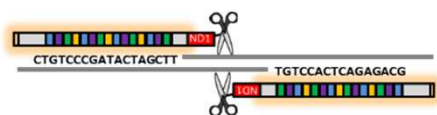


1. 研究の概要

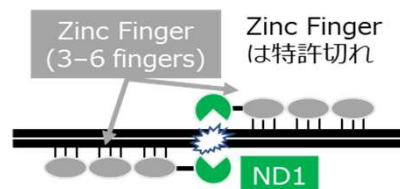
CRISPRフリーで産業実装に適した国産ゲノム編集ツールを開発

Platinum TALEN



バイオ燃料の生産等

Zinc Finger ND1



医薬品原料の生産等
(用途制限なしで創薬にも応用中)

2. 成果の特徴・知財

Platinum TALEN：従来のTALENに比べ、標的遺伝子に対する特異機能性が優れている

Zinc Finger ND1：従来のZFNに比べ、標的遺伝子に対する特異機能性が優れている。設計・作製期間も従来の1/10に短縮

特許取得済

- ・DNA結合ドメインを含むポリペプチド
- ・核酸挿入用ベクター
- ・新規ヌクレアーゼドメインおよびその利用
- ・変異解析ソフトウェアPtWAVE（公開中）

実験結果を学習させた設計アルゴリズムも社内でも開発中

3. 既存技術との比較・アピールポイント

	ライセンス障壁	オフターゲットリスク	治療効果(切断活性)	製造上の簡便性
CRISPR	✓ ライセンス費が高額 知財紛争	✓ 標的サイト長が短い ダイマー化無し	✓✓✓ 高い	✓✓✓ sgRNAの設計が容易で簡便
Platinum TALEN	✓✓ 用途によっては、PtBioと交渉すれば安価	✓✓✓ 標的サイト長が最も長い ダイマー化した時のみ活性化	✓✓ 比較的高い	✓ CRISPR程簡便でないが、PtBioが整備 対象生物によっては、開発に時間を要する
Zinc Finger ND1	✓✓✓ PtBioがライセンスをマネジメントして安価	✓✓ 標的サイト長が長い ダイマー化した時のみ活性化	✓✓ PtBioのND1を用いれば、比較的高い	✓ 難易度が最も高いが、PtBioが整備 現状は創薬・抗体生産細胞への適用実績のみ

4. バイオものづくりへの展開例と課題

展開例

- 特定物質の生産能の優れた高機能株をCRISPRフリーで作出
- CRISPRと親和性の乏しい生物や標的（カイコや葉緑体等）のゲノム編集

課題

- 形質転換系が構築されていない株は数年単位のプロジェクト
- ターゲット遺伝子によっては、ゲノム編集困難（欠損させると死滅する等）な場合有