

2021年10月14日 BioJapan 2021



BioPalette

genome editing

**日本発の次世代LBP開発を目指して**

**～ゲノム編集×マイクロバイオーム～**

# 株式会社バイオパレット

神戸医療産業都市  
クリエイティブラボ神戸



本社所在地 神戸市灘区六甲台町1-1

設立日 2017年2月21日

資本金 15億5076万円(資本準備金含む)

株主 (株) 科学技術アントレプレナーシップ、Eight Roads、F-Prime Capital、ARCH Venture Partners、ジャフコグループ(株)、他

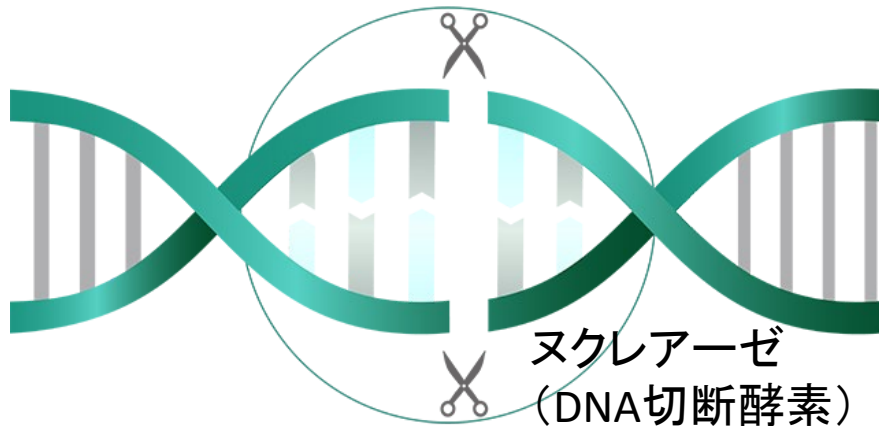
役員  
代表取締役 村瀬 祥子  
取締役 近藤 昭彦 (神戸大学大学院 教授)  
取締役 西田 敬二 (神戸大学大学院 教授)  
取締役 山本 一彦 (神戸大学大学院 教授)  
取締役 David Milstein (Eight Roads Ventures Japan 代表)  
取締役 香本 慎一郎 (Eight Roads Ventures Japan パートナー)  
取締役 三好啓介 (ジャフコ グループ(株) 取締役 パートナー)  
取締役 三浦研吾 (ジャフコ グループ(株) シニアアソシエイト)  
監査役 高畑 豪太郎 (御堂筋法律事務所 弁護士)

事業内容 **ゲノム編集を利用するマイクロバイーム治療の開発**

# 「切るゲノム編集」と「切らないゲノム編集」

CRISPR/Cas9

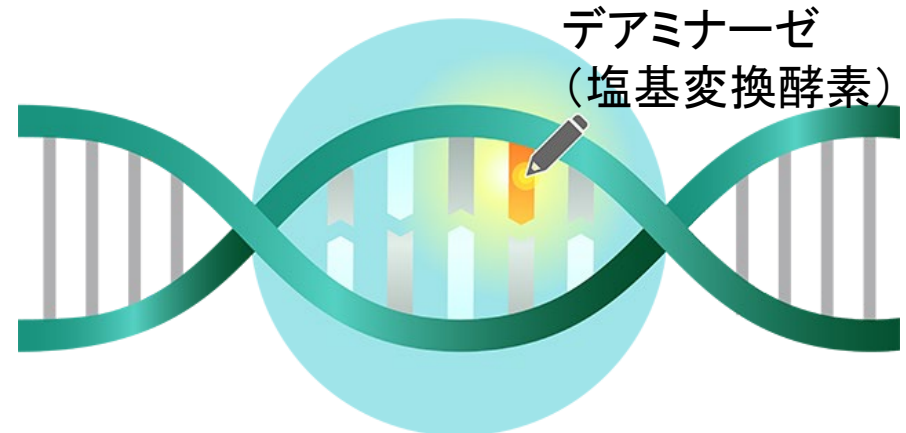
切るゲノム編集



DNA切断後の細胞修復機構による**一定の不確実性**のもとでのゲノム編集

塩基編集(バイオパレットの技術)

