

2022年1月27日

各位

**東京大学医科学研究所先進動物ゲノム研究分野及び株式会社トランスジェニックと
TTRエクソンヒト化マウスを用いた遺伝子改変実験に関する共同研究契約を締結**

C4U株式会社（以下、C4U）は、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及び株式会社トランスジェニック（以下、トランスジェニック）とトランスサイレチン遺伝子（以下、TTR）エクソンヒト化マウスを用いた遺伝子改変実験に関する共同研究契約を締結いたしましたので、お知らせいたします。

本共同研究は、新規ゲノム編集技術CRISPR-Cas3システムの有用性について、トランスジェニックが開発した家族性アミロイドポリニューロパチー（全身性アミロイドーシスの一種）に関するTTRエクソンヒト化マウスを用いて、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のもとで評価するもので、将来の遺伝性疾患に対する新規の遺伝子治療法へ繋げる研究となります。

CRISPR-Cas3技術は、C4Uの創業メンバーである真下知士教授、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、遺伝子疾患を始めとする様々な疾患に対する新規の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。

トランスジェニックは、遺伝子改変動物開発において長年蓄積された高い技術力と知見により、創薬支援事業において有用なモデルマウスを提供しております。また、本共同研究で使用するTTRエクソンヒト化マウスは、同社独自のエクソンヒト化技術（国際特許出願済WO/2020/240876）に基づき作製されたモデルマウスであり、遺伝子の発現レベル及び組織特異性が全く正常であることから遺伝子治療法の有効性を検証するにあたっての最適のモデルと考えられます。

同社は、本共同研究を通じて、同社エクソンヒト化技術の有用性を示すとともに、他の遺伝病の遺伝子治療実験に有効なエクソンヒト化モデルマウスの作製受託あるいは共同開発を推進していきたいと考えております。

<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。

全身性アミロイドーシス： 線維構造をもつタンパク質であるアミロイドが全身臓器に沈着することによって機能障害を引き起こす疾患です。

<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番8号

TEL/FAX : 06-6369-7180

E-mail : info@crispr4u.com

以上