収益をもたらす構造を生み出した。そして、特許によって得られたライセンス収入は、アカデミアにおける新たな研究に再投資され、ベンチャー・エコシステムとなった。

2.1.2 ゲノム編集技術の登場

ゲノム編集と呼ばれるカテゴリーの技術が最初に登場したのは1994年のことである。この技術はジンク・フィンガー・ヌクレアーゼ (ZFN) と呼ばれ、塩基配列を特異的に認識するタンパク質を連結させた複合体によって DNA 上の特定領域を標的化し、ヌクレアーゼ⁵⁾と呼ばれる酵素によって、標的化した部分の DNA を切断するというものである。切断された DNA は細胞が備える修復機構によって修復されるが、その際に一定確率で起こるエラーを利用して DNA の配列を編集する。さらに、2010年には第二世代のゲノム編集技術といわれるタレン (TALEN) が発明された。TALEN も ZFN と同様に、タンパク質によって塩基配列を認識するシステムであり、それによって DNA 上の特定領域を標的化し、DNA を切断する技術である。これら 2 つの技術は、研究分野としては注目されたが、広い普及には至らなかった。その要因は、標的化に使用するタンパク質の設計が複雑かつ専門的であり、その構築に多大な時間とコストがかかるという点であった。

そして、TALEN の登場からわずか 2 年後に、CRISPR/Cas9 (以下「CRISPR」⁶⁾ という。) と呼ばれる第三世代のゲノム編集技術が、国籍も専門性も異なる 2 人の科学者の共同研究によって発明された。その科学者とは、カリフォルニア大学バークレー校の生化学者 Jennifer Doudna と、スウェーデンのウメオ大学 (2012年当時) の微生物学者 Emmanuelle Charpentier である。CRISPR は細菌が有する免疫システムであり、細菌内に侵入してきた外来のウイルスを特異的に検知してウイルスの DNA を切断するというシステムである。このシステムの

全容を解明し、ゲノム編集ツールとしての可能性を示したことが第三世代のゲノム編集技術の誕生であった。

CRISPR は、ZFN や TALEN と同様に、DNA の特定領域を標的化する要素と、標的化した部分の DNA を切断する要素の 2 つから構成される。しかし、DNA を標的化する要素が、ZFN や TALEN では設計が複雑なタンパク質であることに対し、CRISPR では RNA であることに大きな違いがある。DNA と RNA の結合は相補的なものであり、標的化する DNA 配列が決まれば RNA は自動的に決まるため、RNA の設計は極めてシンプルである。また、CRISPR に必要とされる長さの RNA (100塩基程度) の合成技術は既に存在しており、構築も短期間で行うことが可能であった。すなわち、CRISPR の特徴はコストの低さと簡便性にあり、世界中の研究者がゲノム編集技術を分け隔てなく使用できるようになったのである。こうした背景により、CRISPR が Science 誌に発表された2012年6月を境に、ゲノム編集技術が世界中の研究室に爆発的に普及していくこととなった。CRISPR を開発した Doudna と Charpentier の 2 人は、2020年にノーベル化学賞を受賞している。

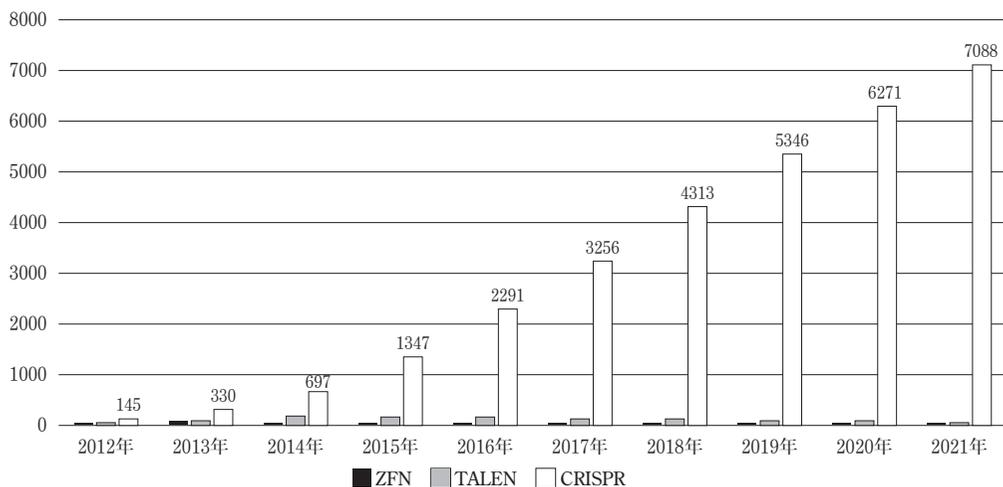
CRISPR の基礎的技術の確立においては、もう一人重要な科学者が存在する。ハーバード大学とマサチューセッツ工科大学が共同で設立した研究機関であるブロード研究所の Feng Zhang である。Zhang は、元々細菌の有するシステムである CRISPR がヒトを含む哺乳動物の細胞においても機能することを立証し、その成果は CRISPR の発表から僅か約半年後の2013年1月に Science 誌に掲載された。

2.1.3 世界的な研究開発競争とゲノム編集技術の進化～塩基編集技術の登場～

CRISPR はコストの低さ、実験操作の簡便さなどから、短期間の間に世界中の研究室で使用されるようになった。それは、CRISPR の応用や改良について、研究開発競争が激化していくことを意味していた。2012年にゲノム編集技術としての CRISPR が発明されて以降、CRISPR 関連の科学論文の数は爆発的に増加し、2021年においては全世界で7,000報以上の CRISPR 関連の論文が発表されている (図2)。

世界的に注目され、絶大な影響力をもつ CRISPR であるが、ゲノム編集技術の改良も大きく進んでいる。その代表例が塩基編集である。塩基編集はゲノム編集の一種であり、DNA の 2 本鎖を切断することなく、CRISPR よりも正確かつ効率的にひとつの塩基を別の塩基に置き換えることを可能とする技術である。塩基編集は、ハーバード大学の David Liu が2016年4月に Nature 誌に、神戸大学の西田敬二が2016年8月に Science 誌に発表したことで、次世代型のゲノム編集技術として新たな注目を集めるようになった。西田が開発したこの塩基編集技術こそが、現在のバイオペレットのコア技術となっている「Target-AID⁷⁾」である。

