2015 年 6 月 18 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 東証マザーズ）
問合せ先　取　締　役 船 橋　泰
（電 話 番 号　03-6693-9571）

「臓器ヒト化マウス」に関する国際特許出願のお知らせ

株式会社トランスジェニック（代表取締役社長：福永健司、熊本県熊本市）は、このたび「臓器ヒト化マウス」に関して、国際特許出願（PCT 出願）を行いましたので、お知らせいたします。

【概要】

当社は、ジェノミクス事業の成長戦略の一環として、汎用性の高いあるいは CRO へ展開可能な病態モデルマウスの導入および研究開発に積極的に取り組み、ラインナップの拡充を図っております。このたびの国際特許出願は、従来の免疫不全マウスを用いることなく、臓器ヒト化マウスを確立する技術です。

従来のヒト化マウスでは、ヒト肝細胞の拒絶を避けるため免疫不全マウスを用いざるを得ず、ヒト疾患モデルマウスの作製や病態解析、治療法の検証、薬物代謝の検討等を行う上で不十分でした。

今回、国際特許出願した当社の本技術では、この課題を解決するため、ヒト iPS 細胞から分化誘導した肝細胞を、胎児の卵黄嚢血管経由で移植することにより、免疫応答が正常なマウスの体内に、ヒト肝臓を構築することを可能とするものです。これにより、遺伝性疾患等も含めよりヒトに近い病態モデルを作製できます。さらに、通常マウスで行われる薬剤の効果や代謝などの非臨床実験を、正常な生理的環境を持ち、かつヒトの臓器機能が反映されたマウスで行えることから、より精度の高い創薬や臓器機能の研究に利用することができます。

すなわち、研究者の高い需要が想定され、当社ジェノミクス事業及びグループ CRO 事業の成長を大きく加速させることが期待されます。

当社は､本臓器ヒト化マウス技術の世界市場での収益化に向けて国内外の知的財産権を早急に確保し、事業優位性を図ることを目的として国際特許出願をすることといたしました。

当社は、このたびの国際特許出願を機に早期事業化に向けた開発活動を本格化いたします。

◆ご参考　：ヒト化マウス

ヒト化マウスとは、便宜的に遺伝子レベルでのヒト化マウス、細胞レベルでのヒト化マウス、組織・臓器レベルでのヒト化マウスの 3 種類があります。遺伝子レベルでのヒト化マウスは、当社が有する可変型遺伝子トラップ法または可変型相同組換え法によりすでに作製可能です。細胞レベルでのヒト化マウスの例としては、ヒト白血球を持つマウス、ヒト抗体を産生するマウスがあげられます。組織･臓器レベルでのヒト化マウスは、生体内で正常にヒト組織や臓器を再構築し、持続的に機能させ、ヒトの細胞や組織が拒絶されることなく体内に存在するマウスです。例えば、ヒト肝臓持つマウスなどがあります。このようなヒト化マウスを用いることにより、非臨床試験や創薬研究がよりヒトの状態を反映したモデルで進めることが可能となります。

iPS 細胞（人工多能性幹細胞）

iPS 細胞とは、ヒトの皮膚などの体細胞に数種類の遺伝子を導入することにより、様々な臓器の細胞や組織に分化する多能性を有する細胞です。iPS 細胞から分化誘導させた

神経細胞、心筋細胞、膵細胞や肝細胞を用いて、病態解明、薬剤の副作用評価、新薬の探索・開発を効率的に進めることが期待されます。また、患者由来の iPS 細胞を分化誘導した組織や細胞を移植する再生医療への応用も期待されています。

以上