

各 位

自治医科大学との特許持分の譲受に関する契約締結のお知らせ

C4U株式会社（以下「C4U」といいます。）は、今般、発明の名称「エンジニアリングされたタンパク質」（以下「本発明」といいます。）とその関連する特許権につき、その持分の一部を学校法人自治医科大学（以下「自治医科大学」といいます。）より譲り受けましたのでお知らせいたします。

本発明は、国立大学法人東京大学、京都府公立大学法人京都府立医科大学、自治医科大学及び国立研究開発法人農業・食品産業技術総合研究機構により開発された、ゲノム編集活性の高い改変型CRISPR-Cas12酵素（改変型AsCas12f）であり、技術の一部は2024年9月に日本特許第7560818号が成立しております。

CRISPR-Casシステムは、2つのクラス（クラス1及び2）と6つのタイプ（タイプⅠ～Ⅵ）に分類されます。複数のタンパク質の複合体によって標的配列を切断するクラス1にはタイプⅠ、Ⅲ及びⅣが含まれ、一つのタンパク質により標的配列を切断するクラス2にはタイプⅡ、Ⅴ及びⅥが含まれます。C4Uが実用化を目指すCRISPR-Cas3はクラス1タイプⅠに属し、現在広く利用されているCRISPR-Cas9（タイプⅡ）やCRISPR-Cas12（タイプⅤ）はクラス2に属しています。

タイプⅤのなかでも、最小のCRISPR-Cas酵素として近年発見された*Acidibacillus sulfuroxidans*由来のCas12f（AsCas12f）は、CRISPR-Cas9に比べてその大きさが1/3以下で機能するものの、ゲノム編集活性が低いという課題がありました。本発明は、AsCas12fの立体構造を決定し、変異体スクリーニングと構造情報に基づくガイドRNAの改変を行うことで、よりゲノム編集効率の高い改変体を開発したもので、アデノ随伴ウイルスなどのウイルスベクターを用いることにより細胞への導入効率の高い、新規の小型ゲノム編集ツールとして*in vivo*遺伝子治療のほか、植物分野などでの応用が期待されています。

C4Uは、本発明の社会実装に向けて様々な産業分野での提携も進められるよう、準備を進めております。CRISPR-Cas3に加えて改変型AsCas12fも用いて、日本発ゲノム編集技術の実用化を推進してまいります。

C4U概要

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 : <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。

AsCas12f： CRISPR-Cas12は、CRISPR-Cas9と同様にクラス2に属するCRISPR-Cas酵素です。多様なタイプV Cas12のなかでも、*Acidibacillus sulfuroxidans*由来のタイプV-F Cas12f（AsCas12f）は、現在報告されているCasで最小のサイズで、ヒト細胞内で機能します。

<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