

## マイクロホモロジー配列を利用した新規遺伝子導入法

ライセンス契約を受けていただき 本発明の実用化を目指していただける企業様を求めます。

マイクロホモロジー配列を利用して導入遺伝子を継目なく除去する新規の遺伝子改変法を提供することに成功しました。

### ◆背景

最近のヌクレアーゼ技術の進歩により、ヒト胚性幹細胞（ESC）やiPS細胞での遺伝子ターゲティング効率は向上しましたが、一塩基変異の導入は、濃縮や選択手段が乏しいため未だに困難でした。従来は抗生物質耐性マーカーによるポジティブ選択が用いられていましたが、遺伝子ターゲティング後にこのマーカーを傷跡なく除去することが重要でした。よって、外来遺伝子導入の痕跡を完全に除去することができる代替法を探する必要がありました。

### ◆発明概要と利点

本発明は、マイクロホモロジー配列を利用して導入遺伝子を継目なく除去する新規の遺伝子改変法を提供します。本方法は、ゲノムから選抜カセット配列（遺伝子導入部分）を継目なく取り除くことができ、ゲノムに継目のない点変異を導入します。また、変異体およびその同質遺伝子系統細胞株を同時に作製します。

従来の方では、遺伝子導入に伴い変異が導入され、またその導入位置も不特定でしたが、本方法では導入の痕跡を完全に消し去ることができます。また、点変異体を作成する際に特定の位置に変異を導入することが可能となります。

#### ➤ 幅広い応用性

本方法のiPS細胞ゲノム技術への応用において、遺伝子活性化またはノックアウトの際に外来遺伝子導入の痕跡を完全に除去することができるため、細胞療法等への幅広い応用が可能となります。

#### ➤ 新規性

導入遺伝子を完全に除去する本方法は、従来の方（PiggyBac, Cre/loxP）よりも適用範囲が広い新規遺伝子改変法です。

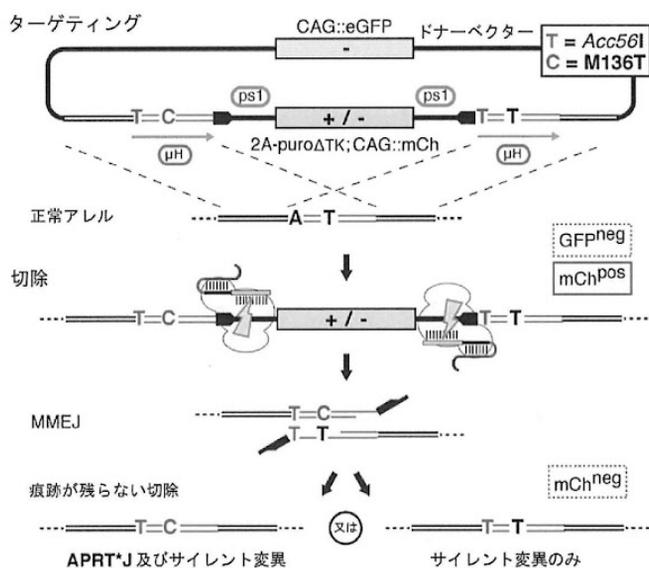


図 本発明による遺伝子改変の概要

### ◆開発段階

本方法は遺伝子活性化またはノックアウトの際に外来遺伝子導入の痕跡を完全に除去することができるため、本発明の完成度は高い。

### ◆適応分野

細胞療法等

### ◆特許権

「ゲノム編集のための方法」

特許第7184364号

出願人：国立大学法人京都大学

### ◆発表状況

Nat Commun. 2018 Mar 5;9:939.

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC5838097/>

### ◆希望の連携形態

- ・ 実施許諾契約
- ・ オプション契約

### ◆お問い合わせ先

京都大学産学連携担当  
株式会社TLO京都

〒606-8501  
京都市左京区吉田本町  
京都大学国際科学イノベーション棟3F  
(075)753-9150  
licensing\_ku@tlo-kyoto.co.jp

IAC Institutional  
Advancement and  
Communications

TLO 京都