

各位

## AMED創薬ベンチャーエコシステム強化事業 ステージゲート審査通過のお知らせ

C4U株式会社（以下「C4U」といいます。）は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）が実施する「[創薬ベンチャーエコシステム強化事業（創薬ベンチャー公募）](#)」（第8回）に採択されておりますが、この度中間評価（ステージゲート審査）を通過し、ステージ2への移行が承認されましたのでお知らせいたします。

詳細は、[AMEDからのお知らせ](#)をご覧ください。

C4Uは、本支援制度を活用し、CRISPR-Cas3ゲノム編集技術を用いた原発性免疫不全症に対する造血幹細胞移植治療法の臨床試験における安全性および有効性の実証を目指して、研究開発を一層加速してまいります。

### 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](mailto:info@crispr4u.com)

以上