

各位

大日本住友製薬とCRISPR-Cas3技術の 医療応用に向けた共同研究提携契約を締結

C4U株式会社（以下「C4U」といいます。）は、大日本住友製薬株式会社（以下「大日本住友製薬」といいます。）と共同研究提携契約を締結し、CRISPR-Cas3技術の医療応用に向けて共同研究を開始することを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。

大日本住友製薬は、再生・細胞医薬分野に関して早期より重点領域として積極的に研究開発を進めている製薬企業です。オープンイノベーションを重視し、再生・細胞医薬分野の早期事業化を目指し複数の研究開発プロジェクトを推進しております。

今般のC4Uと大日本住友製薬の共同研究提携では、C4Uの基盤技術であるCRISPR-Cas3技術を用いて、大日本住友製薬が検討している細胞及び遺伝子についての改変とその最適化にむけて共同研究を実施します。大日本住友製薬は共同研究費用の一部を負担し、大日本住友製薬がCRISPR-Cas3技術を用いた再生医療等製品について開発段階に入ることを希望する際には、特許実施許諾契約について協議する方針です。

<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/FAX : 06-6369-7180

E-mail : info@crispr4u.com

以上