図2 ゲノム編集関連の科学論文数の推移（2012年～2021年）



（出所）PubMedの検索機能により、TitleまたはAbstractに“ZFN”、“TALEN”、“CRISPR”を含む論文数を検索し、筆者ら作成。

2.2 知的財産の争奪戦【知財戦略】

2.2.1 CRISPR 基本特許と係争

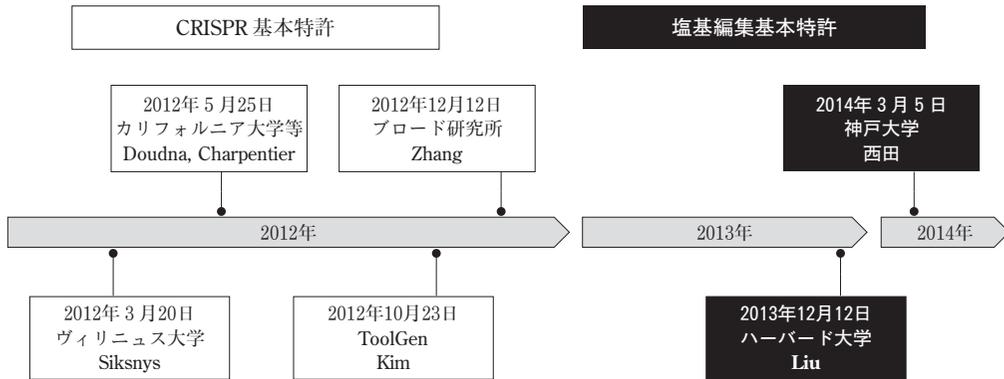
ゲノム編集が生み出す価値の大きさを反映する形で、熾烈な知的財産の争奪戦が繰り広げられている。ゲノム編集関連の特許は全世界で累計約2万件が出願されているが、ゲノム編集の市場参入に必須とされる基本特許と位置付けられる特許が存在し、その基本特許を有する少数の機関が中心となって産業化の構図が形成されている（医療分野における産業化の構図を後述する（2.4.1.））。

CRISPRにおいては、ヴィリニウス大学（リトアニア）、カリフォルニア大学（米国）等、ToolGen社（韓国）、ブロード研究所（米国）がそれぞれ出願している4つの特許がCRISPR基本特許と呼ばれている（図3）。特に、最初にCRISPRによるゲノム編集を発表したDoudnaの所属するカリフォルニア大学等と、哺乳動物細胞におけるより実用的なゲノム編集を発明したZhangの所属するブロード研究所がそれぞれ出願している特許が産業化の要であると目されているが、2者はCRISPR基本特許の覇権を巡って激しく争っており、米国での権利化において法廷闘争に発展している。2022年2月現在においてもこの係争の完全な決着はついておらず、科学界、産業界の双方から係争の経過と帰趨が注目されている。

2.2.2 塩基編集基本特許

塩基編集においては2者が基本特許を有している。Liuの所属するハーバード大学と、西田の所属する神戸大学である（図3）。神戸大学は、西田が開発した塩基編集技術である

図3 CRISPR 基本特許と塩基編集基本特許



(注) 各特許について、上段から「出願日（優先日）」、「出願人」、「主な発明者」を示している。

(出所) 各特許の公開公報等を基に筆者ら作成

「Target-AID®」について2014年3月に日本国内で特許を出願しており（1年後となる2015年3月にPCT出願⁸⁾）、これが塩基編集における基本特許となっている。

上述したとおり、ゲノム編集分野での基本特許は少数の機関が保有しており、ハーバード大学・マサチューセッツ工科大学を中心とするボストンに拠点を有するグループ及びカリフォルニア大学グループの米国勢2グループが力を発揮する中、この一角を神戸大学が確保したことは、日本におけるゲノム編集の産業化基盤の形成において極めて大きな意義を有する。

2.3 バイオパレットの設立とシードファイナンス【事業戦略】【財務戦略】

2.3.1 設立と技術移転

2017年2月、バイオパレットは、西田が中心となって開発した塩基編集技術を技術シーズとし、その事業化を目的として設立された。バイオパレットは、STE社による神戸大学発バイオベンチャー創業支援スキームを利用して生まれた第1号のバイオベンチャーとなり、代表取締役には、バイオテクノロジーを専門とするベンチャーキャピタリストとして複数のベンチャー企業の創業経験を有する村瀬祥子が就任した。

そして、創業から約3か月後となる2017年5月に、塩基編集基本特許を含む複数の関連特許について神戸大学との間で実施許諾契約を締結することで、神戸大学からバイオパレットへの技術移転を行った。かかる技術移転とその内容は、大学発ベンチャーのすべての始まりであり、その後の成長を支える基盤として重要である。

2.3.2 シードファイナンス

バイオパレットは、神戸大学との実施許諾契約締結とほぼ同時期に、Eight Roads Ventures Japan⁹⁾（以下「Eight Roads」という。）及びF-Prime Capital Partners¹⁰⁾（以下「F-Prime」という。）を引受先とする第三者割当増資により、総額約4億円のシードラウンドの資金調達を実施した。Eight Roads及びF-Primeは、ともに米国系のベンチャーキャピタルであり、この資金調達は、設立後数か月での億単位の資金調達である点、外資系のベンチャーキャピタルからの出資である点において、日本のバイオベンチャーの資金調達としては異色のものであった。また、このシードファイナンスは、一般的な事業計画の実行ではなく、神戸大学から移転された技術をもとに、まず知財基盤を固めることを目的とした資金調達であった。ゲノム編集の分野では強固な知財基盤なくして事業展開が図れず、またその基盤構築においては最先端テクノロジーであるゲノム編集の技術戦略と融合した高度な知財戦略が求められていたためである。

初回の資金調達によって活動資金を得たバイオパレットは、会社の初期体制を整えた。初回の資金調達完了時点での役員体制は、創業メンバーであった村瀬祥子、西田敬二、近藤昭彦、STE社の三宅（2019年2月にSTE社の山本に交代）の4名の取締役、創業時に監査役に就任した弁護士の高畑に加え、出資により株主となったEight RoadsおよびF-Primeからそれぞれ1名が取締役に就任した。

さらに、翌2018年6月には、ARCH Venture Partners¹¹⁾（以下「ARCH」という。）から追加で約1.5億円の資金調達を行うことで、シードラウンドの資金調達を完了した。

後述するとおり、F-PrimeとARCHは、既に米国のゲノム編集関連のバイオベンチャーへ投資を行っており、バイオパレットがこれら2社を増資引受先として選択したことは、米国での事業展開を見据えた戦略的な意図に基づくものであった。

2.4 強固な知財基盤の確立【技術戦略】【知財戦略】

2.4.1 医療分野におけるゲノム編集の権利関係

ゲノム編集は、遺伝子の変異が原因となる遺伝性の疾患治療、細胞を利用する癌免疫療法など、治療法のない疾患や治療満足度が低い疾患に対する革新的治療法を実現するものとして大きな期待が寄せられており、医療分野はゲノム編集の実用化が最も積極的に取り組まれている分野である。医療応用は高度に専門的な内容であり、ZFNの特許を有するSangamo Therapeutics社、TALENの特許を有するCollectis社、及びCRISPR基本特許または塩基編集基本特許の独占的实施権を獲得した4つのバイオベンチャー（表2）が、ゲノム編集技術の医療分野への応用を牽引している（図4）。

