

各位

**AMED公募課題「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業
(再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業) (開発補助事業)」採択のお知らせ**

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。）は、当社の進める「CRISPR-Cas3ゲノム編集技術を用いた先天性代謝異常症に対する細胞療法の製造プロセス開発」について、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）が実施する、[令和6年度「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業（再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業）（開発補助事業）」](#)の研究課題に採択されましたのでお知らせいたします。

本研究開発の目標は、先天性の遺伝子変異に起因する疾患を有する患者から採取した自家造血幹細胞をCRISPR-Cas3によって体外でゲノム編集することで、遺伝子本来の機能を取り戻し疾患の治癒に役立つヒト細胞加工製品を開発することです。CRISPR-Cas3は、配列特異性が高く、オフターゲット作用が起こりにくいという臨床応用上の安全性に資する特長を有しています。本研究開発では、採取した造血幹細胞をゲノム編集して培養する製造プロセスの構築、分析法の開発、治験製品製造工程の確立を目指します。本研究開発によって培われるノウハウや成果は、プラットフォーム技術として他の遺伝性疾患の治療に応用することも期待されます。

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/>

<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>

C4U株式会社

大阪府吹田市山田丘2番8号

E-mail : info@crispr4u.com

以上