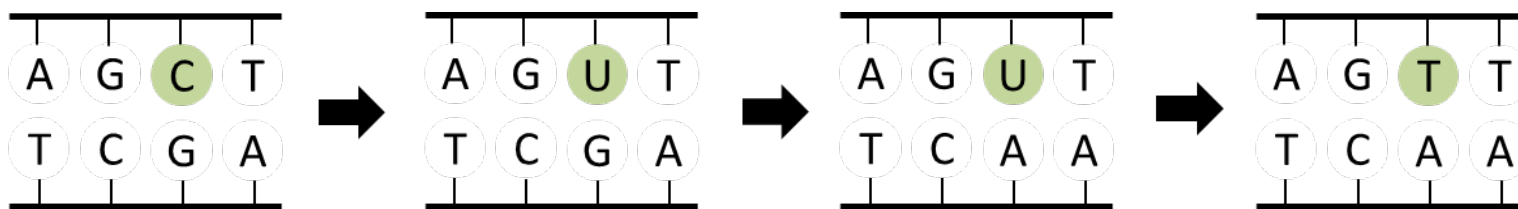
切らないゲノム編集



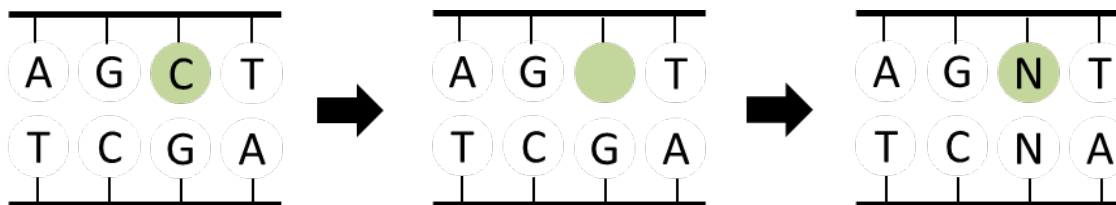
特定パターンの塩基置換による**精密・正確**なゲノム編集

## 2種類の切らないゲノム編集は効率的な遺伝子編集のための強力なツールとなる

技術1	塩基変換酵素	作用領域	効果
Target-AID®	デアミナーゼ (脱アミノ化反応)	5 bp以内の領域	特定パターンの塩基置換



技術2	塩基変換酵素	作用領域	効果
Target-G®	グリコシラーゼ (脱塩基反応)	1 kbp程度の領域	ランダムな塩基置換 (進化工学的育種)



## ■ 切るゲノム編集と切らないゲノム編集

	切るゲノム編集 (CRISPR/Cas9)	切らないゲノム編集 (塩基編集)
酵素	ヌクレアーゼ	デアミナーゼ
DNAへの作用	DNA2本鎖の切断	脱アミノ化
改変	不確実な欠損または挿入	特定パターンでの塩基置換
細胞毒性	高	低 (細菌等の微生物にも使い易い)
多重標的化	可能だが細胞毒性が高い	可能
一塩基置換	可能だがDNAフラグメントの挿入が必要	可能
疾患治療	遺伝子破壊(遺伝子修復にはDNAフラグメントの挿入が必要)	遺伝子破壊および遺伝子修復
進化工学的利用 (育種利用)	可能	効率的に可能

# 「切らないゲノム編集」の基本特許は ハーバード大学/神戸大学が有している

CRISPR/Cas9 (切るゲノム編集)

塩基編集 (切らないゲノム編集)