バイオパレットと同じく塩基編集を基盤技術とするBeam Therapeutics（以下「Beam社」

表2 CRISPR, 塩基編集の医療応用を目指すバイオベンチャー（4社）

社名	Editas Medicine	CRISPR Therapeutics	Intellia Therapeutics	Beam Therapeutics
基盤技術	CRISPR	CRISPR	CRISPR	塩基編集
創業年	2013年	2013年	2014年	2017年
本社所在地	米国（マサチューセッツ州ケンブリッジ）	スイス	米国（マサチューセッツ州ケンブリッジ）	米国（マサチューセッツ州ケンブリッジ）
上場	2016年2月 NASDAQ	2016年10月 NASDAQ	2016年5月 NASDAQ	2020年2月 NASDAQ
上場までの 資金調達総額	\$210M	\$127M	\$85M	\$222M
上場時の 資金調達総額	\$94M	\$56M	\$108M	\$173M
時価総額 (2022年2月28日時点)	\$1.17B	\$4.73B	\$7.36B	\$5.34B
従業員数 (2022年2月28日時点)	264人	473人	485人	341人

(注) CRISPR Therapeutics 社はスイスのツークに本社を有しているが、米国マサチューセッツ州ケンブリッジにも拠点を有しており、研究開発は主に米国で行われている。

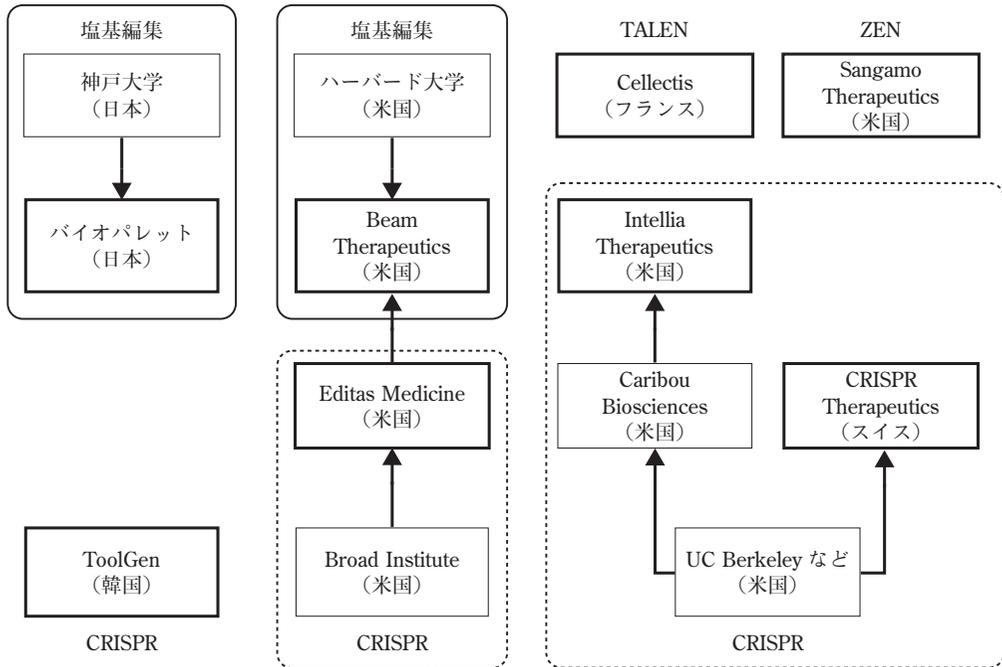
(出所) Crunchbase および Yahoo! Finance のデータを基に筆者ら作成。

という。)は、ハーバード大学の Liu の塩基編集技術の医療応用を目指すバイオベンチャーとして2017年に設立された。2018年5月には、シリーズAの資金調達として、2社の米国有力ベンチャーキャピタルから総額87百万ドルの巨額の資金調達を実施している。そのうちの1社はバイオパレットの出資者でもあった F-Prime であり、もう1社は Beam 社への出資直後にバイオパレットの出資者となる ARCH であった。

ベンチャー企業にとって、知財係争や訴訟のリスクを減らすことは、成長戦略上、極めて重要な点であるが、カリフォルニア大学グループとブロード研究所による CRISPR 基本特許を巡る係争には何年にもおよぶ時間と多額の費用を要しており、それぞれの特許技術を基に設立されたバイオベンチャーもその係争の影響を受けていた。ブロード研究所の CRISPR 基本特許の医療分野での独占的实施権を確保している Editas Medicine 社の IR 資料によると、同社は特許関連に年間で約20百万ドルから30百万ドルの費用を支出しており、この中には CRISPR 基本特許の係争関連の費用が含まれていると推測される。また、同社の米国証券取引委員会への提出資料には、CRISPR 基本特許の係争の帰趨や特許関係の支出の不確実性がリスクファクターとして記載されている。

CRISPR 基本特許における状況と、塩基編集においてもハーバード大学と神戸大学の2つの基本特許が存在することを踏まえると、バイオパレットが神戸大学の塩基編集技術を活用した事業開発を進めていくにあたり、ハーバード大学の塩基編集技術に関する知的財産についての対処方針を検討することは避けて通れない重要な課題であり、バイオパレットとして

図4 医療分野の主なプレーヤーと権利関係



(出所) 各社の公表情報を基に筆者ら作成

は、CRISPR 基本特許に関して生じているような係争を回避することが必要不可欠と考えた。

2.4.2 独占的クロスライセンス契約

投資家が共通している Beam 社とバイオパレットは、当初より、互いに係争を避けて何らかの形で手を組むことを念頭に置いていた。Beam 社は塩基編集技術によるヒトの疾患治療法開発を目的として設立されたベンチャー企業であることから、Beam 社がハーバード大学から実施許諾を受けている範囲は自らの事業領域であるヒト治療分野に限定されており、Beam 社にとって医療以外の事業を行うという選択肢は存在しなかった。一方で、バイオパレットが神戸大学から実施許諾を受けている範囲には、分野の限定はされていなかった。つまり、バイオパレット側からみた場合には、「医療分野全体について Beam 社へライセンスアウトする一方方向のライセンス契約」と、「医療分野を2つの領域に切り分けて、自らが選択しない領域については相手に独占的実施許諾を相互に与えるクロスライセンス契約」の2つの選択肢が存在した。

結論としては、バイオパレットは Beam 社とのライセンスの形態を独占的クロスライセンス契約とすることを選択した。クロスライセンスとすることによって、Beam 社の保有して

いる権利も含めて塩基編集に関する知的財産を集約し、自らが選択した領域では自社の事業を安全に進められる強固な知財基盤を構築できるためである。

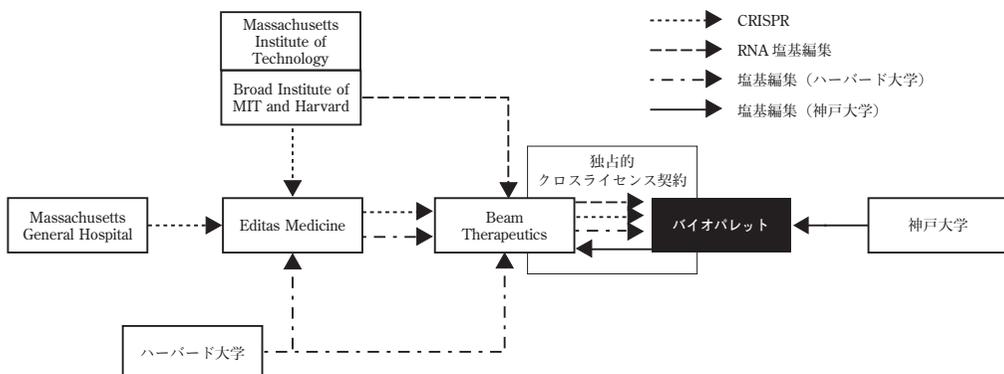
この2社の契約交渉において最も重要なポイントは、それぞれの事業領域をどのように設定するかである。2019年3月に締結された独占的クロスライセンス契約（図5）では、「マイクロバイーム治療（塩基編集による編集対象を微生物とするヒト治療）」についてはバイオパレット、「マイクロバイーム治療を除くヒト治療（塩基編集による編集対象をヒト細胞とするヒト治療）」についてはBeam社の事業領域として定められた。

