

各位

## C4Uとミナリス、プロモーション活動等の協業開始のお知らせ

C4U株式会社(以下「C4U」といいます。)とミナリスアドバンストセラピーズ株式会社(以下、「ミナリス」といます。)は、今般両社の協業に関する覚書を締結いたしましたのでお知らせいたします。

C4Uは、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しています。また、医療分野にとどまらず、幅広い産業への応用に向けて技術プラットフォームを展開しております。

ミナリスは、米国、欧州(ドイツ・イギリス)、アジア(日本)に拠点を置く、再生 医療等製品に特化した世界有数の医薬品製造受託機関(CDMO)です。これまで25年以上 にわたり、価値ある製法開発および治験薬・商用製造を通して、ノウハウや技術をお客 様に提供してきました。

今回の覚書締結により、両社が有する技術、知見、ネットワークを活かし、プロモーション活動や顧客紹介などの協業を通じて、再生医療および遺伝子・細胞治療領域における新たな価値創出を目指してまいります。

## C4U概要

C4Uは、ゲノム編集技術CRISPR-Cas3の社会実装を目指し、2018年に設立されました。 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を用いた独自の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とから、CRISPR-Cas9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: <a href="https://www.crispr4u.jp/">https://www.crispr4u.jp/</a>

## ミナリス概要

ミナリスは、Minaris Advanced Therapiesの日本法人です。Minaris Advanced Therapies は、再生医療等製品に特化した医薬品製造受託機関(CDMO)として、グローバルに事業を展開するリーディングカンパニーです。Minaris Advanced Therapiesは、25年以上に

わたる豊富な経験を有し、米国、欧州、アジアにわたる60,000m²以上の施設を備え、7,500以上のGMPバッチを製造・出荷しています。グローバルネットワークを通じて、初期段階の開発から臨床試験、商業製造までを包括的にサポートしています。科学的専門知識と製造・試験サービスを組み合わせることで、安全で効果的な治療法を、より迅速かつ効率的に患者様に届けることを目指しています。

URL: <a href="https://minaris.com">https://minaris.com</a>

## <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