2012

2013

2014

2012年5月25日  
カリフォルニア大学等

2012年12月12日  
ブロード研究所

2013年12月12日  
ハーバード大学

2014年3月5日  
神戸大学

Jennifer Doudna  
Emmanuelle Charpentier

Feng Zhang

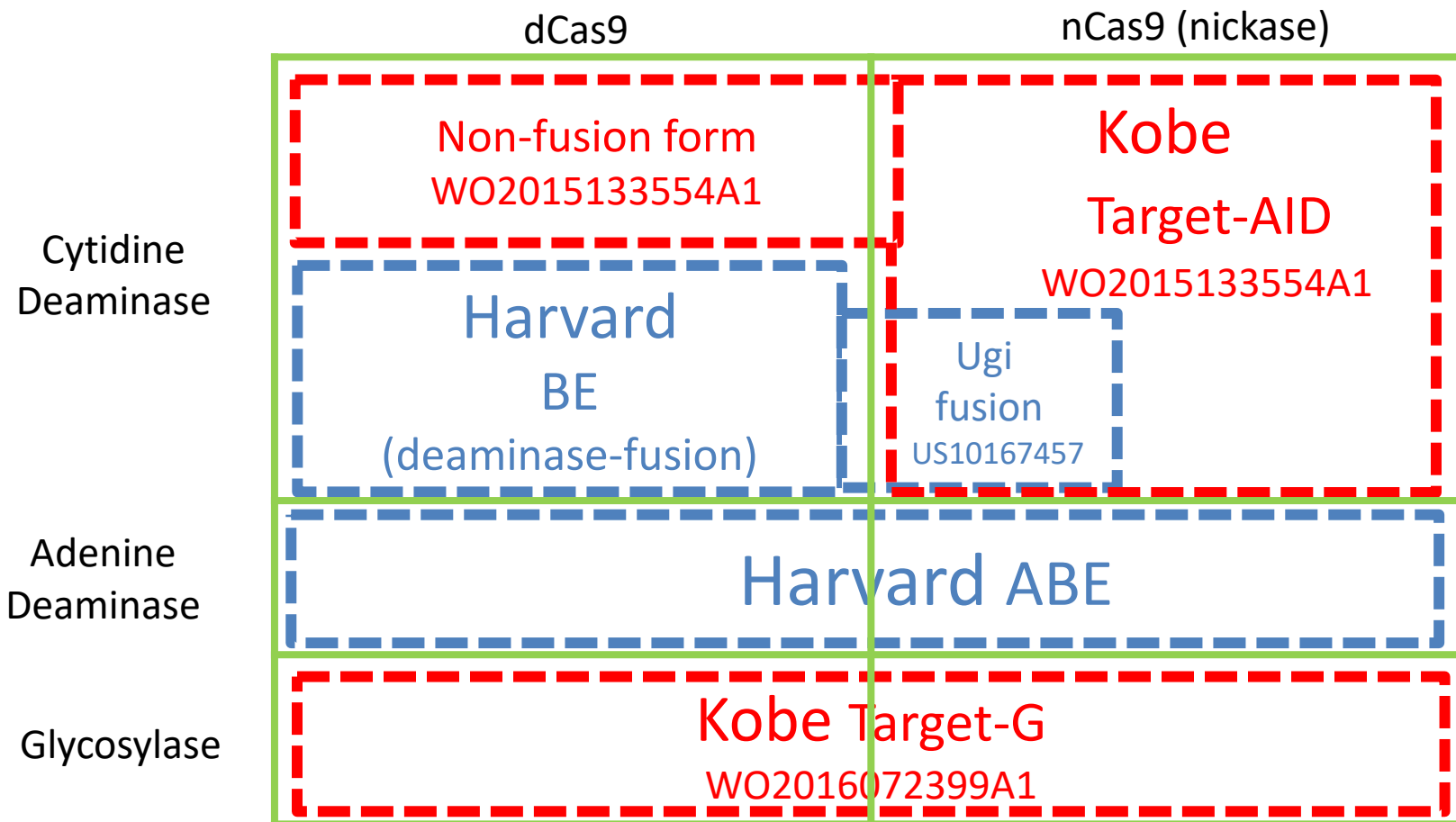
David Liu

西田敬二

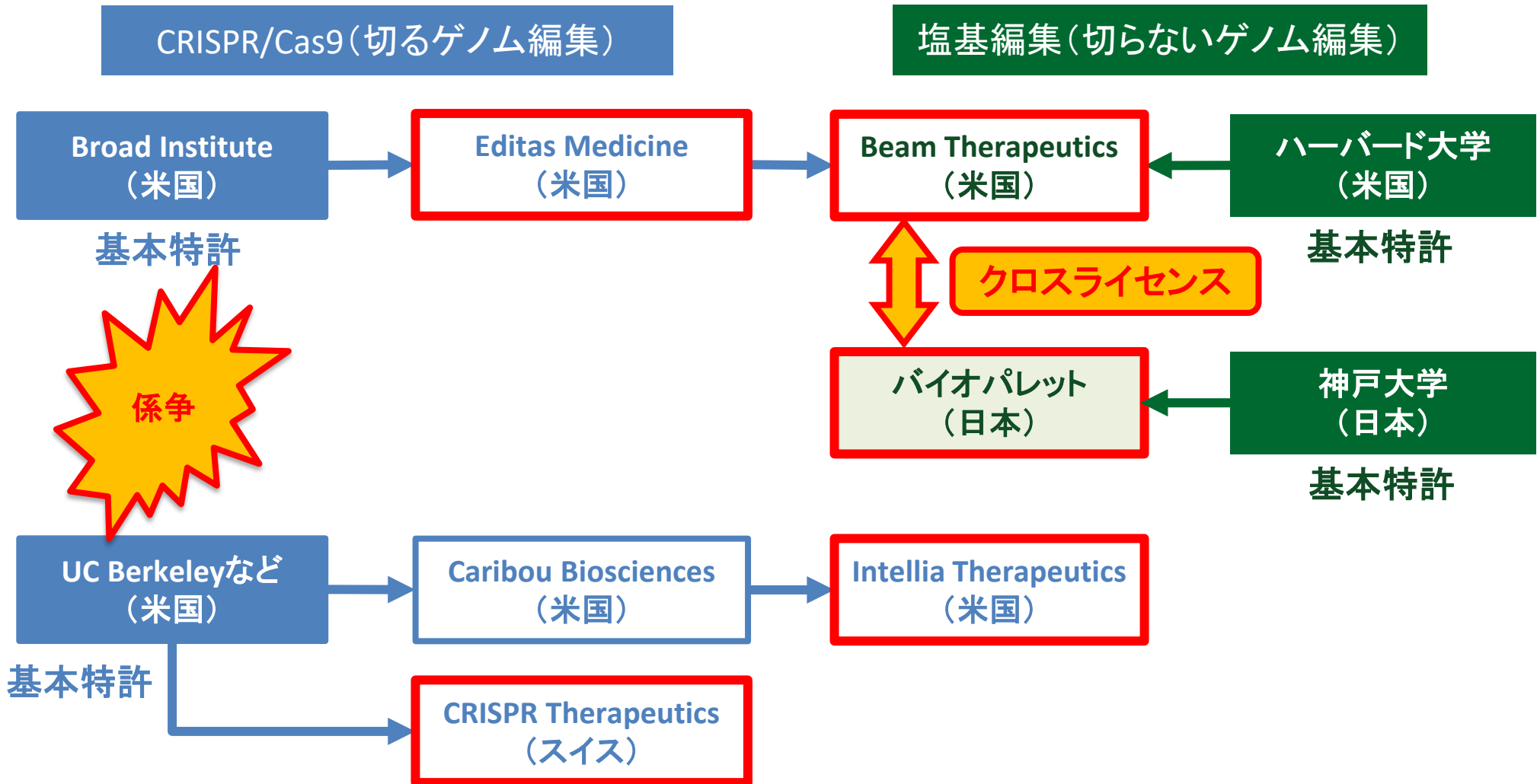
Komor et al 2016 *Nature*

Nishida et al 2016 *Science*

# 「切らないゲノム編集」の基本特許は ハーバード大学/神戸大学が有している

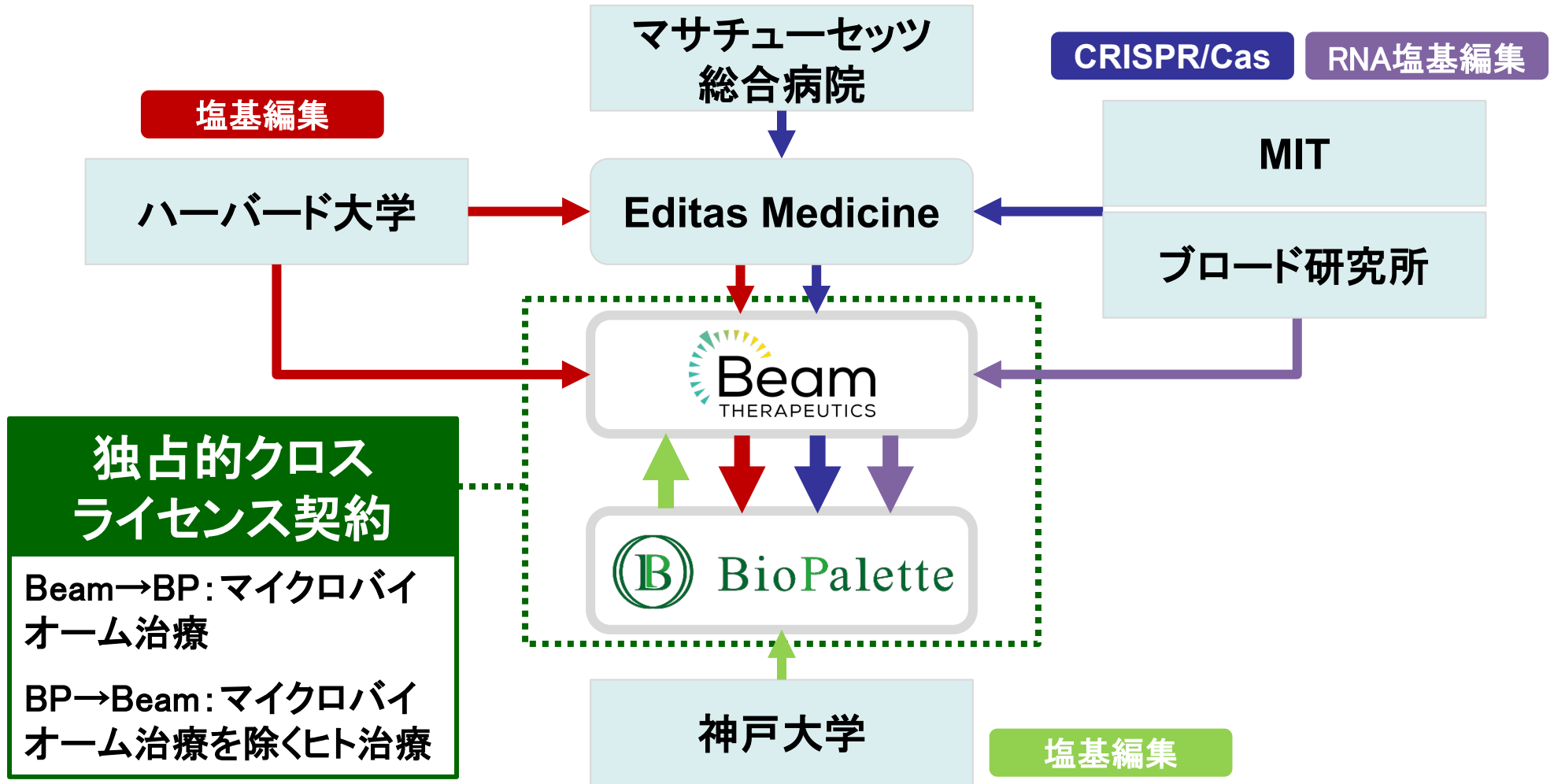


