

各位

C4U、北海道大学と脂質ナノ粒子による CRISPR-Cas3送達システムに関する共同研究を開始

C4U株式会社（以下「C4U」といいます。）は、国立大学法人北海道大学（以下「北海道大学」といいます。）大学院薬学研究院薬剤分子設計学研究室と、脂質ナノ粒子（LNP）を用いてCRISPR-Cas3を安全かつ効率的に標的細胞に送達する技術開発に向け、共同研究を開始しておりますのでお知らせいたします。

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を目指しております。

従来の遺伝子治療では、遺伝子を送達する手段としてウイルスベクターを用いる手法が多くとられておりますが、近年、非ウイルス性の脂質ナノ粒子（LNP）が、その安全性と伝達効率の良さから新規の送達手段として応用が期待されています。

共同研究先である北海道大学大学院薬学研究院薬剤分子設計学研究室では、細胞内動態制御による新しい薬物送達システム（DDS）の開発と発癌機構の解明にむけた研究がおこなわれており、特にDDSに関しては脂質ナノ粒子（LNP）を用いた研究成果も発表されております。

そこで、本共同研究では、この脂質ナノ粒子（LNP）にCRISPR-Cas3システムを内封し、標的細胞に対して安全かつ効率的に送達できるゲノム編集手法の開発を目指してまいります。

<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。

薬物送達システム (DDS) : 薬剤の放出の量、時間、場所などを適切に制御し伝達する仕組み。

脂質ナノ粒子 (LNP) : 脂質を主成分とする直径10nmから1,000nmの粒子で、DDSとして利用される。

<本件に関するお問い合わせ先>

C 4 U株式会社 管理部

〒565-0871 大阪府吹田市山田丘2-8

大阪大学テクノアライアンスC棟7階

TEL/FAX : 06-6369-7180

E-mail : info@crispr4u.com

以上