この契約は、米国機関・企業により知的財産権が支配され、日本企業が事業化を進めるための障壁が極めて高かったゲノム編集分野において、マイクロバイームというひとつの分野について事業化の基盤となる知的財産権を日本企業が独占的に確保するという画期的な契約であった。バイオパレットはこの時点において、塩基編集を利用してマイクロバイーム分野の事業化に取り組むことができる事実上の世界で唯一の企業となった。

バイオパレットが「マイクロバイーム治療」を自社領域として選択した背景には、CRISPRでは技術的に細菌を対象とする編集が難しいことから塩基編集の独自性を発揮できる領域であるとともに、神戸大学の塩基編集技術のラインナップとして、ハーバード大学側にはない「Target-G[®]」¹²⁾と呼ばれる育種技術を有していたことから、「微生物を対象とした育種・改変」がバイオパレットとして強みを発揮できる領域であるとの判断があった。

なお、Beam社は、バイオパレットとのクロスライセンス契約の締結とほぼ同時期である2019年3月に、総額135百万ドルにおよぶシリーズBラウンドの資金調達¹³⁾の完了を発表している。これらの事実は、Beam社の今後の事業活動において、バイオパレットとのクロスライセンス契約の締結が投資家の目から見て極めて重要であったと推察されるものであり、また同時に、外部から見たバイオパレットの技術的価値の高さを裏付けるものでもあった。

図5 バイオパレットとBeam社の独占的クロスライセンス

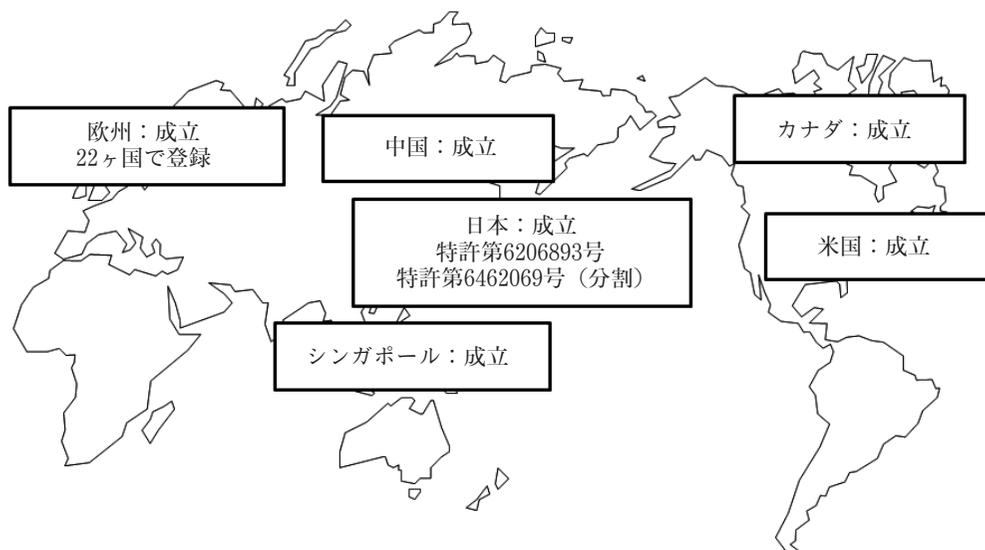


（出所）バイオパレットのウェブサイト及びBeam社のIR情報等を基に筆者ら作成

2.4.3 塩基編集基本特許の各国での成立

バイオパレットは、神戸大学の塩基編集技術の実施権の確保と Beam 社とのクロスライセンス契約の締結によって、世界と戦える知財基盤を整えたと言えるが、別の重要な課題として、バイオパレットが実質的に管理している神戸大学側の特許を確実に成立させていくことが必要であった。当然ながら、その中で最も重要となる特許は、塩基編集の基本特許と位置付けられる特許（国際出願番号：PCT/JP2015/056436）であった。この点については、次のとおり相次いで特許が成立した。当該特許は、まず2017年8月に日本において成立した。続いて、2017年10月にシンガポール、2019年6月に欧州、2019年12月に中国、2020年3月に米国、そして2020年9月にカナダで成立し、世界の主要各国を着実にカバーしていった（図6）。また、権利を成立させるだけでなく、ほぼ全ての成立国で分割出願が行われており、今後起こり得る事態に柔軟に対応できるように戦略的にかつ手厚く知財基盤が整えられた。

図6 神戸大学の塩基編集基本特許の成立国



（出所）PCT/JP2015/056436 の情報を基に筆者ら作成

医療分野において重要な市場となるのは米国である。したがって、バイオパレットは知財基盤の確立において、米国での基本特許成立を重要視していた。神戸大学の塩基編集基本特許の米国での審査履歴によれば、約3年間にわたる頻繁な審査対応の末、2020年3月に特許査定通知が出され、2020年5月に特許が登録されている。

また、欧州では米国に先行して特許査定となっており、22ヶ国において登録されている。22ヶ国での登録は、一般的な観点では非常に手厚いものであるが、ブロード研究所の

CRISPR 基本特許の欧州登録国と一致する形となっており、バイオパレットがハーバード大学・マサチューセッツ工科大学グループとのグローバルな連携も意図して塩基編集基本特許の管理を行っていることが窺える。

2.4.4 新たな特許出願

神戸大学は塩基編集の関連技術の研究を進展させ、「Target-AID®」及び「Target-G®」に加えた3つ目のコア技術となる「Target-Switch¹⁴⁾」や、より実用性を考慮した「Target-AID®」に使用する酵素の小型化」などの技術を開発し、新たな特許出願を継続的に実施している。すなわち、バイオパレットは神戸大学との連携によって、塩基編集の特許ポートフォリオを構築し、知財基盤をより強固なものとしている。神戸大学単独ではこのような知財戦略を実行できないので、この事例は、アカデミアとベンチャー企業との連携が最先端分野における競争力の維持につながっている好例であるといえる。