## 基本特許の実施許諾を受けた少数のベンチャー企業による**独占排他的構図**





当社は塩基編集を利用してマイクロバイオーム治療に取り組める**唯一の企業**



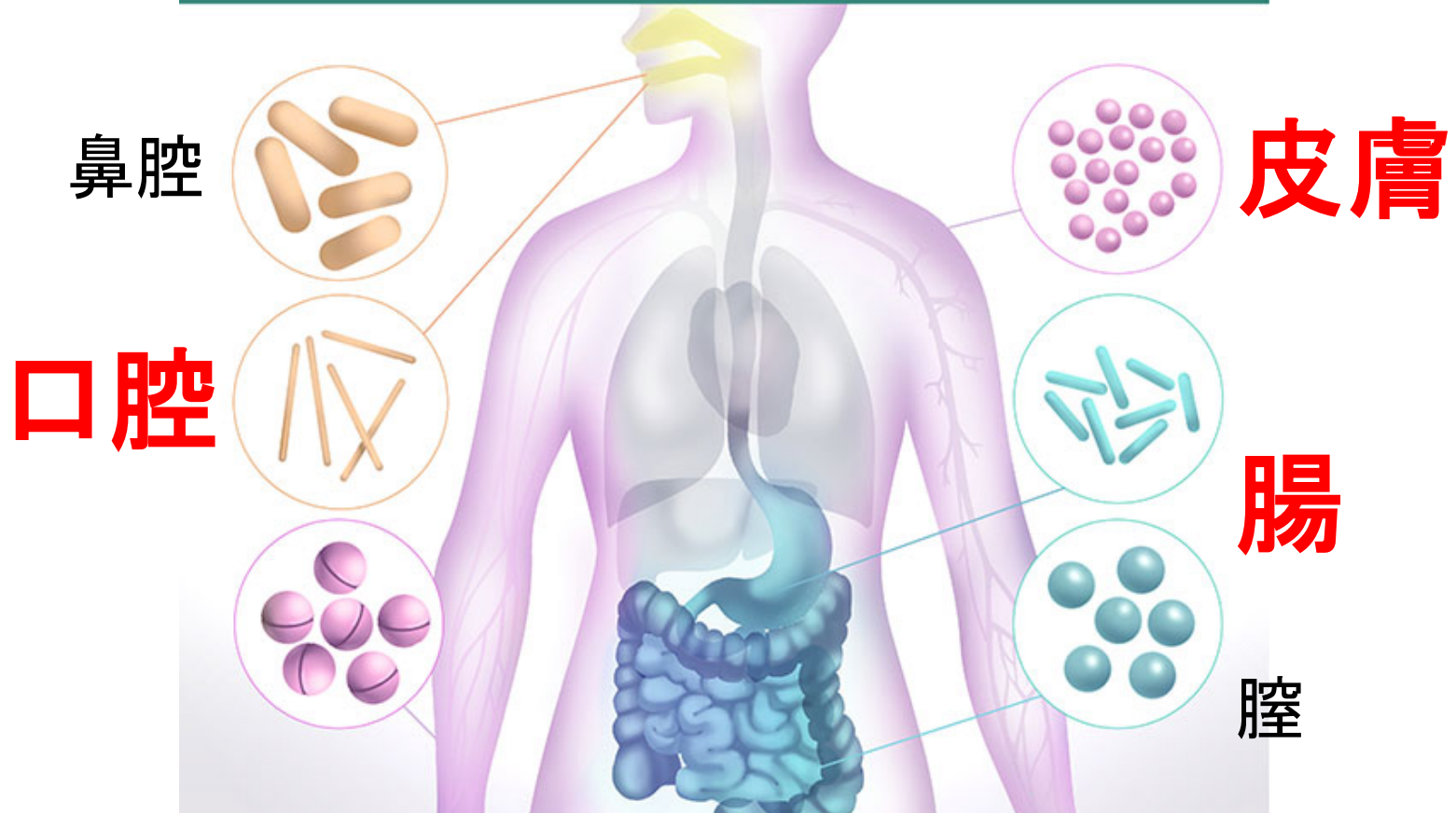
「**ゲノム編集**」を利用して「**マイクロバイーム**」を調整する、  
革新的なマイクロバイーム治療の実現を目指す

# Genome Editing Microbiome

Bio Palette aims to become a world-leading company  
in the field of microbiome therapeutics by using bacteria  
