2023 年 12 月 22 日

各　　位

会社名　　株式会社　モダリス
代表者名　　代表取締役 CEO　森田　晴彦
（コード：4883、東証グロース）
問合せ先　　執行役員 CFO　小林　直樹
（TEL. 03-6822-4584）

ミニ Cas9 発明、日本で特許成立のお知らせ

- 当社が独自に開発し、出願したミニ Cas9 特許出願「改変された Cas 9 タンパク質及びその用途」が日本および中国で特許査定。
- 当社独自の CRISPR を用いたエピゲノム編集技術などで利用可能な小型 dCas9。AAV など搭載可能な遺伝子(トランスジーン)のサイズに制限があるベクターで利用する場合に、プロモーターなど他のパーツのために必要なスペースを提供。

当社のミニ Cas9 の発明に関する特許出願(特願 2020-523211 および 201880050453.1(PCT/JP2018/021068))が、日本特許庁および中国国家知識産権局(China National Intellectual Property Administration)からそれぞれ査定の通知を受けましたのでお知らせします。

Cas9 を用いてエピゲノム編集を行う場合には送達ツールとしてアデノ随伴ウィルス(AAV)などのウィルスベクターあるいは脂質ナノカプセル(LNP)を送達に使うのが、送達効率および安全性の点で一般的です。一方で、体内の特定の臓器や組織、あるいは細胞種を狙おうとすると、LNP と mRNA の組み合わせでは選択性を出すことが困難であることから、神経疾患や筋肉疾患などを狙おうとすると AAV が合理的な選択肢となります。しかしながら、AAV にはトランスジーンの上限サイズが 4.9kb 程度となっていることから、Cas9 などの大型のトランスジーンを送達することには困難が伴います。

本特許発明に含まれる Staphylococcus aureus 由来のミニ Cas9 は、構造解析などから明らかになった機能維持に不要である一部の領域を、当社の研究成果により短縮化したものとなります。エピゲノム編集に用いられるプロモーターやその他のパーツを Cas9 と連結した転写因子などと共に AAV を搭載するのに必要なスペースを提供することが可能になります。
本ミニ Cas9 技術は、当社の技術ポートフォリオを強化し、他の類似技術との差別化を図るとともに、現在の治療法が満たさない遺伝性疾患のニーズに対して画期的治療薬を提供することを可能にします。

エピゲノム編集：DNA やヒストンのメチル化などを制御することにより、遺伝子配列はそのままの状態で、遺伝子のオン・オフを制御すること。

dCas9: ゲノム編集の切断酵素である Cas9 の切断活性を取り除いた酵素。転写因子などと連結して塩基置換やエピゲノム編集に用いられる。

以　上