2.5 事業戦略における基本方針～ゲノム編集×マイクロバイオーム～

【技術戦略】【事業戦略】

2.5.1 マイクロバイオーム分野の事業環境

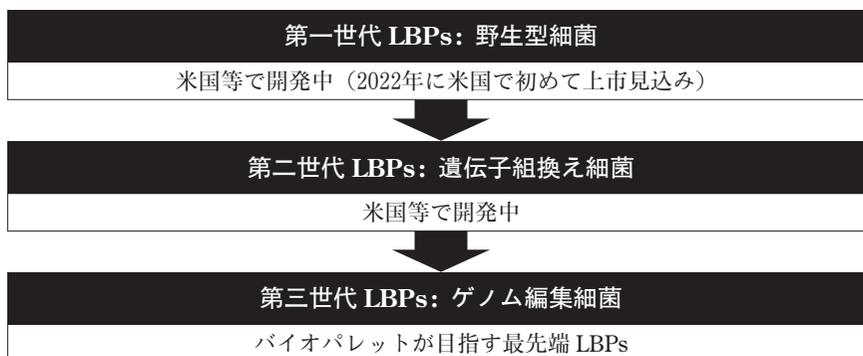
ヒトの体の中に存在する細胞のうち70～90%はヒトの細胞ではなく細菌の細胞である。例えば腸内には約1000種類、約100兆個もの細菌が存在し、これらの細菌の状態やバランスが健康状態と深く関わっている。近年の研究では、腸内細菌が癌やメタボリック・シンドローム、精神神経系疾患など多数の全身の疾患に関わっていることが示唆される成果が世界中で発表されている。そして、腸のみならず、口腔、皮膚、膣などヒトの体の多くの部分において細菌が集団を形成して（マイクロバイオームと呼ばれる）人間と共存し、人間の健康と密接に関わっている。これに対して、マイクロバイオームを調整することで、疾患状態や健康状態の改善を行おうとするコンセプトがマイクロバイオーム治療である。

マイクロバイオームの調整は、従来からプロバイオティクス¹⁵⁾などを中心として行われてきたが、近年、特に細菌を医薬品として投与する Live Biotherapeutic Products（以下「LBP¹⁶⁾s」という。）が注目され、低分子や抗体に続く次世代の医薬品モダリティのひとつとなると言われている。2010年頃からマイクロバイオーム治療へ取り組むバイオベンチャーが出現し、この分野のベンチャー投資額は年々増加している。2017年にはグローバルで年間約500百万ドルの投資がなされ、そのうちのほとんどは米国で行われている。FDA（アメリカ食品医薬品局）は、マイクロバイオーム治療開発の興隆を受け、2018年8月にLBP¹⁷⁾sに代表される Microbiome-based Product¹⁸⁾の審査を促進する体制を整えることを声明として発表した。

2.5.2 ゲノム編集による次世代マイクロバイオーム治療

マイクロバイオーム治療の分野では、米国を中心として野生型の細菌を用いる LBP の開発が先行しており、2022年には米国で初の LBP が承認される見通しとなっている。また、より先進的な LBP として、遺伝子組換え細菌（従来の遺伝子組換え技術を利用して創出される）を用いる LBP の開発も米国等で進められている。これらをそれぞれ第一世代 LBP、第二世代 LBP とすると、ゲノム編集によって精密・正確な編集を施して治療効果を付与した細菌を利用する第三世代 LBP を開発するということがバイオパレットのマイクロバイオーム治療における基本戦略である（図 7）。

図 7 マイクロバイオーム治療の潮流とゲノム編集による次世代 LBP



（出所）バイオパレットのウェブサイト等からの情報を基に筆者ら作成

2.5.3 塩基編集による細菌改変の技術 POC 試験

バイオパレットがマイクロバイオーム治療に取り組むにあたり最初に行うべきことは、バイオパレットの塩基編集技術によってマイクロバイオームを構成する細菌を実際に改変できることを示すことであった。ゲノム編集はヒトの細胞を含む哺乳動物細胞や植物細胞、酵母などの真核細胞での応用事例が多数報告されていたが、原核細胞である細菌を対象とする応用事例は限られていた。その理由は、CRISPR などの DNA の 2 本鎖を切断するゲノム編集技術では、細菌への毒性が強く、細菌を対象とする効率的な遺伝子改変が難しいことにあった。また、塩基編集による細菌改変についても、ほとんど事例は報告されていなかった。

そこで、第三世代 LBP の実現への第一ステップとして、塩基編集による細菌改変が技術的に実行可能であることを検証する試験（技術 POC 試験）が Beam 社とのクロスライセンス契約の締結後に開始された。その結果、複数の腸内細菌や口腔内細菌において特定の遺伝子を標的として塩基編集が可能であることが実証され、現在も技術 POC のデータが蓄積されていっている。

2.6 シリーズ A ファイナンス【財務戦略】

Beam 社とのクロスライセンス契約の締結によって知財基盤を固め、自社の事業領域を定めたバイオパレットは、シリーズ A ファイナンスに向けた活動を開始した。資金調達先となる投資家としては、国内最大手のベンチャーキャピタルである株式会社ジャフコ（現ジャフコグループ株式会社。以下「ジャフコ」という。）が第一候補となった。バイオパレットと同じく STE 社による神戸大学発バイオベンチャー創業支援スキームを利用して設立された株式会社シンプロジェンが、2019年5月にジャフコから10億円の資金調達を実施していたことが先例となり、ジャフコが有力な候補となった。

資金調達活動を進める間にも、技術 POC 試験の進捗、基本特許の米国での成立、コア技術のひとつである Target-Switch の日本での特許成立など、バイオパレットの技術戦略、知財戦略は順調に進展していった。そして、2020年9月、10億円をジャフコが組成する投資事業有限責任組合から調達する投資契約について合意が成立し、契約が締結された。その直後、新たに株主となったジャフコから2名が取締役として就任した。

2.7 戦略のアップデート【技術戦略】【知財戦略】【事業戦略】

2.7.1 研究拠点の移転・拡張と経営体制の強化

バイオパレットは、2018年3月以降、神戸市のポートアイランド地区（神戸市中央区）の医療産業都市内にある神戸医療イノベーションセンター（KCMI）内に自社研究施設を構えていたが、技術 POC 試験の順調な進展を受け、第三世代 LBP の研究開発をさらに加速するべく、2020年10月に KCMI の隣接地に開設されたクリエイティブラボ神戸（CLIK）への研究施設の移転・拡張を行った。移転前と比較すると面積は2倍以上（約 380m²）となり、ゲノム編集の研究設備に加え、マイクロバイオーム関連の専門的実験を行う各種設備が整えられた。その後もさらなる研究活動の増大と本社の神戸大学構内（神戸市灘区）から CLIK への移転により増床し、2022年2月時点においてバイオパレットのエリアは合計約 520m² となっている。同施設には神戸大学科学技術イノベーション研究科発の別のバイオベンチャー（株式会社シンプロジェン及び株式会社バックス・バイオイノベーション）も入居しており、先端的な合成生物学（デジタル×バイオ）の技術・設備が結集した世界的にみても特徴的な開発拠点となっている。

