

2023年10月30日

各位

## スイスのバイオテクノロジー企業Healivaと CRISPR-Cas3技術の医療応用に向けた戦略的提携契約を締結

C4U株式会社（以下「[C4U](#)」といいます。）は今般、スイスを拠点とするバイオテクノロジー企業であるHealiva SA（以下「[Healiva](#)」といいます。）と戦略的提携契約を締結し、CRISPR-Cas3技術を用いた表皮水疱症に対する新規の遺伝子治療法の開発に向けて共同研究を開始することとなりましたのでお知らせいたします。

表皮水疱症とは、少しの刺激や摩擦でも容易に皮膚がはがれ、水ぶくれ（水疱）や皮膚潰瘍を生じる遺伝性の希少難治性皮膚疾患です。現時点では根本的治療はなく、それぞれの症状にあわせた対症療法がおこなわれていますが、毎日皮膚の処置を行う必要があるため、QOL（生活の質）の著しい低下につながる疾患です。米国での疫学調査によると、出生100万人当たり20人の新生児に表皮水疱症が発症すると推定されています。

両社は、C4Uの基盤技術であるCRISPR-Cas3技術と、Healivaの有する皮膚疾患に対する知見及び技術を持ち寄り、計画に従い共同研究を実施してまいります。その計画及び契約の詳細については開示しておりません。

Healivaの共同創業者兼CEOであるPriyanka Dutta Passecker博士は、「本提携は、当社の細胞治療ポートフォリオに遺伝子治療を統合するものであり、当社の自家細胞由来製品（EpiDex®）と他家治療技術における高度な知見および製造インフラ能力をより効果的に活用できるものと確信しています」と述べています。

またC4U代表取締役社長の平井昭光は、「当社は、独自の新規ゲノム編集技術であるCRISPR-Cas3技術を活用することで、遺伝性疾患に対して根治治療の提供を目指しております。皮膚疾患、特に表皮水疱症に対して、CRISPR-Cas3技術の強みを生かした治療法を見出すことができると考えており、世界中の患者さまに希望をお届けできるよう本提携を推進していきます。」と述べています。

### <C4Uについて>

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少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、遺伝性疾患に対する新規の遺伝子治療法等を開発すること及び同技術のプラットフォーム展開を目指しております。

#### <Healiva SAについて>

Healiva (<https://www.healiva.com/>)は、スイスのルガーノを拠点とし、2020年にBioseutica社とPriyanka Dutta Passecker博士により設立されたバイオテクノロジー企業です。急性及び慢性創傷に対する治療と治癒を目指し、製造技術と自動化プロセスを含めた独自の基盤技術を有します。細胞治療、自家細胞療法（EpiDex®：患者自身の毛髪細胞由来の自家表皮）、他家細胞治療、さらに医療機器を組み合わせ、手ごろな価格での個別化医療・精密医療の実現を目指します。

#### <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）が少ない、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。

<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

大阪大学テクノアライアンスC棟7階

TEL：06-6369-7180

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