optimized by genome editing to modify and control microbiomes.

様々な疾患におけるマイクロバイオームの重要性が見出されてきている

想定されるマイクロバイオーム治療の分野



## ■ マイクロバイオーム治療のアプローチ

米国を中心にそれぞれのアプローチで多数のベンチャー企業に取り組んでいる。

### 低分子・ペプチドの投与



20社以上

### 野生型細菌の投与 (第一世代LBPs)



20社以上



### ファージ等を用いた 体内での細菌の改変



数社



### 遺伝子組換え細菌の投与 (第二世代LBPs)

数社



## ■ マイクロバイオーム治療のアプローチ

マイクロバイオーム治療の中でも細菌を使用する治療は、**Live Biotherapeutic Products (LBP)**と呼ばれ、新しいモダリティとして注目されている。

### 低分子・ペプチドの投与



20社以上

### 野生型細菌の投与 (第一世代LBPs)



20社以上



### ファージ等を用いた 体内での細菌の改変



数社



### 遺伝子組換え細菌の投与 (第二世代LBPs)

数社



米国を中心に進んでいるLBPの開発は、野生型細菌を利用するパイプラインが先行しており、2021年～2022年に米国で初のLBPの承認が見込まれる。**バイオパレットではゲノム編集細菌を利用する最先端LBPの開発を目指す。**

**第一世代LBP: 野生型細菌**

米国等で開発中(米国で上市間近)