CLIK への研究所移転とともに人員も増加し、現在（2022年2月末時点）のバイオパレットの社員数（業務執行を行う取締役を含む）は17名となっている。その内訳は、業務執行を行う取締役として、村瀬祥子（代表取締役）、奥村亮（取締役 Chief Scientific Officer 兼 Chief Business Officer）、岩田清和（取締役）の3名、研究開発スタッフ12名、本社スタッフ2名である。奥村は国内大手製薬企業においてマイクロバイオームを対象とする治療薬の研究開

発を主導してきたマイクロバイオーム創薬の専門家であり、2021年12月にバイオパレットへ加入した。奥村の加入によって、バイオパレットは経営体制を強化するとともに、本格的なパイプライン開発と事業開発に向けた戦略のアップデートを開始している。

バイオパレットは、この段階に至って、財務戦略を含む各戦略を自力で決定し、遂行できる体制となったのであり、STE社は伴走を続けるものの取締役には加わらず、少し距離を取って自立を見守ることとした。

2.7.2 ゲノム編集技術のさらなる進化と新たなゲノム編集ベンチャー企業の出現

ハーバード大学のLiuと神戸大学の西田が2016年に塩基編集を発表して以降も、ゲノム編集領域の研究は進展を続けている。Liuのグループは、Prime Editing（プライム編集）と呼ばれるゲノム編集を新たに開発し、2019年10月にNature誌にて発表した。プライム編集は塩基編集と同様に、DNAの2本鎖を切断しないゲノム編集であるが、塩基編集が1塩基のみを置き換えるのに対して、プライム編集は一定の長さの塩基配列を細胞内で書き換えることができる技術である。開発者のLiuは、CRISPRをハサミ、塩基編集をエンピツ、プライム編集をワープロに例えることで、それぞれの技術の特徴を説明している。プライム編集を活用すれば、複数塩基の欠失などが原因となる遺伝性疾患の治療にも途が開けることになると考えられている。

プライム編集を基にしてPrime Medicine社が設立され、2021年7月には、ARCHとF-Primeをリードインベスターとする総額315百万ドルのシリーズA及びシリーズBファイナンスが発表された。¹⁹⁾ そのプレスリリースでは、Prime Medicine社が2021年末までに100人以上のフルタイム従業員を雇用する予定であることも記載されていた。

ARCHと並びライフサイエンス分野において最も著名な米国ベンチャーキャピタルであるFlagship Pioneeringも、Gene Writingと呼ばれる一定領域のDNAを書き換えられる技術を基にTessera Therapeutics社を設立し、同社は2021年1月に230百万ドルの資金調達を行った。²⁰⁾

また、ゲノム編集技術の進化を示す事例として、ゲノム編集ベンチャー企業同士によるM&Aも見られている。カリフォルニア大学のCRISPR基本特許の実施許諾を受けているIntellia Therapeutics社（表2及び図4に記載）は、ゲノム編集ベンチャー企業であるRewrite Therapeutics社の買収を2022年2月に発表した。²¹⁾

2.7.3 遺伝子治療におけるBeam社の進展と戦略

バイオパレットがクロスライセンス契約を締結したBeam社は、競争の激しい遺伝子治療分野で大きな存在感を示している。Beam社は自社パイプラインの製造のために、ベン

チャー企業としては異例となる自社製造設備に5年間で最大83百万ドルの投資を行うことを2020年8月に発表した。²²⁾ また、2021年2月には、塩基編集の体内でのデリバリー手段として脂質ナノ粒子 (Lipid Nano-Particles: LNP) の技術を有する Guide Therapeutics 社を120百万ドルで買収した。²³⁾ 製造設備とデリバリー技術の獲得は、Beam 社が遺伝子治療における一貫したプラットフォームを自社内に構築していることを意味する。この戦略の成果であると考えられるが、Beam 社は、2022年1月、希少疾患を対象とした *in vivo* 塩基編集プログラムに関して、Pfizer 社と4年間の独占的研究協力契約を締結した。²⁴⁾ このプログラムでは、mRNA と LNP によって塩基編集を標的臓器に送達する Beam 社の独自技術を活用するとされている。この契約によって、Beam 社は300百万ドルの一時金を Pfizer 社から受け取り、マイルストーンは最大1,350百万ドルとなる可能性がある。

2.7.4 マイクロバイオーム治療におけるバイオパレットの戦略アップデート

米国におけるゲノム編集技術の継続的な進歩や、それらの技術をもとにした新たなベンチャー企業の出現は、バイオパレットにとって脅威となる可能性がある。一方、米国において初の LBP の承認・上市が予想される2022年を含む数年間は、バイオパレットの目指す次世代 LBP への期待が高まる絶好の機会となり得る。「ゲノム編集」×「マイクロバイオーム」における外部環境を踏まえ、これまでに構築してきた技術戦略、知財戦略、事業戦略及び財務戦略を土台として、その上に積み上げていく戦略 (医薬品開発に特化した戦略) のアップデートが求められる。

現在バイオパレットでは、米国を中心として先行して開発が進んでいる LBP における課題をゲノム編集によって解決し、より優れた治療効果を生み出す LBP を創り出す創薬戦略 (技術戦略) の構築と、その検証に向けた準備が進められている。その検証が進めば具体的な製品パイプラインが生み出されることになり、製品を適切に保護する知財戦略と、パイプライン開発におけるビジネスモデル (事業戦略) の構築がバイオパレットにとって重要となるであろう。

抗体医薬に代表されるバイオ医薬品の開発に乗り遅れた日本であるが、神戸大学による塩基編集技術の発明とその基本特許の確保を契機とするバイオパレットの成長によって、新しい医薬品モダリティとなる LBP において巻き返しを図ることを期待したい。

3 おわりに

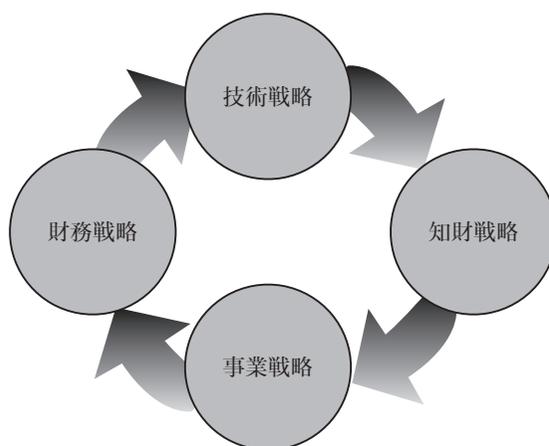
最後に、バイオパレットの事例分析を通して得られたインプリケーションを紹介することで、本稿の結びとしたい。

そのインプリケーションとは、ディープサイエンス系ベンチャー企業がイノベーションの

実現に向けて、自らの戦略を構築・ブラッシュアップするための「戦略サイクル」の方法論である。

ディープサイエンス系ベンチャー企業は、ブレークスルーを起点に、「技術戦略」、「知財戦略」、「事業戦略」及び「財務戦略」の構築・ブラッシュアップを一連のサイクル（図8）として繰り返し行うことで、イノベーション実現の可能性と効率性を高めていく。一般的なマネジメントにおいても、「Plan（計画）」、「Do（実行）」、「Check（評価）」及び「Action（行動）」をひとつのサイクルとし、それを何度も回し続けていくことで業務改善の精度を高め、マネジメントの効率化を図るための手法として、「PDCA サイクル」があるが、ある意味でそれに似たようなコンセプトである。

