

各位

C4U 株式会社

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

CRISPR-Cas3 を用いた次世代 T 細胞遺伝子編集技術の開発について ～安全性向上と同種 CAR-T 療法への応用可能性を実証～

C4U 株式会社はこの度、ノイルイミュン・バイオテック株式会社（以下「ノイルイミュン」といいます。）および東京大学医科学研究所先進動物ゲノム研究分野 真下知士教授らのチームとの共同研究にて、新規ゲノム編集技術 CRISPR-Cas3 システムをヒト T 細胞に応用し、臨床的に重要な遺伝子改変に成功しました。本研究成果は、次世代の同種（allogeneic）T 細胞療法の実現に向けた重要な技術基盤となるものです。この成果が NAR Cancer 誌にて発表されましたので、お知らせいたします。

■ 背景

CRISPR-Cas9 は高効率なゲノム編集技術として広く利用されていますが、臨床応用においてはオフターゲット変異や染色体転座・逆位などの染色体異常が安全性上の課題とされています。近年、CRISPR-Cas3 は一方向性 DNA 分解活性を有するクラス 1 型 CRISPR システムとして注目されており、オフターゲット活性が低い可能性を持つ新しいゲノム編集プラットフォームとして期待されています。

■ 研究成果の概要

本研究では、CRISPR-Cas3 をヒト T 細胞に適用し、臨床的に重要な TRAC および B2M 遺伝子のノックアウトに成功しました。

- TRAC 欠失：移植片対宿主病（GVHD）のリスク低減
- B2M 欠失：宿主免疫による拒絶反応の低減
- オフターゲット変異：Cas3 編集細胞では検出されず
- CAR-T 機能：腫瘍抗原特異的細胞傷害活性を維持

これらの結果から、Cas3 を用いた T 細胞編集は、抗腫瘍効果を損なうことなく安全性を向上できる「Off-the-shelf 型の同種 CAR-T 細胞作製技術」となる可能性が示されました。

■ 今後の展望

CRISPR-Cas3 は、従来のゲノム編集技術に比べて安全性の高い T 細胞エンジニアリング技術となる可能性があります。当社はノイルイミュンとの共同研究開発を通じて、本技術を基盤とし、次世代の同種 CAR-T 療法およびその他の遺伝子改変免疫細胞療法への応用を推進し、より安全で持続的な治療選択肢の提供を目指してまいります。

※本件は研究段階の成果であり、今後の臨床開発を保証するものではありません。

詳細は、[東京大学医科学研究所からのプレスリリース](#)をご覧ください。

以上

【C4U 株式会社について】

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国産で独自のゲノム編集技術です。CRISPR-Cas3 技術は、本研究条件下では顕著なオフターゲット変異は検出されておらず、高い安全性が期待されることや、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、現在海外で先行している CRISPR-Cas9 の複雑な特許状況に影響されないことから、CRISPR-Cas9 とは異なる特徴を有するゲノム編集技術として注目されています。

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

【ノイルイミューン・バイオテック株式会社について】

ノイルイミューン・バイオテックは、免疫細胞療法の治療効果を高める当社独自の革新的技術である「PRIME 技術」を搭載した PRIME CAR-T 細胞で、固形がんに対する次世代のがん免疫療法の実用化に取り組むアカデミア発のバイオテック企業です。PRIME 技術は、様々なキメラ抗原受容体(CAR)との組み合わせによる新規医薬品の創出や、多様なモダリティへの応用が可能で、他の技術との協働により今後多くのがん治療アプローチの開発が期待できます。ノイルイミューンは、日々の事業活動への取り組みを通じて、「がんを克服できる社会の創生に貢献する」ことを目指します。

詳細については、<https://www.noile-immune.com/>をご覧ください。

【お問い合わせ先】

〒565-0871 大阪府吹田市山田丘 2 番 8 号

C4U 株式会社

info@crispr4u.com