**第二世代LBP: 遺伝子組換え細菌**

米国等で開発中

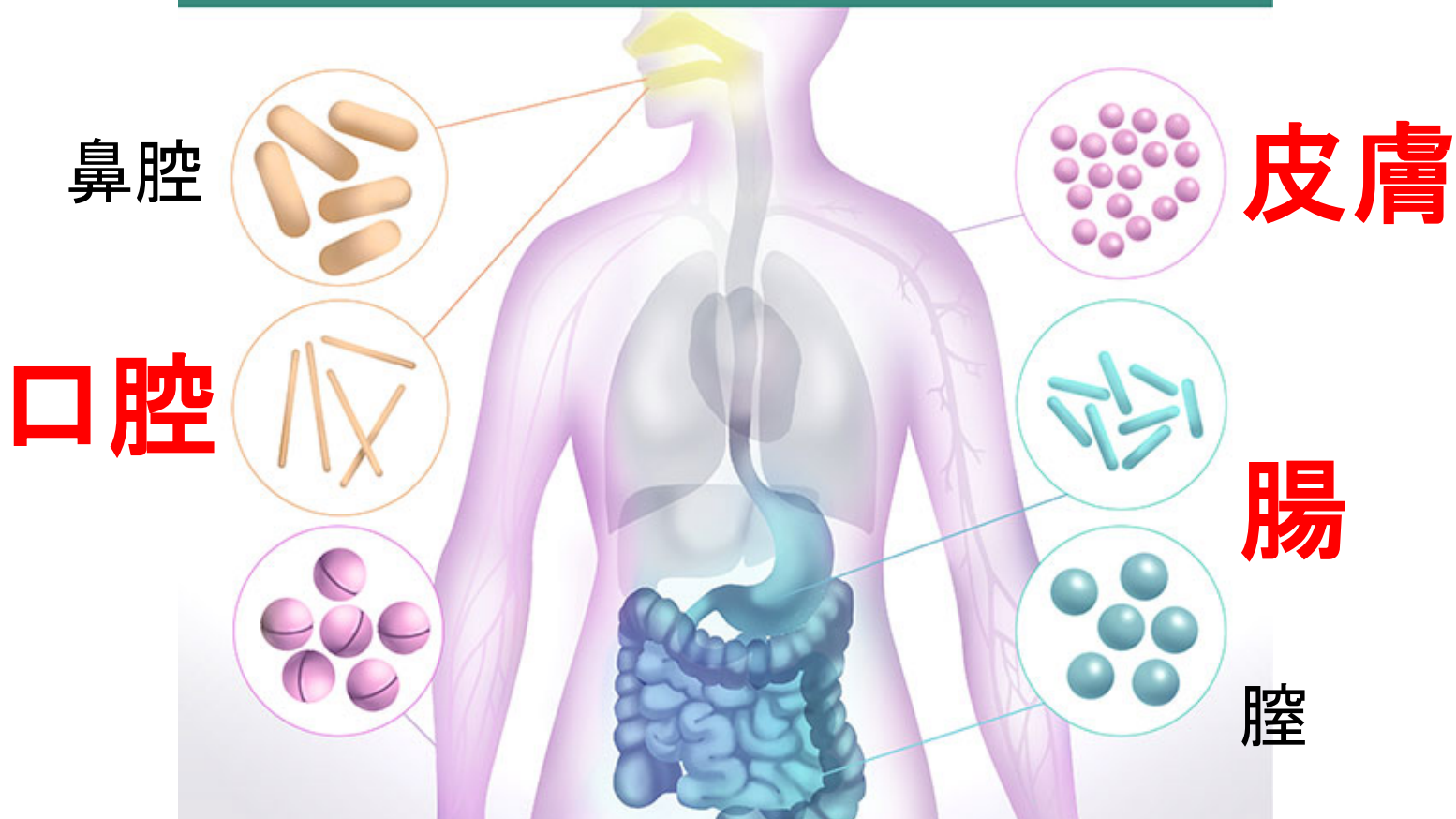


**第三世代LBP: ゲノム編集細菌**

バイオパレットが目指す最先端LBP

**口腔**を自社注力領域とし、**皮膚**および**腸**については製薬企業等との早期段階からの連携を目指す

想定されるマイクロバイオーム治療の分野



# マイクロバイオーム治療の グローバル・リーディングカンパニーへ

- 最先端かつ独自のゲノム編集技術を有しています
- 強固な知財基盤によって我々にしか創り出せない  
マイクロバイオーム治療を開拓します
- 各領域で開発パートナーを募集します





BioPalette

genome editing