図8 ディープサイエンス系ベンチャー企業における戦略サイクル



（出所）筆者ら作成

科学技術上のブレークスルー（発見・発明）が、イノベーション戦略のスタートになることについては異論のないところであろう。そして次に、そのブレークスルーを、如何なるイノベーションに繋げるか、つまりどのような製品、サービスを生み出し、経済的・社会的価値の創造につなげるかという「イノベーション・アイデア」について構想することになる。この段階ではあくまでアイデア・レベルであり、具体的かつ実践的なイノベーション戦略（ストラテジー）とは言えないが、この「イノベーション・アイデア」を念頭に置きつつ、バックキャスト的な思考方法も利用して、研究開発の方向性や具体的な計画、つまり「技術戦略」を検討することになる。

次に、「イノベーション・アイデア」を実現するための「知財戦略」を検討することになる。その際のポイントは、3つの「P」である。1つ目の「P」は、ブレークスルーを知的財産、つまり「Patent（特許）」として法的に権利化することである。そして2つ目の「P」

は、その知的財産を可能な限り「Platform（基盤技術）」もしくはそれに近いものとして権利化しようとする視点である。3つ目の「P」は、「Paper（論文掲載・学会発表等）」である。ディープサイエンス系ベンチャー企業の場合、通常、創業期から多額の研究開発資金が必要となる。その資金を調達するためには、「Science」や「Nature」等に代表される世界の誰もが認める超一流の学術誌に論文が掲載されることが望ましい。この段階では、「イノベーション・アイデア」と「技術戦略」、知的財産（特許）があるのみで、未だ具体的な「事業戦略」は描ききれていないのが一般的なケースである。だからこそ、投資家の投資判断にとって極めて重要なのは、世界の一流の科学者たちが、そのブレークスルーをどのように評価しているかということである。そのバロメーターが、どの学術誌や学会で認められたかということになる。

「イノベーション・アイデア」、「技術戦略」及び「知財戦略」が固まると、それに基づいて創業期（シード期）の資金調達（シードファイナンス）が行われる。シード期においては、それ以降の成長ステージとは異なり、「イノベーション・アイデア」、「技術戦略」及び「知財戦略」の3点セット、それ自体が「事業戦略」を兼ねることになり、いわゆる本格的な「事業戦略」は未だ構築されていないことが多い。ディープサイエンス系ベンチャー企業の場合で、かつ相当規模のシードファイナンスに対応できる能力のある投資家は多くはない。また仮に対応能力があったとしても、投資家毎に得意な、あるいは特化している産業分野や投資ステージ（シード期、アーリー期、グロース期及びレイター期などのベンチャー企業の成長ステージ）があり、ターゲットとする産業分野やステージ以外への投資は基本行わない。

ここで重要なのは、ベンチャー企業は、自らの分野やステージをターゲットとする投資家を慎重に探索・選別（スクリーニング）してから、最も適切な投資家にアプローチすることである。そのプロセスを踏まずに、むやみやたらに資金調達活動を行うことは、大抵の場合、結果として労力の無駄、つまり失敗に終わる。また、一流の学術誌などに論文が掲載されており（3つ目の「P」）、たとえ少数であったとしてもベンチャー企業の経営陣もしくはその候補に実績のある一流の人材が参画しているならば、当該ベンチャー企業の産業分野やステージをターゲットとする投資家が、自ら積極的にアプローチをしてくることも稀ではない。逆説的に言えば、そうなるように「イノベーション・アイデア」、「技術戦略」及び「知財戦略」を構築しておくことが肝要である。

シードファイナンスが実現したら、その資金を元手に、引き続き、「技術戦略」及び「知財戦略」のブラッシュアップと実行を進めつつ、並行して、これ迄のアイデア・レベルをはるかに超えた、本格的な「事業戦略」の構築を行うことになる。「本格的」とは、「包括的」、「具体的」、且つ「実践的」を意味する。

それ以降、「技術戦略」、「知財戦略」、「事業戦略」及び「財務戦略」の構築・ブラッシュアップの「戦略サイクル」を回しながら、成長ステージに合わせてシリーズAファイナンス、シリーズBファイナンスと資金調達を繰り返し行い、次のステージを乗り越えるための元手を得ることで、ディープサイエンス系ベンチャー企業はイノベーション実現への長い道のりを歩むことになる。

本稿の事例として取り上げた神戸大学発バイオベンチャーであるバイオパレットも、まさにその途上にあり、今後もバイオパレットが戦略サイクルを上手く回すことでイノベーションを実現し、わが国を代表するようなディープサイエンス系ベンチャー企業として成功することを、筆者らは大いに期待している。

注

- 1) 「遺伝子工学技術」は遺伝子を人工的に操作する技術の総称であり、遺伝子組換え技術、ゲノム編集技術を含む。
- 2) 「ゲノム編集」は「遺伝子編集」ともいうが、ほぼ同義である。本稿では「ゲノム編集」を使用する。
- 3) 「DNA」は生体の遺伝情報を保持している物質である。塩基と呼ばれるアデニン (A)、チミン (T)、グアニン (G)、シトシン (C) の4種の化合物等から構成され、塩基の並び (塩基配列) が遺伝情報となる。
- 4) 「ゲノム」は生物のもつ遺伝情報の全体を指す。
- 5) 「ヌクレアーゼ」はDNAを分解・切断する酵素の総称である。
- 6) 「CRISPR」は clustered regularly interspaced short palindromic repeat の略である。正確には原核生物のDNA中に存在する反復配列のことを指すが、ゲノム編集技術としての応用が発明されたことで、CRISPRを使ったゲノム編集のことを示す意味でも使用されている。
- 7) 「Target-AID®」は、DNA配列上の特定の領域を標的化して、デアミナーゼと呼ばれる酵素によって、DNAの塩基の一つであるシトシンを別の塩基であるチミンに置き換える技術である。
- 8) 「PCT出願」は、特許協力条約 (Patent Cooperation Treaty) に基づく国際特許出願である。ひとつの出願願書を条約に従って提出することによって、条約加盟国すべてに同時に出願したことと同じ効果が与えられる。
- 9) Eight Roads Ventures は、FIL (フィデリティ・インターナショナル・リミテッド) のプリンシパル投資部門であり、Eight Roads Ventures Japan は、その日本拠点である。香港、北京、上海、ムンバイ、ロンドンにも拠点があり、約20年にわたりローカルな知識とグローバルなネットワークを最大限に活用し、ハンズオンで出資先企業の経営支援を行ってきた。日本では2012年より投資活動を行い、主に革新的なグロースステージの企業へ出資している。
- 10) F-Prime Capital Partners (旧 Fidelity Biosciences) は、米国ボストンと英国ロンドンに拠点を置くグローバルなベンチャーキャピタルである。ライフサイエンスを中心に、ヘルスケア、テクノロジー分野に投資をしており、米国、欧州のみならず、中国、インドにおいて豊富な投資実績を有する。

