



2019年12月11日

各 位

会 社 名 株式会社アイロムグループ
代 表 者 名 代表取締役社長 森 豊隆
(コード番号 2372 東証第一部)
問 合 せ 先
役 職 取締役 社長室担当
氏 名 小島 修一
電 話 03-3264-3148

新規ゲノム編集技術による遺伝子改変キット 「GenoTune™」販売開始のお知らせ

当社の100%子会社である株式会社IDファーマ(以下、「IDファーマ」という)は、同社が開発した新規の安全・精密なゲノム編集技術を用いた遺伝子改変キット「GenoTune™」(ジェノチューン、以下「GenoTune」という)の販売を開始いたしますので、下記のとおりお知らせいたします。本技術については、厚生労働省が主催するジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2019(JHVS2019、※1)にてプレゼンテーションを行い、ベンチャー・アワードを受賞しております。

記

1. GenoTune および新規ゲノム編集技術について

GenoTune に用いられているゲノム編集技術は、2019年3月27日付「CRISPR-Cas9法の課題を克服する安全なゲノム編集法の新規技術開発のお知らせ」において開示した、IDファーマが開発した新規の安全・精密なゲノム編集技術(以下、「本新規ゲノム編集技術」という)であります。

GenoTune は、染色体を切断するのではなく、ドナープラスミドを切断し、デザインDNAに置換することが特徴(※2)です。

ゲノム編集技術は、遺伝性疾患の原因遺伝子の変異を遺伝子配列レベルで正常型に修復することによって、遺伝性疾患を根本的に治療する基盤技術であるとみなされており、世界的に技術開発が進められています。その中で最も盛んに用いられているのが、CRISPR-Cas9法(※3)を用いた方法ですが、この方法には染色体に過度な切断を導入してしまう可能性があるという安全上の課題が指摘されています。GenoTune は、染色体切断ではない方法によりゲノム編集を行うことで、安全・精密に標的遺伝子を改変することができ、染色体の破壊や遺伝子編集操作で使用するベクターのランダム挿入などを回避することが可能となります。

このたび、IDファーマは、本新規ゲノム編集技術を用いた遺伝子改変キット「GenoTune™」を開発し、12月12日に販売を開始いたします。

2. 今後の見通し

GenoTune については、医学、薬学、農学および分子生物学等において利用されることが期待されます。従来技術よりも安全で精密にゲノム編集を行うことにより、遺伝子の変異に起因する遺伝性疾患の遺伝子修復治療法の開発、アレルゲン物質を除去した農作物および畜産酪農動物の作出、遺伝子レベルでのドメイン機能解析等、皆様が安心・安全に使用可能なゲノム編集製品の創出に寄与してまいります。

3. 業績に与える影響

本製品発売による2020年3月期の業績への影響は軽微であり、業績予想に変更はありません。具体的な販売件数が確定し、当期の業績予想に変更が生じる場合には、速やかにお知らせいたします。

※1. JHVS2019 およびベンチャー・アワードについて

JHVS2019 は、アカデミア等で発見された優れたシーズの実用化を促進し、医療系ベンチャーを育てる好循環（エコシステム）の確立を図るための施策に取り組む厚生労働省が、その施策を加速させるために開催されました。（開催期間：2019年10月9日～11日）

サミットでは医療系ベンチャーがブースの出展やプレゼンテーション等を行うことにより、大手企業、金融機関、研究機関等のキーパーソンとのマッチングやネットワーキングを促進し、実用化に向けたステップアップの場となることが期待されています。

ID ファーマは、出展した 100 社を超える 企業の中から将来有望なベンチャー企業として「ベンチャー・アワード」を受賞し、厚生労働省より表彰されました。



※2. GenoTune の特徴

- ① 本新規ゲノム編集技術では、ヒトゲノムには存在しない特定の短鎖 DNA 配列「I-SceI 認識配列」を、あらかじめ正常型遺伝子配列を運ぶドナープラスミド（※4）に挿入し、遺伝子導入時に、I-SceI 酵素を用いて、ドナープラスミド上の「I-SceI 認識配列」のみを切断し、正常型遺伝子配列をゲノムに導入する方法であるため、従来のゲノム編集法でみられるような過度な染色体切断が起こりません。
- ② 本新規ゲノム編集技術では、染色体上の変異型遺伝子配列を、正常型に置換することによって修復しますが、修復後、ドナープラスミドの骨格部分が染色体に残らないように工夫しています（置換式遺伝子修復法）。また、I-SceI 酵素は、その遺伝子を ID ファーマの基盤技術であるセンダイウイルスベクター（※5）に搭載して発現し、発現後にはセンダイウイルスベクターとともに細胞から消えますので細胞内に留まることはありません。

本製品に関するお問い合わせ先

株式会社 ID ファーマ
TEL : 029-877-5155
担当 : 原 勇 (isamu-hara@idpharma.jp)

※3. CRISPR-Cas 9 法

CRISPR-Cas 9 (clustered regularly interspaced short palindromic repeats / CRISPR associated proteins 9) とは、ゲノム DNA 配列の特定の場所を切断して、ノックアウト等の遺伝子改変ができる遺伝子編集技術です。同技術はその高効率性から、現在多くの生物種におけるゲノム編集に広く利用されていますが、染色体に過度な切断を導入してしまう可能性があるという安全上の課題が指摘されています。

※4. ドナープラスミド

染色体上の変異遺伝子と相同な正常型遺伝子配列が挿入されており、ゲノム編集等を行う際に、正常型遺伝子をゲノムに運び込むために使用するプラスミドです。

※5. センダイウイルスベクター

センダイウイルスベクターは、ID ファーマが実用化したベクター技術です。センダイウイルスの骨格を利用した本ベクターは動物細胞全般に高い効率で細胞に感染し、搭載遺伝子を強く発現することができます。また、RNA 型のウイルスベクターであり、細胞の核内に取り込まれないので、染色体を傷つけることはありません。さらに、細胞内に長くどどまることなく消失する安全なベクターであります。

以上