

2022年12月1日

各位

会 社 名 株式会社トランスジェニック 代表者名 代表取締役社長 福 永 健 司 (コード番号 2342 東証グロース) 問合せ先 取 締 役 船 橋 泰 (電話番号 03-6551-2601)

当社子会社の(株)安評センターと国立大学法人東京大学との ACE2 エクソンヒト化マウスを用いた 受託研究契約締結のお知らせ

当社が開発したACE2エクソンヒト化マウス*1を用いた東京大学ら研究グループの研究費申請が 日本医療研究開発機構 BINDS 事業のプロジェクト(以下、「本プロジェクト」という)として採択されたことを受け、当社子会社の安評センター(代表取締役社長:福永健司、静岡県磐田市、以下、安評センター)が、本プロジェクト事業代表者の国立大学法人東京大学(総長:藤井輝夫、東京都文京区、以下、東京大学)と受託研究契約を締結することを本日決議いたしましたので、お知らせいたします。

【概要】

本プロジェクトは、東京大学大学院薬学系研究科附属創薬機構小島宏建特任教授らのグループが、新型コロナウイルスの感染に必要な受容体である ACE2 に対してエクソンスキップ*2を誘導するアンチセンスオリゴ核酸*3の効果を、当社開発の ACE2 エクソンヒト化マウスを用いて検証し、新型コロナ感染症治療薬を開発することを目的としています。

本プロジェクトにおける薬効評価は、アンチセンスオリゴ核酸が ACE2 遺伝子の特定のエクソンだけをスキップさせることを目的としています。このためには、エクソン・イントロン構造が保たれている必要がありますが、従来モデルである ACE2 ヒト化マウスはヒト ACE2 cDNA を導入したトランスジェニックマウスでありイントロンが無く、スキップが起きないことから、同薬効評価は不可能でした。

一方で、当社開発の ACE2 エクソンヒト化マウスは、本来のヒトに近い感染状況を再現することを目的に、当社独自のエクソンヒト化技術を用いて、ACE2 のエクソン部分のみをヒト化しており、かつ、エクソン・イントロン構造が保たれています。このため、ACE2 のエクソンスキップの誘導を目的とするアンチセンスオリゴ核酸の薬効評価にあたっては、従来モデルの欠点も解決した最適のモデルとなっています。

当社は、既に、トランスサイレチン(TTR)エクソンヒト化マウス*4の開発にも成功しており、遺伝性疾患に対する新たな治療法開発に関わる研究も進めております(2022年10月11日付リリース『アミロイドーシス治療法開発に向けた TTR エクソンヒト化マウス販売準備開始について』)。

本受託研究においてもエクソンヒト化技術の有用性を示すとともに、今後、他の遺伝病の遺伝子治療実験やウイルス感染の研究に有効なエクソンヒト化モデルマウスの作製受託あるいは共同開発を推進していきたいと考えております。

また、本受託研究が、2023 年 3 月期の連結業績へ与える影響は軽微と考えられますが、今後開示すべき事項が発生した場合には、速やかにお知らせいたします。

当社グループは今後も引き続き、付加価値の高い創薬支援サービスの充実を図ってまいります。

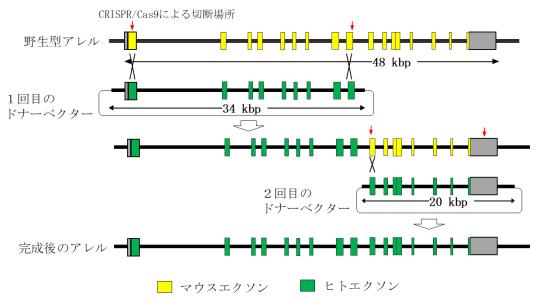
【BINDS 事業プロジェクト】

「生命科学・創薬研究支援基盤事業 (BINDS)」は、国立研究開発法人 日本医療研究開発機構 (AMED) が推進する事業です。BINDS では、共用施設・設備をベースに、医薬品のモダリティ治療手段の多様化や各種技術の高度化に対応したライフサイエンス研究支援基盤の拡充として、創薬研究のみならず広くライフサイエンスの発展に資する基礎研究を推進する基盤の構築、クライオ電子顕微鏡等の共用機器の DX の推進など研究支援基盤の高度化、また新しいモダリティ(核酸医薬、中分子医薬、改変抗体など)に対応した技術支援基盤の構築に取り組んでいます。

なお、本プロジェクトには、東京大学、東北大学、神戸大学、安評センターが参画しています。

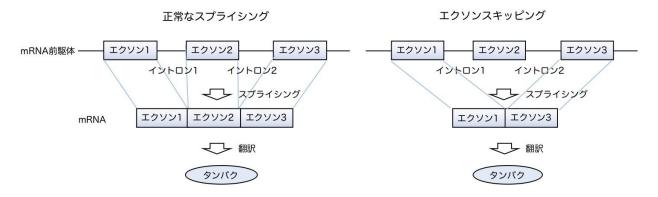
◆ご参考:

※1 ACE2 エクソンヒト化マウス



※2 エクソンスキップ

エクソンスキップは、ターゲットとするmRNA 前躯体のスプライシング促進配列がアンチセンスオリゴ核酸によりブロックされ、ターゲットにするエクソンがスキップされ正しく翻訳されなくなることです。



※3 アンチセンスオリゴ核酸

アンチセンスオリゴ核酸 (ASO) は、標的と相補的な配列を有する一本鎖 DNA や RNA です。 タンパク質への発現を抑制するはたらきを持ちます。

※4 <u>トランスサイレチン (TTR) エクソンヒト化マウス</u>参考論文

Biochemical and Biophysical Research Communications $599\ (2022)\ 69{\text -}74$

TTR exon-humanized mouse optimal for verifying new therapies for FAP

以上