

各位

サイト-ファクトとの共同研究契約締結のお知らせ

新規ゲノム編集技術であるCRISPR-Cas3技術の社会実装を目指すC4U株式会社（以下「C4U」といいます。）と、遺伝子・細胞製剤の受託製造を行う株式会社サイト-ファクト（以下「サイト-ファクト」といいます。）は、今般共同研究契約を締結いたしましたのでお知らせします。

本研究では、C4Uの有するCRISPR-Cas3遺伝子編集技術と、サイト-ファクトの細胞製剤製造技術を用いて、新規の遺伝子編集細胞製剤開発の可能性を検討します。本研究の成果に基づき、サイト-ファクトがCRISPR-Cas3技術を用いた製品製造を希望する際には、特許実施許諾契約について協議する方針です。

C4U概要

C4Uは、新規ゲノム編集技術CRISPR-Cas3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の開発を自社及び他社との提携により推進すると同時に、幅広い産業への応用に向けたプラットフォーム展開に取り組んでおります。

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、現在までにオフターゲット変異は認められておらず高い安全性が期待できることや、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。

URL : <https://www.crispr4u.jp/>

サイト-ファクト概要

株式会社サイト-ファクトは、遺伝子細胞製剤に特化したCMO・CDMO事業、品質試験の受託、製造コンサルティングなどを行っている企業です。これまで、世界初のCAR-T細胞であるキムリア点滴静注®の商用製造に加え、国内外の遺伝子細胞製剤の治験品製造やプロセス開発を実施してきました。また、GMP準拠下における遺伝子細胞製剤製造のリーディングカンパニーとして、当分野における統合型製造管理システムの開発・導入にも取り組んでいます。

URL : <https://www.cytofacto.com/>

<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

大阪府吹田市山田丘2番8号

E-mail : info@crispr4u.com

以上