

各位

## リジェネフロとのライセンス契約締結のお知らせ

新規ゲノム編集技術であるCRISPR-Cas3技術の社会実装を目指すC4U株式会社（以下「C4U」といいます。）は、今般、腎領域を中心とする再生医療およびiPS創薬の研究開発に挑戦するリジェネフロ株式会社（以下「リジェネフロ」といいます。）に対して、C4Uが独占的通常実施権を有するCRISPR-Cas3技術に関する特許を非独占的に実施許諾するライセンス契約を締結いたしましたので、お知らせします。

本ライセンス契約により、リジェネフロは、常染色体優性（顕性）多発性嚢胞腎（ADPKD）に対する新規治療薬探索のため、CRISPR-Cas3技術を用いて、PKD1遺伝子ノックアウトiPS細胞から分化誘導した細胞を製品化し、第三者への販売事業を実施することが可能となります。

本ライセンス契約締結時に、C4Uはリジェネフロより契約一時金を受け取ります。また、本件特許を利用した製品の売り上げに対して、C4Uはリジェネフロよりロイヤリティ及び販売マイルストーンを受け取りますが、さらなる契約の詳細及び具体的な対価については開示しておりません。

C4Uの基盤技術であるCRISPR-Cas3技術は、C4Uの創業メンバーである東京大学医科学研究所先進動物ゲノム研究分野の真下知士教授、大阪大学微生物病研究所の竹田潤二招へい教授らの研究成果を基に開発されたCRISPR-Cas3を用いた新しいゲノム編集技術です。CRISPR-Cas3技術は、オフターゲット変異がなく安全性が高いことやターゲット遺伝子とその周辺を広く削ることができるといった特徴を有し、現在世界中で研究が先行しているCRISPR-Cas9の複雑な特許状況に影響されない、これに対抗し得る有望なゲノム編集技術として注目を浴びています。

C4Uは、このCRISPR-Cas3技術を用いて、幅広い産業への応用に向けたプラットフォーム展開に取り組むほか、遺伝性疾患を始めとする様々な疾患に対する新規の治療法等の開発を自社及び他社との提携により推進しております。

本ライセンス契約により、いまだ根本的な治療法が開発されていない遺伝性腎疾患であるADPKDに対して、CRISPR-Cas3技術を応用することで新たな治療の可能性が開かれることを期待しております。

リジェネフロは、創業科学者である京都大学iPS細胞研究所の長船健二教授の研究成果を基に、2019年9月に設立されたベンチャー企業です。長船教授は、腎臓の起源となるネ

フロン前駆細胞の存在を世界で初めて発見後、iPS細胞からネフロン前駆細胞を効率的に作製する技術の確立などに成功しており、リジェネフロはその社会実装を担います。長船教授およびリジェネフロはゲノム編集技術を用いてADPKDの原因遺伝子であるPKD1遺伝子に変異を持つヒトiPS細胞を作製し腎オルガノイドに分化誘導することで、臨床予測性の高いADPKDのヒト病態モデルを作製する技術を有しています。

<用語の解説>

**ゲノム編集技術**：DNA切断酵素と人工的にデザインしたRNAなどを細胞に導入し、ゲノムの局所を選択的に切断、改変する技術です。

**CRISPR-Cas3**：CRISPR-Cas9同様に二本鎖DNAを切断しますが、crRNA（ガイド）認識配列が長い（27塩基のガイド配列）ことから、特異性が高く、オフターゲット変異（狙った部分以外の変異）がない、より安全なゲノム編集ツールです。また、大きな欠失を起こすことも可能なため、遺伝子の改変に加えてその機能を失わせることも得意としています。

**CRISPR-Cas9**：現在広く利用されるゲノム編集技術の一種で、Cas9がガイドRNAと結合し、ガイドRNAの一部（20塩基のガイド配列）と相補的なDNAを選択的に切断します。ガイド配列を変更することにより、様々な塩基配列をもつDNAを選択的に切断することができます。

**常染色体優性（顕性）多発性嚢胞腎（ADPKD）**：最も患者数の多い単一遺伝子変異による遺伝性腎疾患であり、PKD1およびPKD2遺伝子が原因遺伝子であると知られています。腎臓に嚢胞（液体の貯留した袋）が多発し増大することで腎機能低下が進行し、70歳までに約半数が末期腎不全に至ります。近年、腎嚢胞の増大を抑制する薬剤トルバプタンが治療に用いられていますが、根本的な治療法は開発されておらず、最終的に透析療法に至る患者さんが多くいます。

<本件に関するお問い合わせ先>

C4U株式会社 管理部

〒565-0871 大阪府吹田市山田丘2番8号

TEL/FAX：06-6369-7180

E-mail：[info@crispr4u.com](mailto:info@crispr4u.com)

以上