

各位

住友ファーマとCRISPR-Cas3技術の医療応用に向けた 2つの新規共同研究提携契約締結のお知らせ

C4U株式会社（以下「C4U」といいます。）は、[2021年8月3日付プレスリリース](#)及び[2022年1月31日付プレスリリース](#)にてお知らせの通り、住友ファーマ株式会社（以下「住友ファーマ」といいます。）と共同研究提携契約を締結し、再生医療等製品におけるCRISPR-Cas3技術の医療応用に向けた共同研究を進めております。

今般両社は、新たに2種類の再生医療等製品のターゲットとなる細胞及び遺伝子を特定し、それぞれについて共同研究提携契約を締結いたしましたのでお知らせいたします。

今回の新たな契約締結により、C4Uの基盤技術であるCRISPR-Cas3技術を用いて、住友ファーマの指定する細胞及び遺伝子に対するゲノム編集ツール及びプロトコルの最適化にむけて実施する両社の共同研究提携は合計3件となります。

住友ファーマは共同研究費用の一部を負担し、住友ファーマが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。

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、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。

住友ファーマは、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。

<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。

<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

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