- 11) ARCH Venture Partners はシード/アーリーステージのテクノロジー企業への投資を専門とする米系のベンチャーキャピタルである。大学、国立研究機関、企業研究所等で開発された先端科学技術の商業化において、米国トップレベルの実績を有するリーダーとして知られている。主にライフサイエンス、バイオテクノロジー等の分野に注力しており、画期的技術をもとに科学者や起業家と共同でベンチャー企業を創設し、資金提供を行うとともに、人材、戦略等においてベンチャー企業の成長を総合的にサポートしている。シカゴ、シアトル、サンフランシスコ、オースティン（以上、米国）、及び、ダブリン（アイルランド）に拠点を有する。
- 12) 「Target-G®」は、DNA 配列上の特定の領域を標的化して、グリコシラーゼと呼ばれる酵素によって、DNA の塩基をランダムに置き換える技術である。多様な変異体を効率よく作出することができるため、育種技術としての利用が期待できる。
- 13) 2019年3月6日付け Beam 社プレスリリース “Beam Therapeutics Secures \$135 Million in Series B Financing to Advance Base Editing Platform and Expand Pipeline of Precision Genetic Medicines”
- 14) 「Target-Switch」は、DNA 配列上の特定の領域を標的化して、外来の DNA 断片を挿入する技術である。
- 15) 「プロバイオティクス」とは、ヒトの健康状態に有益な作用をもたらす微生物である。また、その微生物を含む食品をプロバイオティクスと呼ぶこともあり、例えば、生きて腸まで届く乳酸菌を含むヨーグルトなどが挙げられる。
- 16) 「モダリティ」は創薬技術によって分類される治療手段を指す。
- 17) 2018年2月15日付け Global Engage 記事 “Investing In The Microbiome – A Look Back Into The Future”
- 18) 2018年8月16日付け FDA STATEMENT “Statement from FDA Commissioner Scott Gottlieb, M. D., on advancing the science and regulation of live microbiome-based products used to prevent, treat, or cure diseases in humans”
- 19) 2021年7月13日付け Prime Medicine 社プレスリリース “Prime Medicine Launches with \$315 Million Financing to Deliver on the Promise of Prime Editing”
- 20) 2021年1月12日付け Business Wire 記事 “Tessera Therapeutics Attracts Over \$230 M in Series B Financing to Advance ‘Gene Writing’”
- 21) 2022年2月2日付け Intellia Therapeutics 社プレスリリース “Intellia Therapeutics Announces Acquisition of Rewrite Therapeutics”
- 22) 2020年8月12日付け Beam 社プレスリリース “Beam Therapeutics Announces First Development Candidates for Sickle Cell Disease and Reports Second Quarter 2020 Results”
- 23) 2021年2月23日付け Beam 社プレスリリース “Beam Therapeutics Announces Acquisition of Guide Therapeutics”
- 24) 2022年1月10日付け Beam 社プレスリリース “Pfizer and Beam Enter Exclusive Multi-Target Research Collaboration to Advance Novel In Vivo Base Editing Programs for a Range of Rare Diseases”

参 考 文 献

書籍・ジャーナル等

Richard L. Smith (原書著者), Janet K. Smith (原書著者), 山本一彦 (総監訳・訳者), 岸本光永 (監訳者), 忽那憲治 (監訳者), 株式会社コーポレート・キャピタル・コンサルティング (訳者) (2002), 『アントレプレナー・ファイナンス ～ベンチャー企業の価値評価とディール・ストラクチャー～』, 中央経済社。

井上真・濱口典久・近藤昭彦・山本一彦 (2019), 『知られざるゲノム技術の衝撃～破壊的イノベーションを前に企業は何をすべきか?～』, 神戸大学大学院科学技術イノベーション研究科・ATカーニエ。

忽那憲治・山本一彦・上林順子 (2013), 『MBA アントレプレナー・ファイナンス入門～詳解ベンチャー企業の価値評価～』, 中央経済社。

忽那憲治・山本一彦・三宅秀昭 (2016), 「科学技術イノベーションとアントレプレナーシップ～アントレプレナーの活動段階とブレイクスルー, イノベーション, 戦略的企業家～」, 『季刊ビジネスインサイト』, 第24巻, 第1号, 29頁。

忽那憲治・山本一彦 (2018), 「神戸大学における科学技術イノベーション創出の試み」, 『産学官連携ジャーナル』, 14(4), 23-26頁。

忽那憲治・山本一彦・呉平翔俊 (2018), 「科学技術イノベーションの創出におけるシード・アクセラレーターの役割～米国の主要シード・アクセラレーターの活動状況～」, 『季刊ビジネスインサイト』, 第25巻, 第4号, 49-61頁。

山本一彦 (2019a), 「理系アントレプレナーと神戸大学発ベンチャー」, 『月刊経団連』, 第67巻, 第6号 34-35頁。

山本一彦 (2019b), 「イノベーション戦略の理論と実践」, 『機能紙研究会誌』, No. 58 15-24頁。

山本一彦 (2019c), 「バイオエコノミー, デジタル×バイオ時代のチャンス」, 『商工ジャーナル』, 第45巻, 第12号, 14-17頁。

山本一彦・大久保亮 (2014), 「ベンチャー企業の価値評価」, 『一橋ビジネスレビュー』, 第62巻, 2号, 22-42頁, 東洋経済新報社。

山本一彦・福家信洋 (2021), 「破壊的イノベーション戦略～理論と実践～」, 『120分でゼロから学べるイノベーション理論』, 4-18頁, 神戸大学大学院科学技術イノベーション研究科。

プレスリリース

株式会社バイオパレット プレスリリース (2017年7月15日付), 「神戸大学発 ゲノム編集ベンチャー企業設立 シードラウンドの資金調達の実施について」

株式会社バイオパレット プレスリリース (2019年5月31日付), 「バイオパレット社と(米) Beam Therapeutics 社が塩基編集技術(ゲノム編集技術)に関する独占的クロスライセンス契約を締結」

コーポレートウェブサイト

Beam Therapeutics, Inc. ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月28日), <https://beamtx.com/>

CRISPR Therapeutics AG ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月28日), <http://www.crisprtx.com/>

Editas Medicine, Inc. ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月28日), <https://www.editasmedicine.com/>

Intellia Therapeutics, Inc. ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月28日), <https://www.intelliatx.com/>
ViSpot 株式会社 ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月1日), <https://www.vispot.co.jp/>
株式会社科学技術アントレプレナーシップ ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月1日), <https://www.ste-kobe.co.jp/>
株式会社シンアート ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月1日), <https://synart.co.jp/>
株式会社シンプロジェン ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月1日), <https://www.synplogen.com/>
株式会社バイオパレット ウェブサイト (閲覧日: 2022年2月28日), <https://www.biopalette.co.jp/>
株式会社バックス・バイオイノベーション ウェブサイト, (閲覧日: 2022年2月1日), <https://www.b2i.co.jp/>